

## Rapport d'activité du CRMR MATHEC 2017- décembre 2022

### Table des matières

1. Introduction.....	3
2. Missions du CRMR-MATHEC - St Louis.....	4
3. L'organisation des soins .....	4
3.1 Composition de l'équipe en 2022 .....	4
3.2 Evaluation/Expertise .....	6
3.2.1 Réunions de concertation pluridisciplinaire (RCP) : nombre de réunions, nombre de cas, nombre d'indications .....	6
3.2.2 Activité de consultation et d'hospitalisation.....	8
3.2.3 Epidémiologie : Saisie dans BAMARA.....	8
3.2.4 Protocoles/guides de bonnes pratiques : Recommandations de bonnes pratiques, PNDS.	11
4. Outils de formation et d'information.....	12
4.1 Le site internet MATHEC .....	12
4.1.1 Description .....	12
4.1.2 Statistiques de connexion du 1er janvier 2018 au 31 décembre 2022 .....	13
4.1.3 Le guide MATHEC : <a href="http://leguide.mathec.com/">http://leguide.mathec.com/</a> .....	14
4.2 Page Facebook MATHEC.....	14
4.3 Allo MATHEC : 06 24 81 03 91.....	15
4.4 Journée annuelle du CRMR-MATHEC ST Louis de formation.....	15
4.5 Autres missions de formation ?.....	16
4.6 Media grand public.....	16
5. Recherche.....	16
5.1 Recherches prospectives impliquant la personne humaine .....	17
5.2 Recherches observationnelles prospectives .....	20
5.3 Recherche en sciences humaines et sociales .....	21
5.4 Bases de données MATHEC et recherches observationnelles rétrospectives .....	22
5.4.1 Base de données MATHEC-SSc-St-Louis.....	22
5.4.2 Base de données nationale MATHEC-SFGM-TC .....	22
5.4.3 Recherches observationnelles rétrospectives.....	27
5.5 Biobanques et recherche translationnelle .....	29
5.5.1 Biobanque MATHEC-SSc.....	29
5.5.2 Biobanque MATHEC-SFGM-TC .....	30

5.5.3 Etudes translationnelles .....	30
5.6 Points SIGAPS .....	33
6. Mesures spécifiques pour la prise en charge des patients depuis le début de la pandémie Covid19 dans le cadre du CRMR MATHEC (Annexe 6): .....	33
7. Budget .....	34
8. Liens et partenaires .....	34
Annexe 1 : Liste des Protocoles/guides de bonnes pratiques auxquels l'équipe du CRMR MATHEC a participé à la rédaction entre 2017 et 2022.....	37
Annexe 2 : Communications orales de 2017 à 2022 : A l'échelon national : 85 .....	39
Annexe 3 : Communications orales de 2017 à 2022 : A l'échelon international : 34 .....	43
Annexe 4 : Publications indexées dans Pubmed de 2017 à 2022 : Articles pour lesquels les membres de MATHEC sont cités dans les co-auteurs : 75 .....	45
Annexe 5 : Publications indexées dans Pubmed de 2017 à 2022 : Contribution à des essais multicentriques et publications correspondantes : 41 .....	53
Annexe 6 : Actions Covid19 entreprises dans le cadre MATHEC et UF04 médecine interne à l'hôpital Saint Louis.....	58

## 1. Introduction

Le CRMR MATHEC –ST Louis, ou plateforme de coordination Maladies Auto-immunes et Thérapie Cellulaire basée à l'hôpital Saint-Louis à Paris, AP-HP, a été labellisé Centre de Référence Maladies Rares (CRMR) des maladies auto-immunes systémiques rares d'Île de France (site constitutif) labellisé depuis novembre 2017, au sein de la Filière de Santé des maladies auto-immunes et auto-inflammatoires rares (FAI2R), et ce pour une durée de 5 ans renouvelable.

Le Pr Farge, coordinateur du CRMR MATHEC St-Louis, est chef de l'Unité hospitalière de Médecine Interne UF 04 à l'hôpital Saint-Louis. Depuis le 1<sup>er</sup> mars 2021, l'intitulé de l'UF 04 est « CRMR MATHEC, Maladies Auto-immunes et Thérapie Cellulaire » et les contours de l'UF04 ont été modifiés pour être entièrement dédiés aux activités du CRMR MATHEC, aux consultations externes en présentiel ou en télé-médecine avec un recrutement national et international à l'Hôpital St Louis, AP-HP.

Le CRMR MATHEC St-Louis et la plateforme de coordination MATHEC sont affiliés :

- À l'Université de Paris Cité, et les membres de l'équipe de recherche n°3 « Thérapie cellulaire appliquée aux MAI et maladies non malignes » MATHEC-Eurocord (Direction Pr D. Farge, Co-Direction Pr E. Gluckman) de l'équipe d'accueil 3518, devenue Unité de Recherche URP 3518 en 2021 Université de Paris (Directeur Hervé Dombret) « Thérapie cellulaire appliquée aux MAI et non malignes »;
- A l'université McGill en lien avec « le Center de Médecine Régénérative », dont le Pr Farge est membre. Le Pr Farge D, Professeur Adjunct (nihil salari) depuis 2017 dans le Département de Médecine Interne à l'Université McGill Canada, est affiliée depuis mai 2021 à la Division of Experimental Médecine du Département, facilitant les partenariats de recherche et co-directions d'étudiants. La plateforme et les outils du site internet MATHEC ont été construits d'emblée en Français et en Anglais.

L'équipe de coordination du CRMR- MATHEC St-Louis, « Maladies Auto-Immunes et Thérapie Cellulaire », anime un réseau francophone qui, en juin 2022 réunit 530 professionnels de santé (médecins cliniciens de spécialité complémentaires, spécialistes de thérapie cellulaire et biologistes, et paramédicaux - (kinésithérapie, nutritionniste, psychologues, travailleurs sociaux) impliqués dans le soins, la recherche clinique ou translationnelle, autour des maladies auto-immunes et auto-inflammatoires (MAI) et de leur traitement par greffe de cellules souches hématopoïétiques (CSH) ou autre modalités de thérapie cellulaire en cours de développement. Conformément au Plan National Maladies Rares (PNMR3), les membres du réseau MATHEC œuvrent ensemble, depuis 2017, pour le développement et la bonne utilisation de la greffe de cellules souches hématopoïétiques (CSH) et des thérapies cellulaires innovantes afin d'améliorer la prise en charge des patients atteints de maladies auto-immunes et auto-inflammatoires (MAI) non malignes dans le cadre de la Filière FAI2R et en lien avec d'autres spécialistes.

Les membres de MATHEC travaillent au sein de la Société Francophone de Greffe de Moelle et de Thérapie Cellulaire (SFGM-TC) (Article 10 du règlement intérieur SFGMTC 2018 – Groupe Maladies Auto-immunes et Thérapie Cellulaire de la SFGM-TC (MATHEC). Le groupe Maladies Auto-immunes et Thérapie Cellulaire de la SFGM-TC (MATHEC-SFGM-TC) réunit les membres de l'association SFGM-TC intéressés par les maladies auto-immunes ainsi que d'autres spécialistes des Maladies Auto-immunes et Auto-inflammatoires ayant une activité de greffe de cellules souches hématopoïétiques ou de thérapie cellulaire. Chaque centre

relevant de la SFGM-TC ayant une activité liée à la greffe ou la thérapie cellulaire appliquée aux maladies auto-immunes peut être représenté par un ou plusieurs membres au sein du groupe MATHEC et être publié sur le site internet de la SFGM-TC. *La charte de fonctionnement du groupe MATHEC a été approuvée par le Conseil d'administration de la SFGM-TC en 2018 et peut être consultée le site internet de la SFGM-TC (<https://www.sfgm-tc.com/>).*

Le présent rapport décrit le bilan des activités réalisées par le CRMR MATHEC sur la période de 2017 à mars 2022.

## 2. Missions du CRMR-MATHEC - St Louis

Conformément au [Plan National Maladies Rares 3 \(PNMR3\)](#), les membres de MATHEC œuvrent à la bonne utilisation de la greffe de moelle osseuse et de la thérapie cellulaire pour les patients atteints de maladies auto-immunes et auto-inflammatoires. Ils travaillent dans des centres accrédités pour l'allogreffe de moelle et la thérapie cellulaire afin de promouvoir la place d'excellence de notre pays à l'échelon national et international, tant sur le plan de la prise en charge des patients que des connaissances, les missions des membres de l'équipe de coordination du CRMR-MATHEC St-Louis, sont de :

- *Développer l'information nécessaire et actualisée pour faciliter l'accès des patients aux soins courants et aux innovations thérapeutiques,*
- *Élaborer et diffuser les procédures de Bonnes Pratiques Cliniques (BPC) et les protocoles de soins autour de la thérapie cellulaire appliquée aux maladies auto-immunes et auto-inflammatoires, validées par les membres du conseil scientifique de la SFGM-TC. Ces protocoles, conformes aux référentiels européens, sont définis en lien avec les autorités de santé en France (Agence Nationale de Sécurité des Médicaments et des dispositifs médicaux, Agence de BioMédecine) et les autres Sociétés Savantes et Groupes de recherche académique, spécialistes de chaque MAI, travaillant sur ces sujets d'horizons multiples et nécessitant des compétences complémentaires,*
- *Collecter les données cliniques et biologiques nécessaires au suivi des patients, dans le cadre de la base de données nationale MATHEC, sous l'égide de la SFGM-TC et en lien avec la Société européenne de greffe moelle et thérapie cellulaire (EBMT),*
- *Concevoir et mener à bien les activités de recherche clinique (conception d'essais cliniques et d'études rétrospectives) et translationnelle pour évaluer des traitements innovants en France et à l'international*
- *Mettre en œuvre d'actions d'enseignement et de formation pour les personnels médicaux et paramédicaux sur le traitement par thérapie cellulaires des maladies auto-immunes ;*

## 3. L'organisation des soins

### 3.1 Composition de l'équipe en 2022

Le CRMR MATHEC est coordonné par le Pr Dominique Farge, chef de service en médecine interne de l'UF 04. De 2017 à 2022, le périmètre hospitalier de cette unité a évolué au vu de du développement progressif du CRMR-MATHEC et de l'ancienneté des responsabilités cliniques en secteur traditionnel d'hospitalisation du Pr Farge (depuis 1994).

A compter du 21 mars 2021, en accord avec la Direction du GH Nord et de l'AP-HP, le Pr Farge lors de son renouvellement de mandat de chef de service, a souhaité recentrer ses activités hospitalières et universitaires sur le pilotage du centre de référence maladies rares MATHEC

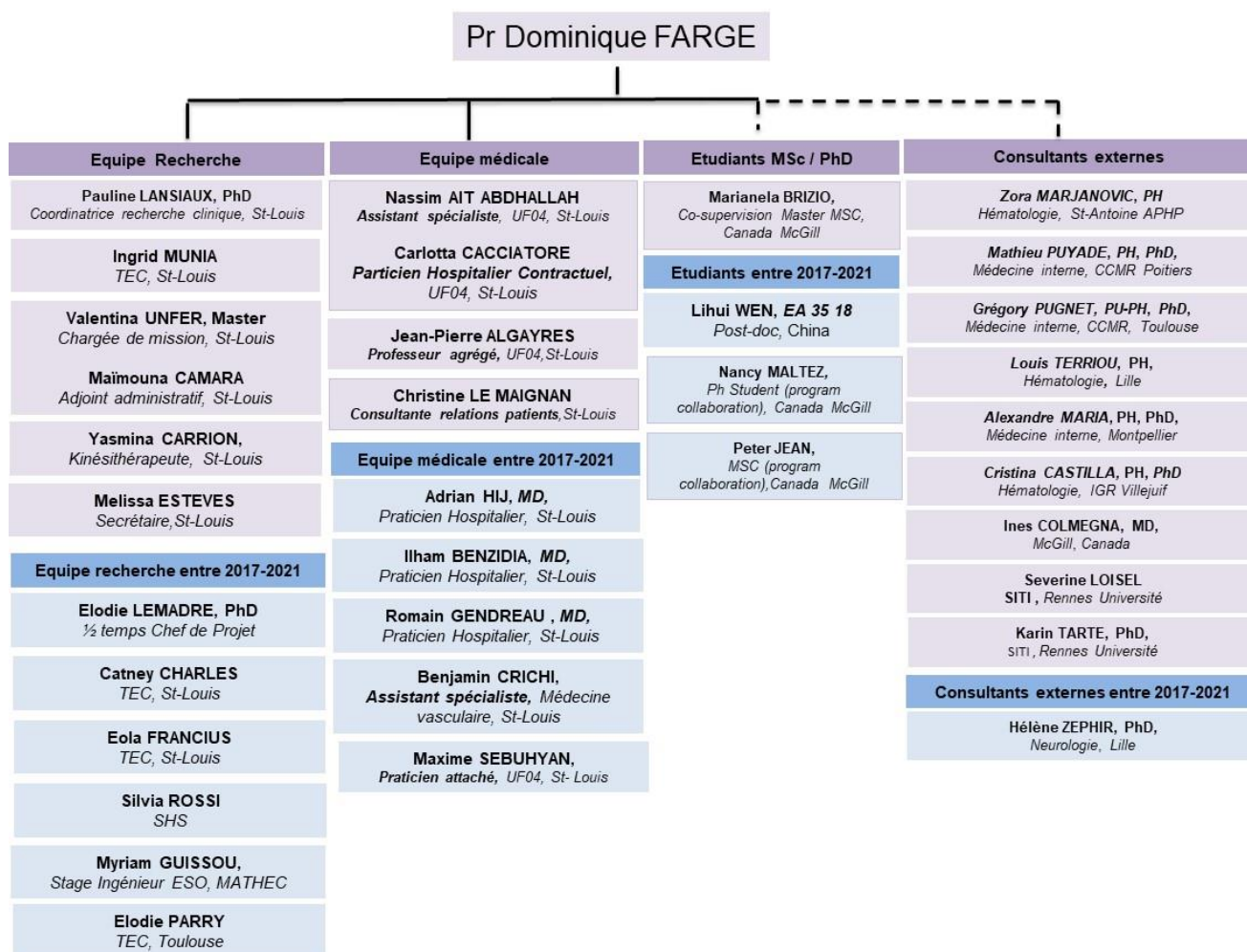
(CRMR MATHEC Saint-Louis), les activités de consultation externes en présentielle et en télémédecine, la recherche clinique et translationnelle, et l'enseignement à l'échelon national et international. En ce qui concerne le secteur d'hospitalisation, le regroupement de l'ensemble des lits de médecine interne a été effectué dans une unité médicale unique, intitulée UF 07, sous la responsabilité du Dr Hervier à L6. A cet effet, le Dr Hervier, participe progressivement depuis 2021 à la prise en charge clinique des patients relevant de la filière MATHEC en hospitalisation, sur une base prévisionnelle de 2 +/- 1 lits réservés aux patients de la cohorte MATHEC. La dotation en personnel Hospitalier de l'UF04 (1 PUH, 1 PHC 6/10 mutualisé avec le secteur hospitalier, 5 vacations médicales, un poste de secrétaire, locaux) est actée par contrat avec le GHU Nord AP-HP.

Le personnel financé par la dotation du CRMR MATHEC comporte :

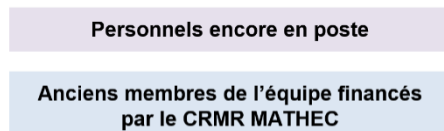
- un poste de coordinatrice d'études cliniques (CDI) ;
- un poste de TEC (CDD) ;
- un poste de charge de missions relations patients (CDD), remplacé depuis octobre 2022 par un poste d'adjoint administratif (CDD).
- une vacation de kinésithérapeute (1 journée par semaine)

L'organigramme ci-dessous (figure 1) présente le personnel du CRMR MATHEC en fonction des années 2017 à 2022.

**Figure 1** : organigramme du CRMR MATHEC St-Louis APHP sur la période de 2017 à 2022



**Légende :**



D'autres Praticiens hospitaliers et/ou Universitaires, exerçant dans des centres de compétence pour les MAI considérées ou dans des services d'hématologies accrédités pour la thérapie cellulaire, participent aux activités du CRMR-MATHEC, notamment par leur présence régulière bimensuelle à la RCP nationale MATHEC bimensuelle, leur participation à la formation des personnels (recommandations de bonnes pratiques, cours, séminaires), la validation collective des documents produits par l'équipe du CRMR-MATHEC en vue de l'information des patients, et aux protocoles de recherche clinique et translationnelle proposés par l'équipe du CRMR-MATHEC.

### 3.2 Evaluation/Expertise

#### 3.2.1 Réunions de concertation pluridisciplinaire (RCP) : nombre de réunions, nombre de cas, nombre d'indications

La RCP nationale du CRMR-MATHEC St-Louis, coordonnée par le Pr Farge, est organisée le 1<sup>er</sup> et le 3<sup>ème</sup> mercredi de chaque mois. Elle réunit différents spécialistes nationaux (Lille, Paris St Antoine, Bicêtre, IGR, Toulouse, Montpellier, Poitiers) et internationaux (Israël, Canada, Italie) des maladies auto-immunes et auto-inflammatoires (interniste, neurologue, rhumatologue, gastro-entérologue etc) avec les équipes d'hématologie et de thérapie cellulaire, dans le but de discuter des différentes stratégies de greffe de moelle ou autres thérapies cellulaires qui peuvent être proposées aux patients atteints de MAI. La décision et les modalités du traitement le plus adapté pour chaque patient atteint de MAI est prise de façon collégiale par le groupe des experts présents, selon les bonnes pratiques cliniques nationales et internationales en vigueur sous l'égide de la SFGM-TC et de l'EBMT, des différentes sociétés savantes associées.

Chaque cas présenté en RCP fait l'objet d'un compte-rendu transmis au médecin référent, et diffusé à l'ensemble des participants de la RCP sous format anonyme.

***De 2017 à décembre 2022, 426 cas ont été présentés en RCP MATHEC concernant 330 patients.***

Sur ces dossiers présentés :

- 125 cas ont conduit à valider une indication d'Autogreffe de Cellules Souches Hématopoïétiques
- et 22 cas ont conduit à un traitement par injection de Cellules Souches Mésoenchymateuses.

Ces chiffres sont détaillés dans la table 1 en fonction des pathologies.

**Table 1 : Evolution de l'activité des RCP MATHEC entre 2017 et 2022 (années pleines)**

N : nombre, % : pourcentage du total en bas de colonne ACSH : autogreffe de cellules souches hématopoïétiques, CSM : cellules souches mésenchymateuses

SSc : Sclérodémie Systémique, SEP : Sclérose en Plaques, PIDC : Polyradiculonévrite inflammatoire démyélinisante chronique, Autres : autres MAI

Diagnostics	Présentés en RCP MATHEC						Indications traitement par thérapie cellulaire					
	2017 Nb cas/pts	2018 Nb cas/pts	2019 Nb cas/pts	2020 Nb cas/pts	2021 Nb cas/pts	2022 Nb cas/pts	2017 Nb pts HSCT/MSC	2018 Nb pts HSCT/MSC	2019 Nb pts HSCT/MSC	2020 Nb pts HSCT/MSC	2021 Nb pts HSCT/MSC	2022 Nb pts HSCT/MSC
SSc	40/32	37/32	45/31	59/47	46/36	56/36	8/ 9	15/3	10/3	24/1	17/0	18/0
Lupus	2/1	0/0	2/1	0/0	3/3	6/5	1/0	0/0	0/2	0/0	0/3	0/3
Crohn	2/2	1/1	2/2	5/4	1/1	0/0	1/0	0/0	1/0	4/0	1/0	0/0
SEP	1/1	12/11	19/15	18/14	17/15	6/5	0/0	3/0	5/0	6/0	3/0	4/0
PIDC	2/2	2/2	6/2	2/2	0/0	6/5	2/0	0/0	2/0	1/0	0/0	3/0
Autres	3/3	4/2	5/4	2/2	7/6	5/3	1/0	1/0	0/0	0/0	1/0	1/0
<b>TOTAL</b>	<b>50/41</b>	<b>56/48</b>	<b>79/55</b>	<b>86/69</b>	<b>74/61</b>	<b>79/54</b>	<b>13/9</b>	<b>19/3</b>	<b>18/5</b>	<b>35/1</b>	<b>22/3</b>	<b>26/3</b>

### 3.2.2 Activité de consultation et d'hospitalisation

Dans le cadre de ses missions, les membres de l'équipe du CRMR MATHEC prennent en charge le suivi médical de patients atteints de MAI notamment avant, pendant et après le traitement par thérapie cellulaire. Cette prise en charge est organisée en consultations (présentiel ou téléconsultations dont le nombre c'est considérablement développé pendant la crise covid et depuis lors), avis d'expert sur dossier, et en collaboration les autres services du site hospitalier et de l'APHP. Concernant les séjours en hospitalisation complète ou de jour, l'activité s'est déroulée : a) jusqu'au 1<sup>er</sup> mars 2021, principalement dans l'Unité hospitalière de Médecine Interne UF 04 (médecine interne maladies auto-immunes et pathologies vasculaires, 7 lits d'hospitalisation complète + 1 lit d'hôpital de jour) à l'hôpital Saint-Louis et b) depuis mars 2021, l'UF 04 désormais intitulé « CRMR MATHEC, Maladies Auto-immunes et Thérapie Cellulaire » étant totalement dévolue à une activité de soins externes et ambulatoires, dans le cadre d'une activité de consultant en hospitalisation complète et de jour, notamment sur l'UF07 médecine interne (Chef de service : Pr Hervier) où les patients orientés par l'équipe du CRMR (activité de consultants) peuvent être pris en charge sur 2 lits d'hospitalisation complète et 1 lit d'hospitalisation de jour.

**Table 2 : Evolution de l'activité de consultation et d'hospitalisation entre 2017 et 2021 (années pleines)**

Items	2018	2019	2020	2021
Nombre total de patients différents vus par le centre au cours de l'année	166	252	281	263
Nombre de patients vus pour la 1ère fois au cours de l'année	95	115	81	82
Nombre d'avis d'expertise rendus sur dossier médical (hors RCP) ou sur dossier en consultation	/	/	/	16
Nombre de consultations médicales	255	483	319	503
Combien d'actes de téléconsultation ont-ils été effectués au cours de l'année	/	/	211	132
Nombre total de patients hospitalisés (en hospitalisation complète)	90	156	108	85
Nombre total de patients hospitalisés (Hdj)	57	34	17	26

### 3.2.3 Epidémiologie : Saisie dans BAMARA

Conformément au Plan National Maladie Rare 3 (PNMR 3), l'équipe du CRMR-MATHEC St-Louis a une mission de recherche en épidémiologie et collecte des données diagnostiques en routine depuis mai 2019.

Les données minimales (SDM-MR) nécessaires au suivi des patients par le personnel du CRMR MATHEC St-Louis sont collectées via BaMaRa en mode autonome, données qui sont alors intégrées à la Banque Nationale de Données Maladies Rares (BNDMR).

*Au 31/12/2022, BaMaRa référence, depuis le 17/08/2017 (date de labellisation du CRMR), 608 patients suivis par le CRMR correspondant à l'ensemble des patients atteints de maladies auto-immunes ou auto-inflammatoires rares ayant été suivis à St-Louis par le CRMR MATHEC, la saisie ayant été rétrospective pour les patients inclus entre le 17/08/2017 et mai 2019.*

Les données d'août 2017 à mai 2019 ont été rentrées de manière rétroactive.

En 2019 : 297 patients ont été recensés dans BAMARA.

En 2020 : 348 patients ont été recensés dans BAMARA.

En 2021 : 339 patients ont été recensés dans BAMARA.



En 2022 : 198 patients ont été recensés dans BAMARA.

**Table 3 : Nombre de patients rapportés dans BaMaRa, relatifs à l'activité de 2017 à 2022 du CRMR MATHEC (années pleines).**

n= nombre de patient en fonction du diagnostic correspondant

		2017*	2018*	2019	2020	2021	2022
Diagnostic	Nbr total pts dans BAMARA entre 2017-2022	Nombre de patients vu par an par le CRMR MATHEC					
Agammaglobulinémie isolée	1	0	0	0	1	0	0
Anémie pernicieuse : NON RARE EN EUROPE	7	0	1	1	4	5	0
Aplasie médullaire idiopathique	2	0	0	1	1	2	0
Artérite à cellules géantes/Maladie de Horton	9	1	3	4	4	5	6
Artérite de Takayasu	2	1	1	1	1	2	0
Arthrite granulomateuse de l'enfant	1	0	0	0	0	1	0
Cirrhose biliaire primitive	1	0	0	1	1	1	0
Connectivite mixte indifférenciée	19	1	1	3	6	3	8
Déficit immunitaire commun variable	4	0	0	2	2	3	2
Dermatomyosite	6	0	4	4	3	3	2
Erythermalgie primaire	1	0	0	0	1	0	0
Fasciite à éosinophiles	3	1	2	3	1	1	0
Fibrose pulmonaire idiopathique	1	0	0	0	1	0	0
Fibrose rétropéritonéale associée à IgG4	1	0	0	1	1	0	0
Fièvre méditerranéenne familiale	1	0	0	1	1	1	0
Hémochromatose type 1 : NON RARE EN EUROPE	7	0	0	0	2	5	4
Lupus érythémateux cutané/ chronique/ subaigu/ discoïde/ néonatal	16	3	5	6	8	7	5
Lupus érythémateux systémique	49	8	17	24	21	24	17
Lupus tumidus	2	0	0	1	1	0	0
Maladie de Behçet	18	2	5	11	10	14	4
Maladie de Biermer	8	0	1	2	5	5	0
Maladie de Buerger	1	0	0	0	0	0	1
Maladie de Castleman localisée	1	0	1	1	0	1	1
Maladie de Crohn : NON RARE EN EUROPE	9	0	0	2	6	2	0
Maladie de Vogt-Koyanagi-Harada	1	1	1	1	1	1	1
Mastite Granulomateuse	1	0	0	1	1	0	0
Microangiopathie thrombotique	1	0	0	0	1	0	0
Myopathie à némaline	1	0	0	0	0	1	0
Myopathie nécrosante à médiation auto-immune	2	0	1	1	1	2	1
Neuromyéélite optique	3	0	0	1	2	2	1

Neutropénie idiopathique de l'adulte	2	0	0	0	1	1	2
Pemphigus vulgaire	1	0	1	1	1	0	0
Polyangéite microscopique	2	1	1	2	2	2	2
Polyarthrite juvénile avec facteur rhumatoïde	2	1	1	2	2	2	1
Polyarthrite rhumatoïde : NON RARE EN EUROPE	6	0	0	4	2	1	1
Polychondrite atrophiante	2	0	1	1	1	2	1
Polyglobulie de Vaquez	1	0	0	0	1	1	0
Polymyosite	3	1	2	2	2	2	2
Polyneuropathie associée à une gammopathie monoclonale IgM ayant une activité anti-MAG	1	0	0	1	0	0	0
Polyradiculonévrite démyélinisante inflammatoire aiguë	1	0	0	0	0	1	0
Polyradiculonévrite inflammatoire démyélinisante chronique	3	0	1	1	2	0	0
Polysérosite récurrente bénigne	1	0	0	0	0	0	1
Pseudopolyarthrite rhizomélique	5	0	2	4	4	2	1
Psoriasis pustuleux généralisé	1	0	0	0	0	1	0
Purpura thrombotique thrombocytopénique	1	0	0	0	1	1	1
Sarcoïdose	36	5	8	21	20	16	12
Sclérodermie / localisée	13	1	4	10	9	8	6
Sclérodermie systémique	188	45	77	98	125	103	67
Sclérose en plaques : NON RARE EN EUROPE	32	0	0	2	13	17	10
Sclérose en plaques aiguë de Marburg	3	0	0	3	1	1	0
Sclérose tubéreuse de Bourneville	1	1	1	1	1	1	1
Syndrome CREST	4	1	1	2	3	3	3
Syndrome de déficience intellectuelle liée à l'X associé à CLCN4	1	0	0	0	0	0	1
Syndrome d'Elhers-Danlos	2	0	0	1	0	2	1
Syndrome de fatigue chronique : NON RARE EN EUROPE	1	0	0	0	1	0	0
Syndrome de Gougerot-Sjogren / primitif: NON RARE EN EUROPE	35	2	6	14	13	12	12
Syndrome de Horner congénital	1	1	0	0	1	1	0
Syndrome de l'homme raide classique	2	0	0	1	0	1	0
Syndrome de Raynaud-Claes	1	0	0	0	0	0	1
Syndrome hyperéosinophilique	2	0	0	0	1	1	0
Syndrome des antiphospholipides : NON RARE EN EUROPE	6	1	1	1	5	4	2
Syndrome des antiphospholipides néonatal	1	0	0	1	1	1	1
Syndrome des antisynthétases	5	2	2	3	4	2	2
Uvéite intermédiaire	1	0	0	0	0	1	0
Vascularite à immunoglobulines A	1	1	1	1	1	1	0

Vascularite associée au anticorps antineutrophiles cytoplasmiques	1	0	0	0	0	1	1
Vascularite urticarienne hypocomplémentémique	1	0	0	0	0	1	1
Sans diagnostic/ probable	46	1	6	20	15	18	10
<b>Total général</b>	<b>607</b>	<b>89</b>	<b>163</b>	<b>297</b>	<b>348</b>	<b>326</b>	<b>187</b>

\*Les données pour les années 2017/2018 ne sont pas représentatives de l'activité totale du CRMR MATHEC puisque la saisie officielle et complète dans BAMARA a débuté en 2019.

### 3.2.4 Protocoles/guides de bonnes pratiques : Recommandations de bonnes pratiques, PNDS

L'équipe de coordination du CRMR-MATHEC St-Louis, en concertation avec les membres du réseau MATHEC, propose puis anime chaque année « un atelier d'harmonisation des pratiques de la SFGM-TC ». Ces travaux permettent d'élaborer avec les experts de chaque MAI concernée, et de publier sous l'égide de la SFGM-TC et des autres sociétés savantes impliquées (EBMT, SFGM-TC, Francophone Society of Multiple Sclerosis, JACIE) des recommandations nationales de bonnes pratiques cliniques en thérapie cellulaire utilisées pour traiter les différentes MAI rhumatologiques, neurologiques, gastroentérologiques concernées.

Les membres de l'équipe du CRMR-MATHEC St-Louis et d'autres membres du réseau MATHEC progressivement plus nombreux au fil des ans et de la SFGM-TC participent régulièrement à l'élaboration de recommandations des pratiques cliniques dans le cadre des greffes de cellules souches dans les MAI, en plus de celles établies au niveau européen en collaboration avec l'EBMT (cf liste des publications annexe 1).

Enfin, les membres du CRMR-MATHEC ont apporté leur expertise dans la rédaction ou la mise à jour des protocoles nationaux de diagnostics et de soin (PNDS) pour la prise en charge de la Sclérodémie, du Lupus et le traitement d'autres MAI.

Par ailleurs l'équipe du CRMR MATHEC a proposé en 2020 au conseil scientifique le Filière FAI2R la réalisation et la coordination du PNDS MAI et Thérapie cellulaire dont la finalisation est en cours au 31 Mars 2022. Ce projet a débuté en février 2021 avec l'élaboration d'un plan puis la rédaction courant mars-mai 2021. Le projet a réuni 18 rédacteurs et 42 relecteurs spécialisés en médecine interne, hématologie, neurologie, gastroentérologie ainsi que des médecins de ville, patients et représentants d'associations de patients. *L'ensemble du document a été finalisé et publié sur le site de l'HAS en octobre 2022 ([https://www.has-sante.fr/jcms/p\\_3374064/fr/greffe-de-cellules-souches-hematopoiétiques-dans-les-maladies-auto-immunes](https://www.has-sante.fr/jcms/p_3374064/fr/greffe-de-cellules-souches-hematopoiétiques-dans-les-maladies-auto-immunes)).*

La liste des publications auxquelles l'équipe MATHEC a participé entre 2017 et décembre 2022 est disponible en **Annexe 1** de ce document.

## 4. Outils de formation et d'information

### 4.1 Le site internet MATHEC

#### 4.1.1 Description

*Le site internet [www.mathec.com](http://www.mathec.com), a été entièrement conçu et développé par les membres de l'équipe du CRMR-MATHEC.* L'objectif de la création de cette plateforme de communication était d'améliorer l'accès à l'information et à la formation des professionnels de santé et des patients atteints de MAI, concernant les pratiques cliniques, les soins et la recherche avant, pendant et après traitement par greffe de moelle ou autres procédés de thérapie cellulaire en France. Le contenu est élaboré par l'équipe de la plateforme de coordination du CRMR MATHEC, puis mis en ligne par un Webmaster. La labellisation du CRMR MATHEC en 2017 a permis grâce au budget alloué au fonctionnement de la plateforme, le développement progressif de ce site, avec notamment la traduction en anglais de l'ensemble du contenu du site internet avec des informations accessibles à la fois en français et en anglais.

Le contenu du site internet se présente de la manière suivante :

- **Une page d'accueil** qui affiche les informations importantes et les actualités du moment, les essais cliniques en cours et les événements à venir
- 8 sections différentes, qui constituent les outils directs de travail et d'animation de la plateforme:
  - **La rubrique « A propos de MATHEC »** décrit le réseau et les missions de MATHEC ainsi que les partenariats ;
  - **L'espace dédié aux « Soignants »** fournit les informations nécessaires pour participer aux réunions de concertation pluridisciplinaires (RCP) MATHEC et référence les recommandations de pratiques cliniques en vigueur. Depuis 2020, les protocoles thérapeutiques et les procédures de suivi des patients MAI traités par thérapie cellulaire sont également en accès libre ;
  - **L'espace dédié aux « Patients »** fournit des informations sur les différentes MAI (en lien vers les sites d'information des associations de patient), décrit les traitements par thérapie cellulaire (en soin courant ou en recherche) et informe sur le parcours du patient autogreffé par CSH, et met à disposition le « guide MATHEC » (voir section 3.4), qui depuis 2021, est un site internet à part entière. Du fait de l'implication et l'intérêt grandissant des patients et des associations de patients pour la thérapie cellulaire, l'équipe MATHEC a par la suite développé un site internet spécifiquement dédié aux patients (voir section 3.1.2) ;
  - **La rubrique « Recherche »** présente les différents protocoles de recherche clinique et en sciences humaines et sociales en cours. Elle permet également l'accès au registre MATHEC-SFGM-TC (voir section 4) mis en place en 2019 et aux différents membres du réseau MATHEC d'y accéder directement via un lien direct vers le logiciel dédié accessible sur internet (<https://mathec.voozано.net/mathec/>);
  - **La rubrique « Bibliographie »** répertorie les publications scientifiques internationales en lien avec les MAI et la thérapie cellulaire ;
  - **La rubrique « Communication »** permet de former les professionnels de santé et les étudiants en mettant à disposition les diaporamas (accès restreint aux membres de la SFGM-TC à jour de leur cotisation), les vidéos (accès libre) de présentation des différents congrès scientifiques, notamment les journées annuelles MATHEC, et la veille bibliographique (résumé d'articles en français) fait par les membres du réseau MATHEC ;

- **La rubrique « Liens »** décrit les différents liens actuels et passés, nationaux et internationaux (EBMT, Mac Gill Regenerative Network, Nanjing University), de soignants ou de patients avec MATHEC ;
- **La rubrique « Contact »** permet aux patients ou aux soignants d'identifier et de se mettre en relation avec différents représentants de MATHEC au plan national.

La mise à jour de ce contenu nécessite un travail hebdomadaire de 2 à 3 heures réalisé par la chargée de mission du CRMR MATHEC en collaboration avec la Webmaster dédiée, grâce au financement du CRMR MATHEC. Cette mise à jour comprend notamment la mise en ligne des nouveaux événements, des articles récemment parus, l'actualisation des protocoles de soins ou encore la diffusion d'annonces diverses à l'attention des patients (exemple : recommandations Covid19).

#### 4.1.2 Statistiques de connexion du 1er janvier 2018 au 31 décembre 2022

Les statistiques suivantes ont été obtenues à partir de l'outil Google Analytics

**Table 4. Activité des connexions sur le site mathec.com de 2018 à 2022**

	2018	2019	2020	2021	2022
<b>Nouvel utilisateur %</b>	90%	88,3%	88,2%	87%	88,5%
<b>Utilisateur déjà connecté %</b>	10%	11,7%	11,8%	13%	11,5%
<b>Taux de rebond %</b>	61,17%	65,67%	66,67%	70,66%	72,18%
<b>Utilisateurs France %</b>	43,59%	50,2%	70%	70%	56%
<b>Utilisateurs USA %</b>	23,33%	15,1%	10%	9%	10%
<b>Utilisateurs Canada %</b>	4,07%	5,6%	5%	5%	2,4%
<b>Durée session en min</b>	03:17	02:50	01 :54	01 :46	01 :31
<b>Utilisateurs (nbr)</b>	2588	5735	8685	13121	14964
<b>Session (nbr)</b>	3804	8278	12228	18544	20388
<b>Session par utilisateur (nbr)</b>	1,47	1,44	1,36	1,41	1,34
<b>Pages par session (nbr)</b>	3,42	2,88	1,93	1,67	1,61
<b>Pages vues (nbr)</b>	13000	23835	23551	31028	32864

**Table 5. Activité des connexions sur le site mathec.com de 2018 à 2022 en fonction des sections**

	2018	2019	2020	2021	2022	Total
<b>Page d'accueil Fr/En (nbr de vues)</b>	3 512	6 220	6 873	8 912	9116	34 633
<b>Patients (nbr de vues)</b>	545	1 891	5 626	10 086	10308	28 456
<b>Recherche (nbr de vues)</b>	299	1 547	438	479	547	3 310
<b>Soignants (nbr de vues)</b>	444	495	458	644	1612	3 653
<b>Qui sommes-nous ? (nbr de vues)</b>	330	581	413	449	517	2 290
<b>Contacts (nbr de vues)</b>	387	432	306	381	560	2 066

#### 4.1.3 Le guide MATHEC : <http://leguide.mathec.com/>

En 2019, l'équipe du CRMR MATHEC St-Louis a conçu, en travaillant en lien avec les patients et les associations de patients, un guide pour faciliter l'accès à l'information sur le parcours de soins, la prise en charge paramédicale et sociale, les procédures de thérapie cellulaire et le suivi pour la/les maladies auto-immune(s) considérée(s) : **le guide MATHEC**.

Ce projet est né, suite au constat que l'information sur les MAI et la thérapie cellulaire (autogreffe de CSH) était difficile d'accès pour les patients. Les membres du CRMR MATHEC (chargée de mission, médecins, paramédicaux) ont donc créé, en janvier 2019, un outil informatique (powerpoint) initialement appelé la « Tablette MATHEC » et composé d'un ensemble d'informations sur le parcours de soins des patients atteints de MAI et la procédure d'autogreffe.

Afin de s'assurer de la pertinence de cet outil, il a tout d'abord été diffusé de mars à octobre 2019 dans le service de Médecine Interne de l'hôpital St-Louis, afin que les patients et leurs proches puissent faire des retours et remarques sur l'utilisation de ce guide.

En novembre 2019, dans une optique d'amélioration et d'homogénéisation du visuel de cet outil pour une diffusion plus massive, une charte graphique a été élaborée par une graphiste professionnelle.

En septembre 2020, le projet de développement d'une Webapplication dédiée aux patients et reprenant l'ensemble de ce contenu est soumis à un appel à projet de la filière Fai2r et remporte un financement de 10 000 euros pour ce travail.

En janvier 2022 la webapplication « Le Guide MATHEC » (<http://leguide.mathec.com/>) est mise en ligne, et permet dorénavant l'affichage d'un contenu plus ergonomique, accessible sur ordinateur, tablettes et smartphone.

#### Activité des connexions sur le guide Mathec entre le 01/01/2022 et le 31/12/2022

Sessions (nombre)	210
5 premiers pays utilisateurs (%)	94
France (%)	81
USA (%)	8
Canada (%)	2
Belgique (%)	2
Suisse (%)	1

#### 4.2 Page Facebook MATHEC

**Avec l'aide des patients experts, la page Facebook MATHEC a été ouverte le 30 juin 2020** afin de faciliter l'accès à l'information des actions menées ou relayées par MATHEC auprès des patients.

Un post par semaine en moyenne est publié sur la page, pour aborder des thèmes comme les outils développés par MATHEC et la Filière Fai2r, des conseils des soignants ou des patients eux-mêmes contre certains symptômes liés à certaines pathologies (ex : le syndrome de Raynaud dans la sclérodermie), les campagnes de vaccination (grippe et covid-19), les informations utiles liées au covid-19, etc...

Cette page permet aussi de relayer les événements organisés par le CRMR MATHEC à l'intention des patients et de leurs familles comme vendredis MATHEC (organisé une fois par mois sur un sujet concernant l'autogreffe dans les MAI).

Au 23/12/2022, les statistiques de connexion à la page Facebook MATHEC sont les suivants :

- 323 abonnements à la page MATHEC (vs 227 le 31/12/2021)
- 36 posts ont été publiés par MATHEC (vs 54 posts en 2021)
- 5277 vues des publications (vs 5135 en 2021)

#### 4.3 Allo MATHEC : 06 24 81 03 91

En 2018, l'équipe MATHEC a constaté une augmentation des demandes de patients (notamment par téléphone) pour faire présenter leurs dossiers en RCP MATHEC. Beaucoup de patients, ou de leurs proches, recherchent un avis d'experts sur la possibilité ou non de bénéficier d'une autogreffe de CSH ou encore rencontrer un neurologue travaillant en lien avec les membres du réseau MATHEC.

Une ligne téléphonique *Allo MATHEC* et email allo-MATHEC, dédiés spécifiquement aux demandes d'information et d'orientation des patients a été créée en janvier 2019 afin que les membres de l'équipe du CRMR MATHEC puisse répondre aux questions des patients et des soignants sur les traitements par greffe de moelle ou autre thérapie cellulaire pour MAI, la procédure d'indication à ce type de thérapie ou d'autres questions relatives au suivi des patients.

#### 4.4 Journée annuelle du CRMR-MATHEC ST Louis de formation

Depuis 2018, le CRMR MATHEC organise en janvier la journée annuelle MATHEC de formation nationale et internationale et a pour but d'informer médecins, paramédicaux et personnels impliqués dans le parcours de greffe sur les avancées en la matière.

Les intervenants, nationaux et internationaux sont enregistrés et leurs présentations accessibles en ligne sur le site internet mathec : <http://mathec.com/communications-2/web-conferences/>.

En 2021 et 2022 ces journées se sont déroulées de manière virtuelles du fait de la pandémie Covid19. *Environ 20 présentations sont faites lors de la journée MATHEC et on compte chaque année en moyenne 150 inscrits* et une centaine de participants tout au long de la journée, notamment des :

- médecins de spécialités diverses, notamment l'hématologie, la neurologie, la médecine interne, la rhumatologie, l'immunologie ;
- personnels de la recherche (clinique ou translationnelle) ;
- professions paramédicales ;
- pharmaciens ou personnels travaillant dans un laboratoire de thérapie cellulaire ;
- étudiants, principalement en médecine ou pharmacie ;
- patients et/ou représentants d'associations de patients.

*Depuis 2020 une session destinée aux patients a été mise en place pour rendre plus accessible l'information sur l'autogreffe de CSH et les thérapies cellulaires aux personnes non professionnelles de santé. C'est également un moment d'échange avec les patients, leurs proches et les associations de patients. Lors de chaque journée MATHEC un temps de réponse aux questions et de témoignage est prévu.*

*Depuis mars 2021, afin de répondre à l'augmentation croissante de la demande d'information des patients concernant la thérapie cellulaire, une session mensuelle « Vendredi MATHEC » d'échange sur le sujet a été mise en place. Ces réunions ont lieu en zoom le dernier*

vendredi du mois, pendant lesquelles un temps de discussion entre un spécialiste de l'autogreffe (membre de réseau MATHEC) dans les MAI rhumatologiques ou neurologiques et les patients à lieu. Une présentation de la procédure d'autogreffe est faite par le médecin (environ 15 minutes) puis les patients peuvent échanger sur leur expérience ou poser leurs questions. Un compte-rendu de chaque réunion est rédigé puis validé par le professionnel médical et diffusé sur les réseaux sociaux et le site internet MATHEC. Depuis la mise en place des Vendredis MATHEC, une dizaine de patients ou de proches participent à chaque session et les thématiques abordées sont disponible en **Annexe 2**.

#### 4.5 Autres missions de formation ?

Les membres de l'équipe MATHEC participent et coordonnent d'autres missions de formation comme des communications orales à l'échelon national et international ou encore la rédaction d'articles scientifiques. L'ensemble de ces données pour les années 2017-2022 sont disponibles en annexe de ce document :

- Communications orales de 2017 à 2022 : A l'échelon national : **85**: **Annexe 3**
- Communications orales de 2017 à 2022 : A l'échelon international : **34**: **Annexe 4**
- Publications indexées dans Pubmed de 2017 à 2022 : Articles pour lesquels les membres de MATHEC sont cités dans les co-auteurs : **75** : **Annexe 5**
- Publications indexées dans Pubmed de 2017 à 2022 : Contribution à des essais multicentriques et publications correspondantes : **41** : **Annexe 6**

#### 4.6 Media grand public

1. Mercredi 13 février 2019, Cahier du « Monde » No23045, La greffe contre la sclérose en plaques, interview du Pr D. Farge
2. Hematopoietic Stem Cell Transplantation and Cellular Therapies for Autoimmune Diseases, 18 novembre 2021, livre publié chez CRC Press : <https://www.taylorfrancis.com/books/edit/10.1201/9781315151366/hematopoietic-stem-cell-transplantation-cellular-therapies-autoimmune-diseases-richard-burt-dominique-farge-milton-ruiz-riccardo-saccardi-john-snowden>
3. Communiqué de presse de l'APHP du 13/01/2022 sur l'article du Lancet Rheumatology
4. Sciences et Avenir - La Recherche - Janvier 2023 - N° 911 Sclérose en plaques L'autogreffe reconstitue le système immunitaire interview des Dr L Terriou et Pr D Farge par Sylvie Riou-Milliot

#### 5. Recherche

Cette rubrique a pour objectif de décrire l'avancée des projets de recherche clinique (interventionnels, observationnels prospectifs et retrospectifs), de recherche en sciences humaines et sociales et de recherche translationnelle au cours des années 2017-2022. Elle concerne des projets débutés avant 2017 et les nouveaux projets mis en place au cours de cette période, dont le CRMR MATHEC est coordinateur ou co-investigateur. Ces études impliquent au quotidien, en plus du coordonnateur du CRMR MATHEC (Pr Farge), l'intervention d'un technicien d'études cliniques (TEC), d'une coordinatrice d'études cliniques (CEC), ainsi que les partenaires décrits dans la colonne « Promoteur/ Rôle CRMR MATHEC/Partenaires ».



## 5.1 Recherches prospectives impliquant la personne humaine

Les recherches prospectives impliquant la personne humaine menées par le CRMR MATHEC au cours de la période 2017-2022 visent à évaluer l'utilisation des cellules stromales mésenchymateuses (CSM) dans le traitement de la sclérodémie systémique (SSc), du Lupus (LES) ainsi que de la COVID-19.

La période 2017-2022 a été marquée par la finalisation d'une étude clinique dans la SSc (MSC\_PHRC AOM 11-250), dont les résultats cliniques ont été publiés dans The Lancet Rheumatology en décembre 2021 (Farge et al), et la mise en place et le début des inclusions d'une étude dans le LES (MSC-LES HAO 15009) et l'initiation de 4 nouvelles études cliniques dans la SSc et la COVID-19.

**Table 6 : Recherches prospectives impliquant la personne humaine coordonnées par/impliquant le CRMR MATHEC**

Protocoles	Promoteur/ Rôle CRMR MATHEC/ Partenaires	2017	2018	2019	2020	2021	2022	Prévisions pour 2023
<b>Traitement des sclérodermies systémiques sévères réfractaires par injection de CSM allogéniques – MSC_PHRC AOM 11-250</b>	- <b>Promoteur : APHP St-Louis</b> - <b>PI: Pr Farge, CRMR MATHEC</b> - Partenaires : APHP St-Louis, CHUs Toulouse, Strasbourg, Montpellier, Lille, Réunion, SITI Rennes, INSERM U1097 Marseille	Inclusions des patients depuis 2014						
					Analyse des résultats + préparation de la publication		Clôture de l'étude	
						<b>Déc 2021 : 1<sup>ère</sup> publication (résultats cliniques et de caractérisation des CSM) : Farge et l, Lancet Rheumatlogy</b>	Soumission 2 <sup>ème</sup> publication « MSC et Lymphocytes B dans la SSc » (voir études translationnelles en 4.4.3)	Parution de l'article « MSC et Lymphocytes B dans la SSc »
<b>Traitement des lupus érythémateux systémiques réfractaires par injection de CSM allogéniques issues de cordon ombilical – MSC-LES HAO 15009</b>	- <b>Promoteur : APHP St-Louis</b> - <b>PI: Pr Farge, CRMR MATHEC</b> - Partenaires : APHP St-Louis, CCGTT UCL, SITI Rennes	Soumission réglementaire	Obtention des autorisations, production des CSM par le CCGTT/UCL	Mise en place de l'étude et début des inclusions	Inclusion des patients (7/10 patients traités atteints fin 2022)		Fin des inclusions (18/03/2023) et analyse des résultats	
<b>Traitement des sclérodermies systémiques sévères réfractaires par injection de CSM allogéniques issues de tissu adipeux : étude randomisée de phase I/II Easy-SSc PHRC AOM 20558</b>	- <b>Promoteur : APHP St-Louis</b> - <b>Investigateurs :</b> • <b>Coordinatrice: Pr Farge, CRMR MATHEC</b> • <b>Pr G. Pagnet, CHU Toulouse</b> • <b>Dr M. Puyade, CHU Poitiers</b> - <b>Partenaire : SITI Rennes</b> -				Dépôt PHRC Phase I	- Dépôt PHRC Phase II - 06/2021 : obtention financement - Fin 2021 : préparation soumission réglementaire + début production CSM par Cell-Easy	- Changement de prestataire de cellules (Cell-Easy→EFS) - Documents de l'étude produits (sauf parties relatives au médicament de thérapie cellulaire)	- Production des cellules - Soumission aux autorités compétentes - Début des inclusions

Protocoles	Promoteur/ Rôle CRMR MATHEC/ Partenaires	2017	2018	2019	2020	2021	2022	Prévisions pour 2023
<b>Phase I/II randomized controlled clinical trial of umbilical cord-derived mesenchymal stromal cells in refractory systemic sclerosis</b> Canadian Institutes of Health Research (CIHR) grant	- <b>Promoteurs :</b> Mc Gill, Montreal, Canada - <b>CRMR MATHEC :</b> D. Farge co-PI				Autorisations réglementaires	En attente des CSM	CSM reçues  Etude mise en place en décembre 2022	Début des inclusions
<b>Treatment of Respiratory Complications Associated with COVID-19 Infection Using UC Mesenchymal Stromal Cells- PRO TRANS 19+</b> NCT04869397	- <b>Promoteur :</b> Research Institute of the McGill University Health Centre , Mc Gill, Montreal, Canada - <b>PI:</b> J. Martin, Mc Gill, Montreal, Canada - <b>CRMR MATHEC :</b> D. Farge , co-PI				Autorisations réglementaires	Inclusion de 8 patients	Inclusion de 11 patients	Analyse des résultats
<b>Treatment of Respiratory Complications Associated With COVID-19 Infection Using ProTrans®</b> NCT04896853	- <b>Promoteur:</b> NextCell Pharma Ab - <b>PI:</b> J. Sundh, Örebro University Hospital - <b>CRMR MATHEC:</b> D. Farge				Autorisations réglementaires	Inclusion de 4 patients	Inclusion de 1 patients	Poursuite des inclusions jusqu'à n = 7

## 5.2 Recherches observationnelles prospectives

Les recherches prospectives observationnelles menées par le CRMR MATHEC au cours de la période 2017-2022 ont concerné la mise en place et le début des inclusions de 2 études de l'EBMT internationales évaluant l'utilisation des cellules souches hématopoïétiques (CSH) dans :

- la SSc : l'étude NISSc-2, pour laquelle le Pr Farge est investigateur coordinateur. La mission du CRMR MATHEC est de coordonner les inclusions des patients à l'échelon national, en partenariat avec les médecins référents du réseau MATHEC. En décembre 2022, 34 patients autogreffés par CSH pour SSc en France sont inclus dans NISSc-2 et représentent plus de la moitié des inclusions totales de l'étude.
- la Sclérose en Plaque (SEP) : l'étude OMST, dont le Pr Farge est co-investigateur pour la France, avec pour objectif- de favoriser l'inclusion systématique dans cette étude des patients autogreffés par CSH pour SEP en France, en partenariat avec les médecins neurologues du réseau MATHEC référents des patients.

**Table 7 : Recherches prospectives observationnelles coordonnées par/impliquant le CRMR MATHEC**

Protocoles	Promoteur/ Rôle CRMR MATHEC / Partenaires	2017	2018	2019	2020	2021	2022	Objectifs pour 2023
Suivi et traitements d'entretien post- autogreffe de cellules souches hématopoïétiques chez les patients atteints de sclérodémie systémique: étude européenne prospective non-interventionnelle- NISSc2	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Promoteur : EBMT</li> <li>- CRMR MATHEC : investigateur coordinateur (Pr Farge)</li> <li>- Partenaires France : CHUs Toulouse, Poitiers, Montpellier, Brest</li> </ul>			Jan 2019 : autorisation CPP				Poursuite des inclusions jusqu'à juillet 2023
				Mars 2019 : début inclusion			INCLUSIONS Déc 2022 34/58 inclusions France=20/34	
Evaluation à long terme de l'efficacité de l'autogreffe de CSH dans la sclérodémie – NISSc-1-LTE	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Promoteur : EBMT</li> <li>- CRMR MATHEC : investigateur principal (Pr Farge)</li> </ul>						CRF complétés pour 9/10 patients inclus dans NISSc-1	Finalisation et relecture des CRF pour transmission à l'EBMT
Étude observationnelle et multicentrique des patients traités par cellules souches hématopoïétiques pour Sclérose en Plaques - OMST	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Promoteur : EBMT</li> <li>- CRMR MATHEC : co-investigateur France (Pr Farge)</li> </ul>					Mars 2021 : Autorisation inclusions Déc 2021 : 12/50 inclusions France : 3 à inclure	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Inclusions par le CRMR MATHEC : n=1</li> <li>- Total France (soutien des inclusions par MATHEC) : n=2</li> </ul>	Poursuite des inclusions jusqu'à mars 2023

### 5.3 Recherche en sciences humaines et sociales

En plus de participer aux 2 cohortes de patients centrées sur la SSc et le lupus, le CRMR MATHEC a finalisé l'étude e-FORM-Innov mise en place en 2016 et coordonnée par le CRMR MATHEC. Cette dernière a permis de produire des connaissances spécifiques sur des situations de handicap communes au cours de la SSc et du LES traitées par thérapies innovantes (thérapie cellulaire ou biothérapies) pour mieux comprendre et améliorer les parcours de vie, de soin, et la prise en charge des patients.

**Table 8 : Recherches en sciences humaines et sociales coordonnées par/impliquant le CRMR MATHEC**

Protocoles	Promoteur/ Rôle CRMR MATHEC / Partenaires	2017	2018	2019	2020	2021	2022	Prévisions pour 2023
Mise en place d'une e-plateforme collaborative afin d'identifier et caractériser les handicaps de patients atteints de maladies auto-immunes rares relevant de la thérapie cellulaire ou de biothérapies - E-FORM INNOV	- Promoteur : APHP - CRMR MATHEC : investigateur coordonnateur : Pr D. Farge - Partenaires : Université des patients, EXPERICE-CNAM, AFL+	Production + analyse des récits de vie	Préparation de la publication	Article transmis pour publication au Pr Herman, Fondation Maladies Rares				
Cohorte du réseau d'intervention centré sur le patient sclérodermique- SPIN	- Promoteur : Mc Gill - CRMR MATHEC : co-investigateur	Début des inclusions. Déc 2017 : n=24 inclusions	Déc 2018 : n=35 inclusions	Déc 2019 : n=38 inclusions	Déc 2020 : n=53 inclusions	Déc 2021 : n=53 inclusions	Déc 2022 : n=56 inclusions	Poursuite des inclusions
Acceptabilité et Persistance d'utilisation d'un outil e-santé centré patient, par le patient lupique suivi en Centre spécialisé en France – e-Lupus	- Promoteur : CHU Dijon - CRMR MATHEC : co-investigateur				Début des inclusions. Déc 2020 : n=3 inclusions	Déc 2021 : n=4 inclusions. Etude clôturée par l'investigateur principal		

## 5.4 Bases de données MATHEC et recherches observationnelles rétrospectives

### 5.4.1 Base de données MATHEC-SSc-St-Louis

En préalable de la labellisation du CRMR MATHEC, préexistait la base de données MATHEC-SSc-St-Louis, hébergée sur le logiciel Access, qui a permis, entre mai 1999 et juillet 2020, de collecter les données de suivi (clinique, biologie, imagerie), de traitement (notamment autogreffe de CSH ou CSM) et des complications des patients atteints de Sclérodémie Systémique (SSc) pris ou ayant été pris en charge par le CRMR MATHEC ou le service de médecine interne de l'hôpital Saint-Louis (UF04) avant la labellisation du CRMR.

Cette base de données unique en Europe a été gelée en juillet 2020, avec la décision de stopper la saisie des données dans cette base au profit de la base MATHEC-SFGM-TC.

*Le nombre final de patients SSc inclus dans la base access gelée est de 265, et concerne des patients traités par thérapie cellulaire (CSH ou CSM) et des patients dits « contrôles » puisque traités par traitements immunosuppresseurs classiques et/ou corticothérapie.*

### 5.4.2 Base de données nationale MATHEC-SFGM-TC

Au cours du mandat 2017-2022, le financement attribué au CRMR MATHEC a permis de créer puis de mettre en œuvre à l'échelon national la base de données nationale « MATHEC-SFGM-TC », qui permet de collecter les données de suivi annuel des patients traités par thérapie cellulaire pour maladie auto-immune (MAI) en France et ce conformément aux recommandations nationales (FAI2R et SFGM-TC) et européennes (EBMT) de Bonnes Pratiques Cliniques.

Cette base de données MATHEC-SFGM-TC, déclarée à la Commission nationale de l'informatique et des libertés (CNIL) : a) a été élaborée en 2017-2018 par les membres du Centre de Référence Maladies Rares St-Louis MATHEC, Filière FAI2R, selon le plan national maladies rares (PNMR 3) et conformément aux règles de fonctionnement de la Société Francophone de Greffe de Moelle et de Thérapie Cellulaire (SFGM-TC) et de la Filière de santé des maladies Auto-Immunes et Auto-Inflammatoires Rares (FAI2R) ; b) est hébergée par la société Epiconcept, certifiée Hébergeur de Données de Santé, attestant d'un haut niveau de protection de ses infrastructures et des données des patients. Chaque centre de France participant reste propriétaire des données des patients suivis dans son centre et a accès à ces données.

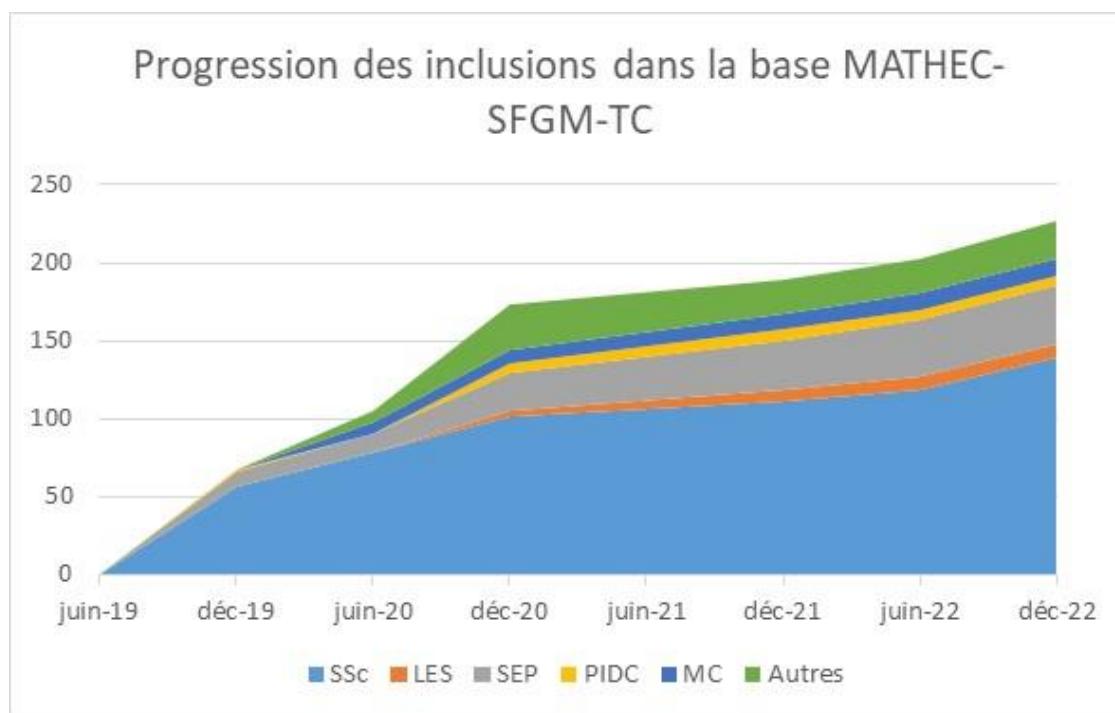
La collection des données dans la base « MATHEC-SFGM-TC » :

- a. Comprend les données d'évaluation clinique avant et après thérapie cellulaire (Greffe de Cellules Souches Hématopoïétiques ou autre produit de thérapie cellulaire), les données de greffe et du produit de thérapie cellulaire injecté, la survie du patient, le statut de la MAI (rémission, stabilisation, rechute, progression) ainsi que les complications recueillies au cours du suivi standardisé des patients (toxicité, infections) et les traitements concomitants
- b. S'effectue après accord du(es) responsable(s) des centres de greffe affiliés à la SFGM-TC et/ou des médecins spécialistes en charge du suivi des patients traités par thérapie cellulaire pour maladies auto-immunes (MAI) (hématologues, internistes, rhumatologues, neurologues, gastro-entérologues) au sein du réseau MATHEC, selon la charte de fonctionnement commune « MATHEC-SFGM-TC » selon deux options possibles :
  - Le centre renseigne lui-même ses données sur la base MATHEC-SFGM-TC
  - Le centre délègue la saisie des données à l'équipe de coordination de la base « MATHEC-SFGM-TC » en transmettant les informations nécessaires (comptes rendus d'hospitalisation, de consultation et d'examen aux dates requises)

- c. Nécessite l'accord du patient avec consentement écrit après lui avoir présenté la note d'information dédiée afin que le patient autorise la collection et le traitement de ses données.

La conception et validation de la base de données MATHEC-SFGM-TC ont été finalisées en juin 2019. A partir de cette date, la base de données MATHEC-SFGM-TC a été déployée au niveau national, avec information et recrutement des centres impliqués dans la greffe et/ou le suivi de patients traités par thérapie cellulaire pour MAI via signature de la Charte de fonctionnement des centres participants. Au cours des 18 premiers mois suivant le lancement de la base MATHEC-SFGM-TC (juin 2019 à décembre 2020), le travail du CRMR MATHEC a consisté à inclure (ou coordonner l'inclusion) rétrospectivement les patients traités par thérapie cellulaire depuis 1997, avec l'aide des centres MATHEC en charge du suivi des patients (Figure 2). La progression des inclusions depuis décembre 2020 a ensuite été représentative du nombre de patients traités par CSH ou CSM au fur et à mesure en France (Figure 2). **Au total, 229 patients ont été inclus dans la base MATHEC-SFGM-TC au 31 décembre 2022. Les centres de Poitiers, Toulouse et Montpellier sont autonomes sur la saisie des données de leurs patients (n=33 patients au total sur les 3 centres). Les données relatives aux patients traités dans les autres centres (n=113 en dehors du site Saint-Louis) sont saisies par délégation au CRMR MATHEC, par le TEC en poste, sur la base des compte-rendus transmis par les centres en charge du suivi des patients.**

**Figure 2. Progression des inclusions des patients dans la base de données MATHEC-SFGM-TC en 2017-2022.**



SSc : Sclérodémie Systémique; LES : Lupus Erythémateux Systémique; SEP : Sclérose en plaques ; PIDC : Polyradiculonévrite Inflammatoire Démyélinisante Chronique; MC : Maladie de Crohn; Autres : autres maladies auto-immunes

Depuis 2021, au vu des missions du CRMR en terme d'organisation de la permanence et de la continuité des soins et de demandes de plusieurs patients relevant du régime de soins et de la protection sociale en France, les patients ayant reçu soit une autogreffe de moelle soit une autre thérapie cellulaire pour MAI à l'étranger (Russie, Mexique le plus souvent) et suivi par des

membres du réseau MATHEC à leur retour en France, peuvent être inclus dans la base de données MATHEC-SFGM-TC, après avoir recueilli leur consentement informé pour la collecte des données de greffe et de suivi.

La tables 10 et les figures 3a et 3b décrivent les patients inclus dans la base de données MATHEC-SFGM-TC au 31 /12 /2022.

**Table 9 Répartitions des patients inclus dans la base de données MATHEC-SFGM-TC en fonction de leur traitement 2017-2022 (années pleines).**

ACSH : autogreffe de cellules souches hématopoïétiques, CSM : traitement par cellules souches mésenchymateuses

SSc : Sclérodémie Systémique; LES : Lupus Erythémateux Systémique; SEP : Sclérose en plaques ; PIDC : Polyradiculonévrite Inflammatoire Démyélinisante Chronique; MC : Maladie de Crohn; Autres : autres maladies auto-immunes.

Type de traitement	Nombre total de patients	Nombre de patients par pathologie					
		SSc	LES	SEP	PIDC	MC	Autres MAI
ACSH	208	125	2	39	7	11	24
CSM	27	20	7	/	/	/	/



**Figure 3. Patients suivis en France et déclarés dans la base MATHEC-SFGM-TC pour une autogreffe de cellules souches hématopoïétiques en France et à l'étranger 2017-2022 (années pleines).**

Le numéro CIC correspond au numéro du centre déclaré à l'EBMT

SSc : Sclérodémie Systémique, n=125 ; LES : Lupus Erythémateux Systémique, n=2 ; SEP : Sclérose en plaques, n=39 ; PIDC : Polyradiculonévrite Inflammatoire Demyélinisante Chronique, n=7 ; MC : Maladie de Crohn, n=11 ; Autres : autres maladies auto-immunes, n=24.

**Figure 3a. Représentation en fonction du centre de greffe**

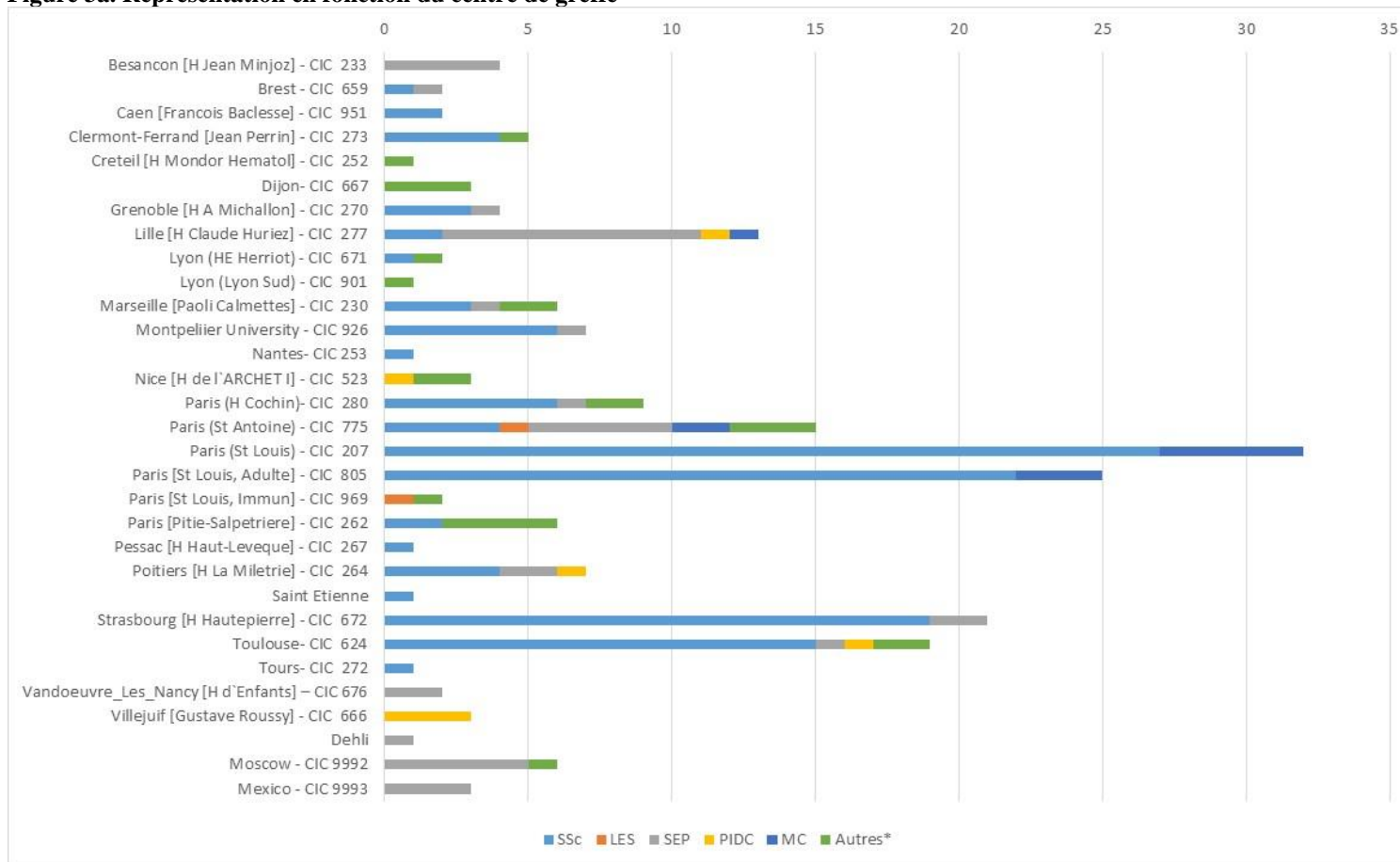
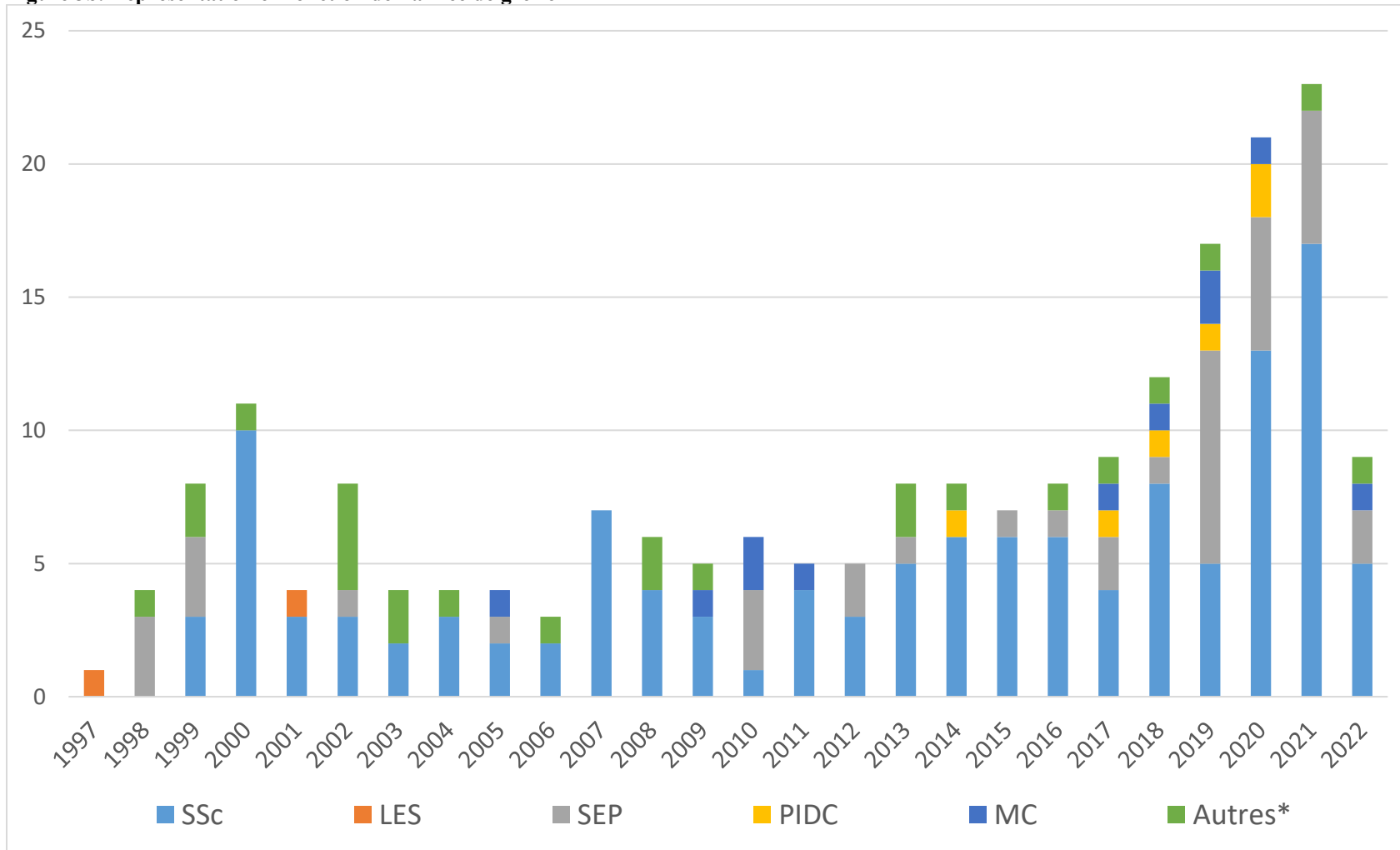


Figure 3b. Représentation en fonction de l'année de greffe



### 5.4.3 Recherches observationnelles rétrospectives

Les études suivantes ont été/sont menées sur données rétrospectives collectées dans la base de données MATHEC-SSc-St-Louis (Sclérodémie) ou MATHEC-SFGM-TC. Débutées au cours de la période 2017-2022, elles ont permis la publication de 2 articles scientifiques et 2 autres sont en cours de préparation et devraient paraître en 2023.

**Table 10: Recherches rétrospectives sur données du registre MATHEC-SFGM-TC, coordonnées par/impliquant le CRMR MATHEC**

Protocoles	Coordonnateur / Partenaires	2017	2018	2019	2020	2021	2022	Prévisions pour 2023
Qualité de vie après autogreffe de cellules souches hématopoïétiques dans la SSc	- <b>Coordonnateurs : Pr D. Farge/ Pr M.Hudson/Dr M. Puyade</b> - Partenaires : McGill, Canada, CHU Poitiers		Déc 2018 : Transfert des données de ST-Louis vers Mc Gill	Analyse des données par McGill  Revue de la littérature par MATHEC : Puyade, Rhematology	Article de recherche publié online en sept 2020 : Maltez et al, Arthritis & Rheumatology	Préparation d'une 3 <sup>ème</sup> publication par l'équipe de McGill	??	Publication d'un 3 <sup>ème</sup> article
Analyse rétrospective de l'évolution de l'atteinte pulmonaire au scanner avant et après AHSCT dans la SSc	- <b>Coordonnateurs : Dr G. Pignet / D Farge</b> - Partenaires : APHP St-Louis, CHU Toulouse		Sept 2018 : Transfert des données de St-Louis vers Toulouse	Analyse des données	Analyse des données + rédaction de l'article	Analyse des données + rédaction de l'article	Publication de l'article dans Rheumatology en juin 2022	
Efficacité à 5 ans du traitement ACSH vs Cyclophosphamide en bolus iv chez les patients français atteints de SSc sévères randomisés dans l'essai ASTIS : application du score composite GRSC pour évaluer la réponse globale globale	- <b>Coordonnateur: Pr D. Farge</b> Partenaires : APHP-St-Louis, McGill			Analyse des données	- Présentation poster à l'EBMT (virtuel)  - Rédaction de l'article en cours	Article Publié aout 2021 : Ait Abdallah et al, BMT		

<p><b>Effect of Sars-Cov-2 vaccination in systemic sclerosis treated by autologous hematopoietic stem cell transplantation</b></p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>- <b>Coordonnateurs : D Farge / L. Biard</b></li> <li>- Partenaires : CHU Toulouse</li> </ul>						<p>Collecte des données :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- faite pour le groupe HSCT (abstract EBMT soumis)</li> <li>- en cours pour le groupe control</li> </ul>	<p>Finalisation de la collecte des données, analyse des résultats et publication</p>
<p><b>Suivi à long terme des patients autogreffés par CSH pour maladies auto-immunes</b></p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>- <b>Coordonnateur: Pr D. Farge</b></li> <li>- Partenaires : Centres du réseau MATHEC</li> </ul>							<p>Préparation d'un synopsis, extractions et analyses des données</p>

## 5.5 Biobanques et recherche translationnelle

La mise en collection d'échantillons biologiques issues des patients atteints de MAI et traités par CSH ou autre thérapie cellulaire est une nécessité énoncée dans les recommandations européennes et nationales du suivi des patients traités par thérapie cellulaire pour MAI. Ces échantillons permettent de favoriser les études translationnelles indispensables à la compréhension des mécanismes d'action de l'autogreffe de CSH et autre thérapie cellulaire dans les MAI et permettre, in fine, d'optimiser les protocoles de traitement en fonction du profil des patients.

### 5.5.1 Biobanque MATHEC-SSc

Dans ce contexte, une bio-collection MATHEC-St-Louis, élaborée par le CRMR MATHEC et hébergée à l'hôpital Saint-Louis, Paris, existe depuis 1998 et contient plus de 13000 échantillons de patients atteints de SSc, prélevés avant et après traitement par autogreffe de CSH, cellules souches mésenchymateuses ou thérapies classiques (notamment des immunosuppresseurs) (table 11a). Cette biobanque contient également des échantillons de 5 patients atteints de Lupus, inclus dans le protocole de recherche MSC-LES. Les échantillons stockés sont des dérivés de prélèvements sanguins (plasma, sérum, PBMC) et des biopsies de peau prélevés chez les patients SSc (table 11b). Cette biocollection MATHEC-SSc unique en France et dans le monde regroupe des échantillons prélevés dans le cadre : a) des études cliniques nationale ISAMAIR (PHRC AOM 97-030) et européenne ASTIS qui ont participé à démontrer l'efficacité de l'autogreffe de CSH dans la SSc b) de l'étude clinique MSC (PHRC AOM 11-25) (20 patients) et MSC-LES (HAO 15-009, 5 patients) et c) en soins courants dans le cadre du suivi des patients SSc traités par immunosuppresseurs ou par thérapie cellulaire en dehors des études cliniques.

Au cours des 4 dernières années, un référencement des échantillons entrés dans la biocollection MATHEC-SSc et sortis pour utilisation dans le cadre d'études translationnelles (table 11b) a permis de référencer un total de 907 échantillons entrés pour 246 échantillons sortis. Ces chiffres mettent en évidence la croissance de la biocollection MATHEC St-Louis et les potentiels d'exploitation et de valorisation réalisables.

**La biocollection MATHEC-SSc a reçu un avis favorable du Comité d'Ethique de la Recherche (CER) Paris Nord (IRB 00006477) le 19 décembre 2022**, en collaboration avec les équipes du CRB Lariboisière/St-Louis et de l'URC St-Louis. Cette collaboration comporte un axe sur la valorisation externe des échantillons de cette biocollection.

**Table 11a – Nombre de patients inclus dans la biobanque MATHEC-SSc fin 2022, en fonction des traitements administrés**

Traitement	Nombre de patients
ACSH	56
CSM	20
Traitement classique (dont immunosuppresseurs)	143
<b>Total</b>	<b>202</b>

**Table 11b : Types et évolution du nombre d'échantillons de la biobanque MATHEC-St-Louis de 2018 à 2022**

Type échantillon	Nombre d'échantillons fin 2018	Echantillons entrants sur 2019-2022	Echantillons sortants sur 2019-2022	Nombre d'échantillons fin 2022
Plasma	4401	393	133	4650
Serum	4510	409	85	4817
PBMC Tri-Reagent	646	15	0	659
PBMC DMSO	2696	54	28	2733
Biopsies congelées	169,25	12	0	181
Biopsies en paraffine	265	12	0	277
Fibroblastes	315,5	12	0	327
<b>Total</b>	<b>13002,75</b>	<b>907</b>	<b>246</b>	<b>13644</b>

### 5.5.2 Biobanque MATHEC-SFGM-TC

Compte tenu du nombre de patients greffés chaque année par ACSH pour MAI en France, il est apparu essentiel, au cours des dernières années, de collecter, selon des méthodes standardisées, des échantillons provenant de la cohorte nationale et pouvoir ainsi mener des recherches translationnelles de plus grande envergure afin de permettre des résultats statistiquement valides eu égard à la nécessité d'inclure un nombre de patients qui dépasse souvent l'effectif l'échelle d'un centre unique.

L'équipe du CRMR MATHEC a donc travaillé, depuis 2020, au projet d'établissement d'une collection de ressources biologiques MATHEC\_SFGM-TC nationale, prospective, longitudinale, et standardisée issue des patients traités par ACSH pour MAI, conformément aux recommandations françaises (Lansiaux et al, bull Cancer 2021) et européennes (Alexander et al, BMT 2015). **La mise en place de cette biocollection MATHEC prospective a reçu un avis favorable du CPP Sud-Ouest et Outre Mer III le 14 décembre 2022** (numéro national 2022-A01798-35) et ce en en collaboration avec les équipes du CRB Lariboisière/St-Louis et de l'URC St-Louis.

### 5.5.3 Etudes translationnelles

Les études translationnelles suivantes ont été/sont réalisées à partir des échantillons de patients de la biocollection MATHEC-St-Louis ou de ceux de donneurs sains collectées dans le cadre des études cliniques MSC et MSC-LES. La période 2017-2022 a été marquée par la reprise d'un projet de recherche translationnelle stoppé depuis 2012, et la mise en place de 5 nouvelles recherches en collaboration avec des laboratoires partenaires en France (INSERM, Université de Paris, EFS, Siti Rennes) et international (Université de McGill, Montréal). Les réactifs et consommables nécessaires aux expérimentations en laboratoire ont été financés par le budget du CRMR MATHEC l'un des projets et par des bourses/prix obtenus par notre équipe (Agence de biomédecine, Association AFER, Association Cordons de vie). Les résultats obtenus ont fait partie d'un article scientifique publié en décembre 2021 (Farge et al, Lancet Rheumatology) et d'un autre accepté pour publication en 2022.

**Table 12 : Recherches rétrospectives sur échantillons de la collection biologique MATHEC, coordonnées par/impliquant le CRMR MATHEC**

Protocoles	Promoteur/ Coordonnateur/ Partenaires	2017	2018	2019	2020	2021	2022	Prévisions pour 2023
<b>Le polymorphisme et/ou l'expression soluble de HLA-G et HLA-E non classiques peuvent-ils prédire l'évolution de la SSc après ACSH ?</b>	- <b>Coordonnateur : Dr D. Farge Ryad Tamouza, Nathalie Lambert</b> - Partenaires : INSERM U955 Créteil, INSERM UMRs1097 Marseille, EFS - Fonds CRMR MATHEC (+ INSERM)	Projet stoppé depuis 2012		Reprise du projet avec mise à jour du protocole et screening de la biobanque	Analyses génétiques et biochimiques réalisés sur échantillons de la biobanque MATHEC-St-Louis	Ecriture et soumission du manuscrit	Publication acceptée dans International Journal of Molecular Sciences	
<b>Etude des populations souches et progénitrices circulantes comme biomarqueurs de l'efficacité de l'autogreffe de cellules souches hématopoïétiques chez les patients atteints de sclérodémie systémique</b>	Coralie Guérin, Audrey Cras et David Smadja, UMRS1140 Université de Paris, faculté de Pharmacie				Acquisition et analyse des données de cytométrie de masse	Pas d'évolution du projet	Pas d'évolution du projet	Abandon du projet si pas de réponse des investigateurs ayant initié l'étude
<b>Analyse de la régression de la fibrose cutanée/ du profil transcriptomique après ACSH dans la SSc</b>	- <b>Coordonnateur : Dr D. Farge,</b> - Partenaires : Bnai Zion Medical Center, Haïfa, Israël				Veille bibliographique, analyses histologiques préliminaires	Pas d'évolution du projet	Reprise du projet en collaboration avec l'équipe du Pr D. Rimar sur les aspects transcriptionnels : écriture en cours d'une revue extensive de la bibliographie sur ce sujet	Publication de la revue  Montage des projets rétrospectifs et prospectifs sur les biopsies de peau

Protocoles	Promoteur/ Coordonnateur/ Partenaires	2017	2018	2019	2020	2021	2022	Prévisions pour 2023
<b>Analyse de la régression de la fibrose cutanée / reprogrammation système immunitaire dans les biopsies de peau de patients SSc après traitement par CSM</b>	- <b>Coordonnateur : Dr D. Farge,</b> - Partenaires : CHU Rennes (Pr Tarte/ C Delaloy/ V Lesueur/ ALescoat) /St Louis L Michel				Veille bibliographique, analyses histologiques préliminaires	Pas d'évolution du projet	Reprise du projet avec le CHU Rennes sur les aspects <b>reprogrammation système immunitaire.</b> <b>Dépôt ANR (étape 1 le 7/11/2022)</b>	ANR étape 2 en mars 2023  Début des manip en sept 2023 si ANR obtenu
<b>Comparaison des caractéristiques des cellules souches mésenchymateuses originaires de la Moelle osseuse ou du cordon ombilical pour traiter la SSc</b>	- <b>Coordonnateur : Pr Farge</b> - Partenaires : SITI Rennes, UTC St-Louis - Fonds Cordons de Vie			Bourse Cordons de vie obtenue	Mise en place des manip	Projet en pause	Pas d'évolution du projet	Publication en attente



## 5.6 Points SIGAPS

Les points SIGAPS obtenus par le CRMR MATHEC entre 2017 et 2022 dans le cadre de la publication des articles décrits dans la section 3.6 et en annexe sont de 1666. Avec par année les scores suivants :

- 2017 : 235
- 2018 : 240
- 2019 : 331
- 2020 : 389
- 2021 : 313
- 2022 : 158\* (à noter le Lancet Rhumatologie IF 35, bien que encore non indexé dans pubmed, n'est pas pris en compte par le logiciel de calcul des points SIGAPS)

## 6. Mesures spécifiques pour la prise en charge des patients depuis le début de la pandémie Covid19 dans le cadre du CRMR MATHEC (Annexe 6):

A la fin du mois de décembre 2019, dès le début de la pandémie COVID-19, les membres de l'équipe MATHEC ont adapté toutes leurs pratiques de prise en charge des patients immunodéprimés de la cohorte MATHEC et mis en place les protocoles d'accueil et de soins spécifiques, tant en présentiel qu'à distance. Ont été déployés très rapidement : outils numériques, téléconsultations et une permanence téléphonique dédiée pour le lien avec les patients: plateforme téléphonique Allomathec...pour réponse immédiate ou sous 24 h aux questions des patients et de leurs proches et aussi pour orienter les prises en charge, le plus possible en externe ou si besoin en direct sur la bonne filière d'hospitalisation (orientation covid + ou - )en amont de l'hôpital et en coordination avec la cellule covid de St Louis et le service des urgences.

Dès décembre 2020, les patients suivis dans le cadre de MATHEC étant tous prioritaires pour la vaccination anti- COVID, l'ensemble de l'équipe MATHEC (médecin, secrétaires, personnel recherche) a identifié et contacté par téléphone et courrier tous les patients, avec relance jusqu'à obtention d'un contact tracé pour chaque patient de la cohorte, afin de mettre en place la campagne de vaccination active. Ainsi ont été recueillies de manière prospective et analysées de manière hebdomadaire les dates de vaccination, les infections COVID19 et le suivi du statut vaccinal des patients pris en charge par le CRMR MATHEC.

Depuis le début de la pandémie, une synthèse adaptée des recommandations actualisées concernant les mesures prophylactiques et/ou les traitements des patients immunodéprimés pris en charge dans le CRMR et le réseau MATHEC Maladies auto-immunes ainsi que des spécificités chez patients greffés de moelle ou traités par thérapie cellulaire est mise à jour de manière hebdomadaire sur un espace dédié de la plateforme informatique MATHEC (site internet : [www.mathec.com](http://www.mathec.com)): recommandations du COSV, de la DGS, de la SFGM-TC et de la FAI2R concernant les immunodéprimés avec résumés régulièrement mis à jour des recommandations de bonne pratique sur le site internet [www.mathec.com](http://www.mathec.com) pour qu'ils soient accessibles aux patients et soignants.

## 7. Budget

**Table 13 : Evolution du budget MATHEC entre 2018 et 2021.**

	2017	2018	2019	2020	2021	2022
<b>Dotation CRMR MATHEC</b>	<b>241 472€</b>	<b>227 456€</b>	<b>227 456€</b>	<b>206 181€</b>	<b>216 465€</b>	<b>219 806€ + 12 500€ (PNDS)</b>
<b>Salaires : 3 salariés</b>	11 136,05€	76 498,72€	116 590,75€	122 775€	127 952€	152 710€
<b>Journée MATHEC</b>	/	/	4 590,15 € (sans trajets orateurs)	4 560,9€ (sans trajets orateurs)	/ (journée virtuelle du fait du Covid19)	/ (journée virtuelle du fait du Covid19)
<b>Site internet MATHEC</b>	28 431,11€	12 847,17€	14 854,77€	14 027,25€	8 048,25 €	720 €
<b>Base de données MATHEC</b>	20 724 €	42 001,8 €	/	/	10 560 €	32 835 €
<b>Système Lifesize/visioconférence</b>	15 105,47 €	/	/	10 220€	/	3714 €
<b>Dépenses à caractère médical/hôtelier et autres</b>	51 139,14 €	39 560,53€	43 054,82€	24 724,84€	16 558 €	2687 €
<b>Cotisations</b>	3 231,7 €	6 410€	1 257,78€	1 710 €	3 040€	75€
<b>Formations</b>	18 447,68 €	/	/	/	/	/
<b>Frais de gestion (21%)</b>	50 709€	47 765,76€	47 765,76€	43 298,01 €	45 458€	39 565 € (18%)
<b>Total</b>	<b>198 524,15€</b>	<b>225 083,98€</b>	<b>228 114,03€</b>	<b>221 316€</b> dont 15 509€ remboursés en 2021 (covid19)	<b>211 616,25€</b>	<b>232 306</b>

## 8. Liens et partenaires

### MATHEC et FAI2R :

- Représentation de MATHEC par D. Farge au conseil scientifique de la FAI2R avec participation aux réunions du conseil scientifique
- Représentation de MATHEC par D. Farge à la commission de recherche depuis 02/2019

### MATHEC- Société Francophone de Greffe de Moelle et Thérapie Cellulaire (SFGM-TC) :

Comme acté dans l'article 10 du règlement intérieur de la SFGM-TC (<https://www.sfgm-tc.com/la-societe-francophone-de-grefe-de-moelle-et-de-therapie-cellulaire/reglement-interieur>), MATHEC est une composante des groupe de travail de la SFGM-TC depuis 2018. « le groupe Maladies Auto-immunes et Thérapie Cellulaire de la SFGM-TC (MATHEC) réunit les membres de l'association intéressés par les maladies auto-immunes ainsi que d'autres spécialistes des Maladies Auto-immunes et Auto-inflammatoires

ayant une activité de greffe de cellules souches hématopoïétiques ou de thérapie cellulaire. Tout membre de l'association MATHEC peut participer aux travaux du groupe. Chaque centre relevant de la SFGM-TC ayant une activité liée à la greffe ou la thérapie cellulaire appliquée aux maladies auto-immunes peut être représenté par un ou plusieurs membres au sein du groupe MATHEC. Pour être publiée sur le site internet de la SFGM-TC, la charte de fonctionnement du groupe MATHEC doit être approuvée par le Conseil d'administration de la SFGM-TC. Les missions de ce groupe sont notamment :- La mise en oeuvre d'actions de recherche et d'enseignement sur les maladies auto-immunes;- La conception d'essais cliniques et d'études rétrospectives dans le but d'évaluer des traitements innovants. »

#### **MATHEC dans le Groupe Francophone de Recherche de la Sclérodémie (GFRS) :**

- Représentation de MATHEC par G. Pugnet (Toulouse) au CA du GFRS

#### **MATHEC et l'European Bone Marrow Transplant association : EBMT, [www.ebmt.org](http://www.ebmt.org)**

- *Le CRMR MATHEC est un des centres constitutifs de l'EBMT (CIC 461) et les données de thérapie cellulaire collectées concernant notamment le suivi des patients greffées pour Maladies auto-immunes en France et les traitements par Cellules Souches Mésoenchymateuses sont rapportées dans le registre de l'EBMT*

#### **MATHEC et l'International Society of cellular Therapy : ISCT, [www.isct.org](http://www.isct.org)**

- Participation active aux actions d'enseignements et de développement de la thérapie cellulaire à l'échelon européen et internationale
- D. Farge coordonnateur MATHEC est *membre élue du Board de l'ISCT depuis 2021*

#### **MATHEC et l'Université McGill, Montréal, Canada :**

A l'Université Mc Gill, sont développées des collaborations entre les membres de MATHEC :

- *Avec les cliniciens du Département de Médecine, section Rhumatologie et Pneumologie L'équipe MATHEC a initié et participé très activement à la co-conception de 2 essais cliniques de thérapie cellulaire utilisant des Cellules Mésoenchymateuses Stromales dans le traitement du COVID (Pi Dr Colmegna) et de la Sclérodémie PI (Dr Hudson), et intervient actuellement comme co-investigateur dans ces deux essais, qui se déroulent au Canada avec contrat de partenariat académique : Université McGill–Université Paris Cité ou les deux co-investigateurs France MATHEC sont Pr Farge (conception/suivi des patients) et Pr Reshe-Rigon (Statistiques)*

- *Dans la co-direction ou cosupervision par D. Farge à McGill, d'étudiants en Masters of Sciences au sein de la Division of Experimental medicine avec successivement :*

2020-2021: Hoseok (Peter) Jeon (MSc) Human Multipotent Mesenchymal Stromal Cells Pro-angiogenic Properties: Effects of Replicative Senescence, Aging, and Cell Source ;

Supervision Dr I Colmegna, co-supervision D Farge

2021-2022: M. Brizio (MSc) ANTI-FIBROTIC EFFECTS OF THE HUMAN MESENCHYMAL STROMAL CELLS' SECRETOME

Direction Dr I Colmegna, co-direction D Farge

2023-2024 : S Sultan (MSc) Wharton Jelly Mesenchymal Stem Cells to Improve Salivary Secretion

Supervision : Dr P Laneuville, co-supervision D Farge

- *En tant que partenaire du McGill Regenerative Network ([www.mathec.com](http://www.mathec.com))*

**MATHEC et les associations de patients :**

- Association des Sclérodermiques de France : <https://www.association-sclerodermie.fr/>
- Association Française du Lupus et Autres Maladies Auto-immunes <https://www.lupusplus.com/>
- Lupus France <https://www.lupusfrance.com/>
- Association SEProgressif : <https://www.seprogressif.fr/index.php/fr/>
- Fondation Sclérose en Plaques : <https://www.arsep.org/>

## Annexes -Rapport d'activité du CRMR MATHEC 2017 – 2022

### **Annexe 1 : Liste des Protocoles/guides de bonnes pratiques auxquels l'équipe du CRMR MATHEC a participé à la rédaction entre 2017 et 2022.**

#### **2017 :**

- Farge D, Burt R K, Oliveira M-C, Mousseaux E, Rovira M, Marjanovic Z, de Vries-Bouwstra J, Del Papa N, Saccardi R, Shah S J, Lee D C, Denton C, Alexander T, Kiely D G, Snowden J A. Cardiopulmonary assessment of patients with systemic sclerosis for hematopoietic stem cell transplantation: recommendations from the European Society for Blood and Marrow Transplantation Autoimmune Diseases Working Party and collaborating partners. *Bone Marrow Transplant.* 2017 Nov;52(11):1495-1503.doi: 10.1038/bmt.2017.56
- Pagnet G, Castilla-Llorente C, Puyade M, Terriou L, Badoglio M, Deligny C, Guillaume-Jugnot P, Labeyrie C, Benzidia I, Faivre H, Lansiaux P, Marjanovic Z, Bourhis JH, Faucher C, Furst S, Huynh A, Martin T, Vermersch P, Yakoub-Agha I, Farge D. Indications and follow-up for autologous hematopoietic stem cell transplantation in autoimmune and autoinflammatory diseases: Guidelines from the Francophone Society of Bone Marrow Transplantation and Cellular Therapy (SFGM-TC). *Bull Cancer.* 2017 Dec;104(12S):S169 S180.doi: 10.1016/j.bulcan.2017.06.019.
- PNDS Sclérodémie Systémique, 2017 (participation) : [https://www.has-sante.fr/plug-ins/ModuleXitiKLEE/types/FileDocument/doXiti.jsp?id=c\\_717291](https://www.has-sante.fr/plug-ins/ModuleXitiKLEE/types/FileDocument/doXiti.jsp?id=c_717291)
- PNDS Lupus systémique, 2017 (participation) : [https://www.has-sante.fr/plug-ins/ModuleXitiKLEE/types/FileDocument/doXiti.jsp?id=c\\_2751893](https://www.has-sante.fr/plug-ins/ModuleXitiKLEE/types/FileDocument/doXiti.jsp?id=c_2751893)

#### **2018 :**

- Zéphir H, Puyade M, Gueguen A, Michel L, Terriou L, Dive D, Laureys G, Mathey G, Labauge P, Marjanovic Z, Pagnet P, Badoglio M, Lansiaux P, Yakoub-Agha I, Béguin Y, Farge D. Indications and follow-up for autologous hematopoietic stem cell transplantation in multiple sclerosis: Guidelines from the Francophone Society of Bone Marrow Transplantation and Cellular Therapy (SFGM-TC) in association with the Francophone Society of Multiple Sclerosis. *Bull Cancer.* 2019 Jan;106(1S):S92-S101.doi: 10.1016/j.bulcan.2018.11.002.

#### **2019:**

- Jessop H, Farge D, Saccardi R, Alexander T, Rovira M, Sharrack B, Greco R, Wulffraat N, Moore J, Kazmi M, Badoglio M, Adams G, Verhoeven B, Murray J, Snowden JA. General information for patients and carers considering haematopoietic stem cell transplantation (HSCT) for severe autoimmune diseases (ADs): A position statement from the EBMT Autoimmune Diseases Working Party (ADWP), the EBMT Nurses Group, the EBMT Patient, Family and Donor Committee and the Joint Accreditation Committee of ISCT and EBMT (JACIE). *Bone Marrow Transplant.* 2019 Jan 31. doi: 10.1038/s41409-019-0430
- Sharrack B, Saccardi R, Alexander T, Badoglio M, Burman J, Farge D, Greco R, Jessop H, Kazmi M, Kirgizov K, Labopin M, Mancardi G, Martin R, Moore J, Muraro PA, Rovira M, Sormani MP, Snowden JA; European Society for Blood and Marrow Transplantation (EBMT) Autoimmune Diseases Working Party (ADWP) and the Joint Accreditation Committee of the International Society for Cellular Therapy (ISCT) and EBMT (JACIE). Autologous haematopoietic stem cell transplantation and other cellular therapy in multiple sclerosis and immune-mediated neurological diseases: updated guidelines and recommendations from the EBMT Autoimmune Diseases Working Party (ADWP) and the Joint Accreditation Committee of EBMT and ISCT (JACIE). *Bone Marrow Transplant.* 2019 Sep 26. doi: 10.1038/s41409-019-0684-0
- Puyade M, Labeyrie C, Badoglio M, Cintas P, Guenounou S, Lansiaux P, Marjanovic Z, Nicolas G, Pomies A, Terriou L, Torregrosa Diaz JM, Baron C, Castilla Llorente C, Yakoub-Agha I, Farge D

[Indication of autologous stem cell transplantation in chronic inflammatory demyelinating polyneuropathy: Guidelines from the Francophone Society of Bone Marrow Transplantation and Cellular Therapy (SFGM-TC)]. Bull Cancer. 2019 Dec 7. pii: S0007-4551(19)30403-5. doi: 10.1016/j.

## 2020 :

- Puyade M, Treton X, Alric L, Badoglio M, Castilla Llorente C, Fotsing G, Marjanovic Z, Rovira M, Terriou L, Terregrosa Dias J, Tran-Minh ML, Allez M, Pugnet G, Laharie D, Yakoub-Agha I, Farge D. Indications de l'autogreffe de cellules hématopoïétiques dans la Maladie de Crohn : recommandations de la Société francophone de greffe de moelle et de thérapie cellulaire. Bull Cancer. 2020 Dec;107(12S):S140-S150.doi: 10.1016/j.bulcan.2020.08.009.
- Sharrack B, Saccardi R, Alexander T, Badoglio M, Burman J, Farge D, Greco R, Jessop H, Kazmi M, Kirgizov K, Labopin M, Mancardi G, Martin R, Moore J, Muraro PA, Rovira M, Sormani MP, Snowden JA; European Society for Blood and Marrow Transplantation (EBMT) Autoimmune Diseases Working Party (ADWP) and the Joint Accreditation Committee of the International Society for Cellular Therapy (ISCT) and EBMT (JACIE). Autologous haematopoietic stem cell transplantation and other cellular therapy in multiple sclerosis and immune-mediated neurological diseases: updated guidelines and recommendations from the EBMT Autoimmune Diseases Working Party (ADWP) and the Joint Accreditation Committee of EBMT and ISCT (JACIE). Bone Marrow Transplant. 2020 Feb;55(2):283-306.

## 2021:

- Lansiaux P, Loisel S, Castilla-Llorente C, Fontenille C, Kabdani S, Marjanovic Z, Pugnet G, Puyade M, Robert E, Terriou L, Ait Abdallah N, Maria A, Michel L, Tréton X, Yakoub-Agha I, Farge D. Suivi immunologique et collection biologique en vue de l'analyse de la réponse clinique après autogreffe de moelle pour maladies auto-immunes : recommandations de la Société francophone de greffe de moelle et de thérapie cellulaire (SFGM-TC). Fundam Clin Pharmacol. 2021 Apr;35(2):435-445.doi: 10.1111/fcp.12593. Epub 2021 Jan 7.
- Protocole National de Diagnostic et de Soins sur la Thérapie Cellulaire et les Maladies Auto-immunes (en cours de rédaction, coordonné par D Farge, Z Marjanovic, G Pugnet pour MATHEC au sein de la filière Fai2r)
- Greco R, Alexander T, Burman J, Del Papa N, de Vries-Bouwstra J, Farge D, Henes J, Kazmi M, Kirgizov K, Muraro P A, Ricart E, Rovira M, Saccardi R, Sharrack B, Snarski E, Withers B, Jessop H, Boglione C, Kramer E, Badoglio M, Labopin M, Orchard K, Corbacioglu S, Ljungman P, Mikulska M, De la Camara R, Snowden J A, European Society for Blood and Marrow Transplantation (EBMT) Autoimmune Diseases Working Party (ADWP), Infectious Diseases Working Party (IDWP), Pediatric Working Party (PWP), Joint Accreditation Committee of the International Society for Cellular Therapy (ISCT) and EBMT (JACIE), EBMT Nurses Group and Patient Advocacy Committee. Hematopoietic stem cell transplantation for autoimmune diseases in the time of COVID-19: EBMT guidelines and recommendations

## 2022 :

- Maria A, Campidelli A, Castilla-Llorente C, Lansiaux P, Marjanovic Z, Pugnet G, Torregrosa-Diaz J-M, Terriou L, Algayres J-P, Urbain F, Yakoub-Agha I, Farge D. Vaccinations avant et après greffe de cellules hématopoïétiques autologues chez les patients atteints de maladies auto-immunes : propositions du groupe Maladies Auto-immunes et Thérapie Cellulaire de la Société Francophone de Greffe de Moelle et de Thérapie Cellulaire (MATHEC-SFGM-TC). Bull. Cancer. In press
- PNDS « Maladies Auto-immunes et Thérapie cellulaire » (coordination) : [https://www.has-sante.fr/jcms/p\\_3374064/fr/greffe-de-cellules-souches-hematopoiétiques-dans-les-maladies-auto-immunes](https://www.has-sante.fr/jcms/p_3374064/fr/greffe-de-cellules-souches-hematopoiétiques-dans-les-maladies-auto-immunes)

## Annexe 2 : Communications orales de 2017 à 2022 : A l'échelon national : 85

1. 29 novembre 2017, Paris, Hôpital Bicêtre service de Rhumatologie (Pr Mariette) la Place de l'autogreffe dans la sclérodémie et les maladies auto-immunes
2. 17 mai 2017, Paris, 22eme Atelier Francophones de la Sclérodémie Systémique
3. Intensification avec greffe de cellules souches périphériques. Service de Médecine Interne de Cochin
4. 13 octobre 2017, Paris, « Les 3eme rencontres nationales Paris Crown Plaza SANOFI Autour de l'autogreffe » Autogreffe et maladies auto-immunes D. Farge (Paris)
5. 07 décembre 2017, Strasbourg, « Journée d'actualité physiopathologique de Strasbourg « : Greffe de CSH et traitement des connectivités : rationnel et résultats »
6. 19 janvier 2018, Paris, 1ère Journée « MATHEC » Maladies Auto-immunes et Thérapie Cellulaire du Centre de Référence des Maladies auto-immunes systémiques Rares d'Ile-de-France (site constitutif): « Sclérodémie Systémique grave et autogreffe de moelle : une indication validée »
7. 30-31 mai 2018, Paris, XXIIe Ateliers Francophones de la Sclérodémie Systémique Service de Médecine Interne, Rhumatologie A et Dermatologie, hôpital Cochin, CRMR maladies systémiques auto-immunes rares d'Ile de France Intensification avec greffe de cellules souches périphériques
8. 30 juin 2018, Paris, Lupus France : « La mesure de la qualité de vie au cours du lupus systémique : un moyen d'améliorer la communication entre les médecins et les patients ? »
9. 14 septembre 2018, Caen, Société Francophone de la Sclérose en plaques : « Autogreffe de cellules souches hématopoïétiques dans la SEP : quelle place dans nos stratégies thérapeutiques ?
10. 12 décembre 2018, Grenoble, Congres de la SNFMI: Amicale des jeunes internistes invitation « Thérapie cellulaire dans les maladies auto-immunes »
11. 18 janvier 2019, Paris, Journée Scientifique du Centre de Référence des Maladies Auto-immunes Systémiques Rares d'Ile de France (Belot A, Fautrel B) Paris Institut Imagine Necker « Autogreffe de CSHP pour le traitement de la Sclérodémie Systémique : essai Europeen », Pr D. Farge
12. 25 janvier 2019, Paris, 2eme Journée « MATHEC » Maladies Autoimmunes et Thérapie Cellulaire du Centre de Référence des Maladies auto-immunes systémiques Rares d'Ile-de-France (site constitutif), « Place de l'autogreffe de CSHP au regard des nouvelles thérapies dans le traitement de la Sclérose en Plaques », Pr D. Farge
13. 25 janvier 2019, Paris, 2eme Journée « MATHEC » Maladies Autoimmunes et Thérapie Cellulaire du Centre de Référence des Maladies auto-immunes systémiques Rares d'Ile-de-France (site constitutif), « Autogreffe de CSH et Sclérodémie Systémique en France », Dr G. Pugnet
14. 25 janvier 2019, Paris, 2eme Journée « MATHEC » Maladies Autoimmunes et Thérapie Cellulaire du Centre de Référence des Maladies auto-immunes systémiques Rares d'Ile-de-France (site constitutif), « Recommandations françaises de la SFGM-TC et de la Société Francophone du Nerf Périphérique (SFNP): HSCT et Polyneuropathie Inflammatoire Démyélinisante Chronique », Dr M. Puyade
15. 25 janvier 2019, Paris, 2eme Journée « MATHEC » Maladies Autoimmunes et Thérapie Cellulaire du Centre de Référence des Maladies auto-immunes systémiques Rares d'Ile-de-France (site constitutif), « Utilisation des CSM autologues produites à partir des adipocytes en injection locale pour le traitement des ulcères au cours de la Sclérodémie Systémique », Dr G. Pugnet
16. 25 janvier 2019, Paris, 2eme Journée « MATHEC » Maladies Autoimmunes et Thérapie Cellulaire du Centre de Référence des Maladies auto-immunes systémiques Rares d'Ile-de-France (site constitutif), « Structuration des bases de données cliniques et biobanques MATHEC », P. Lansiaux
17. 25 janvier 2019, Paris, 2eme Journée « MATHEC » Maladies Autoimmunes et Thérapie Cellulaire du Centre de Référence des Maladies auto-immunes systémiques Rares d'Ile-de-France (site

- constitutif), « Plateforme collaborative patients-soignants-sciences humaines et sociales. Retour sur l'étude e-Form innov et perspectives », E. Lemadre
18. 25 janvier 2019, Paris, 2eme Journée « MATHEC » Maladies Autoimmunes et Thérapie Cellulaire du Centre de Référence des Maladies auto-immunes systémiques Rares d'Ile-de-France (site constitutif), « Cellules Souches Mésoenchymateuses pour le traitement de la Sclérodémie Systémique et du Lupus Erythémateux Systémique Sévère ; du concept au traitement des patients », Pr D. Farge
  19. 06 mars 2019, Poitiers, Intervention auprès des internes du CHU de Poitiers, « Autogreffe et MAI », Dr M Puyade.
  20. 15 mars 2019, Paris, Rencontres en Immunologie & Immunothérapie pratiques, « Sclérodémie : greffe ou pas greffe », Pr D. Farge
  21. 25 avril 2019, GH de Nice, « Thérapie cellulaire dans les maladies auto-immunes rhumatologiques et neurologiques », Pr D. Farge
  22. 30 avril 2019, Strasbourg, UE Therapeutic potential of Stem cells « Auto-immune disease and cell engineering » , Pr D. Farge
  23. 22-23 mai 2019, Paris, Hôpital Cochin, XXIVe Ateliers Francophones de la Sclérodémie Systémique, « Intensification avec greffe de cellules souches périphériques », Pr D. Farge
  24. 05-07 juin 2019, Amiens, VIIIème Congrès de la Société Française de Bio-ingénierie Cellulaire et Tissulaire (SFBCT) « Traitement de maladies auto-immunes par des procédés de thérapie cellulaire », Pr D. Farge
  25. 3/12/2019, Angers, Service de Médecine Interne du CHU d'Angers « Indication de l'autogreffe dans la sclérodémie systémique ». Pr M. Puyade
  26. 16 janvier 2020, Toulouse, Neurologues et équipe INSERM SEP du CHU de Toulouse, « Autogreffe et maladies neurologiques inflammatoire », Dr G. Pignet (présentation orale)
  27. Janvier 2020, Faculté de Médecine, Université de Montpellier, « Cellules souches Mésoenchymateuses, espoirs thérapeutiques, UE de médecine régénératrice », Dr A. Maria
  28. Janvier 2020, « Présentation au comité qualité du CHU concernant l'activité de greffe en hématologie : rapport d'activité d'autogreffe dans les maladies autoimmunes », Dr A. Maria, Dr N. Fegueux
  29. 24 janvier 2020, Paris, 3eme Journée « MATHEC » Maladies Autoimmunes et Thérapie Cellulaire du Centre de Référence des Maladies auto-immunes systémiques Rares d'Ile-de-France (site constitutif) « Rôle des vésicules extracellulaires et de mir29a dans l'effet thérapeutique des cellules souches mésoenchymateuses dans le modèle murin de sclérodémie induite par l'HOCl » Dr A. Maria (présentation orale)
  30. 24 janvier 2020, Paris, 3eme Journée MATHEC » Maladies Autoimmunes et Thérapie Cellulaire du Centre de Référence des Maladies auto-immunes systémiques Rares d'Ile-de-France (site constitutif), « Rapport d'Activité 2019 MATHEC-St-Louis du CRMR d'Ile-de-France et maladies Auto-immunes et Auto inflammatoires, au sein de la Filière fai2r », Pr D. Farge (présentation orale)
  31. 24 janvier 2020, Paris, 3eme Journée « MATHEC » Maladies Autoimmunes et Thérapie Cellulaire du Centre de Référence des Maladies auto-immunes systémiques Rares d'Ile-de-France (site constitutif), « La base de données Voozanoo-MATHEC-SFGMTC », C. Charles, Dr M. Puyade (présentation orale)
  32. 24 janvier 2020, Paris, 3eme Journée « MATHEC » Maladies Autoimmunes et Thérapie Cellulaire du Centre de Référence des Maladies auto-immunes systémiques Rares d'Ile-de-France (site constitutif), « Extracellular vesicles from MSC », I. Colmegna (présentation orale)
  33. 24 janvier 2020, Paris, 3eme Journée « MATHEC » Maladies Autoimmunes et Thérapie Cellulaire du Centre de Référence des Maladies auto-immunes systémiques Rares d'Ile-de-France (site constitutif), « Utilisation des CSM autologues produites à partir des adipocytes en injection locale pour le traitement des ulcères au cours de la Sclérodémie Systémique », Dr G. Pignet (présentation orale)
  34. 24 janvier 2020, Paris, 3eme Journée « MATHEC » Maladies Autoimmunes et Thérapie Cellulaire du Centre de Référence des Maladies auto-immunes systémiques Rares d'Ile-de-France (site constitutif), « Utilisation des CSM de cordon pour le traitement du Lupus Erythémateux Systémique sévère, Pr D. Farge (présentation orale)
  35. 21 février 2020, Paris, Hôpital St-Antoine, autogreffe de moelle dans les maladies systémiques auto-immunes, D. Farge (présentation orale)



36. 04 Mars 2020, Paris, Hôpital St-Louis, cours pneumologie, « Autogreffe dans la Sclérodémie Systémique », D. Farge (présentation orale)
37. 08 avril 2020, Strasbourg, UE "Therapeutic potential of stem cells" Master : Auto-immune disease and cell engineering, Pr D. Farge (présentation orale)
38. 24 juin 2020, 81ème Congrès de la SNFMI : « Autogreffe de cellules souches hématopoïétiques et Maladie de Behçet : une étude rétrospective de l'EBMT », M. Puyade
39. 24-25 septembre 2020, Lille, Ateliers d'harmonisation de la SFGM-TC, « Biobanking en vue de l'analyse de la réponse Clinique après autogreffe de moelle pour Maladie Auto-immune », Pr D. Farge, Pr G. Pugno, Dr M. Puyade, P. Lansiaux
40. 02 Décembre 2020, Paris, Hôpital Lariboisière, Cours cardiologie, « Autogreffe de moelle et Sclérodémie systémique », D. Farge (présentation orale)
41. 18 Décembre 2020, Paris, Université de Paris, Master Inflammation et Maladies Inflammatoires, « Stem Cell transplantation in autoimmune diseases », D. Farge
42. Décembre 2020, Master 2 BioHealth, Université de Montpellier, « Mesenchymal Stem Cells for Immune Mediated Inflammatory Disorders (IMID) : applications for systemic sclerosis », Dr A. Maria
43. Année 2020, Montpellier, « Thérapies cellulaires dans la sclérodémie systémique » cours aux internes (2/an), Dr A. Maria
44. Année 2020, Montpellier, « Principes de l'autogreffe de cellules souches hématopoïétiques appliqués à la sclérodémie systémique », cours aux infirmières du service de Médecine Interne (1/an), Dr A. Maria
45. DES de Médecine Interne région Nouvelle Aquitaine phase approfondissement : Autogreffe de cellules souches hématopoïétiques et Sclérodémie, 11 janvier 2021, M. Puyade.
46. DIU Immunopathologie de Strasbourg, 15 janvier 2021: « Cellules souches mésenchymateuses dans les maladies inflammatoires systémiques », G. Pugno.
47. 4ème Journée MATHEC, 22 janvier 2021 « Rapport d'activité MATHEC 2020 », D. Farge
48. 4ème Journée MATHEC 22 janvier 2021: *Quelle place pour le conditionnement alternatif ?* M. Puyade, A. Maria.
49. Comité qualité CHU Montpellier / JACIE : rapport d'activité d'autogreffe dans les MAI, janvier 2021, A. Maria et N. Fegoux
50. Cellules souches Mésenchymateuses, espoirs thérapeutiques, UE de médecine régénératrice, Faculté de Médecine, Université de Montpellier, janvier 2021, A. Maria
51. DU Biothérapies innovantes de Toulouse, 05 mars 2021: « Thérapie cellulaire appliquée aux Maladies Dysimmunitaires », G. Pugno.
52. Formations des internes du DES MIMI CHU de Poitiers, 09 mars 2021: Autogreffe de cellules souches hématopoïétiques et Maladies Auto-Immunes 1h30, M. Puyade.
53. Vendredi de MATHEC, 26 mars 2021 : « Autogreffe de cellules souches hématopoïétiques pour maladie auto-immune », G. Pugno.
54. Vendredi MATHEC pour les patients: autogreffe dans la sclérodémie systémique, 28 mai 2021, A. Maria
55. « Stem cell transplantation in Systemic Sclerosis », Ateliers de la Sclérodémie, Hôpital Cochin, 2 juillet 2021, D. Farge
56. Début du Fellowship à Ottawa Blood disorder division, Auto-Immune Disease and Hematopoietic Stem Cell Transplantation Program, 01 août 2021 M. Puyade.
57. 5th French International Symposium on CAR T Cells (CAR T Day), chair session 5 « Emerging indication of CAR T-cells », 03 septembre 2021, Lille, D. Farge
58. Ateliers harmonisation SFGM-TC, 16-17 septembre 2021, « Traitement prophylactique, curatif et vaccination chez les patients faisant l'objet d'une thérapie cellulaire pour une maladie auto-immune », Lille, responsables d'atelier : D. Farge, A. Campidelli
59. Jeudis de la Fai2r, MATHEC, 4 novembre 2021 « Autologous hematopoietic stem cell transplantation in autoimmune diseases », D. Farge
60. Jeudis de la Fai2r, MATHEC, 4 novembre 2021 « Autogreffe de cellules souches hématopoïétiques et maladies auto-immunes : mobilisation et conditionnement », L. Terriou
61. Jeudis de la Fai2r, MATHEC, 4 novembre 2021 « Autogreffe de cellules souches hématopoïétiques et maladies auto-immunes », G. Pugno
62. DIU thérapie cellulaire – Pharmacie de Lille, 09 novembre 2021: « l'Autogreffe de CSH dans les maladie auto-immunes ou inflammatoires », L. Terriou

63. 20ème congrès de la SFGM-TC, Journée TEC du 18 novembre 2021, « Le registre MATHEC », Nancy. P. Lansiaux, D. Farge
64. Staff de Bicêtre service de Médecine Interne – Immunologie Pr CECILE GOUJARD, 23 novembre 2021: « Cellules souches mésenchymateuses dans les maladies inflammatoires systémiques », G. Pignet.
65. Mesenchymal Stem Cells for Immune Mediated Inflammatory Disorders (IMID): applications for systemic sclerosis, Master 2 BioHealth, Université de Montpellier, 3 décembre 2021, A. Maria.
66. Cochin, 14 décembre 2021 « Stem cell transplantation in auto-immune diseases», Masters Biologie
67. Thérapies cellulaires dans la sclérodémie systémique, cours aux internes du département de médecine interne St Eloi (2/an), A. Maria
68. Principes de l'autogreffe de cellules souches hématopoïétiques appliqués à la sclérodémie systémique, cours aux infirmières du service (1/an), A. Maria
69. DIU Immunopathologie de Strasbourg, 7 janvier 2022: « Cellules souches mésenchymateuses dans les maladies inflammatoires systémiques », G. Pignet
70. Société de Médecine Chirurgie et Pharmacie de Toulouse, 12 janvier 2022 : « Thérapie cellulaire et maladies autoimmunes », G Pignet
71. 5<sup>ème</sup> Journée MATHEC, 28 janvier 2022, St-Louis, Paris: conférence: « Quels progrès en 10 ans dans l'utilisation des Cellules Mésenchymateuses Stromales dans la Sclérodémie », D. Farge
72. 5<sup>ème</sup> Journée MATHEC, 28 janvier 2022, St-Louis, Paris : « La base de données MATHEC sous l'égide de la SFGM-TC: pour le suivi des patients traités par thérapie cellulaire pour MAI », P. Lansiaux
73. 5<sup>ème</sup> Journée MATHEC, 28 janvier 2022, St-Louis, Paris : « Atteintes pulmonaire et oesophagienne avant et après autogreffe de CSH », G. Pignet
74. 5<sup>ème</sup> Journée MATHEC, 28 janvier 2022, St-Louis, Paris : « Recommandations vaccinales avant/après autogreffe de moelle pour MAI », A. Maria
75. 5<sup>ème</sup> Journée MATHEC, 28 janvier 2022, St-Louis, Paris : « Quoi de nouveau en matière de greffe de moelle pour les affections neurologiques au sein de MATHEC –SFGM-TC en 5 ans», L. Terriou
76. UE Nancy 30 mars 2022: “Auto-immune disease and cell engineering”, D. Farge
77. DU Biotherapies innovantes de Toulouse, 6 mai 2022: « Thérapie cellulaire appliquée aux Maladies Dysimmunitaires », G. Pignet.
78. Journée de formation des soignants en hématologie et greffe du GFUC-GM, 17 juin 2022, St-Louis, Paris : « Autogreffe de cellules souches hématopoïétiques et autres thérapies cellulaires dans les maladies auto-immunes », P. Lansiaux
79. Ateliers harmonisation SFGM-TC, 22-23 septembre 2022, Lille : « Actualisation des protocoles de chimiothérapie pour greffe de moelle et maladies auto-immunes ». Participation à l'atelier : P. Lansiaux, Z. Marjanovic (co-responsable d'atelier), L. Terriou (co-responsable d'atelier), M. Puyade
80. Rencontres en immunologie et immunothérapie pratique 2022, 30 septembre 2022, Paris: « Traitements intensifs des maladies auto-immunes », G Pignet
81. DES de Rhumatologie de Toulouse, 17 octobre 2022 : « Prise en charge thérapeutique et thérapies cellulaires dans la sclérodémie systémique », G Pignet
82. Journée annuelle du CRM Maladies Autoimmunes Systemiques rares d'Ile de France, 21 octobre 2022, Hopital Cochin, Paris : “Place de l'autogreffe de CSHP dans la Sclérodémie Systémique diffuse”, D. Farge
83. Rencontres autour de la greffe de moelle dans les maladies auto-immunes neurologiques et rhumatologiques, Poitiers, 25 novembre 2022 : « Principes généraux des autogreffes de moelle dans les maladies auto-immunes rhumatologiques », D Farge.
84. Rencontres autour de la greffe de moelle dans les maladies auto-immunes neurologiques et rhumatologiques, Poitiers, 25 novembre 2022 : « Indications des autogreffes de moelle dans la Sclérose en Plaques » M. Puyade.
85. Webconférence auprès des patients de l'association des sclérodermiques de France, le 28 novembre 2022 : « les thérapies cellulaires dans la sclérodémie systémique : actualités et perspectives », G Pignet

### Annexe 3 : Communications orales de 2017 à 2022 : A l'échelon international : 34

1. 2017 EBMT and Cell Therapy congress “ “Cellular therapy in rheumatic diseases”
2. November 3rd, 2017, Newcastle EBMT Inborn errors and Autoimmune Diseases working parties joint meeting « Stem cell transplantation in SSC: which patient and how?”
3. Canadian Research network on Scleroderma: Stem cell Transplantation in Scleroderma Meeting, Friday April 6th 2018, Montreal CANADA: D Farge “The ASTIS trial” (30 minutes)
4. Canadian Research network on Scleroderma : Stem cell Transplantation in Scleroderma Meeting, Friday April 6th 2018, Montreal CANADA: A debate chaired by H Atkins with K Sullivan and D Farge” SCOTT versus ASTIS” (60 minutes)
5. Canadian Research network on Scleroderma : Stem cell Transplantation in Scleroderma Meeting, Friday April 7th 2018, Montreal CANADA: “Mesenchymal Stem Cell” (45 minutes=
6. Canadian Research network on Scleroderma: Stem cell Transplantation in Scleroderma Meeting, Friday April 7th 2018, Montreal CANADA: D Farge “Posttransplant management” (30 minutes)
7. 28 avril 2018 4ème congrès de Société Ivoirienne de Recherche Appliquée en Médecine (SIRAM) Grand Bassam Abidjean : “Physiopathologie et traitement du lupus” (45 minutes)
8. 4th MAY 2018, Royal Victoria hospital Mc Gill University, Montreal Canada, Round Round lecture” Stem cell therapy in autoimmune diseases” (60 minutes)
9. 15 november 2018, Joint Educational Meeting of the ADWP & SAAWP (EBMT), Florence, Farge D “Autoimmune Disease Plenary Session: Systemic Sclerosis SSc (20min).
10. 15 novembre 2018, Joint Educational Meeting of the ADWP & SAAWP (EBMT), à Florence, Parallel Session Systemic Sclerosis “ASTIS and Beyond”(20min).
11. 23 Mars 2019, Paris, Eurocord « Mesenchymal Stem Cell in Autoimmune Diseases », Pr D. Farge
12. 27th March 2019, Frankfurt, 45th Annual Meeting of the European Society for Blood and Marrow Transplantation (EBMT), «Allogeneic HSCT for autoimmune diseases: a retrospective study from the EBMT autoimmune diseases, inborn errors and paediatric working parties» Pr D. Farge
13. 27th March 2019, Frankfurt, 45th Annual Meeting of the European Society for Blood and Marrow Transplantation (EBMT), «Health-Related quality of life in systemic sclerosis before and after autologous hematopoietic stem cell transplant – A systematic review», Dr M.Puyade
14. 27 september 2019, Roma, Joint Meeting from Hopsitla Bambino Gesù- Centre Scientifique de Monaco on Stem Cell Transplantation in Childhood Biothechnical advances, ethica issues and worldwide equal access (Chair E Gluckman F Locatelli), «HSCT for autoimmune diseases: the competition with targeted therapies», Pr D Farge
15. 22-23th November 2019, Moscow, National Medical and Surgical Center named after N.I. Pirogov of the Ministry of Healthcare of Russian Federation, Moscow, Russian Federation ; International conference Stem Cell transplantation for autoimmune diseases « Autologous stem cell Transplantation in systemic sclerosis: the EBMT Experience after 20 years», Pr D Farge
16. 30th November 2019, Casablanca, Congres de la Société Marocaine de Médecine Interne « Thérapeutiques innovantes en médecine interne: Les Cellules souches Application», Pr D Farge
17. May 28-29th, 2020, ISCT Paris Virtual, "Pre-clinical background and treatment of refractory severe systemic sclerosis patients by mesenchymal stem cells" lors de la session “Mesenchymal Stromal Cells: Full Circle from Basic Research Insights to Clinical Trial Updates”, Pr D. Farge (présentation orale)
18. November 6th, 2020, ACR, « Autologous Hematopoietic Stem Cell Transplantation for Behçet’s Disease: A Retrospective Survey of Patients Treated in Europe, on the Behalf of the Autoimmune Diseases Working Party of the European Society for Blood and Bone Marrow Transplantation », Dr M. Puyade (présentation orale)
19. August 29th-September 1st, 2020, 46th Annual Meeting of the EBMT (Virtual), « Long term follow up of French Systemic Sclerosis patients included in the ASTIS trial using SCOT trial Global Rank Composite Score », Dr N. Ait Abdallah (poster)
20. August 29th-September 1st, 2020, The 46th Annual Meeting of the European Society for Blood and Marrow Transplantation. Autologous Stem Cell Transplantation in Behçet’s Disease: A Retrospective

- Study M Puyade, A Patel, Y L Lim, N Blank, M Badoglio, F Gualandi, D Ma, N Maximova, T Alexander, J Snowden Physicians (Poster Session, P060)
21. May 28-29, 2020P. In vitro Pro-angiogenic Effects of Human Multipotent Mesenchymal Stromal Cells: Effect of Donor's Age (Poster).  
Jeon, M. Lora, S. Hussain, D. Farge, M. Hudson, I. Colmegna
  22. EBMT 2021, HSCT for systemic sclerosis: Future directions in patient selection and conditioning regimen, 14 march 2021, D. Farge
  23. Cours Master's International UE Nancy, 14 avril 2021, « Auto-immune disease and cell engineering » D.Farge.
  24. ISCT 2021, May 26-28, Abstract : « Angiogenic Effects of Adipose Tissue- and Wharton's Jelly-Derived Human Multipotent Mesenchymal Stromal Cells » P. Jeon, M. Lora, S. Hussain, M. Hudson, Polski bank, D. Farge, I. Colmegna
  25. EBMT 2021, September 23-24, chair: « HSCT in rheumatologic and gastroenterological indications ».
  26. Octobre 2021 Cours Master's Experimental McGill University
  27. 12th (virtual) conference on Autoimmunity: « mir29a plays a crucial role in the therapeutic effects of ASC-derived extracellular vesicles in systemic sclerosis » (travail réalisé avec P. Rozier, P. Guilpain, D. Noël), A. Maria
  28. February 2022, Pragues, European Bone Marrow Transplant Association Annual Meeting; Educational Session: Autologous HSCT for systemic sclerosis.
  29. 21 march 2022 ; EBMT ADWP meeting: “NISSC II - Post-AHSCT management and mechanistic immunological reconstitution for patients with systemic sclerosis (Ongoing, extension granted until 2023)”, “NISSC-I Long term evaluation of efficacy after autologous stem cell transplantation for systemic sclerosis – NISSC-1 long term extension”, “Definition of relapse in the follow-up of SSc patients after HSCT (update, previously approved for further development)”, “Advanced cellular therapies for autoimmune diseases, a joint study of the ADWP and CTIWP (short update, previously approved for further development)”.
  30. EBMT, 48<sup>th</sup> annual meeting, March 19-23 2022, Virtual: “Longitudinal changes on quantitative chest high-resolution computed tomography in diffuse systemic sclerosis-related interstitial lung disease after autologous hematopoietic stem cell transplantation”, G. Pignet
  31. 5 May 2022, San Francisco International Society of Cellular Therapy : Enough bait keeping its time to fish: Mesenchymal Stromal Cells Early clinical trials in Systemic Sclerosis.
  32. *EULAR meeting, June 2 2022, Poster: “Longitudinal Changes on Quantitative Chest High-Resolution Computed Tomography in early diffuse Systemic Sclerosis-related Interstitial Lung Disease After Autologous Hematopoietic Stem Cell Transplantation”, G. Pignet*
  33. 2022 CAR T DAY, september 7-9, 2022, Lille: Session: « Other indications and novel immune cellular therapy technologies » Chairs: Chrystel Marton (Lille, France), D. Farge
  34. Famicord scientific symposium Cellular Therapies interdisciplinary approach, October 6 2022, Warsaw, “Mesenchymal stems cells in autoimmune diseases: trick or treat?”, D. Farge

#### **Annexe 4 : Publications indexées dans Pubmed de 2017 à 2022 : Articles pour lesquels les membres de MATHEC sont cités dans les co-auteurs : 75**

1. Gaudemer A, Sauvet G, Hij A, Stanciu R, Farge-Bancel D, Algayres JP. Splenic sarcoidosis diagnosed by US-guided biopsy: About a case. *Rev Med Interne*. 2017; S0248-8663(17)31184-0. doi: 10.1016/j
2. Snowden JA, Badoglio M, Labopin M, Giebel S, McGrath E, Marjanovic Z, Burman J, Moore J, Rovira M, Wulfraat NM, Kazmi M, Greco R, Snarski E, Kozak T, Kirgizov K, Alexander T, Bader P, Saccardi R, Farge D. Evolution, trends, outcomes, and economics of hematopoietic stem cell transplantation in severe autoimmune diseases. *Blood Adv*. 2017;1(27):2742-2755
3. Pagnet G, Castilla-Llorente C, Puyade M, Terriou L, Badoglio M, Deligny C, Guillaume-Jugnot P, Labeyrie C, Benzidia I, Faivre H, Lansiaux P, Marjanovic Z, Bourhis JH, Faucher C, Furst S, Huynh A, Martin T, Vermersch P, Yakoub-Agha I, Farge D. Indications and follow-up for autologous hematopoietic stem cell transplantation in autoimmune and autoinflammatory diseases: Guidelines from the Francophone Society of Bone Marrow Transplantation and Cellular Therapy (SFGM-TC). *Bull Cancer*. 2017; 4(12S):S169-S180.
4. Farge D, Burt RK, Oliveira MC, Mousseaux E, Rovira M, Marjanovic Z, de Vries-Bouwstra J, Del Papa N, Saccardi R, Shah SJ, Lee DC, Denton C, Alexander T, Kiely DG, Snowden JA; EBMT ADWP Scleroderma Working Group. Acute and fatal cardiotoxicity following high-dose cyclophosphamide in a patient undergoing autologous stem cell transplantation for systemic sclerosis despite satisfactory cardiopulmonary screening. *BMT Bone Marrow Transplant*. 2017 S 2017 September 4. doi: 10.1038/bmt.2017.56.
5. Carreira PE, Carmona L, Joven BE, Loza E, Andreu JL, Riemekasten G, Vettori S, Allanore Y, Balbir-Gurman A, Airò P, Walker UA, Damjanov N, Ananieva LP, Rednic S, Czirkák L, Distler O, Farge D, Hesselstrand R, Corrado A, Caramaschi P, Tikly M, Matucci-Cerinic M; and EUSTAR co-authors. Clinical determinants of elevated systolic pulmonary artery pressure measured by transthoracic Doppler echocardiography in early systemic sclerosis. *Clin Exp Rheumatol*. 2017;35 Suppl 106(4):114-121.
6. Herrick AL, Pan X, Peytrignet S, Lunt M, Hesselstrand R, Mouthon L, Silman A, Brown E, Czirkák L, Distler JHW, Distler O, Fligelstone K, Gregory WJ, Ochiel R, Vonk M, Ancuța C, Ong VH, Farge D, Hudson M, Matucci-Cerinic M, Balbir-Gurman A, Midtvedt Ø, Jordan AC, Jobanputra P, Stevens W, Moinszadeh P, Hall FC, Agard C, Anderson ME, Diot E, Madhok R, Akil M, Buch MH, Chung L, Damjanov N, Gunawardena H, Lanyon P, Ahmad Y, Chakravarty K, Jacobsen S, MacGregor AJ, McHugh N, Müller-Ladner U, Riemekasten G, Becker M, Roddy J, Carreira PE, Fauchais AL, Hachulla E, Hamilton J, İnanç M, McLaren JS, van Laar JM, Pathare S, Proudman S, Rudin A, Sahhar J, Coppere B, Serratrice C, Sheeran T, Veale DJ, Grange C, Trad GS, Denton CP. Treatment outcome in early diffuse cutaneous systemic sclerosis: the European Scleroderma Observational Study (ESOS). *Ann Rheum Dis*. 2017 Jul;76(7):1207-1218.
7. Kleinmann JF, Tubach F, Le Guern V, Mathian A, Richez C, Saadoun D, Sacre K, Sellam J, Seror R, Amoura Z, Andres E, Audia S, Bader-Meunier B, Blaison G, Bonnotte B, Cacoub P, Caillard S, Chiche L, Chosidow O, Costedoat-Chalumeau N, Daien C, Daugas E, Derdèche N, Doria A, Fain O, Fakhouri F, Farge D, Gabay C, Guillo S, Hachulla E, Hajjaj-Hassouni N, Hamidou M, Houssiau FA, Jourde-Chiche N, Koné-Paut I, Ladjouz-Rezig A, Lambotte O, Lipsker D, Mariette X, Martin-Silva N, Martin T, Maurier F, Meckenstock R, Mékinian A, Meyer O, Mohamed S, Morel J, Moulin B, Mulleman D, Papo T, Poindron V, Puéchal X, Punzi L, Quartier P, Sailler L, Smail A, Soubrier M, Sparsa A, Tazi-Mezalek Z, Zakraoui L, Zuily S, Sibia J, Gottenberg JE. International and multidisciplinary expert recommendations for the use of biologics in systemic lupus erythematosus. *Autoimmun Rev*. 2017 Jun;16(6):650-657
8. Lindsay JO, Allez M, Clark MM, Labopin M, Ricart E, Rogler G, Rovira M, Satsangi J, Farge D, Hawkey CJ on behalf of the ASTIC trial group, EBMT ADWP and ECCO joint first authors. One year outcome of autologous stem cell transplantation in treatment refractory Crohn's disease: identifying factors that predict benefit and harm. *Lancet Gastroenterol Hepatol*. 2017 Jun;2(6):399-406.
9. Farge D, Burt RK \*, Oliveira MC, Mousseaux E, Rovira M, Marjanovic Z, de Vries-Bouwstra J, Del Papa N, Saccardi R, Shah SJ, Lee DC, Denton C, Alexander T, Kiely DG, Snowden JA for the EBMT ADWP Scleroderma working group and on behalf of the Joint Accreditation Committee of the International Society for Cellular Therapy (ISCT) & European Society for Blood and Marrow Transplantation (EBMT). Cardiopulmonary assessment of patients with systemic sclerosis for Haematopoietic Stem Cell Transplantation (HSCT): recommendations from the European Society for Blood and Marrow Transplantation (EBMT) Autoimmune Diseases Working Party (ADWP) and collaborating partners. *Bone Marrow Transplant*. 2017 May 22. doi: 10.1038/bmt.2017.56
10. Muraro PA, Pasquini M, Atkins HL, Bowen JD, Farge D, Fassas A, Freedman MS, Georges GE, Gualandi F, Hamerschlak N, Havrdova E, Kimiskidis VK, Kozak T, Mancardi GL, Massacesi L, Moraes

- DA, Nash RA, Pavletic S, Ouyang J, Rovira M, Saiz A, Simoes B, Trnený M, Zhu L, Badoglio M, Zhong X, Sormani MP, Saccardi R; Multiple Sclerosis–Autologous Hematopoietic Stem Cell Transplantation (MS-AH SCT) Long-term Outcomes Study Group.  
Long-term Outcomes After Autologous Hematopoietic Stem Cell Transplantation for Multiple Sclerosis. *JAMA Neurol.* 2017 Apr 1;74(4):459-469
11. Burman J, Kirgizov K, Carlson K, Badoglio M, Mancardi GL, De Luca G, Casanova B, Ouyang J, Bembееva R, Haas J, Bader P, Snowden J, Farge D  
Autologous hematopoietic stem cell transplantation for pediatric multiple sclerosis: a registry-based study of the Autoimmune Diseases Working Party (ADWP) and Pediatric Diseases Working Party (PDWP) of the European Society for Blood and Marrow Transplantation (EBMT). *Bone Marrow Transplant.* 2017; 1-5, March 20
  12. Farge D, Arruda LC, Brigant F, Clave E, Douay C, Marjanovic Z, Deligny C, Maki G, Gluckman E, Toubert A, Moins-Teisserenc H.  
Long-term immune reconstitution and T cell repertoire analysis after autologous hematopoietic stem cell transplantation in systemic sclerosis patients. *J Hematol Oncol.* 2017 Jan 19;10(1):21. doi: 10.1186/s13045-016-0388-5.
  13. Herrick AL, Peytrignet S, Lunt M, Pan X, Hesselstrand R, Mouthon L, Silman AJ, Dinsdale G, Brown E, Czirják L, Distler JHW, Distler O, Fligelstone K, Gregory WJ, Ochiel R, Vonk MC, Ancuța C, Ong VH, Farge D, Hudson M, Matucci-Cerinic M, Balbir-Gurman A, Midtvedt Ø, Jobanputra P, Jordan AC, Stevens W, Moinzadeh P, Hall FC, Agard C, Anderson ME, Diot E, Madhok R, Akil M, Buch MH, Chung L, Damjanov NS, Gunawardena H, Lanyon P, Ahmad Y, Chakravarty K, Jacobsen S, MacGregor AJ, McHugh N, Müller-Ladner U, Riemekasten G, Becker M, Roddy J, Carreira PE, Fauchais AL, Hachulla E, Hamilton J, İnanç M, McLaren JS, van Laar JM, Pathare S, Proudman SM, Rudin A, Sahhar J, Coppere B, Serratrice C, Sheeran T, Veale DJ, Grange C, Trad GS, Denton CP. Patterns and predictors of skin score change in early diffuse systemic sclerosis from the European Scleroderma Observational Study. *Ann Rheum Dis.* 2018 Jan 6;77(4):563-570.
  14. Mousseaux E, Agoston-Coldea L, Marjanovic Z, Stanciu R, Deligny C, Perdrix L, Boutouyrie P, Azarine A, Soulat G, Farge D. Left Ventricle Replacement Fibrosis Detected by CMR Associated With Cardiovascular Events in Systemic Sclerosis Patients. *J Am Coll Cardiol.* 2018 Feb 13;71(6):703-705.
  15. Wang D, Zhang H, Liang J, Wang H, Feng X, Gilkeson GS, Farge D, Shi S, Sun L. A Long-Term Follow-Up Study of Allogeneic Mesenchymal Stem/Stromal Cell Transplantation in Patients with Drug-Resistant Systemic Lupus Erythematosus. *Stem Cell Reports.* 2018 March 13. pii: S2213-6711(18)30055-9. doi:
  16. Burt RK, Farge D. Systemic sclerosis: Autologous HSCT is efficacious, but can we make it safer? *Nat Rev Rheumatol.* 2018 Apr;14(4):189-191. PMID: 29515186
  17. Arruda LCM, Lima-Júnior JR, Clave E, Moraes DA, Douay C, Fournier I, Moins-Teisserenc H, Covas DT, Simões BP, Farge D, Toubert A, Malmegrim KCR, Oliveira MC. Homeostatic proliferation leads to telomere attrition and increased PD-1 expression after autologous hematopoietic SCT for systemic sclerosis. *Bone Marrow Transplant.* 2018 Apr 18. doi: 10.1038/s41409-018-0162-
  18. Brierley CK, Castilla-Llorente C, Labopin M, Badoglio M, Rovira M, Ricart E, Dierickx D, Vermeire S, Hasselblatt P, Finke J, Onida F, Cassinotti A, Satsangi J, Kazmi M, López-Sanromán A, Schmidt C, Farge D, Travis SPL, Hawkey CJ, Snowden JA; European Society for Blood and Marrow Transplantation (EBMT) Autoimmune Diseases Working Party (ADWP).  
Autologous Haematopoietic Stem Cell Transplantation for Crohn's Disease: A Retrospective Survey of Long-term Outcomes from the European Society for Blood and Marrow Transplantation. *J Crohns Colitis.* 2018 May 18. doi: 10.1093/ecco-jcc/jjy069
  19. Pugnet G, Marjanovic Z, Deligny C, Boussardon K, Benzidia I, Puyade M, Lansiaux P, Vandecasteele E, Smith V, Farge D. Reproducibility and utility of the 6-minute walk test in systemic sclerosis patients. *J Rheumatol.* 2018 Jul 1. doi: 10.3899/jrheum.170994.
  20. Carreira PE, Carmona L, Joven BE, Loza E, Andréu JL, Riemekasten G, Vettori S, Balbir-Gurman A, Airò P, Walker U, Damjanov N, Matucci-Cerinic M, Ananieva LP, Rednic S, Czirják L, Distler O, Farge D, Hesselstrand R, Corrado A, Caramaschi P, Tikly M, Allanore Y; EUSTAR co-authors. Differences associated with age at onset in early systemic sclerosis patients: a report from the EULAR Scleroderma Trials and Research Group (EUSTAR) database. *Scand J Rheumatol.* 2018 Jul 24:1-10.
  21. Di Cristofaro J, Karlmark K R., Kanaan S B., Azzouz D F., El Haddad M, Hubert L, Farge-Bancel D, Granel B, Harle J-R, Hachulla E, Roudier J, Picard C, Lambert N C. Soluble HLA-G expression inversely correlates with fetal microchimerism levels in peripheral blood from women with Scleroderma. *Front Immunol.* 2018 Aug 14;9:1685. doi: 10.3389/fimmu.2018.01685. eCollection 2018.

22. Alexander T, Farge D, Badoglio M, Lindsay JO, Muraro PA, Snowden JA; Autoimmune Diseases Working Party (ADWP) of the European Society for Blood and Marrow Transplantation (EBMT). Hematopoietic stem cell therapy for autoimmune diseases - Clinical experience and mechanisms. *J Autoimmun.* 2018 Aug;92:35-46. doi: 10.1016/j.jaut.2018.06.002. Epub 2018 Jun 20. Review
23. Peytrignet S, Denton CP, Lunt M, Hesselstrand R, Mouthon L, Silman A, Pan X, Brown E, Czirják L, Distler JHW, Distler O, Fligelstone K, Gregory WJ, Ochiel R, Vonk M, Ancuta C, Ong VH, Farge D, Hudson M, Matucci-Cerinic M, Balbir-Gurman A, Midtvedt Ø, Jordan AC, Stevens W, Moinszadeh P, Hall FC, Agard C, Anderson ME, Diot E, Madhok R, Akil M, Buch MH, Chung L, Damjanov N, Gunawardena H, Lanyon P, Ahmad Y, Chakravarty K, Jacobsen S, MacGregor AJ, McHugh N, Müller-Ladner U, Riemekasten G, Becker M, Roddy J, Carreira PE, Fauchais AL, Hachulla E, Hamilton J, Inanç M, McLaren JS, van Laar JM, Pathare S, Proudman S, Rudin A, Sahhar J, Coppere B, Serratrice C, Sheeran T, Veale DJ, Grange C, Trad GS, Herrick AL. Disability, fatigue, pain and their associates in early diffuse cutaneous systemic sclerosis: the European Scleroderma Observational Study. *Rheumatology (Oxford).* 2018 November 30;57(2):370-381
24. Zephir H, Puyade M, Gueguen A, Michel L, Terriou L, Dive D, Laureys G, Mathey G, Labauge P, Marjanovic Z, Pugno G, Badoglio M, Lansiaux P, Yakoub-Agha I, Béguin Y, Farge D. Indications and follow-up for autologous hematopoietic stem cell transplantation in multiple sclerosis: Guidelines from the Francophone Society of Bone Marrow Transplantation and Cellular Therapy (SFGM-TC) in association with the Francophone Society of Multiple Sclerosis. *Bull Cancer.* 2019 Jan;106(1S):S92-S101. doi: 10.1016/j.bulcan.2018.11.002.
25. Guillaume-Jugnot P, Badoglio M, Labopin M, Terriou L, Yakoub-Agha I, Martin T, Lioure B, Marjanovic Z, Blaise D, Nguyen S, Pugno G, Huynh A, Deligny C, Seinturier C, Garban F, Swiader L, Bay JO, Braun T, de Latour RP, Rubio MT, Farge D. Autologous haematopoietic stem cell transplantation (AHSCT) in autoimmune disease adult patients in France: analysis of the long-term outcome from the French Society for Bone Marrow Transplantation and Cellular Therapy (SFGM-TC). *Clin Rheumatol.* 2019 Jan 21. doi: 10.1007/
26. Jessop H, Farge D, Saccardi R, Alexander T, Rovira M, Sharrack B, Greco R, Wulffraat N, Moore J, Kazmi M, Badoglio M, Adams G, Verhoeven B, Murray J, Snowden JA. General information for patients and carers considering haematopoietic stem cell transplantation (HSCT) for severe autoimmune diseases (ADs): A position statement from the EBMT Autoimmune Diseases Working Party (ADWP), the EBMT Nurses Group, the EBMT Patient, Family and Donor Committee and the Joint Accreditation Committee of ISCT and EBMT (JACIE). *Bone Marrow Transplant.* 2019 Jan 31. doi: 10.1038/s41409-019-0430-
27. Wen L, Labopin M, Badoglio M, Wang D, Sun L, Farge-Bancel D, Prognostic Factors for Clinical Response in Systemic Lupus Erythematosus Patients Treated by Allogeneic Mesenchymal Stem Cells. 2019 May 2;2019:7061408. doi: 10.1155/2019/7061408. eCollection 2019.
28. Greco R, Labopin M, Badoglio M, Veys P, Furtado Silva JM, Abinun M, Gualandi F, Bornhauser M, Ciceri F, Saccardi R, Lankester A, Alexander T, Gennery AR, Bader P, Farge D, Snowden JA. Allogeneic HSCT for Autoimmune Diseases: A Retrospective Study From the EBMT ADWP, IEWP, and PDWP Working Parties. *Front Immunol.* 2019 Jul 4;10:1570. doi: 10.3389/fimmu.2019.01570. eCollection 2019.
29. Puyade M, Maltez N, Lansiaux P, Pugno G, Roblot P, Colmegna I, Hudson M, Farge D. Health-related quality of life in systemic sclerosis before and after autologous haematopoietic stem cell transplant-a systematic review. *Rheumatology (Oxford).* 2019 Aug 27. pii: kez300. doi: 10.1093/rheumatology/kez300.
30. Vadasz Z, Balbir Gurman A, Meroni P, Farge D, Levi Y, Ingegnoli F, Braun-Moscovici Y, Rosner I, Slobodin G, Rozenbaum M, Jiries N, Kaly L, Boulman N, Zilber K, Ginsberg S, Awisat A, Goldberg Y, Lurie M, Ghigna MR, Guignabert C, Humbert M, Rimar D. Lysyl oxidase-a possible role in systemic sclerosis-associated pulmonary hypertension: a multicentre study. *Rheumatology (Oxford).* 2019 Sep 1;58(9):1547-1555. doi: 10.1093/rheumatology/kez035.
31. Miller P., Snowden J., Peffault de Latour R., Iacobelli S., Eikema D-J., Knol C., Marsh J., Rice C., Koh M., Fagioli F., Chaganti S., Finke J., Duarte R., Bader P., Farge D., Passweg J., Madrigal A., and Dufour C. Autoimmune cytopenias (AIC) following allogeneic haematopoietic stem cell transplant for acquired aplastic anaemia: A joint study of the Autoimmune Diseases and Severe Aplastic Anaemia Working

- Parties (ADWP/SAAWP) of the European Society for Blood and Marrow Transplantation (EBMT). Bone Marrow Transplant. 2019 Sep 25. doi: 10.1038/s41409-019-0680-4.
32. Sharrack B, Saccardi R, Alexander T, Badoglio M, Burman J, Farge D, Greco R, Jessop H, Kazmi M, Kirgizov K, Labopin M, Mancardi G, Martin R, Moore J, Muraro PA, Rovira M, Sormani MP, Snowden JA; European Society for Blood and Marrow Transplantation (EBMT) Autoimmune Diseases Working Party (ADWP) and the Joint Accreditation Committee of the International Society for Cellular Therapy (ISCT) and EBMT (JACIE). Autologous haematopoietic stem cell transplantation and other cellular therapy in multiple sclerosis and immune-mediated neurological diseases: updated guidelines and recommendations from the EBMT Autoimmune Diseases Working Party (ADWP) and the Joint Accreditation Committee of EBMT and ISCT (JACIE). Bone Marrow Transplant. 2019 Sep 26. doi: 10.1038/s41409-019-0684-0
  33. Tappenden P, Wang Y, Sharrack B, Burman J, Kazmi M, Saccardi R, Bermejo I, Harvey R, Badoglio M, Farge D, Snowden JA. Evaluating the clinical effectiveness of autologous haematopoietic stem cell transplantation versus disease-modifying therapy in multiple sclerosis using a matching-adjusted indirect comparison: an exploratory study from the Autoimmune Diseases Working Party (ADWP) of the European Society of Bone and Marrow Transplantation (EBMT). Bone Marrow Transplant. 2019 Nov 19. doi: 10.1038/s41409-019-0747-2.
  34. Puyade M, Labeyrie C, Badoglio M, Cintas P, Guenounou S, Lansiaux P, Marjanovic Z, Nicolas G, Pomies A, Terriou L, Torregrosa Diaz JM, Baron C, Castilla Llorente C, Yakoub-Agha I, Farge D [Indication of autologous stem cell transplantation in chronic inflammatory demyelinating polyneuropathy: Guidelines from the Francophone Society of Bone Marrow Transplantation and Cellular Therapy (SFGM-TC)]. Bull Cancer. 2019 Dec 7. pii: S0007-4551(19)30403-5. doi: 10.1016/j.
  35. Alexander T, Samuelson C, Daikeler T, Henes J, Akil M, Skagerlind L, Ehninger G, Jantunen E, Badoglio M, Farge D, Snowden JA; EBMT Autoimmune Diseases Working Party. Autologous haematopoietic stem cell transplantation (HSCT) for anti-neutrophil cytoplasmic antibody (ANCA)-associated vasculitis: a retrospective survey of patients reported to European Society for Blood and Marrow Transplantation (EBMT) registry. Bone Marrow Transplant. 2019 Dec 17. doi: 10.1038/s41409-019-0763-2
  36. Malmegrim KCR, Toubert A, Farge D, Oliveira MC. Editorial: Immune Profile After Autologous Hematopoietic Stem Cell Transplantation for Autoimmune Diseases: Where Do We Stand? Front Immunol. 2020 Jan 9;10:3044. doi: 10.3389/fimmu.2019.03044. eCollection 2019
  37. Henes J, Oliveira MC, Labopin M, Badoglio M, Scherer HU, Del Papa N, Daikeler T, Schmalzing M, Schroers R, Martin T, Pugnet G, Simoes B, Michonneau D, Marijt EWA, Lioure B, Bay JO, Snowden JA, Rovira M, Huynh A, Onida F, Kanz L, Marjanovic Z, Farge D. Autologous stem cell transplantation for progressive systemic sclerosis: a prospective non-interventional study from the European Society for Blood and Marrow Transplantation Autoimmune Disease Working Party. Haematologica. 2020 Jan 16. pii: haematol.2019.230128.
  38. Puyade M, Labeyrie C, Badoglio M, Cintas P, Guenounou S, Lansiaux P, Marjanovic Z, Nicolas G, Pomies A, Terriou L, Torregrosa Diaz JM, Baron C, Castilla Llorente C, Yakoub-Agha I, Farge D [Indication of autologous stem cell transplantation in chronic inflammatory demyelinating polyneuropathy: Guidelines from the Francophone Society of Bone Marrow Transplantation and Cellular Therapy (SFGM-TC)]. Bull Cancer. 2020 Jan;107(1S):S104-S113. doi: 10.1016/j.bulcan.2019.11.002. Epub 2019 Dec 7
  39. Farge D. Stem Cell Transplantation for Systemic Sclerosis in Israel: A New Star Is Rising. Isr Med Assoc J. 2020 Feb;22(2):116-118.
  40. Sharrack B, Saccardi R, Alexander T, Badoglio M, Burman J, Farge D, Greco R, Jessop H, Kazmi M, Kirgizov K, Labopin M, Mancardi G, Martin R, Moore J, Muraro PA, Rovira M, Sormani MP, Snowden JA; European Society for Blood and Marrow Transplantation (EBMT) Autoimmune Diseases Working Party (ADWP) and the Joint Accreditation Committee of the International Society for Cellular Therapy (ISCT) and EBMT (JACIE). Autologous haematopoietic stem cell transplantation and other cellular therapy in multiple sclerosis and immune-mediated neurological diseases: updated guidelines and recommendations from the EBMT Autoimmune Diseases Working Party (ADWP) and the Joint

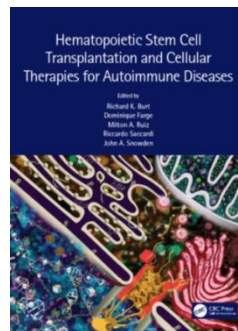


- Accreditation Committee of EBMT and ISCT (JACIE). Bone Marrow Transplant. 2020 Feb;55(2):283-306.
41. Miller P., Snowden J., Peffault de Latour R., Iacobelli S., Eikema D-J., Knol C., Marsh J., Rice C., Koh M., Fagioli F., Chaganti S., Finke J., Duarte R., Bader P., Farge D., Passweg J., Madrigal A., and Dufour C. Autoimmune cytopenias (AIC) following allogeneic haematopoietic stem cell transplant for acquired aplastic anaemia: A joint study of the Autoimmune Diseases and Severe Aplastic Anaemia Working Parties (ADWP/SAAWP) of the European Society for Blood and Marrow Transplantation (EBMT). Bone Marrow Transplant. 2020 Feb;55(2):441-451.doi: 10.1038/s41409-019-0680-4. Epub 2019 Sep 25.
  42. Laurent C, Marjanovic Z, Ricard L, Henes J, Dulery R, Badoglio M, Farge D, Snowden JA, Moraes D, Dias J, Mohty M, Soussan M, Fain O, Arnold R, Alexander T, Oliveira MC, Mekinian A. Autologous hematopoietic stem cell transplantation with reduced-intensity conditioning regimens in refractory Takayasu arteritis: a retrospective multicenter case-series from the Autoimmune Diseases Working Party (ADWP) of the European Society for Blood and Marrow Transplantation (EBMT). Bone Marrow Transplant. 2020 Apr 22. doi: 10.1038/s41409-020-0907-4.
  43. Puyade M, Maltez N, Lansiaux P, Pugnet G, Roblot P, Colmegna I, Hudson M, Farge D. Health-related quality of life in systemic sclerosis before and after autologous haematopoietic stem cell transplant-a systematic review. Rheumatology (Oxford). 2020 Apr 1;59(4):779-789.doi: 10.1093/rheumatology/kez300.
  44. Alexander T, Samuelson C, Daikeler T, Henes J, Akl M, Skagerlind L, Ehninger G, Jantunen G, Badoglio M, Farge D, Snowden JA, EBMT Autoimmune Diseases Working Party. Autologous Haematopoietic Stem Cell Transplantation (HSCT) for Anti-Neutrophil Cytoplasmic Antibody (ANCA)-associated Vasculitis: A Retrospective Survey of Patients Reported to European Society for Blood and Marrow Transplantation (EBMT) Registry. Bone Marrow Transplant. 2020 Jul;55(7):1512-1515.
  45. Tappenden P, Wang Y, Sharrack B, Burman J, Kazmi M, Saccardi R, Bermejo I, Harvey R, Badoglio M, Farge D, Snowden JA. Evaluating the clinical effectiveness of autologous haematopoietic stem cell transplantation versus disease-modifying therapy in multiple sclerosis using a matching-adjusted indirect comparison: an exploratory study from the Autoimmune Diseases Working Party (ADWP) of the European Society of Bone and Marrow Transplantation (EBMT). Bone Marrow Transplant. 2020 Jul;55(7):1473-1475.
  46. Belaiche S, Décaudin B, Caron A, Depas N, Vignaux C, Vigouroux S, Coiteux V, Magro L, Sirvent A, Huynh A, Turlure P, Farge D, Lioure B, Bruno B, De Berranger E, Maillard N, Bourhis JH, Bay JO, Bulabois CE, Ceballos P, Fegueux N, Hicheri Y, Vincent L, Rialland F, Gandemer V, Taque S, Cornillon J, Contentin N, Galambrun C, Plantaz D, Odou P, Yakoub-Agha I. Medication non-adherence after allogeneic hematopoietic cell transplantation in adult and pediatric recipients: a cross sectional study conducted by the SFGM-TC (Francophone Society of Bone Marrow Transplantation and Cellular Therapy). Fundam Clin Pharmacol. 2020 Aug 2. doi: 10.1111/fcp.12593
  47. Gay MH, Baldomero H, Farge-Bancel D, Robey PG, Rodeo S, Passweg J, Müller-Gerbl M, Martin I. The survey on cellular and tissue-engineered therapies in Europe in 2016 and 2017. Tissue Eng Part A. 2020 Jul 17. doi: 10.1089/ten.TEA.2020.0092. Online ahead of print
  48. Xavier Boumaza, Lucie Lelièvre, Sarah Guenounou, Cécile Borel, Anne Huynh, Guillaume Beziat, Karen Delavigne, Damien Guinault, Marie Garric, Marie Piel-Julian, Kim Paricaud, Guillaume Moulis, Leonardo Astudillo, Laurent Sailler, Dominique Farge, Grégory Pugnet . Pulmonary mucormycosis following autologous hematopoietic stem cell transplantation for rapidly progressive diffuse cutaneous systemic sclerosis: A case report Medicine (Baltimore) . 2020 Jul 31;99(31):e21431. doi: 10.1097/MD.00000000000021431.
  49. Nancy Maltez, Mathieu Puyade, Mianbo Wang, Pauline Lansiaux, Zora Marjanovic, Catney Charles, Russell Steele, Murray Baron, Ines Colmegna, Marie Hudson, Dominique Farge, Canadian Scleroderma Research Group; MATHEC-SFGMTC network. Autologous hematopoietic stem cell transplant in systemic sclerosis is associated with marked improvement in health-related quality of life. Arthritis Rheumatol. 2020 Sep 10. doi: 10.1002/art.41519.

50. Mathieu Puyade, Xavier Treton, Laurent Alric, Manuela Badoglio, Cristina Castilla Llorente, Ginette Fotsing, Zora Marjanovic, Montserrat Rovira, Louis Terriou, Miguel Torregrosa Díaz Jose, My-Linh Tran-Minh, Matthieu Allez, Grégory Pugnet, David Laharie, Ibrahim Yakoub-Agha, Dominique Farge. [Crohn's disease and autologous hemapoietic cell transplantation: Guidelines from the Francophone Society of Bone Marrow Transplantation and Cellular Therapy (SFGM-TC)] [Article in French]. *Bull Cancer*. 2020 Oct 13;S0007-4551(20)30372-6. doi: 10.1016/j.bulcan.2020.08.009. Online ahead of print.
51. Farge D, Loisel S, Lansiaux P, Tarte K. Mesenchymal stromal cells for systemic sclerosis treatment. *Autoimmun Rev*. 2021 Jan 18;102755. doi: 10.1016/j.autrev.2021.102755. Online ahead of print
52. Henes J, Oliveira M C, Labopin M, Badoglio M, Scherer H U, Del Papa N, Daikeler T, Schmalzing M, Schroers R, Martin T, Pugnet G, Simoes B, Michonneau D, Marijt E W A, Lioure B, Bay JO, Snowden J A, Rovira M, Huynh A, Onida F, Kanz L, Marjanovic Z, Farge D. Autologous stem cell transplantation for progressive systemic sclerosis: a prospective non-interventional study from the European Society for Blood and Marrow Transplantation Autoimmune Disease Working Party. *Haematologica*. 2021 Feb 1;106(2):375-383. doi: 10.3324/haematol.2019.230128.
53. Farge D, Ait Abdallah N, Marjanovic Z, Del Papa N. Autologous Stem Cell Transplantation in Scleroderma. *Presse Med*. 2021 Feb 3;104065. doi: 10.1016/j.lpm.2021.104065. Online ahead of print.
54. Benyamine A, Bertin D, Resseguier N, Heim X, Bermudez J, Launay D, Dubucquoi S, Hij A, Farge D, Lescoat A, Bahon-Riedinger I, Benmostefa N, Mouthon L, Harlé J-R, Kaplanski G, Rossi P, Bardin N and Granel B. Quantification of Antifibrillarin (anti-U3 RNP) Antibodies: A New Insight for Patients with Systemic Sclerosis. *Diagnostics* 2021, 11(6), 1064; <https://doi.org/10.3390/diagnostics11061064>.
55. Maltez N, Puyade M, Wang M, Lansiaux P, Marjanovic Z, Charles C, Steele R, Baron M, Colmegna I, Hudson M, Farge D, Canadian Scleroderma Research Group and the MATHEC-SFGMTC Network. Association of Autologous Hematopoietic Stem Cell Transplantation in Systemic Sclerosis With Marked Improvement in Health-Related Quality of Life. *Arthritis Rheumatol*. 2021 Feb;73(2):305-314. doi: 10.1002/art.41519. Epub 2020 Dec 29.
56. Burt R K, Muraro P A, Farge D, Oliveira M C, Snowden J A, Saccardi R, Han X, Quigley K, Bueno V, Frasca D, Fedorenko D, Burman J. New autoimmune diseases after autologous hematopoietic stem cell transplantation for multiple sclerosis. *Bone Marrow Transplant*. 2021 Apr 28. doi: 10.1038/s41409-021-01277-y. Online ahead of print.
57. Belaiche S, Décaudin B, Caron A, Depas N, Vignaux C, Vigouroux S, Coiteux V, Magro L, Sirvent A, Huynh A, Turlure P, Farge D, Lioure B, Bruno B, De Berranger E, Maillard N, Bourhis J-H, Bay J-O, Bulabois C-E, Ceballos P, Fegueux N, Hicheri Y, Vincent L, Rialland F, Gandemer V, Taque S, Cornillon J, Contentin N, Galambrun C, Plantaz D, Odou P, Yakoub-Agha I. Medication non-adherence after allogeneic hematopoietic cell transplantation in adult and pediatric recipients: a cross sectional study conducted by the Francophone Society of Bone Marrow Transplantation and Cellular Therapy. *Fundam Clin Pharmacol*. 2021 Apr;35(2):435-445. doi: 10.1111/fcp.12593. Epub 2021 Jan 7.
58. Greco R, Alexander T, Burman J, Del Papa N, de Vries-Bouwstra J, Farge D, Henes J, Kazmi M, Kirgizov K, Muraro P A, Ricart E, Rovira M, Saccardi R, Sharrack B, Snarski E, Withers B, Jessop H, Bognione C, Kramer E, Badoglio M, Labopin M, Orchard K, Corbacioglu S, Ljungman P, Mikulska M, De la Camara R. Hematopoietic stem cell transplantation for autoimmune diseases in the time of COVID-19: EBMT guidelines and recommendations. *Bone Marrow Transplant*. 2021 May 24;1-16. doi: 10.1038/s41409-021-01326-6. Online ahead of print.
59. Urbain F, Puyade M, Labeyrie C, Maubeuge N, Puma A, Cintas P, Pugnet G, Castilla-Llorente C, Adams D, Farge-Bancel D. Hematopoietic stem cell transplantation in chronic inflammatory demyelinating polyneuropathy: French experience about four patients, under the behalf of French society for bone marrow transplantation. *J Neurol*. 2021 Apr;268(4):1536-1539. doi: 10.1007/s00415-021-10452-6. Epub 2021 Mar 2.
60. Ait Abdallah N, Wang M, Lansiaux P, Puyade M, Berthier S, Terriou L, Charles C, Burt R K, Hudson M, Farge D. Longterm outcomes of the French ASTIS systemic sclerosis cohort using the global rank composite score. *Bone Marrow Transplant* . 2021 Jun 9. doi: 10.1038/s41409-021-01355-1. Online ahead of print.

61. Lansiaux P, Loisel S, Castilla-Llorente C, Fontenille C, Kabdani S, Marjanovic Z, Pugno G, Puyade M, Robert E, Terriou L, Ait Abdallah N, Maria A, Michel L, Tréton X, Yakoub-Agha I, Farge D. Autologous hematopoietic cells for severe autoimmune diseases: Guidelines of the Francophone Society of Bone Marrow Transplantation and Cellular Therapy (SFGM-TC) for immune monitoring and biobanking. *Bull Cancer*. 2021 Jul 13;S0007-4551(21)00206-X. doi: 10.1016/j.bulcan.2021.03.020.
62. Daumas A, Magalon J, Jouve E, Casanova D, Philandrianos C, Abellan Lopez M, Mallet S, Veran J, Auquit-Auckbur I, Farge D, Levesque H, Benhamou Y, Arnaud L, Giraudo L, Dumoulin C, Giverne C, Boyer O, Giuliani A, Bourgarel V, Harlé J-R, Schleinitz N, Brunet J, Pers Y-M, Ferreira R, Cras A, Bocara D, Larghero J, Château J, Hot A, Dignat-George F, Magalon G, Sabatier F, Granel B. Adipose tissue-derived stromal vascular fraction for treating hands of patients with systemic sclerosis: a multicentre randomized trial. *Rheumatology (Oxford)*. 2021 Jul 23;keab584.doi: 10.1093/rheumatology/keab584. Online ahead of print.
63. Alexander T, Snowden J A, Burman J, Chang H-D, Del Papa N, Farge D, Lindsay J O, Malard F, Muraro P A, Nitti R, Salas A, Sharrack B, Mohty M, Greco R. Intestinal Microbiome in Hematopoietic Stem Cell Transplantation For Autoimmune Diseases: Considerations and Perspectives on Behalf of Autoimmune Diseases Working Party (ADWP) of the EBMT. *Front Oncol*. 2021 Oct 22;11:722436. doi: 10.3389/fonc.2021.722436. eCollection 2021.
64. Gay M HP, Baldomero H, Farge-Bancel D, Robey P G, Rodeo S, Passweg J, Müller-Gerbl M, Martin I. The Survey on Cellular and Tissue-Engineered Therapies in Europe in 2016 and 2017. *Tissue Eng Part A*. 2021 Mar;27(5-6):336-350. doi: 10.1089/ten.TEA.2020.0092. Epub 2020 Sep 18.
65. Farge D, Loisel S, Resche-Rigon M, Lansiaux P, Colmegna I, Langlais D et al. Safety and preliminary efficacy of allogeneic bone marrow-derived multipotent mesenchymal stromal cells for systemic sclerosis: a single-centre, open-label, dose-escalation, proof-of-concept, phase 1/2 study. *The Lancet Rheumatol*, January 05, 2022DOI:https://doi.org/10.1016/S2665-9913(21)00326-X
66. Mousseaux E, Agoston, Coldea L, Marjanovic Z, Baudet M, Reverdito G, Bollache E, Kachenoura N, Messas E, Soulat G, Farge D. Diastolic Function Assessment of Left and Right Ventricles by MRI in Systemic Sclerosis Patients. *J Magn Reson Imaging*. 2022 Mar 8. doi: 10.1002/jmri.28143. Online ahead of print.
67. Lansiaux P, Farge D, Contribution of mesenchymal stromal cell transplantation in systemic scleroderma, *Rev Prat*. 2022 Apr;72(4):355-362.
68. Pugno G, Petermann A, Collot S, Otal P, Lansiaux P, Ait Abdallah N, Lorillon G, Resche-Rigon M, Borel C, Marjanovic Z, Farge D, MATHEC-SFGM-TC network. Changes on chest HRCT in systemic sclerosis-related interstitial lung disease after autologous hematopoietic stem cell transplantation *Rheumatology (Oxford)* . 2022 Jun 10;keac319. doi: 10.1093/rheumatology/keac319.
69. Alsuliman T, Stocker N, Van de Wyngaert Z, Ikhlef S, Ellouz C, Corre E, Banet A, Ricard L, Dulery R, Meynard JL, Malard F, Stankoff B, Farge-Bancel D, Brissot E, Mohty M, Marjanovic Z. COVID-19 in the context of autologous hematopoietic stem cell transplantation for a patient with autoimmune disease. *Curr Res Transl Med* . 2022 May;70(2):103332. doi: 10.1016/j.retram.2021.103332. Epub 2021 Dec 24.
70. Boukouaci W, Lansiaux P, Lambert NC, Picard C, Clave E, Cras A, Marjanovic Z, Farge D, Tamouza R. Non-Classical HLA Determinants of the Clinical Response after Autologous Stem Cell Transplantation for Systemic Sclerosis. *Int J Mol Sci*. 2022 Jun 29;23(13):7223. doi: 10.3390/ijms23137223.
71. Tamouza R, Volt F, Richard J-R, WU C-L, Bouassida J, Boukouaci W, Lansiaux P, Cappelli B, Scigliuolo GM, Rafii H, Kenzey C, Mezoued E, Naamoune S, Chami L, Lejuste F, Farge-Bancel D, Gluckman E. Possible effect of the use of mesenchymal stromal cells in the treatment of Autism...*Front. Cell Dev. Biol*.
72. Daumas A, Magalon J, Jouve E, Casanova D, Philandrianos C, Lopez CA, Mallet S, Veran J, Auquit-Auckbur I, Farge D, Levesque H, Benhamou Y, Arnaud L, Giraudo L, Dumoulin C, Giverne C, Boyer O, Giuliani A, Bourgarel V, Harlé J-R, Schleinitz N, Brunet J, Pers YM, Ferreira R, Cras A, Bocara D, Larghero J, Château J, Hot A, Dignat-George F, Magalon G, Sabatier F, Granel B. Adipose tissue-derived stromal vascular fraction for treating hands of

- patients with systemic sclerosis: a multicentre randomized trial Autologous AD-SVF versus placebo in systemic sclerosis. *Rheumatology (Oxford)* . 2022 May 5;61(5):1936-1947. doi: 10.1093/rheumatology/keab584.
73. Malmegrim K. C. R., Toubert A., Farge D. and Oliveira M. C. Editorial : Immune profile after autologous hematopoietic stem cell transplantation for autoimmune diseases: Where do we stand? *Front. Immunol.* 13:1038338; doi :10.3389/fimmu.2022.1038338
  74. Rim Bourguiba, Maeva Kyheng, Isabelle Koné-Paut , Diane Rouzaud, Jerome Avouac, Mathilde Devaux, Nassim Ait Abdallah, Bruno Fautrel , Nicole Ferreira-Maldent, Vincent Langlois, Emmanuel Ledoult , Hubert Nielly, Viviane Queyrel, Jérémie Sellam, Nathalie Tieulie, Pascal Chazerain, Philippe Evon, Julien Labreuche, Léa Savey, Veronique Hentgen, Gilles Grateau, Sophie Georgin-lavialle , FAI2 R/SFR/ SNFMI/SOFREMIP/CRI/IMIDIATE consortium and contributors. COVID-19 infection among patients with autoinflammatory diseases: a study on 117 French patients compared with 1545 from the French RMD COVID-19 cohort: COVIMAI – the French cohort study of SARS-CoV-2 infection in patient with systemic autoinflammatory diseases. *RMD Open* 2022;8:e002063.
  75. Burt RK, Farge D, Ruiz MA, Saccardi R, Snowden JA, *Hematopoietic Stem Cell Transplantation and Cellular Therapies for Autoimmune Diseases*”, Editeurs book, R. Burt, D. Farge, M A. Ruiz, J A. Snowden, 2021. eBook: 978-1-315-15136-6: <https://www.routledge.com/Hematopoietic-Stem-Cell-Transplantation-and-Cellular-Therapies-for-Autoimmune/Burt-Farge-Ruiz-Saccardi-Snowden/p/book/>



## **Annexe 5 : Publications indexées dans Pubmed de 2017 à 2022 : Contribution à des essais multicentriques et publications correspondantes : 41**

1. Jaeger VK, Valentini G, Hachulla E, Cozzi F, Distler O, Airó P, Czirják L, Allanore Y, Siegert E, Rosato E, Matucci-Cerinic M, Caimmi C, Henes J, Carreira PE, Smith V, Del Galdo F, Denton CP, Ullman S, Langhe E, Ricciari V, Alegre-Sancho JJ, Rednic S, Müller-Ladner U, Walker UA; EUSTAR co-authors. Smoking in Systemic Sclerosis: a Longitudinal European Scleroderma Trials and Research Group Study. *Arthritis Rheumatol.* 2018 Nov;70(11):1829-1834
2. Fox RS, Kwakkenbos L, Carrier ME, Mills SD, Gholizadeh S, Jewett LR, Roesch SC, Merz EL, Assassi S, Furst DE, Gottesman K, Mayes MD, Thombs BD, Malcarne VL; SPIN Investigators. Validation of the Brief Fear of Negative Evaluation Scale-II in patients with systemic sclerosis: A Scleroderma Patient-centered Intervention Network Cohort study. *Arthritis Care Res (Hoboken).* 2018 Nov;70(11):1646-1652.
3. Fernández-Codina A, Walker KM, Pope JE; Scleroderma Algorithm Group. Treatment algorithms for systemic sclerosis according to experts. *Arthritis Rheumatol.* 2018 Nov;70(11):1820-1828.
4. Mills SD, Kwakkenbos L, Carrier ME, Gholizadeh S, Fox RS, Jewett LR, Gottesman K, Roesch SC, Thombs BD, Malcarne VL; SPIN Investigators. Validation of the Social Appearance Anxiety Scale in Patients with Systemic Sclerosis: A Scleroderma Patient-centered Intervention Network Cohort Study. *Arthritis Care Res (Hoboken).* 2018 Oct;70(10):1557-1562
5. Butler EA, Baron M, Fogo AB, Frech T, Ghossein C, Hachulla E, Hoa S, Johnson SR, Khanna D, Mouthon L, Nikpour M, Proudman S, Steen V, Stern E, Varga J, Denton C, Hudson M, Scleroderma Clinical Trials Consortium Scleroderma Renal Crisis Working Group. Collaborators (57) Farge D. Generation of a Core Set of Items to Develop Classification Criteria for Scleroderma Renal Crisis Using Consensus Methodology. *Arthritis Rheumatol.* 2019 Jan 7. doi: 10.1002/art.40809.
6. Harel D, Mills SD, Kwakkenbos L, Carrier ME, Nielsen K, Portales A, Bartlett SJ, Malcarne VL, Thombs BD; SPIN Investigators Collaborators (116) D. Farge, A. Hij, I. Benzidia. Shortening patient-reported outcome measures through optimal test assembly: application to the Social Appearance Anxiety Scale in the Scleroderma Patient-centered Intervention Network Cohort. *BMJ Open.* 2019 Feb 22;9(2):e024010. doi: 10.1136/bmjopen-2018-024010.
7. Elhai M, Boubaya M, Distler O, Smith V, Matucci-Cerinic M, Alegre Sancho JJ, Truchetet ME, Braun-Moscovici Y, Iannone F, Novikov PI, Lescoat A, Siegert E, Castellví I, Airó P, Vettori S, De Langhe E, Hachulla E, Erler A, Ananieva L, Krusche M, López-Longo FJ, Distler JHW, Hunzelmann N, Hoffmann-Vold AM, Ricciari V, Hsu VM, Pozzi MR, Ancuta C, Rosato E, Mihai C, Kuwana M, Saketkoo LA, Chizzolini C, Hesselstrand R, Ullman S, Yavuz S, Rednic S, Caimmi C, Bloch-Queyrat C, Allanore Y; for EUSTAR network. Collaborators (230) Farge D. Outcomes of patients with systemic sclerosis treated with rituximab in contemporary practice: a prospective cohort study. *Ann Rheum Dis.* 2019 Apr 9. pii: annrheumdis-2018-214816. doi: 10.1136/annrheumdis-2018-214816.
8. Sobanski V, Giovannelli J, Allanore Y, Riemekasten G, Airò P, Vettori S, Cozzi F, Distler O, Matucci-Cerinic M, Denton C, Launay D, Hachulla E; EUSTAR collaborators. Collaborators (185) Farge D. Phenotypes determined by cluster analysis and their survival in the prospective EUSTAR cohort of patients with systemic sclerosis. *Arthritis Rheumatol.* 2019 Apr 10. doi: 10.1002/art.40906
9. Elhai M, Boubaya M, Distler O, Smith V, Matucci-Cerinic M, Alegre Sancho JJ, Truchetet ME, Braun-Moscovici Y, Iannone F, Novikov PI, Lescoat A, Siegert E, Castellví I, Airó P, Vettori S, De Langhe E, Hachulla E, Erler A, Ananieva L, Krusche M, López-Longo FJ, Distler JHW, Hunzelmann N, Hoffmann-Vold AM, Ricciari V, Hsu VM, Pozzi MR, Ancuta C, Rosato E, Mihai C, Kuwana M, Saketkoo LA, Chizzolini C, Hesselstrand R, Ullman S, Yavuz S, Rednic S, Caimmi C, Bloch-Queyrat C, Allanore Y; for EUSTAR network. Collaborators (230) Farge D. Outcomes of patients with systemic sclerosis treated with rituximab in contemporary practice: a prospective cohort study. *Ann Rheum Dis.* 2019 Jul;78(7):979-987. doi: 10.1136/annrheumdis-2018-214816. Epub 2019 Apr 9.
10. Sobanski V, Giovannelli J, Allanore Y, Riemekasten G, Airò P, Vettori S, Cozzi F, Distler O, Matucci-Cerinic M, Denton C, Launay D, Hachulla E; EUSTAR Collaborators (248) Farge D. Phenotypes Determined by Cluster Analysis and Their Survival in the Prospective European Scleroderma Trials and Research Cohort of Patients With Systemic Sclerosis. *Arthritis Rheumatol.* 2019 Sep;71(9):1553-1570. doi: 10.1002/art.40906. Epub 2019 Aug 12.

11. Kwakkenbos L, Cumin J, Carrier ME, Bartlett SJ, Malcarne VL, Mouthon L, Nielson WR, Rannou F, Welling J, Thombs BD; SPIN Investigators. Collaborators (122) Farge-Bancel D. Factors associated with patient-reported likelihood of using online self-care interventions: a Scleroderma Patient-centered Intervention Network (SPIN) cohort study. *J Open.* 2019 Oct 14;9(10):e029542. doi: 10.1136/bmjopen-2019-029542.
12. Becetti K, Kwakkenbos L, Carrier ME, Gordon JK, Nguyen JT, Mancuso CA, Mouthon L, Nguyen C, Rannou F, Welling J, Thombs BD, Spiera RF; SPIN Investigators. Collaborators (121) Farge-Bancel D. Physical or Occupational Therapy Use in Systemic Sclerosis: A Scleroderma Patient-centered Intervention Network Cohort Study. *J Rheumatol.* 2019 Dec;46(12):1605-1613. doi: 10.3899/jrheum.181130. Epub 2019 May 1.
13. Michael Hughes, Calvin Heal, Elise Siegert, Eric Hachulla, Paolo Airó, Antonella Riccardi, Oliver Distler, Marco Matucci-Cerinic, EUSTAR Collaborators. Significant Weight Loss in Systemic Sclerosis: A Study From the EULAR Scleroderma Trials and Research (EUSTAR) Farge D. Database. *Ann Rheum Dis.* 2020 Mar 25;annrheumdis-2020-217035. doi: 10.1136/annrheumdis-2020-217035. Online ahead of print.
14. Lukas Bütikofer, Pierre A Varisco, O Distler, O Kowal-Bielecka, Y Allanore, G Riemekasten, P M Villiger, S Adler, EUSTAR collaborators, Farge D. ACE Inhibitors in SSc Patients Display a Risk Factor for Scleroderma Renal Crisis-A EUSTAR Analysis. *Arthritis Res Ther.* 2020 Mar 24;22(1):59. doi: 10.1186/s13075-020-2141-2.
15. Pierre Charles, Agnès Dechartres, Benjamin Terrier, Pascal Cohen, Stanislas Faguer, Antoine Huart, Mohamed Hamidou, Christian Agard, Bernard Bonnotte, Maxime Samson, Alexandre Karras, Noémie Jourde-Chiche, François Lifermann, Pierre Gobert, Catherine Hanrotel-Saliou, Pascal Godmer, Nicolas Martin-Silva, Grégory Pugnet, Marie Matignon, Olivier Aumaitre, Jean-François Viallard, François Maurier, Nadine Meaux-Ruault, Sophie Rivière, Jean Sibilia, Xavier Puéchal, Luc Mouthon, Loïc Guillevin, French Vasculitis Study Group, Farge D. Reducing the Initial Number of Rituximab Maintenance-Therapy Infusions for ANCA-associated Vasculitides: Randomized-Trial Post-Hoc Analysis. *Rheumatology (Oxford).* 2020 Mar 9;kez621. doi: 10.1093/rheumatology/kez621. Online ahead of print.
16. Brett D Thombs, Linda Kwakkenbos, Marie-Eve Carrier, Angelica Bourgeault, Lydia Tao, Sami Harb, Maria Gagarine, Danielle Rice, Laura Bustamante, Kelsey Ellis, Delaney Duchek, Yin Wu, Parash Mani Bhandari, Dipika Neupane, Andrea Carboni-Jiménez, Richard S Henry, Ankur Krishnan, Ying Sun, Brooke Levis, Chen He, Kimberly A Turner, Andrea Benedetti, Nicole Culos-Reed, Ghassan El-Baalbaki, Shannon Hebblethwaite, Susan J Bartlett, Laura Dyas, Scott Patten, John Varga, Scleroderma Patient-centered Intervention Network (SPIN) Farge D COVID-19 Patient Advisory Team; SPIN Investigators. Protocol for a partially tested randomised controlled trial to evaluate the effectiveness of the scleroderma patient-centered intervention network COVID-19 home-isolation activities together (SPIN-CHAT) program to reduce anxiety among at-risk scleroderma patients. *J Psychosom Res.* 2020;135:110132.
17. Sommer SJ, Harel D, Kwakkenbos L, Carrier ME, Gholizadeh S, Gottesman K, Malcarne V, Thombs BD, SPIN Investigators. Assessing Differential Item Functioning for the Social Appearance Anxiety Scale A Scleroderma Patient-centered Intervention Network (SPIN) Farge D Cohort Study. *BMJ Open.* 2020;10:e037639
18. Jaeger VK, Tikly M, Xu D, Siegert E, Hachulla E, Airò P, Valentini G, Matucci Cerinic M, Distler O, Cozzi F, Carreira P, Allanore Y, Müller-Ladner U, Ananieva LP, Balbir-Gurman A, Distler JHW, Czirják L, Li M, Henes J, Jimenez SA, Smith V, Damjanov N, Denton CP, DelGaldo F, Saketkoo LA, Walker UA; and EUSTAR Farge D co-authors. Racial differences in systemic sclerosis disease presentation: a European Scleroderma Trials and Research group study. *Rheumatology (Oxford).* 2020 Jul 1;59(7):1684-1694
19. Thombs BD, Kwakkenbos L, Henry RS, Carrier ME, Patten S, Harb S, Bourgeault A, Tao L, Bartlett SJ, Mouthon L, Varga J, Benedetti A, SPIN Patient Advisors, SPIN Investigators Farge D. Changes in mental health symptoms from pre-COVID-19 to COVID-19 among participants with systemic sclerosis from four countries: a Scleroderma Patient-centered Intervention Network (SPIN) Cohort Study. *J Psychosom Res.* 2020;139:110262

20. Charles P, Dechartres A, Terrier B, Cohen P, Faguer S, Huart A, Hamidou M, Agard C, Bonnotte B, Samson M, Karras A, Jourde-Chiche N, Lifermann F, Gobert P, Hanrotel-Saliou C, Godmer P, Martin-Silva N, Pugnet G, Matignon M, Aumaitre O, Viallard JF, Maurier F, Meaux-Ruault N, Rivière S, Sibilia J, Puéchal X, Mouthon L, Guillevin L. Reducing the initial number of rituximab maintenance-therapy infusions for ANCA-associated vasculitides: randomized-trial post-hoc analysis. French Vasculitis Study Group. *Rheumatology (Oxford)*. 2020 Oct 1;59(10):2970-2975. doi: 10.1093/rheumatology/kez621.
21. Wu Y, Kwakkenbos L, Henry RS, Carrier ME, Gagarine M, Harb S, Bourgeault A, Tao L, Carboni-Jiménez A, Negeri Z, Patten S, Bartlett SJ, Mouthon L, Varga J, Benedetti A, Thombs BD; SPIN Patient Advisors; SPIN Investigators Farge D. Factors associated with fears due to COVID-19: A scleroderma patient-centered intervention network (SPIN) COVID-19 cohort study. *J Psychosom Res*. 2020 Nov 25;140:110314. doi: 10.1016/j.jpsychores.2020.110314.
22. Benoit Blanchet, Moez Jallouli, Marie Allard, Pascale Ghillani-Dalbin, Lionel Galicier, Olivier Aumaître, François Chasset, Véronique Le Guern, Frédéric Lioté, Amar Smail, Nicolas Limal, Laurent Perard, Hélène Desmurs-Clavel, Du Le Thi Huong, Bouchra Asli, Jean-Emmanuel Kahn, Laurent Sailler, Félix Ackermann, Thomas Papo, Karim Sacré, Olivier Fain, Jérôme Stirnemann, Patrice Cacoub, Gaele Leroux, Judith Cohen-Bittan, Jérémie Sellam, Xavier Mariette, Claire Gouvestre, Jean Sébastien Hulot, Zahir Amoura, Michel Vidal, Jean-Charles Piette, PLUS Group; Noémie Jourde-Chiche, Nathalie Costedoat-Chalumeau. Hydroxychloroquine levels in patients with systemic lupus erythematosus: whole blood is preferable but serum levels also detect non-adherence. *Arthritis Res Ther*. 2020 Sep 25;22(1):223
23. Allanore Y, Bozzi S, Terlinden A, Huscher D, Amand C, Soubrane C, Siegert E, Czirják L, Carreira PE, Hachulla E, Zanatta E, Li M, Airò P, Mendoza FA, Rosato E, Distler O; EUSTAR Collaborators Farge D. Health Assessment Questionnaire-Disability Index (HAQ-DI) use in modelling disease progression in diffuse cutaneous systemic sclerosis: an analysis from the EUSTAR database. *Arthritis Res Ther*. 2020 Oct 28;22(1):257
24. Lenfant T, Salah S, Leroux G, Bousquet E, Le Guern V, Chasset F, Francès C, Morel N, Chezel J, Papo T, Cacoub P, Mouthon L, Guettrot-Imbert G, Cohen P, Régent A, Mauget-Faÿsse M, Piette JC, Jallouli M, Costedoat-Chalumeau N; PLUS Group. Risk factors for hydroxychloroquine retinopathy in systemic lupus erythematosus: a case-control study with hydroxychloroquine blood-level analysis. *Rheumatology (Oxford)*. 2020 Dec 1;59(12):3807-3816.
25. Wu Y, Kwakkenbos L, Henry R S, Carrier M-E, Gagarine M, Harb S, Bourgeault A, Tao L, Carboni-Jiménez A, Negeri Z, Patten S, Bartlett S J, Mouthon L, Varga J, Benedetti A, Thombs B D, SPIN Patient Advisors; SPIN Investigators Farge D. Factors associated with fears due to COVID-19: A Scleroderma Patient-centered Intervention Network (SPIN) COVID-19 cohort study. *J Psychosom Res*. 2021 Jan;140:110314. doi: 10.1016/j.jpsychores.2020.110314. Epub 2020 Nov 25.
26. Harb S, Peláez S, Carrier M-E, Kwakkenbos L, Bartlett S J, Hudson M, Mouthon L, Sauvé M, Welling J, Shrier I, Thombs B D, Scleroderma Patient-centered Intervention Network (SPIN) - Physical Activity Enhancement Patient Advisory Team, SPIN Investigators Farge D. Barriers and facilitators to physical activity for people with scleroderma: a Scleroderma Patient-centered Intervention Network (SPIN) Cohort study. *Arthritis Care Res (Hoboken)*. 2021 Feb 2. doi: 10.1002/acr.24567. Online ahead of print.
27. Moghadam P, Frumholtz L, Jaume L, De Masson A, Jachiet M, Begon E, Sulimovic L, Petit A, Bachelez H, Bagot M, Bouaziz J-D, Cassius C, Saint-Louis CORE (COvid REsearch) Farge D. Frequency of relapse and persistent cutaneous symptoms after a first episode of chilblain-like lesion during the COVID-19 pandemic. *J Eur Acad Dermatol Venereol*. 2021 Sep;35(9):e566-e568. doi: 10.1111/jdv.17393. Epub 2021 Jun 19.
28. Cassius C, Frumholtz L, de Masson A, Dadzie O, Petit A, Saint-Louis CORE (COvid Research) group Farge D. Under-representation of people of African ancestry in publications on the cutaneous manifestations of COVID-19: coincidence or physiology? *J Eur Acad Dermatol Venereol*. 2021 Aug;35(8):e480-e481. doi: 10.1111/jdv.17289. Epub 2021 Apr 29.
29. Frumholtz L, Bouaziz J-D, Battistella M, Hadjadj J, Chocron R, Bengoufa D, Le Buanec H, Barnabei L, Meynier S, Schwartz O, Grzelak L, Smith N, Charbit B, Duffy D, Yatim N, Cal ugareanu A, Philippe A, Guerin CL, Joly B, Siguret V, Jaume L, Bachelez H, Bagot M, Rieux-Laucat F, Maylin S, Legoff J, Delaugerre C, Gendron N, Smadja D M, Cassius C, Saint-Louis CORE (COvid

- REsearch) Farge D. Type I interferon response and vascular alteration in chilblain-like lesions during the COVID-19 outbreak. *Br J Dermatol*. 2021 Dec;185(6):1176-1185. doi: 10.1111/bjd.20707.
30. Cassius C, Merandet M, Frumholtz L, Bergerat D, Samri A, Grolleau C, Grzelak L, Schwartz O, Yatim N, Moghadam P, Jaume L, Bagot M, Legoff J, Delaugerre C, Bouaziz J-D, Le Buanec H, Saint-Louis CORE (COvid Research) Farge D. Analysis of T cell responses directed against the spike and/or membrane and/or nucleocapsid proteins in chilblain-like lesions patients during the COVID-19 pandemic. *Br J Dermatol*. 2021 Jul 14. doi: 10.1111/bjd.20647. Online ahead of print.
  31. Lee YC, Fox RS, Kwakkenbos L, Levis B, Carrier M-E, Welling J, Sauvé M, Mouthon L, Benedetti A, Bartlett S-J, Varga J, Thombs B D, on behalf of the Scleroderma Patient-centered Intervention Network Investigators. Pain Intensity and Interference Levels and Associated Factors in Systemic Sclerosis: A Cross-sectional Study of 2157 Participants from the Scleroderma Patient-centered Intervention Network (SPIN) Cohort
  32. Henry RS, Kwakkenbos L, Carrier M-E, Negeri Z, Bourgeault A, Patten S, Bartlett S J, Mouthon L, Varga J, Benedetti A, Thombs BD, SPIN COVID-19 Patient Advisory Team; SPIN investigators Farge D. Mental health before and during the pandemic in people with systemic sclerosis. *Lancet Rheumatol*. 2021 Dec 3. doi: 10.1016/S2665-9913(21)00363-5. Online ahead of print.
  33. Garaiman A, Steigmiller K, Gebhard C, Mihai C, Dobrota R, Bruni C, Matucci-Cerinic M, Henes J, de Vries-Bouwstra J, Smith V, Doria A, Allanore Y, Dagna L, Anić B, Montecucco B, Kowal-Bielecka O, Martin M, Tanaka Y, Hoffmann-Vold AM, Held U, Distler O, Becker MO, EUSTAR Collaborators. Use of platelet inhibitors for digital ulcers related to systemic sclerosis: EUSTAR study on derivation and validation of the DU-VASC model. *Rheumatology (Oxford)*. 2022 Jul 29;keac405. doi: 10.1093/rheumatology/keac405. Online ahead of print
  34. Kuster S, Jordan S, Elhai M, Held U, Steigmiller K, Bruni C, Cacciapaglia F, Vettori S, Siegert E, Rednic S, Codullo V, Airo P, Braun-Moscovici Y, Hunzelmann N, Joao Salvador M, Ricciari V, Gheorghiu AM, Alegre Sancho JJ, Romanowska-Prochnicka K, Castellví I, Kötter I, Truchetet ME, López-Longo FJ, Novikov PI, Giollo A, Shirai Y, Belloli L, Zanatta E, Hachulla E, Smith V, Denton C, Ionescu RM, Schmeiser T, Distler JHW, Gabrielli A, Hoffmann-Vold AM, Kuwana M, Allanore Y, Distler O; EUSTAR collaborators. Effectiveness and safety of tocilizumab in patients with systemic sclerosis: a propensity score matched controlled observational study of the EUSTAR cohort. *RMD Open*. 2022 Nov;8(2):e002477. doi: 10.1136/rmdopen-2022-002477. PMID: 36328401
  35. Kwakkenbos L, Carrier ME, Welling J, Levis B, Levis AW, Sauve M, Turner KA, Tao L, Aguila K, Carboni-Jiménez A, Cañedo-Ayala M, Harb S, van den Ende C, Hudson M, van Breda W, Nguyen C, Boutron I, Rannou F, Thombs BD, Mouthon L; SPIN Investigators. Randomized controlled trial of an internet-based self-guided hand exercise program to improve hand function in people with systemic sclerosis: the Scleroderma Patient-centered Intervention Network Hand Exercise Program (SPIN-HAND) trial. *Trials*. 2022 Dec 12;23(1):994.
  36. Lescoat A, Huscher D, Schoof N, Airò P, de Vries-Bouwstra J, Riemekasten G, Hachulla E, Doria A, Rosato E, Hunzelmann N, Montecucco C, Gabrielli A, Hoffmann-Vold AM, Distler O, Ben Shimol J, Cutolo M, Allanore Y; EUSTAR collaborators. Systemic sclerosis-associated interstitial lung disease in the EUSTAR database: analysis by region. *Rheumatology (Oxford)*. 2022 Oct 12;keac576. doi: 10.1093/rheumatology/keac576. Online ahead of print. PMID: 36222557
  37. Iudici M, Mongin D, Siegert E, Carreira PE, Distler J, Henes J, Zanatta E, Hachulla E, De Luca G, Müller CS, Santiago T, Tandaipan JL, Bianchi BV, De Santis M, Hoffmann-Vold AM, Gabrielli A, Distler O, Courvoisier DS; EUSTAR collaborators. Glucocorticoids prescribing practices in systemic sclerosis: an analysis of the EUSTAR database. *Rheumatology (Oxford)*. 2022 Sep 13;keac533. doi: 10.1093/rheumatology/keac533. Online ahead of print. PMID: 36099040
  38. Zanatta E, Huscher D, Ortolan A, Avouac J, Airò P, Balbir-Gurman A, Siegert E, Matucci Cerinic M, Cozzi F, Riemekasten G, Hoffmann-Vold A-M, Distler O, Gabrielli A, Heitmann S, Hunzelmann N, Montecucco C, Morovic-Vergles J, Ribí C, Doria A, Allanore Y; EUSTAR collaborators. Phenotype of



- limited cutaneous systemic sclerosis patients with positive anti-topoisomerase I antibodies: data from the EUSTAR cohort. *Rheumatology (Oxford)*. 2022 28;61:4786-4796. doi: 10.1093/rheumatology/keac188.
39. Kwakkenbos L, Carrier ME, Welling J, Turner KA, Cumin J, Pépin M, van den Ende C, Schouffoer AA, Hudson M, van Breda W, Sauve M, Mayes MD, Malcarne VL, Nielson WR, Nguyen C, Boutron I, Rannou F, Thombs BD, Mouthon L; SPIN Investigators. Randomized feasibility trial of the Scleroderma Patient-centered Intervention Network hand exercise program (SPIN-HAND). *PeerJ*. 2022 Aug 4;10:e13471. doi: 10.7717/peerj.13471. eCollection 2022. PMID: 35945943
  40. Hughes M, Heal C, Henes J, Balbir-Gurman A, Distler JHW, Airò P, Müller-Ladner U, Hunzelmann N, Kerzberg E, Rudnicka L, Truchetet ME, Stebbings S, Tanaka Y, Hoffman-Vold AM, Gabrielli A, Distler O, Matucci-Cerinic M; EUSTAR Collaborators. Digital pitting scars are associated with a severe disease course and death in systemic sclerosis: a study from the EUSTAR cohort. *Rheumatology (Oxford)*. 2022 Mar 2;61(3):1141-1147. doi: 10.1093/rheumatology/keab510. PMID: 34146098
  41. Harb S, Peláez S, Carrier ME, Kwakkenbos L, Bartlett SJ, Hudson M, Mouthon L, Sauvé M, Welling J, Shrier I, Thombs BD; SPIN Physical Activity Enhancement Patient Advisory Team and SPIN Investigators. Barriers and Facilitators to Physical Activity for People With Scleroderma: A Scleroderma Patient-Centered Intervention Network Cohort Study. *Arthritis Care Res (Hoboken)*. 2022 Aug;74(8):1300-1310. doi: 10.1002/acr.24567. Epub 2022 May 11. PMID: 33527717

## Annexe 6 : Actions Covid19 entreprises dans le cadre MATHEC et UF04 médecine interne à l'hôpital Saint Louis

### - Courrier pour patient.



1 avenue Claude **Volterra**,  
76476 PARI 8 Cedex 10  
Standard : 33 (0)1 42 49 49 49

Paris, le 12 Janvier 2021

Unité de Médecine Interne (UF04) :  
CRMATHEC, Maladies Auto-Immunes et  
Thérapie Cellulaire.  
Porte 6 - Quadrilatère Saint-Louis  
Polyclinique Médicale (PMC)

Equipe 3 MATHEC-EUROCORD EA-3518 :  
IRSL, Université de Paris  
FWire FAIZR ; EBWT CIC 0461

[mathec.com.fr/2019](http://mathec.com.fr/2019)  
[mathec@univ-paris.fr](mailto:mathec@univ-paris.fr)  
[www.hopital-saint-louis.com](http://www.hopital-saint-louis.com)

**Chef de Service :**  
Pr Dominique FARGE-BANCEL\*, PU-PH

**Praticien Hospitalier**  
Dr Nassim AIT ABDALLAH\*, PHC  
Tél : 01 42 49 97 56 / btp 724  
**Praticiens Attachés**  
Pr Jean-Pierre ALGAYRES, PA  
Professeur agrégé du Val de Grâce  
Dr Maxime SEBURYAN, PA

**Equipes de Recherche Clinique**  
Mme Pauline LANZAUX\*, PhD  
Coordinatrice d'Etudes Cliniques  
Tél : 01 42 38 50 93  
Mme Eola FRANCIOS\*,  
Technicienne d'Etudes Cliniques  
Tél : 01 42 49 96 45  
Mme Valentin UNIFER\*,  
Chargée de mission : gestion administrative,  
relations patients  
Tél : 01 42 38 50 93

Allô MATHEC : 06 24 81 03 91

**Secrétariat médical**  
Mme Nathalie VINCEONN  
Tél : 01 42 49 97 64 / Fax : 01 42 49 94 78

**Cadres du Service**  
Mme Ariette NDOUR\*,  
Cadre de Santé  
Tél : 01 42 49 97 55 / btp 158  
Mme Anne POUSSÉBEL\*,  
Cadre Supérieur de Santé  
Tél : 01 42 38 50 26 / btp 734  
M. Emmanuel TANTER\*,  
Cadre Administratif de DMU INACTUS  
Tél : 01 49 95 63 73

**Assistante Sociale**  
Mme Ariane GERSON\*,  
Tél : 01 42 49 49 24 / btp 387  
**Psychologue Clinicienne**  
Mme Isabel FOSSÉ\*,  
Tél : 01 42 49 40 96  
**Dietéticienne**  
Mme Aurélie THUILLET\*,  
Tél : 01 42 49 98 19

**Consultation Polyclinique (PMC)**  
Accueil : Tél : 01 42 49 91 60  
**Bureau des Rendez-vous**  
Tél : 01 42 49 93 35

Tout toute demande d'hospitalisation : 01 42 49 49 49  
btp 724 ou 01 42 49 97 56  
\* l'our [mathec@univ-paris.fr](mailto:mathec@univ-paris.fr) : pnenem.nam@aphp.fr

Chère Madame, Cher Monsieur,

Vous avez déjà reçu les 1<sup>ère</sup>, 2<sup>ème</sup> et 3<sup>ème</sup> doses du vaccin anti-COVID ou peut-être n'avez-vous eu à ce jour que 2 doses, car vous aviez eu la COVID avant de recevoir l'un des vaccins.

Quoiqu'il en soit, compte tenu de l'immunodépression liée à votre maladie et/ou à vos traitements, il est nécessaire d'évaluer si votre organisme a fabriqué un taux suffisant d'anticorps protecteurs contre le virus de la COVID 19. Ceci se fait par une simple prise de sang appelée sérologie. Nous vous joignons l'ordonnance 1.

En cas de taux d'anticorps insuffisant, il vous sera proposé après analyse médicale de votre cas, une 4<sup>ème</sup> dose de vaccin anti-COVID (Conformément aux recommandations du conseil d'orientation de la stratégie vaccinale). Vous pouvez nous joindre ou joindre votre médecin référent pour vous en assurer.

Si vous avez été récemment ou si vous êtes en contact proche avec un patient atteint de la COVID 19 type variant Delta, un traitement préventif de l'infection par le virus de la COVID est possible selon les recommandations des autorités de Santé Publique. Ainsi vous pourrez être protégé d'une forme grave.

Si vous vous trouvez dans cette situation d'être « cas contact » il est essentiel de :

- 1 – Faire un nouveau bilan biologique (ordonnance 1 + ordonnance 2) ;
- 2 – Faire parvenir les résultats à votre médecin référent MATHEC ;
- 3 – Nous vous informerons par téléconsultation de votre niveau de protection contre la COVID.
- 4 – Après cette téléconsultation, il sera, selon votre risque, décidé de vous prescrire un traitement prophylactique afin de vous protéger d'une forme grave de COVID-19. Vous devrez vous rendre à l'hôpital pour cette prescription.

S'il s'agit d'un variant Omicron, contactez rapidement votre médecin de votre centre de référence.

Nous sommes à votre disposition pour toute question que vous vous poserez.  
Bien cordialement.

Pr D. FARGE

Dr C. LE MAIGNAN

Dr N. AIT ABDALLAH

- Ordonnance envoyée aux patients pour faire la sérologie SARS COV 2.

ASSISTANCE PUBLIQUE HÔPITAUX DE PARIS  
Unité de Médecine Interne : Maladies Auto-immunes et Pathologie Vasculaire (UF 04)  
centre de référence maladies rares fai2r  
Hôpital Saint Louis, 1 avenue Claude Vellefaux, 75475  
PARIS Cedex 10  
Tel secrétariat : 01 42 49 97 67/67  
Fax secrétariat : 01 42 49 97 69  
N° FINESS : 750100075

Patient :  
Mme  
DDN :  
A Paris, le 0

---

Prescriptions relatives au traitement de l'affection de longue durée reconnue (liste ou hors liste)  
(AFFECTION EXONERANTE)

---

Faire dans un laboratoire en ville  
Sérologie SARS COV2 à faire 1 mois (ou plus d'un mois si ce délai est déjà passé) après la 3<sup>ème</sup> dose du vaccin anti COVID 19

- Faxer les résultats dans les plus brefs délais :**
- Au médecin du centre référent du patient.
  - Et au Dr Ait Abdallah au FAX : 01 42 49 94 78

---

Prescriptions SANS RAPPORT avec l'affection de longue durée  
(MALADIES INTERCURRENTES)

---

- **Stratégie de la vaccination et de la prophylaxie anti COVID 19 des patients MATHEC à très haut risque (NB : dernière mise à jour)**

## **Stratégie de la vaccination et de la prophylaxie anti COVID 19 des patients MATHEC à très haut risque**

### **Selon le Conseil d'Orientation de la Stratégie vaccinale Résumé de la note du 28/03/2022**

- Evaluer dans notre cohorte les patients à haut risque : Age / maladie de base / traitement.
  - Evaluer le niveau de vaccination de ces patients : 2, 3 ou 4 doses administrées et date de la dernière dose.
  - Demander dans tous les cas une sérologie SARS COV 2.
  - Prévoir une téléconsultation avec le patient pour prise de décision partagée.
- 1- **Si le patient n'a pas eu la Covid et a reçu moins de 2 doses du vaccin anti COVID :**
    - Compléter le schéma vaccinal avec un délai minimal de 28 jours entre les injections.
    - Puis surveillance vaccinale.
  - 2- **Si le patient a un schéma vaccinal complet ( $\geq 3$  doses ou  $\geq 2$  doses + 1 infection Covid prouvée) :**
    - a) Le patient est répondeur avec une sérologie anti-S > au seuil de détection ET un taux d'AC neutralisants inconnu, faire un rappel vaccinal à **6 mois**.
    - b) Le patient est non répondeur au vaccin (sérologie anti-S < au seuil de détection), ne pas poursuivre la vaccination et prescrire la prophylaxie en cas d'exposition selon le protocole du centre référent (cf annexes).
  - 3- **Si le patient n'est pas vacciné**, faire la primovaccination à 3 doses administrées à 1 mois d'intervalle et contrôle de la sérologie 1 mois après la dernière dose.
  - 4- **Prophylaxie primaire et en cas d'exposition du patient**

Les indications de prophylaxie primaire varient en fonction de l'état du patient, de ses antécédents, de son statut vaccinal et des choix stratégiques des centres. Il est recommandé de discuter les indications en RCP et avec le patient.

#### **Avant exposition :**

Pour les patients à haut risque de Covid19 sévère, avec déplétion lymphocytaire B de par leur pathologie ou de par leur traitement (ex : anti CD20), âgés de 12 ans au moins et pesant au moins 40 kg ET non répondeurs après schéma vaccinal complet ou présentant une contre-indication au vaccin : **prophylaxie par EVUSHELD® 600 mg IM.**

#### **Après exposition :**

Pour les patients à haut risque d'évolution vers un Covid 19 sévère ET ne nécessitant pas d'oxygénothérapie (allogreffe d'organe ou de cellules souches hématopoïétiques,

chimiothérapie, traitement immunosuppresseur incluant anti CD20 et corticoïdes > 10 mg/j >15 jours, personnes > 80 ans.)

1. La PCR est négative et le patient ne recevait pas déjà de prophylaxie :
  - Si le virus Delta a été identifié chez le contact, prophylaxie par **RONAPREVE®** (⚠ nombreuses interactions médicamenteuses)
  - Si le virus du contact n'a pas été identifié ET que le patient ne présente pas de risques cardio-vasculaires, prophylaxie par **EVUSHELD®**
  - Si le virus du contact n'a pas été identifié ET que le patient présente des risques cardio-vasculaires, discuter de la CAT avec les infectiologues
  
2. La PCR est positive : Prophylaxie des formes graves par traitement précoce. Si le virus Delta a été identifié chez le contact, traitement par **RONAPREVE®** (⚠ nombreuses interactions médicamenteuses)
  - Si le virus du contact n'a pas été identifié ou qu'il s'agit d'Omicron, discuter un traitement par Sotrovimab **XEVUDY®** en AAD ® (⚠ perte d'efficacité sur BA.2).
  - Ou par **nirmatrelvir/ritonavir PAXLOVID®** en l'absence de risque d'interactions médicamenteuses (voir les nombreuses contrindications).
  
3. En cas de pneumonie Covid 19 oxygène-requérante : traitement par remdesivir, **VEKLURY®** (AMM conditionnelle)