



FAQ sur les partenariats industriels

Quels sont les critères d'inclusion dans la BNDMR ?

Les patients inclus sont pris en charge pour une maladie rare dans le réseau d'expertise maladie rare labellisé par la DGOS. Sont donc exclus les cancers rares ou encore certaines maladies rares prises en charge exclusivement en médecine de ville. Réciproquement, les apparentés dont le diagnostic de maladie rare a pu être infirmé sont inclus – comme le sont d'ailleurs les porteurs sains (ces deux situations sont renseignées comme telles et peuvent donc être analysées de manière dédiée ou retirées au besoin). Certains patients dans la BNDMR sont décédés – là encore le statut vital est disponible.

Quelle est la profondeur historique de la BNDMR, et son taux d'exhaustivité ?

La BNDMR n'est pas un seul registre mais bien une base nationale centrale pour plus de 6000 maladies. Aussi, il y a une certaine hétérogénéité dans la complétude des données. Les données de prise en charge les plus anciennes remontent au début des années 2000. Un haut niveau d'exhaustivité a pu être atteint dans certaines FSMR ou au niveau de certains CRMR dès le milieu des années 2010. Ce n'est que depuis 2021 que l'inclusion dans les CRMR est obligatoire et conditionne la délégation de subvention (MIG) : depuis le 1^{er} janvier 2021, l'exhaustivité est quasi-totale pour tous les CRMR. Un grand nombre de centres de compétences incluent également leurs patients dans la BNDMR, mais l'exhaustivité est moins systématique. Les patients ayant vocation à être vus au moins une fois dans les centres de référence, l'impact en matière d'exhaustivité est souvent limité.

Quels sont les types d'études déjà réalisés ?

Différents types d'études sont réalisables : étude impliquant uniquement la BNDMR, études chaînées au SNDS, études multi-sources intégrant un questionnaire PRO. Nous vous invitons à visiter le portail de transparence listant toutes les études en cours :

<https://www.bndmr.fr/espace-patients/transparence/>

Quels sont les délais de réalisation des études réalisées avec la BNDMR ?

Les délais suivants sont donnés à titre indicatif.

Etude BNDMR seule :

- Echanges préliminaires jusqu'à soumission du formulaire, incluant l'information de la FSMR : 1 à 2 mois
- Approbation du projet par le comité scientifique : 1 mois (le CoSci se réunit tous les premiers vendredis du mois sauf en été)
- Contractualisation : 1 à 6 mois (selon disponibilité des équipes juridiques de l'industriel et acceptation ou non des modèles de contrat proposés par l'APHP)
- Analyses (BNDMR) : 2 à 4 mois selon complexité

Etude chaînée au SNDS

- Echanges préliminaires jusqu'à soumission du formulaire, incluant l'information de la FSMR : 2 à 4 mois
- Approbation du projet par le comité scientifique : 1 mois
- Contractualisation (peut être démarrée en parallèle de l'approbation par le CoSci) : 2 à 6 mois
- Réglementaire (CESREES/CNIL): 6 mois
- HDH / CNAM (convention et accès aux données) : 6 à 12 mois (délai qui sera réduit une fois la mise de la BNDMR au Catalogue du HDH pleinement opérationnelle – soit d'ici fin 2023)
- Analyses permettant la production d'un rapport statistique et la soumission pour publication à une revue : 3 à 4 mois

Comment s'effectue l'appariement des données de la BNDMR avec le SNDS ?

La stratégie d'appariement peut être réalisée selon les besoins spécifiques de l'étude.

Par exemple, pour une étude sur un très faible effectif de patient (ex : moins de 100), il sera essentiel de ne perdre aucun patient, et l'utilisation du NIR (quitte à ce que les cliniciens opèrent un retour au dossier s'il est manquant avant le lancement de l'étude) est alors à privilégier. A noter que le NIR n'est pas présent dans la BNDMR, mais il l'est dans BaMaRa : les deux sources de données seront alors utilisées, conformément au circuit conseillé par la CNIL.

A l'inverse, pour une étude sur un plus large effectif de patients, il peut s'effectuer de façon probabiliste en utilisant notamment la date de naissance, le genre, les dates d'activité et le code FINESS de l'hôpital. Cette stratégie ne fonctionnera toutefois que pour des patients vus à au moins 2 voire 3 dates différentes au sein du réseau expert, ce qui n'est pas typique de certains parcours de soins (cela dépend de la pathologie).

Quelle est la complétude des données pour l'étude spécifiquement demandée ?

Cela dépend du type de données requises et de la maladie considérée. Dans tous les cas, une estimation de la complétude des données est réalisée avant transmission de la grille budgétaire au laboratoire afin de prévoir, si nécessaire, un budget lié à la complétion des données par des ARC internes à la filière ou des ARC externes (uniquement dans le cadre de la recherche).

Quid de la qualité des données ?

La qualité des données est également vérifiée en amont de la grille budgétaire afin d'anticiper les activités de data-management spécifiquement requises pour l'étude (contrôles de cohérences automatiques à la saisie et des contrôles post-saisie semi-automatiques)