

***EPARDYS: Etude du PARcours de soins des patients atteints des DYSTrophies musculaires de Duchenne et de Becker, à partir des données appariées de la BNDMR (Banque Nationale de Données Maladies Rares) et du SNDS (Système National des Données de Santé)***

## NOTE D'INFORMATION

---

### 1. Quel est le but de cette recherche ?

EPARDYS est une étude médico-économique qui vise à améliorer la connaissance sur la dystrophie musculaire de Duchenne (DMD) et de dystrophie musculaire de Becker (DMB).

Elle traitera des données de patients enregistrés dans la BNDMR entre janvier 2010 et décembre 2021, non opposés à la réutilisation de leurs données personnelles pour la recherche, chaînées aux données de l'assurance maladie afin de décrire les caractéristiques démographiques et médicales, l'ensemble des recours aux soins, les parcours de soins et les coûts associés de chacun des deux groupes de patients présentant soit une dystrophie musculaire de Duchenne, soit une dystrophie musculaire de Becker, par tranche d'âge et selon que les patients soient en mesure de se déplacer ou non.

A l'issue de cette étude, un traitement de la DMD pourrait être proposé, avec une demande de remboursement. L'étude des consommations de soins des patients atteints de DMD va vraisemblablement montrer des consommations modérées car il n'existe pas à ce jour de traitement spécifique, et un reste à charge élevé en dépit de la prise en charge à 100%. L'étude permettra par ailleurs de vérifier que cette prise en charge à 100% est bien effective. Il ne s'agit donc pas de stigmatiser un groupe de patients mais de mieux connaître leurs parcours de soins afin d'identifier les facteurs d'errance et de proposer des mesures correctives. Si un traitement efficace est proposé il sera en effet nécessaire d'assurer un accès équitable sur tout le territoire.

### 2. Qui réalise cette étude ?

Cette étude est conduite par l'unité de recherche clinique en économie de la santé (URC-Eco) de l'APHP en partenariat avec la filière de santé maladies rares des maladies neuromusculaires FILNEMUS et l'Assistance Publique Hôpitaux de Marseille (APHM). Elle est financée par le laboratoire Pfizer et est dirigée par un comité scientifique d'experts représenté par Pr Shahram ATTARIAN, professeur de Neurologie, Chef de service des maladies neuromusculaires et SLA à AP-HM et coordonnateur de la filière FILNEMUS.

L'Assistance Publique-Hôpitaux de Paris (APHP), 33 bd de Picpus 75012 Paris, est responsable de ce traitement.

### 3. Comment cette recherche est-elle encadrée ?

Cette recherche est fondée sur la mission d'intérêt public poursuivie par le responsable de ce traitement, conformément à la base légale 6 1. e) « Le traitement est nécessaire pour l'exécution d'une mission d'intérêt public ou relève de l'exercice de l'autorité publique du responsable de traitement », et l'article 9 2. i) « intérêt public dans le domaine de la santé publique » du règlement général sur la protection des données (RGPD).

La recherche a obtenu l'avis favorable du comité scientifique de la BNDMR le 03 avril 2020 et le traitement de données a été déclaré sur le répertoire des projets <https://www.health-data-hub.fr/projets> sous le numéro N° T80242042022031.

#### 4. Quelles données me concernant sont recueillies et comment sont-elles traitées ?

La première source de données dans l'étude est la base BaMaRa qui contient les dossiers patients enregistrés par les centres de la filière des maladies neuromusculaires (FILNEMUS) au niveau de l'hôpital de prise en charge.

De cette base, votre Numéro de Sécurité Sociale (aussi appelé Numéro d'Identification au Répertoire 'NIR') et traits d'identité (Nom-Prénom-Sexe-Date de naissance et lieu de naissance) seront extraits et communiqués à la Caisse Nationale de l'Assurance Maladie (CNAM) et/ou la Caisse Nationale des Assurance Vieillesse (CNAV) sous des conditions très contrôlées et via des canaux de transmission très sécurisés pour les besoins de rapprochement entre les différentes bases de données. Ces informations identifiantes ne seront en aucun cas conservées au sein de la cellule opérationnelle BNDMR, ni partagées avec les personnes responsables des analyses statistiques.

La seconde source de données est l'entrepôt de données de santé 'BNDMR' qui contient les mêmes données que BaMaRa mais sans aucune donnée identifiante ou permettant d'identifier un patient. La BNDMR est un entrepôt pseudonymisé à visée recherche et pilotage du Plan National Maladies Rares (PNMR), sous la totale responsabilité de l'APHP conformément à l'autorisation n°2211418 de la Commission nationale de l'informatique et des libertés (CNIL) du 5 septembre 2019. Les données qui seront extraites sont :

- mois et année de naissance, sexe ; lieu de naissance et de résidence ;
- lieu de prise en charge, mois et année de prise en charge ;
- type de prise en charge ;
- diagnostic, description clinique, âge aux premiers signes, âge au diagnostic.

La troisième source de données, le Système National des Données de Santé (SNDS) ou données de l'assurance maladie, comprend :

- Informations sur l'assuré social (sexe, mois et année de naissance, rang de naissance, lieu de résidence, régime, couverture maladie universelle complémentaire, aide à la complémentaire santé) ;
- Informations sur les professionnels de santé (spécialité, mode d'exercice, sexe, âge, département d'implantation) ;
- Maladies, notamment les affections de longue durée et les maladies diagnostiquées lors des séjours hospitaliers ;
- Dépenses et remboursements des prestations en soins de ville, en établissements de santé (consommations de soins hospitaliers ou en ville, prescriptions, dispositifs médicaux, montants et indemnités, etc.)
- Causes médicales de décès

#### 5. Quels sont mes droits concernant mes données personnelles informatisées ?

L'utilisation des données vous concernant dans cette recherche n'est pas une obligation. Vous pouvez en effet vous opposer à l'utilisation de ces données, en demandant l'accès, la rectification, l'effacement ou la limitation sans aucune conséquence sur la qualité des soins ni la relation avec le médecin qui vous soigne.

Le droit d'accès vous permet de demander à consulter les données vous concernant et à en obtenir une copie ;

Le droit d'opposition vous permet, si vous ne souhaitez pas que les données de santé vous concernant servent à l'étude, de vous opposer à l'utilisation de ces données de santé ;

Le droit de rectification vous permet de demander de faire corriger les données vous concernant si vous constatez qu'elles contiennent une erreur ;

Le droit à l'effacement vous permet de demander que les données vous concernant soient effacées de l'étude.

En parallèle du traitement de votre demande de rectification ou de votre demande d'opposition par exemple, vous pouvez demander à limiter l'utilisation des données vous concernant, ce qui empêche temporairement leur inclusion dans l'étude.

Pour exercer ces droits, vous pouvez utiliser le formulaire en ligne disponible à l'adresse : [http://bndmr.fr/transparence/mes\\_droits](http://bndmr.fr/transparence/mes_droits) ou contacter le délégué à la protection de l'APHP ([protection.donnees.dsi@aphp.fr](mailto:protection.donnees.dsi@aphp.fr)).

Si vous estimez que vos droits concernant le traitement de vos données n'ont pas été respectés, il vous est possible de saisir la Commission Nationale de l'Informatique et des Libertés (CNIL) pour faire une réclamation (<https://www.cnil.fr>).

## 6. Pendant combien de temps mes données sont-elles conservées ?

Les données traitées dans le cadre de cette recherche peuvent être conservées jusqu'à deux ans après la dernière publication des résultats de la recherche ou, en cas d'absence de publication, jusqu'à la signature du rapport final de la recherche. Elles font ensuite l'objet d'un archivage pour une durée conforme à la réglementation en vigueur.

## 7. Un transfert de mes données hors UE est-il prévu

Aucun