

Appel à projets ReuseRare

Cellule opérationnelle de la
BNDMR

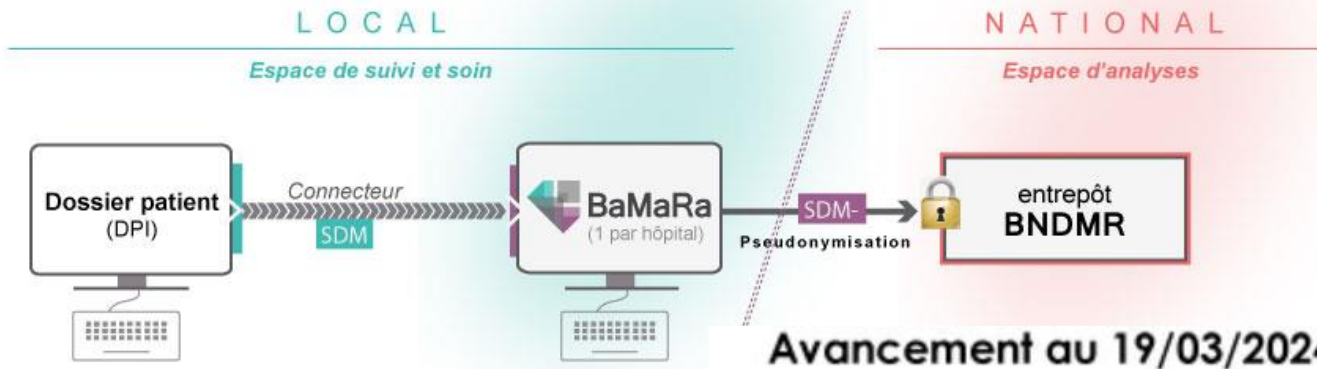
Analyse.bndmr@aphp.fr

22 mars 2024



bndmr.fr

- ▶ Construire un recueil de données structurées pour un projet scientifique portant sur une maladie rare
 - réutilisant des données issues des dossiers médicaux
 - au sein de l'application web BaMaRa avec un recueil accessible dans l'ensemble des centres participant au projet
- ▶ Traitement de données via un accès distant (accès sécurisé aux données du projet uniquement dans un environnement de traitement de données « jupyterlab ») dans l'Entrepôt de Données de Santé BNDMR



Avancement au 19/03/2024



Une collecte dans l'ensemble des centres maladie rare en France

Données collectées sur plus d'un million de patients

Financement PNMR

Les données disponibles

La BNDMR contient les données du Set de Données Minimum national maladies rares (SDM-MR) pseudonymisées (c'est-à-dire rendues non identifiantes : pas de nom ni de prénom) :

- ▶ **Informations administratives** : date de naissance, sexe, commune de naissance, de résidence...
- ▶ **Informations familiales** : propositus, lien de parenté, consanguinité
- ▶ **Statut vital**, et le cas échéant date de décès, cause
- ▶ **Parcours de soins** : adressage, date de première consultation, site maladies rares de rattachement
- ▶ **Activité(s) de soins** : date, contexte, objectif, type de personnel réalisant l'activité, lieu de l'activité
- ▶ **Diagnostic(s)** :
 - » Histoire du diagnostic : âge aux premiers signes, appréciation du diagnostic lors de la prise en charge dans le centre maladies rares, âge au diagnostic
 - » Description du diagnostic : maladie (Orpha), signes cliniques (HPO, CIM-10), niveau de confirmation du diagnostic, type d'investigations réalisées, gène(s) (HGNC), mutation (HGVS), porteur sain
- ▶ **Traitement** : médicaments orphelins
- ▶ **Anté et néonatales** : PMA, terme, taille / poids / périmètre crânien à la naissance
- ▶ **Recherche** : protocole en cours, échantillon biologique prélevé

Les recueils complémentaires

📍 SLA [COO] COURATIER (C H U DE LIMOGES - 87042 LIMOGES CEDEX 1) ▾

+

➤ SDM ➤ **Rc FILSLAN**

Fiche patient: AAAAAAQ AAAAAAQ

BILAN INITIAL PRATIQUÉ *	-
MUTATION(S)	-
ÉLÉMENT DU DIAGNOSTIC	-

- Les projets doivent porter sur une maladie rare, désignées par un code Orphanet.
- Le périmètre d'inclusion doit être celui des centres de référence et de compétence labellisés par la DGOS pour leur expertise dans les maladies rares (ci-après « centres MR »).
- La collecte de données nécessaire pour le projet doit contenir une liste de maximum 50 items supplémentaires au set de données minimum maladies rares.
- Les données collectées doivent uniquement provenir du dossier patient. Aucune collecte de données directement auprès du patient ne peut être prévue pour ce projet. Toutes les données nécessaires au projet doivent être présentes dans les dossiers des patients au moment du dépôt du projet (étude rétrospective, c'est-à-dire période d'inclusion et de suivi antérieures au dépôt du projet). Les catégories de données complémentaires au set de données minimal maladies rares qui peuvent être recueillies doivent être issues des observations médicales et paramédicales et des traitements médicamenteux.
- Seules les données des patients ne s'étant pas opposés à la réutilisation de leurs données pourront être analysées.

- les dossiers doivent être soumis dans les délais ;
- les dossiers doivent être transmis au format demandé, être complets et signés ;
- les projets doivent correspondre au champ de l'appel à projets (§ 3) ;
- le coordonnateur et les membres du projet ne doivent pas être membres du Comité scientifique et éthique de la BNDMR
- le coordonnateur ne doit pas être un étudiant, un doctorant ni un post-doctorant ;
- tout financement éventuel doit être mentionné et assuré par un organisme public à but non lucratif ;
- le projet doit être indépendant des entreprises développant, produisant, commercialisant ou exploitant des produits de santé et des sociétés et organismes de conseil intervenant dans les mêmes secteurs (article L. 5311-1 du Code de la santé publique). À ce titre, les règles de déontologie détaillées au § 3 doivent être respectées ;
- l'ensemble des participants au projet ne doit pas être en situation de conflit d'intérêts au regard de son objet

Intérêt de cet AAP pour les porteurs de projet



- ▶ Accompagnement pour réduire les démarches administratives, le temps de collecte par les centres, mais aussi l'accès aux données déjà collectées dans le set de données maladies rares de la BNDMR
- ▶ Absence de contractualisation nécessaire entre les établissements du périmètre de l'étude : un contrat existe concernant BaMaRa et la BNDMR, entre l'AP-HP et chacun des établissements porteurs de centres MR. Ainsi il n'est pas nécessaire de prévoir de contrats dédiés à ces projets qui sont couverts par ces contrats, l'accompagnement proposé par la cellule opérationnelle BNDMR faisant partie des missions de cette équipe.
- ▶ Cadre réglementaire déjà établi pour le traitement: dans l'Entrepôt de Données de Santé BNDMR. Celui-ci a été autorisé dans cette finalité et a été adossé à une gouvernance à laquelle les projets retenus devront se conformer. Il n'y aura donc pas de démarches réglementaires complémentaires aux informations et engagements demandés pour cet AAP, notamment **pas besoin de revenir vers les patients inclus pour leur délivrer une information spécifique pour ce projet.**

- ▶ Une filière ne pourra déposer qu'un seul projet pour l'année 2024 soit au premier soit au second appel d'offre.
- ▶ Pour le premier AAP, les candidatures sont attendues d'ici au **mardi 30 avril 2024 minuit**. L'analyse des dossiers soumis sera réalisée le **vendredi 7 juin 2024**, les résultats étant communiqués dans la foulée afin que les projets puissent démarrer sans délai.
- ▶ Pour le deuxième AAP, les candidatures sont attendues d'ici au **mardi 30 octobre 2024 minuit**. L'analyse des dossiers soumis sera réalisée le **vendredi 6 décembre 2024**, les résultats étant communiqués dans la foulée afin que les projets puissent démarrer sans délai.

Engagements du porteur du projet (1)



- Avoir obtenu l'avis de la filière concernée (un avis motivé du responsable de la filière concernée doit être joint au dossier)
- Que soit réalisé le traitement des données au sein de l'Entrepôt de Données de Santé de la BNDMR (aucune extraction des données ne sera possible)
- La publication des résultats ne doit présenter aucun risque d'atteinte à la réputation d'un participant, une équipe ou institution ;
- Faire référence dans toute publication basée sur des données de la BNDMR à « Banque Nationale de Données Maladies Rares » ou bien en anglais « French National Rare Disease Registry (BNDMR) » ;
- Faire une note d'information à destination des patients qui sera diffusée via un portail de transparence de la BNDMR.
- Faire un résumé grand public des résultats de leur recherche à destination des patients qui sera diffusé via un portail de transparence de la BNDMR.

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

Etudes en cours ou réalisées

Cette page décrit les recherches réalisées ou en cours, pour les traitements de données de la BNDMR ayant reçu un avis favorable par le Comité Scientifique (CoSci) de la BNDMR.

Pour rappel, les données de la BNDMR étant pseudonymisées (sans aucune donnée directement nominative) et respectant la règle de minimisation (adéquates, pertinentes et limitées à ce qui est nécessaire au regard des finalités pour lesquelles elles sont traitées), aucun traitement sur ces données ne permettra d'isoler ou d'identifier les patients.

Filière FILSLAN

📌 Déterminants environnementaux de la sclérose latérale amyotrophique [en cours]

- **Numéro interne** : D2022-0051
- **Responsable scientifique** : Pr. FAIVRE Jamila, Hôpital Paul-Brousse
- [Télécharger la notice d'information](#)

Filière FIMARAD

📌 FrEBepi : Epidémiologie des épidermolyses bulleuses (EB) héréditaires [terminée]

- **Numéro interne** : D2021-0037
- **Responsable scientifique** : Pr. Christine Bodemer, Hôpital Necker-Enfants Malades
- [Télécharger la notice d'information](#)

Engagements du porteur du projet (2)



- Rendre public les résultats de ce projet (soit par une publication dans une revue à comité de lecture, soit par la publication d'un rapport d'analyse sur la page web de la filière ou tout autre moyen équivalent)
- Faire un retour aux représentants de l'association de patients concernés membre de l'alliance maladie rare.
- Le cas échéant, les personnes de la cellule opérationnelle de la BNDMR ayant contribué devront faire partie des signataires de la publication s'ils répondent aux règles de qualité d'auteur (*authorship*) explicitées par l'International Committee of Medical Journal Editors
- Définir avec les centres partenaires leur implication dans toutes les communications issues de ce projet en accord avec les règles de qualité d'auteur (*authorship*) explicitées par l'International Committee of Medical Journal Editors

Engagements du porteur de projet (3)



- Permettre la réutilisation des données collectées pour d'autres projets. Les données collectées pourront être complétées (suivi, items complémentaires) pour d'autres études réalisées par les membres des centres dont les données ont été utilisées pour le projet. Chaque réutilisation sera réalisée suivant les règles de gouvernance de la BNDMR et donc nécessitera notamment l'accord de la filière concernée.
- Les centres qui font partie du périmètre d'inclusion du projet doivent s'engager à permettre que les données sur plus de 90% des patients qui peuvent être inclus soient collectées dans les six mois après mise à disposition du recueil dans BaMaRa (soit par eux, soit par le demandeur, un engagement écrit des responsables de centre de l'ensemble des centres participant à la collecte est demandé).

1. Le « dossier de candidature » qui comporte la description administrative, scientifique, l’avis motivé de la filière et les engagements du porteur du projet et des centres participants. Ce document doit être signé par l’établissement, le responsable de centre et le porteur du projet, le responsable de la filière et les centres participants.
2. La note d’information à destination des patients
3. Le résumé grand public du projet
4. La déclaration publique d’intérêts de chacune des personnes impliquées dans le projet.

- ▶ Y aura-t-il une possibilité de chainage avec le SNDS? **Oui, a posteriori, mais ce n'est pas prévu dans le cadre de cet AAP. Donc les résultats attendus de cette recherche ne doivent pas impliquer le SNDS.**
- ▶ Peut-on faire un projet concernant non pas une maladie mais un groupe de maladies? **Oui, il est possible que les patients soient sélectionnés suivant un groupe d'ORPHAcodes**
- ▶ Peut-on faire un projet concernant non pas une maladie mais une thématique? **Non, ce n'est pas l'objet de cet AAP**
- ▶ Peut-on prévoir que des données du DPI remonte directement dans le recueil créé (hors SDM)? **Non, cela ne sera pas possible. Cependant, pour un projet nécessitant un tel recueil, nous pouvons discuter sur la possibilité de vous aider à le construire en dehors de cet AAP.**
- ▶ Y aura-t-il un financement prévu? **Non, le recueil des données, l'analyse et la data management est à la charge des centres.**

- ▶ Pourra-t-on inclure les centres au fur et à mesure du projet? **Non, il faut identifier les centres a priori. La BNDMR peut aider à identifier les centres où sont suivi les patients atteints d'une maladie donnée**
- ▶ Est-ce que les patients ont besoin de revenir dans les centres pendant la période du recueil pour être inclus? **Non, il s'agit d'un recueil rétrospectif, il n'y aura pas besoin de fournir au patient une note d'information**
- ▶ Est-ce à la filière de retenir un seul projet? **Oui, c'est bien à la filière. Cependant, l'AAP sera reconduit et donc les projets non sélectionnés par la filière pourront repostuler**
- ▶ Combien de projets seront sélectionnés? **23 projets (le nombre de filières) au maximum sur les 2 vagues de l'AAP. Nous avons dimensionné cet AAP pour répondre à 23 demandes.**
- ▶ Quels types d'items peuvent être recueillis? **Il s'agit d'items présents dans le dossier patient (exemple: résultat d'un examen complémentaire). La réponse peut être qualitative (réponse à choix multiples) ou quantitative. Les réponses libres ne sont pas acceptées.**