« Anémie De Fanconi Et Anomalies Fonctionnelles Des Neutrophiles» : Caractéristiques cliniques, mortalité et fardeau économique des patients atteints d'anémie de Fanconi et d'anomalies fonctionnelles des neutrophiles en France: Etude rétrospective basée sur le SNDS chainé à la BNDMR.

NOTE D'INFORMATION

1. Qu'est-ce que cette étude ?

L'anémie de Fanconi (AF) est un syndrome d'insuffisance médullaire héréditaire caractérisé par des complications majeures telles qu'une insuffisance médullaire, un déficit lymphocytaire B, des tumeurs hématologiques telles que le syndrome myélodysplasique et la leucémie myéloïde aiguë, ainsi que des tumeurs solides.

Les anomalies fonctionnelles des neutrophiles (AFN) regroupent un ensemble de troubles immunitaires héréditaires caractérisés par une altération de la fonction des neutrophiles et une granulomatose chronique. Les AFN les plus courantes comprennent la maladie granulomateuse chronique (MGC) et le déficit d'adhésion leucocytaire (DAL). Les patients atteints d'AFN sont sensibles aux infections bactériennes et fongiques récurrentes et sévères, ainsi qu'à la formation de granulomes, de lésions cutanées inflammatoires récurrentes et de gingivite sévère.

La greffe allogénique de cellules souches hématopoïétiques est le traitement de référence actuel pour les patients atteints d'AF et d'AFN, cependant, elle est confrontée à de nombreux défis, notamment une disponibilité restreinte de donneurs, des toxicités associées à la transplantation ainsi que des complications à long terme. En l'absence de greffe, les options thérapeutiques restent limitées pour les patients atteints d'AF et d'AFN.

Cette étude a pour objectif de décrire les caractéristiques cliniques et démographiques, la mortalité, les consommations de soin ainsi que le fardeau économique chez les patients atteints de AF et AFN en France.

2. Qui réalise cette étude ?

Cette étude est conduite par la Oracle France SAS et la CO-BNDMR, à la demande des laboratoires Rocket Pharmaceutical. Elle inclut par un comité scientifique d'experts sélectionnés par le responsable de traitement, composé du Pr Thierry Leblanc et du Dr Nizar Mahlaoui.

Le responsable de traitement est le laboratoire Rocket Pharmaceutical, représenté par Miranda Bailey, Directrice Senior, Economie de la Santé (HEOR). Addresse: 9 Cedarbrook Drive, Cranbury, NJ 08512

Le responsable de mise en œuvre du traitement, destinataire des données, est Oracle France SAS, représenté par Geneviève Bonnelye, Directrice Global de la Recherche Clinique et de Génération d'Evidence à Partir de Données de Monde Réel. Adresse : 198 Avenue de France, 75013, Paris

Comment cette recherche est-elle encadrée ?

Le traitement est fondé sur l'article 6 1. e) du RGDPD : « 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 conforme à l'article 9 2. j) du RGPD (recherche scientifique)

La recherche a obtenu l'avis favorable du comité scientifique de la BNDMR le 1er mars 2024 et le traitement de données a été déclaré à la CNIL et est répertorié sur le répertoire des projets https://www.health-data-hub.fr/projets.

Oracle France SAS a pris toutes les mesures pour mener cette recherche conformément aux dispositions du Code de la santé Publique applicables aux recherches n'impliquant pas la personne humaine, et a obtenu l'avis favorable du Comité d'Expertise pour les Recherches, les Etudes et les Evaluations dans le domaine de la Santé pour cette recherche ainsi que l'autorisation de la CNIL,

3. Quelles données me concernant, comment sont-elles traitées et qui sont les destinataires ?

La première source de données est la BNDMR, contenant des informations administratives et médicales, incluant :

- Informations administratives pseudonymisées (sexe, mois et année de naissance)
- Statut vital (date de décès, cause)
- Parcours de soins (lieu et date de prise en charge)
- Activité(s) de soins (date, contexte)
- Diagnostic(s) (maladie)
- Histoire de la maladie (âge aux premiers symptômes, âge au diagnostic)

Ces données seront chainées aux données issues du SNDS, qui comprend notamment :

- Informations sur le bénéficiaire (sexe, mois et année de naissance, etc.)
- Pathologies, notamment les affections de longue durée et les diagnostics 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.)
- Statut vital, date de décès et causes médicales de décès

Ces données seront mises à disposition sur la plateforme sécurisée de la CNAM, avec pour destinataire de responsable de mise en œuvre. L'accès aux données et leur analyse se fera dans un cadre d'hébergement très restrictif respectant le référentiel de sécurité du SNDS, qui garanti la traçabilité des accès et des traitements, la confidentialité des données et leur intégrité.

4. 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 demander 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'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 d'accès vous permet de demander à consulter les données vous concernant et à en obtenir une copie ;
- 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 remplir le formulaire en ligne disponible à l'adresse : http://bndmr.fr/transparence/mes_droits ou contacter le délégué à la protection des données personnelles à protection.donnees.dsi@aphp.fr). Il est également prévu que les coordonnées des correspondants à contacter pour exercer les droits soient disponibles sur le site internet du groupement d'intérêt public Health Data Hub.

Concernant les données contenues dans le SNDS, toute personne dispose d'un droit d'opposition si elle ne souhaite pas que les données qui la concernent fassent l'objet d'une utilisation à des fins de recherche. Ces droits s'exercent localement auprès du directeur de la CNAM à laquelle la personne est rattachée, conformément à l'article 111 du décret d'application de la loi Informatique et Libertés. Cette procédure est détaillée sur le site www.snds.gouv.fr/SNDS/Protection-de-la-donnee .

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).

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

Les données des patients 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. La durée d'accès aux données SNDS est de trois ans à compter de la dernière mise à disposition des données.

6. Un transfert de mes données hors UE est-il prévu ?

Aucun