



Epidemiology, Management and Burden of Duchenne Muscular Dystrophy (DMD) in Real Life in France – EpiDuch



NOTE D'INFORMATION

1. Qu'est-ce que EpiDuch ?

L'étude EpiDuch vise à décrire l'épidémiologie de la dystrophie musculaire de Duchenne (DMD), son histoire naturelle et sa prise en charge, ainsi qu'à estimer le fardeau économique de la DMD en France.

Le principal traitement pharmacologique disponible pour traiter la DMD est la corticothérapie et les patients présentant une mutation non-sens (environ 10 %) peuvent être traités avec l'Ataluren. Roche développe actuellement une thérapie génique dans la DMD dont l'essai clinique de phase III EMBARK est en cours chez des garçons ambulatoires de 4 à 7 ans. Afin d'alimenter le dossier de demande de remboursement de ce médicament innovant avec des données françaises récentes, Roche met en place cette étude de génération de données en vie réelle. Elle traitera des données de patients enregistrés dans la BNDMR entre janvier 2014 et décembre 2023, 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 et l'ensemble des recours aux soins des patients présentant une dystrophie musculaire de Duchenne.

2. Qui réalise cette étude ?

Cette étude est conduite par la société Stève consultants, à la demande du laboratoire Roche. Elle est financée par le laboratoire Roche et est dirigée par un comité scientifique d'experts représenté par Julia Bonastre, économiste de la santé à l'institut Gustave Roussy, par Dr Laure Le Goff, neuropédiatre aux Hospices Civiles de Lyon (HCL) et par Dr Cécile Halbert, neuropédiatre à l'Assistance Publique Hôpitaux de Marseille (AP-HM).

Roche SAS, 4 Cours de l'Île Seguin, 92100 Boulogne-Billancourt, est le responsable de traitement et Stève consultant, sous-traitant de Roche SAS.

3. Comment cette recherche est-elle encadrée ?

Le traitement de vos données est fondé sur l'intérêt légitime de Roche, en tant qu'entreprise du médicament, à réaliser des recherches médicales pour ainsi mieux comprendre les pathologies pour lesquelles elle développe des médicaments conformément aux articles 6 du RGPD et 5 de la Loi Informatique et Libertés.

Le traitement de vos données de santé est nécessaire à des fins de recherche scientifique.

Les objectifs de l'étude sont conformes aux finalités définies aux articles L. 14611 III et R. 14611 du code de la santé publique concernant l'accès aux bases de données du Système National des Données de Santé (SNDS).

La recherche a obtenu l'avis favorable du comité scientifique de la BNDMR le 03/11/2023.

Roche 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, le 16/11/2023, du Comité

d'Expertise pour les Recherches, les Etudes et les Evaluations dans le domaine de la Santé (CESREES) pour cette recherche ainsi que l'autorisation de la CNIL le 03/05/2024.

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

La première source de données est l'entrepôt de données de santé BNDMR qui 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 : le mois et l'année de naissance, sexe ; le lieu de résidence, le type de mutation, les traitements, l'âge aux premiers signes, l'âge au diagnostic, la prise en charge, le mois et l'année des événements de prise en charge (consultations médicales et paramédicales, examens, dispositifs médicaux, ...).

La seconde source de données, le Système National des Données de Santé (SNDS) ou données de l'assurance maladie, comprend : les 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, la complémentaire santé solidaire) ;
□ Informations sur les professionnels de santé (spécialité, mode d'exercice, sexe, âge, département d'implantation), les affections de longue durée et les maladies diagnostiquées lors des séjours hospitaliers, les 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.) et le statut vital.

Ces deux bases de données seront appariées, c'est-à-dire que les données du SNDS permettront de compléter les données issues de la BNDMR. Stève consultant sera chargé de ce rapprochement entre les deux sources de données dans un environnement informatique sécurisé de la Caisse Nationale de l'Assurance Maladie (CNAM).

Vos données personnelles seront traitées de manière strictement confidentielle tout au long de cette étude. Elles seront codées, c'est-à-dire que vous êtes identifié(e) par un numéro de code pour les besoins de l'étude, sans mention de vos noms et prénoms.

Les données individuelles codées des personnes concernées sont accessibles aux personnels strictement habilités de la société Stève Consultant (sous-traitant de Roche SAS).

Roche SAS n'aura pas accès aux données codées de l'étude Epiduch et n'aura accès qu'aux résultats des analyses effectuées par Stève consultant (données anonymes).

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

A tout moment, vous pourrez demander à y avoir accès, à les faire rectifier, à demander la limitation de leur utilisation ou leur effacement. En outre, vous pouvez vous opposer à l'utilisation de vos données dans le cadre de l'étude Epiduch.

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.

Roche SAS n'ayant pas accès à votre identité, il est recommandé de vous adresser, dans un premier temps, à l'APHP via le formulaire disponible à l'adresse http://bndmr.fr/transparence/mes_droits ou de contacter le délégué à la protection de l'APHP (protection.donnees.dsi@aphp.fr).

Vous pouvez, si vous le préférez, exercer vos droits en contactant directement le délégué à la protection des données de

Roche par courrier (Roche, 4 Cours de l'Île Seguin 92650 Boulogne-Billancourt) ou par email (france.donneespersonnelles-pharma@roche.com) qui répondra à votre demande en coordination avec le médecin et les professionnels impliqués dans l'étude. Dans ce cas, votre identité (prénom, nom) sera transmise au délégué à la protection des données de Roche SAS.

Pour ce qui concerne les données du SNDS, si vous le souhaitez, vous disposez également d'un droit d'accès et de rectification ainsi que d'un droit d'opposition, notamment pour l'utilisation de vos dans le cadre de cette étude.

Conformément au Code de la Santé Publique (CSP), si vous souhaitez exercer vos droits et notamment vous opposer au traitement de vos données nécessaires aux besoins de cette étude, il convient de vous adresser directement au directeur de la caisse maladie à laquelle vous êtes rattaché.

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 personnelles traitées dans cette étude seront stockées et analysées sur l'environnement sécurisé de la CNAM. Ces données ne seront conservées que pour une durée strictement nécessaire à la réalisation de l'étude, comprenant la durée d'analyse des données (3 ans) conformément à l'autorisation CNIL octroyée le 3 mai 2024 Elles seront ensuite supprimées.

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

Aucun