Épidémiologie, caractéristiques des patients, mortalité, schéma de traitement et utilisation des ressources de santé, associés à certaines interféronopathies de type 1 – Comparaison à des témoins en population générale.

NOTE D'INFORMATION

destinée aux patients atteints d'une interféronopathie de type 1 et aux témoins non atteints d'une interféronopathie de type 1

1. Qu'est-ce que l'étude « Épidémiologie, caractéristiques des patients, mortalité, schéma de traitement et utilisation des ressources de santé associés à certaines interféronopathies de type 1 » ?

Il existe très peu de données sur l'épidémiologie, l'évolution naturelle de la maladie, les caractéristiques des patients, la prise en charge thérapeutique, le poids économique et la mortalité des patients présentant une interféronopathie de type 1 en France.

Le laboratoire Boehringer Ingelheim International GmbH souhaite donc réaliser une étude avec les objectifs suivants :

- Estimer la fréquence et la mortalité des interféronopathies de type 1 en France.
- Décrire les caractéristiques des patients et de la maladie (âge, sexe, pays de résidence, antécédents familiaux, statut socio-économique, délai entre les premiers symptômes et le diagnostic, complications)
- Estimer le taux de complications liées aux interféronopathies de type 1
- Décrire la prise en charge médicale de la maladie depuis son diagnostic et estimer les coûts
- Décrire la prise en charge thérapeutique et estimer les coûts qui y sont liés
- Comparer la mortalité, les comorbidités et les consommations de soins avec un groupe témoin en population général, d'après les données pseudonymisées issues de la base nationale de remboursement de l'assurance maladie (base SNDS).

Ainsi, cette étude pourrait contribuer à améliorer la prise en charge des interféronopathies de type 1 et soutenir le développement de nouvelles thérapies.

2. Qui réalise cette étude ?

Cette étude est conduite par la BNDMR de l'AP-HP et financée par le Laboratoire Boehringer Ingelheim International GmbH. Elle est dirigée par un comité scientifique d'experts sélectionnés par Boehringer Ingelheim International GmbH et représenté par :

- Pr Anne-Sophie JANNOT, Directrice médicale de la BNDMR
- Pr Isabelle Melki, Professeur d'immunohématologie and rhumatologie pédiatrique– APHP
- Pr Marie-Louise Fremond, Professeur d'immunohématologie and rhumatologie pédiatrique – APHP
- Pr Alexandre Belot, Professeur de néphrologie-rhumatologie -dermatologie pédiatrique– CHU Lyon HCL

Le responsable de traitement est Boehringer Ingelheim International GmbH - Binger Straße 173 - 55216 Ingelheim am Rhein – Germany.

Le responsable de la mise en œuvre du traitement (qui réalisera les analyses statistiques à partir des données pseudonymisées recueillies dans le cadre de cette étude) est la société CEMKA – 43 boulevard du

Maréchal Joffre 92340 Bourg la Reine, France. Seul Cemka sera le destinataire de l'ensemble des données pseudonymisées[1].

La Plateforme des données de santé (Health Data Hub) fournira les données pseudonymisées décrites dans le protocole de l'étude à Cemka.

Le Health data Hub (HDH) mettra à disposition les données de la BNDMR associées aux données du SNDS pour les patients atteints de la maladie ainsi que les données du SNDS pour les patients non atteints de la maladie (témoins).

L'ensemble de ces données pseudonymisées ne seront accessibles et analysables qu'à travers la plateforme sécurisée du HDH.

3. Comment cette recherche est-elle encadrée ?

La mise en œuvre de ce traitement est nécessaire aux fins des intérêts légitimes poursuivis par le Laboratoire Boehringer Ingelheim International GmbH, à savoir de contribuer à l'amélioration de la prise en charge des interféronopathies de type 1 et de soutenir le développement de nouvelles thérapies. Ainsi que de favoriser la recherche et l'innovation scientifique dans ce domaine, tout en soutenant sa propre viabilité économique (Article 6.1.f du RGPD). Par ailleurs, le Laboratoire Boehringer Ingelheim International traite vos données dans le cadre de la recherche scientifique conformément à l'exception prévue à l'article 9.2.j du RGPD, et dans le respect des conditions prévues par la réglementation en vigueur.

La recherche a obtenu l'avis favorable du comité scientifique de la BNDMR le 13/02/2025 et le traitement de données a été déclaré conformément à la MR004 (Traitement de données à caractère personnel effectué dans le cadre de recherches n'impliquant pas la personne humaine, d'études et d'évaluations dans le domaine de la santé) sur le répertoire des projets https://www.health-datahub.fr/projets sous le numéro 25220989. L'étude fera également l'objet d'une demande d'autorisation auprès du CESREES et de la CNIL pour le 2e volet de l'étude, à savoir le traitement des données pseudonymisées mise à disposition par le HDH (données de la BNDMR, données de remboursement de l'Assurance Maladie et données pseudonymisées du Système Nationale de Données de Santé, SNDS – disponibles dans le catalogue du HDH).

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

Cette étude est rétrospective et porte uniquement sur des données déjà collectées et pseudonymisées. Elle ne nécessite aucune consultation supplémentaire ni examen additionnel pour les patients.

Les données proviennent de deux sources :

La BNDMR (APHP) : pour les années 2011 à 2025, appariées avec la base principale du Système national des données de santé (BP du SNDS) dans le cadre de sa mise au catalogue. Seuls les patients pour lesquels les interferonopathies de type 1 ont été identifiées sur la base des codes ORPHA spécifiques seront concernés.

Le Système National des Données de Santé (SNDS) : Données de l'Assurance Maladie (soins de ville, hospitalisations, décès) pour compléter le suivi à long terme (2008-2025).

[1] *«pseudonymisation» : traitement de données à caractère personnel de telle façon que celles-ci ne puissent plus être attribuées à une personne concernée précise sans avoir recours à des informations supplémentaires, pour autant que ces informations supplémentaires soient conservées séparément et soumises à des mesures techniques et organisationnelles afin de garantir que les données à caractère personnel ne sont pas attribuées à une personne physique identifiée ou identifiable.*

Seule la société Cemka aura accès à l'ensemble des données pseudonymisées pour les analyses statistiques.

Patients souffrant d'interféronopathie de type I, inclus à partir de la BNDMR :

Les catégories de données traitées sont :

Pour la BNDMR :

- Informations administratives (Date de naissance du patient, sexe du patient, pays de naissance, pays de résidence)
- Informations familiales (consanguinité)
- Statut vital (Statut vital du patient, Date de décès du patient, Décès dû à la maladie rare ou non, Cause principale du décès)
- Parcours de soins (Patient adressé par, Date d'inclusion du patient dans le site)
- Activité de soins (Date de l'activité réalisée pour la maladie rare, Contexte de l'activité, Objectifs de l'activité, Profession du personnel réalisant l'activité)
- Histoire de la maladie (Age aux premiers signes, Appréciation du diagnostic à l'entrée du site Maladies Rares, Age au diagnostic)
- Diagnostic (Statut actuel du diagnostic, Diagnostic de la maladie rare, Signes complémentaires associés à la maladie, Signe(s) inhabituel(s) associé(s) à la maladie rare, Cas sporadique ou familial)
- Confirmation du diagnostic (Investigations réalisées)
- Traitements pour la maladie
- Données anté et néonatales (Taille, tours de tête et poids à la naissance)
- Données de remboursement de l'assurance maladie (données SNDS) de 2008 à 2025

Pour la population témoin issue du SNDS:

- Informations administratives (Date de naissance du patient, sexe du patient, pays de naissance, pays de résidence)
- Statut vital (Statut vital du patient, Date de décès du patient, Cause principale du décès)
  Données de remboursement de l'assurance maladie (données SNDS) de 2008 à 2025

Les données du SNDS qui seront utilisées seront l'ensemble des soins de santé remboursés en France en ville (issues du Système National d'Information InterRégimes de l'Assurance Maladie, SNIIRAM) ou à l'hôpital (Programme de Médicalisation des Systèmes d'information, PMSI), pour plus d'information sur le SNDS, rendez-vous sur https://www.snds.gouv.fr/SNDS/Qu-est-ce-que-le-SNDS.

Il s'agit des données du SNDS recueillies entre le 1ier janvier 2008 et le 31 décembre 2025.

Date prévue de fin d'étude : 2029

Seule la société Cemka sera le destinataire de l'ensemble des données pseudonymisées.

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 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 , il faut contacter le délégué à la protection des données du responsable de traitement, le laboratoire Boehringer Ingelheim International GmbH. Voici les coordonnées dont vous avez besoin :

Responsable de traitement	Coordonnées électroniques	Coordonnées postales
Laboratoire Boehringer Ingelheim	protection_donnees@boehringeringelheim.com	avenue Tony Garnier 29, Lyon F-69007

Si vous estimez que vos droits concernant l'utilisation 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/plaintes ou CNIL - Service des Plaintes - 3 Place de Fontenoy - TSA 80715 - 75334 PARIS CEDEX 07). La CNIL est l'autorité de contrôle chargée de surveiller l'application des règles relatives à la protection des données, afin de protéger les libertés et droits fondamentaux des personnes physiques à l'égard d'un traitement de données.

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

Les données des patients pseudonymisées ne sont pas exportées sur les serveurs de Cemka et ne sont par conséquents pas archivées. Les accès aux données seront fermés par les responsables de la plateforme à la fin de l'étude.

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

Aucun transfert hors UE n'est prévu.