

Efficacité du Tofersen pour le traitement des patients atteints de SLA porteurs d'une mutation SOD1 dans un contexte de vie réelle : étude française multicentrique, rétrospective et non-interventionnelle.

NOTE D'INFORMATION

1. Quel est le but de cette recherche ?

Le Tofersen a été approuvé par l'EMA (Agence Européenne du Médicament) en mai 2024 pour le traitement de patients adultes atteints de Sclérose Latérale Amyotrophique (SLA) en lien avec une mutation pathogène dans le gène SOD1.

Cette approbation par l'EMA est basée sur les résultats de l'étude de phase 3 VALOR et de son extension en ouvert (phase durant laquelle tous les patients reçoivent le traitement et non le placebo). L'étude a en effet montré une diminution significative du taux de neurofilaments à chaîne légère (NfL), un biomarqueur de progression de la maladie, et une diminution de la concentration de la protéine SOD1 dans le liquide céphalo-rachidien. Cependant l'efficacité du Tofersen n'a pu être démontrée à 6 mois sur le critère clinique (échelle fonctionnelle ALSFRS-R).

Ces résultats très encourageants ont permis via l'Agence de Sécurité du Médicament, un accès compassionnel depuis 2022. Le suivi des patients est mensuel et comprend la collecte de données cliniques, biologiques et de sécurité conformément au Protocole d'Utilisation Thérapeutique (PUT).

Nous proposons d'analyser ces données en vie réelle pour les patients qui ont pu bénéficier du traitement par Tofersen. Nous souhaiterions également pouvoir comparer l'efficacité du Tofersen à des données de suivi de patients porteurs de la mutation SOD1 et non traités. Il s'agit des patients diagnostiqués depuis 2008. Pour ce faire, nous avons besoin de réutiliser vos données de suivi clinique qui ont été collectés lors de votre prise en charge dans un centre SLA Français.

2. Qui réalise cette étude ?

Cette étude est conduite par la filière maladies rares FILSLAN. Elle est dirigée par un comité scientifique d'experts représenté par Pr. Philippe Couratier, PUPH, CHU de Limoges. Le responsable de traitement est le CHU de Limoges, 2, avenue Martin Luther King 87042 Limoges Cedex.

3. Comment cette recherche est-elle encadrée ?

Le traitement des données est fondé sur l'article 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 conforme à l'article 9 2. i) « intérêt public dans le domaine de la santé publique » du règlement général sur la protection des données (RGPD).

Le traitement de données a été déclaré sur le répertoire des projets « Health data Hub »

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

L'étude traitera des données de patients présentant une SLA et porteurs d'une mutation génétique SOD1 et non opposés à la réutilisation de leurs données personnelles pour la recherche.

Les données collectées seront pseudonymisées (sans aucune donnée nominative ou directement identifiante) et seront limitées aux données administratives (sexe, mois et année de naissance, statut vital), et à l'histoire de la maladie (diagnostic clinique et génétique, phénotype, traitement, score ALSFRS-R, évaluation respiratoire (CVL), utilisation éventuelle d'un appareillage de ventilation, alimentation). Il s'agit de données déjà présentes dans votre dossier médical et qui sont recueillies, si vous ne vous y êtes pas opposé(e) auprès de votre neurologue référent, dans la base de données nationale SLA créée à l'initiative du Groupe Français d'Etude des Maladies du Motoneurone (GFEMM) qui a été déclarée à la CNIL sous le numéro 1244525

Les analyses seront réalisées au sein du CHU de Limoges.

Seuls les statisticiens et les responsables scientifiques de la recherche auront droit d'y accéder et de traiter les données.

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, l'effacement ou la limitation sans aucune conséquence sur la qualité des soins qui vous sont prodigués, ni sur 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 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.

Si vous vous opposez à la réutilisation de vos données, merci de renvoyer le coupon ci-dessous à votre neurologue traitant dans un délai d'un mois après réception de cette lettre d'information. Dans ce cas, vos données ne seront pas intégrées à l'étude.

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 des patients peuvent être conservées jusqu'à deux ans après la dernière publication des résultats de la recherche dans un journal scientifique ou, en cas d'absence de publication scientifique, 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 ?

Non, il n'y aura pas de transfert de vos données hors UE

Coupon d'opposition à la réutilisation de mes données pour l'étude

Coupon à envoyer par courrier au neurologue en charge de votre suivi.

Coupon à retourner si opposition à l'adresse suivante :

Secrétariat du Pr/Dr..... Service de..... _
(Compléter l'adresse du neurologue qui vous prend en charge)

Je m'oppose à la réutilisation de mes données cliniques pour l'étude évaluant l'efficacité du Tofersen pour le traitement des patients atteints de SLA porteurs d'une mutation SOD1 dans un contexte de vie réelle : étude française multicentrique, rétrospective et non-interventionnelle.

NOM DE NAISSANCE :

.....

NOM USUEL :

.....

Prénom :

.....

Date de naissance :

.....