

NOTE D'INFORMATION COLLECTIVE

ÉTUDE RÉTROSPECTIVE NON-INTERVENTIONNELLE

Titre de l'étude : Caractéristiques cliniques, mortalité et fardeau économique des patients atteints d'anémie de Fanconi et des anomalies fonctionnelles des neutrophiles en France : Etude rétrospective basé sur le SNDS chaîné à la BNDMR.

Promoteur et responsable du traitement des données de l'étude : laboratoire Rocket Pharmaceutical, 9 Cedarbrook Drive Cranbury, NJ 0851, USA

Délégué à la protection des données du promoteur : rocket.dpo@mydata-trust.info

Organisme de recherche clinique en charge de la réalisation de l'étude : Oracle France SAS, 198 avenue de France, 75013 Paris, France

Madame, Monsieur,

Le laboratoire Rocket Pharmaceutical mène actuellement une étude non interventionnelle et rétrospective portant sur l'anémie de Fanconi et les anomalies fonctionnelles des neutrophiles.

Le laboratoire Rocket Pharmaceutical, promoteur de cette étude a commissionné Oracle France S.A.S. (organisme de recherche sous contrat), et désigné comme sous-traitant des données conformément à l'article 28 du GDPR, afin de réaliser cette étude en France.

1. Finalité du traitement

Il s'agit d'une étude non interventionnelle et longitudinale, réalisée à partir de l'extraction de la base principale du Système National des Données de Santé (SNDS) chaînée aux données de la Banque Nationale Données Maladies Rares (BNDMR). 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 d'anémie de Fanconi et d'anomalies fonctionnelles de neutrophiles en France.

2. Justification de l'intérêt public du traitement

Le traitement des données mis en place pour cette étude est nécessaire à l'intérêt légitime poursuivi par le laboratoire Rocket Pharmaceutical. Il s'agit d'un intérêt de santé publique consistant à élargir les connaissances sur l'anémie de Fanconi et les anomalies fonctionnelles des neutrophiles et leur prise en charge en France.

3. Catégories des données à caractère personnel

Les informations recueillies comprendront les données démographiques, les données cliniques et les coûts. Les résultats des analyses ne contiendront jamais les données personnelles des patients participants à l'étude. Ils présenteront uniquement les résultats statistiques combinés considérés comme des données anonymes.

Afin de répondre aux objectifs de l'étude, deux sources de données seront mobilisées sur la période 2010 – 2023 :

Les données du Système National des Données de Santé (SNDS): comprenant les données de l'assurance maladie (SNIIRAM), les données des hôpitaux (PMSI), et les données des causes médicales de décès (base du CépiDC). Les analyses seront réalisées directement sur le portail de la CNAM. Le promoteur recueille uniquement les résultants des analyses de données agrégées.

L'analyse portera sur les données suivantes : les caractéristiques des patients (mois et année de naissance, sexe, comorbidités), les traitements reçus, les examens et consultations réalisés par les patients, les consommations de ressource de soins et coûts associés, la mortalité et les causes de décès.

Les données de la Banque NDMR : ont été recueillies lors de la prise en charge des patients dans un centre maladies rares. Les données de cette plateforme seront ensuite appariées aux données du Système National des Données de Santé (SNDS) qui est géré par la Caisse Nationale de l'Assurance Maladie (CNAM), et sont anonymes. Les analyses portant sur les données appariées seront réalisées sur le portail de la CNAM.

Les données pseudonymisées issues de la BNDMR sont : mois et année de naissance, sexe, date de décès, cause de décès, date et lieu d'hospitalisation, activité(s) de soins (date, contexte), diagnostics(s), histoire de la maladie (âge aux premiers symptômes, âge au diagnostic).

4. Destinataires des données à caractère personnel

Oracle France SAS, société de droit français dont le siège social est situé au 198 avenue de France 75013 Paris, France, immatriculé au registre du commerce et des sociétés de ville sous le numéro 33509231800187.

5. Transfert des données à caractère personnel en dehors de l'UE/EEE

Aucun transfert de données en dehors de l'UE/EEE n'est effectué.

6. Durée de conservation des données à caractère personnel

L'accès à l'extraction de données SNDS est fourni par la CNAM pour une durée de 3 ans à partir de la mise à disposition des données.

7. Droits en matière de protection des données à caractère personnel

Cette étude est menée de manière à assurer la plus stricte confidentialité des patients et de leurs données médicales. Toutes les données médicales seront conservées et traitées en toute confidentialité conformément à la réglementation européenne en vigueur depuis le 25 mai 2018 relative à la protection des données et la confidentialité (Règlement général sur la protection des données 2016/679, aussi appelé « RGPD ») et conformément à la loi Informatique et Libertés du 6 janvier 1978.

L'étude a été examinée et approuvée par le Comité éthique et scientifique pour les recherches, les études et les évaluations dans le domaine de la santé en France (CESREES) en charge d'évaluer la finalité, la pertinence éthique et scientifique de la recherche et par la Commission Nationale de l'Informatique et des Libertés (CNIL) en charge de veiller à ce que le traitement de vos données respecte l'ensemble des obligations prévues par le RGPD et la loi Informatique et Libertés du 6 janvier 1978.

Bien que l'étude soit menée uniquement à des fins de recherche, il n'existe pas d'obligation d'utiliser vos données dans le cadre de cette étude. Tous les patients éligibles peuvent exprimer leurs droits d'accès, de rectification et d'opposition à la réutilisation de leurs données dans le cadre de cette étude.

Si vous avez des questions concernant vos droits et le traitement de vos données, ou si vous souhaitez formuler une réclamation, vous pouvez contacter votre autorité locale de protection des données : Commission Nationale de l'Informatique et des Libertés (CNIL), via son site internet <https://www.cnil.fr/fr/plaintes> ou par courrier à l'adresse suivante : Commission Nationale de l'Informatique et des Libertés – CNIL, 3 Place de Fontenoy, TSA 80715 – 75334 Paris, CEDEX 07.

Vous pouvez également consulter la liste des analyses menées sur la BNDMR sur : www.bndmr.fr/espace-patients/transparence/. Sinon, vous pouvez vous adresser à l'équipe de la BNDMR via le formulaire en ligne disponible à l'adresse suivante : www.bndmr.fr/espace-patients/mes-droits/.

Enfin, une description de l'étude est disponible dans le répertoire public des projets du Health Data Hub, à l'adresse suivante : <https://www.health-data-hub.fr/>. Ce site Internet ne contiendra aucune information permettant de vous identifier. Il comprendra au mieux un résumé scientifique du protocole de l'étude et, lorsqu'ils seront disponibles, une référence aux résultats de l'étude. Vous pouvez accéder à ce site Internet à tout moment.

Collective Information Note

RETROSPECTIVE NON-INTERVENTIONAL STUDY

Clinical characteristics, mortality and economic burden of patients with Fanconi anemia and functional deficit of neutrophils in France: a retrospective study based on the SNDS linked to the BNDMR.

Sponsor and data controller of the study: Rocket Pharmaceutical, 9 Cedarbrook Drive Cranbury, NJ 0851, USA

Data protection officer of the promoter: rocket.dpo@mydata-trust.info

Data processor : Oracle France SAS, 198 avenue de France, 75013 Paris, France

Rocket Pharmaceutical is currently conducting a retrospective non-interventional study on Fanconi's anemia and functional deficit of neutrophils.

Rocket Pharmaceutical, promoter of this study, commissioned Oracle France S.A.S. (contracted research organization), and designated as a data processor in accordance with Article 28 of the GDPR, to carry out this study in France.

1. Purpose of Processing

This is a non-interventional and longitudinal study, carried out from an extraction of the database of the National Health Data System (SNDS) linked to the data of the French National Database of Rare Diseases (BNDMR). The aim of this study is to describe clinical and demographic characteristics, mortality, resource consumption and economic burden in patients with Fanconi anemia and functional deficit of neutrophils in France.

2. Justification of the public interest of the study

The processing carried out as part of this study is based on the legitimate interests of Rocket Pharmaceutical, in its capacity as a healthcare industrial company, pursuing an objective of public health interest to expand knowledge on Fanconi anemia and functional deficit of neutrophils and their treatment in France.

3. Personal data categories

The information collected will include demographic data, clinical data, and costs. The results of the analyses will never contain the personal data of the patients participating in the study. They will only present the aggregated statistical results considered anonymous data.

In order to meet the study's objectives, two data sources will be used over the period 2010 – 2023:

National Health Data System (SNDS) data: including health insurance data (SNIIRAM), hospital data (PMSI), and medical causes of death data (CépiDC basis). The analyses will be carried out directly on the CNAM portal. The sponsor received only the results of the aggregated data analyses.

The analysis will focus on the following data: patient characteristics (month and year of birth, sex, comorbidities), treatment received, consultations, healthcare resource consumption and associated costs, mortality and causes of death.

French National Database of Rare Diseases (BNDMR) data: Data was collected during the management of patients in a rare disease center. The data on this platform will then be linked to the data of the National Health Data System (SNDS) which is managed by the National Health Insurance Fund (CNAM) and will be anonymous. Analyses of the linked data will be carried out on the CNAM portal.

The pseudonymized data from the BNDMR are: month and year of birth, sex, date of death, cause of death, date and place of hospitalization, care pathway (date, context), diagnosis(s), history of the disease (age at first symptoms, age at diagnosis).

4. Personal Data Recipients

Oracle France SAS, a French company headquartered in 198 avenue de France 75013 Paris, France, registered in the Trade and Companies Register under number 33509231800187.

5. Transfer of Personal Data Outside the EU/EEE

No data transfer outside the EU/EEE will be performed.

6. Personal Data Retention Period

Access to SNDS data extraction is provided by the CNAM for a period of 3 years from the availability of the data.

7. Rights for the protection of personal data

This study is conducted to ensure the strictest confidentiality of patients and their medical data. All medical data will be kept and treated confidentially in accordance with the European regulations in place since 25 May 2018 on data protection and confidentiality (General Data Protection Regulation 2016/679, also called "GDPR") and in accordance with the Data Protection Act of 6 January 1978.

The study was reviewed and approved by the Ethical and Scientific Committee for Health Research, Studies and Assessments in France (CESREES) in charge of assessing the purpose, ethical and scientific relevance of the study research, and by the Commission Nationale de l'Informatique et des Libertés (CNIL) in charge of ensuring that the processing of your data complies with all the obligations provided for by the GDPR and the French Data Protection Act of 6 January 1978.

Although the study is conducted solely for research purposes, there is no requirement to use your data for this study. All eligible patients can express their rights of access, rectification and opposition to the use of their data as part of this study.

If you have any questions about your rights and the processing of your data, or if you wish to make a complaint, you can contact your local data protection authority: National Commission for Informatics and Libertés (CNIL), via its website <https://www.cnil.fr/fr/plaintes> or by mail to the following address: Commission Nationale de l'Informatique et des Libertés – CNIL, 3 Place de Fontenoy, TSA 80715 – 75334 Paris, CEDEX 07.

You can also see the list of analyses conducted on the BNDMR at: www.bndmr.fr/espace-patients/transparence/. You can also contact the BNDMR team via the online form available at www.bndmr.fr/espace-patients/mes-droits/.

Finally, a description of the study is available in the Health Data Hub's public project directory at <https://www.health-data-hub.fr/>. This website will not contain any information to identify you. It will include a scientific summary of the study protocol and, when available, a reference to the study results. You can access this website at any time.