

Set de Données Minimum Traitement (SDM-T) : module de collecte de données d'efficacité et de sécurité des traitements en accès dérogatoire de la BNDMR



Solange ROUMENGOUS, Matthieu BENOITON, Anne-Sophie JANNOT

Banque Nationale de Données Maladies Rares – BNDMR, AP-HP – Département Innovation et Données (I&D), Campus Picpus, 33 Bd de Picpus, 75012 Paris (France)



• Auteur correspondant : solange.roumengous@aphp.fr

Résumé

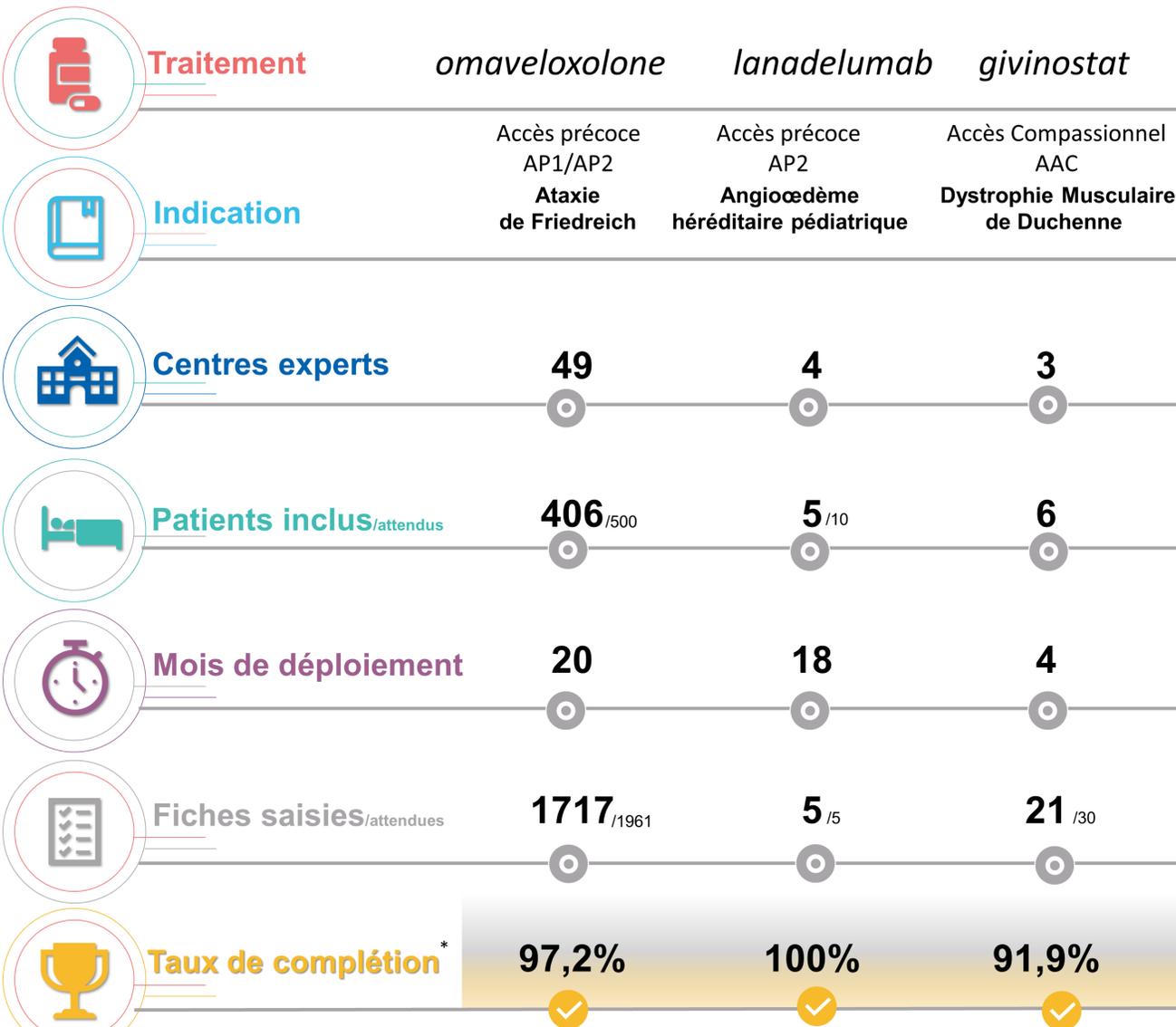
La collecte de données dans le cadre d'Autorisations d'Accès Précoces (AAP) et Compassionnels (AAC) est essentielle pour que les autorités de santé (ANSM et HAS) puissent évaluer l'efficacité et la sécurité des traitements avant leur mise sur le marché ou en vue d'une nouvelle indication.

Cette étude présente l'intégration de l'outil SDM-T dans l'application de suivi des patients atteints de maladies rares (BaMaRa) déployée dans les Centres Experts en France. Elle met en lumière l'adhésion des médecins à cet outil, détaille la méthode employée et décrit le circuit mis en œuvre pour faciliter la collecte et l'analyse des données. Ces collectes sont actuellement toujours en cours de réalisation.

Matériel et Méthodes

Le SDM-T a été intégré dans BaMaRa et activé dans les centres prenant en charge les patients pouvant bénéficier des traitements *omaveloxolone*, *lanadelumab* et *givinostat*. Les données sont renseignées en temps réel par les médecins lors des consultations médicales. Des champs obligatoires, des contrôles de cohérence et des alignements terminologiques sont programmés pour faciliter la saisie et les analyses. Les extractions de ces données pseudonymisées et/ou agrégées sont envoyées au Laboratoire responsable de traitement, afin de produire les rapports requis par les autorités de santé évaluatrices.

Résultats :



Filières de Santé Maladies Rares impliquées dans les recueils des données :



Conclusions:



Le SDM-T offre un outil robuste et simple pour la collecte de données dans les contextes des AAP et des AAC.

Les taux élevés de complétion des données (>95%) répondent aux attentes des autorités de santé et facilitent leurs prises de décisions.

Valorisation des données :



A la fin des accès dérogatoires, les données sont désidentifiées et versées dans l'entrepôt BNDMR pour permettre leur utilisation secondaire à des fins de recherche.

Perspectives:

Le SDM-T sera également bientôt déployé dans d'autres Accès Précoces et Compassionnels et proposé dans le cadre de demandes de Cadres de Prescriptions Compassionnels (CPC) pour évaluer les usages hors autorisations de mise sur le marché (hors-AMM).

• Biogen a financé la gestion de l'Accès Précoce *omaveloxolone* via le SDM-T de BaMaRa de l'AP-HP
 • Takeda a financé la gestion de l'Accès Précoce *lanadelumab* via le SDM-T de BaMaRa de l'AP-HP
 • Italfarmaco/EFFIK a financé la gestion de l'Autorisation d'Accès Compassionnel *givinostat* via le SDM-T de BaMaRa de l'AP-HP