



278-ème Atelier International de l'ENMC

Lieu : Hoofddorp, Pays-Bas

Titre : Normes européennes pour l'harmonisation des registres de myasthénie grave et solutions numériques émergentes

Date : 20-21 septembre 2024

Organisateurs : Prof. Sabrina Sacconi (France), Prof. Andreas Meisel (Allemagne), Prof. Renato Mantegazza (Italie)

Traductions de ce rapport par :

Nils Erik Gilhus : Norvégien

Fiammetta Vanoli : Italien

Sabrina Sacconi : Français

Elena Cortes Vicente : Espagnol

Jan Verschuuren : Néerlandais

Stanislav Vohanka : Tchèque

Susanna Breuner : Suédois

Marjan Cosyns : Belge

Frauke Stascheit : Allemand

Participants :

Anja Hoffmeister (représentante des patients, Allemagne), Lidgarde Allard (représentante des patients, Belgique), Peter-Bram Hoen (Pays-Bas), Nils Erik Gilhus (Norvège), Lorenzo Maggi (Italie), Adela Della Marina (Allemagne), Emmanuelle Salort Campana (France), Stanislav Vohanka (République tchèque), Fiammetta Vanoli (Italie), Renato Mantegazza (Italie), Sabrina Sacconi (France), Andreas Meisel (Allemagne), Elena Cortes Vicente (Espagne), Jan Verschuuren (Pays-Bas), Ernestina Santos (Portugal), Terenshina Evangelista (France), Suanna Brauner (Suède), Pascal Laforet (France), Matthieu Lusignan (France), Mohammad Ashragi (Royaume-Uni), Frauke Stascheit (Allemagne)

En ligne : Raqual Pardo (Espagne), Marjan Cosyns (Belgique)

Résumé

Informations de base

La myasthénie grave (MG) est une maladie auto-immune neurologique rare qui a récemment attiré une attention croissante en raison de la découverte de nouvelles approches thérapeutiques. Afin d'évaluer au mieux la valeur des nouveaux traitements dans le contexte des traitements standard et de la compréhension toujours améliorée de la physiopathologie, de grands ensembles de données multinationales provenant du monde réel des soins de la MG sont nécessaires. Une condition essentielle pour cela est l'harmonisation de la collecte de données afin de créer une base solide pour l'échange de données et la recherche.

Lors de cet atelier, des patients, des cliniciens et d'autres parties prenantes ont été impliqués pour discuter de l'intérêt de l'harmonisation des données entre différents registres européens de MG pour faciliter le partage de données, la collaboration et, en fin de compte, améliorer les normes de soins.

En tant qu'activité préparatoire avant la réunion, les organisateurs ont mis en œuvre un questionnaire Delphi pour parvenir à un consensus sur les données obligatoires et facultatives qui devraient être incluses dans tous les registres nationaux de MG. Les résultats de chaque tour ont ensuite été discutés entre tous les participants. De plus, les organisateurs ont collecté une enquête sur les registres nationaux européens de MG existants afin d'identifier les problèmes techniques, éthiques et économiques potentiels qui pourraient interférer avec la collecte et le partage des données. En outre, les patients ont également été impliqués dans la création d'un document d'information fournissant des connaissances sur la participation aux registres et ses implications.

Objectifs de l'atelier

L'objectif principal de la 278-ème réunion de l'ENMC était de promouvoir une collaboration entre les patients, les cliniciens et autres parties prenantes pour identifier les outils nécessaires à la création d'une initiative fonctionnelle de registre de MG. Le but ultime d'un registre de MG est d'améliorer la qualité des soins pour les patients, ce qui est réalisable grâce à la collecte de données significatives à grande échelle et de haute qualité sur la population européenne de MG. De plus, établir des éléments de données communs parmi différents registres est crucial pour l'harmonisation des données, ce qui est essentiel pour les initiatives de collaboration et de recherche, y compris les études épidémiologiques et cliniques, les essais cliniques, la pharmacovigilance, ainsi que fournir des données du monde réel sur de nouvelles thérapies.

Résultats de l'atelier / livrables :

Grâce au processus Delphi, les participants ont atteint un consensus sur une liste de **données obligatoires et facultatives** à inclure dans un registre de MG afin de faciliter le partage et la collaboration des données. L'importance **d'un formulaire de consentement éclairé** bien structuré et complet a également été prise en compte, qui doit être facile à comprendre et aborder des questions importantes telles que la propriété des données, l'anonymat des données et l'utilisation des données.

L'enquête a montré qu'en Europe, **8 registres nationaux de MG sont déjà actifs et 2 sont en cours d'activation**, avec des données concernant plus de 7 000 patients atteints de MG actuellement disponibles et potentiellement partageables.

Néanmoins, pour optimiser les futures collaborations au niveau européen, plusieurs aspects doivent être abordés et améliorés :

- **Le premier aspect clé** est d'intégrer **la perspective des patients et d'améliorer la communication avec eux**. Les patients apportent une expertise unique sur leur condition, qui doit être prise en compte lors de l'élaboration d'un registre de maladie. Les représentants des patients ont souligné que les outils actuels ne parviennent pas à capturer certains aspects critiques de la MG, de sorte que leur participation en tant que parties prenantes dans le développement d'un registre national de MG pourrait améliorer la collecte de données, en garantissant que leurs véritables besoins et problèmes soient abordés. De plus, les patients atteints de MG ont demandé à avoir accès à leurs propres données, à des fins d'auto-surveillance, ainsi qu'à participer à la saisie de données (par exemple, pour les résultats rapportés par les patients). Ce modèle d'implication active à plusieurs niveaux encouragera probablement l'engagement continu des patients dans la collecte des données.

- **Le deuxième aspect clé** est que les registres nationaux ont besoin **d'une structure de gouvernance claire**. Cela devrait idéalement comprendre un comité de pilotage ou de données, responsable de la gestion du registre, un comité consultatif médical, qui supervise les activités du comité de pilotage/de l'utilisation des données, et un comité consultatif de patients. La structure de gouvernance est responsable de la définition des méthodes de partage des données ainsi que de la désignation des responsables de la gestion de toute initiative de partage des données, tout en veillant à ce que les intérêts des personnes impliquées dans la création du registre soient bien représentés.

- **Le troisième aspect** nécessite que le registre repose sur **une infrastructure solide et un ensemble de données de base harmonisé**. La base de données devrait être construite aussi près que possible des principes FAIR (findabilité, accessibilité, interopérabilité et réutilisation), car cela garantit la cohérence et la reproductibilité de la collecte de données, qui sont essentielles pour établir des éléments de données communs et poser les bases de futures collaborations. Pour atteindre cet objectif et établir l'harmonisation des données, le registre devrait inclure les résultats du processus Delphi en termes de données obligatoires et facultatives, tout en considérant les principes de l'Initiative de registre des patients de l'EMA. Les solutions numériques, telles que les applications pour smartphones, peuvent être des outils supplémentaires facultatifs utiles pour une collecte de données plus détaillée et plus fréquente (par exemple, les mesures des résultats rapportés par les patients).

- **Le quatrième aspect** concerne **la durabilité financière**. Idéalement, un registre devrait être financé par des organismes publics ou des organisations de patients, qui garantissent un engagement continu et la viabilité à long terme du registre. Lorsque le financement provient d'entités privées, il est important de garantir transparence sur les sources de financement, la propriété des données et la signification d'une utilisation commerciale. Une approche de financement multi-sources est également préférable.

- **Le cinquième aspect est l'engagement à long terme.** Le succès d'un registre repose également sur une collecte de données de qualité à long terme. Cela dépend fortement de l'engagement des personnes impliquées dans le registre, y compris les patients et les prestataires de soins de santé, ce qui peut être encouragé en fournissant des retours d'information périodiques sur les initiatives du registre.

Prochaines étapes

Grâce à la participation de cliniciens, de gestionnaires de registres, de patients et d'autres parties prenantes, cet atelier a permis de définir les principes d'un registre de MG fonctionnel. Un consensus a été atteint sur les éléments de base à inclure dans le registre de MG par le biais d'un processus Delphi. En outre, un accent particulier a été mis sur la manière de créer des données FAIR qui permettront facilement le partage des données entre différents registres nationaux et la collaboration pour de futures initiatives de recherche. À terme, cela pourrait conduire à la création d'un registre européen, permettant de travailler sur des chiffres à grande échelle, ce qui est essentiel pour de nouvelles initiatives de recherche, avec pour objectif ultime d'améliorer la qualité des soins pour les patients.

Une autre réunion est prévue pour faire le suivi des objectifs atteints.