

## **278. mezinárodní seminář ENMC (287<sup>th</sup> ENMC International Workshop)**

**Místo konání:** Hoofddorp, Nizozemsko

**Název: Evropské standardy pro harmonizaci registrů myasthenia gravis a nová digitální řešení**

**Datum:** 20.-21. září 2024

**Organizátoři :** Prof. Sabrina Sacconi (Francie), Prof. Andreas Meisel (Německo), Prof. Renato Mantegazza (Itálie)

### **Překlady této zprávy:**

Nils Erik Gilhus: Norština

Fiammetta Vanoli: Italština

Sabrina Sacconi: Francouzština

Elena Cortes Vicente: Španělština

Jan Verschuuren: Nizozemština

Stanislav Vohanka: Čeština

Susanna Breuner: Švédština

Frauke Stascheit: Němčina

### **Účastníci:**

Anja Hoffmeister (zástupce pacientů, Německo), Lidgarde Allard (zástupce pacientů Belgie), Peter-Bram Hoen (Nizozemsko), Nils Erik Gilhus (Norsko), Lorenzo Maggi (Itálie), Adela Della Marina (Německo), Emmanuelle Salort Campana (Francie), Stanislav Vohanka (Česko), Fiammetta Vanoli (Itálie), Renato Mantegazza (Itálie), Sabrina Sacconi (Francie), Andreas Meisel (Německo), Elena Cortes Vicente (Španělsko), Jan Verschuren (Nizozemsko), Ernestina Santos (Portugalsko), Terenshina Evangelista (Francie), Suanna Brauner (Švédsko), Pascal Laforet (Francie), Matthieu Lusignan (Francie), Mohammad Ashragi (Spojené Království), Frauke Stascheit (Německo)

**Online:** Raqual Pardo (Španělsko), Marjan Cosyns (Belgie)

### **Souhrn**

### **Základní informace**

Myasthenia gravis (MG) je vzácné neurologické autoimunitní onemocnění, kterému se v poslední době věnuje stále větší pozornost díky objevům nových terapeutických přístupů. K lepšímu posouzení efektu nových léčebných postupů v kontextu standardní léčby a stále se zlepšujících patofyziologických znalostí jsou zapotřebí rozsáhlé mezinárodní soubory dat získané v reálném světě péče o nemocné s MG. Nezbytným předpokladem je harmonizace sběru dat, aby se vytvořil pevný základ pro výměnu dat a výzkum.

Na tomto semináři byli zapojeni pacienti, lékaři a další zúčastněné strany, aby diskutovali o harmonizaci dat mezi různými evropskými registry MG s cílem usnadnit sdílení dat, spolupráci a v konečném důsledku zlepšit standardů péče.

V rámci přípravné činnosti před zasedáním organizátoři provedli delphi dotazník s cílem dosáhnout shody ohledně povinných a nepovinných údajů, které by měly být zahrnuty do všech národních registrů MG. Výsledky jednotlivých kol byly následně diskutovány mezi všemi účastníky. Kromě toho organizátoři shromáždili průzkum o stávajících evropských národních registrech MG, aby zjistili potenciální technické, etické a ekonomické problémy, které by mohly narušit sběr a sdílení údajů. Kromě toho byli pacienti zapojeni také do tvorby informativního dokumentu, který poskytuje poznatky o účasti v registru a jejích důsledcích.

### **Cíle semináře**

Hlavním cílem 278. setkání ENMC bylo podpořit spolupráci mezi pacienty, lékaři a dalšími zúčastněnými stranami s cílem určit, které nástroje jsou potřebné k vytvoření funkční iniciativy registrů MG. Konečným cílem registrů MG je zlepšit kvalitu péče o pacienty, čehož lze dosáhnout shromažďováním smysluplných rozsáhlých a vysoce kvalitních údajů o evropské populaci MG. Kromě toho je vytvoření společných datových prvků mezi různými registry zásadní pro harmonizaci údajů, která je nezbytná pro spolupráci a výzkumné iniciativy, včetně epidemiologických a klinických studií, klinických hodnocení, farmakovigilance a také pro poskytování reálných údajů o nových léčebných postupech.

### **Výsledky/výstupy semináře:**

Účastníci dosáhli konsenzu ohledně seznamu **povinných a nepovinných údajů**, které by měly být zahrnuty do registru MG, aby se usnadnilo sdílení údajů a spolupráce. Zohledněn byl také význam dobře strukturovaného a komplexního **formuláře informovaného souhlasu**, který musí být snadno srozumitelný a musí řešit důležité otázky, jako je vlastnictví údajů, anonymita údajů a účel jejich použití.

Průzkum ukázal, že v Evropě je již **aktivních 8 národních registrů MG a 2 jsou v procesu aktivace**, přičemž v současné době jsou k dispozici údaje o více než 7 000 pacientech s MG, které lze potenciálně sdílet.

Nicméně pro optimalizaci budoucí spolupráce na evropské úrovni je třeba řešit a zlepšit několik aspektů:

- **Prvním klíčovým aspektem je začlenění pohledu pacienta a zlepšení komunikace s ním.** Pacienti přinášejí jedinečné odborné znalosti o svém stavu, které je třeba při budování registru nemocí zohlednit. Zástupce pacientů zdůraznil, že současné nástroje nedokážou zachytit některé kritické aspekty MG, a proto by jejich účast jako zúčastněných stran při vytváření národního registru MG mohla zlepšit sběr údajů a zajistit, že budou zohledněny jejich skutečné potřeby a problémy. Pacienti s MG dále požadovali, aby měli přístup k vlastním údajům pro účely vlastního sledování a také aby se podíleli na zadávání údajů (např. pro údaje hlášené pacienty). Tento model aktivního zapojení na více úrovních pravděpodobně podpoří trvalé zapojení pacientů do sběru dat.
- **Druhým klíčovým aspektem je, že národní registry potřebují jasnou strukturu řízení.** Ta by v ideálním případě měla zahrnovat řídicí výbor nebo výbor pro údaje, který je odpovědný za řízení registru, lékařský poradní výbor, který dohlíží na činnost řídicího výboru/výboru pro využívání údajů, a poradní výbor pacientů. Řídicí struktura je odpovědná za definování metod sdílení údajů a také za to, kdo je odpovědný za řízení jakékoli iniciativy sdílení údajů, přičemž je třeba zajistit, aby byly dobře zastoupeny zájmy osob, které se podílejí na vytváření registru.
- **Třetí aspekt vyžaduje, aby byl registr založen na robustní infrastruktuře a harmonizovaném souboru základních údajů.** Databáze by měla být vybudována co nejbližší zásadám FAIR (naležitelnost, přístupnost, interoperabilita a opakované použití), neboť zajišťuje konzistentnost a reprodukovatelnost sběru údajů, které jsou nezbytné pro stanovení společných datových prvků a vytvoření základu pro budoucí spolupráci. K dosažení tohoto cíle a zavedení harmonizace údajů by měl registr zahrnovat výsledky procesu Delphi, pokud jde o povinné a nepovinné údaje, a také zohlednit zásady iniciativy EMA pro registry pacientů. Digitální řešení, jako jsou aplikace pro chytré telefony, mohou být volitelnými doplňkovými nástroji užitečnými pro podrobnější a častější sběr údajů (např. pacientem zadávaná data).
- **Čtvrtý aspekt se týká finanční udržitelnosti.** V ideálním případě by měl být registr financován veřejnými orgány nebo patientskými organizacemi, které zajistí trvalý závazek a dlouhodobou životaschopnost registru. Pokud financování pochází od soukromých subjektů, je důležité zaručit transparentnost zdrojů financování, vlastnictví údajů a význam komerčního využití. Vhodnější je rovněž přístup založený na financování z více zdrojů.

- **Pátým aspektem je dlouhodobý závazek.** Úspěch registru je rovněž založen na dlouhodobém kvalitním sběru údajů. Ten silně závisí na angažovanosti lidí zapojených do registru, včetně pacientů a poskytovatelů zdravotní péče, kterou lze podpořit pravidelným poskytováním zpětné vazby k iniciativám registru.

### **Další kroky**

Díky účasti lékařů, správců registrů, pacientů a dalších zúčastněných stran umožnil tento seminář stanovit zásady pro funkční registr MG. Prostřednictvím delphi procesu bylo dosaženo společného názoru na to, jaké základní prvky musí registr MG obsahovat. Dále byl kladen důraz na to, jak vytvořit FAIR data, která mohou snadno umožnit sdílení dat mezi různými národními registry a spolupráci pro budoucí výzkumné iniciativy. Ve výhledu do budoucna by to nakonec mohlo vést k vytvoření evropského registru, který by umožnil pracovat s velkými čísly, což je nezbytné pro nové výzkumné iniciativy s konečným cílem zlepšit kvalitu péče o pacienty.

**Plánuje se další schůzka, na které se budou sledovat dosažené cíle.**