

Centre : **A remplir pour chaque centre**

Médecin : **Nom du médecin et coordonnées à remplir pour chaque centre**

Lettre d'information au patient concernant la protection de ses données dans le cadre de l'étude « Efficacité de l'ataluren (Translarna®) dans la dystrophie musculaire de Duchenne - Comparaison indirecte des données des registres DYS et STRIDE »

Madame, Monsieur,

Vous avez accepté de participer au Registre Français des Dystrophinopathies, registre DYS, qui recueille des données génétiques et cliniques des personnes atteintes de dystrophies musculaires de Duchenne et de Becker. L'objectif de ce registre est d'améliorer les connaissances sur ces maladies et de faciliter l'accès des malades aux études et essais cliniques de personnes atteintes d'une dystrophinopathies en France.

Vous recevez cette lettre pour vous informer d'une nouvelle étude de recherche visant à évaluer l'efficacité de l'ataluren en situation réelle dans la maladie de Duchenne.

Quel est la finalité (c'est-à-dire l'objectif) de l'étude ?

L'objectif de l'étude « Efficacité de l'ataluren (Translarna®) dans la dystrophie musculaire de Duchenne - Comparaison indirecte des données des registres DYS et STRIDE » est d'évaluer l'efficacité de l'ataluren en situation réelle.

L'ataluren est un traitement par voie orale développé par les laboratoires PTC Therapeutics, qui peut être proposé à certains des patients atteints de la maladie de Duchenne. Pour en évaluer son efficacité en vie réelle, cette étude vise à comparer l'évolution de patients non traités par l'ataluren et inclus dans le registre DYS avec celle de patients traités et inclus en France dans le registre international STRIDE (Strategic Targeting of Registries and International Database of Excellence).

Qui organise et commandite cette étude ?

La recherche est financée par les laboratoires PTC Therapeutics France SAS, société pharmaceutique ayant développé l'ataluren. L'utilisation de vos données dans cette étude a reçu au préalable un avis favorable de la part du comité de pilotage du registre DYS.

Qui est le responsable du traitement de données à caractère personnel ?

Dans le cadre de cette étude, le responsable du traitement des données est la société PTC Therapeutics France SAS, immatriculée au RCS de Paris sous le numéro B 804 304 137 et dont le siège est situé 41 rue Pergolèse – 75016 Paris. La société PTC Therapeutics France a désigné un délégué à la protection des données (DPO). Son adresse électronique est : Franceoffice@ptcbio.com. PTC Therapeutics France SAS a confié l'analyse des données à un sous-traitant la société eXYSTAT, immatriculée au RCS de Nanterre sous le numéro B 798 869 590 et dont le siège est situé 4, rue Ernest Renan 92240 Malakoff.

La société eXYSTAT a désigné un délégué à la protection des données (DPO). Ses coordonnées sont les suivantes : dpo@exystat.com.

Centre : **A remplir pour chaque centre**

Médecin : **Nom du médecin et coordonnées à remplir pour chaque centre**

Qui et combien de personnes participeront à l'étude ?

Le registre DYS collecte les données de plus de 900 patients ayant un diagnostic génétique confirmé de dystrophinopathies lors d'une évaluation médicale de routine dans les centres de référence neuromusculaires français. Dans le cadre de cette étude, les données d'environ 500 patients (non traités par l'ataluren pour une myopathie de Duchenne et nés à partir de 2000) seront analysées. Par ailleurs, environ 50 patients inclus dans le registre STRIDE participeront à cette étude.

Quels sont les avantages de participer à cette étude ?

Il n'y a pas d'avantage direct (par exemple, rétribution) à participer à cette étude. Cependant, les informations recueillies dans le cadre de cette étude permettront d'informer les médecins et le public sur les améliorations possibles et l'optimisation de la prise en charge clinique des personnes souffrant d'une maladie de Duchenne.

Quels sont les désagréments et les risques éventuels liés à ma participation à cette étude ?

Cette étude ne vous exposera à aucun risque supplémentaire pour votre santé. Elle ne nécessitera ni tests, ni traitements invasifs, ni ne modifiera votre prise en charge médicale habituelle. Vos données médicales ont déjà été collectées.

Quelles données me concernant seront utilisées pour l'étude ?

Les données vous concernant et nécessaires à la réalisation de l'étude sont les suivantes : votre âge lors du diagnostic initial de votre maladie, lors de vos premiers symptômes moteurs, lors de votre éventuelle perte de la marche, lors de la diminution éventuelle de vos capacités respiratoire et cardiaque et lors de la première prise de corticoïdes le cas échéant (avec les différents corticoïdes prescrits et leur durée). La durée de votre suivi depuis votre entrée dans le registre DYS sera également analysée, avec la date de votre dernière consultation dans ce cadre.

D'où viennent mes données et combien de temps seront-elles conservées ?

Les données vous concernant et qui seront utilisées pour l'étude sont issues de la base de données du registre DYS. Dans le cadre de cette étude, les données agrégées et anonymisées utilisées pour l'analyse seront conservées par PTC Therapeutics France pendant 2 ans à compter de la publication de l'étude.

Quelles sont les destinataires des données me concernant ?

Seule l'équipe du registre DYS en charge du recueil et du traitement des données aura accès à vos données directement identifiantes (état civil et coordonnées).

Centre : **A remplir pour chaque centre**

Médecin : **Nom du médecin et coordonnées à remplir pour chaque centre**

Les équipes de eXYSTAT en charge de l'analyse des données et la société PTC Therapeutics France ne recevront que des données agrégées et anonymisées.

Mes données seront-elles traitées de manière confidentielle ?

PTC Therapeutics France s'est assuré que eXYSTAT mettra en œuvre des mesures de sécurité techniques et organisationnelles garantissant un niveau de sécurité adapté au risque conformément aux exigences du Règlement 2016/679 du 27 avril 2016 (Règlement Général sur la Protection des Données « RGPD »).

Mes données seront-elles transférées en dehors de l'Union européenne ?

Vos données ne seront jamais transférées en dehors de l'Union européenne dans le cadre de cette étude.

Quels sont mes droits sur les données me concernant utilisées dans cette étude ?

Vous avez le droit de vous opposer dès à présent et à tout moment à ce que vos données soient utilisées pour cette étude. Cette opposition empêche toute utilisation ou conservation de vos données. L'exercice du droit d'opposition ne remettra pas en cause vos soins.

Vous avez le droit de demander l'accès à vos données, c'est-à-dire de les consulter et d'en obtenir une copie.

Vous avez le droit de demander la rectification de vos données, c'est-à-dire de les faire corriger si vous constatez qu'elles contiennent une erreur.

Vous avez le droit de demander l'effacement (droit à l'oubli) de vos données afin qu'elles ne figurent plus dans les données de l'étude.

En parallèle du traitement de votre demande de rectification ou de votre demande d'opposition par exemple, vous pouvez demander la limitation de l'utilisation de vos données, ce qui empêchera temporairement leur inclusion dans l'étude.

A qui puis-je m'adresser pour exercer mes droits ci-dessus ?

Pour exercer ces droits, vous pouvez vous adresser :

Au médecin qui vous suit ou à l'équipe de recherche de l'hôpital Necker (investigateur principal : Professeur Isabelle Desguerre, 01 44 49 58 36 Hôpital Necker Service de Neuropédiatrie Bât R. Debré Porte D1 149 Rue de Sèvres 75015 Paris.

Directement au délégué à la protection des données (DPO) de l'AFM Téléthon responsable du traitement du registre DYS soit par courrier postal à l'adresse : 1 rue de l'Internationale – BP59 - 91002 Évry-Courcouronnes, soit par courrier électronique à l'adresse suivante : dpo@afm-telethon.fr

Centre : *A remplir pour chaque centre*

Médecin : *Nom du médecin et coordonnées à remplir pour chaque centre*

L'AFM-Téléthon a été mandatée par PTC Therapeutics France pour répondre aux demandes des personnes concernées concernant l'exercice de leurs droits au titre de 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, en ligne (<https://www.cnil.fr>) ou par courrier au 3 Place de Fontenoy - TSA 80715 - 75334 Paris cedex 07.

Qui contacter pour plus d'informations ?

Si vous avez d'autres questions concernant cette étude, veuillez-vous adresser au médecin qui vous suit ou à l'équipe de recherche de l'hôpital Necker à Paris (investigateur principal : Professeur Isabelle Desguerre, 01 44 49 58 36 Hôpital Necker Service de Neuropédiatrie Bât R. Debré Porte D1 149 Rue de Sèvres 75015 Paris.

Merci d'avoir pris le temps de lire ce document