

NOTE D'INFORMATION (Sanofi website)***ÉTUDE RÉTROSPECTIVE NON-INTERVENTIONNELLE***

Titre de l'étude : Étude rétrospective caractérisant l'histoire naturelle et le fardeau de la maladie des patients présentant une gangliosidose GM2 tardive et une maladie de Gaucher de type 3 en France

Titre court de l'étude : Étude hybride sur l'histoire naturelle/le fardeau de la maladie GM2/GD3

Promoteur et responsable du traitement des données de l'étude : Sanofi-Aventis Recherche & Développement, 1 avenue Pierre Brossolette, 91380 Chilly-Mazarin, France

Délégué à la protection des données du promoteur : privacy-office-FRANCE1@sanofi.com.

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

Madame, Monsieur,

Sanofi-Aventis Recherche & Développement, société pharmaceutique située en France, mène actuellement une étude non interventionnelle et rétrospective portant sur la gangliosidose de type 2 (GM2), également connue sous le nom de maladie de Tay-Sachs ou maladie de Sandhoff.

Sanofi-Aventis Recherche & Développement, promoteur de cette étude a commissionné Cerner Enviza 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.

Il s'agit d'une étude non interventionnelle. Cela signifie qu'aucun aspect de l'étude n'influencera la prise en charge habituelle des patients inclus dans l'étude.

Cette étude a pour objectif de mieux comprendre la maladie de Tay-Sachs ou maladie de Sandhoff (GM2), et de caractériser les manifestations neurologiques et non-neurologiques, les déficits cognitifs, les handicaps fonctionnels et le fardeau de la maladie. Les informations recueillies comprendront les données démographiques, les données génétiques et les données cliniques. Ces données pourront être utilisées par le promoteur afin de mener des études médicales plus approfondies et ainsi d'en apprendre davantage sur la maladie de Tay-Sachs ou maladie de Sandhoff (GM2) et sur d'autres affections, sur les raisons expliquant pourquoi les individus répondent différemment aux traitements et/ou sur de nouvelles options thérapeutiques. 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 et de mieux caractériser la maladie de Tay-Sachs ou maladie de Sandhoff (GM2), deux modes de recueil de l'information sont envisagés.

1^{er} mode – dossiers médicaux et appariement aux données du Système National des Données de Santé (SNDS)

Les données seront directement recueillies dans les dossiers médicaux existants des patients par les médecins qualifiés et participants à l'étude ce qui exclut toute nouvelle collecte de données, et seront saisies sur une plateforme sécurisée. La collecte des données se déroulera d'octobre 2023 jusqu'aux alentours de juin 2024, et environ 20 patients ayant reçu un diagnostic de maladie de Tay-Sachs ou maladie de Sandhoff (GM2).

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 issues des dossiers médicaux sont :

Caractéristiques socio-démographiques et cliniques, diagnostic et antécédents médicaux, traitements

d'intérêt et/ou équipements médicaux considérés comme des indicateurs de sévérité, symptômes neurologiques et non-neurologiques, résultats des tests phénotypiques, niveau de dépendance/autonomie, et impact sur les activités quotidiennes.

Les hôpitaux et médecins participant à l'étude sont :

Hôpitaux	Médecins à l'étude	Contact
APHP Pitie Salpetriere	Dr Yann Nadjar	yann.nadjar@aphp.fr
APHP Pitie Salpetriere	Dr Tanya Stojkovic	tanya.stojkovic@aphp.fr
CHU Montpellier	Pr Xavier Ayrygnac	x-ayrygnac@chu-montpellier.fr
CHU Toulouse	Dr Fabienne Ory-Magne	ory.f@chu-toulouse.fr
CHU Limoges	Dr Karima Ghorab	Karima.Ghorab@chu-limoges.fr
CHU Bordeaux	Pr Cyril goizet	cyril.goizet@chu-bordeaux.fr

2^{ème} mode : données du Système National des Données de Santé (SNDS) sans appariement

Le promoteur ne recueille aucune donnée individuelle provenant du SNDS. Les analyses portant sur les données du SNDS, sans appariement, seront réalisées directement sur le portail de la CNAM. Le promoteur recueille uniquement les analyses des données agrégées.

L'analyse portera sur les données suivantes :

Caractéristiques socio-démographiques (mois et année de naissance, sexe, date de décès, CMU-C), caractéristiques cliniques (diagnostics principaux des séjours hospitaliers, statut handicapé, causes de décès), consommation de soins (hospitalisations, admissions aux urgences, traitements d'intérêt, consultations en ville, consultations hospitalières, examens, équipement médical, soins de suite et rééducation, arrêt maladie, transport en ambulance)

Aucune donnée permettant d'identifier directement les patients ne sera recueillie dans le cadre de cette étude (nom, prénom, adresse, numéro de téléphone ou toute autre information permettant une identification directe). 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.

Les patients faisant partie du 1^{er} mode recevront de la part de leur médecin une lettre individuelle d'information décrivant l'étude, leurs droits et pourront poser leurs questions. Ils pourront exprimer leurs droits auprès du médecin participant à la recherche, mais également s'ils le souhaitent auprès du Délégué à la Protection des données du promoteur mentionné au début de cette lettre d'information.

Les patients faisant partie du 2^{ème} mode pourront exercer leurs droits directement auprès du directeur de leur caisse d'assurance maladie, mais également s'ils le souhaitent auprès du Délégué à la Protection des données du promoteur mentionné au début de cette lettre d'information.

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.

Enfin, une description de l'étude hybride GM2/GD3 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.

Nous vous remercions pour votre attention.