

Registre de la thérapie génique de la FMH

Guide de l'utilisateur pour les personnes atteintes d'hémophilie



Publié par la Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH) © Fédération mondiale de l'hémophilie, 2022

La Fédération mondiale de l'hémophilie ne s'engage pas dans la pratique de la médecine et ne recommande en aucun cas un traitement particulier pour des personnes spécifiques.

La FMH ne garantit pas, de manière expresse ou implicite, que les doses de médicaments ou autres recommandations de traitement figurant dans cette publication sont correctes. Pour ces raisons, il est fortement recommandé aux individus de demander l'avis d'un médecin et/ou de consulter les instructions imprimées fournies par la société pharmaceutique avant d'administrer l'un des médicaments mentionnés dans cette publication.

La FMH encourage la traduction et la redistribution de ses publications à des fins éducatives par des organisations à but non lucratif spécialisées dans l'hémophilie et les troubles de la coagulation.

Pour obtenir l'autorisation de réimprimer, de redistribuer ou de traduire cette publication, veuillez contacter le département de l'éducation à l'adresse ci-dessous :

Fédération mondiale de l'hémophilie
1425, boulevard René Lévesque O.
Bureau 1200, Montréal,
Québec H3G 1T7, CANADA
Tél. : (514) 875-7944
Télécopieur : (514) 875-8916
E-mail: wfh@wfh.org
www.wfh.org

Contenu

| | |
|--|---|
| Collaboration avec votre centre de traitement de l'hémophilie..... | 2 |
| Participation et protections..... | 3 |
| Confidentialité et sécurité des données..... | 3 |
| Inscription au registre de thérapie génique de la Fédération mondiale de l'hémophilie..... | 3 |
| Consentement éclairé..... | 4 |
| Collecte de données..... | 4 |
| Données de base..... | 5 |
| Traitement par thérapie génique..... | 5 |
| Visites de suivi..... | 5 |
| Rapport sur la sécurité et les effets indésirables..... | 5 |
| Résultats signalés par les patients..... | 6 |
| Langues..... | 6 |
| Durée de la participation au registre..... | 6 |
| Accès aux données du registre de thérapie génique de la Fédération mondiale de l'hémophilie..... | 7 |
| Meilleures pratiques pour les personnes atteintes d'hémophilie qui participent au registre de la Fédération mondiale de l'hémophilie pour la thérapie génique..... | 7 |
| Annexe A..... | 8 |
| Remarques..... | 9 |

Le registre de thérapie génique (RTG) de la Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH) est une base de données privée et sécurisée qui recueille des informations cliniques sur les personnes atteintes d'hémophilie qui reçoivent une thérapie génique, que ce soit dans le cadre d'un essai clinique ou comme produit approuvé.

Le RTG de la FMH est accessible aux personnes atteintes d'hémophilie du monde entier par l'intermédiaire de leur centre de traitement de l'hémophilie (CTH).

Toutes les personnes atteintes d'hémophilie ne seront pas éligibles pour recevoir une thérapie génique, ce qui signifie que le nombre de personnes inscrites dans ce registre sera relativement faible. Par conséquent, les données de chaque participant traité par thérapie génique sont essentielles. Votre participation au RTG de la FMH contribuera à faire progresser nos connaissances et notre compréhension de la thérapie génique pour les personnes atteintes d'hémophilie, à améliorer les soins cliniques et à développer la prochaine génération de traitements par thérapie génique.

Le RTG de la FMH a été élaboré par des experts internationaux en thérapie génique et en hémophilie.



Collaboration avec votre centre de traitement de l'hémophilie

L'équipe soignante de votre CTH travaillera en étroite collaboration avec vous et votre famille/vos soignants tout au long de votre participation au RTG de la FMH. Elle vous fournira les informations dont vous avez besoin pour commencer à participer au registre et répondra à toutes vos questions. Ce sera le point de contact principal pour tout ce qui concerne votre participation au registre.

Avant de participer au registre, vous devez communiquer ouvertement avec l'équipe soignante de votre CTH et vous assurer qu'elle répond à toutes vos questions. L'équipe soignante saisira vos données cliniques dans le registre à chacun de vos rendez-vous cliniques prévus. Vous n'aurez pas d'examen ou de visites supplémentaires basés uniquement sur votre participation au RTG de la FMH.



Participation et protections

La participation au RTG de la FMH est volontaire. Si vous décidez de participer au registre, vous pouvez arrêter à tout moment. Votre traitement et vos soins de suivi ne seront pas affectés par votre décision de participer au registre ou de le quitter. Vous continuerez à recevoir les mêmes soins standards, quelle que soit votre décision, et vous aurez des visites régulières avec votre CTH pour surveiller les effets secondaires potentiels et l'efficacité de votre traitement.

Un comité indépendant appelé Comité d'examen institutionnel protège les droits et le bien-être des participants au registre. Il veille à ce que toutes les recherches menées soient conformes aux normes éthiques les plus strictes. Votre CTH obtiendra l'approbation de son Comité d'examen institutionnel local avant de recruter des participants.



Confidentialité et sécurité des données

Le RTG de la FMH est hautement sécurisé et conforme aux normes de sécurité les plus élevées. Les données saisies dans la base de données du registre sont dépersonnalisées afin de protéger votre vie privée, ce qui signifie que votre identité, ainsi que celle de toute autre personne inscrite au registre, est protégée. Les noms des participants ou toute autre information permettant de les identifier ne seront pas conservés dans la base de données.



S'inscrire au RTG de la FMH

Lorsque vous aurez pris la décision éclairée de recevoir une thérapie génique (en partenariat avec votre équipe soignante), vous serez invité à participer au registre. Si vous avez déjà reçu une thérapie génique dans le cadre d'un essai clinique, vous serez également invité à participer.

Toutes les personnes atteintes d'hémophilie qui ont reçu une thérapie génique peuvent participer au registre, quelle que soit l'étape à laquelle elles se trouvent dans leur parcours de thérapie génique, que ce soit au stade du traitement par perfusion ou quelques années plus tard.



Consentement éclairé

Si vous décidez de participer au registre, il vous sera demandé de lire et de signer un formulaire de consentement éclairé. Ce formulaire indique que vous comprenez les avantages et les risques de la participation au RTG de la FMH et que vous acceptez d'y participer. Votre équipe soignante a été formée pour vous fournir les informations nécessaires afin de vous aider à prendre une décision éclairée quant à votre participation au registre.

Votre équipe soignante veillera également à ce que vous disposiez d'un temps suffisant pour poser des questions et discuter avec votre famille/vos soignants de l'opportunité de votre participation. Votre CTH continuera à vous fournir des informations concernant tout changement apporté au registre pendant votre participation. Si vous décidez de participer, vous et votre médecin serez invités à signer le formulaire de consentement.



CLIQUEZ ICI pour accéder au document de la FMH intitulé « Questions à poser avant de participer à un essai clinique »

Avant de signer le formulaire de consentement, votre équipe soignante travaillera avec vous pour s'assurer que vous comprenez ce qui suit :

- L'objectif du registre
- Les responsabilités des participants
- Les avantages et les risques liés à la participation
- La participation est entièrement volontaire et peut prendre fin à tout moment
- La durée prévue de la participation
- Les coordonnées de votre CTH



Collecte de données

Les données seront recueillies et saisies dans la base de données RTG de la FMH lors de vos visites régulières à la clinique. Vous n'aurez pas de visites cliniques, de tests ou de procédures supplémentaires en raison de votre participation. Le registre recueillera les mêmes informations auprès de tous les participants qui ont reçu une thérapie génique.

Données de base

Votre CTH recueillera des données démographiques après que vous aurez accepté de participer au registre. Ces données comprennent des informations sur votre diagnostic d'hémophilie et vos antécédents médicaux.

Traitement par thérapie génique

Les détails concernant votre traitement par thérapie génique, y compris la date et les informations sur la perfusion, seront saisis dans le registre.

Visites de suivi

Après avoir reçu la thérapie génique, votre CTH recueillera des données chaque fois que vous viendrez pour une visite. Cela comprend plusieurs visites au cours des deux premières années pour déterminer l'efficacité du traitement, assurer votre santé et votre sécurité, et au moins une fois par an par la suite.

La participation au registre n'affectera pas vos soins ni le calendrier de vos visites à la clinique.

Rapport sur la sécurité et les effets indésirables

Comme pour tout nouveau médicament ou toute nouvelle procédure, vous devez signaler tout effet indésirable à votre CTH. Lors de chaque visite à la clinique, votre équipe soignante vous interrogera sur les effets secondaires que vous avez pu ressentir. Ces informations seront recueillies dans le registre pour toutes les personnes atteintes d'hémophilie participantes. En recueillant ces données sur tous les participants au registre dans le monde entier, les médecins seront en mesure d'identifier tout effet secondaire courant ou grave lié à la thérapie génique.



Résultats signalés par les patients

En plus des données médicales recueillies à chaque visite, vous aurez la possibilité de fournir des informations directement dans le registre depuis votre téléphone via une application mobile (« myGTR »). Les données que vous saisissez directement sont appelées données sur les résultats signalés par les patients.

Il s'agit d'informations sur votre qualité de vie, sur la façon dont votre maladie vous affecte et sur tout événement hémorragique ou traitement que vous pourriez recevoir.

Les données signalés par les patients sont importantes, car elles vous permettent de faire part de vos propres expériences et perspectives dans le registre. Les données que vous saisissez dans myGTR seront directement transmises à la base de données du RTG de la FMH à votre CTH, et votre médecin pourra les consulter. Vous recevrez également un résumé de vos données dans l'application sur votre téléphone, ce qui vous permettra de suivre vos progrès au fil du temps.



Langues

Dans un premier temps, le registre sera disponible en anglais, et il est prévu de le traduire dans d'autres langues si nécessaire. L'application mobile pour les patients, myGTR, sera également disponible en anglais et dans d'autres langues si nécessaire.



Durée de la participation au registre

Les données à long terme recueillies dans le registre sont importantes pour vous et vos pairs, car elles contribueront à la compréhension de la thérapie génique par la communauté hémophile mondiale. Il est important que vous continuiez à participer au registre sur le long terme. Cependant, vous êtes libre de cesser de participer au registre à tout moment, pour quelque raison que ce soit. Il vous suffit d'en parler à votre équipe soignante pour le faire savoir. Si des changements majeurs sont apportés au RTG de la FMH, votre équipe soignante vous contactera et il vous sera peut-être demandé de signer un nouveau formulaire de consentement.



Accès aux données du RTG de la FMH

Vous pouvez accéder à vos données à tout moment en vous adressant à votre équipe soignante. Les membres de votre équipe soignante pourront également consulter et accéder à vos données dans le registre. La FMH et le fournisseur de la base de données pourront consulter toutes les données anonymes saisies dans le registre. Le conseil consultatif scientifique du RTG de la FMH régit les données du registre et évalue et approuve toute demande d'accès aux données (voir annexe A).

Les chercheurs, les fabricants et les autres parties prenantes peuvent soumettre une demande à la FMH pour accéder à des données anonymes afin d'examiner les tendances et de répondre à des questions de recherche. Les fabricants auront accès à des données anonymes afin d'examiner les résultats en matière de sécurité et d'efficacité spécifiques à un produit. En participant à ce registre, vous contribuerez au développement de la prochaine génération de traitements de thérapie génique.



Meilleures pratiques pour les personnes atteintes d'hémophilie qui participent au RTG de la FMH

- Notez vos questions à l'avance et apportez-les lors de vos visites à la clinique.
- Si vous ne comprenez pas quelque chose, posez une question ! L'équipe de recherche ou l'équipe clinique attend de vous que vous leur posiez des questions, alors n'hésitez pas à en poser autant que vous le souhaitez.
- Assurez-vous d'assister à toutes les visites du CTH. Elles sont essentielles pour surveiller votre santé et votre sécurité et pour améliorer les résultats de la thérapie génique pour les générations futures.
- Gardez la communication ouverte avec votre équipe soignante. Parlez-leur de vos préoccupations en matière de santé et des autres obstacles que vous pourriez rencontrer dans le cadre de vos soins de suivi.
- Utilisez l'application mobile myGTR !

Annexe A

Comité consultatif scientifique du RTG de la FMH

Fédération mondiale de l'hémophilie ; membre du conseil médical
(président du comité directeur du RTG de la FMH)

Fédération mondiale de l'hémophilie, vice-président médical

National Hemophilia Foundation ; représentant du conseil consultatif médical et scientifique

Consortium européen de l'hémophilie ; représentant du groupe consultatif médical

European Association for Haemophilia and Allied Disorders ; représentant

Société internationale de thrombose et d'hémostase ; représentant

Représentants des patients (2)

Le RTG bénéficie du soutien financier de :

PARTENAIRES FONDATEURS VISIONNAIRES

 BIOMARIN[®]

 **CSL Behring**
Biotherapies for Life[™]

 **Pfizer**

 **Spark**[™]
THERAPEUTICS

PARTENAIRES COLLABORATEURS

 **Takeda**

Fédération mondiale de l'hémophilie
1425, boulevard René Lévesque Ouest,
Bureau 1200, Montréal,
Québec H3G 1T7, CANADA
Tél. : (514) 875-7944
Télécopieur : (514) 875-8916
E-mail: wfh@wfh.org

www.wfh.org

