



**European  
Reference  
Network**

for rare or low prevalence  
complex diseases

 **Network**  
Transplantation  
in Children  
(ERN TRANSPLANT-CHILD)

PAEDIATRIC  
TRANSPLANTATION  
EUROPEAN  
REGISTRY



peter

# Registro Europeo de Trasplante pediátrico **PETER**

## Protocolo del registro **PETER**



## Descargo

El contenido de este informe representa únicamente la opinión del autor y es de su exclusiva responsabilidad; no puede considerarse que refleje las opiniones de la Comisión Europea o HaDEA o de cualquier otro organismo de la Unión Europea. La Comisión Europea no acepta ninguna responsabilidad por el uso que pueda hacerse de la información que contiene.

## HISTORIAL DE DOCUMENTOS

Fecha de emisión	Versión	Cambios realizados/razón para este problema
02.11.2023	1	Versión inicial

## DOCUMENTO FIRMADO

Redactado por:	Aprobado por:
Posición: Comité Ejecutivo	Posición: Coordinador de la Red en nombre de PETER & Network Board
Fecha: 05.07.2023	Paloma Jara Fecha: 02.11.2023.

## NIVEL DE DIFUSIÓN

<b>PU</b>	Público	<input checked="" type="checkbox"/>
<b>EN</b>	Uso interno solamente	<input type="checkbox"/>
<b>CO</b>	Confidencial, solo para los miembros del consorcio (incluidos los servicios de la Comisión)	<input type="checkbox"/>

## INFORMACIÓN DEL DOCUMENTO

### PROTOCOLO DEL REGISTRO PETER

**Tipo de documento de la RER o ERN:** Protocolo

**Referencia taxonómica:** Notificación de las actividades de las RER

**RER:** TransplantChild

Véase el procedimiento operativo estándar SOP00 (SOP) para la gestión de la documentación de TransplantChild para obtener más información sobre esta clasificación.

## TABLA DE CONTENIDOS

1. ANTECEDENTES Y JUSTIFICACIÓN.....	4
Trasplante pediátrico.....	5
2. OBJETIVO .....	5
3. ALCANCE.....	5
4. CONCEPTO Y OBJETIVOS DEL REGISTRO PETER.....	5
5. CARACTERISTICAS DEL REGISTRO .....	6
5.1. Criterios de inclusión.....	7
5.2. Criterios de exclusión. ....	7
5.3. Hospitales incluidos en el registro .....	<b>iE</b>
<b>rror! Marcador no definido.</b>	
5.4. Recolección de datos .....	<b>iE</b>
<b>rror! Marcador no definido.</b>	
5.5. Datos que deben recopilarse.....	7
5.6. Almacenamiento de datos .....	8
5.7. Análisis de datos.....	8
5.8. Gestión y calidad de los datos .....	<b>iE</b>
<b>rror! Marcador no definido.</b>	
5.9. Integración e interoperabilidad del registro .....	9
6. REQUISITOS PARA LA INTEGRACION DE DATOS DE PACIENTES EN EL REGISTRO ....	9
6.1. Aprobación previa por los Comités de Ética locales de los hospitales .....	9
6.2. Consentimiento informado.....	9
7. PROTECCION DE DATOS .....	10
8. GOBERNANZA.....	10

9. FINANCIACION .....	11
10. ENTRADA EN VIGOR, REVISION Y MODIFICACIONES .....	11

## 1. ANTECEDENTES Y JUSTIFICACIÓN

El establecimiento en 2017 por la Comisión Europea de las Redes Europeas de Referencia (RER o ERN en inglés) para enfermedades raras o condiciones complejas que requieren tratamiento, experiencia y recursos altamente especializados fue un hito importante para garantizar el acceso y la atención especializada de estos pacientes. Esta iniciativa permitió la movilización de los mejores equipos multidisciplinares y el intercambio de conocimientos especializados en toda Europa. La ERN-TransplantChild es una de las 24 redes lanzadas en 2017, de conformidad con el artículo 12 de 2011 de la «Directiva sobre los derechos de los pacientes en la asistencia sanitaria transfronteriza» en el ámbito de las enfermedades o condiciones raras, complejas o de baja prevalencia.

La ERN TransplantChild es la única red que se centra en un procedimiento complejo como el trasplante pediátrico, que es una condición compleja y de baja prevalencia que requiere conocimientos y recursos altamente especializados. Los enfoques actuales son insuficientes para abordar completamente la supervivencia del injerto y del paciente a largo plazo, al tiempo que proporcionan la mejor calidad de vida posible.

En la actualidad, la ERN TransplantChild cuenta con 40 hospitales europeos de 21 Estados Miembros de la UE (EM), en los que participan 33 miembros de pleno derecho (FM) y 7 socios afiliados (AP). El objetivo de la ERN TransplantChild es capacitar y mejorar la esperanza y la calidad de vida de los pacientes pediátricos que requieren trasplante en la UE, así como de sus familias, mediante: (1) Garantizar su acceso a través de la red a las mejores prácticas de atención posibles y procedimientos de apoyo relacionados con un enfoque transversal y multidisciplinario del trasplante pediátrico; (2) desarrollar y reunir esfuerzos dentro de la red para mejores procedimientos, inclusivos e innovadores, información, capacitación, conocimiento y experiencia; (3) integrar a las partes interesadas en el proceso de trasplante y poner a su disposición los conocimientos y información. Esta visión es especialmente necesaria en el trasplante pediátrico en comparación con el trasplante de adultos, donde el número de pacientes por órgano trasplantado es mayor.

Los registros de pacientes y las bases de datos constituyen instrumentos clave para desarrollar la investigación clínica en el campo de las enfermedades raras, mejorar la atención al paciente y la planificación de la asistencia sanitaria. Son la mejor manera de agrupar datos para lograr un tamaño de muestra suficiente para la investigación epidemiológica o clínica. Los registros sirven como herramienta de reclutamiento para el lanzamiento de estudios centrados en la etiología de la enfermedad, la patogénesis, el diagnóstico o la terapia. El 8 de junio de 2009, el Consejo de la Unión Europea recomendó que, en el ámbito de las enfermedades raras o las condiciones complejas, los Estados Miembros consideraran apoyar a todos los niveles adecuados, incluido el de la UE, con fines epidemiológicos, registros y bases de datos, al tiempo que tenían conocimiento de la gobernanza independiente. Con el fin de apoyar este proceso y, en particular, la interoperabilidad de los datos en los registros de enfermedades raras, la Comisión decidió crear una plataforma europea sobre el registro de enfermedades raras y desarrollar normas específicas para la interoperabilidad de dichos registros de enfermedades raras ("JRC standards" elaboradas por el *Commission's Joint Research Centre*).

## Trasplante pediátrico.

El trasplante pediátrico, tanto el de órgano sólido (TOS) como el de progenitores hematopoyéticos (TPH), han cambiado drásticamente la esperanza de vida de muchos niños al proporcionar un tratamiento para enfermedades o condiciones complejas, que de otro modo no hubiesen sobrevivido. En todo el mundo, se realizan anualmente alrededor de 150,000 TOS y 80,000 TPH. El trasplante pediátrico constituye aproximadamente el 10 % de todo el TOS y el 20 % de todo el TPH. Entre 2012 y 2016, se realizaron aproximadamente 7.741 TOS pediátricos y 14,717 TPH pediátricos en la Unión Europea, datos que continúan en aumento la edad pediátrica.

Tanto el TOS como el TPH ofrecen la posibilidad de una cura, pero al mismo tiempo aumentan el riesgo de mortalidad relacionada con el tratamiento y efectos secundarios a largo plazo. Es decir, el trasplante reemplazaría la enfermedad en etapa terminal con un estado de enfermedad crónica más sostenible y, como tal, con profundas consecuencias clínicas y psicosociales. La atención al trasplante constituye sin embargo un desafío médico, ya que el trasplante efectivo requiere un enfoque de equipo interdisciplinario, apoyando el procedimiento de trasplante en procesos comunes para TOS y TPH, tales como: tratamiento inmunosupresor, reconstitución inmunitaria, rechazo, tolerancia, riesgo de infección, transición al cuidado de adultos y bienestar psicosocial.

## 2. OBJETIVO

El presente documento tiene por objeto abarcar de forma exhaustiva los aspectos clave que definen el registro PETER y su funcionamiento. Comprende sus características, aspectos legales, derechos de los pacientes, protección de datos, gobernanza relacionada con su funcionamiento y consideraciones de financiación.

## 3. ALCANCE

Este documento es aplicable a **cada hospital (HCP) involucrado en el registro PETER. Los investigadores responsables se asegurarán de que el registro PETER se implemente de conformidad con este protocolo, siguiendo las instrucciones y procedimientos descritos en este documento.**

## 4. CONCEPTO Y OBJETIVOS DEL REGISTRO DE PETER

El Registro Europeo de Trasplante Pediátrico (PETER) surge de la necesidad de integrar el enfoque transversal del trasplante pediátrico y los informes de calidad de vida de las medidas de resultados reportadas por los pacientes (PROMs) (fig.1). PETER permite el acceso racional, eficiente e interoperable a la información sobre todos los tipos de trasplante pediátrico. PETER se basa en un enfoque transversal independientemente del tipo de trasplante, integrando variables de las diferentes fases del proceso de trasplante. Además, aumentará el conocimiento sobre el procedimiento de trasplante en niños, con el objetivo de detectar los factores determinantes de la eficacia del trasplante, lo que permitirá el desarrollo de líneas de

investigación para mejorar la supervivencia y la calidad de vida de los pacientes pediátricos y sus familias.

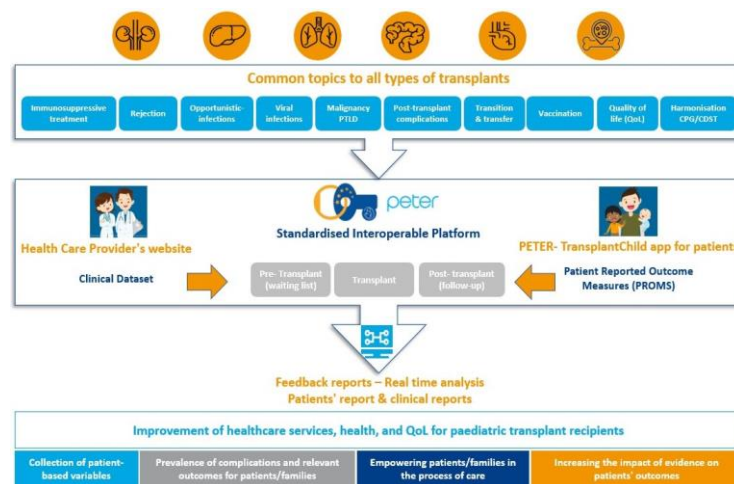


Figura 1: Enfoque de registro de Peter

El objetivo general es describir el estado de salud de los pacientes trasplantados en edad pediátrica, desde su inclusión en la lista de espera y durante el seguimiento posterior al trasplante, tanto desde el punto de vista clínico como desde el suyo propio (calidad de vida). Cumplir con las normas europeas de los principios *FAIR* mediante la mejora de su capacidad de búsqueda, accesibilidad, interoperabilidad y reutilización, y respetando plenamente las políticas actuales de protección de datos.

Los objetivos específicos son:

- Evaluar la eficacia a largo plazo y la seguridad del trasplante.
- Evaluar los resultados clínicos, incluida la supervivencia del injerto, las complicaciones y la supervivencia del paciente.
- Evaluar la calidad de vida de los receptores de trasplante pediátrico.
- Correlacionar los cambios durante el proceso de trasplante con la calidad de vida de los pacientes.
- Identificar áreas de mejora de la calidad y armonización de la práctica clínica.
- Apoyar la generación de conocimiento sobre el proceso de trasplante pediátrico y la promoción de la investigación.

Al cumplir estos objetivos, PETER tiene como objetivo mejorar la atención y los resultados de los receptores de trasplante pediátrico.

## 5. CARACTERÍSTICAS DEL REGISTRO

PETER está diseñado para recopilar prospectivamente datos clínicos del proceso de trasplante pediátrico, como parte del manejo del paciente.

La recopilación de datos para PETER no requerirá exámenes hospitalarios adicionales, admisiones o visitas más allá de la atención estándar proporcionada. Las intervenciones serán

para recopilar datos de estado de salud, ya presentes en el expediente clínico, y la calidad de vida reportada por el paciente/padres.

### 5.1. Criterios de inclusión del paciente.

Los pacientes menores de 18 años que hayan recibido o vayan a recibir un trasplante de órgano sólido o de progenitores hematopoyéticos, podrán ser incluidos en el registro PETER desde su inclusión en la lista de espera de trasplante.

### 5.2. Criterios de exclusión del paciente.

- Receptores de trasplante después de los 18 años.
- Seguimiento periódico del trasplante fuera de la UE.
- No aceptación del consentimiento informado.

### 5.3. Hospitales incluidos en el registro

El objetivo del registro PETER es recopilar datos de pacientes que cumplan los criterios de inclusión especificados.

Estos datos se recogen de los hospitales que pertenecen a la ERN-TransplantChild, así como de los hospitales expertos no incluidos en TransplantChild y a través de las redes clínicas nacionales y/o regionales de los países europeos.

En agosto de 2023, hay 40 HCP de la ERN-TransplantChild ubicados en 21 EM de la UE.

### 5.4. Recolección de datos

Los datos recogidos no incluirán datos demográficos ni identificadores de los pacientes.

Cada paciente recibirá un código interno seudonimizado de acuerdo con el sistema de la plataforma Xolomon. PETER está trabajando en la implementación de la herramienta de seudonimización ERDRI.spider (*Secure Privacy-preserving Identity management in Distributed Environments for Research*), recomendada por la CE.

Para la recogida de datos clínicos se utilizará una plataforma en línea (Xolomon) con protocolos que garantizan la seguridad de la introducción de datos. Sólo los usuarios registrados y autorizados por el investigador principal como participantes en el estudio podrán introducir datos en la plataforma.

Los datos de calidad de vida se recogerán a través de una aplicación móvil diseñada por Xolomon. Se proporcionará a los pacientes un nombre de usuario y una contraseña para la aplicación móvil, que deberán cambiar en el primer inicio de sesión. La información para el paciente (QRs, usuario y contraseña) será generada desde la aplicación web por el investigador que haya inscrito al paciente.

### 5.5. Datos que deben recopilarse

Los elementos de datos básicos incluirán el conjunto de elementos de datos comunes para el registro de enfermedades raras, desarrollado por la JRC (<https://eu-rd->



platform.jrc.ec.europa.eu/set-of-common-data-elements) para abordar las especificidades del trasplante pediátrico, una condición compleja, en comparación con las enfermedades raras.

Seguendo los objetivos del registro PETER, se recopilarán datos prospectivos sobre las características del paciente, los datos de trasplante y los resultados. Los datos posteriores al trasplante se registrarán 3 meses después del trasplante y anualmente, hasta que se complete la transición a la atención médica de adultos (fig.2).



Figura 2: Datos requeridos durante todas las fases del trasplante

## 5.6. Almacenamiento de datos

PETER es un registro centralizado. Todos los datos se transfieren a la base de datos central de PETER utilizando el Software de Xolomon. El Software, desarrollado por Xolomon Tree S.L (info@xolomon.com), es el software electrónico de captura de datos (EDC) y transferencia elegido para desarrollar el PETER. Xolomon es un software SaaS (*Software as a Service*) EDC (*Electronic Data Capture*), y es una aplicación web de tenencia múltiple (*multi-tenant*). La infraestructura de software está alojada en Microsoft Azure. Los datos de estudio se almacenarán en un servidor seguro de Microsoft Azure con un nivel adecuado de cifrado basado en la región «Europa Occidental» de Azure. Aunque Microsoft no revela la ubicación pública de sus servidores, los centros de datos que soportan y alojan la región de Europa Occidental se encuentran en Irlanda (área de Dublín).

## 5.7. Análisis de datos

Los análisis estadísticos se realizarán en base a un protocolo de estudio. Se desarrollarán consultas, en colaboración con expertos clínicos, para consultar en la base de datos de PETER, a fin de generar las estadísticas descriptivas y la información relevante necesaria para planificar

los análisis estadísticos previstos en el protocolo de estudio. Los datos del registro apoyarán los estudios observacionales basados en el uso secundario de los datos disponibles, de conformidad con la legislación nacional y de la UE aplicable, y en el contexto de las directrices y orientaciones del Espacio Europeo de Datos Sanitarios y de la JRC/EU RD.

## 5.8. Gestión y calidad de los datos

El registro PETER tiene un Plan de Garantía de Calidad de Datos (*Quality Data Assurance Plan*, QDAP) que comprende las estructuras de gobierno, políticas, procedimientos y protocolos para gestionar la calidad de los datos y la información, así como consideraciones éticas, legales, de seguridad y privacidad.

El QDAP incluye los controles establecidos en la propia plataforma para garantizar la calidad de los datos, así como el plan de Auditoría y Garantía de Calidad para evaluar y monitorear las medidas establecidas en el QDAP.

## 5.9. Integración e interoperabilidad del registro

El registro PETER está inscrito en la plataforma de enfermedades raras de la UE (EU RD), ERDRI.dor — Directorio Europeo de Registros (<https://eu-rd-platform.jrc.ec.europa.eu/erdridor/register/list/place/ES>). Se fomentarán las sinergias con otros registros de las ERN a través del Grupo de Trabajo sobre Registros de las ERN y el proyecto ERICA.

El registro PETER será interoperable con las plataformas europeas.

## 6. REQUISITOS PARA LA INTEGRACIÓN DE LOS DATOS DEL PACIENTE EN EL REGISTRO

### 6.1. Aprobación previa por los Comités de Ética locales de los Hospitales

El protocolo de registro se presentará a los Comités de Ética (CE) de los hospitales involucrados. Además, los CE autorizarán previamente cualquier investigación realizada utilizando los datos del registro PETER.

### 6.2. Consentimiento informado

La adquisición previa del consentimiento informado del paciente/tutor antes de su inclusión en el registro es la base legal del registro.

Los investigadores deben explicar a cada paciente (o representante legal) la naturaleza del registro PETER, su propósito, el tipo de datos recopilados, la duración esperada y los riesgos y beneficios potenciales involucrados. Cada paciente debe ser informado de que el consentimiento para tener sus datos en el registro PETER es voluntario, que puede retirarse del registro en cualquier momento, y que la retirada del consentimiento no afectará a su posterior tratamiento médico o relación con el médico tratante. El consentimiento informado se dará por medio de una declaración escrita estándar, utilizando un lenguaje no técnico.

El paciente/tutor debe leer y considerar la declaración antes de firmarla y datarla, y debe recibir una copia del documento firmado para conservarla. Si el sujeto no puede leer o firmar

el documento, puede ser presentado oralmente o firmado por el representante legalmente designado del sujeto, si es presenciado por una persona no involucrada en el registro, indicando que el paciente no pudo leer o firmar documentos. La información sobre un paciente no puede ser inscrita en el registro PETER antes de que se haya obtenido su consentimiento informado. El consentimiento informado forma parte del protocolo y debe ser presentado por el investigador al CE local.

## 7. PROTECCIÓN DE DATOS

Dado que los datos personales se registrarán y almacenarán en formato seudonimizado en la base de datos central PETER utilizando el software Xolomon, todas las partes involucradas en el desarrollo del registro mantendrán una estricta confidencialidad para garantizar que no se viole la privacidad personal ni la privacidad de las familias de los pacientes que participan en los registros.

Los datos serán tratados exclusivamente por personal autorizado que participe en el desarrollo del registro PETER. El acceso a los sistemas informáticos y a los locales donde se guardan se controlará mediante medidas de seguridad adecuadas que cumplan con los requisitos de la regulación de la privacidad.

El tratamiento de los datos personales de los pacientes que participan en el registro PETER, y específicamente en relación con los datos relacionados con el consentimiento, cumplirá con la legislación local de privacidad y el Reglamento General de Protección de Datos 2016/679 (RGPD) de la Unión Europea.

## 8. GOBERNANZA

De acuerdo con el QDAP, los órganos de gobierno se describen en el mandato de PETER (ToR), que define a la Junta del PETER (PETER Board) como el máximo órgano de gobierno (incluido en el órgano de gobierno más alto de la ERN TransplantChild), **dirigido por el coordinador del registro PETER (Dra. Paloma Jara. Hospital Universitario La Paz)**. Además, se han establecido otros órganos rectores, como el Comité Ejecutivo y el Comité de Acceso a los Datos, para supervisar la elaboración del registro y las solicitudes de acceso a los datos. Las estructuras de gobernanza del PETER se muestran en la siguiente figura (fig.3).

La Junta de PETER cuenta con el apoyo de una Secretaría Técnica de TransplantChild, ubicada en el Paseo de la Castellana 261, 28046, Madrid, España (contacto: Número de teléfono: + 34 917.27.75.76; correo electrónico; [coordination@transplantchild.eu](mailto:coordination@transplantchild.eu)).

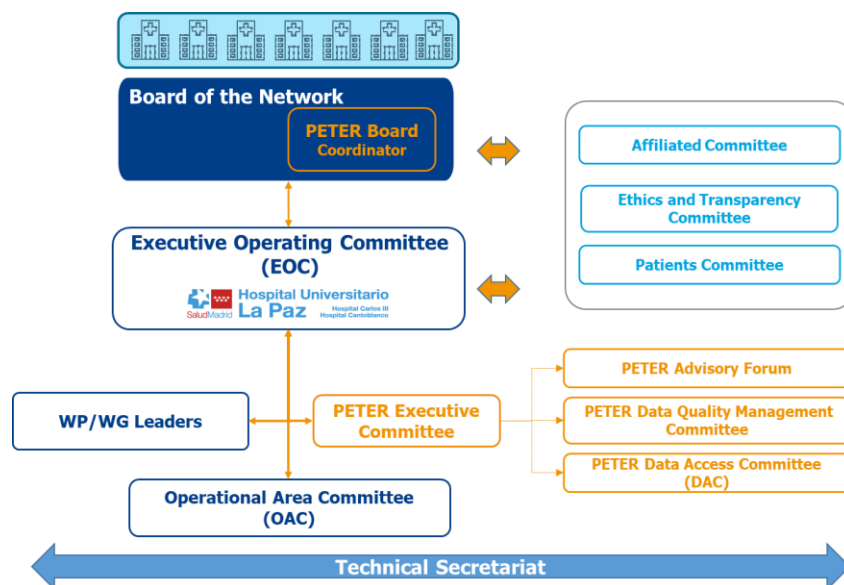


Figura 3: Estructuras de gobernanza del registro PETER en el marco de la ERN TransplantChild.

## 9. FINANCIACIÓN

El registro creado fue cofinanciado por el Programa de Salud de la Unión Europea (2014-2020). Agencia Ejecutiva de Consumidores, Salud, Agricultura y Alimentación (CHAFEA). Número del convenio de subvención: 947629 — PETER — HP-PJ-2019. Subvención de 199 981,42 EUR.

## 10. ENTRADA EN VIGOR, REVISIÓN Y MODIFICACIONES

Este protocolo entrará en vigor una vez aprobado por la Junta del PETER.

Este protocolo se revisará y actualizará, en caso necesario, anualmente.

Sin embargo, cualquier miembro de la Junta del PETER puede proponer modificaciones a este protocolo por motivos justificados.

En este sentido, toda propuesta irá acompañada de un informe explicativo sobre las causas y el alcance de la modificación propuesta. Las propuestas serán presentadas por el coordinador del registro PETER en las reuniones ordinarias de la Junta de PETER y las decisiones y acuerdos se registrarán en el acta de la reunión.

Toda modificación del protocolo será comunicada a los miembros de la red y cargada y difundida por el centro de coordinación.

Cada miembro de la red deberá cumplir con las reglas y principios establecidos en este protocolo.