



**European
Reference
Network**

for rare or low prevalence
complex diseases

 **Network**

Transplantation
in Children

(ERN TRANSPLANT-CHILD)

PAEDIATRIC
TRANSPLANTATION
EUROPEAN
REGISTRY



peter

Laste siirdamise Euroopa register PETER

PETER registriprotokoll



Co-funded by the European Union,
by the project GA 947629

Jõustumiskuupäev: V01. 02(november 2023)

Lahtiütlus

Käesoleva aruande sisu kajastab ainult autori seisukohti ja see on tema ainuvastutus; see ei kajasta Euroopa Komisjoni ja/või HaDEA ega ühegi teise Euroopa Liidu asutuse seisukohti. Euroopa Komisjon ei võta endale mingit vastutust selles sisalduva teabe kasutamise eest.

DOKUMENTIDE AJALUGU

Väljaandmise kuupäev	Versiooni	Selle probleemi põhjused/põhjus
02.11.2023	1	Esialgne versioon

DOKUMENT ON VÄLJA LÜLITATUD

Koostanud:	Heaks kiitnud:
Asukoht: Täitevkomitee	Asukoht: Võrgustiku koordinaator PETER ja võrgustiku nõukogu nimel
Kuupäev: 05.07.2023	Paloma Jara Kuupäev: 02.11.2023.

LEVITAMISE TASE

PU	Avalik	<input checked="" type="checkbox"/>
SISSE	Ainult sisekasutuseks	<input type="checkbox"/>
CO	Konfidentsiaalne, ainult konsortsiumi liikmetele (sealhulgas komisjoni talitustele)	<input type="checkbox"/>

TEAVE DOKUMENDI KOHTA

PETER-REGISTRI PROTOKOLL

Euroopa tugivõrgustiku dokumendi liik: Protokoll

Taksonoomiline viide: Euroopa tugivõrgustike tegevusestaruandmine

EUROOPA TUGIVÕRGUSTIK: TransplantChild

Selle klassifikatsiooni kohta lisateabe saamiseks vt SOP00 TransplantChild dokumentatsiooni haldamise standardne töökord (SOP00).

SISUKORD

1. BACKGROUND AND RATIONALE.....	4
Paediatric transplantation.	4
2. OBJECTIVE.....	5
3. SCOPE	5
4. PETER REGISTRY CONCEPT AND AIMS.....	5
5. REGISTRY CHARACTERISTICS	6
5.1. Patient inclusion criteria.	6
5.2. Patient exclusion criteria.....	6
5.3. Healthcare providers included in the registry	7
5.4. Data collection	7
5.5. Data to be collected	7
5.6. Data storage	8
5.7. Data analyses.....	8
5.8. Data management and quality	9
5.9. Registry integration and interoperability.....	9
6. REQUIREMENTS FOR THE INTEGRATION OF PATIENT DATA INTO THE REGISTRY	9
6.1. Prior approval by the local Ethics Committees of the HCPs	9
6.2. Informed consent	9
7. DATA PROTECTION	10
8. GOVERNANCE.....	10
9. FINANCING	11
10. ENTRY INTO FORCE, REVISION AND AMENDMENTS.....	11

1. TAUST JA PÕHJENDUS

Euroopa Komisjoni poolt 2017. aastal loodud Euroopa tugivõrgustikud haruldaste haiguste või keerukate haiguste jaoks, mis nõuavad väga spetsiifilist ravi, eksperditeadmisi ja ressursse, oli oluline verstapost, et tagada neile patsientidele juurdepääs ja eriravi. See algatus võimaldas mobiliseerida parimaid valdkondadevahelisi meeskondi ja vahetada eksperditeadmisi kogu Euroopas. Euroopa tugivõrgustik TransplantChild on üks 24 võrgustikust, mis loodi 2017. aastal vastavalt patsiendiõiguste piiriülese tervishoiu direktiivi artiklile 12 haruldaste, komplekssete või vähese levimusega haiguste või haiguste valdkonnas.

Euroopa tugivõrgustik TransplantChild on ainus Euroopa tugivõrgustik, mis keskendub keerukale menetlusele, nagu laste siirdamine, mis on keeruline ja vähese levimusega haigus, mis nõuab väga eriteadmisi ja ressursse. Praegused lähenemisviisid ei ole piisavad pikaajalise siirdamise ja patsientide elulemuse täielikuks käsitlemiseks, tagades samal ajal parima võimaliku elukvaliteedi.

Euroopa tugivõrgustikus TransplantChild on praegu 40 Euroopa tervishoiuteenuse osutajat 21st ELi liikmesriigist, kuhu kuulub 33 täisliiget ja 7 seotud partnerit. Euroopa tugivõrgustiku TransplantChild eesmärk on suurendada ja parandada ELis siirdamist vajavate laste ja nende perekondade oodatavat eluiga ja elukvaliteeti: (1) tagada võrgustiku kaudu nende juurdepääs parimatele võimalikele hooldustavadele ja tugimenetlustele, mis on seotud laste siirdamise valdkonnaülese ja valdkondadevahelise lähenemisviisiga; (2) arendada ja koondada võrgustiku raames jõupingutusi kaasavate, uuenduslike ja paremate menetluste, teabe, koolituse, teadmiste ja kogemuste jaoks; (3) integreerida sidusrühmad siirdamisprotsessi ning teha kättesaadavaks teadmised ja teave. Seda nägemust on eriti vaja laste siirdamisel, mitte täiskasvanute siirdamisel, kus patsientide arv siirdatud elundi kohta on suurem.

Patsientide registrid ja andmebaasid on peamised vahendid kliiniliste uuringute arendamiseks haruldaste haiguste valdkonnas, et parandada patsientide ravi ja tervishoiu planeerimist. Need on parim viis andmete koondamiseks, et saavutada epidemioloogiliste ja/või kliiniliste uuringute jaoks piisav valimimaht. Registrid on värbamisvahend haiguste etioloogiale, patogeneesile, diagnoosile või ravile keskenduvate uuringute käivitamiseks. Euroopa Liidu Nõukogu soovitas 8. juunil 2009, et liikmesriigid kaaluksid haruldaste haiguste või komplekssete haiguste valdkonnas epidemioloogiliste eesmärkide, registrite ja andmebaaside toetamist kõigil asjakohastel tasanditel, sealhulgas ELi tasandil, olles samal ajal teadlikud sõltumatust juhtimisest. Selleks et toetada seda protsessi ja eelkõige haruldaste haiguste registrite andmete koostalitlusvõimet, otsustas komisjon luua haruldaste haiguste registreerimise Euroopa platvormi (ELi maaelu arengu platvorm) ja töötada välja konkreetsed standardid selliste haruldaste haiguste registrite koostalitlusvõime kohta (edaspidi „komisjoni Teadusuuringute Ühiskeskuse poolt välja töötatud JRC standardid“).

Laste siirdamine.

Nii tahke elundi siirdamine (SOT) kui ka vereloome tüvirakkude siirdamine on oluliselt muutnud paljude laste oodatavat eluiga, pakkudes ravi, mis muidu ei oleks ellu jäänud. Üle maailma tehakse igal aastal umbes 150,000 SOT ja 80,000 HSCT. Pediaatriline siirdamine moodustab

ligikaudu 10 % kogu SOT-ist ja 20 % kogu HSCT-st. Aastatel 2012–2016 tehti Euroopa Liidus ligikaudu 7441 pediaatrilist SOT-i ja 14,717 pediaatrilist HSCT-d ning laste siirdamiste arv kasvab jätkuvalt.

Nii SOT kui ka HSCT pakuvad ravivõimalust, kuid suurendavad samal ajal raviga seotud suremuse ja pikaajaliste kõrvaltoimete riski. Siirdamine asendab lõppstaadiumis haiguse jätkusuutlikuma kroonilise haigusega ning sellel on seega sügavad kliinilised ja psühhosotsiaalsed tagajärjed. Siirdamisravi kujutab endast veel meditsiinilist väljakutset, kuna tõhus siirdamine nõuab interdistsiplinaarset meeskonna lähenemisviisi, toetades siirdamisprotseduuri SOT ja HSCT ühistes protsessides, näiteks: immunosupressiivne ravi, immuunsüsteemi lahustamine, äratõukamine, tolerantsus, infektsioonioht, üleminek täiskasvanute hooldusele ja psühhosotsiaalne heaolu.

2. EESMÄRK

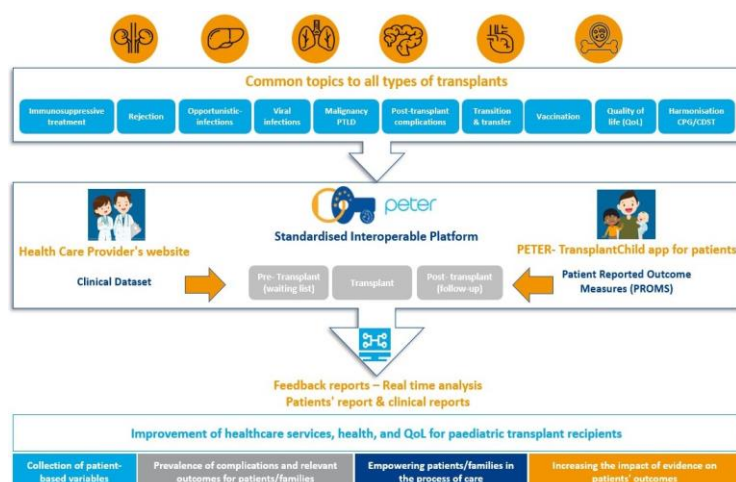
Käesoleva dokumendi eesmärk on põhjalikult käsitleda PETER registri ja selle toimimise põhiaspekte. Need hõlmavad tema atribuute, õiguslikke aspekte, patsiendiõigusi, andmekaitset, selle toimimisega seotud juhtimist ja rahastamiskaalutlusi.

3. ULATUS

Käesolevat dokumenti kohaldatakse **iga PETER registris osaleva tervishoiuteenuse osutaja suhtes. Vastutavad uurijad tagavad, et PETER registrit rakendatakse kooskõlas käesoleva protokolliga, järgides selles kirjeldatud juhiseid ja menetlusi.**

4. PETER REGISTRI KONTSEPTSIOON JA EESMÄRGID

Pediaatriliste siirdamiste Euroopa register – PETER – tuleneb vajadusest integreerida läbilõikeline lähenemisviis laste siirdamisele ja patsiendi teatatud tulemusnäitajate aruannetele (joonis 1)



Joonis 1: PETER registrikäsitlus

PETER võimaldab ratsionaalsed, tõhusad ja koostalitluslikku juurdepääsu teabele igat liiki laste siirdamise kohta.

PETER põhineb läbilõikepõhisel lähenemisviisil, olenemata siirdamise tüübist, integreerides siirdamisprotsessi eri etappide muutujad.

See suurendab teadmisi siirdamisprotseduuri kohta lastel, et teha kindlaks siirdamise efektiivsuse määravad tegurid, mis võimaldavad arendada uurimissuundi, et parandada laste ja nende perekondade ellujäämist ja elukvaliteeti.

Üldine eesmärk on kirjeldada siirdatud laste tervislikku seisundit alates nende kandmisest ootenimekirja ja siirdamisjärgse järelkontrolli ajal, nii kliinilisest kui ka patsiendi enda seisukohast (elukvaliteet). FAIR-põhimõtete Euroopa standardite järgimine, parandades nende leidlikkust, juurdepääsetavust, koostalitlusvõimet ja taaskasutatavust ning austades täielikult kehtivaid andmekaitsepoliitikaid.

Konkreetsed eesmärgid on järgmised:

- Hinnata siirdamise pikaajalist efektiivsust ja ohutust.
- Kliiniliste tulemuste, sealhulgas siiriku elulemuse, tüsistuste ja patsientide elulemuse hindamiseks.
- Hinnata siirdatud laste elukvaliteeti.
- Seostada siirdamise käigus toimunud muutused patsientide elukvaliteediga.
- Teha kindlaks kliinilise praktika kvaliteedi parandamise ja ühtlustamise valdkonnad.
- Toetada teadmiste loomist laste siirdamise protsessi ja teadusuuringute edendamise kohta.

Neid eesmärgi täites on PETER eesmärk parandada siirdatud laste ravi ja tulemusi.

5. REGISTRI KARAKTERISTIKUD

Peter eesmärk on koguda prospektiivselt kliinilisi andmeid pediaatrilise siirdamise protsessi kohta patsiendi ravis.

PETER andmete kogumine ei nõua täiendavaid haiglauuringuid, vastuvõtu- ja/või külastusi lisaks tavapärasele ravile. Sekkumiste eesmärk on koguda kliinilises toimikus juba sisalduvaid terviseseisundi andmeid ja patsiendi/vanemate teatatud elukvaliteeti.

5.1. Patsientide kaasamise kriteeriumid.

Kaasatakse või jälgitakse alla 18-aastaseid patsiente, kellele on siirdatud soliidne elund ja/või vereloome tüvirakk pärast nende lisamist siirdamise ootenimekirja.

5.2. Patsientide välistamise kriteeriumid.

- Siirdamise retsiipiendid pärast 18. eluaastat.
- Siirdamise korrapärased järelmeetmed väljaspool ELi.
- Teadva nõusoleku vastu võtmata jätmine.

5.3. Registrisse kantud tervishoiuteenuste osutajad

PETER registri eesmärk on koguda andmeid patsientide kohta, kes vastavad kindlaksmääratud kaasamiskriteeriumidele.

Neid andmeid kogutakse Euroopa tugivõrgustiku TransplantChild võrgustiku tervishoiutöötajatelt, samuti siirdamata lastearstidelt ning Euroopa riikide riiklikest ja/või piirkondlikest kliinilistest võrgustikest.

Alates 2023. aasta augustist asub 21 ELi liikmesriigis 40 Euroopa tugivõrgustiku transplantaarset tervishoiutöötajat.

5.4. Andmete kogumine

Kogutud andmed ei hõlma patsientide demograafilisi andmeid ega patsiendi identifikaatoreid.

Iga patsient saab pseudonüümitud sisekoodi vastavalt Xolomoni platvormi süsteemile. Peter tegeleb Euroopa Komisjoni soovitatud pseudonüümimisvahendi ERDRI.spider (Secure Privacy-konserving Identity Management in Distributed Environments for Research) rakendamisega.

Kliiniliste andmete kogumiseks kasutatakse veebiplatvormi (Xolomon) koos protokollidega, mis tagavad andmete sisestamise turvalisuse. Andmeid saavad platvormile sisestada ainult peauurija poolt registreeritud ja uuringus osalejatena volitatud kasutajad.

Elukvaliteedi andmeid kogutakse Xolomoni poolt välja töötatud mobiilirakenduse kaudu. Patsientidele antakse mobiilirakenduse kasutajanimi ja parool, mida tuleb esimesel sisselogimisel muuta. Infolehe infolehe genereerib veebirakendusest patsiendi registreerinud uurija.

5.5. Kogutavad andmed

Põhiandmeelemendid hõlmavad Teadusuuringute Ühiskeskuse väljatöötatud ühiste andmeelementide kogumit haruldaste haiguste registreerimiseks (<https://eu-rd-platform.jrc.ec.europa.eu/set-of-common-data-elements>), et käsitleda laste siirdamise eripära, mis on keeruline seisund võrreldes haruldaste haigustega.

PETER registri eesmärkide kohaselt kogutakse andmeid patsiendi omaduste, siirdamise andmete ja tulemuste kohta. Siirdamisjärgsed andmed registreeritakse 3 kuud pärast siirdamist ja seejärel kord aastas, kuni üleminek täiskasvanute tervishoiule on lõppenud (joonis 2).



Joonis 2: Nõutavad andmed kõigi siirdamisfaaside kohta

5.6. Andmete säilitamine

Peter on tsentraliseeritud register. Kõik andmed edastatakse PETER keskandmebaasi Xolomon Software'i abil. Tarkvara, mille on välja töötanud Xolomon Tree S.L (info@xolomon.com), on elektrooniline andmehõive (EDC) ja edastustarkvara, mis on valitud PETER arendamiseks. Xolomon on SaaS (tarkvara kui teenus) EDC (Electronic Data Capture) tarkvara ja mitme üürnikuga veebirakendus. Tarkvara infrastruktuur asub Microsoft Azure'is. Uuringuandmeid säilitatakse turvalises Microsoft Azure'i serveris, millel on sobival tasemel krüpteerimine Azure'i „Lääne-Euroopa“ piirkonnas. Kuigi Microsoft ei avalikusta oma serverite avalikku asukohta, asuvad Lääne-Euroopa piirkonda toetavad ja majutavad andmekeskused Iirimaal (Dublini piirkond).

5.7. Andmeanalüüsid

Statistilised analüüsid tehakse uuringuprotokolli alusel. Koostöös kliiniliste ekspertidega töötatakse välja päringud PETER DB ülekuulamiseks, et saada kirjeldavat statistikat ja asjakohast teavet, mis on vajalik uuringuprotokollis kavandatud statistiliste analüüside kavandamiseks. Registriandmed toetavad olemasolevate andmete sekundaarsel kasutamisel põhinevaid vaatlusuuringuid kooskõlas kohaldatavate ELi ja riiklike õigusaktidega ning Euroopa terviseandmeruumi ja Teadusuuringute Ühiskeskuse/ELi teadus- ja arendustegevuse platvormi suuniste ja suunistega.

5.8. Andmehaldus ja kvaliteet

PETER registril on kvaliteediandmete tagamise kava (QDAP), mis koosneb juhtimisstruktuuridest, põhimõtetest, protseduuridest ja protokollidest andmete ja teabe kvaliteedi haldamiseks, samuti eetilistest, õiguslikest, turva- ja eraelu puutumatuse kaalutlustest.

QDAP hõlmab platvormil endas andmete kvaliteedi tagamiseks kehtestatud kontrolle ning auditi- ja kvaliteeditagamise kava, et hinnata ja jälgida QDAPis kehtestatud meetmeid.

5.9. Registrate integreerimine ja koostalitlusvõime

PETER register on registreeritud EU RD Platform, ERDRI.dor – Euroopa registrikataloog (<https://eu-rd-platform.jrc.ec.europa.eu/erdrdor/register/list/place/ES>). Sünergia teiste Euroopa tugivõrgustike registritega edendatakse Euroopa tugivõrgustike registrite rakkerühma ja ERICA kaudu.

PETERi register on koostalitlusvõimeline Euroopa platvormidega.

6. PATSIENDIANDMETE REGISTRISSE INTEGREERIMISE NÕUDED

6.1. Tervishoiutöötajate kohalike eetikakomiteede eelnev heakskiit

Registriprotokoll esitatakse asjaomaste tervishoiutöötajate eetikakomiteedele. Peale selle annavad asjaomaste tervishoiutöötajate Euroopa Komisjonid loa PETERi registriandmete alusel tehtavateks uuringuteks.

6.2. Teadv nõusolek

Patsiendi/juhendaja teadva nõusoleku eelnev omandamine enne nende registrisse kandmist on registri õiguslik alus.

Uurijad peavad igale patsiendile (või seaduslikule esindajale) selgitama PETERi registri olemust, eesmärki, kogutud andmete liiki, eeldatavat kestust ning võimalikke kaasnevaid riske ja kasu. Iga patsienti tuleb teavitada, et tema andmete PETERi registrisse kandmisega nõustumine on vabatahtlik, et ta võib igal ajal registrist taganeda ning nõusoleku tagasivõtmine ei mõjuta tema järgnevat ravi või suhet raviarstiga. Teadev nõusolek antakse kirjaliku standardkinnituse vormis, kasutades mittetehnilist keelt.

Patsient/juhendaja peab enne allkirjastamist ja tutvumist avaldusega läbi lugema ja seda kaaluma ning talle tuleks anda allkirjastatud dokumendi koopia. Kui subjekt ei saa dokumenti lugeda või allkirjastada, võib selle esitada talle suuliselt ja/või allkirjastada subjekti seaduslikult määratud esindaja, kui seda tunnistab registris mitteosalev isik, näidates, et patsient ei saanud dokumente lugeda või allkirjastada. Teavet patsiendi kohta ei saa kanda PETERi registrisse enne, kui ta on saanud teadliku nõusoleku. Informeeritud nõusolek on osa protokollist ja uurija peab selle esitama kohalikule Euroopa Komisjonile.

7. ANDMEKAITSE

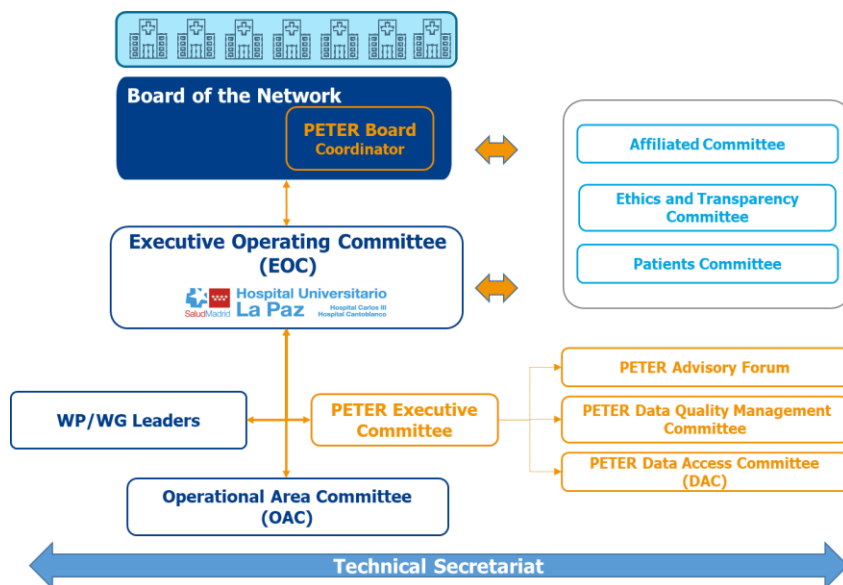
Kuna isikuandmed salvestatakse ja säilitatakse pseudonüümitud kujul PETERi keskandmebaasis Xolomon Software'i abil, säilitavad kõik registri arendamisega seotud osapooled range konfidentsiaalsuse, tagamaks, et ei rikuta ei isiklikku privaatsust ega registrites osalevate patsientide perekondade privaatsust.

Andmeid töötlevad üksnes PETERi registri arendamises osalevad volitatud töötajad. Juurdepääsu arvutisüsteemidele ja ruumidele, kus neid hoitakse, kontrollitakse asjakohaste turvameetmetega, mis vastavad eraelu puutumatuse reguleerimise nõuetele.

PETERi registris osalevate patsientide isikuandmete töötlemine, eelkõige seoses nõusolekuga seotud andmetega, on kooskõlas kohalike eraelu puutumatust käsitlevate õigusaktidega ja Euroopa Liidu isikuandmete kaitse üldmäärusega 2016/679.

8. JUHTIMINE

Kooskõlas QDAPiga on juhtorganid esitatud PETERi pädevusraamistikus, milles määratletakse PETERi nõukogu kui kõrgeim juhtorgan (hõlmab ERN TransplantChildi kõrgeimat juhtorganit), mida **juhib PETERi registri koordinaator (Dra. Paloma Jara. La Pazi ülikooli haigla)**. Lisaks on loodud täiendavad juhtorganid, nagu täitevkomitee ja andmetele juurdepääsu komitee, et jälgida registri arengut ja andmetele juurdepääsu taotlusi. PETERi juhtimisstruktuurid on esitatud järgmisel joonisel (joonis 3).



Joonis 3: PETERi registri juhtimisstruktuurid Euroopa tugivõrgustiku TransplantChild raames.

PETERi juhatust toetab tema tegevuses spetsiaalne TransplantChildi tehniline sekretariaat, mis asub Paseo de la Castellana 261, 28046 Madridis, Hispaanias (kontaktisik: Telefoninumber: + 34 917.27.75.76; e-post; coordination@transplantchild.eu).

9. RAHASTAMINE

Registri loomist kaasrahastati Euroopa Liidu terviseprogrammist (2014–2020). Tarbija-, Tervise-, Põllumajandus- ja Toiduküsimuste Rakendusamet (CHAFEA). Toetuslepingu number: 947629 – PETER – HP-PJ-2019. Toetus summas 199 981.42 eurot.

10. JÕUSTUMINE, LÄBIVAATAMINE JA MUUDATUSED

Protokoll jõustub pärast seda, kui PETERi komisjon on selle heaks kiitnud.

See protokoll vaadatakse läbi ja vajaduse korral ajakohastatakse igal aastal.

Siiski võib iga PETERi komisjoni liige teha põhjendatud põhjustel ettepaneku käesoleva protokolliga muutmiseks.

Sellega seoses lisatakse igale ettepanekule selgitav aruanne muudatusettepaneku põhjuste ja ulatuse kohta. PETERi koordinaator esitab ettepanekud PETERi komisjoni korralistel koosolekutel ning otsused ja kokkulepped kantakse koosoleku protokollis.

Igast protokolliga muudatusest teatatakse võrgustiku tervishoiutöötajatele ning koordineerimiskeskus laadib need üles ja levitab.

Iga võrgustiku liige peab järgima käesolevas protokollis sätestatud eeskirju ja põhimõtteid.