



**European
Reference
Network**

for rare or low prevalence
complex diseases

Network
Transplantation
in Children
(ERN TRANSPLANT-CHILD)

PAEDIATRIC
TRANSPLANTATION
EUROPEAN
REGISTRY



peter

Gyermekátültetés Európai Nyilvántartás PÉTER

PETER nyilvántartási protokoll



Nyilatkozat

E jelentés tartalma kizárólag a szerző véleményét tükrözi, és kizárólagos felelőssége; nem tekinthető úgy, hogy tükrözi az Európai Bizottság és/vagy a HaDEA vagy az Európai Unió bármely más szerve véleményét. Az Európai Bizottság nem vállal felelősséget a benne található információk esetleges felhasználásáért.

A DOKUMENTUM ELŐZMÉNYEI

A kibocsátás dátuma	Változat	Módosítások/A probléma indoklása
02.11.2023	1	Eredeti változat

A DOKUMENTUM ALÁÍRÁSA

Készítette:	Jóváhagyta:
Pozíció: Végrehajtó bizottság	Pozíció: Hálózati koordinátor a PETER & Network Board nevében
Dátum: 05.07.2023	Paloma Jara Dátum: 02.11.2023.

TERJESZTÉSI SZINT

PU	Publikus	<input checked="" type="checkbox"/>
IN	Csak belső használat	<input type="checkbox"/>
CO	Bizalmas, csak a konzorcium tagjai számára (beleértve a Bizottság szolgálatait is)	<input type="checkbox"/>

A DOKUMENTUMRA VONATKOZÓ INFORMÁCIÓK

PETER-REGISZTRÁCIÓS JEGYZŐKÖNYV

Az ERN dokumentum típusa: Protokoll

Taxonómiai hivatkozás: Az ERH tevékenységeinek jelentése

ERN: TransplantChild

Az osztályozással kapcsolatos további információkért lásd a TransplantChild dokumentáció kezelésére vonatkozó SOP00 szabványműveleti eljárást (SOP)

TARTALOMJEGYZÉK

1. BACKGROUND AND RATIONALE.....	4
Paediatric transplantation.	5
2. OBJECTIVE.....	5
3. SCOPE	5
4. PETER REGISTRY CONCEPT AND AIMS.....	5
5. REGISTRY CHARACTERISTICS	6
5.1. Patient inclusion criteria.	7
5.2. Patient exclusion criteria.....	7
5.3. Healthcare providers included in the registry.....	8
5.4. Data collection	8
5.5. Data to be collected.....	8
5.6. Data storage	9
5.7. Data analyses.....	9
5.8. Data management and quality	10
5.9. Registry integration and interoperability.....	10
6. REQUIREMENTS FOR THE INTEGRATION OF PATIENT DATA INTO THE REGISTRY....	10
6.1. Prior approval by the local Ethics Committees of the HCPs	10
6.2. Informed consent	10
7. DATA PROTECTION	11
8. GOVERNANCE.....	11
9. FINANCING	12
10. ENTRY INTO FORCE, REVISION AND AMENDMENTS.....	12

1. HÁTTÉR ÉS INDOKOLÁS

Az, hogy az Európai Bizottság 2017-ben létrehozta a ritka betegségek vagy a rendkívül speciális kezelést, szakértelmet és erőforrásokat igénylő összetett betegségek európai referenciahálózatait, fontos mérföldkő volt e betegek hozzáféréseinek és speciális ellátásának biztosítása szempontjából. Ez a kezdeményezés lehetővé tette a legjobb multidiszciplináris csapatok mozgósítását és a szakértelem cseréjét Európa-szerte. Az ERN-TransplantChild egyike annak a 24 hálózatnak, amelyet 2017-ben indítottak el a ritka, összetett vagy alacsony prevalenciájú betegségek vagy állapotok terén a határon átnyúló betegjogokról szóló irányelv 2011. évi 12. cikkével összhangban.

Az ERN TransplantChild az egyetlen olyan ERN, amely egy összetett eljárásra összpontosít, mint például a gyermekátültetés, amely egy összetett és alacsony prevalencia állapot, amely rendkívül speciális szakértelmet és erőforrásokat igényel. A jelenlegi megközelítések nem elegendők a hosszú távú graft és a betegek túlélésének teljes körű kezeléséhez, miközben a lehető legjobb életminőséget biztosítják.

Az ERN TransplantChild jelenleg 21 uniós tagállam 40 európai egészségügyi szolgáltatóját (HCP) foglalja magában, amelyekben 33 HCP teljes jogú tag (FM) és 7 társult partner (AP) vesz részt. Az ERN TransplantChild célja, hogy megerősítse és javítsa a transzplantációra szoruló gyermekek és családjaik várható élettartamát és életminőségét az alábbiak révén: (1) A hálózaton keresztül történő hozzáférés biztosítása a gyermekátültetés átfogó és multidiszciplináris megközelítésével kapcsolatos lehető legjobb gondozási gyakorlatokhoz és támogatási eljárásokhoz; (2) az inkluzív, innovatív és jobb eljárásokra, tájékoztatásra, képzésre, tudásra és tapasztalatra irányuló erőfeszítések kidolgozása és összekapcsolása a hálózaton belül; (3) az érdekelt felek bevonása a transzplantációs folyamatba, valamint az ismeretek és információk rendelkezésre bocsátása. Erre a látásra különösen gyermektranszplantáció esetén van szükség, szemben a felnőtt transzplantációval, ahol az egy transzplantált szervre jutó betegek száma magasabb.

A betegnyilvántartások és -adatbázisok kulcsfontosságú eszközt jelentenek a ritka betegségek területén végzett klinikai kutatás fejlesztéséhez, valamint a betegellátás és az egészségügyi ellátás tervezésének javításához. Ezek a legjobb módja az adatok összegyűjtésének, hogy elegendő mintaméretet érjenek el az epidemiológiai és/vagy klinikai kutatásokhoz. A nyilvántartások toborzási eszközként szolgálnak a betegségetiológiára, patogenezisre, diagnózisra vagy terápiára összpontosító tanulmányok elindításához. Az Európai Unió Tanácsa 2009. június 8-án azt ajánlotta, hogy a ritka betegségek és az összetett betegségek területén a tagállamok fontolják meg a járványügyi célok, nyilvántartások és adatbázisok minden megfelelő – többek között uniós – szinten történő támogatását, miközben tudatában vannak a független kormányzásnak. E folyamat és különösen a ritka betegségek nyilvántartásaiban szereplő adatok interoperabilitásának támogatása érdekében a Bizottság úgy határozott, hogy létrehozza a ritka betegségek regisztrálásával foglalkozó európai platformot (EU RD Platform), és kidolgozza az ilyen ritka betegségek nyilvántartásainak interoperabilitására vonatkozó egyedi szabványokat („JRC-szabványok”, amelyeket a Bizottság Közös Kutatóközpontja dolgozott ki).

Gyermekátültetés.

Mind a szilárd szervátültetés (SOT), mind a vérképző őssejt-transzplantáció (HSCT) drámaian megváltoztatta sok gyermek várható élettartamát azáltal, hogy olyan kezelést biztosított, amely egyébként nem maradt volna életben. Világszerte évente mintegy 150,000 SOT és 80,000 HSCT kerül végrehajtásra. A gyermekátültetés az összes SOT körülbelül 10%-át és az összes HSCT 20%-át teszi ki. 2012 és 2016 között mintegy 7741 gyermekgyógyászati SOT-ot és 14,717 gyermekgyógyászati HSCT-t végeztek az Európai Unióban, és a gyermekkorú transzplantációk száma továbbra is növekszik.

Mind az SOT, mind a HSCT lehetőséget kínál a gyógyulásra, ugyanakkor növeli a kezeléssel összefüggő halálozás és a hosszú távú mellékhatások kockázatát. A transzplantáció a végső stádiumú betegséget egy fenntarthatóbb krónikus betegséggel helyettesíti, és mint ilyen, mélyreható klinikai és pszichoszociális következményekkel jár. A transzplantációs ellátás mégis orvosi kihívást jelent, mivel a hatékony transzplantációhoz interdiszciplináris csapatszemplélet szükséges, amely támogatja a transzplantációs eljárást az SOT és a HSCT közös folyamataiban, mint például: immunszuppresszív kezelés, immunrekonstrukció, kilökődés, tolerancia, fertőzés kockázata, felnőttgondozásra való áttérés és pszichoszociális jólét.

2. CÉLKITŰZÉS

Ez a dokumentum átfogóan foglalkozik a PETER-nyilvántartást és annak működését meghatározó kulcsfontosságú szempontokkal. Ezek magukban foglalják az attribútumokat, a jogi szempontokat, a betegjogokat, az adatvédelmet, a működésével kapcsolatos irányítást és a finanszírozási megfontolásokat.

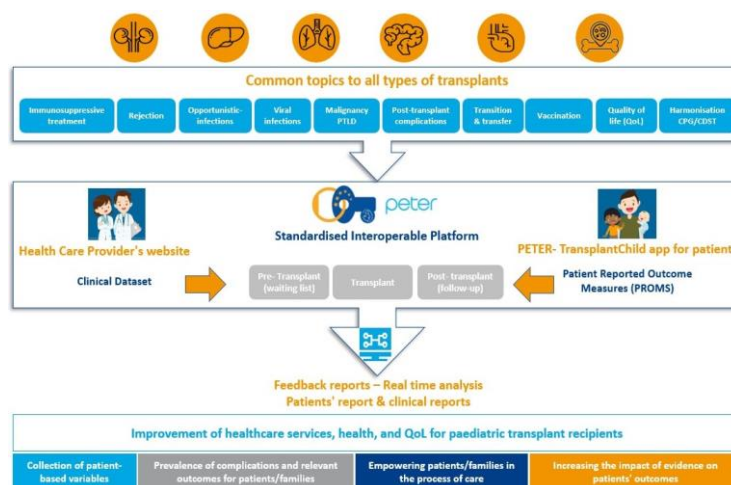
3. HATÁLY

Ez a dokumentum a PETER-nyilvántartásban részt vevő **valamennyi egészségügyi szolgáltatóra (HCP) vonatkozik. A felelős vizsgálók gondoskodnak arról, hogy a PETER-nyilvántartást e protokollnak megfelelően hajtsák végre, az itt leírt utasításoknak és eljárásoknak megfelelően.**

4. PÉTER NYILVÁNTARTÁSI KONCEPCIÓJA ÉS CÉLJAI

A gyermekátültetés európai nyilvántartása – PETER – abból ered, hogy integrálni kell a gyermekátültetés keresztmetszeti megközelítését és az életminőségről szóló jelentéseket a betegek bejelentett eredményeiről (PROM) (1. ábra). Péter racionális, hatékony és interoperabilis hozzáférést tesz lehetővé a gyermekátültetés valamennyi típusára vonatkozó információkhoz.

Péter keresztmetszeti megközelítésen alapul, függetlenül a transzplantáció típusától, integrálva a transzplantációs folyamat különböző fázisaiból származó változókat.



Ábra: Péter nyilvántartási megközelítése

Növelni fogja a gyermekek transzplantációs eljárásával kapcsolatos ismereteket a transzplantációs hatékonyság meghatározó tényezőinek kimutatása céljából, ami lehetővé teszi a gyermekek és családjaik túlélésének és életminőségének javítását célzó kutatási vonalak fejlesztését.

Az általános cél a gyermekkorú transzplantált betegek egészségi állapotának leírása a várólistára való felvételüktől és a transzplantáció utáni nyomon követésüktől kezdve, klinikai szempontból és a beteg saját (életminősége) szempontjából egyaránt. A FAIR-elvek európai szabványainak való megfelelés a fellelhetőségük, hozzáférhetőségük, interoperabilitásuk és újrafelhasználhatóságuk javítása, valamint a jelenlegi adatvédelmi politikák teljes körű tiszteletben tartása révén.

A konkrét célkitűzések a következők:

- A transzplantáció hosszú távú hatásosságának és biztonságosságának értékelése.
- A klinikai eredmények értékelése, beleértve a graft túlélést, a szövődményeket és a betegek túlélését.
- A gyermekátültetett betegek életminőségének felmérése.
- A transzplantációs folyamat során bekövetkező változások és a betegek életminősége közötti összefüggés.
- A klinikai gyakorlat minőségének javítására és harmonizálására szolgáló területek meghatározása.
- A gyermekátültetési folyamattal kapcsolatos tudásteremtés támogatása és a kutatás előmozdítása.

E célkitűzések teljesítésével a PETER célja, hogy javítsa a gyermekátültetett betegek ellátását és eredményeit.

5. A KIBOCSÁTÁSIEGYSÉG-FORGALMI JEGYZÉK JELLEMZŐI

Petert úgy tervezték, hogy a betegkezelés részét képező gyermekátültetési folyamatra vonatkozó klinikai adatokat prospektív módon gyűjtse.

A PETER-re vonatkozó adatgyűjtés nem igényel további kórházi vizsgálatokat, felvételeket és/vagy a szokásos ellátáson túli látogatásokat. A beavatkozások során a klinikai dokumentációban már szereplő egészségügyi állapotadatokat és a beteg/szülők által jelentett életminőséget kell összegyűjteni.

5.1. A betegek befogadására vonatkozó kritériumok.

Azokat a 18 év alatti betegeket, akik a transzplantációs várólistára való felvételük óta szilárd szerven és/vagy vérképző őssejt-transzplantáción estek át, fel kell venni vagy nyomon kell követni.

5.2. Betegkizárási kritériumok.

- A transzplantált betegek 18 éves koruk után.
- Az EU-n kívüli transzplantáció rendszeres nyomon követése.
- A tájékoztatáson alapuló beleegyezés elutasítása.

5.3. A nyilvántartásban szereplő egészségügyi szolgáltatók

A PETER nyilvántartás célja, hogy adatokat gyűjtsön a meghatározott befogadási kritériumoknak megfelelő betegektől.

Ezeket az adatokat az ERN TransplantChild hálózaton belül működő egészségügyi kapcsolattartó pontoktól, valamint a nem transzplantációsChild-szakértőktől, valamint az európai országok nemzeti és/vagy regionális klinikai hálózatain keresztül gyűjtik. Az ERN TransplantChild HCP-iben, a nem transzplantációs gyermekszakértőknél vagy az európai országok nemzeti és/vagy regionális klinikai hálózataiban.

2023 augusztusától 40 ERN TransplantChild HCP található 21 uniós tagállamban.

5.4. Adatgyűjtés

Az összegyűjtött adatok nem tartalmazzák a betegek demográfiai adatait vagy a betegek azonosítóit.

Minden beteg álnevesített belső kódot kap a Xolomon platformrendszer szerint. Peter az Európai Bizottság által ajánlott ERDRI.spider (Biztonságos adatvédelem-megőrző Identity management in Distributed Environments for Research) álnevesítési eszköz megvalósításán dolgozik.

A klinikai adatok gyűjtéséhez egy online platformot (Xolomon) használnak olyan protokollokkal, amelyek garantálják az adatbevitel biztonságát. Csak a főnyomozó által a tanulmány résztvevőjeként regisztrált és engedélyezett felhasználók tudnak adatokat bevinni a platformra.

Az életminőségre vonatkozó adatokat a Xolomon által tervezett mobil alkalmazáson keresztül gyűjtjük össze. A betegek a mobilalkalmazáshoz felhasználónevet és jelszót kapnak, amelyet az első bejelentkezéskor meg kell változtatni. A betegtájékoztatóra vonatkozó információkat a beteget beiratkozó vizsgáló hozza létre a webes alkalmazásból.

5.5. Gyűjtendő adatok

Az alapvető adatelemek közé tartozik a ritka betegségek regisztrálására vonatkozó közös adatelemek készlete, amelyet a JRC (<https://eu-rd-platform.jrc.ec.europa.eu/set-of-common-data-elements>) dolgozott ki a gyermekátültetés – egy összetett betegség – sajátosságainak kezelésére a ritka betegségekhez képest.

A PETER nyilvántartás célkitűzéseit követően a betegek jellemzőire, a transzplantációs adatokra és az eredményekre vonatkozó adatokat prospektív módon gyűjtik. A transzplantáció utáni adatokat a transzplantáció után 3 hónappal, majd azt követően évente rögzítik, amíg a felnőtt egészségügyi ellátásra való áttérés befejeződik (2. ábra).



Ábra: Szükséges adatok az összes transzplantációs fázisban

5.6. Adattárolás

Péter egy központosított nyilvántartás. Minden adatot a Xolomon Software segítségével továbbítunk a PETER központi adatbázisába. A Xolomon Tree S.L (info@xolomon.com) által kifejlesztett szoftver a PETER kifejlesztéséhez kiválasztott elektronikus adatrögzítő (EDC) és átviteli szoftver. A Xolomon egy SaaS (Software as a Service) EDC (Electronic Data Capture) szoftver, és egy több bérlős webes alkalmazás. A szoftverinfrastruktúra a Microsoft Azure-ban található. A Tanulmányadatokat biztonságos Microsoft Azure-kiszolgálón tároljuk, megfelelő szintű titkosítással az Azure „Nyugat-Európa” régiójában. Bár a Microsoft nem teszi közzé szervereinek nyilvános helyét, a nyugat-európai régiót támogató és fogadó adatközpontok Írorszában (dublini területen) található.

5.7. Adatelemzések

A statisztikai elemzéseket vizsgálati protokoll alapján végezzük. A klinikai szakértőkkel együttműködésben lekérdezésekre kerül sor a PETER KT-nek a vizsgálati protokollban előírányzott statisztikai elemzések megtervezéséhez szükséges leíró statisztikák és releváns információk előállítására érdekében. A nyilvántartási adatok a rendelkezésre álló adatok másodlagos felhasználásán alapuló, az alkalmazandó uniós és nemzeti jogszabályokkal összhangban, valamint az európai egészségügyi adattérrel és a JRC/EU RD platform iránymutatásaival és iránymutatásaival összefüggésben végzett megfigyelési tanulmányokat támogatják.

5.8. Adatkezelés és minőség

A Peter Registry rendelkezik egy minőségbiztosítási tervvel (QDAP), amely az adatok és az információ minőségének kezelésére szolgáló irányítási struktúrákat, politikákat, eljárásokat és protokollokat, valamint etikai, jogi, biztonsági és adatvédelmi megfontolásokat tartalmaz.

A QDAP magában foglalja a platformon az adatminőség biztosítása érdekében létrehozott ellenőrzéseket, valamint a QDAP-ban meghatározott intézkedések értékelésére és nyomon követésére vonatkozó ellenőrzési és minőségbiztosítási tervet.

5.9. A kibocsátási egység-forgalmi jegyzékek integrálása és interoperabilitása

A Peter-nyilvántartás be van jegyezve az EU RD Platformjába (ERDRI.dor – European Directory of Registries) (<https://eu-rd-platform.jrc.ec.europa.eu/erdrdor/register/list/place/ES>). A többi európai referenciahálózat-nyilvántartással való szinergiákat az ERN-nyilvántartásokkal foglalkozó munkacsoport és az ERICA fogja előmozdítani.

A PETER-nyilvántartás interoperábilis lesz az európai platformokkal.

6. A BETEGADATOKNAK A NYILVÁNTARTÁSBA VALÓ INTEGRÁLÁSÁRA VONATKOZÓ KÖVETELMÉNYEK

6.1. A HCP-k helyi etikai bizottságainak előzetes jóváhagyása

A nyilvántartási protokollt benyújtják az érintett egészségügyi kapcsolattartó pontok etikai bizottságainak (EC). Ezen túlmenően az érintett egészségügyi kapcsolattartó pont EC-i előzetesen engedélyezik a PETER-nyilvántartási adatok felhasználásával végzett kutatásokat.

6.2. Tájékoztatáson alapuló beleegyezés

A nyilvántartás jogi alapja a beteg/tanár előzetes beleegyezésének megszerzése a nyilvántartásba való felvételük előtt.

A vizsgálóknak el kell magyarázniuk minden betegnek (vagy jogi képviselőnek) a PETER-nyilvántartás jellegét, célját, az összegyűjtött adatok típusát, várható időtartamát, valamint a lehetséges kockázatokat és előnyöket. Minden beteget tájékoztatni kell arról, hogy az adatainak a PETER nyilvántartásban való rögzítéséhez való hozzájárulás önkéntes, hogy bármikor visszavonhatja a nyilvántartásból, és hogy a hozzájárulás visszavonása nem befolyásolja későbbi orvosi kezelését vagy a kezelőorvossal való kapcsolatát. A tájékoztatáson alapuló hozzájárulást szabványos írásbeli nyilatkozat útján, nem szakmai nyelven kell megadni.

A betegnek/tanárnak el kell olvasnia és meg kell fontolnia a nyilatkozatot az aláírás és a dátum előtt, és meg kell adnia az aláírt dokumentum másolatát. Ha a vizsgálati alany nem tudja elolvasni vagy aláírni a dokumentumot, azt szóban be lehet mutatni neki, és/vagy a vizsgálati alany törvényes képviselője aláírhatja, ha a nyilvántartásban részt nem vevő személy tanúja, jelezve, hogy a beteg nem tudta elolvasni vagy aláírni a dokumentumokat. A betegre vonatkozó információk nem vihetők be a PETER-nyilvántartásba, mielőtt megkapták a

tájékoztatáson alapuló beleegyezését. A tájékoztatáson alapuló beleegyezés a vizsgálati terv részét képezi, és azt a vizsgálónak be kell nyújtania a helyi EK-hoz.

7. ADATVÉDELEM

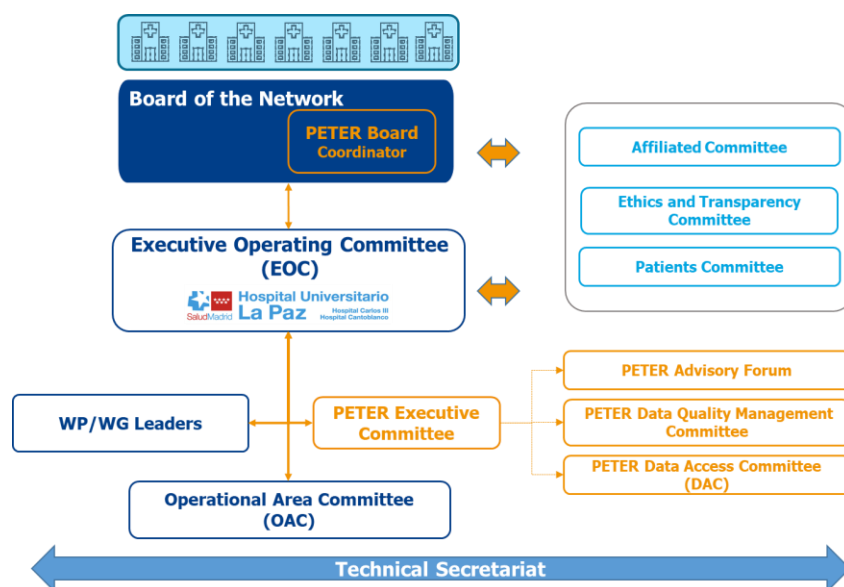
Mivel a személyes adatokat a Xolomon Software használatával a PETER központi adatbázisában álnevesített formátumban rögzítik és tárolják, a nyilvántartások fejlesztésében részt vevő valamennyi fél szigorúan bizalmasan kezeli annak érdekében, hogy ne sérüljön sem a nyilvántartásokban részt vevő betegek személyes adatainak, sem családjának magánélete.

Az adatokat kizárólag a PETER-nyilvántartás fejlesztésében részt vevő, felhatalmazott személyzet dolgozza fel. A számítógépes rendszerekhez és azok tárolására szolgáló helyiségekhez való hozzáférést megfelelő biztonsági intézkedésekkel fogják ellenőrizni, amelyek megfelelnek az adatvédelmi szabályozás követelményeinek.

A PETER nyilvántartásban részt vevő betegek személyes adatainak kezelése, különös tekintettel a hozzájárulással kapcsolatos adatokra, megfelel a helyi adatvédelmi jogszabályoknak és az Európai Unió általános adatvédelmi rendeletének (GDPR).

8. KORMÁNYZÁS

A QDAP-nak megfelelően az irányító szerveket a PETER feladatmeghatározása határozza meg, amely a PETER-testületet a legmagasabb irányító testületként határozza meg (amely az ERN TransplantChild legmagasabb irányító testületébe tartozik), **amelyet a PETER nyilvántartás koordinátora (Dra. Paloma Jara vagyok. La Paz Egyetemi Kórház)**. Ezenkívül további irányító szerveket, például a Végrehajtó Bizottságot és az adathozzáférési bizottságot hoztak létre a kibocsátási egység-forgalmi jegyzék és az adatokhoz való hozzáférés iránti kérelmek kidolgozásának felügyeletére. A PETER irányítási struktúráit a következő ábra mutatja (3. ábra):



Ábra: A PETER nyilvántartás irányítási struktúrái az ERN TransplantChild keretében.

A PETER Tanács munkáját a TransplantChild technikai titkársága támogatja, amelynek székhelye Paseo de la Castellana 261, 28046, Madrid, Spanyolország (kapcsolat: Telefonszám: + 34 91727.75.76; e-mail; coordination@transplantchild.eu).

9. FINANSZÍROZÁS

A nyilvántartást az Európai Unió egészségügyi programja (2014–2020) társfinanszírozta. Fogyasztói, Egészségügyi, Mezőgazdasági és Élelmiszerügyi Végrehajtó Ügynökség (CHAFEA). Támogatási megállapodás száma: 947629 – PETER – HP-PJ-2019. 199 981,42 EUR összegű támogatás.

10. HATÁLYBALÉPÉS, FELÜLVIZSGÁLAT ÉS MÓDOSÍTÁSOK

Ez a jegyzőkönyv a PETER igazgatótanács általi jóváhagyását követően lép hatályba.

Ezt a jegyzőkönyvet szükség esetén évente felül kell vizsgálni és frissíteni kell.

A PETER bizottság bármely tagja azonban indokolt indokokkal javasolhatja a jegyzőkönyv módosítását.

Ebben az értelemben minden javaslatot a javasolt módosítás okairól és terjedelméről szóló magyarázó jelentésnek kell kísérnie. A javaslatokat a PETER bizottság koordinátora terjeszti elő a PETER bizottság rendes ülésein, és a határozatokat és megállapodásokat az ülés jegyzőkönyvében rögzítik.

A jegyzőkönyv bármely módosítását közölni kell a hálózat egészségügyi kapcsolattartó pontjaival, és a koordinációs központ feltölti és terjeszti.

A hálózat minden tagjának meg kell felelnie az e jegyzőkönyvben meghatározott szabályoknak és elveknek.