



**European
Reference
Network**

for rare or low prevalence
complex diseases

Network
Transplantation
in Children
(ERN TRANSPLANT-CHILD)

PAEDIATRIC
TRANSPLANTATION
EUROPEAN
REGISTRY



peter

Europos vaikų transplantacijos registras

PETER

PETER registro protokolas



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

Įsigaliojimo data: V01. 2023^{m.} lapkričio 02 d.

Atsakomybės ribojimo pareiškimas

Šios ataskaitos turinys atspindi tik autoriaus nuomonę ir už tai atsako tik jis; jis negali būti laikomas atspindinčiu Europos Komisijos ir (arba) HaDEA ar kurios nors kitos Europos Sąjungos įstaigos nuomonę. Europos Komisija neprisiima jokios atsakomybės už joje pateiktos informacijos naudojimą.

DOKUMENTŲ ISTORIJA

Išdavimo data	Versija	Padaryti pakeitimai/priežastis šiam klausimui
02.11.2023	1	Pradinė versija

PASIRAŠYTAS DOKUMENTAS

Parengė:	Patvirtino:
Pareigos: Vykdomasis komitetas	Pareigos: Tinklo koordinatorius PETER & Network valdybos vardu
Data: 05.07.2023	Paloma Jara Data: 02.11.2023.

SKLAIDOS LYGIS

PU	Visuomenės	<input checked="" type="checkbox"/>
I	Naudoti tik viduje	<input type="checkbox"/>
CO	Konfidenciali tik konsorciumo nariams (įskaitant Komisijos tarnybas)	<input type="checkbox"/>

INFORMACIJA APIE DOKUMENTĄ

PETERIO REGISTRACIJOS PROTOKOLAS

ERCT dokumento rūšis: Protokolas

Taksonominė nuoroda: ERCT veiklos ataskaitų teikimas

ERCT: TransplantChild

Daugiau informacijos apie šią klasifikaciją žr. SOP00 standartinėje veiklos procedūroje (SVP), skirtoje TransplantChild dokumentacijos valdymui.

TURINYS

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. APLINKYBĖS IR LOGINIS PAGRINDAS

2017 m. Europos Komisijos sukurti retųjų ligų ar sudėtingų ligų, kurioms reikia labai specializuoto gydymo, patirties ir išteklių, Europos referencijos centrų tinklai (ERCT) buvo svarbus etapas siekiant užtikrinti šių pacientų prieigą ir specializuotą priežiūrą. Ši iniciatyva sudarė sąlygas sutelkti geriausias daugiadalykes grupes ir keistis patirtimi visoje Europoje. ERCT TransplantChild yra vienas iš 24 tinklų, pradėtų veikti 2017 m. pagal 2011 m. direktyvos dėl pacientų teisių į tarpvalstybines sveikatos priežiūros paslaugas 12 straipsnį retų, sudėtingų ar mažai paplitusių ligų ar ligų srityje.

ERCT TransplantChild yra vienintelis ERCT, kuris daugiausia dėmesio skiria sudėtingai procedūrai, pvz., vaikų transplantacijai, kuri yra sudėtinga ir mažo paplitimo sąlyga, reikalaujanti labai specializuotų žinių ir išteklių. Dabartiniai metodai yra nepakankami, kad būtų galima visapusiškai spręsti ilgalaikio transplantato ir paciento išgyvenimo klausimus, kartu užtikrinant kuo geresnę gyvenimo kokybę.

ERCT TransplantChild šiuo metu apima 40 Europos sveikatos priežiūros paslaugų teikėjų (SPS) iš 21 ES valstybės narės (VN), kuriuose dalyvauja 33 SPS tikrieji nariai ir 7 susiję partneriai (AP). ERCT TransplantChild tikslas – įgalinti ir pagerinti vaikų, kuriems reikia transplantacijos, gyvenimo trukmę ir gyvenimo kokybę ES, taip pat jų šeimų: (1) užtikrinant jų prieigą per tinklą prie geriausios įmanomos priežiūros praktikos ir paramos procedūrų, susijusių su kompleksiniu ir daugiadalykiu požiūriu į vaikų transplantaciją; (2) plėtoti ir sutelkti pastangas tinkle siekiant įtraukti, novatoriškų ir geresnių procedūrų, informavimo, mokymo, žinių ir patirties; (3) įtraukti suinteresuotuosius subjektus į transplantacijos procesą ir sudaryti sąlygas naudotis žiniomis ir informacija. Ši vizija ypač reikalinga vaikų transplantacijai, o ne suaugusiųjų transplantacijai, kai pacientų skaičius viename transplantuotame organe yra didesnis.

Pacientų registrai ir duomenų bazės yra pagrindinės priemonės, padedančios plėtoti klinikinius mokslinius tyrimus retųjų ligų srityje, gerinti pacientų priežiūrą ir sveikatos priežiūros planavimą. Jie yra geriausias būdas sujungti duomenis, kad būtų pasiektas pakankamas mėginių dydis epidemiologiniams ir (arba) klinikiniais tyrimams. Registrai yra įdarbinimo priemonė, skirta pradėti tyrimus, kuriuose daugiausia dėmesio skiriama ligų etiologijai, patogenezėi, diagnostikai ar terapijai. 2009 m. birželio 8 d. Europos Sąjungos Taryba rekomendavo, kad valstybės narės apsvarstyty galimybę visais atitinkamais lygmenimis, įskaitant ES lygmenį, remti epidemiologinius tikslus, registrus ir duomenų bazes retųjų ligų arba sudėtingų ligų srityje, kartu žinodamos apie nepriklausomą valdymą. Siekdama remti šį procesą ir visų pirma retųjų ligų registrų duomenų sąveikumą, Komisija nusprendė sukurti Europos retųjų ligų registracijos platformą (ES RL platformą) ir parengti konkrečius tokių retųjų ligų registrų sąveikumo standartus (toliau – Komisijos Jungtinio tyrimų centro parengti JTC standartai).

Vaikų transplantacija.

Tiek kietųjų organų transplantacija (SOT), tiek hematopoetinių kamieninių ląstelių transplantacija (HSCT) dramatiškai pakeitė daugelio vaikų gyvenimo trukmę, suteikdami gydymą, kuris priešingu atveju nebūtų išgyvenęs. Visame pasaulyje kasmet atliekama apie

150,000 SOT ir 80,000 HSCT. Vaikų transplantacija sudaro maždaug 10 % visų SOT ir 20 % visų HSCT. 2012–2016 m. Europos Sąjungoje buvo atlikta maždaug 7,741 vaikų SOT ir 14,717 vaikų HSCT, o vaikų amžiaus transplantacijų skaičius toliau didėja.

Tiek SOT, tiek HSCT suteikia gydymo galimybę, tačiau tuo pačiu metu padidina su gydymu susijusio mirtingumo ir ilgalaikio šalutinio poveikio riziką. Transplantacija pakeičia galutinio etapo ligą tvaresne lėtinės ligos būkle ir turi gilių klinikinių ir psichosocialinių pasekmių. Transplantacijos priežiūra vis dar yra medicininis iššūkis, nes veiksminga transplantacija reikalauja tarpdisciplininio komandinio požiūrio, remiant transplantacijos procedūrą bendruose SOT ir HSCT procesuose, pavyzdžiui: imunosupresinis gydymas, imuninis tirpinimas, atmetimas, tolerancija, infekcijos rizika, perėjimas prie suaugusiųjų priežiūros ir psichosocialinė gerovė.

2. TIKSLAS

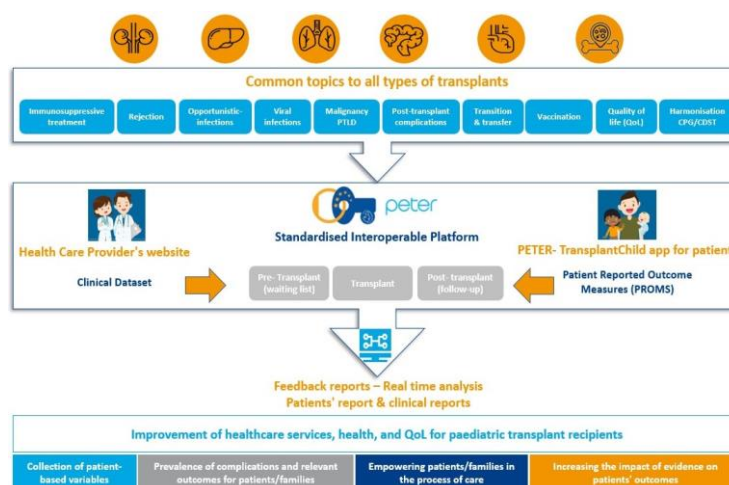
Šiame dokumente ketinama išsamiai aptarti pagrindinius PETER registro ir jo veikimo aspektus. Tai apima jos ypatumus, teisinius aspektus, pacientų teises, duomenų apsaugą, su jos veikimu susijusį valdymą ir finansavimo aspektus.

3. TAIKYMO SRITIS

Šis dokumentas taikomas **kiekvienam PETER registre dalyvaujančiam sveikatos priežiūros paslaugų teikėjui (SPS). Atsakingi tyrėjai užtikrins, kad PETER registras būtų įgyvendinamas laikantis šio protokolo, laikantis šiame dokumente aprašytų nurodymų ir procedūrų.**

4. PETRO REGISTRO KONCEPCIJA IR TIKSLAI

Europos vaikų transplantacijos registras – PETER – yra susijęs su poreikiu integruoti skerspjūvio požiūrį į vaikų transplantaciją ir gyvenimo kokybės ataskaitas pagal pacientų praneštų rezultatų priemones (PROM) (1 pav.).



1 paveikslas. Peterio registro metodas

Peteris suteikia racionalią, veiksmingą ir sąveikią prieigą prie informacijos apie visų rūšių pediatriinę transplantaciją. Petras remiasi skerspjūvio metodu, nepriklausomai nuo transplantacijos tipo, integruojant kintamuosius iš skirtingų transplantacijos proceso etapų.

Tai padidins žinias apie transplantacijos procedūrą vaikams, siekiant nustatyti lemiamus transplantacijos veiksmingumo veiksnius, kurie leis plėtoti mokslinių tyrimų kryptis, siekiant pagerinti vaikų ir jų šeimų išgyvenimą ir gyvenimo kokybę.

Bendrasis tikslas – apibūdinti persodintų vaikų amžiaus pacientų sveikatos būklę nuo jų įtraukimo į laukiančiųjų sąrašą ir stebėjimo po transplantacijos, tiek klinikiu požiūriu, tiek paties paciento (gyvenimo kokybė). Laikytis FAIR principų Europos standartų didinant jų surandumą, prieinumą, sąveikumą ir pakartotinį naudojimą ir visapusiškai laikantis dabartinės duomenų apsaugos politikos.

Konkretūs tikslai yra šie:

- Įvertinti ilgalaikį transplantacijos veiksmingumą ir saugumą.
- Įvertinti klinikinius rezultatus, įskaitant transplantato išlikimą, komplikacijas ir paciento išgyvenimą.
- Įvertinti vaikų transplantacijos gavėjų gyvenimo kokybę.
- Transplantacijos proceso metu įvykusius pokyčius sieti su pacientų gyvenimo kokybe.
- Nustatyti klinikinės praktikos kokybės gerinimo ir suderinimo sritis.
- Remti žinių apie vaikų transplantacijos procesą kaupimą ir mokslinių tyrimų skatinimą.

Įgyvendindama šiuos tikslus, PETER siekia pagerinti vaikų transplantacijos gavėjų priežiūrą ir rezultatus.

5. REGISTRO CHARAKTERISTIKOS

Peter yra skirtas perspektyviai rinkti klinikinius duomenis apie vaikų transplantacijos proceso dalį pacientų valdymo.

PETER duomenų rinkimui nereikės papildomų ligoninės apžiūrų, priėmimo ir (arba) vizitų, viršijančių standartinę priežiūrą. Intervencinėmis priemonėmis bus renkami sveikatos būklės duomenys, kurie jau yra klinikinėje byloje, ir paciento/tėvų pranešta gyvenimo kokybė.

5.1. Paciento įtraukimo kriterijai.

Jaunesni nei 18 metų pacientai, kuriems buvo atlikta kietųjų organų ir (arba) hematopoetinių kamieninių ląstelių transplantacija po jų įtraukimo į laukiančiųjų transplantacijos sąrašą, bus įtraukti arba stebėti.

5.2. Pacientų atmetimo kriterijai.

- Transplantacijos gavėjai po 18 metų amžiaus.
- Reguliari transplantacijos už ES ribų stebėseną.
- Informuoto asmens sutikimo nepripažinimas.

5.3. Į registrą įtraukti sveikatos priežiūros paslaugų teikėjai

PETER registro tikslas – rinkti duomenis iš pacientų, kurie atitinka nustatytus įtraukimo kriterijus.

Šie duomenys renkami iš ERCT-TransplantChild tinkle esančių sveikatos priežiūros centrų, taip pat iš netransplantacinių vaikų ekspertų sveikatos priežiūros centrų ir per Europos šalių nacionalinius ir (arba) regioninius klinikinių tyrimų tinklus, ERCT-TransplantChild sveikatos priežiūros centrus, netransplantacinių vaikų ekspertų sveikatos priežiūros centrus arba Europos šalių nacionalinius ir (arba) regioninius klinikinių tyrimų tinklus.

Nuo 2023 m. rugpjūčio mėn. 21 ES valstybėje narėje yra 40 ERCT-TransplantChild SPS.

5.4. Duomenų rinkimas

Į surinktus duomenis neįtraukiami pacientų demografiniai duomenys ar paciento identifikatoriai.

Kiekvienas pacientas gaus pseudonimizuotą vidaus kodą pagal Xolomon platformos sistemą. Peter dirba įgyvendinant Europos Komisijos rekomenduotą ERDRI.spider (Saugus privatumo išsaugojimo tapatybės valdymas mokslinių tyrimų paskirstytose aplinkose) pseudonimizavimo priemonę.

Klinikinių duomenų rinkimui bus naudojama internetinė platforma (Xolomon) su protokolais, kuriais užtikrinamas duomenų įvedimo saugumas. Tik pagrindinio tyrėjo registruoti ir įgalinti naudotojai, kaip tyrimo dalyviai, galės įvesti duomenis į platformą.

Gyvenimo kokybės duomenys bus renkami naudojant Xolomon sukurtą mobiliąją aplikaciją. Pacientams bus suteiktas mobiliosios programos naudotojo vardas ir slaptažodis, kuris turi būti pakeistas pirmojo prisijungimo metu. Informacinį lapelį sugeneruos tyrėjas, kuris įtraukė pacientą į internetinę programą.

5.5. Rinktini duomenys

Pagrindiniai duomenų elementai apims Jungtinio tyrimų centro parengtą „Bendrų retųjų ligų registravimo duomenų elementų rinkinį“ (<https://eu-rd-platform.jrc.ec.europa.eu/set-of-common-data-elements>), kad būtų atsižvelgta į vaikų transplantacijos, sudėtingos būklės, palyginti su retosiomis ligomis, ypatumus.

Atsižvelgiant į PETER registro tikslus, bus renkami duomenys apie paciento charakteristikas, transplantacijos duomenis ir rezultatus. Duomenys po transplantacijos bus registruojami praėjus 3 mėnesiams po transplantacijos, o vėliau – kasmet, kol bus baigtas perėjimas prie suaugusiųjų sveikatos priežiūros (2 pav.).



2 paveikslas. Reikalingi duomenys visais transplantacijos etapais

5.6. Duomenų saugojimas

Petras yra centralizuotas registras. Visi duomenys perduodami į PETER centrinę duomenų bazę naudojant Xolomon Software. Programinė įranga, sukurta Xolomon Tree S.L (info@xolomon.com), yra elektroninis duomenų fiksavimas (EDC) ir perdavimo programinė įranga, pasirinkta PETER sukurti. Xolomon yra SaaS (programinė įranga kaip paslauga) EDC (Electronic Data Capture) programinė įranga ir yra kelių nuomininkų žiniatinklio programa. Programinės įrangos infrastruktūra yra talpinama „Microsoft Azure“. Tyrimo duomenys bus saugomi saugiam „Microsoft Azure“ serveryje su atitinkamu šifravimo lygiu, pagrįstu Azure „West Europe“ regione. Nors Microsoft neatskleidžia savo serverių viešos vietos, duomenų centrai, kurie palaiko ir priima Vakarų Europos regioną, yra Airijoje (Dublino srityje).

5.7. Duomenų analizė

Statistinė analizė bus atliekama remiantis tyrimo protokolu. Bendradarbiaujant su klinikiniais ekspertais bus parengtos užklauskos, siekiant apklausti PETER DB, kad būtų galima parengti aprašomąją statistiką ir svarbią informaciją, reikalingą statistinei analizei, numatytai tyrimo protokole, planuoti. Registro duomenys padės atlikti stebėjimo tyrimus, grindžiamus antriniu turimų duomenų naudojimu, laikantis taikytinų ES ir nacionalinių teisės aktų, taip pat atsižvelgiant į Europos sveikatos duomenų erdvę ir JRC/ES mokslinių tyrimų plėtros platformos gaires ir gaires.

5.8. Duomenų valdymas ir kokybė

Peterio registras turi kokybės duomenų užtikrinimo planą (QDAP), kurį sudaro valdymo struktūros, politika, procedūros ir protokolai, skirti duomenų ir informacijos kokybei valdyti, taip pat etiniai, teisiniai, saugumo ir privatumo aspektai.

KDAP apima pačioje platformoje nustatytas kontrolės priemonės, skirtas duomenų kokybei užtikrinti, taip pat audito ir kokybės užtikrinimo planą, skirtą KDAP nustatytoms priemonėms įvertinti ir stebėti.

5.9. Registro integravimas ir sąveikumas

Peterio registras įtrauktas į ES RD platformą, ERDRI.dor – Europos registrų katalogą (<https://eu-rd-platform.jrc.ec.europa.eu/erdrdor/register/list/place/ES>). Sąveika su kitais ERCT registras bus skatinama pasitelkiant ERCT registrų darbo grupę ir ERICA.

Peterio registras bus sąveikus su Europos platformomis.

6. PACIENTŲ DUOMENŲ INTEGRAVIMO Į REGISTRĄ REIKALAVIMAI

6.1. Išankstinis vietos sveikatos priežiūros institucijų etikos komitetų patvirtinimas

Registro protokolas bus pateiktas susijusių sveikatos priežiūros institucijų etikos komitetams (EK). Be to, susijusios SPS EK iš anksto leis atlikti bet kokius tyrimus, atliekamus naudojant PETER registro duomenis.

6.2. Informuoto asmens sutikimas

Išankstinis paciento/mokytojo informuoto sutikimo įgijimas prieš jų įtraukimą į registrą yra registro teisinis pagrindas.

Tyrėjai kiekvienam pacientui (arba teisiniam atstovui) turi paaiškinti PETER registro pobūdį, jo paskirtį, surinktų duomenų rūšį, numatomą trukmę ir galimą riziką bei naudą. Kiekvienas pacientas turi būti informuotas, kad sutikimas turėti jo duomenis PETER registre yra savanoriškas, kad jis gali bet kuriuo metu pasitraukti iš registro ir kad sutikimo atšaukimas neturės įtakos jo tolesniam mediciniam gydymui ar santykiams su gydančiuoju gydytoju. Informuoto asmens sutikimas bus duodamas naudojant standartinį rašytinį pareiškimą, naudojant netechninę kalbą.

Prieš pasirašydamas ir susitikdamas, pacientas (mokytojas) turėtų perskaityti ir apsvarstyti pareiškimą, taip pat jam turėtų būti pateikta pasirašyto dokumento kopija, kurią reikia saugoti. Jei subjektas negali perskaityti ar pasirašyti dokumento, jis gali būti pateiktas jam žodžiu ir (arba) pasirašytas teisėtai paskirto subjekto atstovo, jei jį liudija registre nedalyvaujantis asmuo, nurodant, kad pacientas negalėjo perskaityti ar pasirašyti dokumentų. Informacija apie pacientą negali būti įtraukta į PETER registrą, kol negaunamas jo informuoto asmens sutikimas. Informuoto asmens sutikimas yra protokolo dalis ir tyrėjas turi jį pateikti vietos EK.

7. DUOMENŲ APSAUGA

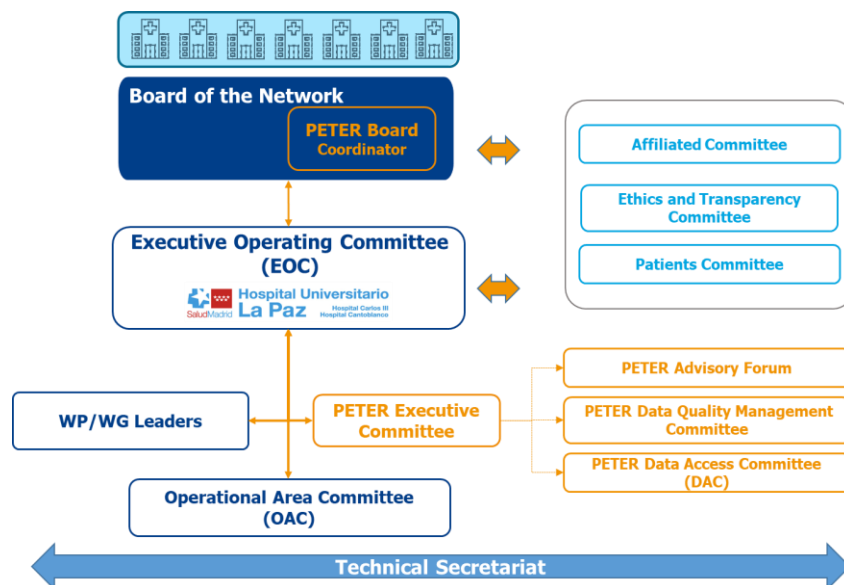
Kadangi asmens duomenys bus registruojami ir saugomi pseudoniminiu formatu PETER centrinėje duomenų bazėje naudojant „Xolomon Software“, visos su registru kūrimu susijusios šalys laikysis griežto konfidencialumo, kad būtų užtikrintas nei asmens privatumas, nei registruose dalyvaujančių pacientų šeimų privatumas.

Duomenis tvarkys tik įgalioti darbuotojai, dalyvaujantys kuriant PETER registrą. Prieiga prie kompiuterinių sistemų ir patalpų, kuriose jos laikomos, bus kontroliuojama atitinkamomis saugumo priemonėmis, atitinkančiomis privatumo reguliavimo reikalavimus.

PETER registre dalyvaujančių pacientų asmens duomenų, ypač susijusių su sutikimu, tvarkymas atitiks vietos privatumo teisės aktus ir Europos Sąjungos Bendrąjį duomenų apsaugos reglamentą 2016/679 (BDAR).

8. VALDYMAS

Pagal KDAP valdymo organai apibrėžti PETER įgaliojimuose, kuriuose PETER valdyba apibrėžiama kaip aukščiausias valdymo organas (įtrauktas į aukščiausią ERN TransplantChild valdymo organą), **kuriam vadovauja PETER registro koordinatorius (projektas. Paloma Jara. La Paso universitetinė ligoninė)**. Be to, įsteigti papildomi valdymo organai, pavyzdžiui, Vykdomasis komitetas ir Prieigos prie duomenų komitetas, prižiūrintys registro plėtrą ir prieigos prie duomenų prašymus. PETER valdymo struktūros pavaizduotos šiame paveiksle (3 pav.):



3 paveikslas. PETER registro valdymo struktūros ERCT TransplantChild sistemoje.

PETER valdybos veiklą remia specialus TransplantChild techninis sekretoriatas, esantis Paseo de la Castellana 261, 28046, Madridas, Ispanija (kontaktas: Telefono numeris: + 34 917.27.75.76; e. paštas; coordination@transplantchild.eu).

9. FINANSAVIMAS

Sukurtas registras finansuotas Europos Sąjungos sveikatos programos (2014–2020 m.) lėšomis. Vartotojų, sveikatos, žemės ūkio ir maisto programų vykdomoji įstaiga (CHAFEA). Dotacijos susitarimo numeris: 947629 – PETRAS – HP-PJ-2019. 199 981,42 EUR dotacija.

10. ĮSIGALIOJIMAS, PERŽIŪRA IR PAKEITIMAI

Šis protokolas įsigalios, kai jį patvirtins PETER valdyba.

Šis protokolas prireikus peržiūrimas ir atnaujinamas kasmet.

Tačiau bet kuris PETER valdybos narys dėl pagrįstų priešasčių gali siūlyti šio protokolo pakeitimus.

Šiuo atžvilgiu prie kiekvieno pasiūlymo pridedama aiškinamoji ataskaita dėl siūlomo pakeitimo priešasčių ir apimties. Pasiūlymus PETER koordinatorius pristatys reguliariuose PETER valdybos posėdžiuose, o sprendimai ir susitarimai bus įtraukti į posėdžio protokolą.

Apie visus protokolo pakeitimus pranešama tinklo SPS nariams, o koordinavimo centras juos įkelia ir platina.

Kiekviena tinklo narė laikosi šiame protokole nustatytų taisyklių ir principų.