



**European  
Reference  
Network**

for rare or low prevalence  
complex diseases

 **Network**

Transplantation  
in Children

(ERN TRANSPLANT-CHILD)

PAEDIATRIC  
TRANSPLANTATION  
EUROPEAN  
REGISTRY



peter

# Europejski Rejestr Transplantacji Pediatricznej **PETER**

## Protokół rejestru PETER



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

Data wejścia w życie: V01. <sup>2</sup> listopada 2023 r.

## Zastrzeżenie

Treść niniejszego sprawozdania odzwierciedla wyłącznie poglądy autora i jest to jego wyłączna odpowiedzialność; nie można uznać, że odzwierciedla on poglądy Komisji Europejskiej i/lub HaDEA ani żadnego innego organu Unii Europejskiej. Komisja Europejska nie ponosi żadnej odpowiedzialności za wykorzystanie zawartych w niej informacji.

## HISTORIA DOKUMENTÓW

Data wydania	Wersja	Zmiany wprowadzone/Powody tego problemu
02.11.2023	1	Wersja początkowa

## DOKUMENT PODPISANY

Przygotowany przez:	Zatwierdzone przez:
Stanowisko: Komitet Wykonawczy	Stanowisko: Koordynator ds. sieci w imieniu Rady PETER & Network
Data: 05.07.2023	Paloma Jara  Data: 02.11.2023.

## POZIOM ROZPOWSZECHNIANIA

<b>PU</b>	Publiczne	<input checked="" type="checkbox"/>
<b>W</b>	Wyłącznie do użytku wewnętrznego	<input type="checkbox"/>
<b>CO</b>	Poufne, tylko dla członków konsorcjum (w tym służb Komisji)	<input type="checkbox"/>

## INFORMACJE O DOKUMENCIE

### PROTOKÓŁ PETER-REGISTRY

**Typ dokumentu ESR:** Protokół

**Odniesienie taksonomiczne:** Sprawozdawczość z działalności ESR

**ESR:** Przeszczep dziecka

Więcej informacji na temat tej klasyfikacji można znaleźć w standardowej procedurze operacyjnej SOP00 dotyczącej zarządzania dokumentacją przeszczepuChild.

## SPIS TREŚCI

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. KONTEKST I UZASADNIENIE

Ustanowienie w 2017 r. przez Komisję Europejską europejskich sieci referencyjnych ds. rzadkich chorób lub złożonych schorzeń wymagających wysoce specjalistycznego leczenia, wiedzy fachowej i zasobów było ważnym krokiem w kierunku zapewnienia dostępu i specjalistycznej opieki dla tych pacjentów. Inicjatywa ta umożliwiła mobilizację najlepszych multidyscyplinarnych zespołów i wymianę wiedzy fachowej w całej Europie. ERN-TransplantChild jest jedną z 24 sieci uruchomionych w 2017 r., zgodnie z art. 12 z 2011 r. „dyrektywy o prawach pacjentów transgranicznej opieki zdrowotnej” w dziedzinie rzadkich, złożonych lub nisko rozpowszechnionych chorób lub schorzeń.

ERN TransplantChild jest jedynym ERN, który koncentruje się na złożonej procedurze, takiej jak przeszczep pediatryczny, który jest złożonym stanem o niskiej częstotliwości występowania wymagającym wysoce specjalistycznej wiedzy i zasobów. Obecne podejścia są niewystarczające, aby w pełni rozwiązać problem długoterminowego przeszczepu i przeżycia pacjenta, zapewniając jednocześnie najlepszą możliwą jakość życia.

ERN TransplantChild obejmuje obecnie 40 europejskich dostawców opieki zdrowotnej (HCP) z 21 państw członkowskich UE, w tym 33 członków HCP Full Member (FM) i 7 partnerów stowarzyszonych (AP). Celem ERN TransplantChild jest wzmocnienie pozycji i poprawa oczekiwanej długości życia i jakości życia pacjentów pediatrycznych wymagających transplantacji w UE, a także ich rodzin poprzez: (1) Zapewnienie im dostępu za pośrednictwem sieci do najlepszych możliwych praktyk opieki i procedur wsparcia związanych z przekrojowym i multidyscyplinarnym podejściem do transplantacji pediatrycznej; 2) rozwijać i łączyć wysiłki w ramach sieci na rzecz inkluzywnych, innowacyjnych i lepszych procedur, informacji, szkoleń, wiedzy i doświadczenia; 3) zintegrować zainteresowane strony w procesie transplantacji i udostępnić wiedzę i informacje. Widzenie to jest szczególnie potrzebne w przypadku przeszczepów pediatrycznych, w przeciwieństwie do przeszczepów dorosłych, gdzie liczba pacjentów na przeszczepiony narząd jest wyższa.

Rejestry pacjentów i bazy danych stanowią kluczowe instrumenty rozwoju badań klinicznych w dziedzinie rzadkich chorób, poprawy opieki nad pacjentami i planowania opieki zdrowotnej. Są one najlepszym sposobem gromadzenia danych w celu uzyskania wystarczającej liczebności próby na potrzeby badań epidemiologicznych i/lub klinicznych. Rejestry służą jako narzędzie rekrutacji do rozpoczęcia badań koncentrujących się na etiologii choroby, patogenezie, diagnostyce lub terapii. Rada Unii Europejskiej zaleciła w dniu 8 czerwca 2009 r., aby w dziedzinie rzadkich chorób lub złożonych schorzeń państwa członkowskie rozważyły wspieranie na wszystkich odpowiednich szczeblach, w tym na szczeblu UE, do celów epidemiologicznych, rejestrów i baz danych, a jednocześnie wiedziały o niezależnym zarządzaniu. Aby wesprzeć ten proces, a w szczególności interoperacyjność danych w rejestrach chorób rzadkich, Komisja postanowiła utworzyć europejską platformę ds. rejestracji chorób rzadkich (EU RD Platform) oraz opracować szczegółowe normy interoperacyjności takich rejestrów rzadkich chorób („normy JRC” opracowane przez Wspólne Centrum Badawcze Komisji).

## Przeszczep pediatriczny.

Zarówno przeszczep narządów stałych (SOT), jak i przeszczep krwiotwórczych komórek macierzystych (HSCT), radykalnie zmieniły oczekiwaną długość życia wielu dzieci, zapewniając leczenie, które w przeciwnym razie nie przetrwałoby. Na całym świecie rocznie wykonuje się około 150,000 SOT i 80,000 HSCT. Przeszczep dziecięcy stanowi około 10 % wszystkich SOT i 20 % całego HSCT. W latach 2012-2016 w Unii Europejskiej przeprowadzono około 7,741 pediatricznych SOT i 14,717 pediatricznych HSCT, a liczba przeszczepów w wieku pediatricznym stale rośnie.

Zarówno SOT, jak i HSCT oferują szansę na wyleczenie, ale jednocześnie zwiększają ryzyko śmiertelności związanej z leczeniem i długotrwałych skutków ubocznych. Transplantacja zastępuje chorobę końcową bardziej zrównoważoną chorobą przewlekłą i jako taka ma głębokie konsekwencje kliniczne i psychospołeczne. Opieka nad przeszczepem stanowi jednak wyzwanie medyczne, ponieważ skuteczna transplantacja wymaga interdyscyplinarnego podejścia zespołowego, wspierającego procedurę przeszczepiania we wspólnych procesach SOT i HSCT, takich jak: leczenie immunosupresyjne, rekonstrukcja immunologiczna, odrzucenie, tolerancja, ryzyko infekcji, przejście do opieki nad osobami dorosłymi i dobre samopoczucie psychospołeczne.

## 2. CEL

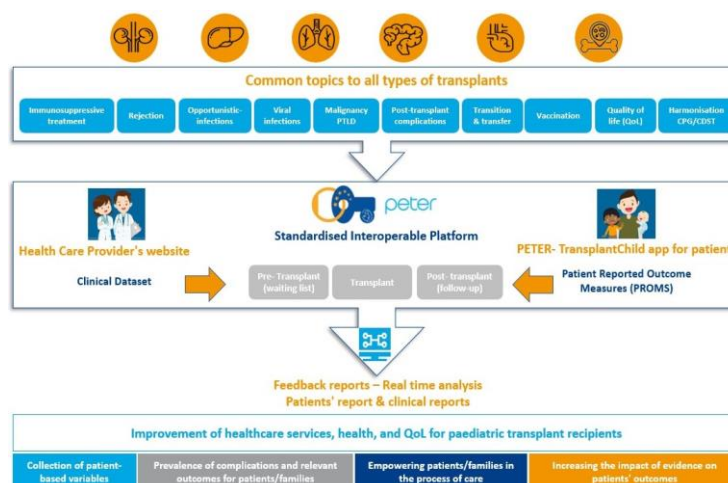
Niniejszy dokument ma na celu kompleksowe uwzględnienie kluczowych aspektów definiujących rejestr PETER i jego funkcjonowanie. Obejmują one jego atrybuty, aspekty prawne, prawa pacjentów, ochronę danych, zarządzanie związane z jego funkcjonowaniem i kwestie finansowania.

## 3. ZAKRES

Niniejszy dokument ma zastosowanie do **każdego dostawcy opieki zdrowotnej (HCP) zaangażowanego w rejestr PETER. Odpowiedzialni badacze zapewnią wdrożenie rejestru PETER zgodnie z niniejszym protokołem, zgodnie z instrukcjami i procedurami opisanymi w niniejszym protokole.**

## 4. KONCEPCJA I CELE REJESTRU PETERA

Europejski rejestr transplantacji pediatricznej – PETER – wynika z potrzeby zintegrowania przekrojowego podejścia do przeszczepów pediatricznych i raportów o jakości życia za pomocą środków oceny wyników zgłaszanych przez pacjenta (PROM) (rys. 1). Peter umożliwia racjonalny, skuteczny i interoperacyjny dostęp do informacji na temat wszystkich rodzajów przeszczepów pediatricznych. Peter opiera się na podejściu przekrojowym niezależnie od rodzaju przeszczepu, integrując zmienne z różnych faz procesu przeszczepiania.



Rysunek 1: Podejście Petera do rejestru

Zwiększy wiedzę na temat procedury przeszczepu u dzieci, w celu wykrycia czynników decydujących o skuteczności przeszczepu, co pozwoli na rozwój linii badawczych w celu poprawy przeżywalności i jakości życia pacjentów pediatrycznych i ich rodzin.

Ogólnym celem jest opisanie stanu zdrowia przeszczepionych pacjentów w wieku pediatrycznym, od ich wpisania na listę oczekujących i podczas obserwacji po przeszczepieniu, zarówno z klinicznego punktu widzenia, jak i z własnego (jakość życia). Zgodność z europejskimi standardami zasad FAIR poprzez zwiększenie ich wykrywalności, dostępności, interoperacyjności i możliwości ponownego wykorzystania oraz pełne poszanowanie obecnych polityk ochrony danych.

Cele szczegółowe to:

- Ocena długoterminowej skuteczności i bezpieczeństwa przeszczepu.
- Ocena wyników klinicznych, w tym przeżycia przeszczepu, powikłań i przeżycia pacjenta.
- Ocena jakości życia biorców przeszczepów pediatrycznych.
- Skorelowanie zmian w trakcie procesu przeszczepiania z jakością życia pacjentów.
- Określenie obszarów poprawy jakości i harmonizacji praktyki klinicznej.
- Wspieranie generowania wiedzy na temat procesu przeszczepu pediatrycznego i promowania badań.

Realizując te cele, PETER ma na celu poprawę opieki i wyników leczenia biorców przeszczepów pediatrycznych.

## 5. CHARAKTERYSTYKA REJESTRU

Peter ma na celu prospektywne gromadzenie danych klinicznych dotyczących procesu przeszczepu pediatrycznego w ramach leczenia pacjenta.

Gromadzenie danych dla PETER nie będzie wymagało dodatkowych badań szpitalnych, przyjęć i/lub wizyt poza standardową opieką. Interwencje będą polegały na zebraniu danych

dotyczących stanu zdrowia, już obecnych w dokumentacji klinicznej, oraz jakości życia zgłaszanej przez pacjenta/rodziców.

### 5.1. Kryteria włączenia pacjenta.

Pacjenci w wieku poniżej 18 lat, którzy przeszli przeszczep litego narządu i (lub) krwiotwórczych komórek macierzystych od momentu włączenia ich do listy oczekujących na przeszczep, zostaną włączeni do wykazu oczekujących na przeszczep lub zostaną poddani obserwacji.

### 5.2. Kryteria wykluczenia pacjenta.

- Biorcy przeszczepu po 18 roku życia.
- Regularne monitorowanie przeszczepów poza UE.
- Nieprzyjęcie świadomej zgody.

### 5.3. Świadczeniodawcy wpisane do rejestru

Celem rejestru PETER jest gromadzenie danych od pacjentów, którzy spełniają określone kryteria włączenia.

Dane te są gromadzone od HCP w ramach sieci ERN-TransplantChild, a także od HCP ekspertów spoza TransplantChild oraz za pośrednictwem krajowych i/lub regionalnych sieci klinicznych w krajach europejskich.

Według stanu na sierpień 2023 r. w 21 państwach członkowskich UE znajduje się 40 HCP ERN-TransplantChild.

### 5.4. Gromadzenie danych

Zebrane dane nie będą obejmować danych demograficznych ani identyfikatorów pacjentów.

Każdy pacjent otrzyma pseudonimizowany kod wewnętrzny zgodnie z systemem platformy Xolomon. Peter pracuje nad wdrożeniem narzędzia pseudonimizacji ERDRI.spider (Secure Privacy-serving Identity Management in Distributed Environments for Research), zalecanego przez KE.

Do gromadzenia danych klinicznych wykorzystana zostanie platforma internetowa (Xolomon) z protokołami gwarantującymi bezpieczeństwo wprowadzania danych. Tylko użytkownicy zarejestrowani i autoryzowani przez głównego badacza jako uczestnicy badania będą mogli wprowadzać dane na platformie.

Dane dotyczące jakości życia będą gromadzone za pomocą aplikacji mobilnej zaprojektowanej przez Xolomon. Pacjenci otrzymają nazwę użytkownika i hasło do aplikacji mobilnej, które należy zmienić przy pierwszym logowaniu. Informacja o ulotce zostanie wygenerowana z aplikacji internetowej przez badacza, który zapisał pacjenta.

### 5.5. Dane, które należy gromadzić

Podstawowe elementy danych obejmą „Zestaw wspólnych elementów danych dotyczących rejestracji chorób rzadkich” opracowany przez JRC (<https://eu-rd-platform.jrc.ec.europa.eu/set-of-common-data-elements>) w celu uwzględnienia specyfiki transplantacji pediatrycznej, złożonej choroby w porównaniu z rzadkimi chorobami.

Zgodnie z celami rejestru PETER dane będą zbierane prospektywnie na temat charakterystyki pacjenta, danych dotyczących przeszczepów i wyników. Dane po przeszczepieniu będą rejestrowane 3 miesiące po przeszczepieniu, a następnie corocznie, aż do zakończenia przejścia na opiekę zdrowotną dla dorosłych (ryc. 2).





Rysunek 2: Wymagane dane podczas wszystkich faz przeszczepu

## 5.6. Przechowywanie danych

Peter jest scentralizowanym rejestrem. Wszystkie dane są przesyłane do centralnej bazy danych PETER za pomocą oprogramowania Xolomon. Oprogramowanie, opracowane przez Xolomon Tree S.L (info@xolomon.com), jest elektronicznym przechwytywaniem danych (EDC) i oprogramowaniem do przesyłania wybranym do opracowania PETER. Xolomon jest oprogramowaniem SaaS (Software as a Service) EDC (Electronic Data Capture) i jest aplikacją internetową dla wielu najemców. Infrastruktura oprogramowania jest hostowana w Microsoft Azure. Dane studyjne będą przechowywane na zabezpieczonym serwerze Microsoft Azure z odpowiednim poziomem szyfrowania w regionie „Europa Zachodnia” platformy Azure. Chociaż Microsoft nie ujawnia publicznej lokalizacji swoich serwerów, centra danych obsługujące i hostujące region Europy Zachodniej znajdują się w Irlandii (obszar Dublin).

## 5.7. Analizy danych

Analizy statystyczne będą przeprowadzane na podstawie protokołu badania. Zapytania będą opracowywane we współpracy z ekspertami klinicznymi w celu przesłuchiwanie PB PETER w celu wygenerowania opisowych statystyk i istotnych informacji potrzebnych do zaplanowania analiz statystycznych przewidzianych w protokole badania. Dane rejestrowe będą wspierać badania obserwacyjne oparte na wtórnym wykorzystaniu dostępnych danych, zgodnie z obowiązującymi przepisami unijnymi i krajowymi oraz w kontekście wytycznych i wytycznych dotyczących europejskiej przestrzeni danych dotyczących zdrowia oraz wytycznych i wytycznych JRC/EU RD Platform.

## 5.8. Zarządzanie danymi i ich jakość

Peter Registry posiada plan zapewnienia jakości danych (QDAP) obejmujący struktury zarządzania, polityki, procedury i protokoły zarządzania jakością danych i informacji, a także kwestie etyczne, prawne, bezpieczeństwa i prywatności.

QDAP obejmuje kontrole ustanowione na samej platformie w celu zapewnienia jakości danych, a także plan audytu i zapewniania jakości w celu oceny i monitorowania środków ustanowionych w planie działań w zakresie jakości.

## 5.9. Integracja i interoperacyjność rejestru

Rejestr Petera jest wpisany do unijnej platformy badawczo-rozwojowej ERDRI.dor – Europejski katalog rejestrów (<https://eu-rd-platform.jrc.ec.europa.eu/erdrdor/register/list/place/ES>). Synergie z innymi rejestrami ESR będą wspierane za pośrednictwem grupy zadaniowej ds. rejestrów ERN i ERICA.

Rejestr Petera będzie interoperacyjny z platformami europejskimi.

## 6. WYMOGI DOTYCZĄCE WŁĄCZENIA DANYCH PACJENTÓW DO REJESTRU

### 6.1. Uprzednie zatwierdzenie przez lokalne komitety ds. etyki HCP

Protokół rejestrowy zostanie przedłożony komitetom ds. etyki zaangażowanych HCP. Ponadto WE zaangażowanych HCP zezwoli z wyprzedzeniem na wszelkie badania przeprowadzone z wykorzystaniem danych z rejestru PETER.

### 6.2. Świadoma zgoda

Upřednie uzyskanie świadomej zgody pacjenta/ucznia przed włączeniem ich do rejestru stanowi podstawę prawną rejestru.

Badacze muszą wyjaśnić każdemu pacjentowi (lub przedstawicielowi prawnemu) charakter rejestru PETER, jego cel, rodzaj gromadzonych danych, przewidywany czas trwania oraz potencjalne ryzyko i korzyści. Każdy pacjent musi zostać poinformowany, że zgoda na umieszczenie jego danych w rejestrze PETER jest dobrowolna, że może wycofać się z rejestru w dowolnym momencie, a cofnięcie zgody nie wpłynie na jego późniejsze leczenie lub relacje z lekarzem prowadzącym. Świadoma zgoda zostanie udzielona w formie standardowego oświadczenia pisemnego w języku nietechnicznym.

Pacjent/uczeń powinien przeczytać i rozważyć oświadczenie przed podpisaniem i datowaniem go oraz otrzymać kopię podpisanego dokumentu do przechowywania. Jeżeli uczestnik nie jest w stanie odczytać lub podpisać dokumentu, może zostać mu przedstawiony ustnie i/lub podpisany przez wyznaczonego zgodnie z prawem przedstawiciela uczestnika, jeżeli jest świadkiem osoby nieuczestniczącej w rejestrze, wskazując, że pacjent nie był w stanie odczytać lub podpisać dokumentów. Informacje o pacjencie nie mogą zostać wprowadzone do rejestru PETER przed uzyskaniem świadomej zgody. Świadoma zgoda jest częścią protokołu i musi zostać przedłożona przez badacza do lokalnej KE.

## 7. OCHRONA DANYCH

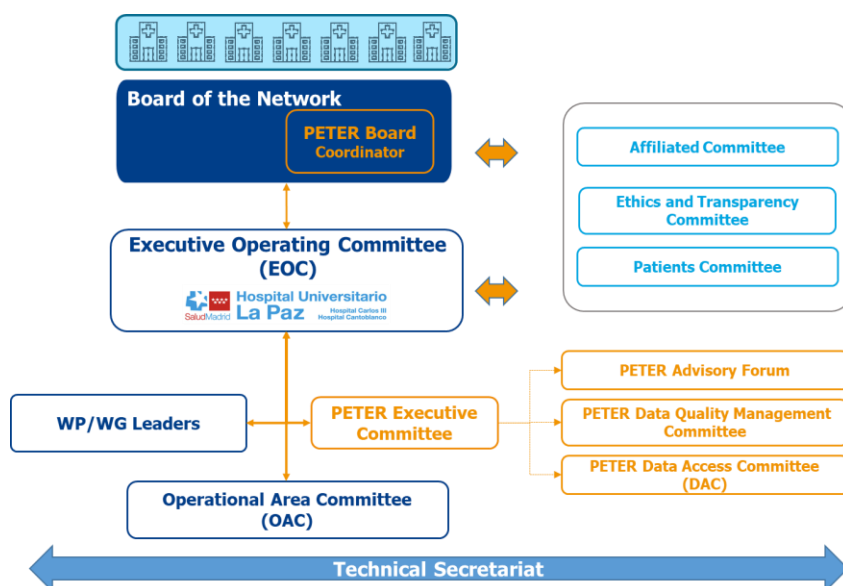
Ponieważ dane osobowe będą rejestrowane i przechowywane w spseudonimizowanym formacie w centralnej bazie danych PETER przy użyciu Xolomon Software, wszystkie strony zaangażowane w tworzenie rejestru zachowają ścisłą poufność, aby zapewnić, że ani prywatność osobista, ani prywatność rodzin pacjentów uczestniczących w rejestrach nie zostaną naruszone.

Dane będą przetwarzane wyłącznie przez upoważniony personel uczestniczący w rozwoju rejestru PETER. Dostęp do systemów komputerowych i pomieszczeń, w których są one przechowywane, będzie kontrolowany za pomocą odpowiednich środków bezpieczeństwa zgodnych z wymogami regulacji prywatności.

Przetwarzanie danych osobowych pacjentów uczestniczących w rejestrze PETER, a w szczególności w odniesieniu do danych związanych ze zgodą, będzie zgodne z lokalnymi przepisami dotyczącymi prywatności i ogólnym rozporządzeniem o ochronie danych 2016/679 (RODO) Unii Europejskiej.

## 8. ZARZĄDZANIE

Zgodnie z QDAP organy zarządzające są określone w zakresie zadań PETER, który definiuje Zarząd PETER jako najwyższy organ zarządzający (włączony do najwyższego organu zarządzającego ERN TransplantChild), **kierowany przez koordynatora rejestru PETER (Dra. Paloma Jara. Szpital Uniwersytecki w La Paz**. Ponadto powołano dodatkowe organy zarządzające, takie jak Komitet Wykonawczy i Komitet ds. Dostępu do Danych, aby nadzorować rozwój rejestru i wniosków o dostęp do danych. Struktury zarządzania PETER przedstawiono na poniższym rysunku (ryc.3):



Rysunek 3: Struktury zarządzania rejestrem PETER w ramach ERN TransplantChild.

Zarząd PETER jest wspierany przez specjalny Sekretariat Techniczny TransplantChild zlokalizowany przy Paseo de la Castellana 261, 28046, Madryt, Hiszpania (kontakt: Numer telefonu: +34 917.27.75.76; e-mail; [coordination@transplantchild.eu](mailto:coordination@transplantchild.eu)).

## 9. FINANSOWANIE

Rejestr utworzony został w ramach Programu Unii Europejskiej w dziedzinie zdrowia (2014–2020). Agencja Wykonawcza ds. Konsumentów, Zdrowia, Rolnictwa i Żywności (CHAFEA). Numer umowy o udzielenie dotacji: 947629 – PETER – HP-PJ-2019. Dotacja w wysokości 199 981,42 EUR.

## 10. WEJŚCIE W ŻYCIE, ZMIANA I ZMIANY

Protokół ten wejdzie w życie po jego zatwierdzeniu przez Radę PETER.

Protokół ten podlega przeglądowi i aktualizacji, w razie potrzeby, co roku.

Każdy członek Rady PETER może jednak zaproponować zmiany do niniejszego protokołu z uzasadnionych powodów.

W tym sensie do każdego wniosku dołącza się sprawozdanie wyjaśniające dotyczące przyczyn i zakresu proponowanej poprawki. Wnioski zostaną przedstawione przez koordynatora PETER na regularnych posiedzeniach Rady PETER, a decyzje i porozumienia zostaną zapisane w protokole posiedzenia.

Wszelkie zmiany protokołu są przekazywane członkom sieci HCP oraz przesyłane i rozpowszechniane przez ośrodek koordynacyjny.

Każdy członek sieci musi przestrzegać zasad i zasad określonych w niniejszym protokole.