



**European
Reference
Network**

for rare or low prevalence
complex diseases

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

PAEDIATRIC
TRANSPLANTATION
EUROPEAN
REGISTRY



peter

Europos pediatriinių transplantacijų registras

PETER

PETER registro protokolas



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

Įsigaliojimo data: V2.1 2024 m. birželio 14 d.

Atsakomybės apribojimas

Šio pranešimo turinys atspindi tik autoriaus nuomonę ir yra tik jo atsakomybė; negali būti laikoma, kad ji atspindi Europos Komisijos, HADEA ar bet kurios kitos Europos Sąjungos įstaigos nuomonę. Europos Komisija neprisiima jokios atsakomybės už galimą jame pateiktos informacijos naudojimą.

Dokumentų istorija

Išdavimo data	Versija	Su šia problema susiję pakeitimai ir (arba) priežastys
2020 m. kovo 5 d.	1.0	Pradinė versija
2023 m. lapkričio 2 d.	2.0	Protokolo atnaujinimas
2024 m. birželio 14 d.	2.1	Pasikeitė pagrindinis tyrėjas

DOKUMENTAS PASIRAŠYTAS

Parengė:	Patvirtino:
Pareigos: Vykdomasis komitetas	Pareigos: Tinklo koordinatorius PETER & vardu; Tinklo valdyba
Data: 2024 m. birželio 13 d.	Francisco Hernándezas Oliverosas Data: 2024 m. birželio 14 d.

Dezinfekcijos laipsnis

PU	Viešasis sektorius	<input checked="" type="checkbox"/>
LT	Tik vidaus naudojimui	<input type="checkbox"/>
CO	Konfidencialu, tik konsorciumo nariams (įskaitant Komisijos tarnybas)	<input type="checkbox"/>

INFORMACIJA DOKUMENTE

PETERIO REGISTRACIJOS PROTOKOLAS

ERCT dokumento rūšis: Protokolas

Taksonominė **nuoroda:** Europos referencijos centrų tinklų veiklos ataskaitų teikimas

ERCT: Transplantacija Vaikas

Daugiau informacijos apie šią klasifikaciją rasite SOP00 standartinėje veiklos procedūroje (SVP), skirtoje transplantacijos vaikams dokumentacijos tvarkymui.

TURINYS LENTELĖ

INFORMACIÓN DEL DOCUMENTO	3
1. Antecedentes y justificación	4
Trasplante pediátrico	4
2. Objetivo	5
3. Alcance	5
4. Concepto y objetivos del registro de Peter	5
5. Características del registro	6
5.1. Criterios de inclusión del paciente.	6
5.2. Criterios de exclusión del paciente.	7
5.3. Hospitales incluidos en el registro	7
5.4. Recolección de datos	7
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	8
5.9. Integración e interoperabilidad del registro	9
6. Requisitos para la integración de los datos del paciente en el registro	9
6.1. Aprobación previa por los Comités de Ética locales de los Hospitales	9
6.2. Consentimiento informado	9
7. Protección de datos	9
8. Gobernanza	10
9. Financiación	11
10. Entrada en vigor, revisión y modificaciones	11

1. APLINKYBĖS IR PAGRINDIMAS

2017 m. Europos Komisijos sukurti Europos referencijos centrų tinklai (ERCT), skirti retosioms ligoms arba sudėtingoms būklėms, kurioms reikalingas labai specializuotas gydymas, ekspertinės žinios ir išteklių, buvo svarbus žingsnis užtikrinant šių pacientų prieigą ir specializuotą priežiūrą. Ši iniciatyva sudarė sąlygas sutelkti geriausias įvairių sričių specialistų grupes ir keistis patirtimi visoje Europoje. ERN-TransplantChild yra vienas iš 24 tinklų, sukurtų 2017 m. pagal 2011 m. Direktyvos dėl pacientų teisių į tarpvalstybines sveikatos priežiūros paslaugas 12 straipsnį retųjų, sudėtingų ar mažai paplitusių ligų ar susirgimų srityje.

ERN TransplantChild yra vienintelis tinklas, kuriame daugiausia dėmesio skiriama sudėtingai procedūrai, pvz., Vaikų transplantacijai, kuri yra sudėtinga ir mažai paplitusi būklė, kuriai reikalingos labai specializuotos žinios ir išteklių. Dabartinių metodų nepakanka, kad būtų visapusiškai sprendžiamas ilgalaikio transplantato ir pacientų išgyvenimo klausimas, kartu užtikrinant geriausią įmanomą gyvenimo kokybę.

Šiuo metu ERCT „TransplantChild“ turi 40 Europos ligoninių iš 21 ES valstybės narės, kuriose dalyvauja 33 visateisiai nariai ir 7 susiję partneriai. ERCT „TransplantChild“ tikslas – suteikti daugiau galių pediatrišams pacientams, kuriems reikia transplantacijos ES, taip pat jų šeimoms, ir pagerinti jų viltį ir gyvenimo kokybę: (1) užtikrinti, kad jie per tinklą galėtų naudotis geriausia įmanoma priežiūros praktika ir paramos procedūromis, susijusiomis su kompleksiniu ir daugiadalykiu požiūriu į vaikų transplantaciją; (2) plėtoti ir telkti tinklo pastangas siekiant geresnių, įtraukčių ir novatoriškų procedūrų, informacijos, mokymo, žinių ir patirties; 3) įtraukti suinteresuotuosius subjektus į transplantacijos procesą ir suteikti jiems žinių ir informacijos. Šis požiūris ypač reikalingas vaikų transplantacijos atveju, palyginti su suaugusiųjų transplantacija, kai pacientų skaičius persodintame organe yra didesnis.

Pacientų registrai ir duomenų bazės yra pagrindinės priemonės plėtojant klinikinius mokslinius tyrimus retųjų ligų srityje, gerinant pacientų priežiūrą ir sveikatos priežiūros planavimą. Jie yra geriausias būdas sujungti duomenis, kad būtų pasiektas pakankamas imties dydis epidemiologiniams ar klinikiniams tyrimams. Registrai yra įdarbinimo priemonė, skirta pradėti tyrimus, kuriuose daugiausia dėmesio skiriama ligos etiologijai, patogenezei, diagnostikai ar terapijai. 2009 m. birželio 8 d. Europos Sąjungos Taryba rekomendavo, kad retųjų ligų ar sudėtingų sveikatos sutrikimų srityje valstybės narės apsvaistytų galimybę remti visus atitinkamus lygmenis, įskaitant ES, epidemiologiniais tikslais, registrus ir duomenų bazes, kartu žinodamos apie nepriklausomą valdymą. Siekdama paremti šį procesą ir visų pirma retųjų ligų registrų duomenų sąveikumą, Komisija nusprendė sukurti Europos retųjų ligų registrų platformą ir parengti konkrečius retųjų ligų registrų sąveikumo standartus (JRC standartus, kuriuos parengė *Komisijos Jungtinis tyrimų centras*).

Vaikų transplantacija.

Vaikų transplantacija, tiek kietų organų transplantacija (TOS), tiek hematopoetinė kamieninių ląstelių transplantacija (HTP) dramatiškai pakeitė daugelio vaikų gyvenimo trukmę, gydydami sudėtingas ligas ar sąlygas, kurios kitaip nebūtų išgyvenusios. Visame pasaulyje kasmet atliekama apie 150 000 TOS ir 80 000 TPH. Vaikų transplantacija sudaro apie 10% visų TOS ir

20% visų TPH. 2012–2016 m. Europos Sąjungoje buvo atliktas maždaug 7 741 vaikų TOS ir 14 717 vaikų TPH tyrimas, kurių duomenys toliau didina vaikų amžių.

Tiek TOS, tiek TPH suteikia galimybę išgydyti, tačiau tuo pat metu padidina su gydymu susijusio mirtingumo ir ilgalaikio šalutinio poveikio riziką. Tai reiškia, kad transplantacija pakeistų galutinės stadijos ligą tvaresne lėtinės ligos būkle ir, kaip tokia, su didelėmis klinikinėmis ir psichosocialinėmis pasekmėmis. Tačiau transplantacijos priežiūra yra medicininis iššūkis, nes veiksminga transplantacija reikalauja tarpdisciplininio komandinio požiūrio, remiant transplantacijos procedūrą bendruose TOS ir TPH procesuose, pavyzdžiui: imunosupresinis gydymas, imuninės sistemos atkūrimas, atmetimas, tolerancija, infekcijos rizika, perėjimas prie suaugusiųjų priežiūros ir psichosocialinė gerovė.

2. TIKSLAS

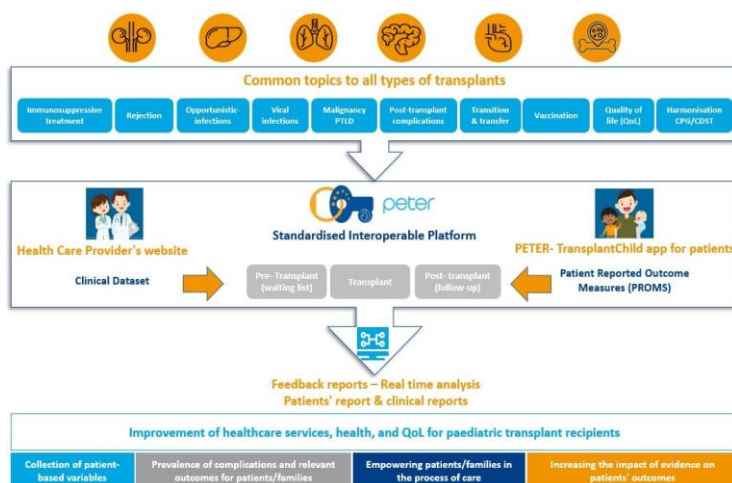
Šiuo dokumentu siekiama išsamiai aptarti pagrindinius PETER registro ir jo veikimo aspektus. Supranta jo savybes, teisinius aspektus, pacientų teises, duomenų apsaugą, valdymą, susijusį su jo veikimu, ir finansavimo aspektus.

3. TAIKYMO SRITIS

Šis dokumentas taikomas **kiekvienai PETER registre esančiai ligoninei. Atsakingi tyrėjai užtikrina, kad PETER registras būtų įdiegtas pagal šį protokolą, laikantis šiame dokumente aprašytų instrukcijų ir procedūrų.**

4. PETERIO REKORDŲ KONCEPCIJA IR TIKSLAI

Europos pediatrijų transplantacijų registras (PETER) sukurtas dėl poreikio integruoti skerspjūvio metodą į vaikų transplantaciją ir pacientų pateiktų rezultatų vertinimo priemonių (PROM) gyvenimo kokybės ataskaitas (1 pav.). PETER suteikia racionalią, veiksmingą ir sąveikią prieigą prie informacijos apie visų rūšių vaikų transplantaciją. PETER grindžiamas universaliu požiūriu, neatsižvelgiant į transplantacijos tipą, integruojant įvairių transplantacijos proceso etapų kintamuosius. Be to, tai padidins žinias apie transplantacijos procedūrą vaikams, siekiant nustatyti transplantacijos veiksmingumą lemiančius veiksnius, kurie leis plėtoti mokslinių tyrimų kryptis, siekiant pagerinti pediatrijų pacientų ir jų šeimų išgyvenimą ir gyvenimo kokybę.



1 paveikslas. Petro registracijos metodas

Bendras tikslas yra apibūdinti vaikų amžiaus transplantuotų pacientų sveikatos būklę nuo jų įtraukimo į laukiančiųjų sąrašą ir tolesnio stebėjimo po transplantacijos metu tiek klinikinio požiūriu, tiek jų pačių (gyvenimo kokybė). Laikytis Europos standartų, susijusių su *FAIR* principais, gerinant jų paieškos galimybes, prieinamumą, 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 išgyvenamumą, komplikacijas ir paciento išgyvenamumą.
- Įvertinti vaikų transplantacijos gavėjų gyvenimo kokybę.
- Transplantacijos proceso metu vykstančius pokyčius susieti su pacientų gyvenimo kokybe.
- Nustatyti kokybės gerinimo ir klinikinės praktikos suderinimo sritis.
- Remti žinių apie vaikų transplantacijos procesą generavimą ir mokslinių tyrimų skatinimą.

Pasiekdama šiuos tikslus, PETER siekia pagerinti vaikų transplantacijos recipientų priežiūrą ir rezultatus.

5. REGISTRO CHARAKTERISTIKOS

PETER yra skirtas prospektyviai rinkti klinikinį duomenis iš vaikų transplantacijos proceso, kaip pacientų valdymo dalis.

PETER duomenų rinkimui nereikės papildomų liginės tyrimų, priėmimo ar vizitų, viršijančių standartinę teikiamą priežiūrą. Intervencinėmis priemonėmis bus renkami sveikatos būklės duomenys, jau esantys klinikinuose įrašuose, ir paciento (tėvų) nurodyta gyvenimo kokybė.

5.1. Pacientų įtraukimo kriterijai.

Jaunesni nei 18 metų pacientai, kuriems buvo arba bus persodintas tvirtas organas arba hematopoetinis kamieninis organas, gali būti įtraukti į PETER registrą nuo jų įtraukimo į laukiančiųjų transplantacijos sąrašą.

5.2. Paciento atmetimo kriterijai.

- Transplantacijos recipientai nuo 18 metų amžiaus.
- Reguliari transplantacijos už ES ribų stebėseną.
- Informuoto asmens sutikimo nepriėmimas.

5.3. Į registrą įtrauktos ligoninės

PETER registro tikslas - surinkti duomenis iš pacientų, kurie atitinka nurodytus įtraukimo kriterijus.

Šie duomenys renkami iš Europos referencijos centrų tinklui „TransplantChild“ priklausančių ligoninių, taip pat iš ekspertų ligoninių, neįtrauktų į projektą „TransplantChild“, ir per nacionalinius ir (arba) regioninius klinikinius tinklus Europos šalyse.

2023 m. rugpjūčio mėn. duomenimis, 21 ES valstybėje narėje yra 40 ERN-TransplantChild SCP.

5.4. Duomenų rinkimas

Į renkamus duomenis neįtraukiami demografiniai duomenys ar pacientų identifikatoriai.

Kiekvienas pacientas gaus pseudoniminį vidinį kodą pagal Xolomon platformos sistemą. PETER dirba prie EK rekomenduojamos ERDRI.spider (Saugaus *privatumo išsaugojimo tapatybės valdymo paskirstytoje mokslinių tyrimų aplinkoje*) pseudoniminimo priemonės įgyvendinimo.

Klinikiniams duomenims rinkti naudojama interneto platforma (Xolomon) su protokolais, kuriais užtikrinamas duomenų įvedimo saugumas. Į platformą duomenis gali įvesti tik tie naudotojai, kuriuos pagrindinis tyrėjas yra užregistravęs ir įgaliojęs kaip tyrimo dalyvius.

Gyvenimo kokybės duomenys bus renkami naudojant "Xolomon" sukurtą mobiliąją programėlę. Pacientams bus suteiktas mobiliosios programėlės naudotojo vardas ir slaptažodis, kuriuos jie turės pakeisti pirmą kartą prisijungę. Pacientui skirtą informaciją (QR, naudotojo vardą ir slaptažodį) iš interneto programos sugeneruos pacientą užregistravęs tyrėjas.

5.5. Renkami duomenys

Pagrindiniai duomenų elementai apima bendrų duomenų elementų, skirtų retųjų ligų registravimui, rinkinį, kurį parengė JRC (<https://eu-rd-platform.jrc.ec.europa.eu/set-of-common-data-elements>), kad būtų atsižvelgta į vaikų transplantacijos – sudėtingos ligos, palyginti su retosiomis ligomis, ypatumus.

Atsižvelgiant į PETER registro tikslus, bus renkami perspektyviniai duomenys apie pacientų charakteristikas, transplantacijos duomenis ir rezultatus. Duomenys po transplantacijos bus registruojami 3 mėnesius po transplantacijos ir kasmet, kol bus baigtas perėjimas prie suaugusiųjų medicininės priežiūros (2 pav.).



2 paveikslas. Duomenys, reikalingi visais transplantacijos etapais

5.6. Duomenų saugojimas

PETER yra centralizuotas registras. Visi duomenys perduodami į centrinę PETER duomenų bazę naudojant Xolomon programinę įrangą. Programinė įranga, sukurta Xolomon Tree S.L (info@xolomon.com), yra elektroninis duomenų surinkimas (EDC) ir perdavimo programinė įranga, pasirinkta PETER kūrimui. Xolomon yra SaaS (Software as a Service) EDC (Electronic Data Capture) programinė įranga ir yra daugelio nuomininkų žiniatinklio programa. Programinės įrangos infrastruktūra yra "Microsoft Azure". Tyrimo duomenys bus saugomi saugiam „Microsoft Azure“ serveryje su tinkamo lygio šifravimu, pagrįstu „Azure“ Vakarų Europos regionu. Nors "Microsoft" neatskleidžia viešos savo serverių vietos, duomenų centrai, palaikantys ir priglobiantys Vakarų Europos regioną, yra Airijoje (Dublino srityje).

5.7. Duomenų analizė

Statistinė analizė bus atliekama remiantis tyrimo protokolu. Bendradarbiaujant su klinikiniais ekspertais bus konsultuojamasi dėl PETER duomenų bazės, kad būtų gauti aprašomieji statistiniai duomenys ir atitinkama informacija, reikalinga planuojant tyrimo protokole numatytas statistines analizes. Registro duomenys turi padėti atlikti stebėjimo tyrimus, grindžiamus antriniu turimų duomenų naudojimu, laikantis taikytinų ES ir nacionalinės teisės aktų ir atsižvelgiant į Europos sveikatos duomenų erdvę bei JRC / ES mokslinių tyrimų ir plėtros gaires ir gaires.

5.8. Duomenų valdymas ir kokybė

PETER registras turi kokybės duomenų užtikrinimo planą (QDAP), kuris apima valdymo struktūras, politiką, procedūras ir protokolus, skirtus duomenų ir informacijos kokybei valdyti, taip pat etinius, teisinius, saugumo ir privatumo aspektus.

Į KDVP įtrauktos pačioje platformoje nustatytos kontrolės priemonės, kuriomis siekiama užtikrinti duomenų kokybę, taip pat audito ir kokybės užtikrinimo planas, pagal kurį vertinamos ir stebimos KDVP nustatytos priemonės.

5.9. Registro integravimas ir sąveikumas

PETER registras užregistruotas ES retųjų ligų platformoje (ES RL), ERDRI.dor – Europos registrų kataloge (<https://eu-rd-platform.jrc.ec.europa.eu/erdrdor/register/list/place/ES>). Sinergija su kitais ERCT registrais bus skatinama per ERCT registrų darbo grupę ir ERICA projektą.

PETER registras turi būti sąveikus su Europos platformomis.

6. PACIENTO DUOMENŲ INTEGRAVIMO Į REGISTRĄ REIKALAVIMAI

6.1. Išankstinis vietinių ligoninių etikos komitetų pritarimas

Registracijos protokolas bus pateiktas susijusių ligoninių etikos komitetams (EK). Be to, EK suteiks išankstinį leidimą bet kokiems tyrimams, atliekamiems naudojant PETER duomenis.

6.2. Informuoto asmens sutikimas

Registro teisinis pagrindas yra išankstinis informuoto paciento / globėjo sutikimo gavimas prieš jį įtraukiant į registrą.

Tyrėjai turėtų paaiškinti kiekvienam pacientui (arba teisiniam atstovui) PETER įrašo pobūdį, jo tikslą, surinktų duomenų tipą, numatomą trukmę ir galimą riziką bei naudą. Kiekvienas pacientas turi būti informuotas, kad sutikimas įtraukti jo duomenis į PETER registrą yra savanoriškas, kad jis gali būti bet kuriuo metu pašalintas iš registro ir kad sutikimo atšaukimas neturės įtakos jo tolesniam mediciniam gydymui ar santykiams su gydančiu gydytoju. Informuoto asmens sutikimas duodamas standartiniu rašytiniu pareiškimu netechnine kalba.

Pacientas / globėjas turi perskaityti ir apsvarstyti pareiškimą prieš pasirašydamas ir nurodydamas datą, taip pat turi gauti pasirašyto dokumento kopiją, kad ją išsaugotų. Jei tiriamasis asmuo negali perskaityti ar pasirašyti dokumento, jis gali būti pateiktas žodžiu arba pasirašytas teisėtai paskirto tiriamojo asmens atstovo, jei tai liudija su įrašu nesusijęs asmuo, nurodantis, kad pacientas negalėjo perskaityti ar pasirašyti dokumentų. Informacijos apie pacientą negalima įrašyti į PETER registrą, kol negautas informuoto asmens sutikimas. Informuoto asmens sutikimas yra protokolo dalis ir tyrėjas jį turi pateikti vietas EK.

7. DUOMENŲ APSAUGA

Kadangi asmens duomenys centrinėje PETER duomenų bazėje bus registruojami ir saugomi pseudoniminiu formatu naudojant Xolomon programinę įrangą, visos registro kūrimo

dalyvaujančios šalys laikysis griežto konfidencialumo, siekdamos užtikrinti, kad nebūtų pažeistas registruose dalyvaujančių pacientų šeimų asmeninis privatumas ir privatumas.

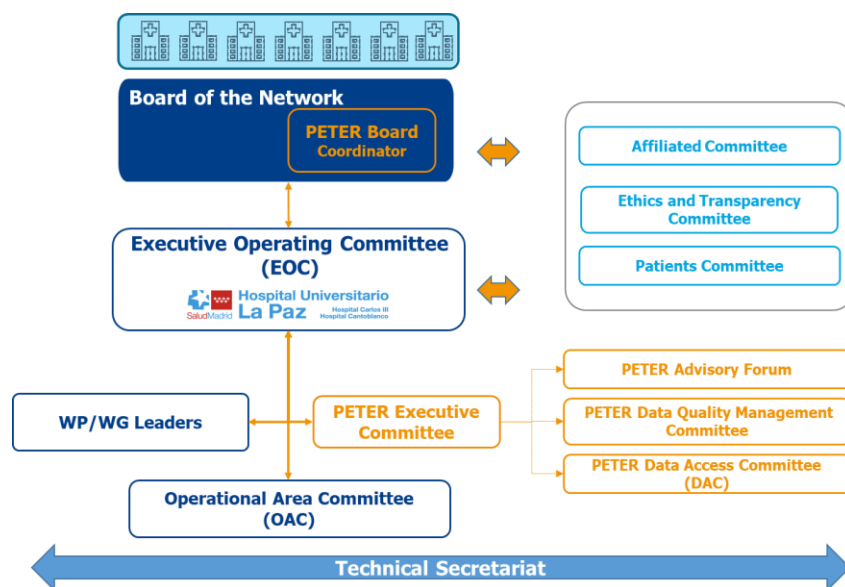
Duomenis tvarkys tik įgalioti darbuotojai, dalyvaujantys kuriant PETER registrą. Prieiga prie kompiuterinių sistemų ir patalpų, kuriose jos saugomos, bus kontroliuojama tinkamomis saugumo priemonėmis, atitinkančiomis privatumo taisyklių reikalavimus.

PETER registre dalyvaujančių pacientų asmens duomenys, ypač duomenys, susiję su sutikimu, bus tvarkomi laikantis vietos privatumo teisės aktų ir Europos Sąjungos Bendrojo duomenų apsaugos reglamento 2016/679 (BDAR).

8. VALDYMAS

Remiantis KDVP, valdymo organai aprašyti PETER įgaliojimuose, kuriuose PETER valdyba apibrėžiama kaip aukščiausias valdymo organas (įtrauktas į aukščiausią ERCT „TransplantChild“ valdymo organą), kuriam **vadovauja PETER registro koordinatorius (Dr. Francisco Hernández. Universitario La Paz ligoninė)**. Be to, buvo įsteigti kiti valdymo organai, pavyzdžiui, Vykdomasis komitetas ir Prieigos prie duomenų komitetas, kurie prižiūri registro ir prieigos prie duomenų prašymų rengimą. PETER valdymo struktūros pavaizduotos toliau pateiktame paveiksle (3 pav.).

PETER tarybai padeda TransplantChild techninis sekretoriatas, įsikūręs Paseo de la Castellana 261, 28046, Madridas, Ispanija (kontaktinis asmuo: Telefono numeris: +34 917 27 75 76; e. paštas; coordination@transplantchild.eu).



3 paveikslas. PETER registro valdymo struktūros ERCT TransplantChild sistemoje.

9. FINANSAVIMAS

Sukurtas registras buvo bendrai finansuojamas pagal Europos Sąjungos sveikatos programą (2014–2020 m.). Vartotojų, sveikatos, žemės ūkio ir maisto programų vykdomoji įstaiga (CHAFAE). Susitarimo dėl dotacijos numeris: 947629 – PETER – HP-PJ-2019. 199 981,42 EUR dotacija.

10. ĮSIGALIOJIMAS, PERŽIŪRA IR PAKEITIMAI

Šis protokolas įsigalios, kai jį patvirtins PETER taryba.

Šis protokolas kasmet peržiūrimas ir prireikus atnaujinamas.

Tačiau bet kuris PETER komiteto narys dėl pagrįstų priežasčių gali siūlyti šio protokolo pakeitimus.

Šiuo atžvilgiu prie kiekvieno pasiūlymo pridedama aiškinamoji ataskaita apie siūlomo pakeitimo priežastis ir taikymo sritį. Pasiūlymus PETER registro koordinatorius pateiks reguliariuose PETER valdybos posėdžiuose, o sprendimai ir susitarimai bus įrašyti į posėdžio protokolą.

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

Kiekvienas tinklo narys laikosi šiame protokole nustatytų taisyklių ir principų.