

**ETUDE OBSERVATIONNELLE
DES PATIENTS AGES DE 6 ANS ET PLUS ATTEINTS DE MUCOVISCIDOSE
PORTEURS D'AU MOINS UNE MUTATION F508DEL DU GENE CFTR ET TRAITES PAR KAFTRIO®**

Etudes initiales	Etude concernée : utilisation secondaire des données des études initiales
MODUL-CF : « Evaluation de la réponse aux modulateurs de CFTR dans la cohorte des patients de moins de 18 ans atteints de mucoviscidose et des enfants nés de mères traitées par modulateurs de CFTR »	Etude observationnelle des patients âgés de 6 ans et plus atteints de mucoviscidose porteurs d'au moins une mutation F508del du gène CFTR et traités par Kaftrio®
KAFTRIO : « Effets de l'Elexacaftor-Tezacaftor-Ivacaftor (KAFTRIO) dans la population mucoviscidosique: Cohorte observationnelle nationale »	

NOTE D'INFORMATION

Madame, Monsieur,

Votre enfant participe à :

- une étude observationnelle intitulée « *Modul-CF : Evaluation de la réponse aux modulateurs de CFTR dans la cohorte des patients de moins de 18 ans atteints de mucoviscidose et des enfants nés de mères traitées par modulateurs de CFTR* », dont l'investigateur coordonnateur est le Professeur Isabelle Sermet-Gaudelus ;
- ou à une étude intitulée KAFTRIO : « Effets de l'Elexacaftor-Tezacaftor-Ivacaftor (KAFTRIO) dans la population mucoviscidosique: Cohorte observationnelle nationale » dont le Professeur Pierre-Régis Burgel est l'investigateur coordonnateur ;

Vous avez reconnu avoir été dûment informé(e) par le médecin du CRCM qui suit votre enfant, sur les deux études, par deux notes d'information spécifiques, que vous pouvez consulter sur le portail de transparence de l'Association Vaincre la Mucoviscidose à l'adresse suivante : www.vaincrelamuco.org/vosdonneesdesante

Vous avez donné votre accord pour que les données pseudonymisées de votre enfant, recueillies dans le cadre d'une de ces deux études, soient hébergées par le Registre Français de la Mucoviscidose, géré par l'Association Vaincre la Mucoviscidose (VLM), à des fins de réutilisation ultérieure pour la recherche sur la Mucoviscidose.

A ce jour, VLM n'a pas été informée de l'exercice de votre droit d'opposition à ce que les données de votre enfant soient réutilisées pour une recherche sur la Mucoviscidose.

L'ETUDE

Le Registre Français de la Mucoviscidose a autorisé une « **Etude observationnelle des patients âgés de 6 ans et plus atteints de mucoviscidose porteurs d'au moins une mutation F508del du gène CFTR et traités par Kaftrio®** ». Elle vise à apporter des informations supplémentaires sur l'efficacité et la sécurité de ce traitement, en vraie vie, en France.

Elle s'adresse aux patients âgés de 6 ans et plus atteints de mucoviscidose porteurs d'au moins une mutation F508del du gène CFTR et ayant initié Kaftrio® entre le 18/12/2019 et le 31/12/2023.

Nous vous informons que cette étude est demandée par la Haute Autorité de Santé (HAS) à Vertex Pharmaceuticals SAS, dans les différents avis de la Commission de la Transparence concernant le Kaftrio/Kalydeco.

Cette étude repose sur un traitement des données pseudonymisées collectées dans le cadre des études initiales Kaftrio et Modul-CF. Elle nécessite la réutilisation des données hébergées dans le Registre Français de la Mucoviscidose, concernées par les deux études pour les périodes suivantes :

Patients	Période d'étude toutes les données enregistrées entre
âgés de 6 à 11 ans,	le 11/04/2019 et le 31/12/2023.
âgés de 12 ans et plus,	le 18/12/2016 au 31/12/2023.

Votre enfant correspond à la population concernée par cette étude.

Objectif de l'Etude

Vertex Pharmaceuticals SAS a chargé l'Association Vaincre la Mucoviscidose de mettre en œuvre cette étude, afin d'apporter, à la demande de la Haute Autorité de Santé (HAS), des données de vraie vie en France, quant à l'usage du Kaftrio®.

Elle vise à identifier de manière plus fine les effets du traitement sur les patients. Elle permettra d'analyser des critères d'efficacité ainsi que la tolérance sur les patients âgés de 6 ans et plus atteints de mucoviscidose porteurs d'au moins une mutation F508del du gène CFTR et ayant initié Kaftrio® :

- entre le 11/04/2022 et le 31/12/2023 pour les patients âgés de 6 à 11 ans ;
- entre le 18/12/2019 et le 31/12/2023 pour les patients âgés de 12 ans et plus.

En quoi consiste cette recherche ?

Cette étude repose sur un traitement des données collectées dans le cadre des études initiales Kaftrio et Modul-CF et qui ont été transmises à Vaincre la Mucoviscidose afin d'être enregistrées dans le Registre français de la Mucoviscidose.

Calendrier de la recherche

La durée de cette étude est estimée à 13 mois.

Modalités de conservation

Les données de votre enfants seront hébergées pendant toute la durée de l'étude par le Registre Français de la Mucoviscidose, hébergé en France par un hébergeur certifié HDS.

Cadre réglementaire

Le Registre a obtenu un avis favorable du CCTIRS (Comité consultatif sur le traitement de l'information en matière de recherche dans le domaine de la santé) et de la CNIL (Commission Nationale de l'Informatique et des Libertés) délivré le 9 mars 2007.

Les études Modul-CF et Kaftrio, pour lesquelles l'Association Vaincre la Mucoviscidose est responsable légal, sont conformes aux exigences de la Méthodologie de Référence MR-004.

La présente étude est également conforme aux exigences de la Méthodologie de Référence MR-004.

INFORMATION SUR LES DROITS ET LA GESTION DES DONNEES RECUEILLIES

Comment seront traitées les données à caractère personnel de votre enfant dans le cadre de cette étude ?

Les données à caractère personnel de votre enfant seront traitées de manière confidentielle, conformément à la réglementation sur la protection des données à caractère personnel (Règlement UE 2016/697, Règlement Général sur la protection des données à caractère personnel (RGPD) et la Loi « Informatique et Libertés » du 6 janvier 1978, modifiée (LIL)).

VLM n'a pas accès à l'identité de votre enfant, les données hébergées dans le Registre sont codées. Seul l'investigateur de l'étude initiale a conservé la liste de correspondance entre le code et le nom de votre enfant.

Qui est responsable de traitement ?

Vertex Pharmaceuticals SAS est responsable de traitement mais ne mettra pas en œuvre cette étude. Seule l'Association Vaincre la Mucoviscidose, propriétaire et exploitant du Registre Français de la Mucoviscidose, assurera la mise en œuvre de cette étude d'intérêt public, en qualité de sous-traitant.

Responsable de traitement : non responsable de la mise en oeuvre	Sous-Traitant : Responsable de la mise en oeuvre
Vertex Pharmaceuticals SAS 34-36 rue Guersant 75017 Paris Email du DPD privacy@vrtx.com	Association Vaincre la Mucoviscidose, (VLM) association reconnue d'utilité publique enregistrée au répertoire SIRENE sous le numéro 784 287 583 181 Rue de Tolbiac 75013 PARIS représentée par son Directeur Général, M. Thierry NOUVEL Email du DPD vosdonneesdesante@vaincrelamuco.org .

Quelle est la finalité du traitement des données personnelles de votre enfant ?

Le traitement des données pseudonymisées de votre enfant dans le cadre de cette étude, réalisée à la demande de la HAS, a pour finalité l'amélioration de la connaissance du service médical rendu du Kaftrio® en termes d'efficacité et de tolérance chez des patients âgés de 6 ans et plus atteints de mucoviscidose porteurs d'au moins une mutation F508del du gène CFTR. Elle doit permettre de décrire l'utilisation en vie réelle du Kaftrio® en France.

Quelle est la base légale ?

Les données pseudonymisées de votre enfant sont traitées à des fins de recherche scientifique, nécessaire à l'exécution d'une mission d'intérêt public. Le traitement est fondé sur l'article 6.1.f) en lien avec l'article 9.2.j) du RGPD et les articles 44.3 et 66 de LIL.

Quelles sont les données de votre enfant traitées dans cette étude ?

Les données de votre enfant collectées par le Registre Français de la mucoviscidose de l'Association « Vaincre la Mucoviscidose » se limitent aux données enregistrées dans le cadre des études initiales Kaftrio et Modul-CF :

- entre le 11/04/2019 et le 31/12/2023 pour les patients âgés de 6 à 11 ans ;
- entre le 18/12/2016 et le 31/12/2023 pour les patients âgés de 12 ans et plus.

Ces données ont été recueillies à l'occasion d'activités de soins.

Quels sont vos droits sur les données de votre enfant ?

Vous pouvez choisir d'exercer les droits d'accès et de rectification des données inexactes de votre enfant. L'exercice du droit à la limitation de traitements des données de votre enfant ne sera possible que s'il ne compromet pas la réalisation de l'étude.

Les droits à l'effacement, et à la portabilité des données de votre enfant ne peuvent pas être exercés dans la mesure où ce traitement est nécessaire pour des motifs d'intérêt public.

Vous pouvez vous opposer à l'utilisation des données de votre enfant, dans ce cas, il ne pourra pas participer à l'étude. Cette opposition sera sans conséquence sur la suite de son traitement, sur la relation avec son médecin et sur la qualité de sa prise en charge médicale.

Vous disposez également d'un droit d'organiser le sort de ses données après son décès.

Comment exercer ces droits ?

Vous pouvez exercer ces droits à tout moment et sans avoir à vous justifier.

L'Association Vaincre la mucoviscidose n'ayant pas accès à l'identité de votre enfant, il est recommandé d'adresser votre demande d'exercice des droits sur les données de votre enfant, dans un premier temps, au médecin de son CRCM d'origine.

Vous pouvez en outre, si vous le souhaitez, exercer ces droits auprès du délégué à la protection des données de l'Association Vaincre la mucoviscidose à l'adresse suivante : vosdonneesdesante@vaincrelamuco.org ou par courrier postal : Le Délégué à la protection des données, Association Vaincre la Mucoviscidose, 181 Rue de Tolbiac 75013 PARIS qui gèrera cette demande en coordination avec le médecin et les professionnels impliqués dans l'étude. Dans ce cas, l'identité de votre enfant (prénom, nom et CRCM d'appartenance) sera rendue accessible au délégué à la protection des données de l'Association. En cas de doute raisonnable sur l'identité de l'auteur de la demande d'exercice des droits, le DPO vous invitera à lui communiquer une copie de votre pièce d'identité et celle de votre enfant (carte nationale d'identité ou passeport). Ces documents seront immédiatement détruits après vérification de votre identité et celle de votre enfant.

Conformément à l'article 12 du RGPD, l'Association Vaincre la Mucoviscidose s'engage à mettre en œuvre des procédures permettant qu'il soit donné suite à ces demandes dans un délai maximal d'un mois à compter de la réception de la demande. Ce délai peut être prolongé de deux mois, compte tenu de la complexité et du nombre de demandes. Cette prolongation sera portée à votre connaissance dans un délai d'un mois à compter de la réception de la demande.

Qui aura accès aux données de votre enfant

L'équipe habilitée de l'Association Vaincre la Mucoviscidose, qui est soumise à une obligation de confidentialité, aura accès aux données pseudonymisées et codées de votre enfant. Les sous-traitants de l'Association, prestataire technique et hébergeur certifié HDS auront également accès aux données de votre enfant.

Transfert hors UE ?

Les données de votre enfant ne seront pas transférées hors de l'Union Européenne.

Publication

Toutes les publications traiteront des données agrégées, aucune ré-identification ne sera possible.

Information complémentaire

Pour toute information complémentaire sur l'**Etude observationnelle des patients âgés de 6 ans et plus atteints de mucoviscidose porteurs d'au moins une mutation F508del du gène CFTR et traités par Kafrio®** et obtenir des informations sur le traitement des données de votre enfant, l'Association a mis en place une page spéciale sur son site internet qu'elle renseignera préalablement à la mise en œuvre de chaque nouveau traitement à l'adresse suivante : www.vaincrelamuco.org/vosdonneesdesante.

Droit d'introduire une réclamation auprès de la CNIL

Si vous n'êtes pas satisfait des conditions de traitement des données de votre enfant, vous disposez du droit d'introduire une réclamation auprès de la Commission nationale de l'informatique et des libertés (CNIL, 3 place de Fontenoy - TSA 80715 - 75334 Paris cedex 07 - tél. : 01 53 73 22 22 – [www.http://www.cnil.fr](http://www.cnil.fr)), qui est l'autorité de contrôle en France en matière de protection des données.