

Registre SMA FRANCE

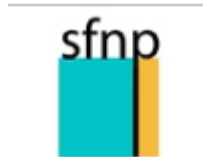
Susana Quijano-Roy

APHP- Hôpital R. Poincaré, Garches

Lamiaie Grimaldi France

URC Paris-ile-de France & Paris Sud

UVSQ Paris Saclay



- Besoin de données épidémiologiques en FRANCE
- Besoin d'un registre "en vie réelle" pour mieux comprendre l'efficacité et les indications
- 2017 : Structuration des CRMR
 - 3 centres coordonnateurs avec plus de 50 sites (enfant / adulte)
- Plus de 1000 patients suivis (50% enfants)
- Demande de l'HAS (standards of care + effets thérapies, qualité de vie ...)
- Financement: Pharma
- Consensus communauté médicale: cadre scientifique-académique indépendant des financeurs

REGISTRE SMA FRANCE: ETAPES D'AVANCEMENT

- Items (CRF) et responsable scientifique
 - **2017-18**: réunions de groupe d'experts multidisciplinaire, associations
 - **2018-2019** :
 - Template "UMD" et Items additionnels (nouvelles thérapies)
 - Outils et tests validés (MFM*/ HFMSE)
 - En accord avec consensus internationaux (TREAT-NMD, iSMAC)
 - *e CRF on line (phase test)*
 - Protocole avec validation interne (URC, groupe PNDS et neurologues)
 - Promoteur: (juillet 2018)
 - Comités (opérationnel, pilotage, scientifique) et Charte de fonctionnement
 - Autorisations réglementaires : CPP, CNIL: envoyé début May 2019
 - Financeurs multiples : amorçage du registre (Déc 2019), maintien, qualité des données (2023 ...): Partenariat (pérennisation) et missions selon demandes
- VALIDATION APHP- Biogen décembre 2019. **Début inclusions Déc 2019 (Garches ... reste APHP ... reste centres par conventions)**

REGISTRE SMA FRANCE: OBJECTIFS

Objectifs:

- 1) Capturer les données de vie réelle:** historiques, retrospectives (Septembre 2016 – ATU Nusinersen) et prospective (≥ 5 ans)
 - Données de tous les patients SMA (traités et non traités)
 - Epidémiologie
 - Comparaisons et analyses systématiques et rapides de groupes de patients différents:
 - Histoire naturelle
 - Effets des thérapeutiques et interventions
- 1) Conséquences sur les indications et pratiques:** planification et monitoring des mesures thérapeutiques dès le lieu de soins
- 2) Socle pour des recherches supplémentaires**

REGISTRE SMA FRANCE – DATA COLLECTION & ANALYSIS

Critères d'inclusion

- SMA confirmée (gène *SMN1*)
- Documents:
 - non opposition : permet la collection **rétrospective**
 - consentement informé : **permet la collection prospective**
- Demande de « Minimal data » pour étude épidémiologique pour permettre de collecter des données des patients décédés ou perdus (en attente de décision du CPP)
- Tous les patients remplissant les critères, soient ou non traités

Caractéristiques

- Données collectées pendant les visites de routine
- Introduction des données tous les 6 mois
- Items en accord avec les consensus internationaux et nationaux
- Inclusion de questionnaires de qualité de vie et de « Burden »

Analyse des données

- Indépendant des financeurs

REGISTRE SMA FRANCE: CRF

En raison des évolutions récentes, le CRF est conçu pour

- **Différencier les populations à analyser (sous-types)**
 - 1a-b-c
 - 2 able to stand up or not
 - 3a-b
 - symptomatique vs pré-symptomatique
- **Collecter des événements indésirables**, complications
- **Identifier les meilleurs tests et mesures de suivi**
- **Capter tout traitement connu pouvant avoir un impact** dans l'histoire naturelle, indication thérapeutique, décision éthique ...
- **Couvrir tout effet secondaire** des thérapies connues
- Anticiper des **bio-marqueurs** connus

REGISTRE SMA FRANCE

Promoteur: APHP (Assistance Publique – Hôpitaux de Paris)

Gouvernance :

- ✓ Responsable Scientifique: S QUIJANO-ROY (RPC Garches)
- ✓ Responsable de Methodologie & monitoring :L GRIMALDI
- ✓ URC HUPIFO –DRCI)
- ✓ Président du Comité de Pilotage JA URTIZBEREA (FILNEMUS)
- ✓ Référent Adultes (A.BEHIN) 23 Mars 2019
- ✓ Conseil Scientifique (en cours)
- ✓ Kick off très prochainement !!



**REGISTRE FRANÇAIS DES PATIENTS AVEC UNE
AMYOTROPHIE SPINALE (Registre SMA France)**

Promoteur :

AP-HP

Codes de la recherche :

P, ID-RCB :

CAHIER D'OBSERVATION
Case Report Form (CRF)

Version n° 1.0 du : 19/03/2019

CODE/NUMERO DE CENTRE

NUMERO PATIENT

NOM (première lettre)

COORDONNÉES DES PERSONNES RÉFÉRENTES

PROMOTEUR :	CENTRE DE METHODOLOGIE & DE GESTION
<p>AP-HP Assistance Publique-Hôpitaux de Paris, DRCI Département de la Recherche clinique et de l'innovation Réfèrent projet DRCI-Pôle Promotion : Mme Amel OUSLIMANI Courriel : amel.ouslimani@aphp.fr Carré Historique de l'Hôpital Saint Louis 1 avenue Claude Vellefaux 75 010 Paris</p>	<p>Pr Lamiae GRIMALDI Responsable de l'URCPO Service de Pharmacologie- Pharmacoépidémiologie – Hôpital Ambroise Paré 9 avenue Charles de Gaulle 92 100 Boulogne-Billancourt</p>
<p>INVESTIGATEUR COORDONNATEUR :</p>	<p>OPERATION RECHERCHE CLINIQUE :</p>
<p>Pr Susana QUIJANO-ROY Service Pédiatrie (Centre de référence des maladies neuromusculaires) Hôpital Raymond Poincaré 104 boulevard Raymond Poincaré 92 380 Garches Tel : 01 47 10 78 90 Email : susana.quijano-roy@aphp.fr</p>	<p>Nawal DERRIDJ-AIT YOUNES Coordinatrice d'étude clinique (URCPO) Tel : 01 49 09 47 47 Fax : 01 49 09 44 71 Email : nawal.derridj@aphp.fr</p> <p>Corinne HURTAUD-TOUCHARD Attachée de recherche Clinique Tel : 01 49 09 48 12 Fax : 01 49 09 44 71 Email : corinne.hurtaud@aphp.fr</p>
	<p>Sylvie AZERAD Data manager Tel : 01 71 16 77 27 Email : sylvie.azerad@aphp.fr</p>

Merci de votre attention

- **URC HUFIPO**
 - L GRIMALDI
- **DRCI- AHPH**
 - A GYSEMBERG
- **PNDS SMA**
 - JM CUISSET
 - C VUILLEROT
 - P SAUGER
 - C ESPIL
 - C BARNERIAS
- **FILNEMUS**
 - JA URTIZBEREA
 - J POUGET
 - S ATTARIAM
- **Experts registres**
 - G BASSEZ, P LAFORET
 - PF PRADAT

- **SFNP Neuromuscular group**
 - I DESGUERRES
 - B CHABROL
- **RPC Garches**
 - M GOMEZ GARCIA
 - P LAFORET
 - E MALFATTI
- **Neurologues SFM**
 - A BEHIN
 - T STOJKOVIC
 - S SACCONI
- **AFM**
 - H MOUSSU



Lamiae Grimaldi
PhD, PharmD, MSc, MPH
EVP, EPIDEMIOLOGY AND
REAL WORLD DATA SOLUTIONS



**European
Reference
Network**
for rare or low prevalence
complex diseases

 **Network**
Neuromuscular
Diseases (ERN EURO-NMD)



Centre de référence Maladies Neuromusculaires
Garches - Necker - Mondor - Hendaye