

Informatieveiligheidscomité
Kamer sociale zekerheid en gezondheid

IVC/SCSZG/19/282

BERAADSLAGING NR. 10/062 VAN 20 JULI 2010, LAATST GEWIJZIGD OP 3 SEPTEMBER 2019, MET BETREKKING TOT DE VERWERKING VAN GEPSEUDONIMISEERDE PERSOONSgegevens DOOR HET HEALTHDATA-PLATFORM IN HET KADER VAN HET BELGISCHE REGISTER VAN NEUROMUSCULAIRE AANDOENINGEN (BNMDR)

De kamer sociale zekerheid en gezondheid van het Informatieveiligheidscomité (hierna “het Comité” genoemd),

Gelet op de Verordening (EU) nr. 2016/679 van het Europees Parlement en de Raad van 27 april 2016 betreffende de bescherming van natuurlijke personen in verband met de verwerking van persoonsgegevens en betreffende het vrije verkeer van die gegevens en tot intrekking van Richtlijn 95/46/EG (Algemene Verordening Gegevensbescherming);

Gelet op de wet van 3 december 2017 *tot oprichting van de Gegevensbeschermingsautoriteit*, in het bijzonder artikel 114, gewijzigd bij de wet van 25 mei 2018;

Gelet op de wet van 30 juli 2018 *betreffende de bescherming van natuurlijke personen met betrekking tot de verwerking van persoonsgegevens*;

Gelet op de wet van 5 september 2018 *tot oprichting van het informatieveiligheidscomité en tot wijziging van diverse wetten betreffende de uitvoering van verordening (EU) 2016/679 van 27 april 2016 van het Europees Parlement en de Raad betreffende de bescherming van natuurlijke personen in verband met de verwerking van persoonsgegevens en betreffende het vrije verkeer van die gegevens en tot intrekking van richtlijn 95/46/EG*;

Gelet op de wet van 13 december 2006 *houdende diverse bepalingen betreffende gezondheid*, in het bijzonder artikel 42, § 2, 3° van de wet van 5 september 2018.

Gelet op de wet van 15 januari 1990 *houdende oprichting en organisatie van een Kruispuntbank van de Sociale Zekerheid*;

Gelet op de wet van 21 augustus 2008 *houdende oprichting en organisatie van het eHealth-platform*;

Gelet op de beraadslaging nr. 15/009 van 17 februari 2015, laatst gewijzigd op 5 juni 2018, betreffende de generieke methode voor de uitwisseling van gecodeerde persoonsgegevens die de gezondheid betreffen in het kader van healthdata.be en healthstat.be

Gelet op de beraadslaging nr. 10/062 van 20 juli 2010, laatst gewijzigd op 16 juni 2015;

Gelet op het verzoek tot wijziging van Healthdata;

Gelet op het auditoraatsrapport van het eHealth-platform;

Gelet op het verslag van de heer Bart Viaene;

Beslist op 3 september 2019 na beraadslaging als volgt:

I. ONDERWERP VAN DE AANVRAAG

1. In opdracht van het RIZIV is Sciensano (het vroegere Wetenschappelijk Instituut Volksgezondheid - WIV)¹ sinds 2008 aangesteld als organiserende instantie om samen met de zeven neuromusculaire referentiecentra een Belgisch register van patiënten met een neuromusculaire aandoening (hierna “BNMDR” genoemd) op te starten². Hiertoe dienen de neuromusculaire referentiecentra aan het Register gegevens over te maken van alle patiënten die bekend zijn met een neuromusculaire aandoening in België en die hun schriftelijke toestemming hebben verleend. De verzamelde gegevens zijn gegevens die zich in het medisch dossier bevinden en dus deel uitmaken van de standaardzorg die wordt geleverd aan de patiënten met een neuromusculaire aandoening. Momenteel zijn er zo’n 4.500 patiënten met een neuromusculaire aandoening die in aanmerking komen om in het Register te worden opgenomen.
2. Het doel van het register is om het onderzoek (klinisch, epidemiologisch, etiologisch, enz.) op het gebied van neuromusculaire ziekten te vergemakkelijken. Daarnaast zal het register worden gebruikt om het beheer inzake neuromusculaire aandoeningen in kaart te brengen, en om de kwaliteit van de zorgverlening geleverd aan de patiënten die lijden aan een neuromusculaire ziekte te evalueren en te verbeteren.
3. Een deel van de gegevens wordt specifiek verzameld in het kader van het Europese project Treat-NMD (Translational Research in Europe for the Assessment and Treatment of Neuromuscular Diseases) en dit enkel bij patiënten met Becker muscular dystrophy, Duchenne muscular dystrophy en Spinal muscular atrophy (AMS-SMA). Het belangrijkste doel van dit project is om de haalbaarheid van klinische studies te kunnen inschatten, de planning van geschikte klinische trials te vereenvoudigen en patiëntverwerving voor klinische trials te ondersteunen. Omdat elk type neuromusculaire aandoening een zeldzame

¹ Het Wetenschappelijk Instituut Volksgezondheid (WIV) en het Centrum voor Onderzoek in Diergeneeskunde en Agrochemie (CODA) zijn sinds 1 april 2018 samengevoegd tot het nieuwe federale onderzoekscentrum Sciensano. Zie in dat verband het koninklijk besluit van 28 maart 2018 tot uitvoering van de wet van 25 februari 2018 tot oprichting van Sciensano, wat betreft de maatschappelijke zetel, het bestuur en de werking, en tot aanpassing van diverse besluiten betreffende de rechtsvoorgangers van Sciensano.

² De zeven referentiecentra worden vertegenwoordigd door volgende ziekenhuizen : Hôpital universitaire des enfants reine Fabiola (HUDERF), Erasmus Ziekenhuis, UZ Brussel, Inkendaal – K.I. ziekenhuis, UZ Antwerpen, UCL, Centre Hospitalier Regional de la Citadelle, Universitair Ziekenhuis KUL – Gasthuisberg, Universitair Ziekenhuis Gent.

aandoening is, is het aantal patiënten dat in aanmerking komt voor een klinische trial vaak heel beperkt (i.e. patiënt met een welbepaalde genetische afwijking, bepaald stadium waarin de patiënt zich bevindt, ...). Door de krachten te bundelen en een Europees Register op te starten, kan het selecteren van specifieke patiëntgroepen veel vlotter verlopen. Daarnaast laat het register ook toe om de prevalentie van neuromusculaire aandoeningen op Europees niveau te schatten en ondersteuning te bieden bij het ontwikkelen van richtlijnen bij diagnose en behandeling.

Daarnaast is door de recente evolutie van therapeutische mogelijkheden bij SMA (amyotrophie spinale) nood aan additionele opvolging van deze patiënten (beschrijving van het natuurlijk verloop van SMA, benchmark farmaceutische interventies, gegevens rond veiligheid en werkzaamheid van farmacologische interventies). Voor SMA worden dan ook additionele variabelen verzameld binnen het BNMDR gekoppeld aan Treat-NMD.

Dit register omvat reeds een beperkte datacollectie omtrent de ziekte SMA, een neuromusculaire ziekte, op basis van de Treat-NMD-richtlijnen. Het is nu, in 2019, gewenst om de datacollectie betreffende SMA uit te breiden in lijn met de hernieuwde Treat-NMD dataset en om de toegang naar een bijkomende partij uit te breiden. De aanvraag die in 2019 is ingediend, heeft tevens tot doel om de farmaceutische firma BIOGEN te machtigen om toegang te krijgen tot bepaalde gegevens uit het register met het oog op de evaluatie van het geneesmiddel Spinraza dat ze produceert.

4. Iedere patiënt bij wie een diagnose van een neuromusculaire ziekte is vastgesteld, dient voorafgaandelijk zijn geïnformeerde toestemming te verlenen alvorens zijn persoonsgegevens worden opgenomen in het Belgische Register van Neuromusculaire Aandoeningen. Alvorens de betrokkene zijn toestemming verleent, ontvangt hij informatie over het doel van de registratie, de aard van de gegevens die zullen worden geregistreerd, de wijze van codering van de gegevens, de categorieën van instanties die de gegevens zullen kunnen raadplegen en de mogelijkheid om zijn recht op verzet en rechtzetting uit te oefenen.
5. In de zeven neuromusculaire referentiecentra worden de volgende persoonsgegevens in het kader van het Belgische Register van Neuromusculaire Aandoeningen geregistreerd:
 - de identificatie van de patiënt verloopt aan de hand van het INSZ. De codering verloopt conform de procedure zoals beschreven in beraadslaging nr. 15/009 van 17 februari 2015, laatst gewijzigd op 8 juni 2018, betreffende de generieke methode voor de uitwisseling van gecodeerde persoonsgegevens die de gezondheid betreffen in het kader van Healthdata.be en Healthstat.be;
 - demografische gegevens: geboortedatum, geslacht, arrondissement;
 - gegevens betreffende de aandoening: diagnose volgens de RIZIV-code en volgens een aantal andere internationale classificaties, waaronder “MCleod & Rowland”, ORPHANET, ICD-10, OMIM en SNOMED-CT; datum van de eerste symptomen, datum van de diagnose, definitieve diagnose, bevestiging van de diagnose door genetisch onderzoek;

- andere gegevens: in voorkomend geval, overlijden van de patiënt en datum van het overlijden, datum van de hernieuwing van de conventie (voor zover de patiënt is geconventioneerd);

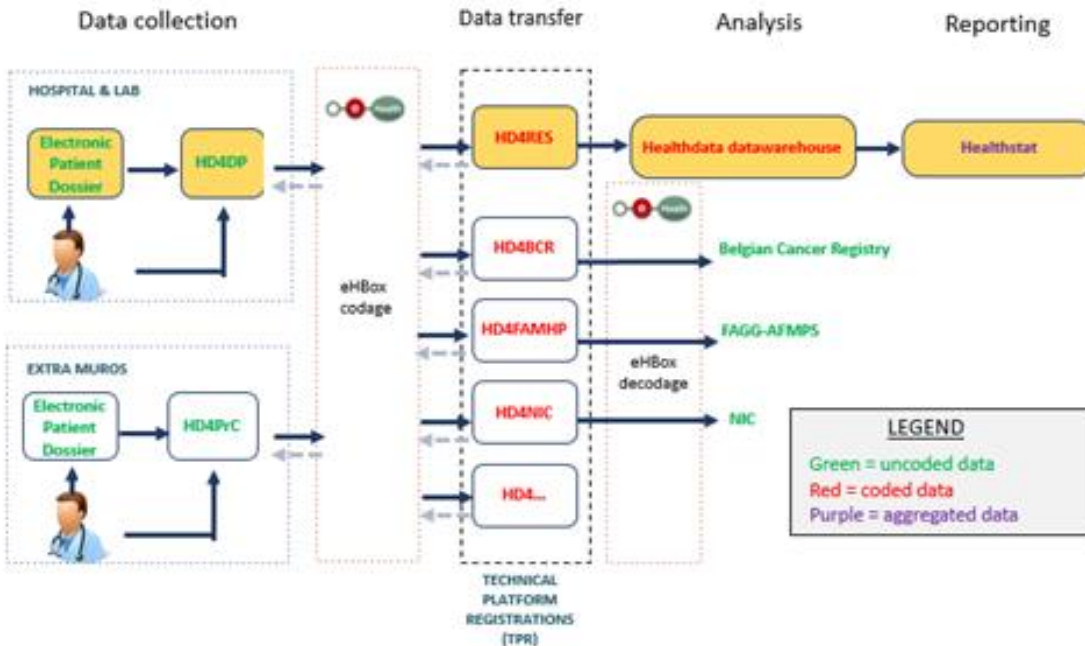
- vragenlijst 'Activlim': de resultaten van een vragenlijst 'Activlim' die de fysieke beperkingen van de patiënt meet; identificatiegegevens betreffende de patiënt worden niet meegedeeld;

- gegevens bestemd voor het Europese register Treat-NMD (enkel voor patiënten met de aandoening Becker, Duchenne en SMA): geboortedatum, arrondissement, geslacht, moleculaire gegevens betreffende de aandoening, diagnose, motorische functies, gebruik steroïden, heelkundige ingreep betreffende scoliosis, voedinginname, hartmedicatie, deelname aan klinische studies, laatste follow-up, respiratoire functies, spierbiopsie, opname in andere registers, voorkomen aandoening in familie;

De volgende informatie zal binnen de SMA-datacollectie toegevoegd worden³: informatie over de opname in het register, de eventuele doodsoorzaak, algemene informatie betreffende scoliose, hospitalisaties en co-morbiditeiten, de huidige behandeling, genetische informatie, klinische observaties, motorische functies (op basis van evaluatieschalen), rolstoelgebruik, voeding, respiratoire opvolging en testing, medicatiegebruik, (serious) adverse events, informatie rond klinische studies, patient reported outcomes (PRO) en elektrofysiologie.

6. De mededeling van de persoonsgegevens door de zeven neuromusculaire referentiecentra verloopt conform de modaliteiten zoals beschreven in beraadslaging nr. 15/009 van 17 februari 2015, laatst gewijzigd op 8 juni 2018, betreffende de generieke methode voor de uitwisseling van gecodeerde persoonsgegevens die de gezondheid betreffen in het kader van Healthdata.be en Healthstat.be. Dit houdt onder meer in dat de persoonsgegevens via de beveiligde brievenbus eHealthBox voor codering worden overgemaakt. De modaliteiten van de codering zijn eveneens conform voormelde beraadslaging.

³ De volledige lijst met SMA-gegevens die in 2019 werden toegevoegd, gaat als bijlage bij deze beraadslaging.



Healthdata.be ontwikkelde de toepassing HD4DP (“healthdata for data providers”) die lokaal geïnstalleerd is bij data providers. De datacollectie voor het register Belgische Register voor Neuromusculaire Aandoeningen (BNMDR) gebeurt via HD4DP, van waaruit de deelnemende ziekenhuizen de gegevens versleuteld via eHBox codage naar HD4RES sturen. Onderweg worden de identificatoren van de patiënt gepseudonimiseerd en de medische gegevens versleuteld.

Wanneer de gegevens veilig en gepseudonimiseerd bij healthdata.be zijn aangekomen, kunnen de betrokken onderzoekers de kwaliteit van de ontsleutelde gegevens controleren met de voor hen ontwikkelde HD4RES-software (“healthdata for researchers”). Indien de onderzoeker twijfelt, kan hij het ziekenhuis om een controle van de informatie vragen. Indien de informatie correct is, kan deze in het datawarehouse opgeslagen worden. De onderzoekers kunnen zelf geen van de ontvangen gegevens wijzigen. Ook zijn de identificatiegegevens van de patiënt steeds gepseudonimiseerd.

Data Management en Research via Datawarehouse: Op basis van de aangeleverde data voeren de onderzoekers hun werkzaamheden uit (onderzoek en opstellen van rapporten die ter beschikking worden gesteld van het publiek en specifieke doelgroepen). Zij krijgen hierbij enkel toegang tot de gegevens van hun toegewezen register. Voor de onderzoekers van de *dienst Gezondheidszorgonderzoek van Sciensano* en de *onderzoekers van Biogen* worden aparte analyseomgevingen opgesteld met elk pseudoniemen die uniek gecodeerd zijn per analyseomgeving en waarin enkel de voor hen gemandateerde variabelen beschikbaar zijn.

Via healthstat.be worden op een geaggregeerd niveau wetenschappelijke rapporten, diagrammen en figuren van het register BNMDR gedeeld met de buitenwereld. Dit gebeurt via een beveiligde webtoepassing.

Wat de identificatie van de patiënten betreft, wordt uitsluitend gebruik gemaakt van het gecodeerd identificatienummer van de sociale zekerheid. De identificatiecodes worden voor ontvangst door Sciensano gecodeerd door het eHealth-platform. Een uniek coderingsalgoritme wordt gebruikt voor alle projecten die op het healthdata-platform worden geoperationaliseerd.

De gegevens op het Healthdata-platform zullen tenslotte met TREAT-NMD gedeeld worden. TREATNMD is een internationale organisatie in het neuromusculaire veld en organiseert een internationaal register betreffende neuromusculaire aandoeningen gebruikmakende van het OpenApp platform. De gepseudonimiseerde persoonsgegevens zullen ter beschikking worden gesteld door de reeds gecodeerde identificatiecode nogmaals te coderen. Per patiënt zal steeds dezelfde code worden gegenereerd opdat longitudinale opvolging in het internationale register mogelijk wordt. Het extract zal via SFTP aan OpenApp/TREAT NMD bezorgd worden.

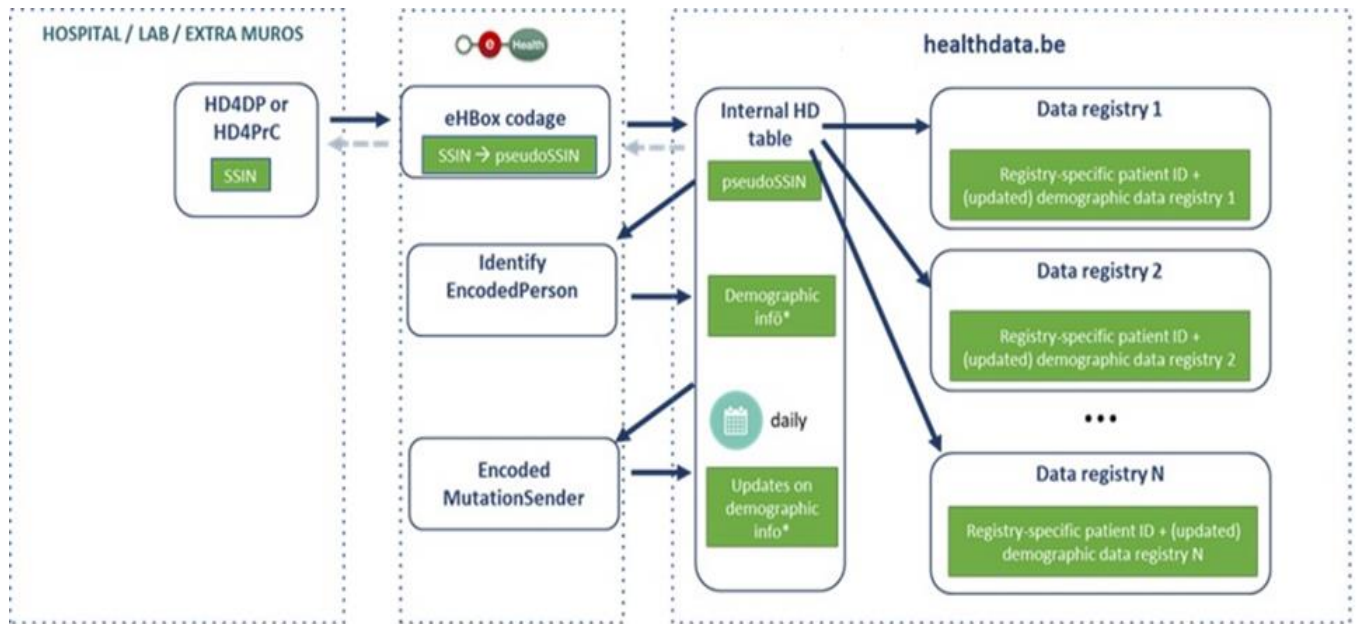
De wijze waarop het Belgische Register voor Neuromusculaire Aandoeningen (BNMDR) gebruik zou maken van data uit het Rijksregister wordt schematisch voorgesteld in de onderstaande figuur en hieronder stapsgewijs beschreven.

Wanneer een registratie voor het register ontvangen wordt voor een gepseudonimiseerd rijksregisternummer (INSZ of SSIN), dan wordt erfge op basis van het gecodeerde INSZ aan de hand van de eHealth webservice IdentifyEncodedPerson het rijksregister aangesproken. Deze webservice levert voor dit gecodeerde INSZ de overeenkomstige demografische gegevens uit het rijksregister. Voor het register BNMDR gaat het over het gegeven geslacht, geboortedatum, sterftedatum en woonplaats.

Het aanroepen van de IdentifyEncodedPerson webservice zorgt ook voor het aanroepen van de ManageInscription web service, die nodig is om in een 2^e fase de updates te verkrijgen.

Demografische gegevens die Healthdata van het Rijksregister ontvangt, worden in een aparte database bijgehouden en gedistribueerd op basis van de machtiging van de datacollectie (in dit geval BNMDR).

Op dagelijkse basis zal healthdata voor alle gekende gecodeerde INSZ binnen het register BNMDR de webservice aanspreken. Deze webservice laat toe om updates te ontvangen over het gegeven sterftedatum of van het rijksregisternummer zelf.



7. Een small cells risk analyse zal door P-95 worden verricht teneinde de bewerkingen te beschrijven waarin moet worden voorzien om de heridentificatie aan de hand van de ter beschikking gestelde set van gepseudonimiseerde persoonsgegevens te voorkomen. Het Healthdata-platform voert daarna de richtlijnen van de small cell risk analyse uit alvorens de gegevens ter beschikking kunnen worden gesteld. P-95 bezorgt de conclusies en richtlijnen van de small cell risk analyse aan de verantwoordelijke arts van het eHealth-platform, het secretariaat van het Informatieveiligheidscomité en de verantwoordelijke arts van het Healthdata-platform. De verantwoordelijke arts van het Healthdata-platform ziet toe op de uitvoering van de richtlijnen van de small cell risk analyses om te verzekeren dat aan de hand van de door het Healthdata-platform aan de onderzoekers ter beschikking gestelde gegevens geen heridentificatie van een betrokken patiënt mogelijk is.
8. Voor het bekomen van de geboortedatum, de overlijdensdatum, het arrondissement en het geslacht, zal het Rijksregister worden geconsulteerd, en in voorkomend geval de registers van de Kruispuntbank van de Sociale Zekerheid, na machtiging van de Minister van Binnenlandse Zaken⁴ en van het Informatieveiligheidscomité tot toegang tot de KSZ-registers.
9. Volgende instanties hebben toegang tot de gepseudonimiseerde, niet-geaggregeerde persoonsgegevens:
 - de medewerkers van de referentiecentra hebben toegang tot alle gegevens die door de medewerkers van hun eigen referentiecentrum zijn ingegeven;
 - de wetenschappelijk medewerkers van Sciensano – Dienst gezondheidsenquête - hebben toegang tot alle gepseudonimiseerde gegevens;

⁴ Krachtens artikel 5 van de wet van 8 augustus 1983 tot regeling van een Rijksregister van de natuurlijke personen, B.S., 21 april 1984, p. 5247.

- de medewerkers van BIOGEN – dienst market access/medical
- (Onderzoekers, datamanager, statisticus) krijgen enkel toegang tot de gepseudonimiseerde gegevens van de patiënten die in het Belgisch SMA-register zijn opgenomen, die niet behandeld worden met een behandeling die de ziekte wijzigt maar die behandeld worden met Spinraza (Nusinersen).

Het Europese register Treat-NMD ontvangt uitsluitend de gegevens vermeld in randnummer 5.6. De gegevens worden meegedeeld zonder het gecodeerde INSZ.

10. Volgende instanties hebben toegang tot rapporten met geaggregeerde gegevens:
 - het Rijksinstituut voor Ziekte- en Invaliditeitsverzekering ontvangt een rapport met uitsluitend geaggregeerde gegevens waarin de centra noch de patiënten kunnen worden geïdentificeerd;
 - De medewerkers van de dienst Geneeskundige Verzorging van het RIZIV;
 - De medewerkers van de werkgroep “artikel 81” van de Commissie Tegemoetkoming Geneesmiddelen van het RIZIV;
 - de medewerkers van de referentiecentra hebben toegang tot de feedbackverslagen waarin de gegevens van hun centrum zullen worden vergeleken met het gemiddelde van de andere centra;
 - er bestaat ook een mogelijkheid om rapporten voor het grote publiek te genereren via Healthstat.be. De beslissing hiertoe zal worden genomen door de verantwoordelijke van het register samen met de begeleidingscommissie van het register.

11. Deze rapporten zullen worden gepubliceerd via een beveiligde en gecontroleerde webtoepassing, healthstat.be. De authenticatie van de gebruikers van healthstat.be zal verlopen via het gebruikers- en toegangsbeheer van het eHealth-platform, behalve voor de rapporten voor het grote publiek die vrij ter beschikking zullen worden gesteld. De rapporten zullen worden gepubliceerd na een small cell risk analyse.

II. ONTVANKELIJKHEID EN BEVOEGDHEID

12. De kamer sociale zekerheid en gezondheid van het Informatieveiligheidscomité is ingevolge artikel 42, § 2, 3°, van de wet van 13 december 2006 *houdende diverse bepalingen betreffende gezondheid*⁵ in beginsel bevoegd voor het verlenen van een principiële machtiging met betrekking tot elke mededeling van persoonsgegevens die de gezondheid betreffen.

13. Het Sectoraal Comité acht zich derhalve bevoegd om zich over de machtigingsaanvraag uit te spreken, doch dient voorbehoud te maken wat betreft het gebruik van het rijksregisternummer en de consultatie van de gegevens van het Rijksregister, wat tot de bevoegdheid van de Minister van Binnenlandse Zaken⁶ behoort. Het Comité heeft geen informatie gekregen met betrekking tot het feit dat er in het verleden een machtiging van het Sectoraal comité van het Rijksregister is verleend.

⁵ Wet van 13 december 2006 houdende diverse bepalingen betreffende gezondheid, B.S. van 22 december 2006, p. 73782

⁶ Artikel 5, wet van 8 augustus 1983 tot regeling van een Rijksregister van de natuurlijke personen, B.S., 21 april 1984, p. 5247.

14. De verwerking van persoonsgegevens die de gezondheid betreffen is in principe verboden, overeenkomstig artikel 9, § 1, van de Verordening (EU) 2016/679 van 27 april 2016 betreffende de bescherming van natuurlijke personen in verband met de verwerking van persoonsgegevens en betreffende het vrije verkeer van die gegevens en tot intrekking van richtlijn 95/46/EG (AVG).
15. Dit verbod is echter niet van toepassing wanneer de betrokkene uitdrukkelijke toestemming heeft gegeven voor de verwerking van die persoonsgegevens voor een of meerdere welbepaalde doeleinden, behalve indien in Unierecht of lidstatelijk recht is bepaald dat het in lid 1 genoemde verbod niet door de betrokkene kan worden opgeheven
16. In het licht van het voorgaande is het Comité van oordeel dat er een toelaatbare grond bestaat voor de beoogde verwerking van de gepseudonimiseerde persoonsgegevens die de gezondheid betreffen.

III. BEHANDELING VAN DE AANVRAAG

A. FINALITEIT

17. Volgens artikel 5 van de AVG moeten de persoonsgegevens op een wijze die ten aanzien van de betrokkene rechtmatig, behoorlijk en transparant is, worden verwerkt. Ze moeten voor welbepaalde, uitdrukkelijk omschreven en gerechtvaardigde doeleinden worden ingezameld en mogen vervolgens niet verder op een met die doeleinden onverenigbare wijze worden verwerkt..
18. Sciensano is een wetenschappelijke instelling van de federale Belgische Staat. Haar hoofdpodracht is wetenschappelijk onderzoek uit te voeren met het oog op het onderbouwen van het gezondheidsbeleid. Het levert eveneens expertise en openbare dienstverlening op het gebied van de volksgezondheid. De voornaamste activiteiten van Sciensano betreffen vooral de volgende domeinen: gezondheid en milieu, voedselconsumptie en –veiligheid, ziekten en gezondheid in kaart brengen, diergezondheid, kwaliteit van de gezondheidszorg, doeltreffendheid en veiligheid van vaccins, geneesmiddelen en gezondheidsproducten en kwaliteit van de medische laboratoria).
19. De verwerking van gepseudonimiseerde gegevens met betrekking tot bepaalde categorieën van patiënten door BIOGEN is gebaseerd op de overeenkomst (KB van 1 februari 2018 *tot vaststelling van de procedures, termijnen en voorwaarden inzake de tegemoetkoming van de verplichte verzekering voor geneeskundige verzorging en uitkeringen in de kosten van farmaceutische specialiteiten*), namelijk gegevens meedelen over de doeltreffendheid en de veiligheid van Spinraza op lange termijn. BIOGEN moet deze gegevens eveneens verwerken in het kader van de overeenkomst die werd afgesloten met het Europees Geneesmiddelenagentschap (EGA) waarbij bijkomende gegevens worden meegedeeld over de doeltreffendheid en de veiligheid van het gebruik van Spinraza via een “register van de aandoeningen” (vergelijking met het natuurlijke verloop van de ziekte) om een opvolging op langere termijn te kunnen garanderen.

20. Gelet op de doelstellingen van de verwerking zoals het wetenschappelijk onderzoek in het kader van neuromusculaire ziekten en de verbetering van de kwaliteit van de zorgverlening, oordeelt het Comité dat de beoogde verwerking van de persoonsgegevens wel degelijk welbepaalde, uitdrukkelijk omschreven en gerechtvaardigde doeleinden nastreeft.

B. MINIMALE GEGEVENSVERWERKING

21. Volgens artikel 5 van de AVG moeten de persoonsgegevens toereikend, ter zake dienend en beperkt zijn tot wat noodzakelijk is voor de doeleinden waarvoor zij worden verwerkt.
22. De aanvrager motiveert de mededeling van de gegevens als volgt:
- identificatienummer: het gaat om een register van zeldzame aandoeningen. Een patiënt mag niet twee of meerdere malen in het register voorkomen. Een patiënt moet in de tijd kunnen worden opgevolgd, ook als hij/zij van behandelingscentrum verandert;
 - de geboortedatum: de datum wordt in detail opgevraagd. Het is op het moment van de mededeling van de informatie dat de analyse zal worden uitgevoerd om te bepalen welk niveau (dag, maand, jaar) proportioneel is, rekening houdend met het doel van de analyse en het doelpubliek. Dit maakt eventueel later gebruik mogelijk, indien hiervoor de nodige machtiging wordt bekomen.
 - geslacht: noodzakelijk demografisch gegeven;
 - arrondissement: het RIZIV wenst de evolutie te kennen van de toegankelijkheid van de zorg voor deze patiënten. Momenteel worden niet alle patiënten van over het hele land bereikt. Men wenst de evolutie van de dekking van de zorg aan neuromusculaire patiënten op te volgen;
 - overlijden en datum overlijden: voor de epidemiologische evaluatie van de neuromusculaire aandoeningen: voor het bekomen en opvolgen van de gemiddelde levensduur per type neuromusculaire aandoening;
 - stadium van de ziekte: voor de epidemiologische evaluatie van de neuromusculaire aandoeningen: om de evolutie van de stadia op te volgen, de snelheid te evalueren waarmee men achteruitgaat per type NM-aandoening;
 - diagnose volgens RIZIV-classificatie: voor de epidemiologische evaluatie van de neuromusculaire aandoeningen. Om een onderscheid te maken tussen de verschillende types neuromusculaire aandoeningen;
 - diagnose volgens classificatie McLeod & Rowland: voor de epidemiologische evaluatie van de neuromusculaire aandoeningen. Ook om een onderscheid te maken tussen de verschillende types neuromusculaire aandoeningen. De RIZIV-classificatie is een vrij rudimentaire classificatie die ook eerder vanuit een administratief oogpunt werd opgesteld (beheer van de conventie). De classificatie van McLeod & Rowland laat ons toe meer nuance te leggen in de verschillende types NM-aandoeningen;
 - diagnose volgens classificatie ORPHANET, ICD-10 OMIM en SNOMED-CT: deze codes zijn erkend op internationaal niveau hetgeen zal toelaten om de gegevens van het register te vergelijken en om de exhaustiviteit van het register te bevestigen;
 - jaar van het optreden van de eerste symptomen: voor de epidemiologische evaluatie van de neuromusculaire aandoeningen. Om het ziekteverloop van de verschillende NM-aandoeningen te kunnen evalueren;
 - het feit of er reeds een definitieve diagnose werd gesteld en datum daarvan: voor de epidemiologische evaluatie van de neuromusculaire aandoeningen. Het duurt soms veel te

lang vooraleer een patiënt zijn definitieve diagnose gesteld krijgt. De evolutie van de tijd nodig voor het stellen van de diagnose is een belangrijke kwaliteitsparameter;

- bevestiging van de diagnose door genetisch onderzoek: tegenwoordig worden talrijke genetische testen aangeboden die de diagnose voorgesteld door de neuroloog bevestigen. De toevoeging van deze vraag verbetert de kwaliteit van de verzamelde gegevens;
- graad van activiteitsbeperkingen bepaald door het ACTIVLIM-systeem: voor de epidemiologische evaluatie van de neuromusculaire aandoeningen. De evolutie van de mate waarin de patiënt nog zelfstandig activiteiten kan uitvoeren wordt geëvalueerd en opgevolgd in de tijd;
- gegevens bestemd voor Treat-NMD: om de haalbaarheid van klinische trials in bepaalde patiëntgroepen in te schatten, het organiseren ervan te vergemakkelijken en om een internationaal register te vereenvoudigen;
- gegevens bestemd voor de SMA-datacollectie⁷ (het betreft een set van specifieke gegevens voor die patiëntengroep) : opvolging van patiënten met SMA in het kader van de gekozen behandeling en andere klinische studies op motorisch, respiratoir en neurologisch vlak. Opvolging van de adverse events en concomitante medicatie omdat dit ook een duidelijk beeld geeft van de algemene gezondheidstoestand van de patiënt. Opvolging van de uitkomsten van beloftevolle nieuwe behandelingen voor SMA, zoals bijvoorbeeld Spinraza en andere moleculen in de pijplijn.

23. Het Sectoraal Comité is van oordeel dat gelet op de opgegeven motivering, de voormelde gegevens (behoudens de gegevens bestemd voor Treat-NMD) als toereikend, ter zake dienend en niet overmatig kunnen worden beschouwd, uitgaande van de doeleinden waarvoor zij worden verkregen.
24. Wat betreft de gegevens die worden geregistreerd teneinde ze mee te delen aan het Europees project Treat-NMD, is het Sectoraal Comité evenwel van mening dat het meedelen van de dag en maand van de geboorte niet proportioneel is ten aanzien van het doeleinde van Treat-NMD, namelijk het inschatten van de haalbaarheid van klinische studies, het vereenvoudigen van de planning van geschikte klinische trials en het ondersteunen van patiëntenwerving voor klinische trials. Het meedelen van de maand en het jaar van geboorte voor kinderen tot 18 jaar en van het jaar van geboorte voor personen vanaf 18 jaar zou gelet op de vermelde doeleinden dienen te volstaan.
25. Wat de verwerking van de specifieke gegevens van de met Spinraza behandelde patiënten door BIOGEN betreft, werd de rechtvaardiging van de gevraagde gegevens als bijlage bijgevoegd.
26. Het Comité stelt vast dat de volledige geboortedatum van de patiënt in het Belgisch register AMS wordt geregistreerd maar dat enkel de maand en het jaar van de geboorte zichtbaar zullen zijn voor analyse door BIOGEN. Aangezien het register gegevens kan bevatten van zeer jonge patiënten, zal het mogelijk zijn om de leeftijd in weken mee te delen.

⁷ De volledige lijst van de gegevens die door de referentiecentra worden meegedeeld, gaat als bijlage. Het Comité herinnert eraan dat deze lijst deel uitmaakt van deze beraadslaging. Deze lijst mag niet worden gewijzigd zonder het akkoord van het Comité.

27. Krachtens artikel 197 van de wet van 30 juli 2018 *betreffende de bescherming van natuurlijke personen met betrekking tot de verwerking van persoonsgegevens*, gebruikt de verantwoordelijke voor de verwerking gepseudonimiseerde gegevens indien het niet mogelijk is om met een verwerking van anonieme gegevens het onderzoeksdoel of statistische doel te bereiken.
28. Gelet op de noodzaak om persoonsgegevens van patiënten die worden behandeld in verschillende ziekenhuizen te kunnen linken aan dezelfde patiënt, evenals de noodzaak om in een beperkt aantal gevallen de identiteit van de patiënt, met tussenkomst van een vertrouwensderde, te kunnen achterhalen, is het Sectoraal Comité van de Sociale Zekerheid en van de Gezondheid van oordeel dat voor dit onderzoek geen gebruik kan worden gemaakt van louter anonieme gegevens. Het gebruik van gepseudonimiseerde persoonsgegevens, in het kader van Healthdata.be, lijkt aldus gerechtvaardigd.
29. De resultaten van de verwerking voor historische, statistische of wetenschappelijke doeleinden niet mogen worden bekendgemaakt in een vorm die de identificatie van de betrokken persoon mogelijk maakt tenzij deze laatste daartoe zijn toestemming heeft gegeven en de persoonlijke levenssfeer van derden niet wordt geschonden, of de bekendmaking van niet-gepseudonimiseerde persoonsgegevens beperkt blijft tot gegevens die kennelijk door betrokkene zelf publiek zijn gemaakt of die in nauw verband staan met het publiek karakter van betrokkene of van de feiten waarbij deze laatste betrokken is of is geweest. Sciensano is bijgevolg gehouden in de eindrapporten van zijn wetenschappelijke studies of in de rapportering aan het RIZIV alle mogelijke gegevens die tot de identificatie van de betrokkenen zouden kunnen leiden, te verwijderen.
30. Volgens artikel 5, § 1, e) van de AVG moeten persoonsgegevens worden bewaard in een vorm die het mogelijk maakt de betrokkenen niet langer te identificeren dan voor de doeleinden waarvoor de persoonsgegevens worden verwerkt noodzakelijk is; persoonsgegevens mogen voor langere perioden worden opgeslagen voor zover de persoonsgegevens louter met het oog op archivering in het algemeen belang, wetenschappelijk of historisch onderzoek of statistische doeleinden worden verwerkt overeenkomstig artikel 89, § 1, mits de bij deze verordening vereiste passende technische en organisatorische maatregelen worden getroffen om de rechten en vrijheden van de betrokkene te beschermen (opslagbeperking).
31. Het Comité is van oordeel dat de gegevens in gepseudonimiseerde vorm in het Register mogen worden bewaard tot 30 jaar na het overlijden van de betrokken patiënt. Na deze termijn mogen de gegevens slechts op geanonimiseerde wijze worden bewaard, dit wil zeggen zodanig dat de gegevens niet met een geïdentificeerd of identificeerbaar persoon in verband kunnen worden gebracht.
32. Het Comité is de mening toegedaan dat de toegang van BIOGEN tot gepseudonimiseerde gegevens van het register beperkt moet worden tot de duur die noodzakelijk is voor het uitvoeren van zijn verplichtingen inzake evaluatie van Spinarza die voortvloeien uit de overeenkomsten die respectievelijk met het RIZIV en het Europees Agentschap voor de geneesmiddelen werden afgesloten.

D. TRANSPARANTIE

33. De AVG voorziet in een verplichting tot informatie van de betrokken personen wanneer de persoonsgegevens al dan niet bij de betrokkene werden ingezameld.
34. De neuromusculaire referentiecentra zijn belast met het inwinnen van de geïnformeerde toestemming van de patiënten en met het inlichten van die patiënten. Het is voorzien om aan alle patiënten de hernieuwing van hun toestemming te vragen voor hun deelname aan dit nieuwe register. De patiënten zullen worden geïnformeerd en krijgen de mogelijkheid om hun toestemming al dan niet te hernieuwen tijdens hun afspraak met de behandelende arts in het neuromusculair referentiecentrum.
35. Het Comité stelt vast dat de aanvrager het formulier heeft aangepast aan de vereisten van de AVG.

E. VEILIGHEIDSMATREGELEN

36. Volgens artikel 5, § 1, f) van de AVG moeten persoonsgegevens, door het nemen van passende technische of organisatorische maatregelen, op een dusdanige manier worden verwerkt dat een passende beveiliging ervan gewaarborgd is, en dat zij onder meer beschermd zijn tegen ongeoorloofde of onrechtmatige verwerking en tegen onopzettelijk verlies, vernietiging of beschadiging (integriteit en vertrouwelijkheid).
37. Overeenkomstig de AVG moet de aanvrager alle gepaste technische en organisatorische maatregelen treffen die nodig zijn voor de bescherming van de persoonsgegevens. Deze maatregelen moeten een passend beveiligingsniveau verzekeren rekening houdend enerzijds met de stand van de techniek terzake en de kosten voor het toepassen van de maatregelen en anderzijds met de aard van de te beveiligen gegevens en de potentiële risico's.
38. Om de vertrouwelijkheid en de veiligheid van de gegevensverwerking te garanderen, moet iedere instelling die persoonsgegevens bewaart, verwerkt of meedeelt maatregelen nemen in de volgende elf actiedomeinen die betrekking hebben op de informatieveiligheid: veiligheidsbeleid; aanstelling van een functionaris voor gegevensbescherming; organisatorische en menselijke aspecten van de veiligheid (vertrouwelijkheidsverbintenis van het personeel, regelmatige informatieverstrekking en opleidingen ten behoeve van het personeel inzake bescherming van de privacy en veiligheidsregels); fysieke veiligheid en veiligheid van de omgeving; netwerkbeveiliging; logische toegangs- en netwerkbeveiliging; loggings, opsporing en analyse van de toegangen; toezicht, nazicht en onderhoud; systeem van beheer van de veiligheidsincidenten en de continuïteit (backup-systemen, fault tolerance-systemen, ...); documentatie⁸.
39. Het Comité stelt vast dat de identiteit van de functionarissen voor gegevensbescherming van Sciensano en BIOGEN hem werden meegedeeld.

⁸ “Referentiemaatregelen voor de beveiliging van elke verwerking van persoonsgegevens”, document opgesteld door de Commissie voor de Bescherming van de Persoonlijke Levenssfeer.

40. De inzameling, de verwerking en de ter beschikking stelling van de gepseudonimiseerde persoonsgegevens verlopen conform de modaliteiten zoals bepaald bij beraadslaging nr. 15/009 van 17 februari 2015, laatst gewijzigd op 5 juni 2018, betreffende de generieke methode voor de uitwisseling van gecodeerde persoonsgegevens die de gezondheid betreffen in het kader van Healthdata.be en Healthstat.be.
41. Het Comité benadrukt dat krachtens artikel 111, 1^{ste} lid, van de wet van 3 december 2017 *tot oprichting van de Gegevensbeschermingsautoriteit* de machtigingen verleend door de sectorale comités van de Commissie voor de bescherming van de persoonlijke levenssfeer vóór de inwerkingtreding van deze wet rechtsgeldigheid behouden, onverminderd de controlebevoegdheden van de Gegevensbeschermingsautoriteit. De modaliteiten van beraadslaging nr. 15/009 van 17 februari 2015, laatst gewijzigd op 5 juni 2018, betreffende de generieke methode voor de uitwisseling van al dan niet gecodeerde persoonsgegevens die de gezondheid betreffen in het kader van healthdata.be en healthstat.be blijven dus van toepassing.
42. Sciensano en BIOGEN moeten zich ertoe te verbinden alle mogelijke middelen in te zetten om te vermijden dat de identiteit van de personen op wie de meegedeelde gepseudonimiseerde persoonsgegevens betrekking hebben, zou worden achterhaald. In elk geval is het verboden om handelingen te stellen die ertoe strekken de meegedeelde gepseudonimiseerde persoonsgegevens om te zetten in niet-gepseudonimiseerde persoonsgegevens.
43. Het Comité herinnert eraan dat krachtens artikel 9 van de wet van 30 juli 2018 *betreffende de bescherming van natuurlijke personen met betrekking tot de verwerking van persoonsgegevens* de verwerkingsverantwoordelijke de volgende bijkomende maatregelen neemt bij de verwerking van genetische, biometrische of gezondheidsgegevens:
- 1° hij of, in voorkomend geval, de verwerker wijst de categorieën van personen die toegang hebben tot de persoonsgegevens aan waarbij hun hoedanigheid ten opzichte van de verwerking van de betrokken gegevens nauwkeurig wordt omschreven;
- 2° hij of, in voorkomend geval, de verwerker houdt de lijst van de aldus aangewezen categorieën van personen ter beschikking van de bevoegde toezichthoudende autoriteit;
- 3° hij zorgt ervoor dat de aangewezen personen door een wettelijke of statutaire verplichting, of door een evenwaardige contractuele bepaling ertoe gehouden zijn het vertrouwelijk karakter van de betrokken gegevens in acht te nemen.
44. Het Comité acht het noodzakelijk eraan te herinneren dat Sciensano, het healthdata-platform en BIOGEN sedert 25 mei 2018 de bepalingen en de principes moeten naleven van Verordening (EU) nr. 2016/679 van het Europees Parlement en de Raad van 27 april 2016 betreffende de bescherming van natuurlijke personen in verband met de verwerking van persoonsgegevens en betreffende het vrije verkeer van die gegevens en tot intrekking van Richtlijn 95/46/EG (algemene verordening gegevensbescherming). Deze instanties moeten tevens de bepalingen naleven van de wet van 30 juli 2018 *betreffende de*

bescherming van natuurlijke personen met betrekking tot de verwerking van persoonsgegevens.

Om deze redenen,

de kamer sociale zekerheid en gezondheid van het informatieveiligheidscomité,

onder voorbehoud van de machtiging van de Minister van Binnenlandse Zaken voor wat de toegang tot het Rijksregister betreft en de machtiging van het Informatieveiligheidscomité voor wat de toegang tot de gegevens van de registers van de Kruispuntbank van de sociale zekerheid betreft,

rekening houdend met de beraadslaging nr. 15/009 van 17 februari 2015, laatst gewijzigd op 5 juni 2018, betreffende de generieke methode voor de uitwisseling van gecodeerde persoonsgegevens die de gezondheid betreffen in het kader van het Healthdata.be en Healthstat.be,

besluit dat de mededeling van de persoonsgegevens zoals beschreven in deze beraadslaging toegestaan is mits wordt voldaan aan de vastgestelde maatregelen ter waarborging van de gegevensbescherming, in het bijzonder de maatregelen op het vlak van doelbinding, minimale gegevensverwerking, opslagbeperking en informatieveiligheid.

Het comité wijst er op dat iedere mededeling aan een derde die niet uitdrukkelijk in de voorliggende beraadslaging wordt gemachtigd (een wetenschappelijk onderzoeker of een andere categorie van ontvanger) de voorafgaandelijke machtiging van het Comité vereist.

Bart VIAENE

| |
|--|
| De zetel van de kamer sociale zekerheid en gezondheid van het informatieveiligheidscomité is gevestigd in de kantoren van de Kruispuntbank van de Sociale Zekerheid, op volgend adres: Willebroekkaai 38 - 1000 Brussel (tel. 32-2-741 83 11). |
|--|

Annexe
Lijst van variabelen die toegevoegd worden in het luik TREATNMD

ENROLMENT

Date of enrolment
Date of consent (if different from date of enrolment)
Date of any re-consents
Local registry ID

DEMOGRAPHICS

Date of birth
Sex
Zip/post code

LIVING STATUS

Is the patient alive?
Date of death
Cause of death

GENETIC DIAGNOSIS

Has the patient had genetic confirmation of SMA?
Was it through screening?
Name/location of genetic testing centre
Date of genetic diagnosis
Mutation name in SMN1 gene
Method of SMN1 testing
Was SMN2 copy number tested?
Method of SMN2 testing
SMN2 copy number

CLINICAL OBSERVATIONS

Age of symptom onset (At what age was it suspected that something might be different?)
Spinal Muscular Atrophy type
Height/length (cm)
Method of height measurement
Weight (kg)
Head circumference (for infants <24 months old) (cm)
Chest circumference at full expiration (for infants <24 months old) (cm)
Chest circumference at full inspiration (for infants <24 months old) (cm)
Does the patient suffer from shoulder contractures?
Does the patient suffer from elbow contractures?
Does the patient suffer from wrist contractures?
Does the patient suffer from finger contractures?
Does the patient suffer from hip contractures?
Does the patient suffer from knee contractures?
Does the patient suffer from ankle contractures?
Name of the neuromuscular specialist or main doctor in charge of your care

SCOLIOSIS

Has the patient been diagnosed with scoliosis?
Cobb angle according to radiology results (degrees)

Has the patient had surgery for the scoliosis?
Surgery technique
Date of first surgery

MOTOR FUNCTION

Holding head up without support
Rolling onto side
Sitting without support
Crawling on hands and knees
Standing with assistance
Standing alone (without assistance)
Walking with assistance
Walking alone (without assistance)
Able to walk 10 metres unaided
Climbing stairs
Useful function of hands
Reaching overhead in a sitting position
Raising hands to mouth in a sitting position

WHEELCHAIR USE

Does the patient use a wheelchair? (For patients ≥ 2 years old)

NUTRITION

Has the patient ever used a gastric or nasal feeding tube? (Select all that apply)

PULMONARY FUNCTION

Has the patient ever used invasive ventilation?
Frequency of invasive ventilation
Invasive ventilation start date
Has the patient ever used non-invasive ventilation?
Frequency of non-invasive ventilation
Non-invasive ventilation start date
Does the patient need assistance in airway clearance and/or secretion mobilisation?
Type of assistance (select all that apply)
Has the patient had a Forced Vital Capacity (FVC) test?
Date of most recent FVC test, if known
FVC in ml
FVC predicted %

THERAPIES AND MEDICATIONS

Has the patient ever received a disease-modifying therapy for SMA?
Are you receiving Spinraza?
Start date
Stop date if not ongoing
Reason for stopping
Dosage given
Frequency of dosage
Route of administration
Is the patient following the current recommended dosing schedule?
Reason for not following dosing schedule
Has the patient taken any prescribed allopathic drugs in the last 12 months (baseline) / since the last registry update (follow-up)?
Name of drug

HOSPITALISATIONS AND COMORBIDITIES

Has the patient been hospitalised in the last 12 months (baseline) / since the last registry update (follow-up)?

Type of initial hospitalisation

Admission date

Number of days in hospital

For each acute hospitalisation: reason for hospitalisation

For each planned hospitalisation: reason for hospitalisation

For each acute hospitalisation: was this also reported as an SAE?

Was the SAE linked to a medication?

In relation to which medication?

In addition to the hospitalisations already reported, has the patient been diagnosed with any other co-morbidities in the last 12 months (baseline) / since the last registry update (follow-up)?

Comorbidity details

For each comorbidity: comorbidity start date

For each comorbidity: comorbidity end date if not ongoing

For each comorbidity: comorbidity also reported as SAE?

In relation to which medication?

CLINICAL RESEARCH

Has the patient ever participated in a clinical trial?

Name of trial(s)

Name of drug

Name of registry or natural history study

MOTOR MEASURES

Was a validated motor measure taken for this patient at this visit?

Give reason

Infantile onset SMA

CHOP-INTEND score

CHOP-INTEND date

HFMS score

HFMS date

HFMS-E score

HFMS-E date

HINE Section 2 score

HINE Section 2 date

Observed WHO score

Observed WHO date

Later onset SMA

HFMS-E score

HFMS-E date

RULM score

RULM date

Brooke score

Brooke date

Revised Brooke score

Revised Brooke date

MFM score

MFM date

6MWT score

6MWT date

10MWT score

10MWT date

TUG score

TUG date
EK2 score
EK2 date
Observed WHO score
Observed WHO date
CHOP-ATEND score
CHOP-ATEND date

PATIENT-REPORTED OUTCOMES (PRO)

CGI-S (Clinical Global Impression of Severity) - Baseline only
Date of Clinician CGI-S score given in 15.00
Total Global Impression (TGI) according to clinician - follow-up only
Date of Clinician TGI score given in 15.04
ACTIVLIM score
ACTIVLIM date

ELECTROPHYSIOLOGY AND BIOMARKERS

Has the patient had a CMAP (Compound Muscle Action Potential) scan?
Has the patient had a DEXA (Dual Energy X-ray Absorptiometry) scan?
Has the patient had any muscle imaging undertaken?

Annexe 2

Motivatie per categorie van variabelen die toegevoegd worden in het luik TREATNMD

Motivatie in kader van de data collectie naar aanleiding van van de conventie betreffende neuromusculaire ziekten tussen het RIZIV en de erkende neuromusculaire centra door Sciensano

- *Enrolment: Basisgegevens die nodig zijn om de longitudinale opvolging van patiënten te kunnen garanderen.*
- *Demografie: Demografie heeft een belangrijke epidemiologische waarde die van belang is voor het BNMDR. Ook bij deze subset van patiënten blijft dit een belangrijke parameter. De exacte geboortedatum⁹ is van belang zeker voor de zeer jonge patiënten die een slechte prognose hebben, zodat duidelijk de motorische evolutie op een correcte manier kan opgevolgd worden. Dit ook in het kader om een onderscheid te kunnen maken in prognose tussen het natuurlijke verloop van de ziekte en de nieuwe behandelingsmogelijkheden. Sterftedatum is van belang om de levensverwachting correct te kunnen opvolgen. Woonplaats: deze parameter heeft een belangrijke epidemiologische waarde wat het voornaamste doel is van de BNMDR collectie. Om een continuïteit te kunnen garanderen met het bestaande BNMDR en de extra collectie voor het SMA register is het belangrijk deze parameter te collecteren. Geslacht: wetenschappelijke waarde om een onderscheid te kunnen maken in de evolutie van de ziekte tussen beide geslachten.*
- *Genetica: Genetische informatie speelt een belangrijke rol bij SMA om de correlatie te kunnen leggen tussen genotype en fenotype, voor de keuze van behandeling en rekrutering van patiënten voor klinische studies.*
- *Klinische observaties: Door de zeer grote variabiliteit aan symptomen binnen patiënten met SMA is een klinische beschrijving van de patiënt een belangrijke parameter om de toestand van de patiënt te kunnen beoordelen.*
- *Scoliose status: Veel patiënten met SMA krijgen te maken met scoliose. Door deze data te verzamelen en te combineren met andere klinische gegevens, geeft dit een goed beeld over de ernst van de aandoening.*
- *Motorische functies: Bij de dataset motorische functies wordt een objectief beeld geschetst van de huidige motorische toestand van de patiënt. Op deze manier kan eventueel therapeutisch voordeel en natuurlijke achteruitgang opgevolgd worden in de tijd.*
- *Stadium ambulantie: Het stadium van ambulantie is een belangrijke parameter voor de motorische toestand van de patiënt. De leeftijd waarop een patiënt ambulantie verlies is een belangrijke mijlpaal in het verloop van de ziekte.*
- *Living status: de parameter of een patiënt nog steeds in leven is is van cruciaal belang voor de datacollectie. Zeker omdat een grote subgroep van patiënten zonder behandeling een zeer slechte prognose heeft. Door deze status te verifiëren kan ook de link gelegd worden tussen AEs, SAEs en mogelijke fatale uitkomsten.*
- *Voeding: De opvolging van de voeding (oraal, nasogastrische sonde, PEG sonde) is een belangrijke parameter voor de algemene gezondheidstoestand van de SMA patiënt.*
- *Pneumologische opvolging: Veel patiënten met SMA krijgen te maken met pneumologische complicaties. Door deze data te verzamelen en te combineren met andere klinische gegevens, geeft dit een goed beeld over de ernst van de aandoening.*
- *Huidige therapieën en medicaties: Recent zijn er verschillende therapeutische mogelijkheden ter behandeling van SMA ontwikkeld. Om de patiënten longitudinaal te kunnen opvolgen en de evoluties wetenschappelijk te kunnen benaderen is een indicatie van de huidige therapie per patiënt noodzakelijk.*
- *Hospitalisaties en comorbiditeiten: . Naast motorische evaluatie kan ook de frequentie en ernst van bijwerkingen (al dan niet therapie gerelateerd) en de evolutie hiervan een indicatie geven over de algemene gezondheidstoestand van de patiënt.*
- *Klinische studies: In deze categorie wordt aangegeven of de therapie reeds tot reguliere zorg behoort of deze zich nog steeds in de ontwikkelingsfase bevindt.*
- *Motorische schalen: Aan de hand van verschillende internationale motorische schalen wordt de motorische functie van de patiënt (en de evolutie ervan) gekwantificeerd.*
- *PRO's: In dit register zullen beperkt patiënt related outcomes geïmplementeerd worden, voornamelijk de clinical global impression, de evaluatie van de behandelende arts of de patiënt al dan niet achteruitgaat, stabiel blijft of vooruitgang boekt over de periode van 1 jaar.*
- *Elektrofysiologie: Elektrofysiologie wordt vaak gebruikt bij patiënten met SMA om de functie van de motorneuronen op te volgen.*

⁹ Om privacyredenen zal het slechts mogelijk zijn om maand en jaar te zien van de geboortedatum van de patiënt. Aangezien het in dit register om zeer jonge patiënten gaat en dit een zeer belangrijke parameters is, zal er ook de mogelijkheid bestaan om een leeftijd in weken weer te geven.

Bij alle parameters werd een zorgvuldige afweging gemaakt om de wetenschappelijke en epidemiologisch waarde te beoordelen. Het is vanuit wetenschappelijk standpunt gezien van groot belang om een uitgebreide longitudinale follow up van de patiënten met SMA te collecteren en om te bekijken of eventuele behandelingen een positieve impact op de levenskwaliteit/ziekte hebben.

Motivatie in kader van het onderzoek door Biogen naar aanleiding van de conventie met het RIZIV

- *'Enrolment': Deze basisgegevens zijn noodzakelijk om de longitudinale opvolging van patiënten te kunnen garanderen.*
- *'Demographics': Demografische gegevens zijn van belang voor de basiskarakterisering van de patiënt.*
- *'Date of birth': De geboortedatum¹⁰ geeft informatie over de leeftijd van de patiënt. Dit is essentieel om te kunnen antwoorden op de vragen gesteld in het kader van de artikel 112 conventie: (i) Wat was binnen de behandelde populatie de leeftijd op het moment van de eerste symptomen; (ii) Wat was binnen de behandelde populatie de ziekteduur bij aanvang van de behandeling; (iii) Wat is de effectiviteit en veiligheid van Spinraza in de klinische praktijk, o.a. in subpopulaties waar tot op heden geen meerwaarde werd aangetoond.
Om relevante analyses te kunnen uitvoeren die een antwoord bieden op bovenstaande vragen, dient een opdeling van de patiëntenpopulatie gemaakt te worden op basis van leeftijd.*
- *'Living status': Deze gegevens zijn nodig om te kunnen antwoorden op volgende vraag in het kader van de artikel 112 conventie: wat is de effectiviteit en veiligheid van Spinraza in de klinische praktijk (real life data) met onder meer mortaliteit.*
- *'Sex': Deze parameter heeft een wetenschappelijke waarde, namelijk het maken van een onderscheid in het verloop van de ziekte tussen beide geslachten, zowel in de met Spinraza behandelde populatie als de niet-behandelende populatie (natural history).*
- *'Genetica': Genetische informatie, inclusief het aantal SMN2 kopieën, is gecorreleerd met de ernst van de aandoening en relevant voor het opvolgen van de werkzaamheid van behandelingen. Daarenboven wordt in het kader van de artikel 112 conventie de vraag gesteld wat binnen de behandelde populatie de verdeling is tussen de patiënten met vermoeden SMA I, II, III / presymptomatisch, inclusief het aantal SMN2 kopieën.*
- *'Scoliosis': Data betreffende scoliose zijn gecorreleerd met de ernst van de aandoening en zijn relevant voor de toedieningswijze van nusinersen (Spinraza). Voor de onderverdeling van met Spinraza behandelde patiënten in subpopulaties en de analyse van werkzaamheid en veiligheid van het geneesmiddel in bepaalde subpopulaties, is 'scoliose' een relevante parameter.*
- *'Clinical Research': Belangrijke parameter voor de karakterisering van de patiënt aangezien uitsluitend patiënten die niet geïnccludeerd zijn in een clinical research programma opgevolgd kunnen worden in het kader van real life data collectie.*
- *'Clinical observations': In het kader van de artikel 112 conventie wordt de vraag gesteld wat binnen de behandelde populatie de verdeling is tussen de patiënten met vermoeden SMA I, II, III / presymptomatisch. Deze vraag kan beantwoord worden met informatie die vermeld wordt in de rubriek 'clinical observations'.*

Volgende parameters zijn essentieel om inzichten te verschaffen over de werkzaamheid van nusinersen (Spinraza) in de klinische praktijk (real life data) en op langere termijn met onder meer performantie op de score-schalen en nood aan ventilatie, zoals gevraagd in het kader van de artikel 112 conventie. Deze parameters zijn noodzakelijk voor het opvolgen van de respons op behandeling of progressie van de ziekte, en leveren dus essentiële informatie over de werkzaamheid van Spinraza:

- *'Motor function (inc. ambulation/wheelchair use) and 'motor measures'*
- *'Nutrition'*
- *'Pulmonary function'*
- *'Patient-reported outcomes'*
- *'Electrophysiology and biomarkers'*

Volgende parameters zijn essentieel om inzichten te verschaffen over de veiligheid van nusinersen (Spinraza) in de klinische praktijk (real life data) en op langere termijn, zoals gevraagd in het kader van de artikel 112 conventie:

- *'Therapies and medication'*

¹⁰ Om privacyredenen zal het slechts mogelijk zijn om maand en jaar te zien van de geboortedatum van de patiënt. Aangezien het in dit register om zeer jonge patiënten gaat en dit een zeer belangrijke parameters is, zal er ook de mogelijkheid bestaan om een leeftijd in weken weer te geven.

- *'Hospitalisations and comorbidities'*

De longitudinale opvolging van bovengenoemde parameters maakt het mogelijk om de verplichtingen voor het geneesmiddel Spinraza te vervullen, die gesteld werden in het kader van:

- *de artikel 112 overeenkomst (KB van 1 februari 2018), namelijk het verschaffen van gegevens over de werkzaamheid en de veiligheid van Spinraza in de klinische praktijk en op langere termijn (o.a. in subpopulaties waarvoor tot op heden geen meerwaarde werd aangetoond).*
- *de overeenkomst met het Europees Geneesmiddelenagentschap (EMA) om bijkomende werkzaamheids- en veiligheidsdata aan te leveren voor Spinraza via een 'disease registry' (vergelijking met natural history van de ziekte) om een follow-up op langere termijn te verzekeren.*