

<p>Informatieveiligheidscomité Kamer sociale zekerheid en gezondheid</p>
--

IVC/KSZG/23/066

BERAADSLAGING NR. 10/062 VAN 20 JULI 2010, LAATST GEWIJZIGD OP 7 FEBRUARI 2023, 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 7 februari 2023 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. De laatste jaren zijn door de opkomst van nieuwe therapieën voor neuromusculaire ziekten nieuwe doelstellingen voor het register ontstaan:
 - advies uitbrengen ten behoeve van de officiële gezondheidsinstanties in België
 - aan Europese en internationale projecten en registers deelnemen (in het bijzonder, zie punt 3)
 - de procedures ondersteunen voor het op de markt brengen van nieuwe behandelingen en de terugbetaling ervan ten behoeve van patiënten met neuromusculaire ziekten door

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.

rapporten met geaggregeerde gegevens over te maken aan farmaceutische bedrijven of gezondheidsinstanties;
- de doeltreffendheid en de veiligheid van nieuwe behandelingen opvolgen

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 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. In 2019, was het wenselijk 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, had 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. In 2020 heeft Treat-NMD de gegevens bijgewerkt die voor de SMA-patiënten moeten worden ingezameld. De bedoeling van deze aanvraag is dus het bijwerken van de set gegevens die voor de SMA-patiënten wordt ingezameld. Bovendien zullen nieuwe samenwerkingsverbanden tussen de TREAT-NMD-registers en het Europees Geneesmiddelenagentschap (EMA) het delen van gepseudonimiseerde gegevens met TREAT-NMD vereisen met het oog op de inzameling van reële gegevens voor de analyse van de doeltreffendheid en de veiligheid van de beschikbare behandelingen (momenteel Spinraza, Zolgensma en Ridisplam) voor SMA-patiënten. De overgemaakte gepseudonimiseerde gegevens zullen gedurende 4 maanden worden bewaard door TREAT-NMD na de analyse ervan en het opmaken van een verslag met geaggregeerde gegevens. De bedoeling van deze periode van 4 maanden is te antwoorden op eventuele vragen. Na afloop van die periode zullen de gepseudonimiseerde gegevens worden gewist en zal enkel het verslag met geaggregeerde gegevens worden bewaard.

Net als voor SMA worden binnenkort nieuwe therapeutische mogelijkheden verwacht voor patiënten die lijden aan de ziekte van Becker, de ziekte van Duchenne. Hierdoor ontstaat de

behoefte om deze patiënten bijkomend op te volgen (beschrijving van de normale evolutie van de ziekte van Becker, van de ziekte van Duchenne), benchmark farmaceutische tussenkomsten, gegevens betreffende de veiligheid en de doeltreffendheid van de farmaceutische tussenkomsten). Het register Treat-NMD heeft hiertoe een nieuwe set aan gegevens gepubliceerd. De bedoeling van deze aanvraag is de set aan gegevens die voor de ziekte van Becker en de ziekte van Duchenne wordt ingezameld, af te stemmen op het Treat-NMD-register.

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), het expertisecentrum (gepseudonimiseerd);
 - 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, voedingname, hartmedicatie, deelname aan klinische studies, laatste follow-up, respiratoire functies, spierbiopsie, opname in andere registers, voorkomen aandoening in familie;

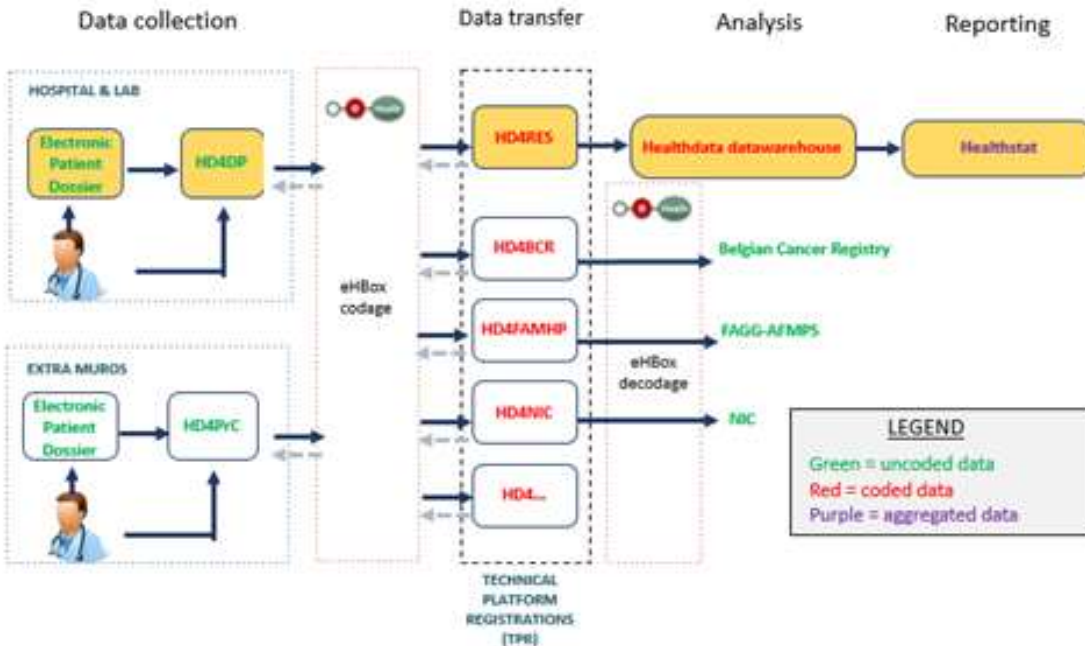
- De volgende informatie zal binnen de SMA-datacollectie toegevoegd worden³: informatie over de opname in het register, de eventuele doodsoorzaak, algemene informatie betreffende scoliose, hospitalisaties en co-morbiditeiten, de huidige behandeling, genetische informatie, klinische observaties, motorische 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. Nieuwe gegevens in die categorieën⁴ zullen worden toegevoegd, om in overeenstemming te zijn met de nieuwe versie van Treat-NMD.
 - De volgende informatie zal aan de gegevensinzameling Becker en Duchenne⁵ worden toegevoegd: informatie over de inschrijving in het register, de eventuele oorzaak van het overlijden, algemene informatie over scoliose, de ziekenhuisopnames en comorbiditeiten, de huidige behandeling, genetische informatie, klinische informatie, motorische functies (op basis van de evaluatieschalen), het gebruik van een rolstoel, voeding, respiratoire opvolging en testing, geneesmiddelengebruik, (ernstige) bijwerkingen, informatie over klinische studies, patient reported outcomes (PRO) en elektrofysiologie.
 - **Gegevens toegevoegd in het kader van het terugbetalingsdossier voor het RIZIV:** Het betreft gegevens die door deskundigen van de referentiecentra werden geselecteerd na het bestuderen van het commentaar van het RIZIV dat farmaceutische bedrijven krijgen met betrekking tot de terugbetalingsdossiers. Wat de SMA-patiënten betreft, hebben twee nieuwe moleculen, Zolgensma (Novartis) en Evrysdi (Roche), een vergunning voor het in de handel brengen in België gekregen. Er moeten nationale gegevens worden meegedeeld aan het RIZIV in 2024. De lijst van de gegevens die noodzakelijk zijn om te antwoorden aan de Belgische overheden worden als bijlage opgelijst⁶.
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.

⁴ De volledige lijst van de SMA-gegevens voor de bijwerking van het Treat-NMD-register en voor de samenwerking met het register RESTORE is bijgevoegd als bijlage bij de beraadslaging (bijlage 1).

⁵ De volledige lijst van de gegevens voor de ziekten van Becker en Duchenne gaat als bijlage bij deze beraadslaging. (Bijlage 1)

⁶ De volledige lijst van de gegevens die werden toegevoegd in het kader van het terugbetalingsdossier voor het RIZIV gaat als bijlage bij deze beraadslaging. (Bijlage 2)



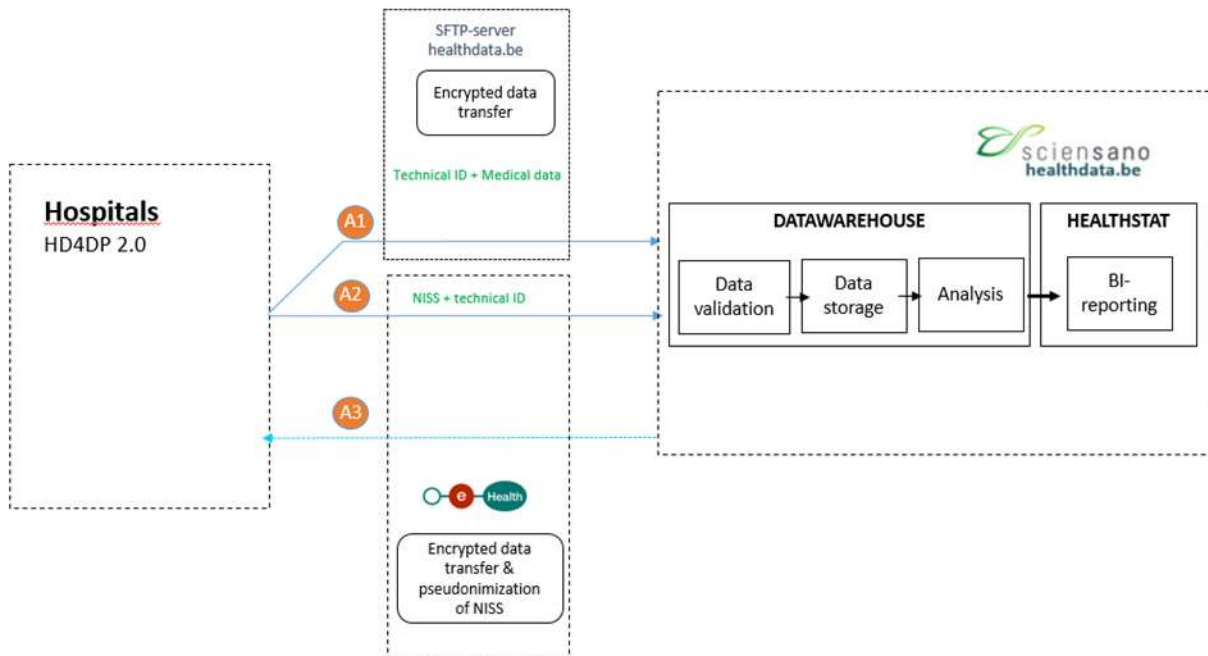
Healthdata.be ontwikkelde de toepassing HD4DP (“healthdata for data providers”) die lokaal geïnstalleerd is bij data providers. De datacollectie voor het register Belgische Register voor Neuromusculaire Aandoeningen (BNMDR) gebeurt via HD4DP, van waaruit de deelnemende ziekenhuizen de gegevens versleuteld 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.

De huidige architectuur voor de gegevensinzameling voor de BNMDR zal binnenkort worden vervangen door de nieuwe architectuur healthdata.be. De belangrijkste wijziging heeft betrekking op de verdeling van de gegevens: het identificatienummer van de patiënt wordt naar eHealth verstuurd voor pseudonimisering en de medische gegevens worden rechtstreeks naar healthdata.be verstuurd via een afzonderlijke stroom.



datawarehouse van healthdata.be. Aangezien dit bestand geen te pseudonimiseren gegevens bevat, zal het bestand rechtstreeks worden overgemaakt door de gegevensleveranciers aan het datawarehouse van healthdata.be. Stroom A2 bevat het INSZ van de patiënt en dezelfde technische ID. De gegevens worden via eHealth overgemaakt (met het oog op de codering van de identificatiegegevens van de patiënt door de eHBox codage) aan het datawarehouse van healthdata.be. De technische ID wordt door de afzender gecodeerd en het INSZ van de patiënt wordt door eHealth als TTP gecodeerd. Na ontvangst voegt het healthdata-platform de verschillende bestanden op basis van de technische ID toe. Na de koppeling en de technische kwaliteitscontrole wordt de technische ID definitief verwijderd van de healthdata.be-infrastructuur. Het healthdata.be-platform houdt een log van deze technische processen bij.

De gebruikers van de gegevens zullen toegang krijgen tot het DWH van healthdata.be naargelang het gekregen mandaat zodat er een validatie en exploitatie kan plaatsvinden. Via de stroom A3 kunnen er verzoeken tot aantekening en verbetering worden gestuurd naar de gegevensleveranciers.

Wat de identificatie van de patiënten betreft, wordt 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. Het register TREAT-NMD wenst een unieke code voor elke patiënt te ontvangen die zal worden gegenereerd op basis van de PPRL-methode (Privacy Preserving Record Linkage). De gegenereerde code zal steeds dezelfde zijn per patiënt om op die manier een longitudinale opvolging mogelijk te maken en duplicaten van patiënten tussen verschillende landen die hun gegevens naar het internationaal register opsturen, te vermijden. De PPRL-pseudocode zal op basis van variabelen die niet tijdens het leven van een patiënt variëren, worden gegenereerd: voornaam bij de geboorte, naam bij de geboorte, geboortedatum, geslacht bij de geboorte, plaats en land van geboorte. Deze gegevens zullen enkel op de site van het ziekenhuis worden opgeslagen om de PPRL-pseudocode te genereren via een softwarepakket dat door TREAT-NMD aan het ziekenhuis is geleverd. Enkel de pseudocode bestaande uit een alfanumerieke reeks van 32 tekens zal naar Sciensano worden verstuurd. Deze tekens maken de identificatie van de patiënt onmogelijk. Hierbij een voorbeeld: 8CED876D94B852AF0AED929AFF7521E1 De PPRL-code zal bovendien apart worden opgeslagen en gecijferd ter hoogte van het Datawarehouse van Healthdata zonder rechtstreekse toegang voor de onderzoekers van Sciensano. Het uittreksel van de gegevens uit het Belgisch register zal via SFTP door het technisch personeel van healthdata.be dat toegang heeft tot de PPRL-code aan OpenApp/TREAT NMD worden overgemaakt.

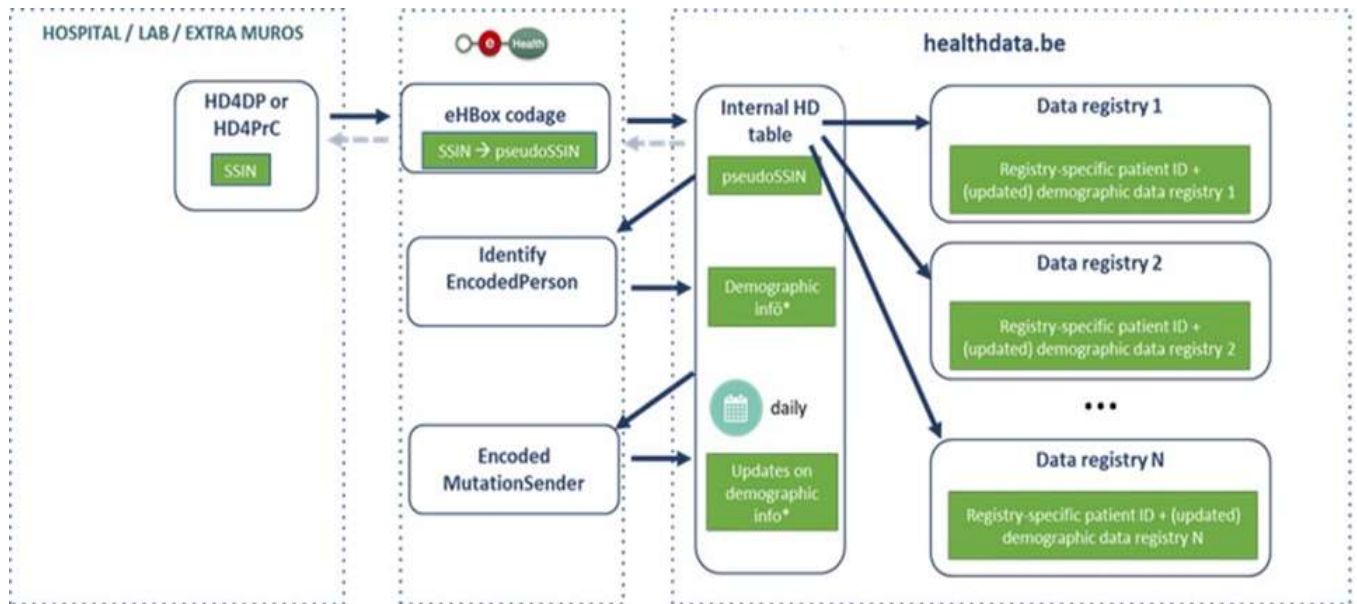
De wijze waarop het Belgische Register voor Neuromusculaire Aandoeningen (BNMDR) gebruik zou maken van data uit het Rijksregister wordt schematisch voorgesteld in de onderstaande figuur en hieronder stapsgewijs beschreven.

Wanneer een registratie voor het register ontvangen wordt voor een gepseudonimiseerd rijksregisternummer (INSZ of SSIN), dan wordt erfege 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 Kruispunbank van de Sociale Zekerheid, na machtiging van de Minister van Binnenlandse Zaken⁷ 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;

⁷ 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 wetenschappelijk medewerkers van Sciensano – Dienst gezondheidsenquête - hebben toegang tot alle gepseudonimiseerde gegevens;
- 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 maar met de PPRL-pseudocode.

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.
- de andere farmaceutische bedrijven door een verzoek in te dienen in het kader van de terugbetaling van geneesmiddelen en na goedkeuring door de artsen van de expertisecentra.

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*⁸ 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

⁸ Wet van 13 december 2006 houdende diverse bepalingen betreffende gezondheid, B.S. van 22 december 2006, p. 73782

rijksregisternummer en de consultatie van de gegevens van het Rijksregister, wat tot de bevoegdheid van de Minister van Binnenlandse Zaken⁹ 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.

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 hoofddopdracht 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

⁹ Artikel 5, wet van 8 augustus 1983 tot regeling van een Rijksregister van de natuurlijke personen, B.S., 21 april 1984, p. 5247.

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;
- Het (gepseudonimiseerd) expertisecentrum: voor de evaluatie van het aantal keren dat er een beroep wordt gedaan op de expertisecentra (verzoek ingediend door het RIZIV) en voor de benchmarkingsanalyses met het oog op de verbetering van de kwaliteit van de gegevens.
- 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. Om bij verzoeken gepseudonimiseerde individuele gegevens te kunnen overmaken aan TREAT-NMD, wordt een specifieke pseudocode eigen aan iedere patiënt aangemaakt via een software die door TREAT-NMD aan het ziekenhuis is overgemaakt. De gegevens die noodzakelijk zijn voor het verkrijgen van de code zullen lokaal worden opgeslagen op elke site van de gespecialiseerde ziekenhuizen. Enkel de pseudocode bestaande uit een alfanumerieke reeks van 32 tekens zal samen met de gegevens van de patiënt naar Sciensano worden verstuurd. Deze tekens maken de identificatie van de patiënt onmogelijk. Hierbij een voorbeeld: 8CED876D94B852AF0AED929AFF7521E1 De PPRL-code zal bovendien apart worden opgeslagen ter hoogte van het Datawarehouse van Healthdata zonder rechtstreekse toegang voor de onderzoekers van Sciensano. (Voor meer info: zie de toelichting in nummer 6 van deze beraadslaging over het gebruik van de PPRL-code).
- gegevens uit het register TREAT NMD bestemd voor de SMA-datacollectie¹⁰ (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, Zolgensma, Ridisplam en andere moleculen in de pijplijn.

¹⁰ 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.

- Gegevens TREAT_NMD bestemd voor de inzameling van de gegevens voor de ziekten van Becker en Duchenne¹¹ (het betreft een set van specifieke gegevens voor deze groep van patiënten): Opvolging van de bijwerkingen en van de begeleidende medicatie omdat deze een zo duidelijk mogelijk beeld geven van de algemene gezondheidstoestand van de patiënt. Opvolging van de resultaten van de nieuwe veelbelovende behandelingen voor de ziekte van Duchenne zoals Altaren, Casimersen, Eteplirsen, Golodirsen, Viltolarsen en andere moleculen.
- Gegevens toegevoegd in het kader van het terugbetalingsdossier voor het RIZIV: Voor SMA-patiënten heeft het bestaan van drie behandelingsmogelijkheden ertoe geleid dat de Belgische overheden een onderscheid moeten maken tussen het in aanmerking komen voor een behandeling en de feitelijke toediening ervan. Om dezelfde redenen moet het RIZIV de redenen voor het stoppen of veranderen van therapie kunnen achterhalen. Bovendien moesten er enkele klinische gegevens worden toegevoegd om de doeltreffendheid van de behandelingen te evalueren volgens de criteria die op nationaal niveau zijn vastgelegd (en die niet in de gegevens TREAT-NMD zijn opgenomen).

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.
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

¹¹ De exhaustieve lijst van de gegevens die door de referentiecentra worden meegedeeld, gaat als bijlage 1. Het Comité herinnert eraan dat deze lijst integraal deel uitmaakt van deze beraadslaging. Er mag geen enkele wijziging aan gebeuren zonder het akkoord van het Comité.

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, ...); documentatie¹².
39. Het Comité stelt vast dat de identiteit van de functionarissen voor gegevensbescherming van Sciensano en BIOGEN hem werden meegedeeld.

¹² “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
Voorzitter

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 1
Lijst van variabelen die toegevoegd worden in het luik TREATNMD

Thème	Variable	SMA patients	DMD et Becker patients
PRIVACY PRESERVING RECORD LINKAGE (PPRL)			
	Pseudocode based on the variables described in article 6 of this deliberation	oui	oui
ENROLMENT			
	Date of enrolment	oui	oui
	Date of consent (if different from date of enrolment)	oui	oui
	Date of any re-consents	oui	oui
	Local registry ID	oui	oui
DEMOGRAPHICS			
	Date of birth	oui	oui
	Sex	oui	oui
	Country of residence	oui	oui
	Affected family member	oui	oui
LIVING STATUS			
	Is the patient alive?	oui	oui
	Date of death	oui	oui
	Cause of death	oui	oui
DIAGNOSIS			
	Diagnosis date	oui	oui
	Diagnosis method	non	oui
	Genetic confirmation	non	oui
	Has the patient had genetic confirmation of SMA?	oui	non
	Was it through screening?	oui	non
	Name/location of genetic testing centre	oui	non
	Date of genetic diagnosis	oui	oui
	DMD variant CNV	non	oui
	DMD variant HGVS	non	oui
	DMD testing method	non	oui
	Mutation name in SMN1 gene	oui	non
	Method of SMN1 testing	oui	non
	Was SMN2 copy number tested?	oui	non
	Method of SMN2 testing	oui	non
	SMN2 copy number	oui	non
	Was the variant c.859G>C identified in the SMN2 gene?	oui	non
	Method of SMN2 variant testing	oui	non
CLINICAL OBSERVATIONS			
	Age of symptom onset (At what age was it suspected that something might be different?)	oui	non
	Symptom onset	non	oui
	Date of symptom onset	non	oui
	Patient gestational age at birth	oui	non
	What were the patients symptoms at the moment of diagnosis?	oui	non
	Spinal Muscular Atrophy type	oui	non
	SMA Type prior to initial SMA Treatment	oui	non
	Height/length (cm)	oui	oui
	Method of height measurement	oui	oui
	Weight (kg)	oui	oui
	Head circumference (for infants <24 months old) (cm)	oui	non
Thème	Variable	SMA patients	DMD et Becker

			patients
CLINICAL OBSERVATIONS (suite)			
		non	non
		non	non
	Does the patient suffer from shoulder contractures?	oui	non
	Does the patient suffer from elbow contractures?	oui	non
	Does the patient suffer from wrist contractures?	oui	non
	Does the patient suffer from finger contractures?	oui	non
	Does the patient suffer from hip contractures?	oui	non
	Does the patient suffer from knee contractures?	oui	non
	Does the patient suffer from ankle contractures?	oui	non
	Does the patient suffer from jaw contractures?	oui	non
	Name of the neuromuscular specialist or main doctor in charge of your care	non	non
	CGI-S (Clinical Global Impression of Severity) - Baseline only	oui	non
	Date of Clinician CGI-S score (month-year)	oui	non
	Total Global Impression (TGI) according to clinician - follow-up only	oui	non
	Date of Clinician TGI score (month-year)	oui	non
SCOLIOSIS/BONE			
	Has the patient been diagnosed with scoliosis?	oui	oui
	Cobb angle according to radiology results (degrees)	oui	oui
	Has the patient had surgery for the scoliosis?	oui	oui
	Scoliosis surgery date (month – year)	oui	oui
	Scoliosis surgery type	oui	oui
	Spinal fractures diagnosed	non	oui
	Spinal fracture date (month – year)	non	oui
	Non-spinal fractures period	non	oui
	Non-spinal fractures diagnosed	non	oui
	Non-spinal fracture date (month – year)	non	oui
	Non-spinal fracture location	non	oui
	Non-spinal fracture side	non	oui
MOTOR FUNCTION			
	Sitting without support	oui	oui
	Transfer from bed to chair	non	oui
	Standing alone (without assistance)	oui	oui
	Get up from chair	non	oui
	Rise from floor without assistance	non	oui
	Walking alone (without assistance)	oui	oui
	Climbing stairs	oui	oui
	Run	non	oui
	Useful function of hands	oui	oui
	Reach overhead in a sitting position	oui	oui
	Raise hands to mouth in a sitting position	oui	oui
	Holding head up without support	oui	non
	Rolling onto side	oui	non
	Crawling on hands and knees	oui	non
	Standing with assistance	oui	non
	Walking with assistance	oui	non
	Able to walk 10 metres unaided	oui	non
	SMA Function Status prior to initial SMA Treatment	oui	non
MOTOR MEASURES			
	Was a validated motor measure taken for this patient at this visit?	oui	oui
Thème	Variable	SMA patients	DMD et Becker patients
MOTOR MEASURES			

	If not, give a reason	oui	oui
	For each test, collection of date (month – year) and a score	-	-
	10MWT (10-Metre Walk Test)	oui	oui
	100MTT (100-Meter Timed Test)	non	oui
	4SC (4-stair climb)	non	oui
	6MWT (6-Minute Walk Test)	oui	non
	9HPT (9-Hole Peg Test) for left hand	oui	non
	9HPT (9-Hole Peg Test) for right hand	oui	non
	ACTIVE (Ability Captured Through Interactive Video Evaluation)	oui	non
	AIMS (Alberta Infant Motor Scale)	oui	non
	BBT (Box and Blocks Test) for left hand	oui	non
	BBT (Box and Blocks Test) for right hand	oui	non
	Brooke Scale of Upper Extremity Function	oui	oui
	BSID-III (Bayley Scales of Infant and Toddler Development) left	oui	non
	BSID-III (Bayley Scales of Infant and Toddler Development) right	oui	non
	CHOP-INTEND (Children's Hospital of Philadelphia Infant Test of Neuromuscular Disorders)	oui	non
	EK2 (Egen Klassifikation 2)	oui	oui
	ES9HPT (Endurance Shuttle Nine Hole Peg Test) left	oui	non
	ES9HPT (Endurance Shuttle Nine Hole Peg Test) right	oui	non
	ESBBT (Endurance Shuttle Box and Blocks Test) left	oui	non
	ESBBT (Endurance Shuttle Box and Blocks Test) right	oui	non
	HFMS (Hammersmith Functional Motor Scale)	oui	non
	HFMS-E (Hammersmith Functional Motor Scale Expanded)	oui	non
	HINE Section 2 (Posture) (Hammersmith Infant Neurological Examination)	oui	non
	MFM-20 total score (Motor Function Measurement)	oui	oui
	MFM-20 D1 (Motor Function Measurement)	oui	oui
	MFM-20 D2 (Motor Function Measurement)	oui	oui
	MFM-32 D3 (Motor Function Measurement)	oui	oui
	MFM-32 total score (Motor Function Measurement)	oui	oui
	MFM-32 D1 (Motor Function Measurement)	oui	oui
	MFM-32 D2 (Motor Function Measurement)	oui	oui
	MFM-32 D3 (Motor Function Measurement)	oui	oui
	NSAA (North Star Ambulatory Assessment)	non	oui
	PUL2 (Performance of Upper Limb module for DMD 2.0)	non	oui
	r9HPT (Repeated Nine-Hole Peg Test) left	oui	non
	r9HPT (Repeated Nine-Hole Peg Test) right	oui	non
	Revised Brooke Scale of Upper Extremity Function, left	oui	non
	Revised Brooke Scale of Upper Extremity Function, right	oui	non
	RFF (Time to rise from the floor)	non	oui
	RHS (Revised Hammersmith Scale)	oui	non
	RULM (Revised Upper Limb Module), left	oui	non
	RULM (Revised Upper Limb Module), right	oui	non
	TIMPSI (Test of Infant Motor Performance Screening Items)	oui	non
	TUG (Timed Up and Go)	oui	non
	Vignos functional rating scale	oui	non
	WHO (World Health Organisation) Motor Milestones (observed in clinic)	oui	non
WHEELCHAIR USE			
	Does the patient use a wheelchair? (For patients ≥ 2 years old)	oui	oui
Thème	Variable	SMA patients	DMD et Becker patients
WHEELCHAIR USE (suite)			

	Start date wheelchair (month-year)	oui	oui
	Has the patient been continuously using the wheelchair?	oui	oui
	Stop date wheelchair (month-year)	oui	oui
	Frequency of wheelchair usage	oui	oui
NUTRITION			
	Has the patient ever used a gastric or nasal feeding tube?	oui	oui
	Feeding tube start date (month-year)	oui	oui
	Is it ongoing?	oui	oui
	Feeding tube stop date (month-year)	oui	oui
	Feeding tube use type	oui	oui
PULMONARY FUNCTION			
	Non invasive ventilation usage status	oui	oui
	Non invasive ventilation usage start date (MM-YY)	oui	oui
	Non invasive ventilation usage ongoing ?	oui	oui
	Non invasive ventilation usage stop date (MM-YY)	oui	oui
	Non invasive ventilation usage frequency	oui	oui
	Invasive ventilation usage status	oui	oui
	Invasive ventilation usage start date (MM-YY)	oui	oui
	Invasive ventilation usage ongoing ?	oui	oui
	Invasive ventilation usage stop date (MM-YY)	oui	oui
	Invasive ventilation usage frequency	oui	oui
	Does the patient need assistance in airway clearance and/or secretion mobilisation?	oui	oui
	Type of assistance	oui	oui
	Has the patient had a Forced Vital Capacity (FVC) test?	oui	oui
	Date of most recent FVC test, if known (month – year)	oui	oui
	FVC in ml	oui	oui
	FVC predicted %	oui	oui
	Spirometry position	non	oui
	Has the patient had a Peak Cough Flow (PCF) test?	oui	oui
	Date of most recent PCF test, if known (month – year)	oui	oui
	PCF in L/min	oui	oui
CARDIAC FUNCTION			
	Cardiac imaging performed?	non	oui
	Cardiac imaging date (month – year)	non	oui
	Cardiac imaging type	non	oui
	Left ventricular ejection fraction	non	oui
	Fractional shortening	non	oui
THERAPIES AND MEDICATION			
	Has the patient ever received a disease-modifying therapy for SMA?	oui	non
	Are you receiving Spinraza?	oui	non
	Start date	oui	non
	Stop date if not ongoing	oui	non
	Reason for stopping	oui	non
	Dosage given	oui	non
	Frequency of dosage	oui	non
	Route of administration	oui	non
	Is the patient following the current recommended dosing schedule?	oui	non
	Please enter the administration dates. (month – year for patients above 3 years old but full date for patients under 3 years old)	oui	non
	Reason for not following dosing schedule	oui	non
	Has the patient ever restarted receiving Spinraza?	oui	non
Thème	Variable	SMA patients	DMD et Becker patients
THERAPIES AND MEDICATION (suite)			

	When did the patient receive Zolgensma?	oui	non
	What was the dosage?	oui	non
	What was the patient's body weight at the time of the administration or shortly before or after? (in kg)	oui	non
	Route of administration	oui	non
	Has the patient received prophylactic systemic corticosteroids in relation to the administration of Zolgensma?	oui	non
	Corticoids treatment duration (in days)	oui	non
	Type of corticoids	oui	non
	Has the patient received a different disease-modifying therapy (e.g. Spinraza or Risdiplam) since then?	oui	non
	What was the main reason for switching to a different therapy?	oui	non
	Was an anti-AAV9 antibody test performed?	oui	non
	Date of the AVV-9 test (month –year)	oui	non
	Results of the AVV-9 test	oui	non
	Has the patient received a further administration of Zolgensma?	oui	non
	When did the patient start receiving Evrysdi (= Ridisplam)?	oui	non
	Start Date (month – year for patients above 3 years old but full date for patients under 3 years old)	oui	non
	Has the patient continuously been receiving Evrysdi up to now?	oui	non
	When did the patient stop using Evrysdi?	oui	non
	Stop Date (month – year for patients above 3 years old but full date for patients under 3 years old)	oui	non
	Reason for stopping	oui	non
	How was the medication dosed?	oui	non
	What was the patient's body weight when he/she began receiving Evrysdi or shortly before or after? (in kg)	oui	non
	Has the patient been taking Evrysdi daily?	oui	non
	Main reason for not following the recommended dosing schedule	oui	non
	Route of administration	oui	non
	Have you restarted receiving Evrysdi?	oui	non
	Did the patient change dosage since the beginning of the treatment?	oui	non
	Has the patient ever received a disease-modifying therapy for Duchenne or Becker? Drug : Ataluren (Translarna); Casimersen (Amondys 45); Eteplirsén (Exondys 51); Golodirsén (Vyondys 53); Viltolarsén (Viltepso)	non	oui
	start date (MM-YY)	non	oui
	ongoing?	non	oui
	stop date (MM-YY)	non	oui
	Reason for stopping the treatment	non	oui
	Corticoids usage status	non	oui
	Corticosteroid drug,	non	oui
	Corticoids start date (MM-YY)	non	oui
	Corticoids ongoing?	non	oui
	Corticoids stop date (MM-YY)	non	oui
	Corticoids usage frequency	non	oui
	Corticosteroid dosage	non	oui
	Cardiac treatment usage	non	oui
	Cardiac drug	non	oui
	Cardiac drug start date (MM-YY)	non	oui
Thème	Variable	SMA patients	DMD et Becker patients
THERAPIES AND MEDICATION (suite)			

	Cardiac drug ongoing?	non	oui
	Cardiac drug stop date (MM-YY)	non	oui
	Cardiac drug Reason for stopping the treatment	non	oui
	Has the patient taken any prescribed allopathic drugs in the last 12 months (baseline) / since the last registry update (follow-up)?	oui	oui
	Allopathic drug	oui	oui
	Start date (month – year for patients above 3 years old but full date for patients under 3 years old)	oui	oui
	Is the patient still taking the drug?	oui	oui
	Stop date (month – year for patients above 3 years old but full date for patients under 3 years old)	oui	oui
	Has the patient received any of the following or any other rehabilitative interventions in the last 12 months(baseline) / since the last registry update (follow-up)?	oui	oui
HOSPITALISATIONS AND COMORBIDITIES			
	Has the patient been hospitalised in the last 12 months (baseline) / since the last registry update (follow-up)?	oui	oui
	Type of initial hospitalisation	oui	oui
	Admission date (month – year)	oui	oui
	Number of days in hospital	oui	oui
	For each acute hospitalisation: reason for hospitalisation	oui	oui
	For each planned hospitalisation: reason for hospitalisation	oui	oui
	For each acute hospitalisation: was this also reported as an SAE?	oui	oui
	Was the SAE linked to a medication?		
	In relation to which medication?	oui	oui
	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)?	oui	oui
	Comorbidity details	oui	oui
	For each comorbidity: comorbidity start date (month – year)	oui	oui
	For each comorbidity: comorbidity end date if not ongoing (month – year)	oui	oui
	For each comorbidity: comorbidity also reported as SAE?	oui	oui
	In relation to which medication?	oui	oui
CLINICAL RESEARCH			
	Has the patient ever participated in a clinical trial?	oui	oui
	Name of trial(s)	oui	oui
	Name of drug	oui	oui
	Trial Start date (month – year)	oui	oui
	Trial Is it ongoing?	oui	oui
	Trial Stop date (month – year)	oui	oui
	Name of registry or natural history study	oui	oui
PATIENT REPORTED OUTCOMES (PROMs)			
	ACTIVLIM score	oui	oui
	ACTIVLIM date	oui	oui
	Was the Patient Global Impression of Severity (PGI-S) taken? – Baseline only	oui	oui
	Date of PGI-S score (month – year)	oui	oui
	PGI-S score	oui	oui
	Was the Patient Global Impression (PGI-I) taken? - follow-up only	oui	oui
	Date of PGI-S score (month – year)	oui	oui
	PGI-S score	oui	oui
Thème	Variable	SMA patients	DMD et Becker patients
PATIENT REPORTED OUTCOMES (PROMs) (suite)			

	Were other patient-reported outcome measures assessed? For each date (month-year) and a score	oui	oui
	ACEND (Assessment of Caregiver Experience with Neuromuscular Disease)	oui	non
	CarerQoL7D	oui	non
	DISABKIDS (Measurement of Quality of Life and Level of Distress)	oui	oui
	EQ-5D-5L health state	oui	non
	EQ-5D-5L VAS	oui	non
	FSS (Fatigue Severity Scale)	oui	non
	PEDI-CAT	oui	non
	PedsQL 3.0 Neuromuscular Module	oui	oui
	PedsQL Multidimensional Fatigue Scale	oui	oui
	PedsQL 4.0 Generic Core Scales	non	oui
	PedsQL 3.0 Duchenne Muscular Dystrophy Module	non	oui
	PODCI (Pediatric Outcomes Data Collection Instrument)	non	oui
	PROMIS (Patient-Reported Outcomes Measurement Information System)	oui	non
	SMA FRS (SMA Functional Rating Scale)	oui	non
	SMA HI (SMA Health Index)	oui	
	INQoL (Individualised Neuromuscular Quality of Life Questionnaires) 2.0	non	oui
	KIDSCREEN-52	non	oui
	Duchenne Muscular Dystrophy Quality of Life Measure (DMD QoL)	non	oui
BIOMARKERS			
	Has the patient had a CMAP (Compound Muscle Action Potential) scan?	oui	oui
	Has the patient had a DEXA (Dual Energy X-ray Absorptiometry) scan?	oui	oui
	Has the patient had any muscle biopsy undertaken?	oui	oui
LABORATORY RESULTS			
	Was proteinuria measured? (for Spinraza patients)	oui	non
	Date (month – year)	oui	non
	Value	oui	non

Annexe 2 :
Variables ajoutées dans le contexte de dossier de remboursement pour l'INAMI

1- Patients SMA

Les données suivantes seront collectées pour tous les patients SMA.

Thème	Variable	Zolgensma (Novartis)	Evrysdi – Risdiplam (Roche)
ELIGIBILITY/DRUG ADMINISTRATION			
	Was the patient eligible to receive Zolgensma?	oui	non
	Did the patient receive Zolgensma?	oui	non
	Why the patient did not receive Zolgensma despite being eligible?	oui	non
	Was the patient eligible to receive Risdiplam?	non	oui
	Did the patient receive Risdiplam?	non	oui
	Why the patient did not receive Risdiplam despite being eligible?	non	oui
	Was Risdiplam received in the context of a clinical trial?	non	oui
REASON FOR SWITCHING TO A NEW THERAPY			
	Participation to a clinical trial	oui	oui
	Permanent invasive ventilation	oui	oui
COMPLEMENTARY CLINICAL ASSESSMENT			
	Does the patient suffer from speech difficulties ?	oui	oui
	Does the patient suffer from salivation difficulties ?	oui	oui
	Does the patient suffer from swallowing difficulties ?	oui	oui

Annexe 3

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

Motivatie in kader van de data collectie naar aanleiding 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 voor het BNMDR. Ook bij deze subset van patiënten blijft dit een belangrijke parameter.
De exacte geboortedatum¹³ 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 tussen 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 is van belang voor alle genetische neuromusculaire aandoeningen (inclusief SMA, Duchenne en Becker) 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, Duchenne en Becker 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, Duchenne en Becker krijgen te maken met scoliose. Door deze data te verzamelen en te combineren met andere klinische gegevens, geeft dit een goed beeld van 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, Duchenne en Becker patiënt.*
- *Pneumologische opvolging: Veel patiënten met SMA, Duchenne en Becker krijgen te maken met pneumologische complicaties. Door deze data te verzamelen en te combineren met andere klinische gegevens, geeft dit een goed beeld van de ernst van de aandoening.*
 - *Huidige therapieën en medicaties: Recent zijn er verschillende therapeutische mogelijkheden ter behandeling van SMA, Duchenne en Becker 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. Bij patiënten met SMA (behandeld met Zolgensma), Duchenne en Becker is corticosteroidetherapie noodzakelijk om de symptomen te controleren en het verloop van de ziekte te vertragen.*
 - *Cardiale functie: Bij patiënten met Duchenne en Becker is de cardiale functie vaak aangetast. Deze functie moet opgevolgd worden om de gezondheidstoestand van deze patiënten te evalueren.*
 - *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.*

¹³ Om privacy redenen 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.

- *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 gecollecteerd worden, zoals ACTIVLIM en de de patient global impression, ie, de evaluatie van de patiënt of hij/zij al dan niet achteruitgaat, stabiel blijft of vooruitgang boekt over de periode van 1 jaar.
 - *Elektrofysiologie, biomarkers en laboresultaten:* Elektrofysiologie wordt vaak gebruikt bij patiënten met SMA, Duchenne en Becker om de functie van de motorneuronen op te volgen.

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, Duchenne en Becker te collecteren en om te bekijken of eventuele behandelingen een positieve impact op de levenskwaliteit/ziekte hebben.

Voor SMA-patiënten heeft het bestaan van drie behandelingsopties ertoe geleid dat de Belgische autoriteiten in staat moeten zijn een onderscheid te maken tussen geschiktheid en daadwerkelijke toediening van de behandeling. Variabelen met betrekking tot geschiktheid zijn toegevoegd voor Zolgensma en Risdiplam. In hetzelfde kader, moet het RIZIV de redenen begrijpen van stopzetting of wijziging van therapieën. Daarnaast is het noodzakelijk enkele klinische gegevens (bulbaire functie, dwz speekselvloed, taal en slikken) toe te voegen die toelaten de doeltreffendheid van de behandelingen te beoordelen volgens de landelijk vastgestelde criteria (het betreft variabelen die niet opgenomen zijn in de TREAT-NMD dataset).

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 geboortedatum¹⁴ 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.

¹⁴ 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.

- *'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'*
- *'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.