

Comité de sécurité de l'information Chambre sécurité sociale et santé
--

CSI/CSSS/23/066

DÉLIBÉRATION N° 10/062 DU 20 JUILLET 2010, DERNIÈREMENT MODIFIÉE LE 7 FÉVRIER 2023, RELATIVE AU TRAITEMENT DE DONNÉES À CARACTÈRE PERSONNEL PSEUDONYMISÉES PAR LA PLATEFORME HEALTHDATA DANS LE CADRE DU REGISTRE BELGE DES MALADIES NEUROMUSCULAIRES (BNMDR)

Le Comité de sécurité de l'information, chambre sécurité sociale et santé (dénommé ci-après le « comité »),

Vu le règlement (UE) n°2016/679 du Parlement européen et du Conseil du 27 avril 2016 relatif à la protection des personnes physiques à l'égard du traitement des données à caractère personnel et à la libre circulation de ces données, et abrogeant la directive 95/46/CE (règlement général sur la protection des données) ;

Vu la loi du 3 décembre 2017 *relative à la création de l'Autorité de protection des données*, en particulier l'article 114, modifié par la loi du 25 mai 2018 ;

Vu la loi du 30 juillet 2018 *relative à la protection des personnes physiques à l'égard des traitements de données à caractère personnel* ;

Vu la loi du 5 septembre 2018 *instituant le comité de sécurité de l'information et modifiant diverses lois concernant la mise en œuvre du Règlement (UE) 2016/679 du Parlement européen et du Conseil du 27 avril 2016 relatif à la protection des personnes physiques à l'égard du traitement des données à caractère personnel et à la libre circulation de ces données, et abrogeant la directive 95/46/CE* ;

Vu la loi du 13 décembre 2006 *portant dispositions diverses en matière de santé*, en particulier l'article 42, § 2, 3°, modifié par la loi du 5 septembre 2018 ;

Vu la loi du 15 janvier 1990 *relative à l'institution et à l'organisation d'une Banque-carrefour de la sécurité sociale* ;

Vu la loi du 21 août 2008 *relative à l'institution et à l'organisation de la plate-forme eHealth* ;

Vu la délibération n° 15/009 du 17 février 2015, dernièrement modifiée le 5 juin 2018, relative à la méthode générique d'échange de données à caractère personnel codées relatives à la santé, dans le cadre de healthdata.be et healthstat.be;

Vu la délibération n° 10/062 du 20 juillet 2010, dernièrement modifiée le 16 juin 2015;

Vu la demande de modification de Healthdata ;

Vu le rapport d'auditorat de la plate-forme eHealth ;

Vu le rapport de monsieur Bart Viaene.

Émet, après délibération, la décision suivante, le 7 février 2023 :

I. OBJET DE LA DEMANDE

1. À la demande de l'INAMI, Sciensano (anciennement, l'Institut scientifique de Santé publique - ISP)¹ est chargé, depuis 2008, de coordonner et de développer, avec les sept centres de référence neuromusculaire, un Registre belge des patients souffrant d'une maladie neuromusculaire (dénommé ci-après « BNMDR »)². Les centres de référence neuromusculaire doivent, à cet effet, transmettre au Registre les données de tous les patients dont on sait qu'ils souffrent d'une maladie neuromusculaire en Belgique et qui ont donné leur consentement par écrit. Sont recueillies les données qui sont enregistrées dans le dossier médical et qui font donc partie des soins standard fournis aux patients souffrant d'une maladie neuromusculaire. À l'heure actuelle, quelque 4.500 patients atteints d'une maladie neuromusculaire entrent en considération pour être enregistrés dans le Registre.
2. Le but du registre est de simplifier les recherches (cliniques, épidémiologiques, étiologiques, ...) dans le domaine des maladies neuromusculaires. Le registre sera ensuite utilisé pour réaliser la cartographie de la gestion des maladies neuromusculaires et servira à évaluer et à améliorer la qualité de la prestation de soins aux patients souffrant d'une maladie neuromusculaire. Ces dernières années, l'émergence de nouvelles thérapies pour les maladies neuromusculaires a fait apparaître de nouveaux objectifs pour le registre :
 - d'émettre des avis aux instances officielles de santé en Belgique
 - de participer à des projets et registres européens et internationaux (en particulier, voir point 3)
 - de soutenir les procédures de mise sur le marché et de remboursement de nouveaux traitements au bénéfice des patients atteints de maladies neuromusculaires en transmettant des rapports avec des données agrégées à des firmes pharmaceutiques ou aux autorités de santé ;
 - de suivre l'efficacité et la sécurité de nouveaux traitements
3. Une partie des données est spécifiquement recueillie dans le cadre du projet européen Treat-NMD (Translational Research in Europe for the Assessment and Treatment of Neuromuscular Diseases), et ce uniquement pour les patients atteints de la dystrophie

¹Depuis le 1er avril 2018, l'Institut scientifique de Santé publique (ISP) et le Centre d'Étude et de Recherches Vétérinaires et Agrochimiques (CERVA) ont fusionné pour créer le nouveau centre fédéral de recherche Sciensano. Voyez à ce sujet l'arrêté royal du 28 mars 2018 portant exécution de la loi du 25 février 2018 portant création de Sciensano, en ce qui concerne le siège social, la gestion et le fonctionnement, ainsi que l'adaptation de divers arrêtés concernant les prédécesseurs légaux de Sciensano.

² Il s'agit des centres suivants: Hôpital universitaire des enfants reine Fabiola (HUDERF), Hôpital Erasme, UZ Brussel, Inkendaal – K.I. ziekenhuis, UZ Antwerpen, UCL, Centre Hospitalier Régional de la Citadelle, Universitair Ziekenhuis KUL – Gasthuisberg, Universitair Ziekenhuis Gent.

musculaire de Becker, de la dystrophie musculaire de Duchenne et de l'atrophie musculaire spinale (AMS-SMA). Le but principal de ce projet est de pouvoir évaluer la faisabilité d'études cliniques, de simplifier le planning des essais cliniques appropriés et de soutenir le recrutement de patients pour des essais cliniques. Étant donné que tout type de maladie neuromusculaire est une maladie rare, le nombre de patients entrant en considération pour un essai clinique est souvent très limité (i.e. patient atteint d'une malformation génétique déterminée, stade déterminé dans lequel se trouve le patient, ...). En unissant les forces et en développant un Registre européen, la sélection de groupes de patients spécifiques pourra être simplifiée. En outre, le registre permet aussi d'évaluer la prévalence des maladies neuromusculaires au niveau européen et d'offrir un soutien lors de la mise au point de directives pour le diagnostic et le traitement. Par ailleurs, l'évolution récente des possibilités thérapeutiques pour la SMA (amyotrophie spinale) a fait naître le besoin de suivre ces patients à titre additionnel (description de l'évolution normale de la SMA), benchmark interventions pharmaceutiques, données relatives à la sécurité et à l'efficacité des interventions pharmaceutiques). Pour la SMA, des variables additionnelles sont dès lors recueillies au sein du BNMDR en lien avec Treat-NMD.

Ce registre contient déjà une collection limitée de données relatives à la maladie SMA, une maladie neuromusculaire, sur la base des directives Treat-NMD. En 2019, il a été souhaitable d'étendre la collecte des données relatives à SMA conformément au set de données renouvelé Treat-NMD et d'élargir l'accès à une partie complémentaire. La demande introduite en 2019 avait également pour objectif d'autoriser la société pharmaceutique BIOGEN à accéder à certaines données du registre en vue de l'évaluation du médicament Spinraza qu'elle produit. En 2020, Treat-NMD a mis à jour les données à collecter pour les patients SMA, l'objectif de cette demande est donc de mettre à jour le set de données collectées pour les patients SMA. De plus, de nouvelles collaborations entre les registres de TREAT-NMD et l'Agence européenne des médicaments (EMA) vont nécessiter le partage de données pseudonymisées avec TREAT-NMD dans le cadre de la collecte de données en monde réel pour l'analyse de l'efficacité et innocuité des traitements disponibles (Spinraza, Zolgensma et Ridisplam actuellement) pour les patients SMA. Les données pseudonymisées transférées seront conservées par TREAT-NMD pendant 4 mois après analyse et rédaction d'un rapport de données agrégées. Cette période de 4 mois a pour but de pouvoir répondre à des questions si besoin. Passé ce délai, les données pseudonymisées seront supprimées et seul le rapport de données agrégées sera conservé. De la même façon que pour SMA, de nouvelles possibilités thérapeutiques pour les patients souffrant de la maladie de Becker, de Duchenne sont attendues prochainement. Cela fait naître le besoin de suivre ces patients à titre additionnel (description de l'évolution normale de la maladie de Becker, de Duchenne), benchmark interventions pharmaceutiques, données relatives à la sécurité et à l'efficacité des interventions pharmaceutiques). Dans cette perspective, Treat-NMD a publié un nouveau set de données. L'objectif de cette demande est de mettre à jour le set de données collectées pour Becker et Duchenne en alignement avec Treat-NMD.

4. Tout patient chez qui il est posé le diagnostic d'une maladie neuromusculaire doit, au préalable, donner son consentement éclairé, pour que ses données à caractère personnel soient enregistrées dans le Registre belge des maladies neuromusculaires. Avant de donner son consentement, l'intéressé reçoit des précisions concernant l'objectif de

l'enregistrement, la nature des données qui seront enregistrées, le mode de codage des données, les catégories d'instances qui pourront consulter les données et les possibilités d'exercer ses droits d'opposition et de rectification.

5. Dans les sept centres de référence neuromusculaire, les données à caractère personnel suivantes sont enregistrées dans le Registre belge des maladies neuromusculaires:

- l'identification du patient au moyen du NISS. Le codage est conforme à la procédure décrite dans la délibération n° 15/009 du 17 février 2015, dernièrement modifiée le 8 juin 2018, relative à la méthode générique d'échange de données à caractère personnel codées relatives à la santé, dans le cadre de healthdata.be et healthstat.be;
- données démographiques: date de naissance, sexe, arrondissement;
- données relatives à la maladie: diagnostic suivant le code INAMI et suivant un série d'autres classifications internationales, dont MCleod & Rowland, ORPHANET, ICD-10, OMIM et SNOMED-CT; date des premiers symptômes, date du diagnostic, diagnostic définitif, confirmation du diagnostic par un examen génétique;
- autres données: le cas échéant, décès du patient et date du décès, date de renouvellement de la convention (pour autant que le patient soit conventionné), le centre expert (pseudonymisé);
- questionnaire 'Activlim': les résultats d'un questionnaire 'Activlim' qui mesure les limites physiques du patient; les données d'identification relatives au patient ne sont pas communiquées.
- **données destinées au Registre européen Treat-NMD** (uniquement pour les patients souffrant de la maladie de Becker, de Duchenne et d'AMS): date de naissance, arrondissement, sexe, données moléculaires relatives à la maladie, diagnostic, fonctions motrices, consommation de stéroïdes, intervention chirurgicale en rapport avec la scoliose, prise alimentaire, médicaments pour le cœur, participation à des études cliniques, dernier follow-up, fonctions respiratoires, biopsie musculaire, enregistrement dans d'autres registres, fréquence de la maladie dans la famille.
- les informations suivantes seront ajoutées à la collecte des données SMA³: des informations relatives à l'inscription dans le registre, la cause éventuelle du décès, des informations générales concernant la scoliose, les hospitalisations et les co-morbidités, le traitement actuel, des informations génétiques, des observations cliniques, les fonctions motrices (sur la base des échelles d'évaluation), l'utilisation d'une chaise roulante, l'alimentation, le suivi et le testing respiratoires, la consommation de médicaments, (serious) adverse events, des informations relatives aux études cliniques, patient reported

³ La liste complète des données SMA qui ont été ajoutées en 2019, est jointe en annexe de la délibération.

outcomes (PRO) et électrophysiologie. De nouvelles données dans ces catégories⁴ seront ajoutées pour se conformer à la nouvelle version de Treat-NMD.

- Les informations suivantes seront ajoutées à la collecte des données Becker et Duchenne⁵ : des informations relatives à l'inscription dans le registre, la cause éventuelle du décès, des informations générales concernant la scoliose, les hospitalisations et les comorbidités, le traitement actuel, des informations génétiques, des observations cliniques, les fonctions motrices (sur la base des échelles d'évaluation), l'utilisation d'une chaise roulante, l'alimentation, le suivi et le testing respiratoires, la consommation de médicaments, (serious) adverse events, des informations relatives aux études cliniques, patient reported outcomes (PRO) et électrophysiologie.

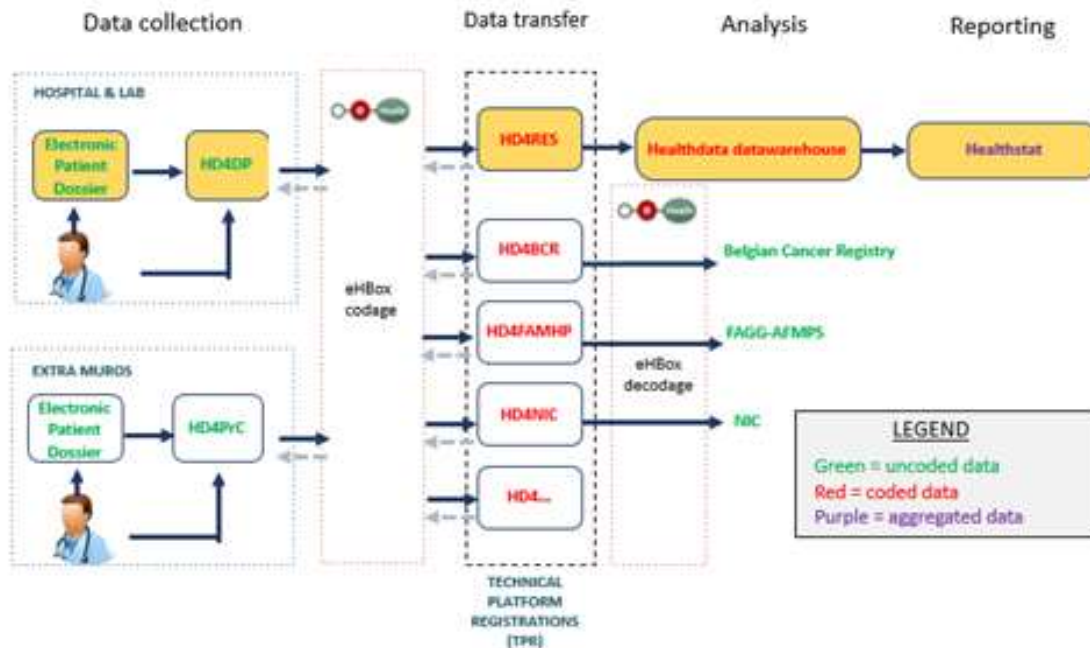
- **Données ajoutées dans le contexte de dossier de remboursement pour l'INAMI** : Il s'agit de données sélectionnées par les experts de centres de références après étude des commentaires de l'INAMI reçus par les firmes pharmaceutiques lors de dossier de remboursement. Dans le cas des patients souffrant de SMA, deux nouvelles molécules, Zolgensma (Novartis) et Evrysdi (Roche), ont reçu une autorisation de mise sur le marché en Belgique et des données nationales doivent être rendues à l'INAMI en 2024. La liste de données nécessaires pour répondre aux autorités belges ont été listées en annexe⁶.

6. La communication des données à caractère personnel par les sept centres de référence neuromusculaire se déroule conformément aux modalités décrites dans la délibération n° 15/009 du 17 février 2015, dernièrement modifiée le 8 juin 2018, relative à la méthode générique d'échange de données à caractère personnel codées relatives à la santé, dans le cadre de healthdata.be et healthstat.be. Ceci signifie notamment que les données à caractère personnel sont transmises pour codage via la boîte aux lettres électronique sécurisée eHealthBox. Les modalités du codage sont également conformes à la délibération précitée.

⁴ La liste complète des données SMA pour la mise à jour de Treat-NMD et pour la collaboration avec le registre RESTORE sont jointes en annexe de la délibération (Annexe 1)

⁵ La liste complète des données Becker et Duchenne, est jointe en annexe de la délibération. (Annexe 1)

⁶La liste complète des données ajoutées dans le contexte de dossier de remboursement pour l'INAMI est jointe en annexe de la délibération. (Annexe 2)



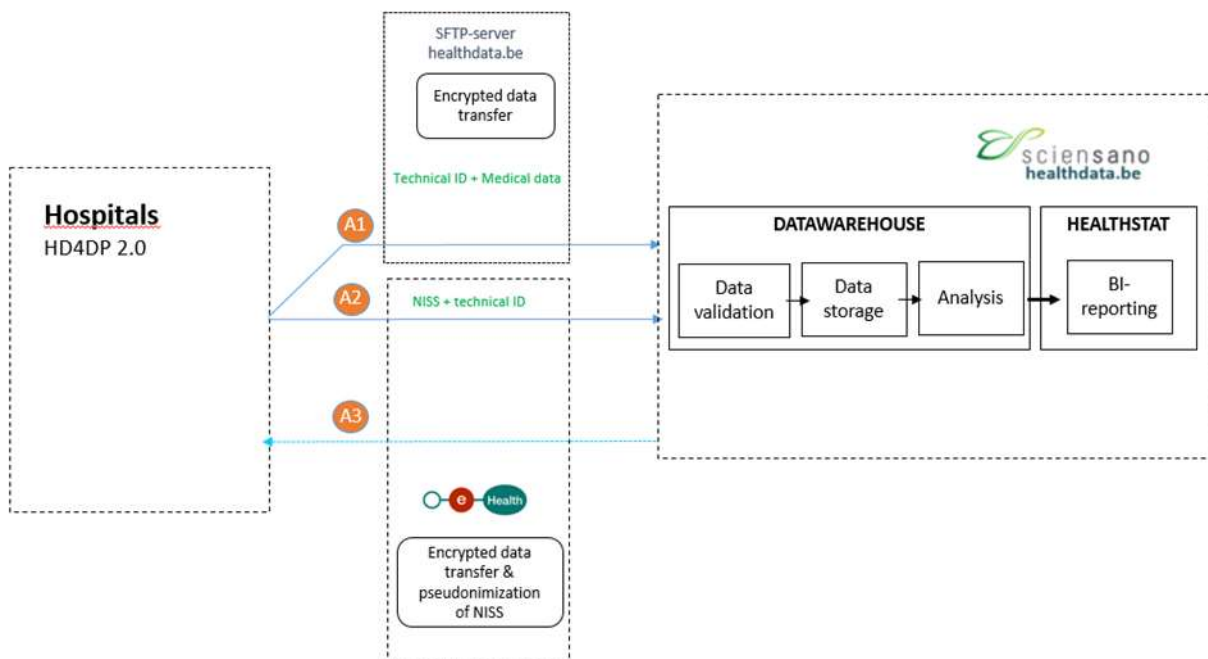
Healthdata.be a développé l'application HD4DP (« healthdata for data providers ») qui est installée au niveau local chez les fournisseurs de données. La collecte des données pour le Registre belge des maladies neuromusculaires (BNMDR) intervient via HD4DP, les données étant ensuite envoyées par les hôpitaux participants à HD4RES via l'eHBox codage. Les identifiants du patient sont pseudonymisés en cours de route et les données médicales chiffrées.

Dès que les données arrivent sous forme pseudonymisée de manière sécurisée chez healthdata.be, les chercheurs concernés sont en mesure de contrôler la qualité des données déchiffrées au moyen du logiciel HD4RES développé à leur attention (« healthdata for researchers »). Si le chercheur a des doutes, il peut demander un contrôle des informations à l'hôpital. Si les informations sont correctes, celles-ci peuvent être enregistrées dans le datawarehouse. Les chercheurs ne sont pas en mesure de modifier les données reçues. Les données d'identification du patient sont aussi toujours pseudonymisées.

Data Management et Research via le Datawarehouse: Sur base des données fournies, les chercheurs réalisent leurs travaux (étude et rédaction de rapports qui sont mis à la disposition du public et de groupes cibles spécifiques). A cet effet, ils reçoivent uniquement accès aux données du registre qui leur a été attribué. Pour les chercheurs du service *Etude des soins de santé* de Sciensano et pour les chercheurs de *Biogen*, des environnements d'analyse spécifiques sont prévus. Ceux-ci contiennent des pseudonymes qui sont codés de manière unique par environnement d'analyse et uniquement les variables mandatées pour les chercheurs y sont mises à la disposition.

Par le biais de healthstat.be, des rapports scientifiques, des diagrammes et des figures du registre BNMDR sont partagés à un niveau agrégé avec le monde extérieur. Ce partage est réalisé au moyen d'une application web sécurisée.

L'architecture actuelle de collecte de données pour le BNMDR sera bientôt remplacée par la nouvelle architecture healthdata.be. Le changement le plus important concerne la répartition des données : l'identifiant du patient est envoyé à eHealth pour la pseudonymisation et les données médicales sont envoyées directement à healthdata.be via un flux séparé.



datawarehouse de healthdata.be. Etant donné que ce fichier ne contient pas de données à pseudonymiser, le fichier sera directement transmis par les fournisseurs de données au datawarehouse de healthdata.be. Le flux A2 contient le NISS du patient ainsi que le même ID technique. Les données seront transférées via eHealth (en vue de l'encodage des données d'identification du patient par l'eHBox codage) au datawarehouse de healthdata.be. L'ID technique est encrypté par l'émetteur et le NISS du patient est codé par eHealth en tant que tierce partie de confiance. Lors de la réception, la plateforme healthdata ajoutera les différents fichiers sur la base de l'ID technique. Après le couplage et le contrôle de qualité technique, l'ID technique sera supprimé à titre permanent de l'infrastructure de healthdata.be. La plateforme healthdata.be conserve un log de ces processus techniques.

Les utilisateurs de données recevront accès au DWH de healthdata.be en fonction du mandat obtenu de sorte qu'une validation et exploitation puissent avoir lieu. Les demandes d'annotation et de correction peuvent être adressées aux fournisseurs de données via le flux A3.

En ce qui concerne l'identification des patients, le numéro d'identification de la sécurité sociale codé est utilisé. La Plate-forme eHealth procède au codage des codes d'identification préalablement à leur réception par Sciensano. Un algorithme de codage unique est utilisé pour l'ensemble des projets qui sont opérationnalisés sur la plateforme healthdata.

Les données sur la plateforme Healthdata seront finalement partagées avec TREAT NMD. TREATNMD est une organisation internationale active dans le domaine neuromusculaire. Elle organise un registre international relatif aux maladies neuromusculaires qui fait appel à la plateforme OpenApp. TREAT-NMD souhaite recevoir un code unique pour chaque patient qui sera généré en se basant sur la méthode de PPRL (Privacy Preserving Record Linkage). Par patient, le code généré sera toujours le même, de sorte à permettre un suivi longitudinal ainsi que pour éviter les doublons de patient entre différents pays envoyant leurs données dans le registre international. Le pseudocode PPRL sera généré à partir de variables ne variant pas au cours de la vie d'un patient : prénom à la naissance, nom à la naissance, date de naissance, sexe à la naissance, lieu de naissance et pays de naissance. Ces données ne seront stockées que sur le site des hôpitaux pour générer le pseudocode PPRL au moyen d'un logiciel fourni par TREAT-NMD à l'hôpital. Seul le pseudocode composé d'une série alphanumérique de 32 caractères sera envoyé à Sciensano. Ces caractères ne rendent pas possible l'identification du patient, en voici un exemple 8CED876D94B852AF0AED929AFF7521E1. Par ailleurs, le code PPRL sera stocké séparément et crypté au niveau du Datawarehouse de Healthdata sans accès direct pour les chercheurs de Sciensano . L'extrait des données du registre belge sera fourni via SFTP à OpenApp/TREAT NMD par le personnel technique de healthdata.be qui a accès au code PPRL.

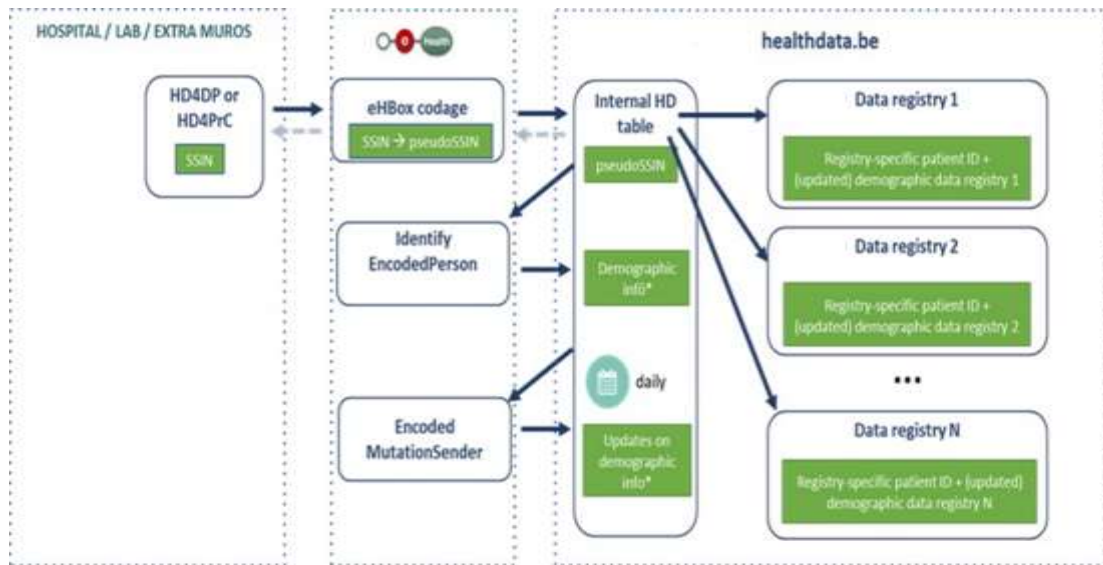
Le mode selon lequel le registre belge des maladies neuromusculaires (BNMDR) utiliserait des données du registre national est présenté de manière schématique dans la figure ci-après et est décrit en étapes ci-après.

Lorsqu'un enregistrement destiné au registre est reçu pour un numéro de registre national (NISS ou SSIN) pseudonymisé, le registre national est consulté sur la base du NISS codé au moyen du service web IdentifyEncodedPerson. Ce service web fournit pour le NISS codé les données démographiques correspondantes du registre national. En ce qui concerne le registre BNMDR, il s'agit des données sexe, date de naissance, date de décès et domicile.

L'appel au service web IdentifyEncodedPerson entraîne aussi l'appel au service web ManageInscription, qui est nécessaire pour obtenir des mises à jour dans une 2^{ème} phase.

Les données démographiques que Healthdata reçoit du registre national sont conservées dans une base de données spécifique et distribuées en fonction de l'autorisation liée à la collecte de données (en l'occurrence BNMDR).

Sur base quotidienne, Healthdata fera appel au service web pour tous les NISS codés connus au sein du registre « BNMDR ». Ce service web permet de recevoir des mises à jour concernant la donnée « date de décès » ou concernant le numéro de registre national en tant que tel.



7. Une analyse de risque « small cell » sera réalisée par P-95 afin de décrire les traitements à prévoir afin d'éviter une réidentification à partir de la série de données à caractère personnel pseudonymisées mise à disposition. La plateforme Healthdata exécutera ensuite les directives résultant de l'analyse de risque « small cell » avant de mettre les données à la disposition. P-95 transmet les conclusions et les directives de l'analyse de risque « small cell » au médecin responsable de la Plate-forme eHealth, au secrétariat du Comité de sécurité de l'information et au médecin responsable de plateforme Healthdata. Le médecin responsable de la plateforme Healthdata veille à l'exécution des directives résultant de l'analyse de risque « small cell » afin de garantir que la réidentification des patients concernés ne soit pas possible à partir des données mises à la disposition des chercheurs par la plateforme Healthdata.
8. Pour obtenir la date de naissance, la date de décès, l'arrondissement et le sexe, le Registre national sera consulté et, le cas échéant, les registres de la Banque Carrefour de la sécurité sociale, après autorisation du Ministre de l'Intérieur⁷ et du Comité de sécurité de l'information quant à l'accès aux registres de la BCSS.
9. Les instances suivantes ont accès aux données à caractère personnel pseudonymisées non agrégées:
 - les collaborateurs des centres de référence ont accès à l'ensemble des données qui ont été introduites par les collaborateurs de leur propre centre de référence;
 - les collaborateurs scientifiques de Sciensano – Service enquête de santé ont accès à l'entièreté des données pseudonymisées;
 - les collaborateurs de BIOGEN – service market access/medical (chercheurs, datamanager, statisticien) auront uniquement accès aux données pseudonymisées des

⁷Conformément à l'article 5 de la loi du 8 août 1983 organisant un registre national des personnes physiques, M.B., 21 avril 1984, p. 5247.

patients enregistrés dans le registre belge SMA qui ne sont pas traités par un traitement modifiant la maladie et qui sont traités avec Spinraza (nusinersen);

- le Registre européen Treat-NMD reçoit uniquement les données mentionnées au point 5.6. Les données sont communiquées sans le NISS codé mais avec le pseudocode PPRL.

10. Les instances suivantes ont accès à des rapports contenant des données agrégées:
 - l'Institut national d'assurance maladie-invalidité reçoit un rapport contenant uniquement des données agrégées au départ desquelles il n'est plus possible d'identifier les centres, ni les patients;
 - les collaborateurs du service Soins de santé de l'INAMI;
 - les collaborateurs du groupe de travail « Article 81 » de la Commission de remboursement des médicaments de l'INAMI;
 - les collaborateurs des centres de référence ont accès aux rapports de feed-back dans lesquels les données de leur centre sont comparées à la moyenne des autres centres;
 - il est également possible de générer des rapports pour le grand public via Healthstat.be. La décision à cet égard sera prise par le responsable du registre en concertation avec la commission d'encadrement du registre.
 - Les autres industries pharmaceutiques en faisant la requête dans le cadre de remboursement de médicaments et après approbation par les médecins des centres experts.
11. Ces rapports seront publiés au moyen d'une application web sécurisée et contrôlée, healthstat.be. L'authentification des utilisateurs de healthstat.be s'effectuera via la gestion des accès et des utilisateurs de la Plate-forme eHealth, sauf pour les rapports à destination du grand public qui seront disponibles librement. Les rapports seront publiés après une analyse de risque « small cell ».

II. RECEVABILITÉ ET COMPÉTENCE

12. En vertu de l'article 42, § 2, 3°, de la loi du 13 décembre 2006 *portant dispositions diverses en matière de santé*⁸, la chambre sécurité sociale et santé du Comité de sécurité de l'information est en principe compétente pour l'octroi d'une autorisation de principe concernant toute communication de données à caractère personnel relatives à la santé.
13. Le Comité s'estime dès lors compétent pour se prononcer sur la demande d'autorisation mais doit émettre des réserves quant à l'usage du numéro national et à la consultation des données du Registre national qui relèvent des compétences du Ministre ayant l'Intérieur dans ses attributions⁹. Le Comité n'a pas reçu d'information quant à l'obtention, par le passé, d'une autorisation du Comité sectoriel du Registre national.
14. Le traitement de données à caractère personnel relatives à la santé est en principe interdit, et ce conformément au prescrit de l'article 9, §1er du Règlement (UE) 2016/679 du Parlement européen et du Conseil du 27 avril 2016 relatif à la protection des personnes physiques à

⁸ Loi du 13 décembre 2006 portant dispositions diverses en matière de santé, M.B., 22 décembre 2006, p. 73782.

⁹ Article 5, Loi du 8 août 1983 organisant un registre national des personnes physiques, M.B., 21 avril 1984, p. 5247.

l'égard du traitement des données à caractère personnel et à la libre circulation de ces données, et abrogeant la directive 95/46/CE (RGPD).

15. Néanmoins, cette interdiction n'est pas d'application lorsque la personne concernée a donné son consentement explicite au traitement de ces données à caractère personnel pour une ou plusieurs finalités spécifiques, sauf lorsque le droit de l'Union ou le droit de l'État membre prévoit que l'interdiction visée au paragraphe 1 ne peut pas être levée par la personne concernée.
16. A la lumière de ce qui précède, le Comité est par conséquent d'avis qu'il existe un fondement admissible pour le traitement des données à caractère personnel pseudonymisées relatives à la santé envisagé.

III. EXAMEN DE LA DEMANDE

A. FINALITÉ

17. Selon l'article 5 du RGPD, les données à caractère personnel doivent être traitées de manière licite, loyale et transparente au regard de la personne concernée. Elles doivent être collectées pour des finalités déterminées, explicites et légitimes, et ne pas être traitées ultérieurement d'une manière incompatible avec ces finalités.
18. Sciensano est une institution scientifique de l'État fédéral belge. Elle a pour mission principale de réaliser des études scientifiques en vue de soutenir la politique de la santé. Elle fournit également des expertises et des services publics au niveau de la santé publique. Les principales activités de Sciensano ont surtout trait aux domaines suivants: santé et environnement, consommation et sécurité alimentaires, inventaire des maladies et de la santé, santé animale, qualité des soins de santé, efficacité et sécurité de vaccins, de médicaments et de produits de santé et qualité des laboratoires médicaux.
19. Le traitement des données pseudonymisées relative à certaines catégories de patients par BIOGEN est basé sur la convention (A.R. du 1er février 2018 *fixant les procédures, délais et conditions en matière d'intervention de l'assurance obligatoire soins de santé et indemnités dans le coût des spécialités pharmaceutiques*), à savoir fournir des données sur l'efficacité et la sécurité de Spinraza à long terme. BIOGEN doit également traiter ces données dans le cadre de la convention conclue avec l'Agence européenne des médicaments (EMA) visant à fournir des données supplémentaires sur l'efficacité et la sécurité d'emploi de Spinraza via un "registre des maladies" (comparaison avec l'histoire naturelle de la maladie) afin d'assurer un suivi à plus long terme.
20. Au vu des objectifs du traitement tels que la recherche scientifique dans le domaine des maladies neuromusculaires et l'amélioration de la qualité de la prestation de soins, le Comité considère que le traitement des données à caractère personnel envisagé poursuit bien des finalités déterminées, explicites et légitimes.

B. MINIMISATION DES DONNÉES

21. Selon l'article 5 du RGPD, les données à caractère personnel doivent être adéquates, pertinentes et limitées à ce qui est nécessaire au regard des finalités pour lesquelles elles sont traitées.
22. Le demandeur motive la communication des données comme suit:
- numéro d'identification: il s'agit d'un registre des maladies rares. Un patient ne peut pas figurer deux ou plusieurs fois dans le registre. Il est nécessaire de pouvoir suivre un patient dans le temps, même s'il change de centre de soins;
 - la date de naissance: la date est demandée en détail. C'est au moment de la communication de l'information que sera effectuée l'analyse visant à déterminer le niveau (jour, mois, année) proportionnel compte tenu de l'objectif de l'analyse et du public-cible. Ceci permet éventuellement un emploi ultérieur, dans la mesure où l'autorisation nécessaire est obtenue à cet effet;
 - sexe: donnée démographique nécessaire;
 - arrondissement: l'INAMI souhaite connaître l'évolution de l'accessibilité aux soins pour ces patients. À l'heure actuelle, il n'a pas encore été possible de joindre tous les patients dans l'ensemble du pays. On souhaite suivre l'évolution de la couverture des soins aux patients neuromusculaires;
 - décès et date de décès: pour l'évaluation épidémiologique des maladies neuromusculaires: pour l'obtention et le suivi de la durée de vie moyenne par type de maladie neuromusculaire;
 - stade de la maladie: pour l'évaluation épidémiologique des maladies neuromusculaires: pour suivre l'évolution des stades, évaluer la vitesse à laquelle le patient s'affaiblit par type de maladie neuromusculaire;
 - diagnostic suivant la classification INAMI: pour l'évaluation épidémiologique des maladies neuromusculaires. Pour distinguer les différents types de maladies neuromusculaires;
 - diagnostic suivant la classification McLeod & Rowland: pour l'évaluation épidémiologique des maladies neuromusculaires. Aussi pour opérer une distinction entre les différents types de maladies neuromusculaires. La classification INAMI est une classification assez rudimentaire qui a plutôt été établie d'un point de vue administratif (gestion de la convention). La classification de McLeod & Rowland nous permet de nuancer davantage les différents types de maladies neuromusculaires;
 - diagnostic suivant la classification ORPHANET, ICD-10, OMIM et SNOMED-CT: ces codes sont reconnus au niveau international, ce qui permettra de comparer les données du registre et de confirmer l'exhaustivité du registre;
 - année de l'apparition des premiers symptômes: pour l'évaluation épidémiologique des maladies neuromusculaires. Pour pouvoir évaluer l'évolution des différentes maladies neuromusculaires;
 - l'indication selon laquelle un diagnostic définitif a déjà été posé et la date de ce diagnostic: pour l'évaluation épidémiologique des maladies neuromusculaires. Le diagnostic définitif d'un patient prend parfois trop de temps. L'évolution du temps nécessaire pour poser le diagnostic est un important paramètre de qualité;
 - confirmation du diagnostic par un examen génétique: actuellement de nombreux tests génétiques sont proposés qui confirment le diagnostic du neurologue. L'ajout de cette information permet d'améliorer la qualité des données recueillies;

- degré de limitation des activités déterminé par le système ACTIVLIM: pour l'évaluation épidémiologique des maladies neuromusculaires. L'évolution de la mesure dans laquelle le patient est encore capable d'exercer des activités de manière autonome est évaluée et suivie dans le temps;
- le centre expert (pseudonymisé) : pour l'évaluation de la fréquentation des centres experts (requête faite par l'INAMI) ainsi que pour les analyses de benchmarking dans une démarche d'amélioration de la qualité des données.
- données destinées à Treat-NMD: pour évaluer la faisabilité d'essais cliniques dans des groupes de patients déterminés, pour simplifier leur organisation et pour faciliter un registre international. Afin de pouvoir transférer des données individuelles pseudonymisées à TREAT-NMD lors de requête, un pseudocode spécifique à chaque patient sera généré via un software fourni par TREAT-NMD à l'hôpital. Les données nécessaires à l'obtention du code seront stockées localement sur chaque site des hôpitaux experts. Seul le pseudocode composé d'une série alphanumérique de 32 caractères sera envoyé avec les données patients à Sciensano. Ces caractères ne rendent pas possible l'identification du patient, en voici un exemple 8CED876D94B852AF0AED929AFF7521E1. Par ailleurs, le code PPRL sera stocké séparément au niveau du Datawarehouse de Healthdata sans accès direct pour les chercheurs de Sciensano. (Pour plus d'info : voir l'explication au numéro 6 de cette délibération sur l'utilisation du code PPRL
- données TREAT NMD destinées à la collecte des données SMA¹⁰ (il s'agit d'un set de données spécifiques à ce groupe de patients) : Suivi des « adverse events » et de la médication concomitante, parce que ceux-ci donnent aussi une image précise de l'état de santé général du patient. Suivi des résultats des nouveaux traitements prometteurs pour la SMA, comme par exemple Spinraza, Zolgensma, Ridisplam et d'autres molécules.
- données TREAT NMD destinées à la collecte des données pour Becker et Duchenne¹¹ (il s'agit d'un set de données spécifiques à ce groupe de patients) : Suivi des « adverse events » et de la médication concomitante, parce que ceux-ci donnent aussi une image précise de l'état de santé général du patient. Suivi des résultats des nouveaux traitements prometteurs pour Duchenne, comme par exemple Altaren, Casimersen, Eteplirsén, Golodirsén, Viltolarsén et d'autres molécules.
- données ajoutées dans le contexte de dossier de remboursement pour l'INAMI : Pour les patients SMA, l'existence de trois options thérapeutiques a créé le besoin pour les autorités belges de faire la différence entre éligibilité et l'administration effective d'un traitement. Avec la même motivation, l'INAMI doit comprendre les raisons d'arrêt ou de changement de thérapies. De plus, quelques données cliniques ont dû être ajoutées afin d'évaluer l'efficacité des traitements selon les critères établis nationalement (et non inclus dans les données TREAT-NMD).

¹⁰ La liste exhaustive des données communiquées par les centres de référence figure en annexe 1. Le Comité rappelle que cette liste fait partie intégrante de cette délibération. Aucune modification ne peut y être apportée sans l'accord du Comité.

¹¹ La liste exhaustive des données communiquées par les centres de référence figure en annexe 1. Le Comité rappelle que cette liste fait partie intégrante de cette délibération. Aucune modification ne peut y être apportée sans l'accord du Comité.

23. Le Comité estime que, vu la motivation précitée, les données précitées (excepté les données destinées à Treat-NMD) peuvent être considérées comme adéquates, pertinentes et non excessives au regard des finalités pour lesquelles elles sont obtenues.
24. En ce qui concerne les données qui sont enregistrées afin d'être communiquées au projet européen Treat-NMD, le Comité estime néanmoins que la communication du jour et du mois de naissance n'est pas proportionnelle au regard de la finalité de Treat-NMD, à savoir l'évaluation de la faisabilité des essais cliniques, la simplification du planning des essais cliniques appropriés et le soutien au recrutement de patients pour des essais cliniques. Vu les finalités précitées, la communication du mois et de l'année de naissance pour les enfants jusqu'à l'âge de 18 ans et de l'année de naissance pour les personnes à partir de l'âge de 18 ans devrait suffire.
25. En ce qui concerne le traitement des données spécifiques aux patients traités au Spinraza par BIOGEN, la justification des données demandées est en annexe.
26. Le Comité constate que la date de naissance complète du patient est enregistrée dans le registre belge AMS mais que seul le mois et l'année de naissance du patient seront visibles pour analyse par BIOGEN. Etant donné que le registre peut contenir des données relatives à de très jeunes patients, il sera possible de donner l'âge en semaines.
27. En vertu de l'article 197 de la loi du 30 juillet 2018 *relative à la protection des personnes physiques à l'égard des traitements de données à caractère personnel*, lorsqu'un traitement de données anonymes ne permet pas d'atteindre la finalité de la recherche ou statistique, le responsable du traitement utilise des données pseudonymisées.
28. Vu la nécessité de pouvoir relier les données à caractère personnel de patients soignés dans différents hôpitaux au même patient ainsi que la nécessité de pouvoir retrouver dans un nombre limité de cas l'identité du patient, à l'intervention d'un tiers de confiance, le Comité estime qu'il n'est pas possible de réaliser l'étude à partir de données purement anonymes. L'utilisation de données à caractère personnel pseudonymisées dans le cadre de Healthdata.be semble donc être justifiée.
29. Les résultats d'un traitement à des fins historiques, statistiques ou scientifiques ne peuvent être publiés sous une forme qui permet l'identification de la personne concernée, sauf si la personne concernée a donné son consentement et qu'il ne soit porté atteinte à la vie privée de tiers ou si la publication de données à caractère personnel non pseudonymisées est limitée à des données manifestement rendues publiques par la personne concernée elle-même ou ayant une relation étroite avec le caractère public de la personne concernée ou des faits dans lesquels celle-ci est ou a été impliquée. Sciensano est dès lors tenu de supprimer dans les rapports finaux de ses études scientifiques ou dans les rapports à l'INAMI toutes les données qui pourraient éventuellement donner lieu à l'identification des personnes concernées.
30. Selon l'article 5, §1er, e) du RGPD, les données à caractère personnel doivent être conservées sous une forme permettant l'identification des personnes concernées pendant une durée n'excedant pas celle nécessaire au regard des finalités pour lesquelles elles sont

traitées; les données à caractère personnel peuvent être conservées pour des durées plus longues dans la mesure où elles seront traitées exclusivement à des fins archivistiques dans l'intérêt public, à des fins de recherche scientifique ou historique ou à des fins statistiques conformément à l'article 89, §1er, pour autant que soient mises en œuvre les mesures techniques et organisationnelles appropriées requises par le règlement afin de garantir les droits et libertés de la personne concernée (limitation de la conservation).

31. Le Comité estime que les données peuvent être conservées dans le Registre sous forme pseudonymisées pendant une période de 30 ans après le décès du patient concerné, par analogie avec le délai de conservation pour les dossiers médicaux dans les hôpitaux. À l'issue de cette période, les données peuvent uniquement être conservées sous forme anonyme, c'est-à-dire sous une forme qui ne permet pas de les mettre en relation avec une personne identifiée ou identifiable.
32. Le Comité estime que l'accès de BIOGEN aux données pseudonymisées du registre doit être limité à la durée nécessaire à l'exécution de ses obligations d'évaluation du Spinraza découlant des conventions conclues respectivement avec l'INAMI et l'Agence européenne des médicaments.

D. TRANSPARENCE

33. Le GDPR prévoit dans le chef du responsable du traitement une obligation d'information des personnes concernées lorsque les données à caractère personnel ont été collectées auprès de la personne concernée ou non.
34. Les centres de références des maladies neuromusculaires sont chargés de recueillir le consentement éclairé des patients et de les informer. Il est prévu de demander à tous les patients le renouvellement de leur consentement pour participer à ce nouveau registre. Les patients seront informés et auront la possibilité de renouveler leur consentement ou non durant leur réunion avec leur médecin traitant dans le centre neuromusculaire de référence.
35. Le Comité constate que le demandeur a modifié le formulaire afin qu'il réponde aux exigences du RGPD.

E. MESURES DE SÉCURITÉ

36. Conformément à l'article 5, §1er, f) du RGPD, les données à caractère personnel doivent être traitées de façon à garantir une sécurité appropriée des données à caractère personnel, y compris la protection contre le traitement non autorisé ou illicite et contre la perte, la destruction ou les dégâts d'origine accidentelle, à l'aide de mesures techniques ou organisationnelles appropriées (intégrité et confidentialité).
37. Conformément au RGPD, le demandeur doit prendre toutes les mesures techniques et organisationnelles requises pour protéger les données à caractère personnel. Ces mesures doivent assurer un niveau de protection adéquat, compte tenu, d'une part, de l'état de la technique en la matière et des frais qu'entraîne l'application de ces mesures et, d'autre part, de la nature des données à protéger et des risques potentiels.

38. Pour garantir la confidentialité et la sécurité du traitement de données, tout organisme qui conserve, traite ou communique des données à caractère personnel est tenu de prendre des mesures dans les onze domaines d'action suivants liés à la sécurité de l'information: politique de sécurité; désignation d'un délégué à la protection des données ; organisation et aspects humains de la sécurité (engagement de confidentialité du personnel, information et formations régulières du personnel sur le thème de la protection de la vie privée et sur les règles de sécurité); sécurité physique et de l'environnement; sécurisation des réseaux; sécurisation logique des accès et des réseaux; journalisation, traçage et analyse des accès; surveillance, revue et maintenance; système de gestion des incidents de sécurité et de la continuité (systèmes de tolérance de panne, de sauvegarde, ...); documentation¹².
39. Le Comité constate que l'identité des délégués à la protection de données de Sciensano et de BIOGEN lui ont été communiquées.
40. La collecte, le traitement et la mise à disposition des données à caractère personnel pseudonymisées se déroulent conformément aux modalités définies dans la délibération n° 15/009 du 17 février 2015, dernièrement modifiée le 5 juin 2018, relative à la méthode générique d'échange de données à caractère personnel codées relatives à la santé, dans le cadre de Healthdata.be et Healthstat.be.
41. Le Comité souligne qu'en vertu de l'article 111, alinéa 1er, de la loi du 3 décembre 2017 *portant création de l'Autorité de protection des données*, sans préjudice des pouvoirs de contrôle de l'Autorité de protection des données, les autorisations accordées par les comités sectoriels de la Commission de la protection de la vie privée avant l'entrée en vigueur de cette loi gardent leur validité juridique. Les modalités de la délibération n° 15/009 du 17 février 2015, dernièrement modifiée le 5 juin 2018, relative à la méthode générique d'échange de données à caractère personnel codées et non codées relatives à la santé, dans le cadre de healthdata.be et healthstat.be restent donc d'application.
42. Sciensano et BIOGEN doivent s'engager à mettre en œuvre tous les moyens possibles afin d'éviter qu'on puisse retrouver l'identité des personnes auxquelles les données à caractère personnel pseudonymisées communiquées ont trait. En toute hypothèse, il est interdit d'entreprendre toute action visant à convertir les données à caractère personnel pseudonymisées qui ont été communiquées en données à caractère personnel non pseudonymisées.
43. Le Comité rappelle qu'en vertu de l'article 9 de la loi du 30 juillet 2018 *relative à la protection des personnes physiques à l'égard des traitements de données à caractère personnel*, le responsable du traitement prend les mesures supplémentaires suivantes lors du traitement de données génétiques, biométriques ou des données concernant la santé :

1° les catégories de personnes ayant accès aux données à caractère personnel, sont désignées par le responsable du traitement ou, le cas échéant, par le sous-traitant, avec une description précise de leur fonction par rapport au traitement des données visées;

¹² « Mesures de référence en matière de sécurité applicables à tout traitement de données à caractère personnel », document rédigé par la Commission de la protection de la vie privée

2° la liste des catégories des personnes ainsi désignées est tenue à la disposition de l'autorité de contrôle compétente par le responsable du traitement ou, le cas échéant, par le soustraitant;

3° il veille à ce que les personnes désignées soient tenues, par une obligation légale ou statutaire, ou par une disposition contractuelle équivalente, au respect du caractère confidentiel des données visées.

44. Le Comité estime nécessaire de rappeler que depuis le 25 mai 2018, Sciensano, la plateforme healthdata et BIOGEN sont tenus de respecter les dispositions et les principes du Règlement (UE) 2016/679 du Parlement européen et du Conseil du 27 avril 2016 relatif à la protection des personnes physiques à l'égard du traitement des données à caractère personnel et à la libre circulation de ces données, et abrogeant la directive 95/46/CE (règlement général sur la protection des données). Ces instances sont également tenues de respecter les dispositions de la loi du 30 juillet 2018 *relative à la protection des personnes physiques à l'égard des traitements de données à caractère personnel*.

Par ces motifs,

la chambre sécurité sociale et santé du comité de sécurité de l'information,

sous réserve de l'autorisation Ministre de l'Intérieur en ce qui concerne l'accès au Registre national et sous réserve de l'autorisation de Comité de sécurité de l'information en ce qui concerne l'accès aux données des registres de la Banque Carrefour de la sécurité sociale,

compte tenu de la délibération n° 15/009 du 17 février 2015, dernièrement modifiée le 5 juin 2018, relative à la méthode générique d'échange de données à caractère personnel codées relatives à la santé, dans le cadre de Healthdata.be et Healthstat.be,

conclut que la communication des données à caractère personnel, telle que décrite dans la présente délibération, est autorisée moyennant le respect des mesures de protection de la vie privée qui ont été définies, en particulier les mesures en matière de limitation de la finalité, de minimisation des données, de limitation de la durée de conservation des données et de sécurité de l'information

Le Comité souligne que toute communication à un tiers qui n'est pas explicitement mentionné dans la présente délibération (un chercheur scientifique ou une autre catégorie de destinataire) requiert l'autorisation préalable du Comité.

Bart VIAENE
Président

Le siège de la chambre sécurité sociale et santé du comité de sécurité de l'information est établi dans les bureaux de la Banque-Carrefour de la Sécurité sociale, à l'adresse suivante: Quai de Willebroeck 38 – 1000 Bruxelles (tél. 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); Eteplirsen (Exondys 51); Golodirsen (Vyondys 53); Viltolarsen (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.