

## **Harmonisation Internationale d'un registre et d'une biobanque pour la PIDC**

**Date:** 12 au 14 mai 2017

**No:** 231

**Lieu :** Naarden, Pays Bas

**Organisateurs :** Dr Filip Eftimov (Amsterdam, Pays Bas), Prof. Yusuf A. Rajabally (Birmingham, Royaume Uni), Dr Luis Querol (Barcelone, Espagne).

Descriptif de l'Atelier de Travail :

Le 231<sup>e</sup> Atelier de Travail de l'ENMC intitulé "International Standards for CIDP Registry and Biobank" s'est tenu du 12 au 14 mai 2017, à Naarden, Pays Bas par un groupe multidisciplinaire de 24 membres provenant de 13 pays (Pays Bas, Royaume Uni, USA, France, Italie, Espagne, Belgique, Danemark, Malaisie, Serbie, Allemagne, Curacao et Australie). Cette équipe a inclus des jeunes chercheurs et cliniciens experts en neuropathies inflammatoires, ainsi qu'une représentante d'une organisation néerlandaise de patients "Spierziekten Nederland" et la GBS/CIDP Foundation International.

Historique :

La Polyradiculopathie Inflammatoire Démyélinisante Chronique (PIDC) est une neuropathie auto-immune pouvant résulter en des déficits fonctionnels sévères. La PIDC est remarquablement hétérogène avec diverses formes atypiques. Malgré l'existence de différents critères diagnostiques, un certain nombre de patients souffrant d'une PIDC et pouvant bénéficier d'un traitement ne sont pas identifiés. En dépit de l'existence de traitements efficaces et validés, il n'existe à ce jour pas de paramètres cliniques ou biologiques pouvant prédire la réponse thérapeutique, l'activité de la maladie et le pronostic. Davantage de recherche est nécessaire pour déterminer les limites cliniques et électrophysiologiques de la PIDC et de ses sous-types ainsi que pour définir le rôle des biomarqueurs (ex. ultrasonographiques, sériques) pour confirmer le diagnostic, la surveillance de la maladie et prédire la réponse au traitement et le pronostic à long terme. Pour répondre à ces questions de recherche, une étude prospective d'une large cohorte de patients bien définis et suivis sur une durée prolongée est nécessaire avec recueil de données cliniques hautement standardisées, données électrophysiologiques et de biomatériaux.

Récemment, plusieurs registres nationaux et bio banques ont été développés pour permettre la collection systématique de données de patients avec une PIDC. Cependant, même dans les plus grands pays, ces registres ne pourront inclure suffisamment de patients pour répondre aux défis les plus importants concernant cette pathologie. Un registre international avec un grand nombre de patients est nécessaire pour établir des modèles pronostiques dans le but de prédire le devenir de la maladie dans des cas individuels de PIDC.

Objectifs de l'Atelier de Travail :

Arriver à un consensus international sur l'inclusion de patients souffrant d'une PIDC et sur le recueil de données cliniques, diagnostiques et des biomatériaux.

Résultats :

Huit registres nationaux en existence ont été comparés par rapport à leur structure, et les données recueillies.

Un consensus a été établi sur :

- Critères d'inclusion : suspicion clinique de PIDC ; Critère d'exclusion : autre diagnostic
- Caractéristiques de base requises pour critères cliniques et diagnostiques ; données cliniques minimales à recueillir restent à définir
- Fréquence flexible des visites de routine avec un minimum de 2 années de suivi. Recueil au minimum de (a) dynamométrie de force de préhension, fatigue, handicap [INCAT, RODS], qualité de vie [EuroQoL] chez tous les patients inclus, et (b) échelle de handicap spécifique aux patients, à la discrétion du neurologue traitant
- Un protocole électrophysiologique minimum a été proposé
- Collection de biomatériaux (sérum, LCR, biopsie nerveuse) devra se conformer à des protocoles standardisés, avec au minimum recueil de sérum à l'inclusion. Les biomatériaux seront stockés dans les centres participants ou les centres de coordination.
- Infrastructure : une base de données centrale (INCbase) sera développée. Les données des bases existantes pourront y être intégrées. Une série de critères pour la INCbase a été définie. Les bases et registres existants continueront à exister.
- Chaque centre demeure propriétaire de ses données qu'il pourra extraire de l'INCbase.

Propositions :

-Groupe de travail pour A) Rassembler les données des bases existantes B) Harmoniser les protocoles des registres existants C) Etablir la base de données centralisée

-Le Groupe de Travail a proposé des échéances pour le développement et la finalisation de ce registre avec pour but d'inclure le premier patient d'ici Mars 2018

-Les informations sur le consensus propose/protocole du registre sera présenté et discuté à la prochaine réunion de la Société du Nerf Périphérique (PNS).

### **Participants :**

Dr. S. Reddel (Sydney, Australie), Prof. J.M. Vallat (Limoges, France), Prof. J.C. Antoine (Saint-Etienne, France), Dr. J. Allen (Minnesota, USA), Dr. I. Basta (Belgrade, Serbie), Prof. A. Uncini (Chieti, Italie), Dr. K. Doppler (Würzburg, Allemagne), Dr. R. Hadden (Londres, Royaume Uni), Dr. T. Harbo (Aarhus, Danemark), Dr. H. Lehmann (Cologne, Allemagne), Prof. P.Y. Van den Bergh (Bruxelles, Belgique), Prof. D. Cornblath (Baltimore, USA), Dr. S. Goedee (Utrecht, Pays Bas), Dr. M. Lunn (Londres, Royaume Uni), Dr. I. Merkies (Maastricht, Pays Bas), Prof. E. Nobile-Orazio (Milan, Italie), Prof. B. Jacobs (Rotterdam, Pays Bas), Mme. P. Blomkwist-Markens (GBS/CIDP Foundation International, représentante des patients), Dr. F.L. Hiew (Kuala Lumpur, Malaisie), Dr. M. Adrichem (Etudiant en Doctorat, Amsterdam, Pays Bas), Dr. C. Bunschoten (Etudiant en Doctorat, Rotterdam, Pays Bas), Prof. Y.A. Rajabally (Birmingham, Royaume Uni), Dr. L. Querol (Barcelone, Espagne) and Dr. F. Eftimov (Amsterdam, Pays Bas).

Un rapport complet de cet atelier de travail sera publié dans Neuromuscular Disorders