



UX001-CL401



HIMB国际注册

患者信息和知情同意书

项目名称：遗传性包涵体肌病-患者随访项目（HIBM-PMP）用于评估遗传性包涵体肌病的注册和前瞻性观察研究

协议编号： **UX001-CL401**

日期/版本： **2013年5月23日/2**

现正邀请您参与本注册项目。请您在同意参与研究前，明确本项调查研究的内容以及所录信息的用途。本文解答了一些您可能存在的疑问，若在阅读本文后您还有其他疑问，可在签署知情书之前，直接联系注册中心协调员和授权者。联络方式请见文件末尾。

患者信息和知情同意书由神经肌肉疾病基金会的两名成员进行审查。

摘要

遗传性包涵体肌病（HIBM），又称 Nonaka 病，GNE 肌病或伴镶边空泡的远端性肌病，是一种非常罕见的肌病。现邀请您参与遗传性包涵体肌病国际数据库的患者注册。参与数据库注册需要您填写调查问卷，提供您的病史、诊疗史、现服用的药物，并描述目前生活质量及运动能力等相关情况。首次填写问卷大约需要 1.5 个小时。你可依自身情况完成尽可能多的问题，并在日后继续补录。

我们将在此后的第 6 个月、第 12 个月及每年邀请您填写简短表格以进行信息更新。在征得您同意后，我们将告知您关于遗传性包涵体肌病的相关调查、研究和试验的进展。

参与注册是完全自愿的，您可随时无条件退出。参与注册丝毫不会影响您的相关治疗。知情同意书以电子形式被接收。注册信息将被联网存储，对英美的监管机构（FDA 美国食品药品监督管理局和 DHHS 健康与人类服务部）和通过认证的研究人员开放访问。

通过互联网注册数据库可能对数据安全造成一定威胁，但我们已采取相关措施避免其发生。注册表的相关文件和政策已被审查，符合最佳方案和英国相关法规（Caldicott 批准）。我们对您提供的信息进行保密。

研究者是谁？ TREAT-NMD：欧洲神经肌肉病治疗协会（纽卡斯尔大学）指导委员会，由遗传性包涵体肌病专家和患者中的积极倡导者组成，联合 **Ultragenyx** 制药公司共同进行此项研究。该协会在类似的罕见肌病数据注册项目上有着丰富的经验。更多信息请参见：www.treat-nmd.eu

什么是患者注册？为什么要进行患者注册？

找寻合适的患者并建立随访，对于进行临床研究或试验是十分必要的。注册项目把患者的详细信息收集整理在同一数据库或“注册表”内，在患者及其家庭与正在研究治疗该病的医生和研究人员之间架起桥梁。欧洲神经肌肉病治疗协会工作网和 **Ultragenyx** 制药公司正在致力于建立各国的遗传性包涵体肌病国际注册。

注册表收集哪些人的数据？

本注册表收集18岁以上的遗传性包涵体肌病患者的数据。这种肌肉病在人群中是罕见的。正是由于你患有些疾病，所以邀请您参与本项注册。在回答某些问题时您可以咨询医生。虽然该病在全球范围内有一定数量的患者，但目前只在日本有一项此疾病的患者注册登记。我们旨在建立全球数据库来更好地了解患者分布情况，并建立与遗传性包涵体肌病患者沟通的渠道。

我需要提供哪些信息？

您需要提供您的病史：何时何地如何被确诊，为改善病情您接收了哪些治疗，家族中是否有其他遗传性包涵体肌病患者。我们需要共享您的基因检测结果、诊疗史，以及既往和现在所服用药物的列表。您需要填写一系列关于生活质量以及活动和自理能力的调查问卷。

根据您提供的相关信息，相关工作人员可能需要调取您的医疗记录以获取注册项目必需的信息（例如，我们可能需要向遗传学家或医生索要您的基因检测报告或肌肉活检报告）。

如果我不想或者无法对调查表格中的某些问题进行回答时，该怎么办？

您可依自身情况一次性完成尽可能多的问题。回答某些问题时可咨询您的医生。剩余问题可稍后继续补录。我们鼓励患者尽量完成问题，这样有助于我们更好地了解遗传性包涵体肌病。

哪些人有权访问我的信息？

您提供的信息将被录入国际注册，该注册由欧洲神经肌肉病治疗协会监管。您的数据将被安全储存，未经授权的人员无法获取您的任何信息。只有通过当地伦理道德委员会、欧洲神经肌肉病治疗协会指导委员会和 **Ultragenyx** 制药有限公司认证的研究人员才能访问注册表中的匿名数据。

您的信息（姓名和联系信息不作公开）也许会被下列个人和组织分享，以确保他们能够完成研究相关的任务：

- 研究赞助商，**Ultragenyx** 制药有限公司有权访问不含识别信息的数据（即不含您的姓名和联系方式）以分析研究结果，并对未来临床研究和试验进行规划。
- **Ultragenyx** 合作方（**Summit Analytical**）可访问数据库，对其进行维护以确保数据库正常运作，并帮助分析数据。

有权对您信息进行访问的个人或组织可能因法律要求将信息共享：

- 英美监管机构（例如 **FDA** 美国食品药品监督管理局和 **DHHS** 健康与人类服务部）可能会对您的信息（包括身份和姓名）进行审查以确保研究数据的准确性。

- 由医生和专家组成的独立委员会将对本研究安全信息进行审查。
- 在研究场所外的个人或企业，如信息存储公司或信息科技公司也会承担相应工作。
- 按法律规定，出于质量监管的目的，国外的监督机构可能会审查患者信息。

注册表采用匿名代码而非姓名对您的数据进行标识。

因此，研究者查阅注册表时无法获得您的个人信息（姓名、地址等），他们仅能获取帮助他们筛选研究或试验的合适人选的相关数据。如果研究者认为患者满足研究条件，那么他们将和注册负责人进行联系。注册工作人员对数据进行“去代码”处理，找出患者个人信息，然后联络患者，告知试验项目或其它有关您病情的信息。注册工作人员不会将您的姓名或个人信息泄露给研究者，未经您的允许，工作人员也不能和您直接联系。若您对告知您的某一临床研究/试验感兴趣，我们将为您提供该项目研究者的联系方式。若您决定参与研究/试验，您须签阅另外的知情同意书。参与注册录入并不意味着您可随意参与研究或试验。

若情况有变，我该如何更新信息？

如果您同意参与注册录入，您须在此后的第 6 个月，第 12 个月及每年提供信息，最长可达 15 年。我们将向您发送信息更新提醒邮件。我们还会在信息更新间隔向您询问是否有任何重大变动，如地址变更或瘫痪（例如无法行走）。

我的数据会被保密吗？

我们对您提供的信息保密。创建注册事先需要建立一份包含患者个人信息和医疗信息的文件。该文件受数据保护相关规定的保护（欧盟指令 95/46 相关的国家法律）。数据将被加密存储在安全的服务器上。

我们采用注册数据发布研究或文件时，您的信息无法通过姓名被识别。访问注册表数据的第三方（如计划开展临床试验或新疗法研究的研究人员或公司）只能获取代码标识的匿名信息。即便在访问匿名信息之前，第三方也必须通过伦理道德或指导委员会的审查。您的数据不会向政府组织、保险公司或教育机构、您的配偶、家庭成员、医生或雇主等开放。

本研究具体描述可参见 <http://www.clinicaltrials.gov> 和 <https://www.clinicaltrialsregister.eu>。网站不包括可识别您身份的任何信息。网站仅含有结果摘要。您可随时查询网站。您的数据在物理和逻辑安全的云服务器上最长可存储 15 年。

参与注册对我有什么好处？

注册旨在帮助遗传性包涵体肌病患者。注册登记提交数据无任何经济报酬。得益于注册的研究成果可能有专利或商业潜力。然而对于您来说，既无专利权，在未来任何商业研发中亦无经济回报。但是，参与注册录入另有如下好处：我们将（基于您和医生提供的信息）告知您是否满足参与某一临床研究或试验的条件。我们还将告知您可能对您有益的前沿信息，例如，治疗遗传性包涵体肌病的更好方法。我们采集的数据也会造福其他患者，例如，我们可以提供全球范围内患者数量，或为致力于高质量治疗本病的研究人员提供信息。还能有助于提高人们对本病的认识 and 关注，鼓励开展更多的研发工作。

我能获得本研究的最新进展情况吗？

研究团队的成员将向您传达与本研究相关的最新重大发现。我们也将告知您采用注册数据的报告或论文的发表情况。您的信息无法在这些刊物中通过姓名被识别出来。

我必须参加注册吗？我可以退出吗？

您是否继续参加本项目完全出于自愿。退出研究不会承担任何后果，您拒绝参与或中途退出无任何惩罚或权利损害。您可以随时退出研究，不会对您未来的治疗产生任何影响。

数据保护法案保证您有权随时访问、校正或取回您的全部个人数据。若您想取回数据，您无需提供任何解释。取回数据请联系负责注册的工作人员。联系方式参见下文。

我会被从注册中移除吗？

基于您的个人利益或因注册终止，研究监督者或赞助商可不经您许可随时终止您的注册。终止注册的决定将会对您给予告知。

参与注册表录入有什么潜在危险？

注册表将存储在安全的线上数据库。通过互联网注册数据库可能对数据安全造成一定威胁，但我们已采取措施避免此类事件的发生。签署本协议并不意味着放弃您的合法权利。本项目不发放任何研究药物，不做实验性测试研究，因此无潜在危险或副作用。

如果有问题我应该联系谁？

如果您想了解其它信息或需要更新数据，或取回注册数据，请联系

首席研究员：HannsLochmüller 教授

电话：44（0）1912418602；

地址：纽卡斯尔市英国生命科学国际中心，纽卡斯尔大学遗传医学研究所，
NE13BZ

OksanaPogoryelova

电话：44（0）1912418640

电子邮件：HIBM@treat-nmd.eu

地址：英国纽卡斯尔市生命科学国际中心，纽卡斯尔大学遗传医学研究所，
NE13BZ

知情同意书

协议编号: **UX001-CL401**

日期/版本: **2013年5月23日/2**

1.我们是否有权在用于研究或计划临床试验的遗传性包涵体肌病国际注册表（以代码做标识）中存储您的数据？

是 否

2.如果我们获得关于遗传性包涵体肌病相关项目的信息或可能涉及您病情的相关信息，您是否希望被告知？

是 否

3.如果我们得知您可能成为某临床研究或试验的合适人选，您是否希望被告知这一情况？

是 否

（请注意，即便临床试验人员根据数据库数据认为您合适参与试验，但最终您可能不符合条件。还请知悉，当我们告知你某一试验的存在时，并不意味着我们赞同该试验。参与任何试验您都必须另签知情同意书。）

4.为实时更新注册表，我们需要询问您的病情变化。您是否同意每年 1 到 2 次登录注册数据库，接收填写后续表格以更新信息？

