



UX001-CL401



Registre international des patients atteints d'HIBM
Renseignements sur le patient et consentement éclairé

Nom du projet : Programme de surveillance de malades affecté par la myopathie héréditaire à corps d'inclusion (PCP - HIBM) : registre et étude prospective observationnelle de l'histoire naturelle afin d'évaluer la maladie HIBM

Numéro de protocole : UX001-CL401
Date/Version : 23 mai 2013

Il vous est demandé de prendre part au registre. Avant que vous vous engagiez à prendre part à cette étude, il est important que vous en compreniez son but et que vous sachiez à quoi serviront les informations fournies par vous. Ce formulaire contient les réponses à questions qui vous pouvez éventuellement vous poser. Toutefois, si après l'avoir lu, vous avez des questions supplémentaires concernant l'étude, vous pouvez contacter le coordinateur du registre ou le personnel autorisé avant de signer le formulaire du consentement. Vous trouverez les coordonnées à la fin du présent document.

Les informations du malade et le formulaire du consentement ont été examinés par deux membres de l'organisation de malades Fondation pour les maladies neuromusculaires.

Résumé

La myopathie à corps d'Inclusion héréditaire (HIBM), aussi connue par maladie de Nonaka, myopathie GNE ou myopathie distale avec des vacuoles bordées est une maladie musculaire rare. Vous êtes appelé(e) à participer à la base de données internationale (registre) pour les malades atteints de la maladie HIBM. L'enregistrement dans la base de données signifie que nous vous demanderons de remplir des questionnaires qui vont fournir les détails concernant votre état de santé, vos antécédents médicaux généraux, les médicaments que vous prenez, votre qualité de vie et votre degré de mobilité. Répondre à toutes les questions vous prendra environ 1h30 au total. Vous pouvez remplir autant de questions que vous voulez et revenir à votre profil pour terminer le reste des questions postérieurement.

Nous vous contacterons en 6 mois, 12 mois et à chaque année par la suite pour vous demander de mettre à jour votre profil en remplissant un court formulaire. Si vous y consentez, nous vous contacterons avec des informations sur les progrès de la recherche, les études et les essais cliniques autour de HIBM.

Votre consentement à participer au registre est volontaire et vous pouvez vous retirer du registre à n'importe quel moment sans spécifier des raisons. Quelle que soit votre participation au registre, vos soins médicaux ne seront affectés en aucune façon. Votre consentement à participer à cette étude sera enregistré par voie électronique. Le registre sera stocké en ligne et les données seront accessibles à partir du Royaume-Uni et des États-Unis par les régulateurs (FDA et DHHS) et par les chercheurs autorisés.

L'inscription à la base de données sur internet peut poser un risque pour la sécurité des données; cependant, des efforts importants sont mis en place pour garantir leur sécurité. La politique et la documentation relatives au registre ont été revues et sont conformes aux meilleures pratiques et aux législations nationales (approbation Caldicott a été accordée au Royaume-Uni). Toutes les informations que nous recevons de votre part seront traitées confidentiellement.

Qui mène cette étude ?

TREAT-NMD (Newcastle University), un comité d'organisation, composé d'experts médicaux sur l'HIBM et de défenseurs des droits des patients, mène cette recherche avec la collaboration d'Ultragenyx Pharmaceutical. TREAT-NMD possède une vaste expérience avec des registres similaires pour des maladies musculaires rares. Si vous en avez besoin d'information de plus, veuillez consulter : www.treat-nmd.eu

Qu'est-ce que c'est un registre de malades et pourquoi est-ce qu'on veut créer un ?

Lorsqu'une étude ou des essais cliniques sont prévus, c'est très important qu'on puisse identifier et contacter rapidement des malades appropriées pour ces essais. Un registre est comme un pont reliant les malades et leurs familles aux médecins et aux chercheurs qui essaie de comprendre et de traiter la maladie en faisant en sorte que les informations des malades sont tous rassemblés dans une base de données unique ou « registre ». TREAT-NMD et Ultragenyx Pharmaceutical sont en train de créer ce registre international pour des personnes de différents pays atteintes d'HIBM.

A qui appartient-il les données que nous recueillons sur ce registre ?

Ce registre est destiné aux malades de plus de 18 ans atteints d'HIBM. Il s'agit d'une maladie qui se caractérise par un affaiblissement des muscles, rare dans la population in générale. Il vous est demandé de figurer dans ce registre et de remplir ce formulaire parce que vous avez cette maladie. Vous pouvez demander à votre médecin de vous aider à répondre à certaines questions. Bien que des patients aient été identifiés dans le monde entier, il n'existe qu'un seul registre national lancé pour les patients d'HIBM au Japon. *Notre but est de créer un registre international pour mieux comprendre la maladie et faciliter l'accès aux patients d'HIBM dans le monde entier.*

Quelle information dois-je fournir ?

Vous devrez répondre à des questions sur vos antécédents concernant l'HIBM : quand, où et comment votre diagnostic a été établi, quels traitements vous avez éventuellement suivis pour aider avec votre état médical et s'il y a des autres membres de la famille également atteint de l'HIBM. On vous demandera d'indiquer les résultats de votre analyse d'ADN, vos antécédents médicaux généraux et toute les médicaments prise précédemment ou actuellement. Vous répondrez à une série de questionnaires sur votre qualité de vie, votre capacité pour vous déplacer et pour prendre soin de vous-même. D'après les informations que vous fournirez, le personnel chargé du registre pourrait avoir besoin d'accéder à votre dossier médical pour obtenir les informations nécessaires pour le projet (par exemple, il se peut que nous devions demander, à votre généticien ou à votre médecin, une copie de votre rapport génétique ainsi que des informations sur votre biopsie musculaire).

Que se passe-t-il si je ne veux pas répondre à certaines questions ou si je ne connais pas la réponse à une question dans le formulaire ?

Vous pouvez remplir autant de questions que vous voulez à la fois. Vous pouvez demander à votre médecin de vous aider à répondre à certaines questions. Vous pouvez toujours revenir à votre profil et remplir le reste des questions à une date ultérieure. Nous encourageons les participants à remplir autant de questions que possible, car cela nous aidera à mieux comprendre l'HIBM.

Qui aura accès à mes informations ?

Les informations que vous fournirez seront introduites dans un registre international supervisé par TREAT-NMD. Vos données seront stockées en toute sécurité et aucune personne non autorisée ne sera en mesure d'obtenir d'information que vous concerne. Seulement les chercheurs approuvés par leur comité d'éthique local, le comité d'organisation de TREAT-NMD et Ultragenyx Pharmaceutical Inc. peuvent avoir accès aux données anonymes du registre.

Vos informations (mis à part les noms et coordonnées, qui ne seront pas divulgués) peuvent également être communiquées aux individus ou aux groupes suivants afin qu'ils puissent remplir leurs fonctions dans le cadre de l'étude :

- le commanditaire de l'étude, Ultragenyx Pharmaceutical, Inc. qui aura accès aux données dépersonnalisées afin d'analyser les résultats et de préparer des études et des essais cliniques ultérieurs.
- le collaborateur d'Ultragenyx (sommet analytique) aura accès à la base de données afin d'assurer l'entretien de la base de données, de vérifier son bon fonctionnement et d'aider à analyser les données.

Ceux qui reçoivent vos informations peuvent les communiquer s'ils sont tenus de le faire par la Loi :

- les organismes réglementaires du Royaume-Uni et des États-Unis (tels que la FDA et DHHS) peuvent examiner ou obtenir vos informations (y compris votre identité et votre nom) afin de confirmer l'exactitude des données de la recherche.
- un comité indépendant de médecins et d'experts qui examinera les informations sur la sécurité de cette étude.
- des particuliers ou des entreprises telles que les entreprises de stockage de données, ou des entreprises de technologie de l'information en dehors du site de la recherche qui fournissent des services
- si requis par la Loi, les organismes de réglementation d'autres pays peuvent examiner les informations fournies à fins d'assurance de la qualité ou de contrôle de la qualité.

Dans le registre, vos données seront uniquement identifiées par un code anonyme, pas par votre nom.

Cela signifie que lorsque les chercheurs cherchent dans le registre, ils ne peuvent pas accéder à vos informations personnelles (nom, adresse, etc.), ils auront accès uniquement aux informations dont ils ont besoin sur votre état de santé pour les aider à décider si vous pourriez convenir pour une étude ou un essai. S'ils estiment que vous remplissez les critères pour leur étude, ils contacteront la personne en charge du registre. Le personnel travaillant pour le registre « décodera » les données pour trouver vos détails personnels et prendra contact avec vous pour vous donner des informations sur l'essai ou sur toute autre question concernant votre état de santé. Ils ne communiqueront pas votre nom ou vos renseignements personnels aux chercheurs et ceux-ci ne seront pas en mesure de vous contacter directement, sans votre autorisation. Si vous êtes intéressé(e) par les informations que vous recevez concernant une étude ou un essai clinique particuliers, vous recevrez des renseignements sur la façon dont vous pourrez contacter les chercheurs en charge de cette étude ou de cet essai. Si vous décidez de

participer à l'étude/essai, vous devrez lire et signer un formulaire de consentement séparé. L'inscription au registre ne donne pas de droit de participation aux études ou aux essais.

Comment est-ce que je peux modifier mes données s'il change ?

Si vous acceptez de faire partie de cette étude, on vous demandera de fournir vos informations au début, 6 mois et 12 mois après, puis tous les ans par la suite pendant 15 ans. Nous vous enverrons des courriers pour vous rappeler de mettre à jour vos informations. Nous vous demandons également de nous informer s'il se produit des changements importants concernant vos informations dans la période entre les mises à jour, par exemple un changement d'adresse ou la perte de la marche

Mes données resteront-elles confidentielles ?

Toutes les informations que nous recevrons de votre part seront traitées confidentiellement. La création d'un registre nécessite l'existence d'un fichier contenant des données personnelles et médicales de malades. Ce fichier sera soumis à la réglementation sur la protection des données (lois nationales associées à la directive 95/46 de l'EU). Les informations seront cryptées et stockées sur un serveur sécurisé.

Si nous publions les résultats d'une recherche ou d'autres documents basés sur les données provenant des registres, cette recherche ne vous identifiera jamais par votre nom. Des tiers qui souhaiteraient avoir accès aux données dans le registre (par exemple des chercheurs ou des entreprises chargés de planifier des essais cliniques ou de mener des recherches sur de nouvelles thérapies) auront uniquement accès à des renseignements anonymes identifiables par un code. Avant d'être autorisés à accéder à ces informations anonymes, ils doivent avoir la permission du comité d'éthique ou du comité directeur. Vos données ne seront disponibles ni pour les employeurs, les organisations gouvernementales, les compagnies d'assurance ou les établissements d'enseignement, ni pour votre conjoint, les autres membres de votre famille ou votre médecin.

Une description de cette étude sera disponible sur <https://www.clinicaltrialsregister.eu> et sur <http://www.clinicaltrials.gov>. Ces sites Web n'incluront pas d'informations permettant de vous identifier. Ces sites Web comprendront tout au plus un résumé des résultats. Vous pouvez rechercher ces sites Web à tout moment. Vos données seront conservées pendant 15 ans sur un serveur hébergé en nuage, physiquement sécurisé et.

Que m'apportera cette inscription au registre ?

Le registre est conçu comme service public au profit des malades atteints d'HIBM. Vous ne recevrez aucun paiement ni aucun autre avantage financier par suite de l'envoi de vos données au registre. Les résultats de la recherche facilitée par le registre pourraient être brevetés ou pourraient avoir un potentiel commercial. Toutefois, vous ne recevrez pas des droits de brevet ou d'avantages financiers de tout le développement commercial ultérieur. Néanmoins, il peut y avoir d'autres avantages à participer, notamment les suivants : nous vous informerons (d'après les informations que vous et votre médecin fournirez) si vous pouvez être un candidat pour une étude ou un essai clinique. Nous vous informerons également si nous recevons de nouvelles informations sur votre maladie qui pourraient être d'intérêt pour vous, par exemple, si nous trouvons de meilleurs moyens de traiter des patients atteints d'HIBM. Les données recueillies pourraient également offrir des avantages pour les autres malades souffrant de votre maladie, par exemple, en fournissant des informations sur le nombre de personnes dans le monde qui en sont atteintes, ou en fournissant des informations pour les chercheurs

intéressés par les meilleures normes de soins pour votre maladie. Le registre permettra également de faire prendre conscience de la maladie et cela pourrait encourager la recherche et le développement dans ce domaine.

Est-ce que je serais mise au courant de nouvelles informations relatives à l'étude ?

Toute nouvelle découverte importante liée à l'étude vous sera communiquée par un membre de l'équipe de l'étude. Nous vous informerons également si nous publions des rapports ou des documents basés sur les données obtenues au moyen du registre. Dans toutes les publications, nous ne vous identifierons jamais par votre nom.

Dois-je participer au registre et puis-je me retirer si je change d'avis ?

Votre participation permanente dans ce projet est entièrement volontaire. Il n'y a pas de conséquences à se retirer de cette étude et votre refus de participer à l'étude ou votre retrait de l'étude n'entraînera aucune pénalité ni aucune perte d'avantages sur lesquels vous avez le droit. Vous pouvez cesser votre participation à l'étude à n'importe quel moment sans affecter la disponibilité de vos soins médicaux ultérieurs.

La loi sur la protection des données vous concède le droit d'accéder à vos données individuelles et à les rectifier ou les retirer complètement à tout moment. Si vous souhaitez retirer vos données du registre, vous serez libre de le faire sans avoir à fournir aucune explication. Si vous souhaitez vous retirer, vous devrez contacter les membres du personnel chargés du registre. Leurs coordonnées sont fournies ci-dessous.

Peut-on être radié du registre ?

Le conservateur ou le commanditaire de l'étude peuvent mettre fin à votre participation à ce registre sans votre autorisation à tout moment, si c'est dans votre intérêt ou si le registre est arrêté. Vous serez informé (e) de cette décision.

Quels sont les risques potentiels de faire partie du registre ?

Le registre sera stocké dans une base de données sécurisée en ligne. L'inscription par internet peut poser un risque pour la sécurité des données ; toutefois, des efforts importants sont mis en place pour garantir leur sécurité. Vous n'abandonnez pas vos droits légaux en signant ce formulaire. Aucun médicament expérimental sera donné à l'étude et aucun test ou procédure ne seront effectués, il n'existe donc aucun risque potentiel ni aucun effet secondaire liés à votre participation.

Qui dois-je contacter si j'ai d'autres questions ?

Si vous désirez information supplémentaire, si vous avez besoin de nous signaler un changement dans vos données, ou si vous souhaitez de retirer vos données du registre, veuillez contacter

Chercheur en chef (Chercheur principal): Professeur Hanns Lochmüller

Tél : 44 (0) 1912418602 ;

adresse : Institute of Genetic Medicine

University of Newcastle, International Centre for Life

Newcastle Upon Tyne, NE1 3BZ, UK

Oksana Pogoryelova

Tél : 44 (0) 191 2418640

Courriel : HIBM@treat-nmd.eu

adresse : Institute of Genetic Medicine

University of Newcastle, International Centre for Life

Newcastle Upon Tyne, NE1 3BZ, UK

Consentement éclairé

Numéro de protocole : UX001-CL401
Date/Version : 23 mai 2013

1. Avons-nous votre permission pour stocker vos données dans le registre international de l'HIBM (sous une forme identifiable uniquement par un code) où elles pourront être utilisées pour la recherche et la planification d'essais cliniques ?

Oui Non

2. Si nous recevons des informations sur l'HIBM liées à des projets ou d'autres informations relatives à votre état de santé qui pourraient être pertinentes pour vous, voulez-vous être informé(e) ?

Oui Non

3. Si nous recevons des informations sur une recherche ou un essai clinique pour lesquels vous pourriez être admissible, souhaitez-vous en être informé(e) ?

Oui Non

(Veuillez noter que même si les coordinateurs d'un essai clinique estiment que, d'après vos données stockées dans le registre, vous pourriez être admissible pour l'essai, il est possible qu'il s'avère par la suite que vous ne remplissez pas les critères d'inclusion dans l'essai. Sachez aussi que si nous vous informons de l'existence d'un essai, cela ne signifie pas que nous l'approuvons. Pour participer à n'importe quel essai, vous devrez remplir un formulaire de consentement éclairé séparé de ce que vous être entrant de remplir aujourd'hui.)

4. Afin que nous puissions tenir le registre à jour, nous aurons besoin de vous contacter et nous vous demanderons de nous informer des changements dans votre état de santé. Acceptez-vous de recevoir et de compléter tous les formulaires une ou deux fois par an en vous connectant à la base de données du registre et en enregistrant tout changement dans votre état de santé ?

Oui Non

5. Si vos données changent (par exemple un changement d'adresse ou des changements dans votre état de santé, comme la perte de la marche) dans le période entre les mises à jour, êtes-vous prêt(e) à nous en informer ?

Oui Non

Je comprends que les sections pertinentes de mes notes médicales et des données recueillies au cours de l'étude pourront être consultées par les chercheurs de l'étude, par les autorités réglementaires (tels que FDA, DHHS ou trust NHS), lorsque cela relève de ma participation à cette recherche. J'autorise ces personnes à accéder à mes données.

Oui Non

Je soussigné(e),....., ai compris le formulaire d'information du patient et de consentement éclairé. La nature du registre m'a été pleinement expliquée. J'ai eu l'occasion de poser des questions et j'ai reçu une réponse satisfaisante à toutes mes questions. Après y avoir bien réfléchi, je consens à participer à ce registre.

6 . Je donne mon autorisation pour contacter la clinique, l'hôpital ou le laboratoire afin de leur demander une copie des résultats de mon test génétique et/ou de ma biopsie :

Oui

Non

Votre médecin (expert-conseil ou médecin): **(zone de texte pour le nom et les coordonnées).**

Date

Signature