



CL401-UX001



מאגר HIBM בינלאומי
נתוני מטופל והסכמה מדעת

שם הפרויקט: ניוון שרירים עם גופיפי הסגר - תכנית ניטור חולים (HIBM-PMP): רישום ומחקר מהלך טבעי תצפיתי ועתיד להערכת היקף מחלת ה-HIBM.

CL401-UX001
23 במאי 2013

פרוטוקול מס':
גרסה/ תאריך:

נבקשכם להשתתף במאגר רישומי. לפני שתסכימו ליטול חלק במחקר זה, חשוב שתבינו מה עומד בבסיס מחקר זה ומה יעשה עם המידע שתספקו. טופס זה מכיל תשובות לשאלות שעשויות לעלות במוחכם. בכל מקרה, אם אחרי שתקראו טופס זה יהיו לכם שאלות נוספות הקשורות למחקר זה, תוכלו ליצור קשר עם המתאם של המאגר או עם צוות מוסמך לפני חתימתכם על טופס ההסכמה. פרטי ההתקשרות מצורפים בסופו של מסמך זה.

נתוני המטופל וטופס ההסכמה נבדקים על ידי שני רופאים שהם חברי הארגון העולמי של החולים במחלות הנירומוסקולריות

ניוון שרירים עם גופיפי הסגר (HIBM - Hereditary Inclusion Body Myopathy), הידועה גם בשמות מחלת נונאקה, מיופתיה GNE או מיופתיה דיסטלית עם חללים מעוטרים היא מחלת ניוון שרירים נדירה. אתם מתבקשים ליטול חלק במסד הנתונים הבינלאומי (מאגר) של חולים במחלת HIBM. משמעות הרישום במסד הנתונים היא שנבקש מכם למלא את השאלון על מנת לספק לנו מידע בנוגע למצב שלכם, להיסטוריה הרפואית הכללית שלכם, לתרופות שאתם נוטלים, לאיכות חייכם וליכולתכם לנוע. מענה על כל השאלות הראשונות יארך כשעה וחצי. תוכלו לענות על כמה שאלות שתחפצו ולחזור לרשום שלכם במועד מאוחר יותר על מנת לענות על יתרת השאלות.

ניצור עמכם קשר בעוד 6 חודשים, 12 חודשים ולאחר מכן, מדי שנה על מנת לבקשכם לעדכן את הפרופיל שלכם ולמלא טופס קצר. אם תסכימו, ניצור עמכם קשר על מנת לדווח על התקדמויות בחקר מחלת ה-HIBM, וכן לספר לכם על מחקרים וניסויים הנוגעים למחלה.

הסכמתכם להשתתפות במאגר ניתנת בהתנדבות ותוכלו למשוך אותה בכל עת ללא צורך לתת הסבר כלשהו. אין להשתתפותכם במאגר כל השפעה על הטיפול הרפואי שלכם בכל צורה שהיא. הסכמתכם להשתתף במחקר זה תבוצע באופן אלקטרוני. המאגר יאוחסן בצורה מקוונת וניתן לגשת למידע באמצעות גופים רגולטורים בארצות הברית ובבריטניה (ה-FDA וה-DHHS, בהתאמה) וחוקרים מאושרים בלבד.

רישום במסד הנתונים דרך האינטרנט עשוי להוות סיכון מסוים לבטיחות המידע; אולם בכל מקרה, נעשים מאמצים משמעותיים על מנת למנוע מקרים של חשיפה מסוג כלשהו. תיעוד המאגר וקווי המדיניות נבדקו ונמצא כי הם עומדים בתנאי נוהל תקין וחקיקה לאומית (ניתן אישור בבריטניה שם מרוכז המסד). כל פריט מידע שתמסרו לנו יטופלו בצורה חסויה.

מי מנהל את המחקר?

המחקר מנוהל על ידי TREAT-NMD (אוניברסיטת ניוקאסל בבריטניה), ועדת היגוי המורכבת ממומחים רפואיים בתחום מחלת ה-HIBM ומנציגי חולים, בשיתוף חברת התרופות Ultragenyx Pharmaceutical. ל-TREAT-NMD ניסיון רב בנייהול רישומים של מחלות ניוון שרירים נדירות. למידע נוסף, בקרו ב-www.treat-nmd.eu.

מהו רישום החולים ומדוע אנו מעוניינים ליצור מאגר מעין זה?

כאשר מתוכנן מחקר או ניסוי קליני, יש חשיבות עליונה לכך שחולים מתאימים יאותרו לניסוי זה ושייווצר עמם קשר במהירות. המאגר משמש כמעין גשר שמקשר בין החולים ובני משפחותיהם לרופאים ולחוקרים שמנסים להבין את המחלה ולטפל בה על ידי וידוא שפרטי החולים מקובצים במסד נתונים (או "מאגר") אחד. רשת TREAT-NMD ו-Ultragenyx Pharmaceutical יוצרות מאגר בינלאומי זה עבור אנשים ממדינות שונות הסובלים מ-HIBM.

של מי הנתונים שנאספו אל תוך מאגר זה?

מאגר זה מתעד חולים בני 18 שנים לפחות הסובלים מ-HIBM. זו הפרעה הכוללת ניוון שרירים ואינה נפוצה באוכלוסיה הכללית. התבקשתם להיות חלק ממאגר זה ולמלא טופס זה מכיוון שאתם סובלים ממצב זה. באפשרותכם לבקש מרופאכם לסייע לכם לענות על מספר מהשאלות. אף על פי שיש מספר חולים לא קטן שאותרו ברחבי העולם, קיים רק מאגר לאומי אחד שהושק עבור חולי HIBM ביפן. מטרתנו היא ליצור מאגר רישום בינלאומי על מנת להיטיב להבין את אוכלוסיית החולים העולמית ולאפשר גישה לחולי HIBM בכל העולם.

מהו המידע שאנו אמורים לספק?

תישאלו שאלות לגבי העבר שלכם כחולי HIBM: מתי, היכן וכיצד אובחנתם, אילו טיפולים עברתם על מנת לסייע לכם להתמודד עם המצב שלכם, והאם בני משפחה אחרים סובלים מ-HIBM. תתבקשו לשתף את תוצאות ניתוח הדנ"א שלכם, את העבר הרפואי הכללי שלכם, וכל תרופה שנטלתם בעבר או שאתם נוטלים היום. תתבקשו למלא סדרה של שאלונים שישאלו אתכם אודות איכות חייכם, עד כמה אתם מצליחים לנוע בעצמכם ויכולתכם לטפל בעצמכם. בהתבסס על המידע שתספקו, הצוות שממונה על המאגר עשוי להזדקק לגישה לרשומות הרפואיות שלכם על מנת לקבל מידע הנחוץ לפרויקט (לדוגמה, אנו עשויים להצטרך לבקש מהגנטיקאי או מהרופא שלכם למסור לנו עותק של הדו"ח הגנטי שלכם וכן מידע לגבי ביופסית השריר שלכם).

מה יקרה אם לא נרצה לענות או אם לא נדע את התשובה לשאלה בשאלון?

תוכלו לענות על כמה שאלות שתחפצו בכל מועד. באפשרותכם לבקש מרופאכם לסייע לכם לענות על מספר מהשאלות. תוכלו תמיד לחזור לענות על כמה שאלות שתחפצו ולענות על יתרת השאלות במועד מאוחר יותר. אנו מפצירים במשתתפים לענות על כמה שיותר שאלות ככל שניתן מכיוון שהדבר יסייע לנו לקבל מושג טוב יותר של MHIIB.

למי יש גישה לנתונים שלנו?

המידע שתספקו יוזן למאגר הבינלאומי שנמצא תחת פיקוחו של TREAT-NMD. הנתונים שלכם יאוחסנו בצורה מאובטחת ולא יורשה לשום אדם שאינו מורשה לקבל גישה לאיזשהו מידע אודותכם. רק חוקרים שאושרו על ידי ועדות האתיקה המקומיות שלהם ועל ידי TREAT-NMD, ועדות היגוי וחברת Ultragenyx Pharmaceutical יקבלו זכות גישה למידע האנונימי שבמאגר.

המידע שלכם (פרט לשמותיכם ופרטי הקשר שלכם, שלא ייחשפו) עשויים להיות לעמוד לרשותם של האנשים או הקבוצות דלהלן על מנת שיוכלו לבצע את משימותיהם הקשורות למחקר:

■ לנותן החסות של המחקר, חברת Ultragenyx Pharmaceutical, תהיה גישה למידע נטול הזהות על מנת לנתח את התוצאות ולתכנן מחקרי וניסויים קליניים עתידיים.

● חברה המשתפת פעולה עם Ultragenyx (Summit Analytical) תקבל גישה למסד הנתונים על מנת לספק תחזוקת מסד נתונים ולהבטיח את תקינות תפקודו ולסייע בנייתו.

אלה שיקבלו את המידע שלכם עשויים לשתף אותו אם יידרשו לעשות כן לפי החוק:

- הגופים הרגולטוריים בבריטניה ובארה"ב (כגון ה-DHHS וה-FDS, בהתאמה) עשויים לבחון את המידע שלכם (כולל פרטים מזהים) על מנת לאשר את הדיוק של נתוני המחקר.
- ועדה עצמאית של רופאים ומומחים שיבחנו את נתוני האבטחה של מחקר זה.
- אנשים או עסקים כגון חברות אחסון מידע או חברות מערכות מידע מחוץ למחקר שמספקים שירותים אלה
- היה והחוק ידרוש את הדבר, סוכנויות רגולטוריות עשויות לבחון את נתונים שסופקו למטרות אבטחת איכות או בקרת איכות.

במסגרת המאגר, זיהוי המידע שלכם יתבצע באמצעות קוד ולא באמצעות מספר.

משמעות הדבר היא שכאשר חוקרים מבצעים מחקר על המאגר, לא יוכלו למצוא בו את פרטיכם האישיים (שם, כתובת וכד'), אלא רק את המידע הנחוץ להם על מנת לקבל ידע על מצבכם ושייכותם להם להחליט אם תתאימו למחקר או לניסוי. אם יגיעו למסקנה שאתם עומדים בקני המידה של המחקר שלהם, ייצרו קשר עם האדם שממונה על מסד הנתונים. הצוות שעובד על המאגר יבצע איתור דרך הנתונים על מנת למצוא את הפרטים האישיים וייצור עמכם קשר על מנת ליידע אתכם בנוגע לניסוי או נושאים אחרים הרלוונטיים למצב שלכם. הם לא יספקו לחוקרים את שמכם ופרטיכם האישיים ולא ייצרו עמכם קשר ישירות אלא אם תאשרו זאת מראש. אם תהיו מעוניינים במידע שתקבלו אודות מחקר או ניסוי קליני מסוים, תקבלו מידע שיכוון אתכם כיצד תוכלו ליצור קשר עם החוקרים שמנהלים אותו. אם תחליטו ליטול חלק במחקר או בניסוי, תצטרכו לקרוא ולחתום על טופס הסכמה נפרד. הרשמה למאגר אינה מזכה אתכם להשתתפות במחקרים או בניסויים.

כיצד נוכל לעדכן את הנתונים שלנו אם משהו ישתנה?

אם תסכימו ליטול חלק במחקר זה, נבקשכם לספק לנו את הנתונים שלכם בקו הבסיס, בעוד 6 חודשים, בעוד 12 חודשים ולאחר מכן מדי שנה למשך 15 שנים. אנו נשלח לכם הודעות דוא"ל שיזכירו לכם לעדכן את הנתונים שלכם. כמו כן, אנו מבקשים מכם ליידע אותנו בכל שינוי משמעותי בפרטיכם שעשוי להשתנות בתקופות בין העדכונים כגון שינוי כתובת או אבדן ניידות (כלומר, היכולת ללכת).

האם הנתונים שנמסרו יישמרו בצורה סודית?

כל פריט מידע שתמסרו לנו יטופלו בצורה חסויה. יצירת המאגר מצריך קיומו של קובץ המכיל את הנתונים האישיים והרפואיים של המטופל. קובץ זה כפוף לתקנות הגנת המידע (חוקים לאומיים הקשורים להנחיות האיחוד האירופי 46/95). המידע יוצפן ויאוחסן בשרת מאובטח. אם נפרסם מחקר או מסמך אחר כלשהו המבוסס על נתונים מתוך מסד הנתונים, המחקר לעולם לא יזהה אתכם בשמכם. גורמי צד שלישי שיבקשו להשתמש בנתונים שבמסד הנתונים (כגון חוקרים או חברות המתכננים ניסויים רפואיים או חוקרים של שיטות טיפול חדשות) יקבלו גישה רק לנתונים נטולי זהות כשהזהות של בעלי הנתונים שמורה באמצעות קוד. לפני שיקבלו גישה אף לנתונים נטולי זהות אלה, עליהם לקבל רשות מועדת אתיקה או היגוי. הנתונים שלכם לא ייחשפו בפני מעסיקים, ארגונים ממשלתיים, חברות ביטוח או מוסדות חינוכיים כמו גם לא יובאו לידיעת בני זוגכם, בני משפחה אחרים או הרופא שלכם.

ניתן לקרוא תיאור של מחקר זה ב- <https://www.clinicaltrialregister.eu> וב-

<http://www.clinicaltrials.gov>. אתרים אלה יכללו כל מידע שעשוי לזהות אתכם. לכל היותר, אתרים אלה יכללו סיכום של התוצאות. באפשרותכם לחפש באתרים אלה בכל עת. הנתונים שלכם יישמרו במשך עד 15 שנים בשרת מבוסס ענן מאובטח פיזית ולוגית.

איזו טובה תעלה לנו מהרשמה?

המאגר מיועד להיות שירות ציבורי לתועלת אלה שחיים עם מחלת ה-H1BM. לא תקבלו כל תשלום או כל תועלת כלכלית אחרת בעקבות הזנת הנתונים שלכם אל תוך המאגר. תוצאות המחקר שיושגו בעזרת המאגר עשויים להירשם כפטנט או להיות בעלי ערך מסחרי. בכל אופן, לא תקבלו כל זכויות לפטנט ולא תזכו לכל תועלות כלכליות מכל פיתוח כלכלי עתידי. אף על פי כן, יתכן שיהיו הטבות

אחרות מהשתתפות, למשל, אנו נודיע לכם (על בסיס המידע שאתם ורופאכם תספקו) אם תימצאו מתאימים להשתתפות במחקר או ניסוי רפואי כלשהו. בנוסף, נודיע לכם אם נקבל כל מידע חדש לגבי ההפרעה שעשוי לעניין אתכם, כגון מציאת דרך משופרת לטיפול בחולי HIBM. הנתונים שיאספו עשויים גם להועיל לחולים אחרים הלוקים בהפרעה שלך, למשל על ידי מתן מידע לגבי מספר האנשים בכל העולם הלוקים בה או אספקת נתונים לחוקרים המחפשים אחרי רמת הטיפול המתאימה ביותר בהפרעה שלכם. המחקר גם יסייע להגביר את המודעות למחלה ועשוי לעודד המשך מחקר ופיתוח.

האם נקבל מידע חדש הקשור למחקר?

כל ממצא משמעותי חדש הקשור למחקר יועבר לידיעתכם באמצעות חבר בצוות המחקר. כמו כן, נודיע לכם אם נפרסם דו"חות או מאמרים המבוססים על הנתונים שהושגו באמצעות המאגר. בכל מקרה, לא יהיו כל פרטים מזהים בפרסומים.

האם אני חייב להשתתף במאגר וכיצד אוכל למשוך את השתתפותי אם אשנה את דעתי?

השתתפותכם המתמשכת בפרויקט זה התנדבותית לחלוטין. לא יהיו כל השלכות לפרישתכם ממחקר זה והיה ותבקשו למשוך את הסכמתכם או תסרבו להשתתף במחקר, לא תהיה כל ענישה או הפסד של תועלות להם תהיו זכאים. תוכלו לחדול להיות חלק מהמחקר בכל עת ללא השפעה על זמינות עתידית של טיפול רפואי לכם.

חוק הגנת המידע מעניק לכם את הזכות לקבל גישה לנתונים האישיים שלכם ולתקנם או למשוך אותם לגמרי בכל עת. היה ותבחרו להוציא את הנתונים שלכם מהמאגר, הדבר יהיה במסגרת האפשרויות שלכם בלי כל צורך לתת הסברים לאיש. אם תבקשו לצאת מהמאגר, עליכם ליצור קשר עם חבר בצוות הממונה על המאגר. פרטי קשר מצורפים למטה.

האם ניתן להסירכם מהמאגר?

מרכז המחקר או נותן החסות עשוי להביא את השתתפותכם במאגר זה לידי סיום ללא קבלת הסכמתכם בכל עת, אם הדבר נעשה על מנת להיטיב עמכם או אם המאגר הובא לידי סיום. תקבלו הודעה במקרה זה.

מהם הסיכונים הפוטנציאליים שטמונים בהשתתפות במאגר?

המאגר יאוחסן במסד נתונים מאובטח על גבי שרת אינטרנט. רישום דרך האינטרנט עשוי להוות סיכון מסוים לבטיחות המידע; אולם בכל מקרה, נעשים מאמצים משמעותיים על מנת למנוע תקלות מסוג זה. אינכם מוותרים ולו על זכות חוקית אחת שלכם כאשר אתם חותמים על טופס זה. לא תינתן כל תרופה ניסיונית במהלך המחקר ולא יבוצעו כל בדיקה או הליך אחר לצורך מחקר זה ולכן אין כל סיכון או השפעות לוואי פוטנציאליות כתוצאה מהשתתפותכם.

למי עלינו לפנות אם יתעוררו אצלי שאלות נוספות?

אם תבקשו לשאול כל שאלה נוספת או לספר לנו כל שינוי בנתונים שלכם או אם ברצונכם להוציא את הנתונים שלכם מהמאגר, אתם מוזמנים ליצור קשר עם:

חוקר ראשי: פרופ' האנס לוכמולר

טל': +44-(0)-1912-418602

כתובת למשלוח דואר:

Institute of Genetic Medicine

University of Newcastle, International Centre for Life

Newcastle Upon Tyne, NE1 3BZ, UK

אוקסנה פוגורילובה

טל': +44-(0)-1912-418640

דוא"ל: HIBM@treat-nmd.eu

כתובת למשלוח דואר:

Institute of Genetic Medicine

University of Newcastle, International Centre for Life

Newcastle Upon Tyne, NE1 3BZ, UK

הסכמה מדעת

פרוטוקול מס': CL401-UX001
גרסה/ תאריך: 23 במאי 2013

1. האם נוכל לקבל את הסכמתך לאגור את הנתונים שלך ממאגר ה-HIBM הבינלאומי (בצורה שזיהוי יכול להתבצע רק עם קוד) בו הוא עשוי לשמש למחקר ולתכנון ניסויים רפואיים?

כן לא

2. אם נקבל מידע הקשור לפרויקטים הקשורים למחלת ה-HIBM או כל מידע אחר הקשור למצבך שעשוי להיות רלוונטי לך, האם יש לך עניין לקבל מידע אודות כך?

כן לא

3. אם נקבל מידע אודות מחקר או ניסוי רפואי שתהיה לך התאמה להשתתפות בו, האם יש לך עניין לקבל מידע אודות כך?

כן לא

(לתשומת לבך: גם אם מתאמי הניסוי הרפואי, בהתבסס על הנתונים אודותיך שאגורים במאגר, מעריכים כי אתה יכול להתאים להשתתף בו, ישנה אפשרות שבמועד מאוחר יותר יתברר שככלות הכול לא תהיה התאמה מלאה בקני המידה של הכללה בניסוי. כמו כן, יש לזכור שאם נודיע לך על קיומו של ניסוי, אין הדבר רומז שאנו ממליצים עליו. על מנת להשתתף בכל ניסוי שהוא, עליך למלא טופס הסכמה מדעת נפרד).

4. על מנת לשמור על המאגר מעודכן, נזדקק ליצור עמך קשר ולשאול אותך אודות שינויים במצבך הרפואי. האם נוכל לקבל את הסכמתך לקבל טפסי מעקב ולהשלים פעם או פעמיים בשנה על ידי כניסה למסד הנתונים של המאגר ורישום כל סוג של שינוי של מצבך הרפואי?

כן לא

5. האם נוכל לקבל את הסכמתך ליידע אותנו בכל שינוי בנתוניך (כדוגמת שינוי כתובת או שינויים במצבך הרפואי כגון אובדן הניידות האישית) במהלך התקופה שבין עדכונים?

כן לא

מובן לי שהסעיפים הרלוונטיים של ההערות הרפואיות והנתונים שיאספו במהלך המחקר עשויים להיבחן על ידי חוקרים מטעם המחקר, על ידי רשויות רגולטוריות (כגון מה-FDA, ה-DHHS או מקרן ה-NHS) כאשר הדבר יהיה רלוונטי להשתתפותי במחקר זה. הסכמתי נתונה לאנשים הבאים לקבל גישה לרשומתיי מטעם גופים אלו.

כן לא

אני, _____, הבנתי את טופס נתוני החולה ואת טופס ההסכמה מרצון. טבעו של המאגר הוסבר לי בצורה מלאה. עמדה לרשותי ההזדמנות לשאול שאלות וכל שאלותיי שנשאלו, זכו למענה שסיפק אותי. לאחר שיקול דעת בנושא, נתונה הסכמתי ליטול חלק במאגר זה.

6. הסכמתי נתונה ליצור קשר עם המרפאה, בית החולים או המעבדה להלן על מנת לבקש העתק של תוצאות הבדיקה הגנטית ו/או הביופסיה שלי:

כן לא

הרופא שלך (מומחה או הרופא המטפל): [תיבת טקסט לטובת שם ופרטי קשר]

חתימה

תאריך