



UX001-CL401



Registro Internacional de la MHCI

Información para el paciente y consentimiento informado

Nombre del proyecto: Miopatía Hereditaria con Cuerpos de Inclusión - Programa de Monitorización del Paciente

(MHCI-PMP): Un registro y estudio prospectivo observacional de la historia natural para evaluar la MHCI

Número de Protocolo:

UX001-CL401

Fecha/Versión:

23 Mayo 2013/2

Le pedimos que forme parte de nuestro registro. Antes de que acceda a formar parte de este estudio, es importante que entienda de qué trata este estudio de investigación y qué haremos con la información que nos proporcione. Este formulario contiene las respuestas a preguntas que puedan surgirle. Aún así, si después de haber leído este formulario sigue teniendo más preguntas relativas al estudio, puede contactar tanto con el coordinador del registro como con cualquiera del personal autorizado antes de firmar el formulario de consentimiento. Los datos de contacto están incluidos al final de este documento.

La información del paciente y el formulario de consentimiento han sido examinados por dos miembros de la organización de pacientes de la fundación de enfermedades neuromusculares.

Resumen

La Miopatía Hereditaria con Cuerpos de Inclusión (MHCI) también conocida como miopatía Nonaka, miopatía GNE o miopatía distal con vacuolas ribeteadas es una afección muscular poco frecuente. Le pedimos que forme parte de la base de datos internacional (registro) de pacientes con MHCI. Registrarse en la base de datos significa que le pediremos que rellene cuestionarios para informarnos de los detalles de su afección, su historial médico, medicamentos que esté tomando, su calidad de vida y su capacidad de movimiento. Rellenar todas las preguntas por primera vez le llevará aproximadamente una hora y media. Puede rellenar tantas preguntas como desee y regresar a su perfil para completar el resto más tarde.

Contactaremos con usted en 6 meses, 12 meses y, a partir de entonces, una vez al año para pedirle que actualice su perfil rellenando un pequeño formulario. Si acepta, también contactaremos con usted para informarle de los avances en la investigación, estudios y pruebas experimentales de la afección MHCI.

La aceptación para participar en el registro es voluntaria y puede darse de baja del registro en cualquier momento sin necesidad de dar razones. La atención médica que reciba no se verá afectada de ningún modo por su participación en este estudio. Su consentimiento para participar en este estudio se realizará de forma electrónica. El registro se almacenará en Internet para que puedan acceder desde Reino Unido y EE. UU. los organismos reguladores (la Administración de Alimentos y Medicamentos y el Departamento de Salud y Servicios Sociales) y los investigadores autorizados.

El registro en la base de datos a través de Internet puede poner en riesgo la seguridad de sus datos; sin embargo, nos esforzamos para asegurarnos de que esto no ocurra. La documentación y política del registro se ha revisado y se ajusta a prácticas adecuadas y a la legislación nacional (la aprobación Caldicott ha sido garantizada en Reino Unido). Toda la información que recibamos de usted será tratada de manera confidencial.

¿Quién organiza este estudio?

Esta investigación la llevan a cabo TREAT-NMD (Universidad de Newcastle), un comité directivo formado por profesionales médicos expertos en MHCI y defensores de los pacientes, junto con Ultragenyx Pharmaceutical. TREAT-NMD tiene una extensa experiencia en registros de afecciones poco frecuentes de los músculos. Para más información, por favor, consulte www.treat-nmd.eu

¿Qué es un registro de pacientes y por qué queremos crear uno?

Cuando se planea un estudio clínico o una prueba experimental, es importante poder encontrar y contactar a los pacientes adecuados para esa prueba rápidamente. Un registro es como un puente que conecta a los pacientes y sus familias con los médicos e investigadores que intentan entender y tratar esa enfermedad asegurándose de que los datos de los pacientes se recogen en una única base de datos o “registro”. La red de TREAT-NMD y Ultragenyx Pharmaceutical están creando este registro para personas de todo el mundo que padecen MHCI.

¿De quién son los datos que estamos recopilando en este registro?

Este registro es para pacientes de más de 18 años que padezcan MHCI. La MHCI es un trastorno que debilita los músculos, poco común entre la población. Se le ha pedido que forme parte del registro y que rellene este formulario porque usted padece esta enfermedad. Puede pedir ayuda a su médico para contestar alguna de las preguntas. A pesar de que se han identificado pacientes por todo el mundo, solo se ha creado previamente un registro nacional de pacientes de MHCI en Japón. Nuestro objetivo es crear un registro internacional para comprender mejor a la población global de pacientes y facilitar el acceso a los pacientes con MHCI alrededor del mundo.

¿Qué información se me pedirá proporcionar?

Se le pedirá información de su historial de MHCI: cuándo, dónde y cómo le fue diagnosticada, a qué tratamientos se ha sometido para controlar su enfermedad y si algún miembro de su familia padece también MHCI. Se le pedirá que comparta resultados de su análisis de ADN, su historial médico general y cualquier medicación previa o actual que haya tomado. Tendrá que completar una serie de cuestionarios en los que se le preguntará acerca de su calidad de vida, lo bien que se puede mover y valerse por sí mismo.

En función de la información que nos proporcione, el personal a cargo del registro puede necesitar acceso a su historial médico para obtener información necesaria para el proyecto (por ejemplo, es posible que tengamos que pedir a su genetista o a su médico una copia de su informe genético además de los resultados de sus biopsias musculares).

¿Qué ocurre si no quiero responder a algunas de las preguntas o no sé cómo contestar a una de las preguntas del formulario?

Puede completar tantas preguntas como quiera a la vez. Puede pedirle ayuda a su médico para contestar a algunas preguntas. Siempre podrá volver a su perfil y seguir completando el resto de preguntas más tarde. Animamos a los participantes a que respondan tantas preguntas como sea posible, ya que nos proporcionará un mayor conocimiento acerca de la MHCI.

¿Quién tendrá acceso a mi información?

La información que nos proporcione se introducirá en un registro internacional supervisado por TREAT-NMD. Sus datos se almacenarán de forma segura y ninguna persona sin autorización podrá acceder a su información. Tendrán acceso a la información anónima registrada únicamente los investigadores con permiso de su comisión ética local y de TREAT-NMD, el comité directivo y Ultragenyx Pharmaceutical Inc.

Su información (exceptuando su nombre y sus datos de contacto, que no se revelarán) puede compartirse con las siguientes personas o grupos para que puedan llevar a cabo sus funciones en relación con el estudio:

- El patrocinador del estudio, Ultragenyx Pharmaceutical Inc. tendrá acceso a información sin datos de identificación para analizar resultados y planificar futuros estudios clínicos y pruebas experimentales.
- El colaborador de Ultragenyx (Summit Analytical) tendrá acceso a la base de datos para su mantenimiento, para asegurar su correcto funcionamiento y para ayudar a analizar los datos.

Aquellos que reciban su información pueden compartirla si la ley así lo requiere:

- Los organismos reguladores de EE. UU. y Reino Unido (como la Administración de Alimentos y Medicamentos y el Departamento de Salud y Servicios Sociales) podrán revisar u obtener su información (incluyendo su identidad y su nombre) para confirmar la exactitud de los datos de la investigación.
- Un comité independiente de doctores y expertos que revisarán la información de seguridad de este estudio.
- Personas o grupos proveedores de servicios, como compañías de almacenamiento de datos o compañías informáticas externas al estudio.
- Si la ley lo requiriera, las agencias reguladoras de otros países podrían revisar la información proporcionada para asegurar su calidad o con fines de control de calidad.

En el registro, su información se identificará únicamente con un código anónimo, no con su nombre.

Esto significa que cuando los investigadores utilicen el registro, no podrán averiguar su información personal (nombre, dirección, etc.), sino únicamente la información necesaria sobre su enfermedad que les ayude a decidir si usted podría ser un candidato válido en pruebas experimentales o estudios. Si piensan que podría ser un candidato válido, contactarán con la persona a cargo del registro. El personal que trabaje en el registro “descodificará” los datos para averiguar su información personal y contactará con usted para proporcionarle la información de la prueba experimental o de cualquier otro aspecto relacionado con su enfermedad. No le darán su nombre o datos personales a los investigadores y no podrán contactarle directamente a no ser que usted lo autorice. Si está interesado en la información que reciba sobre un estudio clínico o prueba en particular, se le proporcionará información para poder contactar con los investigadores que lo estén llevando a cabo. Si decide formar parte del estudio o prueba, necesitará

revisar y firmar un consentimiento diferente. Al firmar su acceso al registro, usted no está autorizando su participación en estudios o pruebas.

¿Cómo puedo actualizar mis datos si ha cambiado algo?

Si consiente formar parte de este registro, le pediremos que nos proporcione su información al principio, a los 6 meses, a los 12 meses y una vez al año a partir de ese momento durante 15 años. Le enviaremos correos electrónicos recordándole que actualice su información. También le pediremos que nos informe si algún gran cambio en sus detalles ocurre entre los periodos de actualización, como un cambio de domicilio o pérdida de movilidad (por ejemplo, de la capacidad para caminar).

¿Se mantendrá mi información de manera confidencial?

Toda la información que recibamos se tratará de manera confidencial. La creación de un registro requiere que exista un archivo con la información personal y médica del paciente. Este archivo estará sujeto a las regulaciones de protección de datos (leyes nacionales relativas a la directiva de la UE 95/46). La información se cifrará y almacenará en un servidor seguro.

Si publicamos cualquier investigación o cualquier otro documento basado en los datos del registro, esta investigación no le identificará nunca por su nombre. Los terceros que quieran acceder a los datos del registro (como investigadores o compañías que planifiquen pruebas clínicas o que quieran conducir una investigación de nuevas terapias) solo tendrán acceso a información anónima mediante un código. Antes de darles acceso incluso a esta información anónima, necesitarán un permiso del comité de ética o directivo. Sus datos no estarán disponibles para empleadores, organizaciones gubernamentales, compañías de seguros o instituciones educativas. Tampoco para su cónyuge, otros miembros de su familia o su médico.

Una descripción de este estudio estará disponible en <https://www.clinicaltrialsregister.eu> y en <http://www.clinicaltrials.gov>. Estas páginas web no incluirán información que le pueda identificar. Como mucho, estas páginas mostrarán un resumen de los resultados. Puede hacer una búsqueda en estas páginas en cualquier momento. Sus datos se mantendrán almacenados hasta 15 años en un servidor seguro en la nube.

¿Cómo saldré beneficiado al registrarme?

El registro está planeado como un servicio público para beneficiar a los pacientes con MHCI. Usted no recibirá ningún pago o beneficio económico por proporcionar sus datos en el registro. Los resultados de investigaciones obtenidos gracias al registro pueden patentarse o tener un potencial valor económico. Sin embargo, usted no recibirá derechos de la patente o beneficios económicos de cualquier desarrollo comercial futuro. Aún así, puede disfrutar de muchos beneficios al participar, incluyendo los siguientes: le informaremos (en base a la información que nos proporcionen tanto usted como su médico) de si puede ser un candidato válido para ciertos estudios clínicos o pruebas experimentales. También le informaremos si recibimos información nueva sobre su enfermedad que pueda ser de su interés, por ejemplo, si encontramos métodos nuevos para tratar a pacientes con MHCI. Los datos compilados también beneficiarán a otros pacientes con su trastorno, por ejemplo, proporcionando información de cuántas personas padecen este trastorno en el mundo o proporcionando información a los

investigadores interesados en dar mejores niveles de tratamiento para su enfermedad. También ayudará a aumentar la sensibilización social hacia la enfermedad y podría animar a que investigaciones y progresos futuros se lleven a cabo.

¿Me informarán de la información nueva relativa al estudio?

Un miembro del equipo de estudio le comunicará cualquier descubrimiento significativo. También le informaremos si publicamos cualquier informe o documento basado en los datos obtenidos mediante el registro. En ninguna publicación mencionaremos su nombre.

¿Es obligatorio que participe en el registro? ¿Puedo darme de baja si cambio de opinión?

Su participación continua en este proyecto es completamente voluntaria. No habrá ninguna repercusión si decide negarse a formar parte del registro y su negativa no conllevará ninguna sanción o pérdida de los beneficios que le corresponden. Puede decidir abandonar el registro en cualquier momento sin que esto afecte a su asistencia médica futura.

La política de protección de datos le da el derecho a acceder a sus datos y rectificarlos o borrarlos en cualquier momento. Si quisiera borrar sus datos del registro será libre de hacerlo sin tener que proporcionarnos ninguna explicación. Si quiere borrarlos, deberá ponerse en contacto con el personal a cargo del registro. La información de contacto la encontrará al final del documento.

¿Me pueden borrar del registro?

El responsable o patrocinador del estudio puede acabar con su participación en el registro sin su permiso en cualquier momento, si es lo mejor para usted o si el registro se para. Contactarán con usted si esto ocurre.

¿Cuáles son los riesgos potenciales de participar en el registro?

El registro se almacenará en una base de datos electrónica segura. Registrarse en Internet puede entrañar ciertos riesgos para la seguridad de sus datos, sin embargo, nos esforzamos para asegurarnos de que esto no ocurra. Usted no renuncia a ninguno de sus derechos legales al firmar este formulario. No habrá estudios experimentales con medicamentos y no se llevarán a cabo pruebas ni intervenciones, por lo que no hay riesgos potenciales o efectos secundarios por participar.

¿Con quién debo contactar si tengo más preguntas?

Si desea información adicional o necesita contarnos algún cambio en sus datos o quiere borrarlos del registro, por favor, contacte:

Jefe de la Investigación: Profesor Hanns Lochmüller

Tel.: 44 (0) 1912418602;
Dir.: Institute of Genetic Medicine
University of Newcastle, International Centre for Life
Newcastle Upon Tyne, NE1 3BZ, UK

Oksana Pogoryelova

Tel.: 44 (0) 191 2418640
Correo: HIBM@treat-nmd.eu
Dir.: Institute of Genetic Medicine
University of Newcastle, International Centre for Life
Newcastle Upon Tyne, NE1 3BZ, UK

Consentimiento Informado

Número de protocolo: UX001-CL401
Fecha/Versión: 23 Mayo 2013/12

1. ¿Tenemos permiso para almacenar sus datos en el registro internacional de MHCI (en un formato con código identificativo) donde puedan usarse para la investigación o para la planificación de pruebas clínicas?

Sí No

2. Si recibimos información sobre proyectos relacionados con la MHCI o cualquier otra información relacionada con su trastorno que pueda ser relevante para usted, ¿quiere que le informemos?

Sí No

3. Si recibimos información sobre una investigación clínica o prueba experimental para la que pueda ser elegido, ¿quiere que le informemos?

Sí No

(Le rogamos que tenga en cuenta que incluso si los coordinadores de una prueba experimental consideran que puede ser elegido para formar parte de ella basándose en sus datos almacenados en el registro, es posible que más adelante usted no cumpla los criterios de participación. También debe tener en cuenta que si le informamos de la existencia de una prueba, esto no significa que la respaldamos. Para participar, necesitará rellenar un formulario de consentimiento informado diferente).

4. Para que podamos mantener el registro actualizado, necesitaremos contactarle y preguntarle sobre cualquier cambio en su situación médica. ¿Acepta recibir y completar formularios de seguimiento una o dos veces al año registrándose en la base de datos e introduciendo cualquier cambio en su situación médica?

Sí No

5. Si hay algún cambio en sus datos (por ejemplo, cambio en su dirección o cambios en su situación médica, como pérdida de movilidad) que ocurra en el periodo entre actualizaciones, ¿está dispuesto a mantenernos informados?

Sí No

Entiendo que secciones relevantes de mi Historia Clínica y datos compilados durante el estudio pueden ser revisados por los investigadores del estudio, por organismos reguladores (como la Administración de Alimentos y Medicamentos, el Departamento de Salud y Servicios Sociales o el NHS trust), cuando sea necesario para mi participación al formar parte en este estudio. Doy mi permiso para que estas personas puedan acceder a mis registros.

Sí No

Yo,....., he entendido la información para el paciente y el formulario de consentimiento informado. Se me ha explicado plenamente la naturaleza de este registro. He tenido la oportunidad de preguntar mis dudas y todas mis preguntas

han sido respondidas con satisfacción. Después de considerarlo, accedo a formar parte de este registro.

6. Doy mi permiso para que contacten con el siguiente hospital/centro o laboratorio para solicitar una copia del resultado de mi estudio genético y/o biopsia:

Sí No

Su médico (general o especialista): **(Espacio para el nombre y los datos de contacto)**

Fecha

Firma