

**Beteg információ és beleegyező nyilatkozat**

**TREAT-NMD Duchenne /Becker Muscular Dystrophy (DMD/BMD)**

**betegadatbázis regisztrációhoz**

# 14-18 éves személyek részére

# Beteginformáció

# Mielőtt beleegyeznél, hogy adataid bekerüljenek a DMD/BMD betegadatbázisba, fontos hogy tudd mi a DMD/BMD betegadatbázis létrehozásának célja, illetve hogy a későbbiekben mi lesz személyes, klinikai és genetikai adataidnak sorsa. Ez az információs anyag olyan kérdések megválaszolására készült, melyek felmerülhetnek Benned a programmal kapcsolatban. Ha az információs anyag elolvasása után úgy döntesz, hogy szeretnél bekerülni az adatbázisba, kérjük a megfelelő helyen írd alá a beleegyező nyilatkozatot. Ha az információs anyag, illetve a beleegyező nyilatkozat elolvasása után bármilyen kérdésed van, kérjük a nyilatkozat aláírása előtt vedd fel velünk a kapcsolatot. (A kapcsolattartó adatait megtalálod a 4. oldalon.)

# “Mi a DMD/BMD betegadatbázis, és mi a célja?

Az utóbbi években a tudomány gyors fejlődése új lehetőségeket nyitott több öröklődő genetikai eredetű betegség gyógyítását szolgáló terápiák kifejlesztésében és a tudományos kutatás területén. Új terápiás lehetőségek állnak fejlesztés alatt, és a közeljövőben tervezik multi-center klinikai kipróbálásukat, melybe több ország betegeit szeretnék bevonni. Ehhez fontos a betegek tájékoztatása, klinikai és genetikai adataik egységes adatbázisba történő gyűjtése, hogy a jövőben klinikai állapotuknak megfelelő terápiás kipróbálásokban vehessenek részt.

A neuromuscularis betegségek esetében, mint pl. a DMD/BMD, a terápia bizonyos genetikai hiba gyógyítására irányul, ezen defektusok közül a legtöbb nagyon ritka, így kevés olyan beteg van egy adott régión belül, aki megfelel a klinikai kipróbálás követelményeinek. A nemzetközi TREAT-NMD adatbázis létrehozásának célja, hogy rövid időn belül Európa-szerte tájékoztatni tudjuk a kritériumoknak megfelelő betegeket egy esetleges klinikai kipróbálásban való részvételről. Az adatbázisban a kutatók minden olyan információt megtalálhatnak a betegekről, melyre szükségük lehet a klinikai kipróbálás tervezéséhez és kivitelezéséhez, beleértve a beteg pontos genetikai defektusát, illetve más, a betegséggel kapcsolatos fontos információt. A DMD/BMD betegek genetikai és klinikai adatait regisztráljuk egy globális, nemzetközi adatbázisban, és így a klinikai kipróbálás követelményeinek megfelelő betegek könnyen elérhetőek lesznek, majd beleegyezésüket követően részt vehetnek a klinikai kipróbálásban. A klinikai adatok, valamint a mutáció pontos azonosítása és adatbázisba rögzítése lehetőséget biztosítana a beteg számára a terápiás kipróbálásban való részvételhez, továbbá a betegadatbázis olyan kérdések megválaszolását is lehetővé teszi majd, mint pl. a neuromuscularis betegségek európai gyakorisága, vagy segítséget nyújthat az ápolás standardizálásának kidolgozásában.

# “Kinek az adatai kerülhetnek az adatbázisba?”

Az adatbázisba Duchenne/Becker izomdystrophiával (DMD) élő betegek adatai kerülnek. Egyidejűleg dolgozunk egy másik, Spinális izomatrophia (SMA) adatbázison is, illetve a jövőben tervezzük más neuromuscularis betegadatbázisok létrehozását.

Az adatbázis elsősorban a betegek regisztrációjára szolgál, akik ha a kritériumoknak megfelelnek, a későbbiekben terápiás kipróbálásokban vehetnek részt, illetve arra, hogy segítsék a kutatóknak megtalálni a legjobb utat, hogy a DMD/BMD betegeken segíteni tudjanak.

## “Ki tölti ki az adatlapot?”

Ha fiatalabb vagy 18 évesnél, de elmúltál 14, akkor Te is aláírhatod, de ilyen esetben kérjük a szülő, vagy a gyám is írja alá a nyilatkozatot.

## “Mit kell tennem és hova kerülnek az adataim?”

Ha úgy döntesz, hogy részt kívánsz venni a projektben, el kell olvasnod az információs anyagot és a végén található beleegyező nyilatkozatot alá kell írnod. Ki kell tölteni továbbá a regisztrációs adatlapot, ha szükséges az orvos segítségével, és visszaküldeni hozzánk. A kérdőív a beteg személyes, klinikai és genetikai adataira vonatkozó kérdéseket tartalmaz. Az információ, mellyel ellát minket, bekerül a magyar DMD/BMD adatbázisba, ahol adatait kóddal védve, reverzibilisen anonimizálva tároljuk. A magyar adatbázisból ezután, a beteg személyes adatain kívül, mindent továbbítunk a nemzetközi TREAT-NMD betegadatbázisba, így aklinikai adatok ezután a TREAT-NMD partnerek számára világszerte elérhetőek lesznek. Így ha klinikai kipróbálásra kerül sor, a kutatók Európa-szerte kiválaszthatják az adatbázisból azokat a betegeket, akik klinikai- és genetikai adataik alapján megfelelnek a klinikai kipróbálás követelményeinek, és részvételük hatékony lehet a terápia kidolgozása szempontjából. A kutatóknak ahhoz, hogy hozzáférhessenek az adatbázishoz, a TREAT-NMD Irányító testületének (Governing Board) illetve a nemzeti- és nemzetközi Etikai Bizottság beleegyezésével kell rendelkezniük. Ön az európai regiszterben egy anoním kóddal azonosítható, nem pedig a nevével; ez azt jelenti, hogy amikor a kutatók keresnek az adatok közt, nem férnek hozzá az Ön személyes adataihoz (név, lakcím stb.). A klinikai és genetikai teszt eredmények alapján döntenek, hogy ki az, aki megfelel az adott klinikai kipróbálás követelményeinek. Ha kiválasztanak, akkor felveszik a kapcsolatot a magyar TREAT-NMD partnerrel, aki dekódolja az adatokat, és tájékoztat a klinikai kipróbálásról, illetve megadja az ezzel kapcsolatos további információkat. A magyar adatbázisért felelős személy nem fogja kiadni a személyes adataidat a kutatóknak.

Ha úgy döntesz, hogy részt szeretnél venni egy klinikai kipróbálásban, alá kell majd írnod egy erre vonatkozó beleegyező nyilatkozatot, erről is részletes tájékoztatást fogsz kapni. Ha úgy döntesz, hogy nem kívánsz részt venni az adott klinikai kipróbálásban, úgy adataid továbbra is elérhetőek lesznek az adatbázisban és a jövőben is tájékoztatunk újabb terápiás kipróbálással kapcsolatban, kivéve, ha úgy határozol, hogy nem szeretnél róla információt kapni. Kérjük, vedd tudomásul, hogy amennyiben tájékoztatunk egy más intézetben folyó klinikai kipróbálásról, az még nem jelenti azt, hogy mi egyetértünk vele.

**“Hogyan frissíthetem az adataimat, ha azok változnának?”**

Ahhoz, hogy biztosítsuk az adatbázis valódiságát és magas színvonalát, szükséges, hogy rendszeresen frissítsük az adatokat, ezért évente egyszer küldeni fogunk egy kérdőívet, amiben kérünk számolj be a klinikai állapotod változásairól. Amennyiben bármilyen nagyobb változás történik a jelentések közti időszakban, mint pl. lakcím megváltozása vagy a járóképesség megszűnése, kérjük, jelezzed felénk.

“Ki férhet hozzá az orvosi adataimhoz?”

A magyar adatbázisért felelős intézet alkalmazottai egyes esetekben hozzáférhetnek az orvosi adataihoz, ha ez a projekt érdekében indokolt (pl. ha szükség van a genetikai teszt eredményeinek másolatára).

# “Hogyan fognak azonosítani a regiszterben?”

A személyes adataidat (név, cím, stb.) a magyar betegadatbázis tárolja, így értesíteni tudunk egy esetleges klinikai kipróbálással, vagy más, a betegségével kapcsolatos fontos információról. Adataidat egyéni kóddal ellátva tároljuk. Az európai regiszterbe a személyes adataid nélkül, kódolva kerül az információ, nem leszel azonosítható. Így az európai adatbázisban kereső kutatók nem tudnak a rendelkezésre álló információk alapján azonosítani. Csak az adatbázisért felelős személy, illetve az akit ő felhatalmaz, dekódolhatja és férhet hozzá a személyes adataidhoz.

“Bizalmasan kezelik az adataimat?”

Adataid határozatlan ideig (Eü. törvénynek megfelelően legalább 20 évig) tároljuk a II. sz. Gyermekklinika, Izomcentrumában, az adatbázisért felelős személy felügyeletével.

Ahhoz, hogy létrejöhessen az adatbázis, szükséges egy adatállomány, ami tartalmazza a személyes, és klinikai adataidat. Az TREAT-NMD tevékenységét a személyes adatok teljes körű védelmére nemzetközileg kidolgozott és elfogadott szabályozás figyelembevételével végzi (Az Európai Parlament és a Tanács 95/46/EK irányelve, hatályos, a személyes adatok védelméről és a közérdekű adatok nyilvánosságáról szóló 1992. évi LXIII. törvény). A személyes adatok védelmének megvalósítását az Etikai Bizottság folyamatosan ellenőrzi. Minden információt, amivel ellát minket, bizalmasan kezelünk. Ha a betegadatbázis alapjául szolgál egy tudományos közleménynek, vagy bármilyen más dokumentumnak, a neveddel sohasem azonosítják.

Harmadik fél részére, mint pl. kutatók vagy cégek számára, melyek klinikai kipróbálást szerveznek, illetve kutatási céllal új terápiák kifejlesztésével foglalkoznak, az Etikai Bizottság beleegyezését követően csak kódolt, nem-azonosítható adatok kerülhetnek hozzáférhetővé. Az adataid nem adhatók ki a munkáltatónak, a kormányszerveknek, biztosító társaságoknak vagy oktatási intézményeknek. Ez vonatkozik a családtagjaidra, más hozzátartozóira és a kezelő orvosára is.

# “Milyen hasznom van az adatbázisban való részvételből?”

Ez a regiszter egy közszolgáltatás a DMD/BMD betegséggel élők hasznára. A hozzájárulásod klinikai adataiddal a TREAT-NMD adatbázishoz önzetlen adományozás, ezért anyagi ellenszolgáltatás nem jár. A kutatás során szerzett információk után jogdíj Neked vagy hozzátartozóidnak nem jár.

Azonban, számos előnye van az adatbázisban való részvételnek, az alábbiakat beleértve:

* Informálni fogunk (azon adatok alapján, amivel bennünket ellát), ha a kutatók alkalmasnak találtak, hogy részt vegyél egy bizonyos klinikai kipróbálásban.
* Értesíteni fogunk, ha olyan információhoz jutunk, mely fontos lehet a számodra.
* Értesíteni fogunk, ha olyan információhoz jutunk a betegségével kapcsolatban, mely fontos lehet a számodra, pl. ha a DMD betegek számára jobb ápolási stratégiákat sikerül kidolgozni.
* Az adatgyűjtés előnyös lehet pl. a Duchenne izomdystrophia európai gyakoriságának meghatározásában, illetve segítséget nyújthat a legjobb ápolási standardok kidolgozásához.

**“Szeretnék részt venni klinikai kipróbálásban. Ha regisztrálok, akkor ezt garantálják?”**

Bár az adatbázis létrehozásának fő célja, hogy megkönnyítsük a betegek részvételét a klinikai kipróbálásban, a regisztráció még nem garancia arra, hogy a jövőben részt vehetsz benne. Ha szeretnél értesítést kapni olyan klinikai kipróbálásról, melyre alkalmasnak találták, kérjük jelöljed meg a megfelelő helyen a beleegyező nyilatkozatban. Fontos azonban, hogy megjegyezzed, hogy bár a klinikai kipróbálásra a kutatás vezetője alkalmasnak talált - mely az adatbázisban szereplő információkon alapszik - később mégis előfordulhat, hogy mégsem felelsz meg a kritériumoknak.

**“Nem szeretnék klinikai kipróbálásban részt venni, azért regisztráljak?”**

Annak ellenére, hogy nem szeretnél részt venni klinikai kipróbálásban, azért reméljük, hogy regisztrálsz az adatbázisban. Az információk hasznosak lehetnek a kutatók számára, akik gyógymódot keresnek a DMD/BMD betegség gyógyítására, illetve ha a betegséggel kapcsolatos fontos információról szerzünk tudomást, arról tájékoztatunk. Ha nem szeretnél értesítést kapni a klinikai kipróbálásokról, melyekre a kutatók megfelelőnek találnak, kérjük a beleegyező nyilatkozat 3. kérdésénél a „nem”-et jelöld meg.

“Ha részt veszek az adatbázisban és meggondolom magam, visszavonhatom az adataimat?”

Az adatait az Izomcentrum határozatlan ideig tárolja, az adatbázisért felelős személy felügyeletével. A projektben való részvétel önkéntes. Az adatvédelmi törvény értelmében a donornak- Neked- jogában áll helyesbíteni vagy visszavonni adatait. Ha úgy döntesz, hogy el kívánod távolíttatni adataidat a rendszerből, minden további magyarázat nélkül ezt megteheted, ekkor kérjük lépjél kapcsolatba az adatbázisért felelős személlyel (erre vonatkozó információ a lap alján).

“Kihez fordulhatok, ha kérdésem van?”

Ha további információra van szüksége, adatváltozást szeretnél bejelenteni, vagy adataidat szeretnéd visszavonni a regiszterből, kérjük lépjél kapcsolatba az adatbázis kurátorával (dr. Pálmafy Beatrix palmafyb@gmail.com e-mail címen.)

## Beleegyező nyilatkozat

1. Hozzájárul-e, hogy adatait a II. sz. Gyermekklinika, Izomcentrumában tároljuk, és a TREAT-NMD partnereknek kódolt formában továbbküldjük kutatási és klinikai kipróbálás tervezése céljából?
   * NEM
   * IGEN
2. Hozzájárul-e, hogy ha információt kapunk TREAT-NMD projektekről vagy más, a betegségével kapcsolatos, az Ön számára érdekes információról, arról Önt tájékoztassuk?
   * NEM
   * IGEN
3. Hozzájárul-e, hogy amennyiben információt szerzünk egy klinikai kipróbálásról, melyre Önt a kutatók megfelelőnek találták, arról Önt tájékoztassuk?
   * NEM
   * IGEN

(Annak ellenére, hogy a klinikai kipróbálásra a kutatás vezetője alkalmasnak találta - mely az adatbázisban szereplő információkon alapszik – később mégis előfordulhat, hogy Ön mégsem felel meg a kritériumoknak. Kérjük, vegye tudomásul, hogy amennyiben informáljuk Önt egy más intézetben folyó klinikai kipróbálásról, az még nem jelenti azt, hogy mi egyetértünk vele. Ahhoz, hogy részt vehessen egy klinikai kipróbálásban, ki kell töltenie egy arra vonatkozó beleegyező nyilatkozatot.)

1. Ahhoz, hogy az adatbázisban mindig frissített adatok legyenek elérhetőek, szükség van arra, hogy Önnel rendszeres időközönként – évente – felvegyük a kapcsolatot és megkérdezzük a betegségével kapcsolatos esetleges változásokról. Hozzájárul-e, hogy rendszeres időközönként elküldjük Önnek a klinikai adatok frissítésére vonatkozó kérdőívet?

* + NEM
  + IGEN

1. Amennyiben adataimban bármilyen nagyobb változás történik (pl. lakcím megváltozása vagy a járóképesség megszűnése) a jelentések közti időszakban, hajlandó vagyok tájékoztatni az illetékes adatbázist vezető személyt.
   * NEM
   * IGEN

6. Hozzájárul-e ahhoz, hogy a kérdőívben felmerülő klinikai kérdések esetén felvegyük kezelőorvosával a kapcsolatot?

* + NEM
  + IGEN

Alulírott, mint a kutatásban résztvevő, korlátozottan cselekvőképes kiskorú törvényes képviselője kijelentem, hogy az adatbázis lényegét, a beteg információt és a beleegyező nyilatkozatot részleteiben megértettem és másolatot kaptam belőle. Volt lehetőségem, hogy kérdéseimet feltegyem, és kérdéseimre kielégítő választ kaptam. A hallottak átgondolása után úgy döntöttem, hogy önként, befolyástól mentesen beleegyezem a betegadatbázisban való részvételbe. Tudomásul veszem, hogy a vizsgálati adatok kutatási és nem diagnosztikus célokat szolgálnak, így ilyen jellegű szakvéleményre igényt nem tartok.

Résztvevő aláírása Dátum

\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_ \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_

Szülő/gyám aláírása Dátum

(18 éven aluli gyermek esetén)

\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_ \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_

Vezetéknév: \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_

Keresztnév: \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_

Cím: \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_

\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_

\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_

Telefon: \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_

E-mail: \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_