**Informace pro pacienta a formulář informovaného souhlasu k účasti v “ADPedKD“**

Mezinárodní vícestředová studie autosomální dominantní polycystické choroby ledvin (ADPKD)

# Hlavní řešitel: Spoluřešitel:

Prof. Djalila Mekahli Dr. Max Liebau

Dětská nefrologie Dětská nefrologie

Univerzitní nemocnice Lovaň Univerzitní nemocnice Kolín nad Rýnem

Herestraat 49 Kerpener Straße 62

3000 Lovaň 50937 Kolín nad Rýnem

Belgie Německo

Vážený ,

je vám diagnostikováno/jste sledován(-a) pro „autosomální dominantní polycystické onemocnění ledvin“ (ADPKD). S ohledem na tuto skutečnost se na Vás obracíme s prosbou o účast v mezinárodním registru pacientů s ADPKD, nazvaném ADPedKD. Prostřednictvím tohoto dokumentu bychom Vás rádi informovali co je cílem této studie a co se od Vás očekává, pakliže se jí zúčastníte. Pečlivě a v klidu si jej prosím přečtěte a máte-li jakékoli dotazy, neostýchejte se zeptat. Váš ošetřující lékař a řešitelé je rádi a ochotně zodpoví.

Tato studie byla schválena etickou komisí (Commissie Medische Ethiek van de Universitaire Ziekenhuizen Leuven/Komise medicínské etiky Universitaire Ziekenhuizen Lovaň). Tento souhlas by však neměl být důvodem k Vaší účasti v této studii.

# Co je známo o ADPKD?

Autosomální dominantní polycystické onemocnění ledvin (ADPKD) je nejčastější monogenní příčinou selhání ledvin, které postihuje více než 1 ze 400 až 1000 živě narozených dětí. ADPKD vzniká v důsledku mutace genu *PKD1*, kdy tato představuje 85% případů, nebo mutace genu *PKD2*, čítající 15% případů. Onemocnění je charakterizováno progresivním vývojem a zvětšováním cyst v ledvinách, které často vedou k selhání ledvin. Do dovršení 60 let věku je u 50 % pacientů zapotřebí renální substituční terapie (dialýza a/nebo transplantace). K tvorbě cyst může docházet i v jiných orgánech, většinou v játrech. U pacientů s ADPKD existuje navíc vyšší riziko rozvoje kardiovaskulárních komplikací a tyto představují nejčastější příčinu úmrtí.

Kromě tolvaptanu neexistuje v současné době u vybraných pacientů žádná kurativní léčba. Na zvířecích modelech a/nebo dospělých pacientech s ADPKD jsou testována různá léčiva, výsledky jsou však velmi neuspokojivé a užívání je spojeno s velkým množstvím vedlejších účinků. Otázkou je, zda by tyto přípravky mohly být účinnější, kdyby byly podávány v mladším věku, kdy poškození ledvin není tak rozsáhlé. K rozvoji onemocnění skutečně dochází v raném věku, dokonce již v děloze, a u dětí se mohou projevovat příznaky, jako je přítomnost krve v moči, infekce močových cest, bolesti. Navíc u 23 % dětí s ADPKD jsou v moči přítomny abnormální hladiny bílkovin a 5 až 44 % z nich má vysoký krevní tlak

.

# Co je cílem registru?

Cílem ADPedKD je shromažďovat data pacientů s ADPKD od jejich dětství nebo dokonce prenatálního období, jsou-li tyto k dispozici. Jaké jsou indikační rysy a zejména věk a způsob diagnostiky. Bylo onemocnění diagnostikováno proto, že pacient měl příznaky nebo proto, že byl vyšetřen? Jak je organizováno pohospitalizační sledování pacientů, jak jsou pacienti léčeni a jaký je výsledek těchto léčebných postupů? Usilujeme o lepší porozumění faktorům ovlivňujícím progresi onemocnění, jako je vysoký krevní tlak (hypertenze) a vylučování bílkovin močí (proteinurie). Do registru bychom chtěli zahrnout informace o prvotní indikaci onemocnění, údaje o porodu, genetickou analýzu a pohospitalizační sledování onemocnění.

Tato studie je podporována Evropskou společností pro dětskou nefrologii (ESPN).

# Jak se zúčastnit této studie?

K přenosu dat do ADPedKD je oprávněn pouze zdravotnický personál; nemůžete tak učinit Vy sám/sama. Součástí registru mohou být všichni pacienti s ADPKD s pohospitalizačním sledováním od dětského věku. Osoba z Vašeho zdravotnického týmu může zadat Vaše údaje až poté, kdy jste Vy a Vaši rodiče podepsali formulář informovaného souhlasu.

# Kdo nemůže vstoupit do registru?

Součástí registru nemohou být pacienti s renálními cystami, které jsou způsobeny jiným onemocněním, než ADPKD.

# Které údaje budou v tomto registru shromažďovány?

Poté, kdy Vy a Vaši rodiče podepíšete formulář informovaného souhlasu, může osoba z Vašeho zdravotnického týmu vložit Vaše údaje (příznaky, výsledky radiologického vyšetření, laboratorní výsledky, rodinná anamnéza, genetická analýza, atd.) do databáze, která je přístupná na webu. Vaše jméno bude nahrazeno kódem. Spojit Vaše údaje s Vaším jménem je oprávněn pouze hlavní řešitel nebo pověřený člen výzkumného týmu. Při každém kontrolním setkání s Vaším lékařem tento/tato vloží do databáze nové údaje.

Kódované údaje by mohly být v budoucnu použity v rámci mezinárodní spolupráce.

# Jsou nutná další vyšetření nebo analýzy pouze pro účely ADPedKD?

Ne. Osoba z Vašeho zdravotnického týmu vloží do registru Vaše údaje získané pouze v rámci Vašich pravidelných setkání. Nebudou prováděny žádné další konzultace, vyšetření nebo analýzy.

# Jaká jsou rizika ADPedKD?

ADPedKD je registrovou studií. V databázi budou uchovány pouze stávající údaje. V případě účasti nebo naopak odmítnutí účasti ve studii Vám nebude poskytována odlišná péče.

# Pojištění.

Zakladatel studie (UZ Lovaň) odpovídá za škody způsobené účastníkovi, které (ne)přímo souvisí s registrem. UZ Lovaň má sjednáno pojištění, jak je uvedeno v článku 29 „Wet van 7 mei 2004“, týkající se pokusů na lidech.

# Přinese účast v této studii Vám nebo Vašemu lékaři nějaké výhody?

Vaše účast není spojena s žádnými bezprostředními výhodami. Výsledky této studie však mohou být přínosem pro všechny pacienty s ADPKD. Z účasti v této studii neplynou žádné náklady ani náhrady.

# Jak budou údaje údaje zpracovány?

Se všemi údaji bude nakládáno důvěrně. Nikdo není oprávněn hovořit o údajích s třetí stranou. V závěru studie o ní napíšeme článek do odborného časopisu. V předmětném článku nebude možné identifikovat žádného z účastníků.

# Musím se zúčastnit?

Ne. Účast v tomto registru je dobrovolná. Ze studie můžete kdykoli a bez nutnosti udání důvodu odstoupit. Pokud se tak stane, nebude mít tato skutečnost žádný vliv na Vaši lékařskou péči.

# Kdo je Vaší kontaktní osobou?

Vaše kontaktní osoba pro tuto studii je Váš ošetřující lékař:

Jméno:

Telefon/e-mail:

# Nějaké další otázky?

V případě jakýchkoli dalších dotazů se neváhejte obrátit na některého z řešitelů:

Dr. Stéphanie De Rechter stephanie.derechter@uzleuven.be

Prof. Dr. Djalila Mekahli djalila.mekahli@uzleuven.be

Dr. Max Christoph Liebau, max.liebau@uk-koeln.de

**Formulář informovaného souhlasu ADPedKD**

O tomto registru jsem dostatečně informován/informována. Tyto informace jsem si pečlivě přečetl/přečetla. Měl/měla jsem možnost položit veškeré své otázky týkající se tohoto výzkumu a mé dotazy byly uspokojivě zodpovězeny. Svou účast jsem důkladně zvážil/zvážila. Je mi známo, že svůj souhlas mohu kdykoli a bez jakéhokoli zdůvodnění odvolat.

Prohlašuji, že se chci tohoto výzkumu zúčastnit:

Jméno, křestní jméno:………………………………………………………….

Datum narození:………………………………………………………….

Podpis:………………………………………………………….

Datum:……………………..

Potvrzuji tímto, že výše uvedená osoba byla dostatečně informována, ústně i písemně, o uvedené studii. Prohlašuji, že předčasné ukončení účasti této osoby nebude mít žádný vliv na lékařskou péči, která jí bude poskytnuta.

Jméno, křestní jméno:………………………………………………………….

Funkce:………………………………………………………….

Podpis:………………………………………………………….

Datum:……………………..

POZNÁMKA: Jakmile je v průběhu pohospitalizačního sledování v rámci registru dosaženo věku 18 let, musí dojít k podpisu „Informací pro pacienta a formuláře informovaného souhlasu pro dospělé“.