

Titre de l'étude: **ADPedKD: An international web-based database for longitudinal data registry of children with Autosomal Dominant Polycystic Kidney Disease (ADPKD)**

Promoteur de l'étude: **UZ Leuven**

Institution de recherche: **UZ Leuven, Herestraat 49, 300 Leuven**

Comité d'Ethique Médicale: **Ethische Commissie onderzoek UZ / KU Leuven**

Médecins investigateurs locaux: **Prof. Dr. Djalila Mekahli**
(djalila.mekahli@uzleuven.be)

Assistant pour les essais cliniques: **Vanmeerbeek Lotte**
(lotte.vanmeerbeek@uzleuven.be)

Département de néphrologie pédiatrique: U.Z. Leuven | Herestraat 49 - 3000 Leuven | Tel (016) 34 38 22

I Information essentielle à votre décision de participer (4 pages)

Introduction

Vous êtes invité à participer à une étude clinique observationnelle, parce que vous êtes suivi pour la maladie "polykystose rénale autosomique dominante". Dans le cadre de cette étude, il vous sera demandé de participer au registre des patients atteints d'ADPKD, appelé ADPedKD. Cela signifie que le traitement que l'on vous a proposé a été prescrit de manière habituelle, conformément aux conditions de bonne pratique médicale et indépendamment de votre éventuelle participation à cette étude. Nous vous demandons simplement de pouvoir collecter des données dans votre dossier médical de façon à pouvoir les cumuler avec celles d'autres patients qui bénéficient du même traitement et les traiter statistiquement à des fins de recherche. Aucune procédure supplémentaire de diagnostic ou de surveillance ne vous sera proposée.

Avant que vous n'acceptiez de participer à cette étude, nous vous invitons à prendre connaissance de ses implications en termes d'organisation, avantages et risques éventuels, afin que vous puissiez prendre une décision en toute connaissance de cause. Ceci s'appelle donner un « consentement éclairé ». Veuillez lire attentivement ces quelques pages d'information et poser toutes les questions que vous souhaitez à l'investigateur ou à la personne qui le représente.

Ce document comprend 3 parties : l'information essentielle à votre prise de décision, votre consentement écrit et des informations complémentaires (annexes) qui détaillent certaines parties de l'information de base.

Si vous participez à cette étude, vous devez savoir que :

- Le traitement que vous a proposé le médecin investigateur en conformité avec les recommandations actuelles ne sera pas modifié du fait de votre participation à l'étude.
- Cette étude clinique est mise en œuvre après évaluation par un / plusieurs comité(s) d'éthique.
- Votre participation est volontaire et doit rester libre de toute contrainte. Elle nécessite la signature d'un document exprimant votre consentement. Même après l'avoir signé, vous pouvez arrêter de participer en informant l'investigateur.
- Les données recueillies à cette occasion sont confidentielles et la protection de votre identité est garantie lors de la publication des résultats.
- Une assurance a été souscrite au cas où vous subiriez un dommage lié à votre participation à cette recherche.
- Vous pouvez toujours contacter l'investigateur ou un membre de son équipe si vous avez besoin d'informations complémentaires.

Un complément d'informations sur vos « Droits de participant à une étude clinique » sont fournis en annexe **III**.

Objectifs et déroulement de l'étude

Cette étude clinique est organisée pour collecter des données auprès de patients atteints d'ADPKD dans le monde entier.

"La polykystose rénale autosomique dominante" (abrégée en ADPKD) est la maladie rénale héréditaire la plus courante et est responsable de près de 10 % des cas d'insuffisance rénale. En raison du développement de kystes dans les reins, la fonction rénale est perdue chez la moitié des patients, en moyenne à l'âge de 60 ans. Il n'existe qu'un seul traitement spécifique pour cette maladie et il ne peut qu'inhiber la maladie, souvent au prix d'effets secondaires importants.

La connaissance des changements cellulaires qui se produisent dans l'ADPKD augmente rapidement. Diverses thérapies sont actuellement testées dans des modèles animaux et/ou chez des patients adultes atteints d'ADPKD. Cependant, les résultats sont décevants et les médicaments ont de nombreux effets secondaires.

La question que nous posons est de savoir si ces produits seraient plus efficaces s'ils étaient utilisés à un plus jeune âge. On entend par là qu'il reste encore du tissu rénal normal. Cependant, de nombreux points d'interrogation subsistent ; il n'existe actuellement aucun paramètre permettant de suivre et de prévoir l'évolution de la maladie chez les enfants atteints d'ADPKD. Pendant l'enfance, nous constatons une protéinurie (augmentation de la quantité de protéines dans les urines) chez environ 23 % des patients et une augmentation de la pression artérielle chez 5 à 44 % des patients, ce qui peut entraîner ou non un épaississement du ventricule gauche. On ne sait toujours pas dans quelle mesure ces caractéristiques contribuent à la progression de la maladie.

En outre, il est important de souligner que l'ADPKD est une maladie qui n'affecte pas seulement les reins. Les kystes peuvent se développer dans d'autres organes, le plus souvent dans le foie. En outre, il existe un risque accru de maladie ou de décès par maladie cardiovasculaire chez ces patients. Les patients atteints d'ADPKD sont plus susceptibles de mourir d'une maladie cardiovasculaire que d'une maladie rénale.

Cette étude vise à identifier les symptômes et l'évolution de la maladie qui peuvent indiquer une progression légère ou plus sévère (dès un plus jeune âge) de la maladie. Y a-t-il des patients qui pourraient bénéficier d'un traitement précoce ? Quels sont les traitements qui ont déjà été essayés et qui ont donné de bons résultats ? En outre, nous essayons de découvrir les causes génétiques de la variété des symptômes observés. Existe-t-il des variantes génétiques qui déterminent la progression de la maladie ? Une attention particulière sera également accordée à la présentation initiale de la maladie, aux données de naissance et au suivi de la maladie.

Nous vous proposons de participer à cette étude clinique parce que vous souffrez d'ADPKD. Tout patient atteint d'ADPKD qui est suivi depuis l'enfance peut participer à cette étude. Un membre de votre équipe médicale ne peut inclure des données que si vous avez donné votre consentement écrit. Veuillez noter que seuls les médecins ou autres membres du personnel médical (par exemple, l'infirmière de l'étude) peuvent ajouter des données à l'ADPeDKD. Vous ne pouvez pas envoyer de données vous-même. Les patients présentant des kystes rénaux pour des raisons autres que l'ADPKD ne peuvent pas participer.

Cette étude clinique devrait inclure 2000 patients dont à peu près 100 en Belgique.

Votre participation à l'étude durera jusqu'à la transition de la néphrologie pédiatrique à la néphrologie adulte et est maximale jusqu'à l'âge de 19 ans. Au cours de cette période, votre médecin investigateur inclura les données cliniques disponibles, telles que les symptômes, les résultats d'échographie, les résultats de laboratoire, les antécédents familiaux et les études génétiques réalisées, lors du contrôle annuel. En outre, les données de suivi annuel, par exemple sur la fonction rénale ou les nouveaux symptômes qui ont pu apparaître, seront également ajoutées à la base de données.

Description des risques et bénéfices

Comme mentionné plus haut, ni le traitement qui vous a été proposé, ni les procédures de diagnostic et de surveillance de votre situation clinique ne sortent de la bonne pratique médicale. Aucun risque, en termes de santé, ne peut être lié à votre participation à cette étude.

La participation à cette étude ne garantit aucun bénéfice direct pour vous-même. Toutefois, les connaissances acquises grâce à votre participation pourront aider les patients atteints d'ADPKD à l'avenir.

Retrait de consentement

Votre participation est volontaire et vous avez le droit de retirer votre consentement à participer à l'étude pour quelque raison que ce soit, sans devoir vous justifier.

Si vous retirez votre consentement à l'étude, afin de garantir la validité de la recherche, les données codées jusqu'au moment de votre interruption seront conservées. Aucune nouvelle donnée ne pourra être transmise au promoteur.

Si vous participez à cette recherche, nous vous demandons :

- De collaborer pleinement au bon déroulement de cette recherche.
- De ne rien masquer comme information au sujet de votre état de santé, de médicaments que vous prenez ou de symptômes que vous ressentez.
- D'informer votre médecin si on vous propose de participer à une autre étude afin de discuter avec lui de l'opportunité de participer à cette étude et de voir si alors, votre participation à la présente étude doit se terminer.
- La nécessité éventuelle d'un contact investigateur / médecin généraliste pour la collecte d'informations complémentaires quand il y a lieu

Contact

Si vous avez besoin d'informations complémentaires, mais aussi en cas de problème ou d'inquiétude, vous pouvez contacter le médecin investigateur prof. Djaila Mekahli ou un membre de son équipe de recherche Lotte Vanmeerbeek au numéro de téléphone suivant : +32 16 34 48 18.

Si vous avez des questions relatives à vos droits de participant à une étude clinique, vous pouvez contacter le médiateur des droits du patient de votre institution via le numéro de téléphone: [+32 16 34 48 18](tel:+3216344818). Si nécessaire, ce dernier peut vous mettre en contact avec le comité d'éthique.

Titre de l'étude : ADPedKD : Une base de données internationale en ligne pour l'enregistrement des données longitudinales des enfants atteints de la maladie polykystique rénale autosomique dominante (ADPKD).

II Consentement éclairé

Participant

Je déclare que j'ai été informé sur la nature de l'étude, son but, sa durée, les effets secondaires éventuels et ce que l'on attend de moi. J'ai pris connaissance du document d'information et des annexes à ce document.

J'ai eu suffisamment de temps pour y réfléchir et en parler avec une personne de mon choix (médecin généraliste, parent).

J'ai eu l'occasion de poser toutes les questions qui me sont venues à l'esprit et j'ai obtenu une réponse favorable à mes questions.

Je comprends que ma participation à cette étude est volontaire et que je suis libre de mettre fin à ma participation à cette étude sans préjudice de ma relation avec l'équipe thérapeutique responsable de ma santé.

J'ai compris que des données me concernant seront récoltées pendant toute ma participation à cette étude et que le médecin investigateur et le promoteur de l'étude se portent garant de la confidentialité de ces données conformément à la législation européenne et belge d'application. Je comprends que la réalisation de cette étude par UZ Leuven sert l'intérêt général et que le traitement de mes données personnelles est nécessaire pour la réalisation de cette étude.

Je suis d'accord / Je ne suis pas d'accord (supprimer ce qui ne s'applique pas)

que les données d'étude recueillies aux fins de la présente étude seront traitées ultérieurement, à condition que ce traitement soit limité au contexte de la présente étude dans le but d'améliorer la connaissance de la maladie et de son traitement.

Je suis d'accord / Je ne suis pas d'accord (supprimer ce qui ne s'applique pas)

que mon médecin généraliste ou d'autres spécialistes en charge de ma santé seront contactés au sujet de ma participation à l'étude. Et que, si nécessaire, ils seront contactés en complément pour obtenir des informations supplémentaires sur ma santé.

J'ai reçu une copie de l'information au participant et du consentement éclairé.

Nom de famille:

Prénom:

Date :

Signature :

Témoin / Interprète [Si présence d'un témoin / interprète.]

J'ai été présent durant l'entièreté du processus d'information au patient et je confirme que l'information sur les objectifs et procédures de l'étude a été fournie de manière adéquate, que le participant (ou son représentant légal) a apparemment compris l'étude et que le consentement à participer à l'étude a été donné librement.

Nom, prénom :

Qualification du témoin / interprète :

Date :

Signature du témoin / interprète :

Médecin Investigateur

Je soussigné, médecin investigateur / assistant de recherche clinique confirme avoir fourni oralement les informations nécessaires sur l'étude et avoir fourni un exemplaire du document d'information au participant.

Je confirme qu'aucune pression n'a été exercée pour que le patient accepte de participer à l'étude et que je suis prêt à répondre à toutes les questions supplémentaires, le cas échéant.

Je confirme travailler en accord avec les principes éthiques énoncés dans la « Déclaration d'Helsinki », dans les « Bonnes pratiques Cliniques » et dans la loi belge du 7 mai 2004, relative aux expérimentations sur la personne humaine.

Nom, prénom :

Qualification :

Date :

Signature:

Titre de l'étude : ADPeDKD : Une base de données internationale en ligne pour l'enregistrement des données longitudinales des enfants atteints de la maladie polykystique rénale autosomique dominante (ADPeDKD).
--

III Informations complémentaires

1 : Compléments d'informations sur l'organisation de l'étude

Nous recruterons des patients atteints d'ADPeDKD, dès la petite enfance, à la fois rétrospectivement et prospectivement, initialement dans les centres participant à l'ARegPKD, qui comprend déjà 323 patients atteints d'ARPKD, et dans le réseau ERKNet. Il est important de noter que l'incidence de l'ADPeDKD est beaucoup plus élevée que celle de l'ARPKD : 1/400-1000 naissances vivantes contre 1/20 000 respectivement. Le diagnostic de l'ADPeDKD repose sur une analyse génétique ou une histoire familiale positive et sur l'imagerie. Après avoir signé le formulaire de consentement éclairé, les données du patient sont saisies de manière pseudonyme dans la base de données en ligne.

2 : Complément d'informations sur la protection et les droits du participant à une étude clinique

Comité d'Ethique

Cette étude a été évaluée par un Comité d'Ethique indépendant, à savoir le Comité d'Ethique [Ethische Commissie Onderzoek UZ/KU Leuven](#), qui a émis un avis favorable. Les Comités d'Ethique ont pour tâche de protéger les personnes qui participent à un essai clinique. Ils s'assurent que vos droits en tant que patient et en tant que participant à une étude clinique sont respectés, qu'au vu des connaissances actuelles, l'étude est scientifiquement pertinente et éthique.

Les comités d'éthique donnent un avis à ce sujet conformément à la loi belge du 7 mai 2004. En aucun cas vous ne devez prendre l'avis favorable du Comité d'Ethique comme une incitation à participer à cette étude.

Participation volontaire

Avant de signer, n'hésitez pas à poser toutes les questions que vous jugez utiles. Prenez le temps d'en parler à une personne de confiance si vous le souhaitez.

Votre participation à l'étude est volontaire et doit rester libre de toute contrainte: ceci signifie que vous avez le droit de ne pas y participer ou de vous retirer sans justification même si vous aviez accepté préalablement d'y participer. Votre décision ne modifiera en rien vos relations avec le médecin investigateur et la qualité de votre prise en charge thérapeutique future.

Si vous acceptez de participer à cette étude, vous signerez le formulaire de consentement éclairé. L'investigateur signera également ce formulaire et confirmera ainsi qu'il vous a fourni les informations nécessaires sur l'étude. Vous recevrez l'exemplaire qui vous est destiné.

Coût associés à votre participation

Vous ne serez pas rémunéré pour votre participation à cette étude. Toutefois, votre participation n'entraînera pas de frais supplémentaires pour vous.

Garantie de confidentialité

Votre participation à l'étude signifie que le médecin investigateur recueille des données vous concernant et que le promoteur de l'étude les utilise dans un objectif de recherche et dans le cadre de publications scientifiques et médicales.

Le traitement de vos données personnelles est nécessaire afin de pouvoir réaliser les objectifs scientifiques comme décrites ici. La conduite de la recherche scientifique est une des tâches de UZ Leuven définie par la loi. En tant qu'hôpital universitaire lié à l'Université Catholique de Leuven (KUL), UZ Leuven souhaite supporter la recherche scientifique et l'enseignement. Nous tenons à vous clarifier que la nécessité du traitement de vos données pour la recherche constitue l'autorisation légale sur base de laquelle nous traitons vos données dans le cadre de l'étude susmentionnée. En plus, UZ Leuven est sujet à des obligations légales qui obligent UZ Leuven à traiter vos données pour des raisons de rapports de sécurité (comme par exemple la notification d'effets secondaires de médicaments aux autorités).

Vos données seront traitées conformément au Règlement Général sur la Protection des Données (RGPD). [UZ Leuven](#) sera responsable du traitement de vos données.

Vous avez le droit de demander au médecin investigateur quelles sont les données collectées à votre sujet et quelle est leur utilité dans le cadre de l'étude. Ces données concernent votre situation clinique actuelle mais aussi certains de vos antécédents et les résultats des examens réalisés dans le cadre d'une prise en charge de votre santé selon les standards actuels. Vous disposez d'un droit de regard sur ces données et le droit d'y apporter des rectifications au cas où elles seraient incorrectes¹.

Le médecin investigateur a un devoir de confidentialité vis à vis des données collectées.

Ceci veut dire qu'il s'engage non seulement à ne jamais divulguer votre nom dans le cadre d'une publication ou d'une conférence mais aussi qu'il codera vos données avant de les transmettre au gestionnaire de la base des données collectées ([UZ Leuven](#)).

Le médecin investigateur et son équipe seront donc les seuls à pouvoir faire le lien entre les données transmises et votre dossier médical pendant toute la durée de l'étude².

Les données personnelles transmises ne contiendront pas d'association d'éléments qui puissent permettre de malgré tout vous identifier³.

Pour le gestionnaire des données de recherche désigné par le promoteur, les données transmises ne permettent pas de vous identifier. Ce dernier est responsable de la collecte des données recueillies par tous les investigateurs participant à la recherche, de leur traitement et de leur protection en conformité avec les impératifs de la loi belge relative à la protection de la vie privée.

Pour vérifier la qualité de l'étude, il est possible que votre dossier médical soit examiné par des tiers (comité d'éthique, représentants du promoteur de l'étude, auditeurs externes). En tout état de cause, cela ne pourrait se faire que sous la responsabilité du médecin investigateur ou d'un de ses collaborateurs et par des personnes soumises à l'obligation du secret professionnel.

Ces données (codées) pourront être transmises aux autorités réglementaires belges ou autres, aux comités d'éthique concernés, à d'autres médecins et/ou à des organismes travaillant en collaboration avec le promoteur.

Ces médecins et/ou ces organismes peuvent se situer en Belgique et dans d'autres pays où les normes en matière de protection des données personnelles peuvent être différentes ou moins contraignantes⁴.

Votre consentement à participer à cette étude implique donc aussi l'utilisation de vos données médicales codées aux fins décrites dans ce document d'information et à leur transmission aux personnes et/ou instances susmentionnées.

¹ Ces droits vous sont garantis par le Règlement Général sur la Protection des Données (RGPD) et par la loi du 22 août 2002 relative aux droits du patient.

² Pour les essais cliniques, la loi l'oblige à conserver ce lien avec votre dossier durant 20 ans.

³ La base de données contenant les résultats de l'étude ne contiendra donc pas d'association d'éléments comme vos initiales, votre sexe et votre date de naissance complète (jj/mm/aaaa).

⁴ Le promoteur s'engage alors à respecter les contraintes du Règlement Général sur la Protection des Données (RGPD) et législation belge relatif à la protection des personnes physiques à l'égard des traitements de données à caractère personnel.

Le promoteur utilisera les données collectées dans le cadre de l'étude à laquelle vous participez mais souhaite également pouvoir les utiliser dans le cadre d'autres recherches concernant la même maladie que la votre et son traitement. Toute utilisation de vos données en dehors du contexte décrit dans le présent document ne pourrait être menée qu'après approbation du comité d'éthique.

Si vous retirez votre consentement à participer à l'étude, afin de garantir la validité de la recherche, les données codées jusqu'au moment de votre interruption seront conservées. Aucune nouvelle donnée ne pourra être transmise au promoteur.

Si vous avez des questions relatives au traitement de vos données, vous pouvez contacter votre médecin investigateur. Le délégué à la protection des données de votre hôpital est également à votre disposition : DPO - UZ Leuven, Herestraat 49, 3000 Leuven, e-mail dpo@uzleuven.be.

Enfin, si vous avez une plainte quant au traitement de vos données, vous pouvez contacter l'autorité de contrôle belge chargée de veiller au respect des principes fondamentaux de la protection des données à caractère personnel:

L'autorité de contrôle belge s'appelle:
L'Autorité de protection des données (APD)
Rue de la presse 35,
1000 Bruxelles
Tel. +32 2 274 48 00
e-mail: contact@apd-gba.be
Site web: <https://www.autoriteprotectiondonnees.be>

Assurance

Dans une étude observationnelle, le seul risque éventuel serait une faille dans les mesures prises pour protéger la confidentialité des renseignements à caractère privé vous concernant. Le promoteur assume, même sans faute, la responsabilité du dommage causé au participant (ou à ses ayants droit) et lié de manière directe ou indirecte à la participation à cette étude. Dans cette optique, le promoteur a souscrit un contrat d'assurance (Amlin Corporate Insurance, polisnr. 299.053.700, les coordonnées du courtier d'assurance: Vanbreda Risk & Benefits, Plantin en Moretuslei 297, 2140 Antwerpen) ⁵.

⁵ Conformément à l'article 29 de la loi belge relative aux expérimentations sur la personne humaine (7 mai 2004)