

Informacje dla pacjentów i formularz zgody na udział w programie “ADPedKD”  
Międzynarodowe Wieloośrodkowe Badanie dotyczące  
Autosomalnej Dominującej Wielotorbielowatości Nerek (ADPKD)

**Główny Badacz**

Prof. Djalila Mekahli  
Pediatric Nephrology  
University Hospital Leuven  
Herestraat 49  
3000 Leuven  
Belgium

**Współbadacz:**

Dr. Max Liebau  
Pediatric Nephrology  
University Hospital Cologne  
Kerpener Straße 62  
50937 Köln  
Germany

Drogi Rodzicu.....

U Pana/Pani dziecka zdiagnozowano autosomalną dominującą wielotorbielowatość nerek (ADPKD).

W związku z tym Pana/Pani dziecko zostało zaproszone do udziału w międzynarodowym rejestrze pacjentów z ADPKD, który nosi nazwę ADPedKD.

W tym dokumencie chcielibyśmy poinformować Pana/Panią o celu tego projektu oraz o tym, czego oczekuje się od Pana/Pani dziecka, gdy dziecko w nim będzie uczestniczyć.

Prosimy, żeby Pan/Pani uważnie przeczytał/a ten dokument i nie wahał/a się zadawać pytań, które Pana/Panią nurtują. Lekarz prowadzący Pana/Pani dziecko i inni badacze chętnie odpowiedzą na nie.

Badanie to zostało zatwierdzone przez komisję bioetyczną (Commissie Medische Ethiek van de Universitaire Ziekenhuizen Leuven). Jednak to zatwierdzenie w żaden sposób nie zobowiązuje Pana/Pani dziecka do wzięcia udziału w badaniu.

**Co wiadomo o ADPKD?**

Autosomalna dominująca wielotorbielowatość nerek (ADPKD) jest najczęstszą monogenową przyczyną przewlekłej choroby nerek. Występuje z częstością 1 na 400 do 1000 żywych urodzeń. ADPKD powstaje w wyniku mutacji w genie *PKD1*, które stanowią 85% przypadków lub genie *PKD2*, które stanowią 15% przypadków. Choroba charakteryzuje się postępującym powstawaniem i powiększaniem się torbieli w nerkach, często prowadząc do przewlekłej choroby nerek. 50% pacjentów wymaga leczenia nerkozastępczego (dializa i / lub przeszczep nerki), zwykle w wieku około 60 lat. Tworzenie torbieli może również występować w innych narządach, głównie w wątrobie. Ponadto pacjenci z ADPKD mają większe ryzyko powikłań sercowo-naczyniowych, co stanowi najczęstszą przyczynę ich zgonu.

Obecnie nie ma leczenia przyczynowego ADPKD oprócz Tolvaptanu u wybranych pacjentów. Różne leki są testowane na modelach zwierzęcych i / lub u dorosłych pacjentów z ADPKD, jednak wyniki są bardzo rozczarowujące, a leki mają wiele skutków ubocznych. Pytanie brzmi, czy te leki mogą lepiej działać, gdy są podawane w młodszym wieku, gdy stopień uszkodzenia nerek jest mniejszy. Rzeczywiście, choroba zaczyna się w młodym wieku, nawet już w okresie wewnątrzmacicznym, a u dzieci może manifestować się objawami, takimi jak krwimocz, infekcje dróg moczowych, ból. Co więcej, 23% dzieci z ADPKD ma nieprawidłowy poziom białka w moczu, a 5 do 44% ma nadciśnienie tętnicze.

**Jakie są cele rejestru?**

Celem ADPedKD jest zbieranie danych od pacjentów z ADPKD od dzieciństwa, a nawet z okresu prenatalnego, jeśli są dostępne. Jakie są objawy ujawnienia ADPKD, a zwłaszcza wiek i okoliczności postawienia rozpoznania? Czy zdiagnozowano chorobę, ponieważ pacjent miał objawy czy też dlatego, że pacjent był badany w ramach badań przesiewowych? W jaki sposób zorganizowana jest kontrola pacjentów, jak leczy się pacjentów i jaki jest rezultat takiej terapii?

Chcemy lepiej zrozumieć czynniki wpływające na postęp choroby, takie jak nadciśnienie i białkomocz. W rejestrze chcielibyśmy zamieścić informacje na temat początkowego ujawnienia choroby, danych dotyczących okresu okołoporodowego, badania genetycznego i przebiegu choroby.

Badanie to jest wspierane przez Europejskie Towarzystwo Nefrologii Dziecięcej (ESPN).

**Jak dołączyć do rejestru ?**

Tylko personel medyczny może przekazywać dane do ADPedKD, pacjent nie może tego zrobić samodzielnie. Wszyscy pacjenci z ADPKD z czasem obserwacji od dzieciństwa mogą brać udział w rejestrze. Osoba z zespołu medycznego, który leczy Pana/Pani dziecko, może wprowadzić jego dane dopiero po podpisaniu przez Pana/Panią formularzy zgody.

**Kto nie może wziąć udziału w rejestrze?**

Pacjenci z torbielami nerkowymi spowodowanymi inną chorobą niż ADPKD nie mogą uczestniczyć w tym rejestrze.

**Jakie dane będą gromadzone w tym rejestrze?**

Po podpisaniu przez Pana/Panią formularzy zgody, osoba z leczącego zespołu medycznego może wprowadzić dane Pana/Pani dziecka (objawy, wyniki badań obrazowych, wyniki badań laboratoryjnych, wywiad rodzinny, dostępne wyniki analizy genetycznej itp.) do elektronicznej bazy danych, dostępnej wyłącznie dla zarejestrowanych lekarzy-uczestników badania. Imię dziecka zostanie zastąpione kodem, którego część jest właściwa dla centrum uczestniczącego, a kolejną częścią jest osobisty kod Pana/Pani dziecka. Tylko główny badacz lub upoważniony członek zespołu badawczego będzie mógł połączyć dane Pana/Pani dziecka z jego imieniem i nazwiskiem zgodnie z listą, która nie będzie dostępna dla Koordynatorów Rejestru. Za każdym razem, gdy Pana/Pani dziecko ma kontrolną wizytę u lekarza, on/ona wprowadzi nowe dane do bazy danych. W przypadku istotnych zmian w projekcie ADPedKD (np. rozszerzenie zakresu gromadzonych danych medycznych), otrzyma Pan/Pani dodatkowe informacje na ten temat od lekarza prowadzącego Pana/Pani dziecko. Zakodowane dane mogą być wykorzystywane w przyszłości w ramach współpracy międzynarodowej.

**Czy w ramach rejestru ADPedKD będą wykonywane dodatkowe badania lub analizy?**

Nie. Ktoś z leczącego zespołu wprowadzi dane Pana/Pani dziecka uzyskane tylko z regularnych wizyt do rejestru. Nie będą przeprowadzane dodatkowe konsultacje, badania ani analizy.

**Jakie jest ryzyko związane z rejestrem ADPedKD ?**

ADPedKD to badanie rejestrowe. Oznacza to, że tylko wcześniej zgromadzone dane na temat choroby Pana/Pani dziecka będą przekazywane do bazy danych badania. Nie będzie różnicy w postępowaniu zespołu medycznego w stosunku do Pana/Pani dziecka, gdy będzie uczestniczył, lub kiedy Pan/Pani odmówi udziału dziecka w rejestrze.

### **Ubezpieczenie**

Jednostka inicjująca badanie (University Hospital Leuven) ponosi odpowiedzialność za szkody doznane przez uczestników badania, które byłyby bezpośrednio lub pośrednio związane z prowadzeniem rejestru pacjentów. University Hospital Leuven ma ubezpieczenie, o którym mowa w artykule 29 "Wet van 7 mei 2004", dotyczące eksperymentów na ludziach.

### **Czy są korzyści wynikające z rejestru dla Pana/Pani dziecka i lekarza leczącego?**

Nie ma natychmiastowych korzyści dla Pana/Pani dziecka. Jednak wszyscy pacjenci z ADPKD mogą skorzystać z wyników tego badania rejestrowego. Udział w tym badaniu nie jest związany z poniesieniem żadnych kosztów ani uzyskaniem rekompensaty.

### **W jaki sposób dane będą przetwarzane?**

Wszystkie dane będą traktowane poufnie. Ktoś z zespołu medycznego leczącego Pana/Pani dziecko wprowadzi dane do bazy danych, która będzie dostępna online i zabezpieczona hasłem. Strona zabezpieczona jest SSL (Secure Sockets Layer). Baza danych zostanie umieszczona na serwerze zarządzanym w Köln (Kolonia) w Niemczech. Nikt nie może rozmawiać o danych z osobą trzecią.

Pod koniec badania badacze rejestru napiszą na podstawie uzyskanych wyników artykuł/y w czasopiśmie naukowym. W tym artykule/artykułach nie będzie możliwe zidentyfikowanie uczestników.

Dane zostaną zapisane na czas nieokreślony.

### **Czy Pana/Pani dziecko musi wziąć udział w badaniu rejestrowym?**

Nie. Udział w tym rejestrze jest dobrowolny. Może Pan/Pani wycofać dziecko z badania w dowolnym momencie i bez potrzeby wyjaśniania, dlaczego. Jeśli Pan/Pani podejmie taką decyzję, nie będzie to miało żadnych konsekwencji dla opieki medycznej dla Pana/Pani dziecka.

### **Kto jest Pana/Pani osobą do kontaktu z rejestrem?**

Pana/Pani osobą do kontaktu z rejestrem jest lekarz prowadzący.

Imię i Nazwisko:

Tel/email:

### **Co zrobić w przypadku dodatkowych pytań?**

Można skontaktować się bezpośrednio z głównymi badaczami rejestru.

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

**Formularz świadomej zgody rejestru ADPedKD**

Zostałem/łam wyczerpująco poinformowany/a o tym rejestrze. Dokładnie przeczytałem/łam powyższą informację. Mogłem/am zadać wszystkie nurtujące mnie pytania dotyczące tego badania, a na moje pytania uzyskałem/am wyczerpujące odpowiedzi. Przemyślałem/am świadomie zagadnienia dotyczące mojego uczestnictwa. Wiem, że mogę wycofać moją zgodę w każdej chwili, nie wyjaśniając dlaczego.

Deklaruję, że chcę, żeby moje dziecko wzięło udział w badaniu rejestrowym **ADPedKD**

Imię i Nazwisko dziecka:.....

Data Urodzenia dziecka:.....

**Rodzic/Opiekun prawny:**

Imię i Nazwisko:.....

Data Urodzenia:.....

Podpis:.....

Data :.....

Niniejszym oświadczam, że wyżej wymieniona osoba była wyczerpująco poinformowana, zarówno ustnie, jak i pisemnie, w odniesieniu do wspomnianego badania. Oświadczam, że przedterminowe wycofanie zgody tej osoby na udział w badaniu nie będzie miało żadnego wpływu na opiekę medyczną, która będzie przysługiwać jego dziecku.

Imię i Nazwisko:.....

Stanowisko :.....

Podpis :.....

Data :.....