

**Patiënten informatie en instemmingsformulier  
voor medewerking aan “ADPedKD”**

Een internationale, multicentrische studie over  
autosomaal dominante polycystische nieren (ADPKD)

**Hoofdonderzoeker:**

Prof. Djalila Mekahli  
Kindernefrologie  
Universitair ziekenhuis Leuven  
Herestraat 49  
3000 Leuven  
België

**Mede-onderzoeker:**

Dr. Max Liebau  
Afdeling pediatrie  
Universitair ziekenhuis Keulen  
Kerpener Straße 62  
50937 Köln  
Duitsland

Beste .....

Je wordt opgevolgd door je dokter omdat je “Autosomaal dominant polycystische nierziekte (ADPKD)” hebt. Daarom wordt je nu gevraagd om mee te werken aan het ADPKD patiënten register, dat ADPedKD heet. Met dit formulier willen we je informeren waarom we dit register maken en wat je medewerking juist betekent voor jou. Neem de nodige tijd om dit formulier grondig door te nemen en stel vragen aan je dokter indien nodig.

De uitvoering van deze studie werd goedgekeurd en zal opgevolgd worden door het ethisch comité Commissie Medische Ethiek van de Universitaire Ziekenhuizen Leuven. De goedkeuring door het ethisch comité mag geen reden zijn om deel te nemen aan deze studie.

**Wat is gekend over ADPKD?**

“Autosomal Dominant Polycystic Kidney Disease” (afgekort als ADPKD) is de meest voorkomende monogene oorzaak van nierfalen en komt voor in 1 op 400 tot 1 op 1000 personen. De ziekte wordt veroorzaakt door mutaties in het *PKD1* gen in +/- 85% en in het *PKD2* gen in +/- 15% van de gevallen. Een belangrijk kenmerk van de ziekte is het ontstaan en verder groeien van cystes in beide nieren. Dit zal vaak leiden tot ernstig nierfalen: dit komt gemiddeld voor bij ongeveer 50 % van de patiënten vanaf de leeftijd van 60 jaar. Momenteel blijft nierfunctie-  
vervangende therapie (dialyse of niertransplantatie) de enige behandelingsoptie voor patiënten met terminaal nierfalen, uitgezonderd voor Tolvaptan in geselecteerde patiënten.

De kennis van de veranderingen op celniveau die voorkomen bij ADPKD, neemt sterk toe. Verschillende therapieën worden momenteel in studieverband getest in diermodellen en/of volwassen ADPKD patiënten. Echter, de resultaten zijn teleurstellend en de middelen hebben veel nevenwerkingen.

De vraag die we ons stellen, is of deze producten beter zouden werken, wanneer ermee gestart wordt op een jongere leeftijd. Hiermee bedoelen we wanneer er nog meer normaal nierweefsel is. Er zijn echter nog veel vraagtekens, momenteel zijn er nog geen parameters om de ziekte toename

te volgen en te voorspellen voor kinderen met ADPKD. Op kinderleeftijd zien we in ongeveer 23% van de patiënten proteïnurie (verhoogde hoeveelheid eiwit in de urine) en in 5 tot 44% verhoogde bloeddruk, al dan niet met verdikking van de linkerhartkamer tot gevolg. Het is nog onduidelijk in welke mate deze ziektekenmerken bijdragen tot ziekte progressie.

Daarnaast is het belangrijk te onderstrepen dat ADPKD een aandoening is die niet enkel de nieren aantast. Cysten kunnen zich in andere organen ontwikkelen, meest frequent ter hoogte van de lever. Daarnaast is er een verhoogde kans op ziekte of overlijden door hart-en vaatziekten in deze patiënten. Patiënten met ADPKD hebben meer kans om te overlijden ten gevolge van hart-en vaatziekten dan ten gevolge van het nierlijden.

**Wat zijn de doelstellingen van het ADPKD register? Waarom wordt ADPedKD uitgevoerd?** ADPedKD heeft als doelstelling om gegevens te verzamelen van ADPKD patiënten vanaf hun kinderleeftijd of zelfs prenatale periode, over heel de wereld. Hoe werden patiënten tot nu toe in de verschillende landen opgevolgd en behandeld en welke behandelingen gaven een positief resultaat? We willen ook meer informatie over hetgeen leidt tot een milder of erger (vanaf jongere leeftijd) verloop van ADPKD. Er zal bijzondere aandacht gegeven worden aan de initiële presentatie van de ziekte (screening versus symptomen), geboortegegevens, genetische testen en de opvolging van de ziekte. Deze studie wordt ondersteund door de Europese vereniging voor kinder nefrologie (ESPN).

**Wie kan deelnemen aan dit register? Hoe deelnemen?**

Alleen artsen of medisch personeel (bv studieverpleegkundige) kunnen gegevens doorgeven aan ADPedKD. Je kan niet zelf gegevens doorsturen. Elke ADPKD patiënt die vanaf de kinderleeftijd wordt opgevolgd, kan deelnemen aan de registratie. Het medisch personeel kan alleen gegevens doorgeven als jij daarvoor je schriftelijke toestemming geeft, samen met je ouders.

**Wie kan niet deelnemen aan het register?**

Patiënten met niercysten door een andere reden dan door ADPKD kunnen niet deelnemen.

**Hoe wordt de ADPedKD uitgevoerd? Welke gegevens worden verzameld? Welke onderzoeken worden uitgevoerd?**

Als jij en je ouders instemmen, kan het medisch personeel jouw informatie (symptomen, radiologische onderzoeken, laboratorium resultaten, de familie geschiedenis, genetische onderzoeksresultaten enzovoort) toevoegen aan de databank.

Je naam wordt vervangen door een code. Enkel de hoofdonderzoeker of een hiervoor bevoegd lid van het onderzoeksteam zal in staat zijn om je gegevens te linken aan jouw naam. Deze persoon zal jaarlijks nieuwe informatie over jouw opvolging toevoegen aan de databank.

**Zullen er extra onderzoeken of extra consultaties nodig zijn voor ADPedKD?**

Neen. Het medisch personeel zal je gegevens in het register invoeren. Er is geen extra onderzoek of ziekenhuisconsultaties nodig dat anders niet nodig is.

**Welke risico's zijn er verbonden aan ADPedKD ?**

ADPedKD is een registerstudie. Bestaande gegevens worden in het ADPedKD bijgehouden. U zal niet anders worden behandeld.

**Verzekeringsplicht.**

De opdrachtgever (UZ Leuven) is, zelfs foutloos, aansprakelijk voor de schade die de deelnemer (of, in het geval van overlijden, zijn rechthebbenden) opliepen en die een rechtstreeks dan wel indirect verband met de registratie studie vertoont. UZ Leuven heeft een verzekering, conform artikel 29 van de Wet van 7 mei 2004 inzake experimenten op de menselijke persoon, afgesloten die deze aansprakelijkheid dekt voor schade van alle deelnemers.

**Welk voordeel heeft u of uw arts aan de deelname? Zijn er kosten aan verbonden? Krijg je een tegemoetkoming?**

Er zijn geen directe voordelen voor jou. Alle ADPKD patiënten kunnen voordeel halen uit de resultaten die voortkomen uit deze studie. Er zijn geen kosten en er is ook geen tegemoetkoming voorzien voor patiënten die deelnemen aan de register studie.

**Wat gebeurt er met mijn gegevens?**

Alle gegevens en bevindingen zullen vertrouwelijk worden behandeld. Niemand van ons mag er met derden over praten. Op het einde van de studie schrijven we een artikel over de studie maar we zorgen ervoor dat geen enkele patiënt kan geïdentificeerd worden. De gecodeerde gegevens worden in de toekomst mogelijks gebruikt voor internationale samenwerkingen.

**Moet ik hieraan deelnemen?**

Nee. De deelname aan de studie is volledig vrijwillig. Je kan je op elk ogenblik, en zonder reden, terugtrekken van de studie. Dit zal geen nadelig effect hebben voor jou, je zal niet anders behandeld worden. Uiteraard zouden we het wel op prijs stellen mocht je willen deelnemen.

**Wie is uw contactpersoon?**

Je contactpersoon voor deze studie is je behandelende arts.

Gegevens behandelde arts:

**Nog vragen?**

Aarzel niet om 1 van de onderzoekers te contacteren indien je nog vragen hebt.

Dr. Stéphanie De Rechter  
[stephanie.derechter@uzleuven.be](mailto:stephanie.derechter@uzleuven.be)

Prof. Dr. Djalila Mekahli  
[djalila.mekahli@uzleuven.be](mailto:djalila.mekahli@uzleuven.be)

Dr. Max Christoph Liebau,  
[max.liebau@uk-koeln.de](mailto:max.liebau@uk-koeln.de)

**Toestemmingsverklaring deelname aan de studie ADPedKD**

Ik ben goed over het onderzoek geïnformeerd. Ik heb deze informatie goed gelezen. Ik heb voldoende vragen kunnen stellen over dit onderzoek en deze vragen zijn voldoende beantwoord. Ik heb goed kunnen nadenken over mijn deelname. Ik weet dat ik mijn toestemming op ieder moment kan intrekken zonder dat ik daarvoor moet uitleggen waarom.

Ik geef toestemming voor deelname aan het onderzoek:

Achternaam en voornaam :.....

Geboortedatum :.....

Handtekening :.....

Datum :.....

Ondergetekende verklaart dat de hierboven genoemde persoon zowel mondeling als schriftelijk over het bovenvermelde onderzoek is geïnformeerd. Hij/zij verklaart tevens dat een voortijdige beëindiging van de deelname door bovengenoemde persoon van geen enkele invloed zal zijn op de zorg die hem of haar toekomt.

Naam :.....

Functie :.....

Handtekening :.....

Datum :.....

OPMERKING: van zodra de leeftijd van 18 jaar bereikt wordt tijdens het verloop van de studie, dient het document “Patient informatie en informed consent voor volwassene” ondertekend te worden.