

**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 patiënt,

U wordt opgevolgd omdat u lijdt aan de aandoening “Autosomaal dominant polycystische nierziekte (ADPKD)”. Daarom wordt u nu gevraagd om mee te werken aan het ADPKD patiënten register, dat ADPedKD heet. Met dit formulier willen we u informeren waarom we dit register maken en wat uw medewerking juist betekent voor u. Neem de nodige tijd om dit formulier grondig door te nemen en neem contact op met uw arts indien u vragen heeft. 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? Als multinational register heeft ADPedKD als doelstelling om gegevens te verzamelen van ADPKD patiënten vanaf hun kinderleeftijd over heel de wereld. Het is onze bedoeling om de symptomen en het ziekteverloop te identificeren die kunnen wijzen op een milde of ergere (vanaf jongere leeftijd) progressie van de ziekte. Zijn er mogelijk patiënten die gebaat zijn bij een vroege behandeling? Welke behandelingen werden reeds geprobeerd en welke behandeling toonde goede resultaten? Daarnaast proberen we na te gaan welke de genetische oorzaken zijn van de waargenomen verscheidenheid aan symptomen. Zijn er genetische varianten die de progressie van de ziekte bepalen? Er zal ook bijzondere aandacht gegeven worden aan de initiële presentatie van de ziekte, geboortegegevens en de opvolging van de ziekte.

De patiëntgegevens zullen onder een pseudoniem worden verzameld en onze databank kan dienen als een essentiële centrale gegevensbank voor toekomstige therapeutische studies.

Wie kan deelnemen aan dit register? Hoe deelnemen?

Alleen artsen of ander medisch personeel (bv studieverpleegkundige) kunnen gegevens toevoegen aan de ADPedKD. U kan niet zelf gegevens doorsturen. Elke ADPKD patiënt die vanaf de kinderleeftijd wordt opgevolgd, kan deelnemen aan de registratie. Een lid van uw medisch team kan alleen gegevens includeren op het ogenblik dat u hiervoor uw schriftelijke toestemming heeft gegeven.

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?

Zo u akkoord gaat, zal de medische staf van uw ziekenhuis de beschikbare klinische data includeren, zoals bijvoorbeeld symptomen, echografieresultaten, laboresultaten, familiale geschiedenis, en uitgevoerde genetische studies. Deze gegevens zullen onder een pseudoniem worden geregistreerd, wat betekent dat uw naam en adres niet worden toegevoegd aan de ingevoerde gegevens. Uw naam zal worden vervangen door een identificatiecode die zal bestaan uit een code voor het centrum en een voor u persoonlijke code. Enkel de hoofdonderzoeker of een hiervoor bevoegd lid van het onderzoeksteam kan deze identificatiecode met u associëren via een lijst die niet toegankelijk is voor de coördinatoren van de registratie. Jaarlijkse follow-up gegevens, bijvoorbeeld betreffende nierfunctie of nieuwe symptomen die zich zouden hebben ontwikkeld, zullen ook worden toegevoegd aan de databank.

In het geval van substantiële veranderingen in het wetenschappelijk doel van de ADPedKD, zal u hierover bijkomende informatie krijgen via uw behandelende arts.

Deze studie wordt ondersteund door de Europese vereniging voor kindernefrologie (ESPN).

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

Nee. Een lid van uw medisch team zal de gegevens invoeren in de registratiebank. Er zullen

geen bijkomende onderzoeken of ziekenhuisbezoeken nodig zijn, die anders niet zouden worden uitgevoerd.

Welke risico's zijn er verbonden aan ADPedKD ?

ADPedKD is een registratiestudie waarin bestaande gegevens zullen worden opgeslagen. Er zal geen wijziging in behandeling of bijkomend onderzoek zijn voor deze studie.

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 u. Alle ADPKD patiënten kunnen voordeel halen uit de resultaten die voortkomen uit deze studie. Er zullen geen kosten zijn voor de deelnemers, maar er is ook geen vergoeding voor deelname.

Wat gebeurt er met mijn gegevens?

In deze studie zullen medische bevindingen worden verzameld en bewaard op een beveiligde online server in een web-based database alvorens te worden geanalyseerd. De elektronische bewaring en analyse van gegevens zal met pseudoniemen worden uitgevoerd. Dit betekent dat uw naam zal vervangen worden door een patiënten identificatiecode, bestaande uit een code voor het centrum en een voor u persoonlijke code. Terugkoppeling naar uw persoonsgegevens vanuit deze code zal enkel mogelijk zijn door de hoofdonderzoeker of een hiervoor bevoegd lid van het onderzoeksteam. Deze persoon zal uw gegevens invoeren in de database, die online beschikbaar is en beveiligd is met paswoord. Deze webpagina is SSL- beveiligd: Secure Sockets Layer. De gegevensbank zal op een server worden geplaatst die zal worden beheerd door het computer centrum van de Universiteit van Keulen. Uiteraard zal elke betrokkene de gegevens confidentieel benaderen. In geval van publicatie van de onderzoeksresultaten in wetenschappelijke tijdschriften en op wetenschappelijke meetings, zal de publicatie geen persoonlijke gegevens bevatten betreffende uw persoon. De data zullen voor onbepaalde termijn bewaard blijven. De gecodeerde gegevens zullen in de toekomst mogelijks gebruikt worden in internationale collaboraties.

Moet ik hieraan deelnemen?

Nee. De deelname aan de studie is volledig vrijwillig. U kan uw deelname aan de studie op elk moment opzeggen, zonder hiervoor een reden op te moeten geven. Er zullen geen negatieve gevolgen zijn met betrekking tot uw medische opvolging. Zo u van mening verandert, bespreek dit dan met uw arts.

Wie is uw contactpersoon?

Uw eerste contactpersoon voor deze studie is uw 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

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

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

Toestemmingsverklaring deelname aan de studie ADPedKD

Ik ben naar tevredenheid over het onderzoek geïnformeerd. Ik heb de schriftelijke informatie goed gelezen. Ik ben in de gelegenheid geweest om vragen over het onderzoek te stellen. Mijn vragen zijn naar tevredenheid beantwoord. Ik heb goed over mijn deelname aan het onderzoek kunnen nadenken. Ik heb het recht mijn toestemming op ieder moment in te trekken zonder dat ik daarvoor een reden behoef op te geven.

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 :.....