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

Mezinárodní vícestředová studie autosomálního dominantního polycystického onemocnění 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 rodiči,

Vašemu dítěti je diagnostikováno/je sledováno pro „autosomální dominantní polycystické onemocnění ledvin“ (ADPKD). S ohledem na tuto skutečnost se na Vás obracíme s prosbou o jeho/její 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 Vašeho dítěte očekává, pakliže se jí zúčastní. Pečlivě a v klidu si jej prosím přečtěte. 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 účasti v této studii.

# Co je známo o ADPKD?

Autosomální dominantní polycystické onemocnění ledvin (ADPKD) je nejčastější monogenní příčinou selhání ledvin, kdy 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 nezbytná 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 údaje 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 ani Vaše dítě. Součástí registru mohou být všichni pacienti s ADPKD s pohospitalizačním sledováním od dětského věku. Osoba ze zdravotnického týmu Vašeho dítěte může zadat Vaše údaje až poté, kdy jste Vy a Vaše dítě 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 Vaše dítě podepíšete formulář informovaného souhlasu, může osoba ze zdravotnického týmu Vašeho dítěte vložit údaje Vašeho dítěte (příznaky, výsledky radiologického vyšetření, laboratorní výsledky, rodinná anamnéza, genetická analýza, atd.) do databáze, která je přístupná na webu. Jména budou nahrazena kódy, z nichž část označuje zúčastněné středisko a část představuje osobní kód Vašeho dítěte. Spojit jeho/její údaje s jeho/jejím jménem je oprávněn pouze hlavní řešitel nebo pověřený člen výzkumného týmu, a to prostřednictvím seznamu, který není přístupný koordinátorům registru. Při každém kontrolním setkání Vašeho dítěte budou do databáze vloženy nové údaje. V případě zásadních změn vědeckého cíle ADPedKD obdržíte od svého ošetřujícího lékaře doplňující informace.

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

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

Ne. Osoba ze zdravotnického týmu Vašeho dítěte vloží do registru údaje Vašeho dítěte získané pouze z jeho/jejích 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 nebude Vašemu dítěti 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 Vašemu dítěti nebo jeho/jejímu lékaři nějaké výhody?

Účast Vašeho dítěte 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 zpracovány?

Se všemi údaji bude nakládáno důvěrně. Osoba ze zdravotnického týmu Vašeho dítěte vloží data do databáze, která je přístupná online a zabezpečená heslem. Webová stránka je zabezpečena pomocí protokolu SSL (Secure Sockets Layer). Databáze bude umístěna na serveru spravovaném v německém Kolíně nad Rýnem. Nikdo není oprávněn hovořit o údajích s třetí stranou.

Na konci studie zveřejníme výsledky v odborném vědeckém časopise. V předmětném článku (článcích) nebude možné identifikovat žádného z účastníků.

Údaje budou uchovány po dobu neurčitou.

# Musí se mé dítě zúčastnit?

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

# Kdo je Vaší kontaktní osobou?

Vaše kontaktní osoba pro tuto studii je ošetřující lékař vašeho dítěte:

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. Účast mého dítěte jsem důkladně zvážil/zvážila. Je mi známo, že svůj souhlas mohu kdykoli a bez jakéhokoli zdůvodnění odvolat.

Prohlašuji, že chci, aby se mé dítě zúčastnilo tohoto výzkumu:

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

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

Rodič/Zákonný zástupce:

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 dítěte této osoby nebude mít žádný vliv na lékařskou péči, která bude dítěti poskytnuta.

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

Funkce:………………………………………………………….

Podpis:………………………………………………………….

Datum:……………………..