

**Formulaire d'information et de consentement éclairé pour inclusion  
dans le registre polykystose rénale autosomique dominante (PKAD)  
« ADPedKD »**

**Coordonnateur de l'étude :**

Prof. Djalila Mekahli  
Néphrologie pédiatrique  
Hôpital universitaire de Leuven  
Herestraat 49  
3000 Leuven  
Belgique

**Co-responsable :**

Dr. Max Liebau  
Néphrologie pédiatrique  
Hôpital universitaire Cologne  
Kerpener Straße 62  
50937 Köln  
Allemagne

**Coordonnateur français :**

Dr Bruno Ranchin  
Service de Néphrologie  
Hôp. Femme Mère Enfant  
59 Bd Pinel  
69677 Bron  
France

Chers parents de.....

Un diagnostic de polykystose rénale autosomique dominante (PKAD) a été fait chez votre enfant, et son médecin vous propose de l'inclure dans le registre ADPedKD. Par ce formulaire, nous souhaitons vous présenter les buts de ce registre et ce que la participation représente pour vous ainsi que votre enfant. Nous vous invitons à lire les informations suivantes attentivement et nous sommes à votre disposition pour en discuter si vous avez des questions.

Cette étude a été approuvée par le Comité d'éthique médicale des Hôpitaux Universitaires Leuven et par le Comité d'éthique du CHU de Lyon le 05/01/2018.

**Que sait-on sur la polykystose rénale autosomique dominante (PKAD)?**

La polykystose rénale autosomique dominante est la plus fréquente des maladies héréditaires du rein. Elle se manifeste par une augmentation progressive du volume des reins du fait de l'apparition de kystes de plus en plus nombreux et de plus en plus grands. Cela peut mener finalement à l'insuffisance rénale terminale en moyenne vers l'âge de 60 ans. D'autres systèmes peuvent être atteints, par exemple des kystes au niveau du foie et des anévrismes cérébraux. On retrouve des mutations dans deux gènes responsables, *PKD1* qui code pour la polycystine 1 et qui est responsable de la maladie dans 85% des cas et *PKD2* qui code pour la polycystine 2 et qui est en cause dans 15% des cas. La maladie touche entre 1/400 et 1/1000 personnes. Actuellement, la prise en charge de cette pathologie est purement symptomatique, à l'exception de Tolvaptan pour certains patients.

Plusieurs traitements ont été testés dans des modèles animaux et/ ou dans études cliniques incluant des adultes atteints par la PKAD. Cependant, les résultats étaient limités et surtout associés avec beaucoup d'effets indésirables. Les caractéristiques cliniques sont très variables chez les enfants et les adolescents atteints par la PKAD. 23% des enfants présentent une protéinurie et 5 à 44% une hypertension.

**Quels sont les buts du registre ADPedKD?**

Ce registre international rendra possible la collecte de données concernant des patients pris en charge dans différents centres à travers du monde, dès l'enfance voire pour certains patients en prénatal. Nous souhaitons identifier les symptômes et évolutions de la maladie associés aux formes infantiles de la maladie. Nous aimerions également rechercher d'éventuelles causes génétiques pouvant expliquer la variabilité des symptômes et de la progression de la maladie. Seul un registre international peut permettre de répondre à ces questions. Les données des

patients seront codées (voir ci-dessous).

Cette étude a le soutien de la Société européenne de néphrologie pédiatrique (ESPN).

### **Qui peut participer au registre? Comment être inclus?**

Seule l'équipe médicale peut entrer des données dans le registre ADPedKD. Vous n'aurez pas à entrer des données de votre enfant vous-même. Tous les patients présentant une PKAD peuvent participer au registre ADPedKD. Mais l'équipe médicale de votre enfant ne peut entrer des données qu'après avoir obtenu votre consentement écrit ainsi que le consentement de votre enfant.

### **Qui ne peut pas participer au registre?**

Les patients avec une maladie kystique rénale autre que la PKAD ne peuvent pas participer.

### **Comment le registre est-il administré? Quelles sont les données collectées ? Quels sont les examens qui seront réalisés ?**

Si vous donnez l'accord de participation au registre, l'équipe médicale qui prend en charge votre enfant, entrera ses données cliniques (symptômes, résultats des échographies, des examens biologiques, histoire familiale, études génétiques réalisées) dans le registre sur le site web. Toutes les données seront codées. Le nom de votre enfant sera remplacé par un code identifiant formé par l'association d'un code correspondant à l'hôpital et d'un code identifiant personnel. Seul le responsable pour le registre de l'équipe médicale qui prend en charge votre enfant ou un membre autorisé de cette équipe sera capable de retrouver l'identité de votre enfant à partir de ce code, au moyen d'une liste qui ne sera pas accessible aux coordinateurs du registre. Les données concernant la fonction rénale ou des nouveaux symptômes, lors des suivis annuels, seront également enregistrées. Vous serez informé par le médecin de votre enfant en cas de changement significatif concernant le but scientifique du registre.

Les données codées seront éventuellement utilisées dans de futures collaborations internationales.

### **La participation au registre ADPedKD justifiera t'elle des examens ou consultations supplémentaires?**

Non. Le médecin rentrera les données de votre enfant dans le registre. Il n'y aura pas d'examen, de visite supplémentaire.

### **Quels risques découlent de la participation au registre?**

ADPedKD est un registre dans lequel on collecte des données existantes. Il n'y aura pas de changement de prise en charge ni d'intervention supplémentaire pour le registre ADPedKD.

### **L'assurance.**

Le commettant (Hôpital universitaire de Leuven) est, même sans faute de sa part, responsable des dommages que le participant (ou, en cas de décès, son titulaire) a subi et qui sont (in)directement liés à l'étude du registre. UZ Leuven dispose d'une assurance, conformément à l'article 29 de la loi du 7 mai 2004, couvrant la responsabilité pour les dommages subis par les participants.

### **Est-ce que votre enfant ou son médecin bénéficient de ce registre ? Y a t'il des coûts ou des frais associés à la participation ?**

Potentiellement, tous les patients PKAD peuvent bénéficier des résultats obtenus grâce au registre. Il n'y aura pas de coût, ni compensation ni frais pour la participation au registre.

**Information concernant la protection des données**

Les données personnelles médicales seront collectées et sauvegardées sur un serveur Web sécurisé, localisé à Cologne. L'équipe médicale de votre enfant entrera ses données dans la base de données. Cette base de données ne sera accessible qu'avec un mot de passe, sur un site web SSL-sécurisé (SSL: Secure Sockets Layer). En cas de publication des résultats de ce projet scientifique dans les journaux et congrès scientifiques, personne ne pourra identifier votre enfant. Les données rassemblées seront conservées pendant une période indéfinie.

**Je peux retirer mon consentement?**

La participation au registre est complètement volontaire. Vous pouvez toujours retirer votre accord concernant la participation de votre enfant, sans aucune justification, et sans conséquences pour la prise en charge de votre enfant.

**Qui est votre contact?**

Adressez toutes vos questions au médecin traitant de votre enfant.

Médecin traitant: Nom: .....

Téléphone / email....

**D'autres questions?**

N'hésitez pas à nous contacter si vous avez des autres questions :

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)

Dr Bruno Ranchin, [bruno.ranchin@chu-lyon.fr](mailto:bruno.ranchin@chu-lyon.fr)

<b>Consentement pour la participation au registre ADPedKD</b>
---

Je suis bien informé concernant cette étude. J'ai lu ces informations attentivement. J'ai demandé tous ce que je ne comprenais pas et toutes mes questions ont été répondues d'une manière satisfaisante. Je sais que je peux retirer mon consentement à tout moment sans devoir m'expliquer.

En tant que parent ou tuteur légal de :

Nom - prénom: .....

Date de naissance: .....

Parent/ Tuteur légal :

Nom - prénom: .....

Date de naissance: .....

Lien avec le participant: .....

Date : .....

Signature : .....

Je déclare avoir expliqué le but, la nature, les avantages et les risques du projet et avoir répondu au meilleur de ma connaissance aux questions posées.

Responsable du projet : \_\_\_\_\_

Nom - prénom: .....

Function: .....

Date : .....

Signature : .....