

## CONSENSO PER IL REGISTRO MTM - Pazienti deceduti

### Registro dei Pazienti con Miopatie Monotubolari e Centronucleari (MTM e CNM)

Ricercatore Principale/Direttore dei dati: Professor Professor Hanns Lochmüller, Istituto di Medicina Genetica, Newcastle University

E' stato invitato a fornire informazioni su un membro della sua famiglia deceduto nel Registro dei pazienti miopatie mononucleari o centronucleari (MTM/CNM). Un registro e' un tipo di database di ricerca.

Sappiamo che completare questo registro può essere doloroso. Per fare in modo che sia preparato, vogliamo informarla che le domande che le saranno chieste concerneranno la diagnosi genetica del paziente ( se ne hanno avuta una confermata) e le informazioni sulla sua condizione ( incluse le capacita' motorie, di respirazione e di nutrizione). Vorremmo anche chiederle i dettagli del medico curante del paziente e di caricare delle copie delle biopsie genetiche e muscolari nel caso in cui queste siano state effettuate. Se al momento non fosse in possesso di alcune di queste informazioni, può salvare le sue informazioni e accedere di nuovo in un altro momento per completarle.

Prima di accettare di partecipare, e' importante che capisca come sanno utilizzate le formazioni che fornira'. Le informazioni qui sotto contengono delle risposte a domande che potrebbe avere, alla fine delle quali troverà alcune liberatorie che dovrà completare per confermare la sua volontà a partecipare.

Se dopo aver letto queste informazioni avesse ulteriori domande, la preghiamo di contattare la

Curatrice del Registro, Jo Bullivant, all'indirizzo email [mtmcmregistry@treat-nmd.eu](mailto:mtmcmregistry@treat-nmd.eu).

Si prenda del tempo per decidere se partecipare o meno.

Può anche usare il link sopra riportato per scaricare o stampare una copia di queste informazioni da conservare.

#### 1. Cos'è un registro dei pazienti e perché ne è necessario uno per la MTM/CNM?

Progressi scientifici negli ultimi anni hanno portato a cambiamenti sostanziali nella cura di diverse malattie. Sono state sviluppate nuove strategie terapeutiche e, per alcune di queste cure, sono già in atto piani per grandi studi comprendenti pazienti da più di una nazione. Quando un esperimento clinico (o qualunque ricerca) viene programmato, e' molto importante che possano essere trovati e contattati velocemente pazienti adatti per le sperimentazioni.

Il modo migliore per assicurare che ciò avvenga e' far in modo che i dati di tutti pazienti vengano raccolti in uno stesso database o "registro" che contenga tutte le informazioni necessarie ai ricercatori, inclusi ogni particolare difetto genetico di ogni paziente e altre informazioni chiave sulla loro malattia. Inoltre, questi registri aiuteranno i ricercatori a rispondere a domande come quanto siano globalmente diffuse malattie come la MTM/CNM e a supportare altre attività per migliorare la cura dei pazienti, come per esempio giudizi sugli standard di assistenza.

## **2. Di chi sono i dati che vengono registrati?**

Questo registro è per i pazienti che soffrono, o hanno sofferto, di miopatie monotubolari o centronucleari (MTM/CNM). Visto che uno degli scopi della ricerca è capire la progressione della malattia, il registro sarà usato per raccogliere informazioni su pazienti che al momento convivono con la MTM/CNM, e, come testimonianza, di coloro che ne sono morti.

Il registro raccoglierà dati di pazienti a cui è stato comunicato di avere la MTM/CNM, anche se non hanno ancora avuto una diagnosi genetica confermata.

---

## **3. Chi entrerà in possesso delle informazioni che fornisco?**

Il registro è gestito dal John Walton Muscular Dystrophy Research Centre dell'Università di Newcastle (Centro di Ricerca per la Distrofia muscolare John Walton), nel Regno Unito, sono loro i responsabili della gestione e della sicurezza delle sue informazioni. Fanno parte del TREAT-NMD Neuromuscular Network, e il registro è finanziato dal The Myotubular Trust. Solo lo staff in carico del registro avrà accesso ai dati da lei forniti. Se avesse qualche domanda su come sono usate le informazioni o volesse vedere una copia delle informazioni possedute su di lei dal registro, la preghiamo di contattare la Curatrice del Registro, Jo Bullivant, all'indirizzo email [mtmcmregistry@treat-nmd.eu](mailto:mtmcmregistry@treat-nmd.eu).

---

## **4. Come sarà identificato il paziente nel registro?**

I dati da lei forniti saranno conservati in maniera sicura e la documentazione assegnata ad un codice unico e anonimo. Ogni informazione personale o a lei attribuibile (nome, indirizzo, indirizzo email, numero telefonico) sarà conservata separatamente. È proprio questo codice unico che sarà usato per identificare la sua documentazione se i suoi dati venissero analizzati. Solo lo staff incaricato del registro per le MTM/CNM sarà in grado di "decodificare" i dati per avere accesso ai suoi dati personali.

---

## **5. I miei dati saranno tenuti segreti?**

Sì. Il registro è gestito dal John Walton Muscular Dystrophy Research Centre dell'Università di Newcastle (Centro di Ricerca per la Distrofia muscolare John Walton), nel Regno Unito. Tutti i dati sono soggetti a protezione dal Data Protection Act del 1998 (Atto per la Protezione dei Dati) (derivante dalla direttiva EU 95/46). Tutte le informazioni che riceveremo da lei saranno trattate in

maniera confidenziale. Le informazioni saranno criptate e conservate in un server sicuro. Se pubblicheremo una ricerca o altri documenti basati sui suoi dati, la ricerca non presenterà mai il suo nome.

Condivideremo informazioni statistiche generali (anonime) e numeri dei pazienti dal registro con la comunità medica per le miopatie monotubolari e centronucleari in modo tale da aumentare la loro conoscenza e migliorare le informazioni che hanno per future ricerche.

---

## **6. Che benefici trarrò registrandomi?**

Questo registro e' programmato come un servizio pubblico per il beneficio di pazienti in vita con la MTM/CNM. Non riceverà alcun pagamento o altri vantaggi economici come risultato dell'invio dei suoi dati al registro. Il risultato della ricerca facilitata dal registro potrebbe alla sua fine essere brevettabile o potrebbe avere del potenziale commerciale. Tuttavia, non riceverà diritti di brevetto e non riceverà vantaggi economici da futuri sviluppi commerciali.

I dati che raccogliamo da lei possono fornire benefici ad altri pazienti con la MTM/CNM, per esempio mostrando statistiche su come molte persone hanno la stessa malattia, o fornendo generali informazioni statistiche per ricercatori interessati nei migliori standard di cure e aiutandoli a creare dei piani per sperimentazioni cliniche e altre iniziative di ricerca. Pubblicheremo alcune generali informazioni statistiche dal registro, così che lei possa scoprire informazioni su come la MTM/CNM colpisce altre persone. Se non desidera ricevere comunicazioni di questo genere dal registro, può segnalarlo nei moduli di consenso che troverà sotto.

---

## **7. Devo partecipare al registro e posso ritirarmi se cambio idea?**

La sua partecipazione a questo progetto è completamente volontaria. Il Data Protection Act 1998 (derivato dalla direttiva EU 95/46) le garantisce il diritto di accedere ai propri dati e a modificarli in ogni momento. Se volesse ritirare i suoi dati dal registro sarebbe libero di farlo senza il bisogno di fornire alcuna spiegazione. Se si volesse ritirare, la preghiamo di contattare la Curatrice del Registro, Jo Bullivant, all'indirizzo email [mtmcmregistry@treat-nmd.eu](mailto:mtmcmregistry@treat-nmd.eu).

---

## **8. Chi devo contattare se ho delle domande?**

Se volesse delle ulteriori informazioni o se volesse ritirare i suoi dati dal registro, la preghiamo di contattare Curatrice del Registro, Jo Bullivant, all'indirizzo email [mtmcmregistry@treat-nmd.eu](mailto:mtmcmregistry@treat-nmd.eu).

### **9. Per quanto tempo saranno conservate le informazioni nel registro?**

Non c'è un tempo stabilito per la rimozione dei suoi dati. A meno che non sia lei a richiedere la rimozione dei dati dal registro, li terremo per il tempo che considereremo necessario per lo scopo descritto in questo documento. Può tuttavia contattare la Curatrice del Registro in ogni momento per rimuovere i suoi dati.

---

### **10. Chi finanzia la ricerca?**

Il Myotubular Trust sta fornendo fondi all'Università di Newcastle per la gestione del registro. Il Professor Lochmüller o altri membri del team della ricerca non riceveranno ulteriori pagamenti per l'aggiunta dei suoi dati nel database.

---

### **11. Chi ha esaminato la ricerca?**

Questa ricerca è stata esaminata e approvata dal North East-Newcastle and North Tyneside 1 Research Ethics Committee.

---

### **12. Nel caso avessi altre domande?**

Se avesse altre domande riguardanti questo studio o il modo in cui è stato condotto, la preghiamo di contattare la Curatrice del Registro, Jo Bullivant, all'indirizzo email [mtmcnmregistry@treat-nmd.eu](mailto:mtmcnmregistry@treat-nmd.eu).

Per i pazienti nel Regno Unito: Se sente di essere stato trattato ingiustamente durante il corso della ricerca, o volesse commentare sulla condotta o su qualunque aspetto di questa ricerca, può contattare il Patient Advice and Liaison Service (PALS) 0800 0320202.