

Consentement pour le registre de la MTM – Parent ou Représentant Légal

Registre des Patients atteints de Myopathie Myotubulaire et Centronucléaire (MTM et CNM)

Chercheur principal/Contrôleur de données : Professeur Hanns Lochmüller, Institut de Médecine Génétique, Newcastle University

Informations pour les Parents ou Représentants Légaux de Patients atteints de MTM ou CNM

Nous invitons votre enfant à participer à un registre (base de données de recherche). Avant d'accepter d'inscrire votre enfant au Registre des Patients atteints de Myopathie Myotubulaire et Centronucléaire (MTM et CNM), il est important que vous compreniez ce que cela implique et ce que nous ferons des informations que vous fournirez.

Les informations ci-dessous contiennent les réponses à certaines des questions que vous êtes susceptible de vous poser. Sous ces informations se trouve un formulaire de consentement que vous devez compléter afin de confirmer que vous souhaitez participer à ce registre. Des informations sont également disponibles pour votre enfant à la suite de ce document.

Si vous ou votre enfant avez des questions après avoir lu ces informations, veuillez contacter la Conservatrice du Registre, Jo Bullivant, à l'adresse mtmcmregistry@treat-nmd.eu. Prenez votre temps afin de décider si vous souhaitez que votre enfant participe ou non.

Vous pouvez également utiliser le lien ci-dessus afin de télécharger ou imprimer une copie de ces informations et les conserver.

1. Qu'est-ce qu'un registre de patients et en quoi est-ce nécessaire pour la MTM et la CNM ?

Les avancées scientifiques réalisées ces dernières années ont conduit à des changements majeurs dans le traitement de nombreuses maladies. De nouvelles stratégies thérapeutiques ont été développées et, pour beaucoup de ces traitements, des projets pour des études de grande envergure, impliquant des patients venant de plusieurs pays, sont déjà en place. Lorsqu'on prépare un essai clinique, il est très important que les patients éligibles pour cet essai puissent être trouvés et contactés rapidement. La meilleure façon de garantir que cela est possible est de s'assurer que les informations des patients sont toutes rassemblées dans une seule base de données, ou « registre », qui contient toutes les informations dont les chercheurs auront besoin, y compris les anomalies génétiques de chaque patient et d'autres informations essentielles sur leur maladie. De plus, ces registres aideront les chercheurs à répondre à des questions telles que la fréquence de maladies comme la MTM et la CNM à l'échelle mondiale, et soutiendra également d'autres activités pour améliorer les soins des patients, comme l'évaluation des standards de soin.

2. Qui peut fournir ses informations au registre ?

Ce registre est pour les patients atteints de myopathie myotubulaire ou myopathie centronucléaire (MTM ou CNM). L'un des objectifs de cette recherche est de comprendre l'évolution de la maladie, c'est pourquoi le registre sera utilisé pour collecter des informations sur les patients qui vivent actuellement avec la MTM ou la CNM et, à des fins de recherches, sur les patients aujourd'hui décédés.

Le registre vise à collecter des données de patients qui ont été informés qu'ils sont atteints de MTM ou de CNM, même si leur diagnostic génétique n'a pas encore été confirmé. Cependant, un patient ne pourra être considéré comme éligible pour des essais cliniques qu'après avoir eu une confirmation de son diagnostic génétique. Même si votre diagnostic génétique n'a pas été confirmé à ce jour, vous recevrez tout de même les mises à jour sur les meilleures façons de soigner les patients.

3. Qui conservera les informations que je fournis sur mon enfant ?

Le registre est géré par le John Walton Muscular Dystrophy Research Centre à Newcastle University au Royaume-Uni ; il est en charge de la gestion et de la sécurisation des informations de votre enfant. Il fait partie du réseau TREAT-NMD Neuromuscular Network, et le registre est financé par la Myotubular Trust. Seul le personnel en charge du registre aura accès aux données que vous fournissez. Si vous avez des questions sur la façon dont les informations de votre enfant sont utilisées, ou si vous voulez voir une copie des informations de votre enfant présentes dans le registre, veuillez contacter la Conservatrice du Registre, Jo Bullivant, à l'adresse mtmcmregistry@treat-nmd.eu.

4. Comment mettre à jour les données de mon enfant si quelque chose change ?

Afin de s'assurer que les données dans le registre sont correctes et à jour, nous vous enverrons un rappel environ une fois par an vous demandant de nous informer de tout changement dans l'état de santé de votre enfant. Ceci peut être fait en ligne en vous connectant avec votre nom d'utilisateur et mot de passe. Nous vous demandons également de nous informer de toute modification majeure dans les données de votre enfant qui pourrait arriver entre les mises à jour annuelles, comme par exemple un changement d'adresse ou une évolution dans la capacité de marcher.

5. Comment est-ce que mon enfant sera identifié dans le registre ?

Vos détails personnels et ceux de votre enfant (nom, adresse, adresse e-mail, numéro de téléphone) doivent être enregistrés dans le registre afin que nous puissions vous contacter si nous devons vous informer d'un possible essai clinique ou tout autre chose qui pourrait se relater à sa maladie. Ces données seront enregistrées de manière sécurisée et un numéro unique et anonyme sera assigné à votre dossier. C'est ce numéro unique qui sera utilisé pour identifier votre dossier si des données sont analysées. Seul le personnel en charge du registre de la MTM et CNM sera capable de décoder les données afin d'accéder aux détails personnels.

6. Est-ce que les données de mon enfant resteront confidentielles ?

Oui. Le registre est géré par le John Walton Muscular Dystrophy Research Centre à Newcastle University au Royaume-Uni. Toutes les données conservées sont soumises à protection dans le cadre de la Loi sur la Protection des Données à Caractère Personnel de 1998 (dérivée de la directive européenne 95/46/CE). Toutes les informations que nous recevrons de votre part seront traitées de façon confidentielle. Les informations seront chiffrées et enregistrées sur un serveur sécurisé. Si nous

publions une recherche ou tout autre document basé sur des données issues du registre, cette recherche ne vous mentionnera jamais, vous ou votre enfant, en utilisant votre nom.

Nous partagerons des informations statistiques générales (et anonymes) ainsi que les numéros de patient issus du registre avec la communauté médicale de la myopathie myotubulaire et centronucléaire afin d'accroître leurs connaissances et d'améliorer les informations qui leur sont disponibles comme une première étape vers la planification d'essais cliniques.

7. Quels seront les bénéfices du registre pour mon enfant ?

Ce registre est conçu pour le grand public afin de venir en aide aux patients atteints de MTM et de CNM. Vous ne recevrez aucun paiement ni aucune autre compensation financière pour avoir soumis les données de votre enfant au registre. Les résultats de la recherche, rendue plus facile par le registre, peuvent à terme être brevetables ou avoir un potentiel commercial. Cependant, vous ne recevrez pas de droits de brevet ni de compensation financière pour les futurs développements commerciaux. Néanmoins, il peut y avoir d'autres bénéfices à participer au registre, par exemple :

- Nous vous informerons si (en se basant sur les informations que vous avez fournies) votre enfant pourrait être un-e candidat-e éligible à un essai clinique en particulier.
 - Nous vous informerons également si nous recevons de nouvelles informations sur la MTM ou la CNM qui pourraient vous intéresser ; par exemple, si nous trouvons de meilleures façons de soigner les patients atteints de MTM ou de CNM.
 - Les informations collectées grâce à vous pourraient également bénéficier à d'autres patients atteints de MTM ou de CNM, par exemple en mettant en évidence des statistiques sur le nombre d'individus atteints de la même maladie, ou en fournissant des informations statistiques générales pour les chercheurs intéressés par les meilleurs standards de soin, et en les aidant à faire des projets pour des essais cliniques et d'autres initiatives de recherche.
 - Nous publierons des informations statistiques générales issues du registre afin que vous puissiez trouver davantage d'informations sur les effets de la MTM et la CNM sur les autres individus.
-

8. Je veux que mon enfant fasse partie d'un essai clinique. Si je m'inscris, est-ce garanti ?

Seuls les patients dont le diagnostic génétique a été confirmé sont éligibles pour des essais cliniques, si de tels essais existent et au moment où ils seront disponibles. Cependant, vous recevrez les mises à jour sur les meilleures façons de prendre soin des patients et toute autre question en lien même si vous n'avez pas eu de confirmation du diagnostic génétique à ce jour.

Même avec un diagnostic génétique confirmé, il n'y a pas de garantie qu'enregistrer les informations de votre enfant lui assurera d'être impliqué dans un essai clinique. Il est également important de comprendre que même si les coordinateurs d'un essai clinique pensent que votre enfant pourrait être éligible pour cet essai en se basant sur les données que vous avez inscrites dans le registre, il est toujours possible que l'on découvre plus tard que votre enfant ne remplit finalement pas les critères d'inclusion.

9. Je ne veux pas que mon enfant soit impliqué dans un essai clinique. Est-ce tout de même recommandé de s'inscrire?

Nous espérons que vous serez intéressé à l'idée de vous inscrire même si vous ne souhaitez pas que votre enfant participe à un essai. Les informations que vous fournirez seront toujours utiles aux chercheurs qui essaient de trouver davantage de patients vivant avec la MTM ou la CNM, et nous vous fournirons tout de même d'autres informations qui peuvent être importantes en lien avec la maladie de votre enfant.

10. Suis-je obligé de participer au registre ? Est-ce possible de me rétracter si je change d'avis ?

Votre participation dans ce projet est entièrement volontaire. La Loi sur la Protection des Données à Caractère Personnel de 1998 (dérivée de la directive européenne 95/46/CE) vous garantit le droit d'accéder aux données de votre enfant et de les modifier à tout moment. Si vous le souhaitez, vous êtes libre de retirer les données de votre enfant du registre sans devoir vous justifier. Si vous souhaitez vous rétracter, veuillez contacter la Conservatrice du Registre, Jo Bullivant, à l'adresse mtmcmregistry@treat-nmd.eu.

11. Qui contacter si j'ai des questions ?

Si vous souhaitez avoir davantage d'informations ou si vous souhaitez retirer les données de votre enfant du registre, veuillez contacter la Conservatrice du Registre, Jo Bullivant, à l'adresse mtmcmregistry@treat-nmd.eu.

12. Pendant combien de temps est-ce que le registre conservera mes informations ?

Il n'y a pas de durée déterminée pour la suppression de vos données. À moins que vous nous demandiez de supprimer vos informations du registre, nous les conserverons aussi longtemps que nécessaire pour les fins décrites dans ce formulaire. Cependant, vous pouvez contacter la Conservatrice du Registre à tout moment afin de supprimer vos données.

13. Qui finance cette recherche ?

La Myotubular Trust finance Newcastle University pour gérer ce registre. Aucun autre paiement ne sera perçu par le Professeur Lochmüller, ni aucun autre membre de l'équipe de recherche, pour l'ajout de vos détails dans la base de données.

14. Qui a examiné ce projet ?

Cette recherche a été examinée et a reçu un avis favorable de la part du comité d'éthique de la recherche North East – Newcastle and North Tyneside 1 Research Ethics Committee.

15. Et si j'ai d'autres préoccupations ou davantage de questions ?

Pour toute préoccupation, ou autre question à propos de cette étude ou de la façon dont elle a été menée, veuillez contacter la Conservatrice du Registre, Jo Bullivant, à l'adresse mtmcmregistry@treat-nmd.eu.

Si vous avez le sentiment que votre enfant n'a pas été traité correctement au cours de la recherche, ou si vous souhaitez commenter la conduite d'un aspect de cette recherche, vous pouvez également contacter le Patient Advice Liaison Service (PALS) au 0800 0320202 (valable uniquement pour les patients résidant au Royaume-Uni).