

HOJA DE INFORMACIÓN AL PACIENTE PARA MENORES DE 12 AÑOS

Antes de inscribir a su hijo/menor en el Registro de Pacientes DMD España, es importante entender qué es y cómo se utilizará la información que deberá proporcionar. Este documento contiene algunas respuestas a las preguntas que pueda tener. Por favor, lea la siguiente información detenidamente y tómese su tiempo para decidir si desea que su hijo/menor participe o no. Si tiene más preguntas póngase en contacto con nosotros en el correo electrónico registro@duchenne-spain.org o bien por correo postal a la dirección, Duchenne Parent Project España (Registro de Pacientes DMD España), Calle Casco Antiguo, 12, local B - 28032 de Madrid.

Introducción

El Registro de Pacientes DMD España es una plataforma online creada por Duchenne Parent Project España, con el fin de tener una base de datos con los pacientes diagnosticados con Distrofia Muscular de Duchenne / Becker y Mujeres Portadoras que viven en España. El registro está diseñado para poder tener información sobre el número de afectados en el país y su estado de salud, para poder ayudar a la investigación de la enfermedad, y para facilitar la realización de ensayos clínicos de nuevas terapias en nuestro país.

Objetivos

Recopilar y mantener información actualizada sobre los pacientes y los datos de contacto públicos de los médicos que atienden a los pacientes.

Lograr una mejor caracterización epidemiológica de la enfermedad, para proporcionar una "instantánea" de los conocimientos actuales sobre el número de pacientes y de su situación, conocer la variabilidad de los síntomas basada en una comparación con los datos genéticos (genotipo / fenotipo).

Favorecer el entendimiento y la comunicación entre médicos y pacientes. El intercambio y la difusión de la información pueden acelerar la comprensión de la enfermedad y el desarrollo de nuevas estrategias terapéuticas.

Facilitar la investigación y disponer de datos concretos para definir políticas de salud pública.

Estandarizar los tratamientos y herramientas de diagnóstico para identificar a los pacientes que pueden beneficiarse de nuevos ensayos clínicos. Los recientes avances científicos han cambiado significativamente los horizontes terapéuticos para enfermedades neuromusculares. Se han desarrollado nuevas estrategias basadas en la terapia génica, la terapia celular o moléculas de nueva generación y para algunos de ellos se están haciendo estudios multicéntricos. Para la aplicación de un ensayo clínico es necesario identificar y contactar lo antes posible, con todos los pacientes elegibles. Un registro que contiene los datos sistematizados permite obtener de forma rápida y eficaz la información necesaria para los investigadores. Además, el proceso de validación de los datos insertados garantiza una correcta selección de los pacientes y homogeneidad en los distintos centros, facilitando información anonimizada para contribuir al éxito de los estudios de investigación y ensayos clínicos tendentes a mejorar el conocimiento de la enfermedad, sus causas, su evolución y su tratamiento.

Permitir que los propios pacientes estén informados sobre el inicio de nuevos ensayos clínicos y proponerles para la inscripción de acuerdo a los requerimientos. El Registro también se ha diseñado para proporcionar a los pacientes, a través de la plataforma online del registro, información online siempre accesible con sus datos clínicos y genéticos; y servirá de herramienta importante para la comunicación con la red de centros clínicos especializados en los ámbitos nacional y territorial.

¿Cómo van a ser gestionados los datos?

Tendrá que proporcionarnos los datos personales de su hijo/menor e información sobre la condición del afectado/s. Los datos serán almacenados, codificados y manejados de forma anónima por tiempo indefinido y ninguna persona no autorizada podrá acceder a su información. Los datos del afectado almacenados en el registro, serán accesibles a través del Registro Global DMD de la plataforma de TREAT-NMD gestionada por la Universidad de Newcastle (Reino Unido), que es visible para los investigadores de todo el mundo. Cuando se planifiquen ensayos clínicos, los investigadores tendrán acceso al Registro de TREAT NMD para encontrar pacientes que pueden ser incluidos en el estudio basado en las características clínicas y genéticas. Sólo los investigadores que hayan obtenido el consentimiento de su comité de ética, el consejo de administración y el comité de ética de TREAT-NMD pueden acceder al Registro. Asimismo, Duchenne Parent Project España tiene prevista la posibilidad de que los datos sean compartidos, de forma anonimizada, con otros grupos de investigación nacionales e internacionales, siempre y cuando, Duchenne Parent Project España considere garantizado que van a cumplir plenamente con los objetivos para los que ha sido creado el registro. Los datos de su hijo/menor serán identificados únicamente por un código único y no aparecerá su nombre. Esto significa que cuando un investigador quiera consultar el registro no encontrará la información personal (nombre, dirección, etc.) de su hijo/menor, sino sólo la información necesaria para los estudios epidemiológicos o para decidir si puede participar en un ensayo clínico específico. En este caso, si los investigadores quieren contactar con usted, primero se pondrán en contacto con los administradores del Registro de Pacientes DMD España (nuestro registro en España); y éstos seguidamente se pondrán en contacto con usted para darle información sobre el ensayo o para otros temas importantes sobre la enfermedad de su hijo/menor y solicitar su consentimiento expreso para poder facilitar estos datos de contacto. Podrá decidir libremente si desea que su hijo/menor participe en un ensayo, e incluso si decide que no participe en un ensayo los datos de su hijo/menor continuarán siendo guardados en el registro. En ningún caso vamos a transmitir el nombre de su hijo/menor o información sin su consentimiento.

¿Qué pacientes pueden registrarse?

- Afectados por la distrofia muscular de Duchenne y Becker
- Mujeres portadoras de distrofia muscular de Duchenne y Becker

Una vez creada la cuenta recibirá dos correos, el primero de bienvenida y una vez activemos la cuenta (lo haremos lo antes posible), un segundo correo, indicando que ya puede acceder al sistema. A continuación ya podrá iniciar sesión con sus datos (usuario y contraseña e introduciendo el código captcha solicitado) para completar el cuestionario de perfil del afectado/a. Si va a registrar varios miembros de una misma familia, deberá crear una única cuenta de usuario de una sola familia y después registrar el primer afectado. A continuación, podrá añadir otros miembros afectados de la misma familia.

Documentos imprescindibles para el Registro:

1. **Consentimiento informado:** el primer paso para poder realizar el registro con todas las garantías de confidencialidad y seguridad que exige la ley es enviar por duplicado el consentimiento informado debidamente rellenado y firmado. Este documento puede descargarlo online nada más crear la cuenta de usuario. Deberá imprimir 2 copias, rellenarlas, firmarlas y enviarlas por correo postal (certificado o no) a Duchenne Parent Project (Registro de Pacientes DMD España), Calle Casco Antiguo, 12, local B - 28032 de Madrid. Posteriormente le enviaremos uno de los consentimientos informados, firmado por el representante de Duchenne Parent Project España. Sólo podemos procesar el registro completamente cuando hayamos recibido el consentimiento informado. Una vez recibido, le mandaremos un correo electrónico y activaremos la cuenta con los afectados registrados.
2. **Diagnóstico genético:** este documento no es necesario enviarlo por correo postal, puede escanearlo y subirlo online durante el proceso de registro, o enviarlo por correo electrónico a registro@duchenne-spain.org . Recuerde: no nos envíe el documento original sino una copia del mismo. Guarde el original para usted.

¿Quién tendrá acceso a los datos clínicos?

La administración del Registro de Pacientes DMD España tendrá acceso a la información médica de su hijo/menor, por ejemplo, para mantener la información al día. Los terceros que deseen acceder a la información en el registro GLOBAL DMD de TREAT NMD, como investigadores o empresas farmacéuticas que están organizando ensayos clínicos o la investigación de nuevas terapias, sólo tendrán acceso a la información de forma anónima identificada por un código.

¿Cómo se identifica a mi hijo/menor en el registro?

Con la información personal (nombre, dirección, etc.) que estará almacenada en el Registro de Pacientes DMD España con el fin de ponernos en contacto con usted acerca de los posibles ensayos clínicos u otras noticias importantes relacionadas con la enfermedad de su hijo/menor. Estos datos se almacenan de forma segura y al registro de su hijo/menor le será asignado con un código único. Cuando sus datos sean consultados a través del Registro Global no se transferirán los datos personales de su hijo/menor y la información sólo estará identificada por el código asignado. Sólo la Administración del Registro puede ver el código asignado a su hijo/menor y acceder a los datos personales.

¿Los datos de mi hijo/menor son confidenciales?

Formar parte del Registro implica la recopilación de información de su hijo/menor para la investigación y el avance de la misma. En este sentido, consiente expresamente la recogida y el tratamiento de los mismos para la citada finalidad.

Toda la información relacionada con el registro se tratará de forma confidencial, de acuerdo con lo dispuesto en el Reglamento (UE) 2016/679, del Parlamento Europeo y del Consejo, de 27 de abril de 2016, relativo a las personas físicas en lo que respecta al tratamiento de datos personales y a la libre circulación de estos datos (RGPD), Ley Orgánica 3/2018, de 5 de diciembre, de Protección de Datos Personales y Garantías de los Derechos Digitales. Los datos serán incorporados a un fichero de titularidad Duchenne Parent Project España,

denominado Registro de Pacientes DMD España, cuya finalidad es facilitar la investigación, evolución y tratamiento de la enfermedad.

Duchenne Parent Project España, como responsable de la salvaguarda de los datos, adoptará las medidas necesarias para garantizar la seguridad de los datos de carácter personal que se aporten, evitando su alteración, pérdida, tratamiento o acceso no autorizado.

El uso que se haga de la información obtenida será confidencial. Por lo tanto, la identidad de su hijo/menor será siempre preservada. Igualmente los datos obtenidos solo podrán ser hechos públicos en informes, reuniones científicas, congresos médicos o publicaciones informando como datos anónimos y agregados, es decir, en forma de porcentajes o datos numéricos sin identificación del participante, y nunca de manera individual.

Los datos de su hijo/menor no serán cedidos para otras investigaciones si usted no da su autorización.

¿Qué ventajas puedo tener si me registro?

Al suscribirse su hijo/menor al registro, puede recibir algunos beneficios tales como:

- Facilitar el diagnóstico genético correcto (obligatorio con el fin de presentar los datos relativos a la enfermedad de su hijo/menor de forma precisa y completa) y recuperar los datos que falten, por ejemplo, a los centros especialistas capaces de proporcionar tales datos.

- Ser informado acerca de los ensayos clínicos en curso en el que se encuentra el perfil de su hijo/menor.

- Ser informado sobre nuevos conocimientos para el tratamiento y manejo clínico de la enfermedad.

- Recibir información epidemiológica actualizada sobre el estado de su hijo/menor, gracias al hecho de que sus datos podrán ser utilizados con fines estadísticos y proporcionar información útil para los investigadores y los clínicos en todos los pacientes con la misma enfermedad. El registro está diseñado como un servicio para ayudar a los pacientes con DMD / DMB.

¿Qué inconvenientes puedo tener si me registro?

Es importante contar en la base de datos con información lo más actualizada posible para ayudar en el desarrollo de estudios de investigación / ensayos clínicos. Al aceptar participar en el Registro de Pacientes DMD, se compromete a mantener actualizada la información de su hijo/menor, durante todo el tiempo que decida permanecer inscrito en el mismo, ya que la participación es voluntaria y podría dejar la participación en cualquier momento que decida. Para ello tendrá que informarnos sobre cualquier cambio en los datos personales, tales como, número de teléfono o correo electrónico, o cambios en la condición médica de su hijo/menor. Además, la administración del Registro se pondrá en contacto con usted periódicamente (entre 3 – 4 veces por año) realizándole recordatorios para comprobar los cambios importantes en la condición médica de su hijo/menor, tales como la pérdida de la deambulación así como para solicitarle la actualización de los datos, si fuera necesario. Los

datos no los tendrá que actualizar en todas las ocasiones que se contacte con usted, únicamente cuando haya algún dato que estuviera desactualizado.

El tiempo estimado en introducir la información requerida en la base de datos por primera vez, es de unos 15 – 20 minutos. El tiempo empleado en las posteriores actualizaciones de los datos, dependerán de la cantidad de información a modificar, pero previsiblemente será inferior a la primera introducción de datos. Duchenne Parent Project España pone a su disposición, un teléfono para cualquier consulta que pueda tener.

Quiero que mi hijo/menor participe en un ensayo clínico: Si se registra, ¿está garantizada su participación?

Aunque uno de los objetivos principales del registro es facilitar el reclutamiento de pacientes para ensayos clínicos, no hay garantía de que una vez registrado su hijo/menor, participe en un ensayo clínico. Si está interesado en recibir información acerca de la participación en un ensayo, nos informará a través del formulario online. Es importante tener en cuenta que es posible que los coordinadores de un ensayo clínico, basándose en la información que ha puesto en el Registro, en un principio consideren elegible a su hijo/menor para participar en un estudio/ensayo, pero después todos los pacientes elegibles serán evaluados con mayor detalle y en esta etapa, tras un análisis detallado, es posible que finalmente no sea incluido.

No quiero que mi hijo/menor participe en los ensayos clínicos: ¿Puede registrarse igualmente?

Aunque no desee que su hijo/menor participe en un ensayo, confiamos en que igualmente decida registrarse en la base de datos. Su información puede ser importante para los investigadores que estudian esta enfermedad y el estudio de su hijo/menor podría contribuir a mejorar la calidad de vida de su hijo/menor. Si no desea recibir información, por favor háganoslo saber a través del formulario online.

¿Es obligatorio que mi hijo/menor participe en el registro? ¿Puedo retirar a mi hijo/menor si cambio de opinión?

La participación de su hijo/menor en este proyecto es completamente voluntaria y en cualquier momento puede ejercitar sus derechos de acceso a los datos, su rectificación (si son inexactos), supresión (cuando, entre otros motivos los datos ya no sean necesarios para los fines que fueron recogidos), oposición, limitación de su tratamiento o portabilidad de estos según lo establecido de acuerdo con el Reglamento (UE) 2016/679, del Parlamento Europeo y del Consejo, de 27 de abril de 2016, relativo a las personas físicas en lo que respecta al tratamiento de datos personales y a la libre circulación de estos datos (RGPD), Ley Orgánica 3/2018, de 5 de diciembre, de Protección de Datos Personales y Garantías de los Derechos Digitales. Si desea eliminar la información de su hijo/menor del registro, puede hacerlo sin tener que dar ninguna explicación. Para eliminar esta información tendrá que ponerse en contacto con Duchenne Parent Project España (Registro de Pacientes DMD España), Calle Casco Antiguo, 12, local B - 28032 de Madrid, o bien por correo electrónico registro@duchenne-spain.org.

¿A quién puedo contactar si tengo preguntas?

Si necesita más información o ayuda para cambiar o completar la información de su hijo/menor en el registro, por favor envíe un correo electrónico a registro@duchenne-spain.org o bien por correo postal a la dirección, Duchenne Parent Project España (Registro de Pacientes DMD España), Calle Casco Antiguo, 12, local B - 28032 de Madrid.

¿Es posible que mi hijo/menor participe en otros registros?

Es posible participar en más de un registro. El objetivo de Duchenne Parent Project España es coordinar actividades con otros registros cuando sea posible y para ello pondrá en marcha controles y salvaguardas para ayudar a identificar la posible duplicación de los solicitantes de registro y se coordinará con otros registros en la colocación de información en bases de datos mundiales. La identificación personal del afectado que ha proporcionado a Duchenne Parent Project España permanecerá siempre protegida. En cualquier momento, tiene reservado el derecho de retirar la información de su hijo/menor del Registro de Pacientes DMD España. Simplemente deberá mandar un mail a registro@duchenne-spain.org o bien solicitarlo por correo postal a la dirección, Duchenne Parent Project España (Registro de Pacientes DMD España), Calle Casco Antiguo, 12, local B - 28032 de Madrid y le explicaremos cómo hacerlo.

CONSENTIMIENTO INFORMADO PARA MENORES DE 12 AÑOS

ANEXO: Imprimir 2 copias rellenarlas, firmarlas y enviar por correo postal a Duchenne Parent Project (Registro de Pacientes DMD España), Calle Casco Antiguo, 12, local B - 28032 de Madrid.

D^a/D. _____, padre/madre/tutor/
representante legal del paciente, _____ con
Documento Nacional de Identidad núm. _____ y domicilio a efecto de
notificaciones en _____
calle/avda/plaza _____
_____ núm _____

Por la presente quedo INFORMADO y CONSIENTO a que se acceda a los datos personales y de salud y a la cesión de los mismos en los supuestos contemplados en el presente documento, del menor _____, consentimiento que se efectúa declarando que todos los datos facilitados son ciertos y que otorgo mi consentimiento con plena capacidad jurídica y de obrar.

Fdo. _____

Nombre:

Fecha:

Correo electrónico:

Teléfono de contacto:

(Padre/Madre/tutor/
representante legal)

Fdo. _____

Nombre:

Fecha:

(Representante Duchenne
Parent Project España)