

“Sphingolipidosis Detection Project in patient samples for biomarker analysis”

Retrospective study design.

Informatiebrochure: **Sphingolipidoses detectie project in patiënten stalen voor** **biomarker analyse – retrospectief studieopzet.**

Dit onderzoek werd door het Ethisch Comité UZA Antwerpen goedgekeurd. Deelname gebeurt op vrijwillige basis.

Wij geven graag meer uitleg over de onderzoekspunten die u niet goed begrijpt.

Studie: ‘Sphingolipidosis Detection Project in patient samples for biomarker analysis; retrospective study design.’

Wat is het doel van het onderzoek?

Het doel van dit onderzoek is om het diagnostische proces van enkele zeldzame aangeboren erfelijke aandoeningen te versnellen. Het gaat hier meer specifiek over de ziekte van Gaucher, ziekte van Fabry en ASMD of Niemann-Pick type A/B-B. Dit zijn aangeboren lysosomale stapelingsziekten waarbij vandaag de dag de diagnostiek enige tijd in beslag neemt. Niet enkel doordat het vaststellen van deze ziekten niet altijd evident is, maar ook omdat er, gezien de zeldzaamheid van de aandoeningen, niet altijd in eerste instantie aan gedacht wordt. Met dit onderzoek willen we de resultaten voor deze aandoeningen (zowel enzymactiviteit als biomarker resultaat) analyseren in een retrospectief opzet met als doel te kijken welke relevante conclusies hieruit getrokken kunnen worden welke diagnostiek en opvolging van patiënten in de toekomstige kunnen verduidelijken en vergemakkelijken.

Wie organiseert de studie?

Deze studie wordt georganiseerd vanuit het studieteam van het universitair ziekenhuis Antwerpen (UZA). Andere centra kunnen eveneens deelnemen aan de studie waarbij inclusie gebeurt op de andere site maar de nodige data /resultaten van bij u uitgevoerde onderzoeken gepseudonimiseerd (=via een code; het is aldus niet direct duidelijk van wie de gegevens zijn, doch ze kunnen enkel en alleen via uw arts teruggekoppeld worden naar uw dossier) naar het UZA toegestuurd zullen worden ter collectie in een databank Prof. Dr. Eyskens is hierbij de hoofdonderzoeker, ondersteund door PhD student Dr. Amber Van Baelen wiens doctoraatsonderzoek zich buigt over dit onderwerp. Verder is er bijkomende ondersteuning door een studieverpleegkundige binnen dit team. De bekomen resultaten zullen verwerkt worden door het hierboven vernoemde studieteam van het UZA.

Wie neemt deel aan de studie?

Iedereen waarbij een behandelend arts een staal heeft ingestuurd ter analyse van de biomarkers Glucosylsphingosine (GlcSph of Lyso-Gb1), Glucobotriaosylsphingosine (Lyso-Gb3) en Lyso-Sphingomyelin (Lyso-SPM of LSM) in het kader van de stapelingsziekten Gaucher of Niemann Pick type B,.. Dit kan gebeurd zijn zowel voor nieuwe diagnostische doeleinden als voor opvolging van gekende patiënten

Wat moet u doen?

Indien uzelf of uw kind wenst te laten deelnemen aan deze studie dient in eerste fase dit informed consent, vrijwillig en na voldoende informatie, ondertekend te worden.

Vervolgens zullen er **geen** bijkomende onderzoeken volgen in kader van deze studie. Met uw toestemming wordt er wel beperkte klinische informatie uit uw dossier verzameld in een

gepseudonimiseerde gegevenslijst om wetenschappelijk onderzoek mee te kunnen uitvoeren. De informatie die verzameld zal worden zijn het geslacht, de leeftijd, gewicht, lengte, initiële symptomen/klachten die aanleiding gaven om te denken aan de onderliggende ziekte/problematiek, de reden voor het bepalen van de biomarkers en/of enzymactiviteit horende bij de ziekte van Gaucher, de ziekte van Fabry en/of ASMD/Niemann-Pick type A/B-B. Wanneer de diagnose is gemaakt, indien deze al gemaakt werd. Of er enige behandeling is, huidige actuele klachten en symptomen, de resultaten voor de meting van de enzymactiviteit en bijhorende biomarker (Lyso-Gb1, Lyso-Gb3 en Lyso-SPM) dewelke stoffen zijn die terug te vinden zijn in het bloed die afwijkende concentraties hebben bij aanwezigheid van ziekte, volledig bloedbeeld, aantal bloedplaatjes, volume van de milt en lever (bij voorkeur gemeten door middel van gebruik van een CT/MRI scan, indien deze resultaten niet ter beschikking zijn is een klinische interpretatie van het volume voldoende).

Welke voordelen biedt een deelname?

Deze studie biedt voordelen voor toekomstige patiënten waarbij we als doel hebben om resultaten bij toekomstige patiënten beter te kunnen interpreteren en sneller kunnen overgaan op de juiste diagnose en bijhorende behandeling.

Welke risico's loopt u bij deelname?

Er is geen risico verbonden met deelname aan dit onderzoek. De behandeling die al dan niet gestart wordt is onafhankelijk van de studie en is dus bijgevolg in kader van de standaardzorg (identiek zoals bij patiënten die niet deelnemen aan de studie).

Welke onderzoeken worden uitgevoerd tijdens deze studie?

Er zijn **geen** bijkomende onderzoeken die worden uitgevoerd bij deelname aan deze studie. Er worden enkel gegevens opgevraagd van onderzoeken die reeds gebeurden horende bij de standaard zorg.

Zal uw persoonlijke informatie vertrouwelijk behandeld worden?

Alle informatie die verzameld wordt, wordt gecodeerd (gepseudonimiseerd, hierbij kan men de gegevens nog terugkoppelen naar het persoonlijk dossier met uw arts als tussenpersoon). De database met de verzamelde informatie bevat geen enkele combinatie van zaken zoals de initialen, het geslacht en de volledige geboortedatum (dd/mm/jjjj). De sleutel tot de code die de informatie toegewezen krijgt zal enkel toegankelijk zijn voor de onderzoeker/behandelende arts of de verpleegkundige/studiecoördinator. Enkel de gecodeerde gegevens zullen gebruikt worden in alle documenten, rapporten of publicaties (in medische tijdschriften en/of op medische congressen) over deze studie. Vertrouwelijkheid van de gegevens wordt dus steeds gegarandeerd.

Zijn er kosten verbonden aan deelname van de studie?

Er zijn geen kosten verbonden aan deelname van de studie.

Wat indien u niet wil deelnemen of u uw mening wil herzien?

Deelname aan het onderzoek is volledig vrijblijvend en het feit dat u/ uw kind niet wenst deel te nemen zal geen invloed hebben op uw behandeling. U of uw kind kan op eender welk moment de mening herzien en terugtrekken uit het onderzoek indien dit gewenst is.

Indien u-/ uw kind niet meer wenst deel te nemen aan het onderzoek zal de informatie uit de informatielijst verwijderd worden.

Wat gebeurt er indien iets misgaat?

Door deel te nemen aan deze studie zal er geen andere/nieuwe behandeling of benadering zijn in de zorg die u ontvangt. De gegevens die worden gebruikt zijn reeds gekende gegevens in uw dossier waar uw behandeld arts reeds volgens de standaard zorg op heeft gehandeld. Deze studie is verzekerd overeenkomstig art. 29 van de Belgische wet van 7 mei 2004 inzake experimenten op de menselijke persoon. Indien u niet tevreden bent over enig onderdeel van het onderzoek kan u steeds contact opnemen met de onderzoekers.

Elke deelname aan een studie houdt een risico in, hoe klein ook. De opdrachtgever is - ook indien er geen sprake is van fout - aansprakelijk voor de schade die de deelnemer of in geval van overlijden zijn/haar rechthebbenden, oplopen en die rechtstreeks of onrechtstreeks verband houdt met diens deelname aan de studie. U moet hiervoor dus geen fout aantonen. De opdrachtgever heeft voor deze aansprakelijkheid een verzekering afgesloten.

Indien de arts-onderzoeker van mening is dat er een verband met de studie mogelijk is (er is geen verband met de studie bij schade ten gevolge van het natuurlijke verloop van uw ziekte of ten gevolge van gekende bijwerkingen van uw standaardbehandeling), zal hij/zij de opdrachtgever van de studie op de hoogte stellen die de aangifteprocedure bij de verzekering zal starten. Deze zal, indien zij het nodig acht, een expert aanstellen om een oordeel uit te spreken over het verband tussen uw nieuwe gezondheidsklachten en de studie.

In het geval van onenigheid met de arts-onderzoeker of met de door de verzekeringsmaatschappij aangestelde expert, en steeds wanneer u dit nodig acht, kunnen u of in geval van overlijden uw rechthebbenden de verzekeraar rechtstreeks in België dagvaarden (Amma verzekeringen, polisnummer 1887617).

De wet voorziet dat de dagvaarding van de verzekeraar kan gebeuren ofwel voor de rechter van de plaats waar de schade verwekkende feiten zich hebben voorgedaan, ofwel voor de rechter van uw woonplaats, ofwel voor de rechter van de zetel van de verzekeraar.

Inzage- en aanpassingsrecht.

U heeft het recht aan de onderzoeksarts te vragen welke gegevens er over uzelf of uw kind worden verzameld in het kader van de studie en wat de bedoeling ervan is. U heeft ook het recht aan de onderzoeksarts te vragen om u inzage te verlenen in de persoonlijke informatie van uzelf of uw kind en er eventueel de nodige verbeteringen in te laten aanbrengen. De bescherming van de persoonlijke gegevens is wettelijk bepaald door de geldende wet- en regelgeving betreffende de bescherming van de persoonlijke levenssfeer.

Vrijwillige deelname

De deelname aan deze studie is volledig vrijwillig. U bent vrij om uzelf of uw kind op elk ogenblik terug te trekken uit de studie zonder dat u hiervoor een reden moet opgeven. Dit heeft geen invloed op uw verdere medische opvolging of de kwaliteit van de daaropvolgende zorg, of de verdere relatie met uw arts.

Als u besluit uit deze studie terug te trekken, zal uw arts ervoor zorgen dat uzelf of uw kind de nodige zorg blijft ontvangen. De gegevens die werden verkregen, kunnen nog steeds worden gebruikt door de opdrachtgever. Als u wil dat uzelf of uw kind deelneemt aan deze studie, kan men u en uw kind vragen om een bijgewerkt toestemmingsformulier te tekenen. U kan de behandelende arts van uzelf of deze van uw kind steeds vragen om meer informatie.

De onderzoeker, de opdrachtgever, en de bevoegde Belgische gezondheidsautoriteiten kunnen de studie steeds onderbreken of beëindigen, De nodige informatie en uitleg indien dit zou gebeuren worden dan door uw behandelend arts voorzien.

Ethiek

Deze studie werd beoordeeld door de Ethische Commissie onderzoek UZA (Universitair Ziekenhuis Antwerpen) als centraal ethisch comité, die een gunstig advies heeft uitgebracht en dit in overeenstemming met de Belgische wet van 7 mei 2004. Deze studie wordt uitgevoerd volgens de richtlijnen voor goede klinische praktijk (ICH/GCP) en de Verklaring van Helsinki, die zijn opgesteld om deelnemers aan klinische studies te beschermen. In geen geval dient u de goedkeuring door de Commissie voor Medische Ethiek te beschouwen als een aanzet tot deelname aan deze studie. De voortgang van het onderzoek zal regelmatig worden gecontroleerd door een wetenschappelijk comité en onderzoekers van de studie.

Vertrouwelijkheid

In overeenstemming met de Belgische wet van 22 augustus 2002 betreffende de rechten van de patiënt, de Algemene Verordening Gegevensbescherming (AVG of GDPR – EU 2016/679) van 27 april 2016 en de Belgische wet van 30 juli 2018 betreffende de bescherming van natuurlijke personen met betrekking tot de verwerking van persoonsgegevens zal de persoonlijke levenssfeer van u en van uw kind worden gerespecteerd en kan u toegang krijgen tot de verzamelde gegevens indien u dit wenst. Elk onjuist gegeven kan op uw verzoek verbeterd worden.

De arts-onderzoeker is verplicht om deze verzamelde gegevens vertrouwelijk te behandelen. Dit betekent dat hij zich ertoe verbindt om uw naam nooit bekend te maken in het kader van een publicatie of een conferentie en dat hij uw gegevens zal coderen (uw identiteit zal worden vervangen door een identificatiecode in de studie).

De arts-onderzoeker en zijn team zullen gedurende de volledige klinische studie de enige personen zijn die een verband kunnen leggen tussen de overgedragen gegevens en uw medisch dossier. De overgedragen persoonlijke gegevens omvatten geen combinatie van elementen waarmee het mogelijk is u of uw kind te identificeren.

Indien u uw toestemming tot deelname aan de studie intrekt, zullen de gecodeerde gegevens die al verzameld waren vóór uw terugtrekking, bewaard worden. Hierdoor wordt de geldigheid van de studie gegarandeerd. Er zal geen enkel nieuw gegeven aan de opdrachtgever worden doorgegeven.

Indien u vragen hebt over hoe wij uw gegevens gebruiken, dan kan u hiervoor steeds terecht bij uw arts-onderzoeker. Ook de functionaris voor gegevensbescherming van het onderzoekcentrum staan te uwer beschikking.

De contactgegevens van deze laatste zijn als volgt: DPO – UZA, Drie Eikenstraat 655, 2650 Edegem, e-mail dpo@uza.be.

Tot slot, indien u een klacht heeft over de verwerking van uw gegevens, kunt u contact opnemen met de Belgische toezichhoudende instantie die toeziet op de naleving van de grondbeginselen van de bescherming van persoonsgegevens:

De Belgische toezichhoudende instantie heet: Gegevensbeschermingsautoriteit (GBA) Drukpersstraat 35,
1000 Brussel
Tel. +32 2 274 48 00
e-mail: [contact\(at\)apd-gba.be](mailto:contact(at)apd-gba.be)
Website: www.gegevensbeschermingsautoriteit.be

Wat zal er gebeuren met de resultaten van de studie

Gedurende deze studie zullen resultaten gepubliceerd worden in medische tijdschriften, zonder de individuele patiënten te identificeren en zullen alleen gecodeerde gegevens gebruikt worden. Indien gewenst kunt u een kopij van de gepubliceerde resultaten ontvangen door dit aan het einde van de studie te vragen aan de arts van uzelf of van uw kind. U kunt dit op eender welk tijdstip tijdens en na de studie raadplegen.

Verdere informatie

Wenst u verdere informatie inzake dit onderzoek dan neemt u best contact op met
Naam arts/onderzoeker:

Ziekenhuis:

Adres:

Telefoonnummer: +32

Vanzelfsprekend kan u zich ook wenden tot uw behandelende arts.

Instemmingsformulier volwassen patiënt OF minderjarige patiënt en ouders

“Een retrospectieve studie over Sphingolipidoses detectie in patiënten stalen voor biomarker analyse”

1. Ik bevestig dat ik de patiënten informatiebrochure voor het bovenstaande onderzoek gelezen en begrepen heb en dat ik de gelegenheid gekregen heb vragen te stellen.	
2. Ik begrijp dat ik of mijn kind vrijwillig aan het onderzoek deelneemt en dat het ons vrij blijft om me op elk gewenst moment, zonder opgave van reden, terug te trekken uit de studie zonder invloed op mijn medische behandeling of mijn rechten.	
3. Ik begrijp dat bepaalde medische gegevens kunnen nagekeken worden door onderzoekers verbonden aan dit onderzoek. Ik geef toestemming aan deze individuen om het dossier van mezelf of mijn kind in te kijken.	
4. Ik ga er mee akkoord de gegevens van mezelf of mijn kind in een afgeschermd databank worden opgenomen waarbij mijn privacy volledig wordt beschermd.	
5. Ik ga ermee akkoord dat onze huisarts op de hoogte gebracht wordt van de deelname van mijn kind.	

Naam van de Patiënt

Onderzoeker/arts

Naam van de ouder
(ouders moeten persoonlijk dateren en tekenen)

Datum

Datum

Handtekening

Handtekening