

Register Sichelzellkrankheit

Patienteninformation Sorgeberechtigte, Version 4 vom 17.12.2014 / Français

Information aux parents et représentants légaux

Chers parents,

Votre enfant est atteint de drépanocytose (anémie falciforme). L'évolution de cette maladie hématologique congénitale est difficile à prévoir. En principe, cette maladie peut toucher n'importe quel organe. Nous espérons que la récolte d'informations concernant les patients et la prise en charge de cette maladie rare en Europe centrale et en Allemagne puisse, à l'avenir, encore améliorer les résultats thérapeutiques. C'est pourquoi nous recueillons dans un registre les données relatives à la maladie et au traitement des patients touchés par la drépanocytose. Ce registre est géré par un consortium comprenant les Hôpitaux Universitaires de Berlin, Francfort, Hambourg, Heidelberg et Ulm. Le Docteur Joachim Kunz, à Heidelberg, est responsable de la collecte et de l'acquisition des données des patients dans le registre.

Nous vous invitons à donner votre consentement à la participation de votre enfant au registre „Sichelzellkrankheit“. Cette fiche explicative résume les principaux points – que le médecin de votre enfant vous a déjà présentés - relatifs à ce registre. Si vous en avez compris les buts et contenus et que vous acceptez la participation de votre enfant au registre, nous vous prions de le confirmer en signant le formulaire de consentement.

Au cas où votre enfant serait trop jeune pour donner son opinion sur sa participation ou non au registre, la décision vous revient en tant que parents. Par contre, si votre enfant est en mesure de comprendre la nature, la signification et la portée de sa participation, son accord ou son refus devraient être pris en compte dans votre choix.

Sachez toutefois que la participation de votre enfant est volontaire et que vous pouvez l'annuler en tout temps sans indication de motifs. En cas de refus de participation au registre, votre enfant ne subira à aucun moment un quelconque préjudice. Nous vous prions donc de prendre le temps de la réflexion et de ne pas hésiter à poser toute question complémentaire avant de prendre votre décision.

Qu'examine le registre?

Les questions suivantes relatives à la drépanocytose sont examinées dans le cadre du registre „Sichelzellkrankheit“:

1. **Quelles sont les formes de drépanocytose survenant en Allemagne? Sont-elles fréquentes?** Dans le cas de la drépanocytose, l'évolution de la maladie est influencée par des mutations touchant le gène de l'hémoglobine, mais aussi par d'autres facteurs héréditaires. Les modifications génétiques responsables de la drépanocytose ont émergé indépendamment les unes des autres dans plusieurs régions du globe. Actuellement on retrouve toutes ces mutations également en Europe centrale en raison des flux migratoires. Notre objectif est de déterminer la proportion des différentes formes de drépanocytose parmi les patients pris en charge ici.
2. **Quelles sont les complications de la drépanocytose qui apparaissent?** Les complications pouvant apparaître en cas de drépanocytose sont variables d'un patient à l'autre. En outre, le moment du diagnostic et la prise en charge influencent également l'évolution de la maladie. Comme la situation des patients traités pour

une drépanocytose en Europe centrale diffère en plusieurs points de celle des patients d'autres pays, nous ne pouvons pas transposer directement les connaissances émanant d'autres pays à nos propres conditions. Notre objectif est de documenter le plus précisément possible, grâce au registre, les différentes évolutions de la drépanocytose en Europe centrale et d'en tirer des conclusions thérapeutiques.

3. **Quelles sont les caractéristiques permettant de prédire l'évolution de la drépanocytose?** Le degré de gravité et l'expression de la drépanocytose peuvent être très variables. L'un des buts du registre est de déterminer les caractéristiques de la maladie qui sont prédictives de son évolution.
4. **Comment traite-t-on la drépanocytose?** Pour que la prise en charge des patients soit la plus homogène possible, les initiateurs du registre „Sichelzellkrankheit“ ont élaboré des recommandations thérapeutiques pour la drépanocytose. Dans le cadre du registre, nous recueillerons la proportion des patients traités selon ces recommandations.
5. **Quelle est l'influence de la drépanocytose sur la vie des personnes touchées?** La drépanocytose est rare en Europe centrale et fréquemment considérée comme une maladie exotique. Les personnes atteintes se heurtent souvent à de l'incompréhension lorsqu'elles ne peuvent pas participer pleinement à la vie scolaire ou professionnelle en raison de leur maladie. Dans le cadre du registre „Sichelzellkrankheit“, nous évaluerons au moyen de questionnaires spécifiques dans quelle mesure les symptômes de la drépanocytose imposent des limitations à la vie courante des patients.

Combien de patients participeront à ce registre?

Environ 500 patients provenant de 50 centres en Allemagne, en Autriche et en Suisse prendront part au registre.

Comment les centres individuels collaboreront-ils au registre?

Ce registre sera tenu en Allemagne, en Autriche et en Suisse. La responsabilité de la prise en charge de votre enfant incombe à son médecin traitant. Afin d'améliorer la pose du diagnostic, le médecin traitant enverra des échantillons sanguins à un laboratoire de référence pour caractériser la maladie le plus précisément possible. Vous recevrez une information spécifique au sujet de cette analyse. Le personnel traitant introduit les informations concernant le diagnostic et l'évolution clinique dans une banque de données centrale, données qui sont ensuite contrôlées et analysées par les coordinateurs du registre. Les données sont collectées, enregistrées et analysées dans cette banque de données protégée. Les directives relatives au secret médical et à la protection des données sont respectées. Au bas de cette feuille d'information, vous trouvez les noms et adresses des personnes responsables dans les hôpitaux de coordination du registre „Sichelzellkrankheit“.

Combien de temps votre enfant figurera-t-il dans le registre?

La collecte des données dans le cadre du registre est financée, dans un premier temps, jusqu'en 2018. Comme la drépanocytose touche les patients à vie, nous prévoyons de recueillir des données à long terme sur l'évolution clinique de votre enfant. Vous pouvez néanmoins à tout moment mettre un terme à la participation de votre enfant au registre.

Quels sont les risques liés à ce registre?

La participation au registre n'occasionne aucun risque additionnel pour vous ou pour votre enfant. Pour poser un diagnostic précis afin de déterminer la meilleure prise en charge, il est de toute façon nécessaire d'effectuer des prises de sang chez votre enfant pour les analyses de routine. Dans le cadre de celles-ci, nous prélevons à une reprise un échantillon sanguin additionnel (environ 2ml) pour une analyse complémentaire dans le laboratoire de référence. Nous vous demanderons encore spécifiquement votre consentement pour effectuer cette analyse. Si vous vous opposez à cette analyse, votre enfant peut tout de même participer au registre. Toutefois, l'analyse prévue de certains marqueurs génétiques influençant la maladie sera alors impossible.

Quel investissement en temps la participation au registre requiert-elle?

Dans le cadre du registre, nous recueillons uniquement les données d'examen de toute manière recommandés pour tout patient atteint de drépanocytose. Ceci n'occasionnera donc pas de temps supplémentaire chez le médecin ou à l'hôpital pour vous et votre enfant. Nous planifions aussi, à l'avenir, d'évaluer la qualité de vie des patients. Dans ce but, nous demandons aux patients -respectivement à leurs parents- de répondre à des questionnaires. L'investissement en temps à cet effet s'élève à moins d'une heure par an.

Quel est l'avantage d'une participation au registre?

Votre enfant ne tire en tant que participant au registre „Sichelzellkrankheit“ aucun avantage direct de sa participation. Néanmoins, grâce à une procédure diagnostique standardisée et à l'accès à des analyses dans des laboratoires de référence, la maladie de votre enfant peut être caractérisée le plus précisément possible. Et, bien que le médecin traitant de votre enfant reste responsable des décisions thérapeutiques, il peut demander conseil aux experts de la coordination du registre en cas de décision clinique difficile et potentiellement approfondir ses connaissances grâce aux données collectées dans le registre. De cette manière, votre enfant peut aussi tirer profit de son enrôlement dans le registre. Le registre devrait à l'avenir aussi profiter à d'autres patients atteints de drépanocytose, par exemple par l'ajustement des recommandations thérapeutiques aux résultats du registre. La participation au registre n'apporte aucune compensation financière.

La participation au registre occasionne-t-elle des coûts additionnels pour moi/nous?

Non. Les analyses sanguines complémentaires effectuées dans le cadre du registre n'occasionneront aucun coût additionnel. Les coûts des examens de routine seront à votre charge -respectivement à la charge de votre assurance maladie- indépendamment de votre participation au registre.

Quels sont les droits de mon enfant en tant que participant au registre?

La participation au registre est volontaire. Vous pouvez mettre fin à la participation de votre enfant au registre en tout temps sans indication de motifs. L'abandon du registre n'occasionnera aucun préjudice pour votre enfant.

Mon enfant est-il assuré dans le cadre du registre?

Comme aucune mesure médicale n'est effectuée spécifiquement pour l'étude, et que les examens et la prise en charge devraient suivre les recommandations actuelles, aucune assurance n'est prévue pour les patients participant au registre.

Comment la confidentialité et la protection des données sont-elles traitées dans le registre?

La confidentialité est préservée pour toute la durée du registre et au-delà. Les informations pouvant mener à une identification du patient sont consignées à la coordination du registre. Les données médicales ne sont accessibles qu'aux professionnels dans le cadre de leur activité de recherche. Sur demande écrite, des données pseudonymisées du registre peuvent être transmises à des fins de recherche à des scientifiques en dehors de la coopération d'étude. La pseudonymisation signifie que le nom de votre enfant et d'autres critères d'identification sont remplacés par un code de chiffres ou de lettres. Une transmission de données à des fins commerciales est exclue. Aucune mention du nom des participants n'est faite lors de la publication des résultats du registre.

Toute personne ayant accès aux données enregistrées est soumise au secret professionnel et à la loi sur la protection des données. Votre décision relative au traitement et à la transmission des données est volontaire et n'aura aucune influence sur la prise en charge de votre enfant. Vous pouvez retirer votre consentement à tout moment. A votre requête, nous pouvons vous préciser quelles données sont collectées. Nous vous demandons votre accord pour le traitement (enregistrement, transfert, modification, suppression) des données personnelles relatives à votre enfant (date de naissance, diagnostic avec examen approfondi, forme de thérapie et évolution, autres données médicales). Le traitement des données vise à la description précise des évolutions cliniques possibles de la drépanocytose afin de pouvoir en tirer les futures recommandations thérapeutiques.

Au cas où vous retireriez votre consentement à la participation au registre, aucune donnée nouvelle ne sera saisie. Les données déjà collectées seront effacées.

Les questions éthiques soulevées en relation avec le registre ont-elles été examinées?

La commission d'éthique compétente s'est prononcée sur le registre. Les principes éthiques de la déclaration de Helsinki (Association médicale mondiale) sont respectés.

Quelles sont les autres options à disposition?

Vous pouvez refuser de prendre part au registre. Votre enfant continuera à être pris en charge pour sa maladie, même s'il ne participe pas au registre.

Qui puis-je contacter en cas de questions?

Pour toute question relative au registre, contactez le médecin traitant de votre enfant.

_____ à _____
(Inscrivez les nom et adresse / no de tél. du médecin traitant)

Register Sichelzellkrankheit

Patienteninformation Sorgeberechtigte, Version 4 vom 17.12.2014 / Francais

Adresses du comité de coordination du Registre Sichelzellkrankheit:

Dr. med. Stephan Lobitz, MSc, Sprecher
Charité - Universitätsmedizin Berlin
Campus Virchow-Klinikum
Klinik für Pädiatrie m.S. Onkologie/Hämatologie/KMT
Augustenburger Platz 1, 13353 Berlin

Prof. Dr. med. Holger Cario
Universitätsklinikum Ulm
Klinik für Kinder- und Jugendmedizin
Pädiatrische Hämatologie und Onkologie
Eythstrasse 24, 89075 Ulm

Dr. Regine Grosse
Universitätsklinikum Hamburg-Eppendorf
Zentrum für Geburtshilfe, Kinder- und Jugendmedizin
Klinik und Poliklinik für Pädiatrische Hämatologie und Onkologie
Martinistr. 52, 20246 Hamburg

Dr. med. Andrea Jarisch
Klinikum der Johann-Wolfgang-Goethe-Universität
Zentrum für Kinder- und Jugendmedizin, Klinik III
Schwerpunkt Stammzelltransplantation
Theodor-Stern-Kai 7, 60590 Frankfurt am Main

Prof. Dr. med. Andreas Kulozik, PhD
Universitätsklinikum Heidelberg
Zentrum für Kinder- und Jugendmedizin III
Im Neuenheimer Feld 430, 69120 Heidelberg

Dr. med. Joachim Kunz
Universitätsklinikum Heidelberg
Zentrum für Kinder- und Jugendmedizin III
Im Neuenheimer Feld 430, 69120 Heidelberg

Consentement des représentants légaux

Patient

Nom: _____ Date de naissance: _____

Je / nous,

- ai/avons été informé(s) par oral et par écrit (fiche d'information) par le médecin traitant concernant le registre „Sichelzellkrankheit“. J'ai/nous avons en particulier reçu une information relative à la nature, à la signification et à la portée d'une participation au registre, aux risques et avantages, aux droits des participants, aux questions de confidentialité et de protection des données, ainsi qu'aux sources d'information du registre.
- ai/avons eu le temps nécessaire pour prendre la décision de participer au registre.
- ai/avons été informé(s) que la participation au registre est volontaire, que je peux/nous pouvons retirer notre consentement à tout moment sans indication de motifs et que la non-participation n'occasionne aucun préjudice pour mon/notre enfant.
- **ai/avons été informé(s) à ce sujet et donne mon/donnons notre accord pour que les données de mon/notre enfant saisies dans le registre, enregistrées sous forme pseudonymisée, puissent être analysées et éventuellement aussi transmises sous forme anonymisée. Les tiers ne reçoivent cependant aucun accès aux données à caractère personnel. Le nom de mon/notre enfant ne sera également pas mentionné lors de la publication des résultats.**
- donne/donnons en outre mon/notre accord pour que les collaborateurs responsables du contrôle de qualité auprès des instances sanitaires locales et nationales ainsi qu'auprès des mandataires de la coordination du registre - également soumis au secret professionnel - puissent avoir accès aux données de la banque de données. Pour ces contrôles, les données à caractère personnel seront séparées.
- ai/avons lu les points susmentionnés et ai/avons eu la possibilité d'aborder les questions encore en suspens lors d'un entretien personnel.
- donne mon/donnons notre accord à la participation de mon/notre enfant au registre „Sichelzellkrankheit“.

Médecin conduisant l'entretien / Date / Lieu

Patient / Date / Lieu

- Les parents/représentants légaux et le médecin confirment par leur signature que le patient est trop jeune à cette date pour donner son consentement à la participation au registre
- représentants légaux: les deux parents

Mère respectivement représentante légale: Nom, Prénom / Signature / Date, Lieu

Père respectivement représentant légal: Nom, Prénom / Signature / Date, Lieu

- représentant légal: un parent

J'assure donner mon consentement en tant qu'unique représentant(e) légal(e) respectivement en accord avec mon/ma _____.

Représentant(e) légal(e): Nom, Prénom / Signature / Date, Lieu

- représentant(e) légal(e): tuteur(tutrice)/soignant(e)

J'assure agir en tant que _____ et donne mon consentement.

Représentant(e) légal(e): Nom, Prénom / Signature / Date, Lieu