

Titel: Een prospectieve, multicenter Europese Registratie voor nieuw gediagnosticeerde patiënten met Myelodysplastische Syndromen van het IPSS laag en intermediair-1 subtype

Inleiding

Bij u is een myelodysplastisch syndroom (MDS) geconstateerd en uw behandelend arts heeft u gevraagd deel te nemen aan deze Europese MDS-registratie.

Deze informatie is bedoeld om u de kans te geven te lezen over alle aspecten van de registratie waarover uw arts met u gesproken heeft. Het doel is u te helpen bij uw beslissing tot eventuele deelname aan deze registratiestudie.

Achtergrond van de registratie

Het belangrijkste doel van deze MDS registratie is om meer kennis en inzicht en te krijgen over de klinische symptomen en het beloop van deze beenmergaandoening en het effect van behandeling te vervolgen.

Myelodysplastische syndromen vormen een complexe groep van beenmergziekten. Ze komen het meeste voor bij personen met een leeftijd boven de 60 jaar, maar bij jongere personen kan het ook voorkomen. Bij patiënten met MDS is het normale beenmerg grotendeels verdrongen door abnormaal beenmerg. Het beenmerg is verantwoordelijk voor de productie van de bloedcellen: rode bloedcellen (zorgen voor transport van zuurstof naar de weefsels), witte bloedcellen (zorgen voor de verdediging tegen infecties) en de bloedplaatjes (zorgen voor de stolling van het bloed). Bij patiënten met MDS produceert het beenmerg niet meer genoeg van deze bloedcellen. Daardoor ontstaat er een tekort van goed functionerende rode bloedcellen, witte bloedcellen en/of bloedplaatjes. Een tekort aan rode bloedcellen veroorzaakt anemie (bloedarmoede). Een tekort aan witte bloedcellen kan u meer bevattelijk maken voor infecties. Een tekort aan bloedplaatjes kan spontane bloedingen en sneller blauwe plekken veroorzaken. Soms kan deze gestoorde beenmergfunctie meer agressief worden en zich ontwikkelen tot leukemie. Uw arts heeft u uitgelegd dat u een relatief milde vorm van MDS ("laag-risico") heeft en dat daarbij de kans op het ontwikkelen van leukemie klein is.

Er zijn verschillende behandelingen voor patiënten met MDS. Anemie kan behandeld worden met transfusies van rode bloedcellen. Rode bloedcellen bevatten ijzer. Wanneer het noodzakelijk is om vaak bloedtransfusies te krijgen, dan is er een risico op ijzerstapeling (een teveel aan ijzer) te ontwikkelen. Deze ijzerstapeling kan schade aan verschillende organen veroorzaken, zoals bijvoorbeeld het hart en de lever. Er zijn verschillende manieren om het teveel aan ijzer, veroorzaakt door transfusie van rode bloedcellen, te behandelen. Welke patiënten met MDS baat hebben bij zulke behandelingen is nog onduidelijk. Infecties door een tekort aan witte bloedcellen kunnen soms worden voorkomen of behandeld worden met antibiotica. Wanneer er bloedingen ontstaan kunnen die vaak behandeld worden met transfusies van bloedplaatjes. Al deze therapieën behandelen echter alleen de symptomen en niet de oorzaak van de ziekte. Een aantal geneesmiddelen dat de ziekte zelf zou kunnen beïnvloeden is in ontwikkeling en wordt getest in verschillende klinische studies.

Doel van de registratie

Er zijn veel verschillende types myelodysplastische syndromen. Er is er meer kennis nodig over het beloop van deze groep van beenmergziekten en de beste methode om patiënten met MDS te behandelen. Om meer inzicht te verkrijgen in al deze aspecten worden gegevens van een groot aantal patiënten (1000-2000) met laag-risico MDS in 11 verschillende Europese landen verzameld en bestudeerd.

Wie organiseert en sponsort deze registratie?

Deze registratie wordt georganiseerd door de MDS-werkgroep van het European LeukemiaNet (ELN). Dit is een Europees academisch samenwerkingsverband. Van elf verschillende landen heeft een arts (specialist op gebied van MDS) zitting in de stuurgroep die de registratie heeft beoordeeld en goedgekeurd. Deze registratie wordt mede mogelijk gemaakt door een financiële ondersteuning van Novartis Oncology Europe.

Wat betekent deze registratie voor u?

De gegevens die verzameld worden bevatten uw huidige behandeling, uw medische geschiedenis en de belangrijkste laboratorium gegevens, die vastgelegd worden wanneer u een regulier bezoek brengt aan het ziekenhuis. Daarnaast worden er gegevens verzameld over mogelijke behandelingen en eventuele bloedtransfusies die u hebt ontvangen. Er wordt niet van u gevraagd dat u vaker een afspraak heeft met uw arts dan uw medische conditie vereist, maar u heeft tenminste elke 6 maanden een afspraak. Er worden geen extra onderzoeken dan gebruikelijk uitgevoerd. Bij iedere patiënt in deze MDS registratie zullen de gegevens gedurende maximaal vijf jaar worden vastgelegd.

Bij uw bezoeken aan het ziekenhuis wordt u gevraagd om een formulier in te vullen met vragen over de kwaliteit van uw leven. Dit formulier wordt de EQ-5D genoemd. Het invullen duurt meestal niet langer dan 10 minuten en indien gewenst kunt u daarbij door ons worden geholpen.

Tijdens de registratie kunt u doorgaan met de behandeling die uw arts voor u als de beste beschouwt. Deze registratie heeft geen invloed op de behandeling van uw behandelend arts en heeft geen direct voordeel voor u, maar is opgezet om gegevens van een groot aantal patiënten met MDS te verzamelen voor een beter begrip van de ziekte en zijn beloop.

Wij willen uw toestemming vragen voor het halfjaarlijks verzamelen van een portie urine en het afnemen van 20 ml bloed voor toekomstig onderzoek. Dit zullen onderzoeken zijn naar gedetailleerde processen die een rol spelen bij MDS en mogelijk kunnen helpen bij toekomstige behandelingen. Voor deze bloedafname hoeft u niet apart geprikt te worden. Voordat het bloed onderzocht kan worden is goedkeuring nodig van de lokale of nationale ethische commissie. Uw bloed- en urinemonster zal aan de database verbonden zijn met een uniek nummer, maar zal niet herkenbaar te herleiden zijn naar uzelf.

Vertrouwelijkheid

De gegevens voor deze registratie zullen elektronisch worden verzameld. De gegevens worden gecodeerd verzonden naar een centrale database via een veilig web-based systeem. Uw persoonlijke gegevens worden alleen gezien door uw arts. De gegevens van een aantal patiënten worden gecontroleerd door de coördinator per land (Nijmegen voor Nederland) door een monitor (controleur) van dit project. Deze controle wordt uitgevoerd om te controleren of de verzamelde gegevens juist zijn weergegeven in de database.

Een computersysteem bepaalt van welke patiënt de gegevens gecontroleerd worden. De monitor is getraind voor deze controle en zal de gegevens vertrouwelijk behandelen.

Wat gebeurt er met de resultaten van deze registratie

De resultaten worden geanonimiseerd gepubliceerd in een wetenschappelijk tijdschrift. Een nieuwsbrief van deze registratie verschijnt regelmatig op de ELN website (www.leukemia-net.org)

Deelname

Uw besluit om deel te nemen aan deze registratie is geheel vrijwillig. Wanneer u besluit uw gegevens niet beschikbaar te stellen voor deze registratie, of wanneer u uw toestemming intrekt, informeert u uw arts. Uw keuze zal uw behandeling niet beïnvloeden en u blijft de behandeling ontvangen waarvan uw arts denkt dat het de beste behandeling voor u is.

Indien u na het doorlezen van deze informatie nog vragen heeft over dit onderzoek, kunt u contact opnemen met uw behandelend arts of met mw. drs. A.H.E. Herbers, internist-hematoloog/oncoloog en lokale onderzoeker van deze studie in het Jeroen Bosch Ziekenhuis. Zij is bereikbaar via tel. 073-5538225. U kunt ook contact opnemen met dr. M. MacKenzie, internist-hematoloog in het UMC St. Radboud te Nijmegen, die voor Nederland betrokken is bij de stuurgroep, tel 024-3614762 (secretariaat Hematologie).

Als u besluit deel te nemen aan deze registratie vragen wij u het bijgevoegde instemmingformulier te tekenen. Wanneer er veranderingen aan de opzet of uitvoering van de registratie zouden optreden wordt u geïnformeerd en opnieuw gevraagd naar uw toestemming. We willen benadrukken dat al uw gegevens onder strikte geheimhouding behandeld worden.

Instemmingverklaring

Hierbij geef ik (*naam patiënt*) mijn arts toestemming om voor de registratie getiteld: "Een prospectieve, multicenter Europese Registratie voor nieuw gediagnosticeerde patiënten met Myelodysplasie Syndromen van het IPSS laag en intermediair-1 subtype" mijn relevante medische gegevens te verzamelen en gebruik te maken van een elektronisch data verwerkingssysteem.

Ik bevestig hierbij dat het doel van de registratie aan mij is uitgelegd en dat ik de patiënteninformatie heb ontvangen.

Ik verklaar dat ik weet dat ik het ziekenhuis moet bezoeken zo vaak als mijn medische conditie vereist en tenminste tweemaal per jaar.

Ik geef toestemming mijn medische gegevens te verzamelen, waarbij mijn identiteit strikt geheim gehouden wordt en dat niemand behalve mijn behandelend arts en zijn/haar collegae artsen toegang heeft tot specifieke informatie over mij.

Ik begrijp dat deelname aan deze registratie vrijwillig is en dat ik mij op elk moment zonder opgave van redenen kan terugtrekken. Als ik dit doe zal dit geen enkele invloed hebben op de voor mijn ziekte gebruikelijke behandeling en op de zorg van mijn behandelend arts.

Ik begrijp ook dat de sponsor zich het recht voorbehoudt om de registratie voortijdig te beëindigen.

Mijn behandelend arts, hieronder genoemd, mag ten behoeve van de kwaliteitscontrole van de verzamelde data door een monitor, overheidsinstanties en inspecties, inzage geven in relevante delen van mijn medische dossier op voorwaarde dat hij/zij er voor in staat dat de vertrouwelijkheid van deze gegevens niet zal en kan worden geschonden door deze personen.

Ik ga ermee akkoord dat mijn gegevens voor een maximum periode van 15 jaar gearchiveerd worden na beëindiging van de registratie.

Ik geef **WEL / GEEN** (doorhalen wat niet van toepassing is) toestemming voor de verzameling van extra urine en bloed ten behoeve van toekomstig onderzoek.

Naam van patiënt: _____

Handtekening van patiënt: _____

Datum: _____

Als behandelend arts van patiënt, hierboven aangegeven, bevestig hierbij dat ik het doel en aard van de studie volledig heb uitgelegd.

Naam van behandelend arts _____

Handtekening behandelend arts _____

Datum: _____