

Obaveštenje za ispitanike o studiji pod nazivom:

## **„FORMIRANJE REGISTARA ZA RETKE NEUROMIŠIĆNE BOLESTI“**

Pozivamo Vas da učestvujete u istraživanju koje smatramo vrlo važnim. Pre nego što odlučite da li želite da učestvujete u istraživanju, važno je da razumete zašto se ono obavlja i šta podrazumeva. Molimo Vas da pažljivo pročitate sledeće informacije i ukoliko želite, razgovarate o tome sa još nekim. Ukoliko Vam je nešto nejasno ili želite više informacija, biće nam drago da odgovorimo na sva Vaša pitanja. Imate dovoljno vremena da odlučite da li želite da učestvujete. Zahvaljujemo Vam se što posvećujete vreme čitanju ovih informacija.

### ***Šta je cilj ovog istraživanja?***

Neuromišićne bolesti su nasledna i stečena oboljenja perifernog nerva i mišića koja dovode do mišićne slabosti i/ili smetnji sa osećajem dodira, kao i do drugih simptoma i znakova. Većina ovih oboljenja ubraja se u grupu retkih bolesti što podrazumeva da se javljaju sa učestalošću od 1 na 2000 ljudi u opštoj populaciji ili ređe. Iako su ove bolesti pojedinačno retke, prema proceni Evropskog komiteta, 6% do 8% populacije ima retku bolest što će reći da u Srbiji oko 500000 ljudi živi sa nekom retkom bolešću. Osobe sa retkim bolestima i njihove porodice, kao i stručna i naučna zajednica, suočavaju se sa brojnim teškoćama: nedostupnošću adekvatne dijagnostike, nedostatkom informacija o bolesti i mogućnostima lečenja, nedostatkom naučnih znanja, socijalnim posledicama i drugo.

Cilj ove studije je formiranja registara za retke neuromišićne bolesti kako bi se prevazišli napred navedeni problemi.

### ***Zašto sam ja izabran?***

Vas smo zamolili da učestvujete u ovoj studiji zato što imate postavljenu dijagnozu retke neuromišićne bolesti.

### ***Da li sam obavezan da učestvujem?***

Na Vama je da odlučite da li ćete učestvovati ili ne. Ukoliko odlučite da učestvujete u ovom istraživanju, zamolićemo Vas da ovaj list sa informacijama sačuvate i da potpišete formular informisanog pristanka. Možete bilo kada u toku studije slobodno prekinuti svoje učešće bez obaveze da objašnjavate razloge. Prekid učešća u studiji ne ugrožava Vaše pravo na zdravstvenu zaštitu niti bilo koje drugo pravo zagarantovano Ustavom Republike Srbije i međunarodnim konvencijama.

### ***Šta će se desiti ukoliko odlučim da učestvujem u istraživanju?***

Ukoliko odlučite da učestvujete, Vaši sociodemografski, klinički i genetski podaci će biti deponovani u odgovarajući registar od strane Vašeg neurologa koji je specijalizovan za neuromišićne bolesti. Jednom ili dva puta godišnje ovi podaci bi bili osveženi na osnovu podataka sa redovnog neurološkog pregleda.

### ***Zbog čega smatramo da je ovo ispitivanje važno?***

Za većinu stečenih neuromišićnih bolesti postoji adekvatan tretman, dok se za hereditarne bolesti, u iščekivanju genske terapije, za sada primenjuje samo simptomatsko lečenje. Trenutno je za pojedine hereditarne bolesti genska terapija na pomolu. Uključivanje bolesnika u studije sa genskom terapijom podrazumeva jasno definisanje molekularno-genetskog defekta i kliničkog stadijuma bolesti. Kako se radi o retkim bolestima, neophodno

je formiranje nacionalnih i internacionalnih registara da bi se regrutovao adekvatan broj bolesnika za kliničke studije koje obično imaju stroge kriterijume za uključivanje i isključivanje iz istraživanja. Naime, neke studije podrazumevaju uključivanje bolesnika sa samo jednim precizno definisanim genskim defektom ili određenim fenotipom. Dakle, jedan od značaja registara jeste olakšano regrutovanje jasno definisanih bolesnika.

Pored toga, registri omogućavaju praćenje simptoma i prirodnog toka bolesti i omogućavaju određivanje prevalencije retkih bolesti.

#### ***Da li ću imati koristi od ovog istraživanja?***

Cilj ovog istraživanja i jeste korist za sve bolesnike koji boluju od retkih neuromišićnih bolesti. Pre svega, kontaktiraćemo Vas ako se pojavi bilo kakav novi lek za Vašu bolest i ponuditi Vam učešće u kliničkim studijama ako ste ciljni ispitanik.

Ako želite, obaveštavaćemo Vas jednom ili dva puta godišnje o novim saznanjima o bolesti od koje bolujete.

Deponovanje Vaših podataka u registar doprineće saznanju o učestalosti Vaše bolesti, boljem razumevanju toka bolesti i njenih simptoma, što sve može voditi razvoju adekvatne terapije.

Za upisivanje u registar i eventualno učešće u kliničkim studijama nećete dobiti novčanu nadoknadu.

#### ***Da li će moje učešće u ovoj studiji biti čuvano kao poverljiva informacija?***

Sve informacije tokom studije će biti strogo poverljive. Jedine osobe koje će videti informacije o Vašem učešću u studiji su glavni istraživač i urednik registra. Vaše ime neće biti ni u jednoj informaciji koja će napustiti registar tako da Vas niko ne može prepoznati na osnovu objavljenih podataka. Još jednom napominjemo da možete povući svoje podatke iz registra u bilo koje vreme.

Ukoliko želite više informacija o studiji možete kontaktirati prof. dr Vidosavu Rakočević Stojanović.

#### ***Šta će se desiti sa rezultatima istraživanja?***

Rezultati će biti analizirani i objavljivani u polugodišnjem ili godišnjem izveštaju registra, kao i u naučnim publikacijama. Vi možete dobiti kopiju rezultata ukoliko to želite. Da bi se obezbedila poverljivost podataka, Vaše ime neće biti pomenuto ni u jednom izveštaju niti u publikacijama.

#### ***Šta će se desiti ako ste zabrinuti, ako imate neka pitanja u vezi sa istraživanjem i/ili ako postoji hitna situacija?***

Uvek ćete biti u mogućnosti da kontaktirate glavnog istraživača ili urednika registra, da razgovarate o onome što Vas brine ili da tražite pomoć.

***Glavni istraživač registra:*** \_\_\_\_\_ ***Adresa:***

\_\_\_\_\_ ***Telefon:*** \_\_\_\_\_;

***Urednik registra:*** \_\_\_\_\_ ***Adresa:***

\_\_\_\_\_ ***Telefon:*** \_\_\_\_\_.

Ukoliko se odlučite da učestvujete u ovom istraživanju, daćemo Vam primerak ovog lista sa informacijama i potpisani formular informisanog pristanka da ih sačuvate.

***Hvala Vam na tome što ste zainteresovani za ovo istraživanje!***