

Proefpersoneninformatie voor deelname aan medisch-wetenschappelijk onderzoek

Titel van het onderzoek: Nederlandse Dystrofinopathie Database: een nationaal register voor Duchenne en Becker

Officiële titel: Registratie, epidemiologie en natuurlijk beloop van dystrofinopathieën in Nederland

Inleiding

Geachte heer/mevrouw,

Wij vragen u om mee te doen aan een medisch-wetenschappelijk onderzoek genaamd 'Nederlandse Dystrofinopathie Database: een nationaal register voor Duchenne en Becker spierdystrofie. Meedoen is geheel vrijwillig. Om mee te doen is wel uw schriftelijke toestemming nodig. U ontvangt deze brief omdat bij u de diagnose Duchenne of Becker spierdystrofie is gesteld of omdat u draagster bent van één van deze aandoeningen. Voordat u beslist over deelname aan dit onderzoek, krijgt u uitleg over wat het onderzoek inhoudt. Lees deze informatie rustig door en vraag de onderzoeker uitleg als u vragen heeft. U kunt ook de onafhankelijk deskundige, die aan het eind van deze brief genoemd wordt, om aanvullende informatie vragen. U kunt er ook over praten met uw partner, vrienden of familie. Verdere informatie over meedoen aan een onderzoek staat in de bijgevoegde brochure 'Medisch-wetenschappelijk onderzoek'.

1. Algemene informatie

Het Leids Universitair Medisch Centrum (LUMC), het Radboudumc en Kempenhaeghe-Maastricht Universitair Medisch Centrum (MUMC+) hebben, in samenwerking met patiëntenorganisatie Duchenne Parent Project (DPP) en patiëntenvereniging Spierziekte Nederland, het Duchenne Centrum Nederland (DCN) opgericht in 2016. Deze oprichting is ook mede mogelijk gemaakt met hulp van Spieren voor Spieren. De doelstelling van dit centrum is zorg en onderzoek voor patiënten met Duchenne en Becker optimaliseren. Dit gebeurt onder meer door het vernieuwen van de bestaande nationale database voor dystrofinopathieën. Het kan zijn dat u al staat ingeschreven in deze huidige database. Toch willen wij u vragen om dit informatieformulier door te lezen, omdat er enkele belangrijke dingen zijn veranderd en wij opnieuw toestemming nodig hebben om de database te kunnen voortzetten.

2. Doelen van de database

De vernieuwde database heeft drie hoofddoelen. Ten eerste zorgt een nationale database ervoor dat patiënten sneller en eenvoudiger benaderd kunnen worden voor deelname aan (internationaal) wetenschappelijk onderzoek. Ten tweede kunnen de gegevens die verzameld worden in de database gebruikt worden om meer te begrijpen over het ziektebeloop van Duchenne en Becker spierdystrofie. Dit is cruciaal om de zorg en het onderzoek te kunnen verbeteren. Als laatste zullen we, na uw toestemming, ook gegevens uit verschillende

onderzoeken kunnen koppelen om hergebruik ervan te stimuleren. Zo hoeven er minder vaak dezelfde gegevens te worden verzameld of gemeten.

Door de samenwerking tussen de partners van het DCN wordt het makkelijker om samenvattingen van verzamelde informatie terug te koppelen aan patiënten via nieuwsbrieven en websites.

3. Achtergrond van de database

De nationale database voor dystrofinopathieën bestaat al sinds 2008 en wordt beheerd door het LUMC. Dystrofinopathie is de verzamelnaam voor patiënten met Duchenne en Becker en symptomatische draagsters (d.w.z. draagster van de mutatie en hier ook klachten van ondervindt). Het is om een aantal redenen belangrijk om deze database te vernieuwen. Ten eerste is de wet- en regelgeving rondom het verzamelen van persoonsgegevens gewijzigd. Ten tweede is de huidige database niet opgericht als onderdeel van het samenwerkingsverband tussen de DCN leden. Ten derde was de database minder geschikt voor het doorlopend verzamelen van informatie en de terugrapportage van gegevens aan de deelnemers.

Tenslotte biedt de vernieuwing de mogelijkheid om beter samen te werken in internationale onderzoeken. Een voorbeeld hiervan is TREAT-NMD. TREAT-NMD is een internationaal netwerk dat voortdurend geraadpleegd wordt door de farmaceutische industrie en andere onderzoekers. Een (internationaal) onderzoeker kan een verzoek indienen bij TREAT-NMD om te achterhalen in welk land en welk ziekenhuis patiënten zijn die geschikt zijn om mee te doen aan hun onderzoek. Hiervoor is het nodig de meest actuele informatie voorhanden te hebben.

Gelijktijdig met het vernieuwen van deze database, is ook de Parel Duchenne & Becker opgericht. Ook dit is een landelijke database voor patiënten met Duchenne en Becker waarvoor apart toestemming wordt gevraagd. Er zijn belangrijke verschillen tussen deze databases die maken dat ze elkaar aanvullen. Het belangrijkste verschil is dat de Parel Duchenne & Becker een samenwerking is tussen alle Universitaire Medische Centra (UMC's) in Nederland en dat in deze database de metingen verkregen tijdens ziekenhuisbezoeken anoniem worden verzameld. Met deze gegevens kan wetenschappelijk onderzoek worden gedaan, maar patiënten kunnen niet benaderd worden voor deelname aan ander wetenschappelijk onderzoek.

4. Wat meedoen inhoudt

U kunt zich laten (her)registreren in de Nederlandse dystrofinopathie database door middel van het ondertekenen van het toestemmingsformulier (bijlage B).

Registratie in de database kan door tenminste toestemming te geven voor:

Registratieoptie 1: Minimale registratie met het eenmalig opvragen van gegevens over de diagnose (zie bijlage C) en uw contactgegevens. U zult dan benaderd kunnen worden voor wetenschappelijk onderzoek waar u voor in aanmerking komt. Uiteraard is deelname daaraan

vrijwillig en staat los van deze registratie zelf. Tevens zult u jaarlijks een mail ontvangen met het verzoek om eventueel gewijzigde contactgegevens door te geven.

Daarnaast vragen wij toestemming om eenmalig gegevens over uw mutatie op te vragen. Dit is belangrijk omdat deze informatie vaak nodig is om te kunnen bepalen of u voor een wetenschappelijk onderzoek in aanmerking komt.

Om zo goed mogelijk aan te sluiten bij persoonlijke wensen zijn er drie aanvullende mogelijkheden waarvoor u kunt kiezen.

- Registratieoptie 2: u ontvangt één keer per jaar een korte vragenlijst over klinische gegevens en bereikte mijlpalen van de ziekte (zie voor bijlage D voor een voorbeeld). Deze gegevens zullen worden gebruikt om het beloop van de ziekte in Nederland zo goed mogelijk te beschrijven.
- Registratieoptie 3: *Deze geldt alleen voor patiënten die voor zorg in het LUMC, het Radboudumc of Kempenhaeghe komen.* Het opslaan van klinische gegevens en resultaten van bloed- en urineonderzoek in de database die vanuit de zorg zijn verkregen bij de normale bezoeken aan de polikliniek in één van drie centra van DCN. Hiervoor worden dus geen extra metingen gedaan.
- Registratieoptie 4: Het op verzoek verstrekken van gecodeerde gegevens aan niet commerciële instanties zoals TREAT-NMD of universitair onderzoek uit andere landen. Gecodeerd betekent dat de gegevens niet herleidbaar zijn naar uw persoonsgegevens. Uw persoonsgegevens zijn vervangen door een code.
- Registratieoptie 5: Het delen van uw gecodeerde gegevens met commerciële onderzoekers of bedrijven. Uw gegevens kunnen dan bijvoorbeeld gebruikt worden om grote groepen patiënten te vergelijken zowel binnen als buiten Nederland.

Indien u al geregistreerd stond in de vorige versie van de database, vragen wij u om opnieuw toestemming te geven. Dit is belangrijk omdat de samenwerking tussen de leden van het DCN niet goed kan in de oude database. Ook kunnen we de gegevens uit verschillende onderzoeken dan niet goed hergebruiken.

Zolang u zich niet opnieuw registreert, maar ook niet de voorgaande toestemming intrekt, zullen de gegevens die al zijn verzameld worden overgenomen in de nieuwe database. Hierbij zal duidelijk aangegeven worden dat er (nog) geen toestemming is voor de vernieuwde database. Bij de oude database heeft u toestemming gegeven om benaderd te kunnen worden voor onderzoek waarbij ook wat medische gegevens zijn verzameld (meest vergelijkbaar met registratieoptie 1 in de nieuwe database). U kunt ook aangegeven als u niet wilt meedoen en uw gegevens uit de oude database verwijderd wilt hebben (zie kopje 7. 'Als u niet wilt meedoen of wilt stoppen met het onderzoek').

We zullen u als patiënt via nieuwsbrieven en de websites van het Duchenne Centrum Nederland en de patiëntenorganisatie/vereniging (Duchenne Parent Project en Spierziekten Nederland) tussendoor op de hoogte stellen over de reeds verzamelde gegevens. Daarnaast zullen informatie en wetenschappelijke publicaties op de website van het Duchenne Centrum Nederland geplaatst worden.

5. Wat wordt er van u verwacht

Om het onderzoek goed te laten verlopen, is het belangrijk dat u direct contact opneemt indien:

- U zich niet meer wilt laten registreren in de Nederlandse dystrofinopathie database.
- Uw contactgegevens wijzigen.

Bij overlijden is de vraag aan de nabestaanden dit aan het register door te geven. Op deze manier zullen zij niet meer benaderd worden voor deelname aan nieuw onderzoek.

6. Mogelijke bijwerkingen/complicaties

Aan deelname zijn geen mogelijke risico's verbonden.

7. Mogelijke voor- en nadelen

Het is belangrijk dat u de mogelijke voor- en nadelen goed afweegt voordat u besluit mee te doen. Registratie in de database zal geen direct gezondheidsvoordeel voor u opleveren.

Voordelen:

- Indien u kiest voor registratie in de database, kunt u makkelijker benaderd worden voor wetenschappelijk onderzoek.
- Door registratie kan er meer inzicht in het ziektebeloop van Duchenne en Becker verkregen worden, waardoor de zorg en wetenschappelijk onderzoek in de toekomst verbeterd kan worden.

Nadelen

Tijdsinvestering:

- Eenmalige investering: Toestemmingsformulier doorlezen, nadenken en ondertekenen (60 minuten) en de registratievragenlijst invullen (15 minuten).
- Jaarlijkse update van contactgegevens. Dit kost ongeveer 5 minuten.
- Indien u kiest voor registratieoptie 2, zal u tevens jaarlijks een online vragenlijst ontvangen over een aantal klinische gegevens en mijlpalen. Het invullen van de vragenlijst kost ongeveer 10 minuten. Op verzoek kan de vragenlijst ook op papier gestuurd worden.

8. Als u niet wilt meedoen of wilt stoppen met de registratie

U beslist zelf of u meedoet aan de registratiestudie. Deelname is geheel vrijwillig. Als u meedoet, kunt u op elk moment besluiten uw deelname te beëindigen, zonder opgaaf van reden. Dit heeft geen consequenties voor uw zorg of behandeling.

Als u wel meedoet, kunt u zich altijd bedenken en toch stoppen, ook tijdens de registratie. U wordt dan op de gebruikelijke manier behandeld voor uw ziekte. U hoeft niet te zeggen waarom u stopt. Wel moet u dit direct melden. Zoals beschreven onder kopje 4 'Wat meedoen inhoudt' bestaat het onderzoek uit meerdere registratieopties. U kunt per registratieoptie besluiten of u niet meer wilt deelnemen. De gegevens die tot dat moment zijn verzameld, worden gebruikt voor onderzoek tenzij u aangeeft dat de gegevens verwijderd moeten worden. Dit betekent dat

wij uw gegevens uit de database halen zodat ze niet meer gebruikt kunnen worden voor nieuw onderzoek. Indien u wilt stoppen met het onderzoek, is het belangrijk dat u direct contact opneemt via registratie@duchennecentrum.nl of via de contactgegevens onderaan deze brief.

Als er nieuwe informatie over het registratieonderzoek is die belangrijk voor u is, laat de onderzoeker dit aan u weten. U wordt dan gevraagd of u blijft meedoen.

9. Einde van het onderzoek

Uw deelname aan het registratieonderzoek stopt als

- U zelf kiest om te stoppen
- Het bestuur van DCN, de overheid of de beoordelende medisch-ethische toetsingscommissie, besluit om het onderzoek te stoppen.

Het registratieonderzoek eindigt dus niet automatisch bij overlijden, wel noteren wij dit in de registratie. We kunnen de verzamelde gegevens nog gebruiken maar zorgen ervoor dat er geen contact meer met uw nabestaanden wordt opgenomen.

10. Gebruik en bewaren van uw gegevens

Voor dit onderzoek is het nodig dat uw persoonsgegevens en medische gegevens worden verzameld en gebruikt en bewaard. Het gaat om gegevens zoals uw naam, adres, geboortedatum en om gegevens over uw diagnose. Het verzamelen, gebruiken en bewaren van de gegevens is nodig om u te kunnen benaderen voor toekomstig onderzoek en de hoofdvragen van dit onderzoek te kunnen beantwoorden.

Vertrouwelijkheid van uw gegevens

Om uw privacy te beschermen, worden uw gegevens opgeslagen onder een code. Uw naam en andere persoonlijke gegevens waarmee u direct identificeerbaar bent, worden daarbij weggelaten. Alleen met de sleutel van de code zijn gegevens tot u te herleiden. De sleutel van de code blijft veilig opgeborgen en zal alleen toegankelijk zijn voor een beperkt aantal mensen (zie kopje 'toegang tot uw gegevens'). Indien uw gegevens gebruikt worden voor analyses, zullen uw persoonsgegevens hier nooit voor worden gebruikt.

Toegang tot uw gegevens

Alle verzamelde gegevens worden vertrouwelijk behandeld. We maken onderscheid tussen toegang tot (oftewel het inzien van) uw persoonsgegevens en toegang tot uw gecodeerde medische gegevens. Uw persoonsgegevens zijn gegevens waarmee u als persoon direct herleidbaar bent. Gecodeerde medische gegevens zijn de gegevens die verzameld worden over uw ziekte. Een overzicht van toegang tot uw persoonsgegevens vindt u in tabel 1 en overzicht van toegang tot gecodeerde gegevens vindt u in tabel 2.

Personen die uw persoons- én gecodeerde gegevens altijd kunnen inzien

De beheerders van de database zullen altijd toegang hebben tot uw persoonsgegevens. Tevens zullen sommige mensen uw gegevens kunnen inzien ter controle of het onderzoek

goed en betrouwbaar uitgevoerd wordt. Deze mensen zijn leden van de Medisch Ethische Toetsingscommissie uit Leiden-Den Haag-Delft (de commissie die de veiligheid van het onderzoek in de gaten houdt), nationale toezichthoudende autoriteiten, zoals bijvoorbeeld, de Inspectie Gezondheidszorg en Jeugd (IGJ) en interne monitor die door het LUMC is vereist.

Algemene informatie hierover vindt u in de brochure 'Medisch-wetenschappelijk onderzoek' (bijlage E). Er zal ten alle tijden zorgvuldig met uw gegevens worden omgegaan.

Daarnaast kan de lokale hoofdonderzoeker van elk UMC (de verantwoordelijk arts in LUMC, RadboudUMC en Kempenhaeghe) de persoonsgegevens inzien van de patiënten die onder behandeling in dat centrum zijn (zie tabel 1). Deze hoofdonderzoeker kan worden ondersteund door (administratieve) medewerkers bij de invoer van de gegevens.

Personen die uw persoonsgegevens en een deel van uw medische gegevens tijdelijk kunnen inzien

Uw gegevens zullen mogelijk ook voor beperkte tijd zichtbaar zijn voor een onderzoeker. Deze onderzoeker zal goedkeuring gekregen hebben van een METC om het onderzoek uit te voeren en om uw persoonsgegevens en een deel van uw medische gegevens in te kunnen zien. De reden dat een onderzoeker tijdelijk toegang kan krijgen tot uw persoonsgegevens, is zodat hij/zij u dan kan benaderen met de vraag of u mee wilt doen aan een wetenschappelijk onderzoek (zie tabel 1+2).

Personen die uw gecodeerde medische gegevens kunnen inzien (alleen voor patiënten die voor zorg in LUMC, Radboudumc of Kempenhaeghe komen, registratieoptie 3):

Het klinisch onderzoeksteam (dat wil zeggen de personen die de hoofdonderzoeker van dat UMC helpen bij het onderzoek) van het centrum waar u voor zorg komt, kan uw gegevens inzien (zie tabel 2).

Tabel 1.

| Toegang tot uw persoonsgegevens | | | |
|---|--|----------------------------------|---|
| | Altijd (van elke geregistreerde patiënt) | Altijd (van uw behandelend UMC*) | Tijdelijk (voor benadering deelname aan een onderzoek) [§] |
| Beheerder(s) | x | | |
| Hoofdonderzoeker van UMC | | x | |
| METC Leiden-Den Haag-Delft | x | | |
| Monitor# | x | | |
| Nationale toezichthoudende autoriteit (bijv. IGJ) | x | | |
| Onderzoeker van het DCN [§] | | | x |

*De hoofdonderzoeker van bijv. Radboudumc kan uw gegevens inzien indien u in dat ziekenhuis onder behandeling bent

§Na goedkeuring door de METC, zie kopje 'Personen die uw persoonsgegevens tijdelijk kunnen inzien'

#De monitor controleert of de rechten en het welzijn van de proefpersonen worden beschermd en de gegevens goed gerapporteerd worden.

IGJ: Inspectie Gezondheidszorg en Jeugd

DCN: Duchenne Centrum Nederland

Tabel 2.

| Toegang tot uw gecodeerde medische gegevens | | | |
|--|--|----------------------------------|--|
| | Altijd (van elke geregistreerde patiënt) | Altijd (van uw behandelend UMC*) | Tijdelijk en een deel van de gegevens# |
| Beheerder(s) | x | | |
| Klinisch onderzoeksteam UMC* | | x | |
| METC Leiden-Den Haag-Delft | x | | |
| Monitor | x | | |
| Nationale toezichhoudende autoriteit | x | | |
| Onderzoeker van het DCN | | | x |

*Alleen bij toestemming voor registratieniveau 3. Het onderzoeksteam van bijv Radboudumc kan uw gegevens inzien indien u in dat ziekenhuis onder behandeling bent.

#Een onderzoeker kan tijdelijk een deel van uw medische gegevens inzien om u te kunnen benaderen voor onderzoek

DCN: Duchenne Centrum Nederland

Bewaartermijn gegevens

Uw persoonlijke en medische gegevens worden voor onbepaalde tijd opgeslagen in de beveiligde database die beheerd wordt door het LUMC. De gegevens worden veilig opgeslagen, waarbij uw privacy is gewaarborgd.

Bewaren en gebruik van gegevens voor ander onderzoek

Bij gebruik van uw gecodeerde gegevens wordt onderscheid gemaakt in het verstrekken van deze gegevens aan onderzoekers die voor het DCN werken en externe onderzoekers.

Procedure voor gebruik van gegevens door een onderzoeker van het DCN

Indien een onderzoeker die voor het DCN werkt gegevens uit de database wil gebruiken, zullen de adviesraad en het bestuur van het DCN het onderzoek eerst toetsen. Als er toestemming wordt gegeven voor het onderzoek, zal de onderzoeker uw klinische gegevens kunnen gebruiken voor onderzoek. Deze gegevens zullen altijd gecodeerd gebruikt worden.

Procedure voor gebruik van gegevens door een onderzoeker van buiten het DCN:

Indien een onderzoeker van buiten het DCN onderzoek wil doen met gecodeerde gegevens uit de database, zal dit onderzoek eerst een toetsingsprocedure ondergaan door verantwoordelijke (ethische) commissie van de instantie waar de onderzoeker werkt. Vervolgens zal het onderzoek worden beoordeeld door de adviesraad van het DCN. In de adviesraad zit een vertegenwoordiger van elke partij (LUMC, het Radboudumc, Kempenhaege-MUMC+, de patiëntenorganisatie DPP en patiëntenvereniging Spierziekte Nederland). Het DCN bestuur moet het onderzoek daarna ook nog goedkeuren.

Intrekken toestemming

U kunt uw toestemming voor gebruik van uw (persoons)gegevens altijd weer intrekken. Dit geldt voor de registratie en ook voor het gebruik van gegevens voor toekomstig onderzoek. De onderzoeksgegevens kunnen echter al gebruikt zijn voor wetenschappelijk onderzoek. Deze gegevens kunnen derhalve niet meer verwijderd worden, maar zijn niet herleidbaar tot uw persoons.

Meer informatie over uw rechten bij verwerking van gegevens

Voor algemene informatie over uw rechten bij verwerking van uw persoonsgegevens kunt u de website van de Autoriteit Persoonsgegevens raadplegen.

Bij vragen over uw rechten kunt u contact opnemen met de verantwoordelijke voor de verwerking van uw persoonsgegevens. Voor dit onderzoek is dat het LUMC. Zie bijlage A voor contactgegevens.

Bij vragen of klachten over de verwerking van uw persoonsgegevens raden we u aan eerst contact op te nemen met het beheer van de database. U kunt ook contact opnemen met de Functionaris voor de Gegevensbescherming van het LUMC of de Autoriteit Persoonsgegevens.

11. Geen vergoeding voor meedoen

U wordt niet betaald voor het meedoen aan dit onderzoek.

12. Heeft u vragen?

Mocht u na het lezen nog vragen hebben, dan kunt u contact opnemen via registratie@duchennecentrum.nl.

Voor onafhankelijk advies over meedoen aan dit onderzoek kunt u terecht bij de onafhankelijke neuroloog in het LUMC. Zij weet veel over het onderzoek, maar heeft niets te maken met dit onderzoek. dr. G.M. Terwindt, neuroloog, afdeling neurologie, LUMC, tel 071-5266846.

Indien u klachten heeft over het onderzoek, kunt u dit bespreken met de onderzoeker of uw behandelend arts. Wilt u dit liever niet, dan kunt u zich wenden tot de klachtenfunctionaris van het LUMC op 071-5248126. De contactgegevens staan samengevat in **bijlage A: Contactgegevens**.

13. Ondertekening toestemmingsformulier

Wanneer u besluit tot deelname, vragen wij u dit met bijgevoegde toestemmingsverklaring schriftelijk te bevestigen. Door uw schriftelijke toestemming geeft u aan dat u de informatie heeft begrepen en u instemt met deelname aan het onderzoek.

Indien u zich wil laten registreren in de database, vult u het toestemmingsformulier en de registratievragenlijst in. Deze stuurt u per post (postzegel is niet nodig) op in de retourenveloppe. Het handtekeningblad wordt door de onderzoeker bewaard. U krijgt een kopie of een tweede exemplaar van deze toestemmingsverklaring. De informatiebrief en toestemmingsformulieren zullen vanaf januari 2020 ook staan op de website www.duchenneexpertisecentrum.nl.

Indien u (mede) heeft gekozen voor registratieoptie 2, zal u na de registratie een online vragenlijst ontvangen over klinische gegevens en bereikte mijlpalen van de ziekte. Deze vragenlijst kan op verzoek ook per post naar u opgestuurd worden.

Met vriendelijke groet,

Dr. E. H. Niks, neuroloog – kinderneuroloog, LUMC

Dr. I.J.M. de Groot, (kinder)revalidatiearts, Radboudumc

Dr. J.G.M. Hendriksen, klinisch (neuro)psycholoog, Kempenhaege

Bijlage A: Contactgegevens

Contactpersonen LUMC:

Mw drs. N.M. van de Velde, arts onderzoeker en database manager

Mw dr. Y.D. Meijer-Krom, Coördinator Duchenne Centrum Nederland

Te bereiken via registratie@duchennecentrum.nl

Onafhankelijk arts:

Dr. G.M. Terwindt, neuroloog in het LUMC, te bereiken gedurende kantoortijden van 8:30-17:00, (0)71-5262197

Klachtenbehandeling LUMC:

Mw. J.H. vd Linde-Stevens

Postbus 9600

2300 RC Leiden

071-52662589

Functionaris voor de gegevensbescherming van de instelling:

infoavg@lumc.nl

Afdeling Directoraat financiën LUMC

Telefoonnummer 071-5262149