

## INFORMACIÓN PARA EL PACIENTE

**Objetivo: Implementar un registro nacional de pacientes con diagnóstico de Atrofia Muscular Espinal (AME) e incorporarlo al registro internacional de TREAT-NMD (<http://www.treat-nmd.eu>).**

Antes de registrarse en Registro de Pacientes con AME, es importante que entienda lo que esto implica y para qué se usará la información que brinde.

Este formulario contiene respuestas a algunas de las preguntas que pueda tener. Al final del formulario encontrará una sección donde puede firmar para confirmar que está de acuerdo en participar en este registro. Si tiene alguna pregunta después de leer este formulario, por favor, póngase en contacto con nosotros. Encontrará nuestros datos en la página 3 de este documento.

### “¿Qué es un registro de pacientes y porqué se realiza?”

Los avances científicos de los últimos años llevaron a cambios importantes en el tratamiento de muchas enfermedades. Se desarrollaron nuevas estrategias terapéuticas y para algunos de estos tratamientos ya se están planificando grandes estudios involucrando pacientes de diferentes países.

Varias estrategias terapéuticas nuevas para enfermedades neuromusculares como la AME se concentran en defectos genéticos específicos. Cuando se organiza un estudio clínico, es muy importante identificar a los pacientes seleccionados en un corto plazo y ponerse en contacto con ellos. La mejor manera de asegurar esto, es recoger todos los informes de los pacientes en una sola base de datos o “registro” que contiene toda la información que los investigadores necesiten, incluyendo el defecto genético de cada paciente en particular y otras informaciones claves acerca de su enfermedad. En Chile, estamos trabajando para crear un registro nacional de todos los pacientes con AME. Aparte de un registro nacional en cada país, TREAT-NMD está creando un solo registro internacional que incorporará la información de cada uno de los registros nacionales, esto facilitará que a los pacientes que se registren en su registro nacional, se los pueda contactar si su perfil está de acuerdo con algún estudio clínico que se esté llevando a cabo en algún otro país. Además, estos registros ayudarán a los investigadores a contestar preguntas sobre aspectos del diagnóstico, la evolución y asistencia de pacientes con enfermedades como AME y ayudar a apoyar otras actividades para mejorar los estándares de la atención a los pacientes.

### “¿Los datos de quiénes están recolectando en este registro?”

Este registro es para los pacientes con atrofia muscular espinal (AME).

Como este registro está, en primer lugar, diseñado para identificar a los pacientes que pueden ser candidatos para participar en estudios clínicos de nuevas terapias en el futuro y para ayudar a los investigadores a encontrar la mejor manera de tratar a los pacientes con AME, el grupo objetivo de este registro son los pacientes que actualmente están viviendo con AME.

### “¿Quién debería completar este formulario?”

Si usted es el paciente y tiene más de 18 años de edad, usted mismo podrá completar y firmar este formulario. Si tiene menos de 18 años y comprende esta información, podrá firmar esta encuesta, pero también solicitaremos que uno de sus padres o tutor lo firmen. Cualquiera sea su edad convérselo con su familia y no dude en contactarnos si tiene alguna duda. Si es el padre o tutor de un niño/a que no tiene la edad suficiente para entender este formulario, por favor, firme este formulario si le gustaría que los datos de su hijo/a sean incluidos en el registro.

### “¿Cómo me identificarán en el registro?”

Sus datos personales (nombre, dirección, etc.) tienen que ser guardados en el registro para que podamos ponernos en contacto si necesitáramos informarle acerca de posibles estudios clínicos que pueden ser relevantes para su enfermedad. Estos datos se almacenarán de una manera segura y su historia tendrá un código único. Cuando transferimos sus datos al registro internacional, no pasaremos ninguno de sus datos personales y su historia clínica solamente se podrá identificar a través de un código asignado. Por lo tanto, los investigadores que estén buscando en el registro internacional no le podrán identificar personalmente con la información que tienen. Solamente la Corporación FAME Chile estará a cargo del registro chileno y una persona explícitamente nombrada podrá “decodificar” los datos para acceder a su información personal.

### **“¿Qué tengo que hacer y adónde irán mis datos?”**

Si está de acuerdo con participar en este proyecto, debería leer esta información para pacientes y firmar el formulario de consentimiento al final. En el cuestionario le pedimos algunos datos personales y alguna información acerca de su enfermedad. La información que entregue, será incorporada en el registro nacional chileno. Sus datos serán guardados de manera segura y ninguna persona no autorizada tendrá acceso a su información. Los datos de los registros nacionales de pacientes de todos los países, serán ingresados al registro internacional de TREAT-NMD, que será accesible a investigadores en todo el mundo. Cuando se planifican estudios clínicos, los investigadores pueden buscar participantes seleccionados para su estudio, en el registro de TREAT-NMD, en base a los datos clínicos y genéticos.

Si decide participar en un posible estudio, tendrá que leer y firmar un nuevo formulario de consentimiento. Está completamente libre de tomar sus propias decisiones acerca de cualquier estudio del cual le demos información. Si decide no participar en un estudio en particular, sus datos se mantendrán en el registro y le seguiremos informando acerca de otros estudios a no ser que decida lo contrario. Por favor, preste atención al hecho de que si le contamos acerca de la existencia de un estudio, esto no implica que los responsables del registro nacional lo respaldamos. Le daremos nuestra opinión y le ayudaremos para que pueda tomar la decisión más conveniente.

### **“¿Cómo puedo actualizar mis datos si éstos cambian?”**

Para asegurarnos que los datos en el registro son correctos y al día, es esencial que se actualicen periódicamente. Para hacer esto, le preguntaremos acerca de cambios importantes en sus datos personales que pueden haber ocurridos en el período intermedio, por ejemplo, un cambio de dirección o pérdida de ambulación o marcha.

### **“¿Quién tendrá acceso a mi historia clínica?”**

Es posible que el personal a cargo del registro chileno necesitará acceder a su historia clínica para obtener información necesaria para el proyecto (por ejemplo, es posible que necesitemos pedir una copia de su informe genético).

### **“¿Mis datos personales se mantendrán confidenciales?”**

Los datos ingresados al registro internacional se mantendrán en la Universidad de Newcastle en el Reino Unido (Inglaterra) por un período indefinido. Será responsabilidad de la Corporación FAME Chile mantener sus datos actualizados.

La creación de un registro requiere de la existencia de un archivo que contenga los datos personales y médicos del paciente. Este archivo será sujeto a las leyes de la protección de datos. Toda la información que recibamos será tratada de manera confidencial. La información será codificada y almacenada en un servidor de internet seguro en la Universidad de Newcastle.

Si publicamos un estudio u otros documentos basados en los datos de los registros, en la investigación nunca le identificaremos por su nombre.

Terceros que desean acceder a los datos del registro internacional (como investigadores o empresas que están planificando estudios clínicos o investigando nuevas terapias) exclusivamente tendrán acceso a información anónima solamente identificable por un código. Sus datos no serán accesibles a empleadores, organizaciones gubernamentales, compañías de seguros o instituciones educacionales, ni a otros miembros de su familia.

### **“¿En qué me beneficio si me registro?”**

El fin de este registro es un servicio al que podrán acceder los investigadores y profesionales autorizados para el desarrollo de investigaciones que pueden tener potencial beneficio en el conocimiento de la enfermedad AME.

No recibirá ningún pago u otro beneficio económico por presentar sus datos en el registro. Los resultados de la investigación que facilita el registro pueden patentarse o tener otro potencial comercial. Sin embargo, no recibir derechos de patente ni otros beneficios de un posible desarrollo comercial en el futuro. No obstante, la participación en el registro puede tener otros beneficios, incluyendo los siguientes:

- Le avisaremos si podría ser un candidato para un estudio clínico específico.
- También le avisaremos si recibimos información nueva acerca de su enfermedad que pueda ser importante para usted, por ejemplo si encontraremos mejores maneras de cuidar a los pacientes con AME.

- Los datos reunidos también pueden ser beneficiosos para otros pacientes con la misma enfermedad, por ejemplo, al revelar estadísticas acerca de cuántas personas en Europa y en el mundo tienen la misma condición, o al proveer información a los investigadores que están buscando los mejores estándares de cuidado para su enfermedad.
- En base de este registro y otros registros internacionales, publicaremos información estadística general en nuestro sitio web, para que pueda encontrar información acerca de cuántas personas en el mundo tienen la misma enfermedad que usted.

**“Me gustaría participar en un estudio clínico. ¿Se garantiza esto si me registro?”**

Aunque uno de los objetivos más importantes de este registro es facilitar la participación de los pacientes en estudios clínicos, el hecho de que esté anotado/a en el registro no le garantiza que participará en un estudio clínico. Sin embargo, es importante que entienda que, aún si los coordinadores de un estudio clínico creen que es elegible para ese estudio, basado en sus datos almacenados en el registro internacional, es posible que más adelante resulte que finalmente no cumpla con los criterios de inclusión.

**“No quiero participar en ningún estudio clínico. ¿Tendría que registrarme igual?”**

Esperemos que esté interesado/a en registrarse aún si no le gusta participar en un estudio clínico. De todos modos, su información será útil para los investigadores quienes están tratando de averiguar más acerca de las personas que viven con AME e igual nos gustaría facilitarle información que podría ser relevante para su enfermedad.

**“¿Puedo inscribirme en el registro nacional y no en el internacional?”**

Sí. Puede hacerlo solamente en el registro que se hará en Chile y sus datos de la enfermedad no serán enviados al registro en Inglaterra. En este caso el acceso a sus datos sólo podrá ser hecho por profesionales e investigadores de nuestro país. Le mantendremos igualmente informado de cualquier novedad sobre su enfermedad o de la realización de algún estudio de investigación que se haga en otros países en el que podría ser candidato a participar.

**“¿Tengo que participar en el registro y puedo retirarme si cambio de idea?”**

Su participación en este proyecto es completamente voluntaria. La ley de Protección de Datos le otorga el derecho de acceder a sus propios datos y ratificar o retirarlos del todo en cualquier momento. Si quiere retirar sus datos del registro está libre de hacerlo sin dar ninguna explicación. Si desea retirarse, tendrá que ponerse en contacto con las personas a cargo del registro chileno. La información de contacto se encuentra más abajo.

**“¿A quién me debo dirigir si tengo preguntas?”**

Si desea más información, si necesita comunicarnos acerca de cambios en sus datos o si desea retirarse del registro, por favor, comuníquese con la Corporación FAME Chile al correo [registropacientes@famechile.cl](mailto:registropacientes@famechile.cl)