

**INFORMATIEBLAD VOOR PROEFPERSONEN  
ONDERZOEK VAN TRANSTHYRETINE-GEASSOCIEERDE AMYLOÏDOSEN  
(THAOS)**

Protocoltitel: Een mondiaal, multicentrum, longitudinaal, observatie-onderzoek bij patiënten met gedocumenteerde transthyretine(TTR)-mutaties of wild-type ATTR-amyloïdose

Protocolnummer: THAOS (B3461001)

Naam opdrachtgever: Pfizer, Inc.

Naam van THAOS-arts, contactgegevens en telefoonnummer: Dr. B.P.C. Hazenberg

## **INLEIDING**

Men heeft u gevraagd om deel te nemen aan een wetenschappelijk onderzoek voor het vergaren van informatie over patiënten met de diagnose ATTR (met transthyretine geassocieerde) amyloïdose, of met een genmutatie die uiteindelijk kan leiden tot ATTR-amyloïdose. Als u deelneemt aan dit onderzoek doet u dat op vrijwillige basis. Voordat u besluit of u wilt meedoen, hoort u te begrijpen wat voor onderzoek dit is en wat uw deelname zal inhouden. Neem de tijd om de informatie zorgvuldig door te lezen en als u dat wenst met anderen te bespreken. Vraag de arts of verpleegkundige om een uitleg als u iets niet begrijpt of als u meer informatie wenst.

Dit informatieblad beschrijft het doel van het onderzoek en wat er gebeurt als u besluit om mee te doen. Als u besluit om mee te doen, staat het u altijd vrij om uw deelname aan het onderzoek op elk gewenst moment en om welke reden dan ook te stoppen. Dit heeft geen invloed op de zorg die u van uw arts ontvangt. Wanneer u begrijpt wat het onderzoek inhoudt en besluit om mee te doen, zal men u vragen om deze informatiebrief met toestemmingsformulier te ondertekenen. U ontvangt een exemplaar van deze informatiebrief en het ondertekende toestemmingsformulier voor uw eigen administratie.

### **Waarom ben ik gevraagd om mee te doen?**

Bij u is de diagnose gesteld van een bepaalde soort ATTR-amyloïdose en uw arts denkt dat u in aanmerking zou kunnen komen voor deelname aan dit onderzoek. Bij dit onderzoek worden gegevens vergaard over patiënten met diverse typen ATTR-amyloïdose. Dit omvat patiënten bij wie de ziekte erfelijk is (van ouder op kind is overgedragen), en patiënten die de ziekte hebben verworven (niet van ouder op kind overgedragen). Uw arts heeft uw ziekte meer gedetailleerd aan u uitgelegd.

## **Wat is het onderzoek van transthyretine-geassocieerde amyloïdosen (THAOS)?**

Omdat ATTR-amyloïdose erg zeldzaam is, zijn er nog veel onduidelijkheden over deze ziekte. Het onderzoek van transthyretine-geassocieerde amyloïdosen (THAOS) is opgezet om de ziekte beter te begrijpen en de zorg voor patiënten te verbeteren.

Voor dit onderzoek hoeft u geen geneesmiddelen te gebruiken of een andere behandeling te ondergaan. Het onderzoek dient alleen om medische gegevens over zo veel mogelijk in aanmerking komende patiënten met ATTR-amyloïdose te vergaren. Het onderzoek blijft ten minste tien (10) jaar open. Er is geen vast aantal patiënten dat voor dit onderzoek moet worden ingeschreven. Er worden patiënten uit verschillende landen over de gehele wereld ingeschreven. Alle patiënten die aan dit onderzoek meedoen kunnen gedurende maximaal 10 jaar gevolgd worden.

## **Wie betaalt het onderzoek?**

De opdracht voor het onderzoek is gegeven door Pfizer, Inc. De onderzoeker kan betaling ontvangen als vergoeding voor de kosten van het uitvoeren van het onderzoeken.

## **Wat gebeurt er met me als ik ermee instem om mee te doen?**

Als u ermee instemt om mee te doen, wordt u eerst gevraagd om dit toestemmingsformulier te ondertekenen. De arts of verpleegkundige raadpleegt vervolgens uw medische dossier om te bevestigen dat u inderdaad in aanmerking komt voor deelname. Als u niet voldoet aan de criteria voor het onderzoek, kunt u niet meedoen.

Om aan het onderzoek mee te kunnen doen, moet uw diagnose van ATTR-amyloïdose in het verleden bevestigd zijn aan de hand van een test die genotypering wordt genoemd. Als deze test niet is verricht, kunt u niet meedoen. De test wordt niet speciaal voor dit onderzoek verricht.

Nadat u voor THAOS bent ingeschreven, vult de arts gegevens over u en uw gesteldheid in de database in. Alle gegevens worden uit uw medische dossier verkregen. U ondergaat geen extra onderzoeken en er worden geen extra gegevens speciaal voor het onderzoek geregistreerd. De arts voert gegevens over u in, waaronder uw geslacht en etnische herkomst. De arts registreert ook gegevens over uw medische voorgeschiedenis, medische voorvallen die van belang zijn voor patiënten met deze ziekte, uw familiegeschiedenis van amyloïdose (als uw aandoening erfelijk is), lichamelijk onderzoek, de uitslagen van onderzoeken van uw hart en zenuwstelsel en laboratoriumonderzoeken en informatie over de door u gebruikte geneesmiddelen.

De arts zal u blijven volgen en de gebruikelijke onderzoeken verrichten die deel uitmaken van uw normale medische zorg. Als onderdeel van de normale medische zorg voor uw ziekte ontvangt u misschien tafamidis op recept van uw arts, of in het kader van een klinisch onderzoek. In dat geval zal uw arts informatie verstrekken over het geneesmiddel, en de risico's die ermee gepaard gaan. Uw arts registreert de gegevens van deze beoordelingen in de THAOS-database, met inbegrip van de uitslagen van lichamelijke onderzoeken, ziekenhuisopnames, laboratoriumonderzoeken of speciale onderzoeken die verricht zijn.

Als u daartoe bereid bent, zal men u tevens vragen om korte vragenlijsten in te vullen om de veranderingen in uw fysiek functioneren en kwaliteit van leven te beoordelen. Deze vragenlijsten maken geen deel uit van uw normale zorg en u hoeft ze niet in te vullen om deel te nemen aan het onderzoek.

Nadat u voor het onderzoek bent ingeschreven, kunt u blijven meedoen totdat het onderzoek is afgelopen.

Uw persoonlijke gegevens (gegevens over u) worden in een beveiligde computerdatabase ingevoerd. Pfizer, Inc. is verantwoordelijk voor de database die uw persoonlijke gegevens bevat. Alleen de arts (en de medewerkers van de arts) hebben toegang tot uw naam en gegevens waaraan u herkenbaar bent.

### **Wat zijn de mogelijke nadelen of risico's van deelname?**

Deelname aan het onderzoek houdt in het vergaren van informatie over uw bezoeken aan de Universitair Medisch Centrum Groningen voor onderzoeken of procedures die deel uitmaken van uw normale medische zorg. Afgezien van uw normale zorg zijn er geen extra onderzoeken en procedures vereist om deel te nemen aan dit onderzoek. Voor het onderzoek hoeft u geen extra geneesmiddelen in te nemen en worden geen behandelingen of beoordelingen achterwege gelaten.

Uw naam wordt niet in de database van de het onderzoek opgenomen. Het verstrekken van persoonlijke gegevens levert echter wel risico's voor uw privacy op. De arts zal dit met u bespreken.

### **AANVULLENDE INFORMATIE**

#### **Wat wordt er van mij verwacht?**

U wordt verzocht de arts te informeren over veranderingen in uw gezondheid en alle geneesmiddelen die u momenteel gebruikt, of in de toekomst gaat gebruiken, tijdens het verloop van dit onderzoek. Als u of uw partner zwanger wordt gedurende de behandeling met tafamidis, wordt u verzocht uw arts te informeren. U wordt tevens verzocht om uw arts te informeren als u meedoet (of van plan bent om mee te doen) aan een klinisch onderzoek waarbij een experimenteel geneesmiddel en/of hulpmiddel wordt getest.

#### **Wat zijn de voordelen van deelname?**

Deelname aan dit onderzoek levert voor u naar verwachting geen directe voordelen op.

Dit is echter het eerste onderzoek waarin gegevens over ATTR-amyloïdose bij een grotere groep patiënten worden vergaard. De vergaarde gegevens zouden kunnen leiden tot betere begeleiding en behandelingsopties voor u en voor andere patiënten bij wie de diagnose van deze aandoening in de toekomst wordt gesteld.

### **Wat gebeurt er als er nieuwe informatie beschikbaar komt?**

De arts of verpleegkundige zal u informeren als er belangrijke nieuwe informatie beschikbaar komt die van invloed zou kunnen zijn op uw bereidheid om aan het onderzoek mee te doen. Als er nieuwe informatie beschikbaar komt nadat u aan het onderzoek bent gaan meedoen, zal men u misschien vragen om deze nieuwe informatie door te lezen en opnieuw een toestemmingsformulier te ondertekenen om mee te blijven doen aan het onderzoek.

### **Kan ik stoppen met deelname aan het onderzoek?**

U doet vrijwillig mee. Als u besluit om mee te doen, staat het u vrij om op elk gewenst moment en om welke reden dan ook te stoppen. U kunt uw deelname aan het onderzoek op elk gewenst moment stoppen zonder dat dit negatieve gevolgen voor u heeft. Als u besluit dat u niet langer aan dit onderzoek wilt meedoen, blijft u uw artsen bezoeken zoals vroeger en krijgt u de normale medische zorg. Als u besluit om de arts of verpleegkundige te vertellen waarom u met deelname stopt, wordt die informatie in de database opgenomen.

De opdrachtgever, Pfizer, Inc., kan het onderzoek op elk gewenst moment en om elke willekeurige reden stoppen.

### **Ontvang ik een vergoeding voor deelname?**

Het kost u niets om aan het onderzoek mee te doen. U wordt ook niet betaald voor deelname aan dit onderzoek.

### **Zal mijn deelname vertrouwelijk worden gehouden?**

Patiënten die aan dit onderzoek meedoen, hebben recht op privacy en bescherming van hun persoonlijke gegevens. De artsen die aan dit onderzoek deelnemen treffen alle redelijke maatregelen om de vertrouwelijkheid van de patiëntendossiers en persoonlijke gegevens te waarborgen. Van alle informatie die over u wordt verzameld worden uw naam en adres verwijderd, zodat u er niet aan herkend kunt worden. Uw identiteit blijft onbekend. Uw huisarts wordt echter geïnformeerd over uw deelname aan dit onderzoek.

De medische gegevens uit uw ziekenhuis worden beheerd volgens de huidige wetgeving en zijn beschikbaar voor inzage door bevoegde gebruikers zoals vereist volgens de regelgevende instanties en wetgeving in uw land. Deze bevoegde personen zijn de leden van het onderzoeksteam (uw artsen en verpleegkundigen), regelgevende instanties, gemachtigde vertegenwoordigers van de opdrachtgever en de leden van de medisch-ethische toetsingscommissie die toezicht houdt op alle onderzoeken bij uw ziekenhuis. Deze bevoegde personen kunnen informatie over uw deelname aan het onderzoek inzien; dit kan uw naam omvatten en uw geboortedatum, ras of andere informatie waaraan u herkenbaar bent, en ook uw medische dossier. Deze informatie wordt vertrouwelijk gehouden en wordt zonder uw toestemming niet beschikbaar gesteld aan andere personen of groepen dan hier vermeld.

Al uw gegevens worden beschermd volgens de Richtlijn gegevensbescherming van de Europese Unie, volgens de interpretatie van de wet in uw land. Dit is niet van invloed op uw rechten onder de van toepassing zijnde wetgeving voor gegevensbescherming. U hebt het recht om de meest recente informatie over de tijdens het onderzoek geregistreerde gegevens op te vragen.

De gegevens die tijdens het onderzoek worden verzameld, kunnen worden verzonden naar aan het onderzoek verbonden onderzoekers in landen waar de wet uw privacy minder streng beschermt dan de Nederlandse Wet Bescherming Persoonsgegevens. De opdrachtgever zal echter alle redelijke maatregelen treffen om uw privacy te beschermen.

De gegevens uit het onderzoek kunnen worden gebruikt in presentaties of publicaties, maar uw naam of andere gegevens waaraan u herkenbaar zou zijn, verschijnen niet in presentaties of publicaties die uit dit onderzoek voortvloeien.

De arts bewaart uw gegevens uit het onderzoek tot 15 jaar nadat het onderzoek is afgesloten. Deze gegevens worden op een beveiligde locatie opgeslagen.

**Meer informatie en contactgegevens:**

Dr. B.P.C. Hazenberg, is te bereiken op het nummer 0031 (0)50 361 3432 en kan alle vragen beantwoorden die u op ieder willekeurig moment hebt over het onderzoek.

## INFORMATIE- EN TOESTEMMINGSFORMULIER

Protocoltitel: Een mondiaal, multicentrum, longitudinaal, observatie-onderzoek bij patiënten met gedocumenteerde transthyretine(TTR)-mutaties of wild-type ATTR-amyloïdose

Protocolnummer: THAOS (B3461001)

- Ik heb het informatieblad gelezen. Ik heb al mijn vragen kunnen stellen. Mijn vragen zijn afdoende beantwoord. Ik heb voldoende tijd gekregen om te besluiten of ik zal deelnemen.
- Ik weet dat deelname geheel vrijwillig is. Ik weet dat ik op ieder moment kan besluiten om toch niet mee te doen. Ik hoef hiervoor geen reden op te geven.
- Ik stem ermee in dat mijn huisarts wordt geïnformeerd over mijn deelname aan het onderzoek.
- Ik weet dat een aantal personen inzage heeft in mijn gegevens. Buiten het ziekenhuis zijn deze gegevens altijd versleuteld.
- Ik weet dat mijn versleutelde gegevens ook naar andere landen gestuurd kunnen worden als dat in het belang van het onderzoek is. Mijn gegevens zijn daar mogelijk minder goed beschermd.
- Ik stem ermee in dat mijn gegevens gebruikt worden voor de doeleinden die op het informatieblad beschreven worden.
- Ik stem ermee in dat mijn versleutelde gegevens na afloop van dit onderzoek maximaal 15 jaar bewaard worden.
- Ik stem in met deelname aan dit onderzoek.

U ontvangt een exemplaar van dit informatieblad en het ondertekende toestemmingsformulier om mee naar huis te nemen.

---

Naam proefpersoon (blokletters)

---

Handtekening proefpersoon

Datum

### VERKLARING ARTS

Ik bevestig dat ik het bovenstaande onderzoek met deze deelnemer heb besproken en al zijn/haar vragen heb beantwoord. De deelnemer heeft zich vrijwillig bereid verklaard om deel te nemen. Ik heb deze handeling in het medisch dossier van de patiënt opgetekend. Er wordt een kopie van dit ondertekende document in het medisch dossier van de patiënt geplaatst. Er wordt een kopie van dit ondertekende document aan de patiënt overhandigd. Als er tijdens het onderzoek informatie bekend wordt die van invloed kan zijn op de toestemming van de patiënt, zal ik deze daarover tijdig informeren.

---

Naam arts (blokletters)

---

Handtekening arts

Datum