



EWOG-MDS 2006 Studie

Prospektive nicht randomisierte
multizentrische Studie für die
Epidemiologie und Charakterisierung
von MDS und JMML im Kindesalter
(Version: 15. März 2006)

ZENTRUM FÜR KINDERHEILKUNDE UND JUGENDMEDIZIN

Klinik IV: Pädiatrische Hämatologie und Onkologie
Ärztliche Direktorin

Universitätsprofessorin Dr. C. Niemeyer

☎ Sekretariat: 0761/270-45060 Fax: -45180

UNIVERSITÄTSKLINIKUM FREIBURG
Zentrum für Kinderheilkunde und Jugendmedizin
Mathildenstr. 1 - 79106 Freiburg

Aufklärung für Patienten

Lieber Patient,

Dein behandelnder Arzt hat Dich informiert, dass bei Dir der Verdacht auf eine Krankheit besteht, die entweder myelodysplastisches Syndrom (MDS), juvenile myelomonozytäre Leukämie (JMML) oder Noonan Syndrom mit JMML ähnlicher Erkrankung genannt wird. Diese Erkrankungen betreffen das Blut und das Knochenmark und sind im Kindes- und Jugendalter selten. Mehr Informationen zu diesen seltenen Krankheiten können hoffentlich zu einer besseren Diagnose und gezielten Behandlung führen. Deshalb wird in mehreren europäischen Ländern durch eine Arbeitsgruppe genannt „European Working Group on Childhood MDS – EWOG-MDS“ eine klinische Studie durchgeführt. Verantwortlich für die Koordination und Leitung der internationalen Zusammenarbeit im Rahmen dieser Studie ist Frau Prof. Dr. C. Niemeyer, Freiburg. Du wirst eingeladen, Deine Zustimmung zur Teilnahme an dieser Studie mit dem Namen EWOG-MDS 2006 zu erteilen.

Dieser Aufklärungsbogen fasst die wesentlichen Punkte zusammen, die Dein behandelnder Arzt Dir über die Studie mitgeteilt hat. Wenn Du die Prinzipien der Studie verstanden hast und wenn Du der Teilnahme an der Studie zustimmst, solltest Du dies mittels Unterschrift auf dem Einverständnissbogen bestätigen. Da Du in der Lage bist, Wesen, Bedeutung und Tragweite der Studie zu verstehen, wird Deine Zustimmung oder Ablehnung zusammen mit der Meinung Deiner Eltern berücksichtigt. Bitte beachte, dass eine Teilnahme freiwillig erfolgt. Eine Ablehnung der Studienteilnahme wird zu keinem Zeitpunkt zu Nachteilen für Dich führen. Du wirst unabhängig von Deiner Entscheidung immer sorgfältig behandelt werden. Bitte nimm Dir Zeit für Deine Entscheidung und zögere nicht weitere Fragen zu stellen.

Falls die Diagnose von MDS oder JMML sich nicht bestätigt, werden für die Studie keine Daten gespeichert und auch kein Material dafür asserviert.

Was wird in dieser Studie untersucht?

Eine klinische Studie ist Teil der klinischen Forschung. Diese Studie umfasst nicht die Behandlung Deiner Krankheit. Es werden zwei Fragen unabhängig von der Behandlung untersucht:

- 1. Diagnose:** Für eine genaue Diagnose, die zu einer gezielten Therapie führen soll, müssen unabhängig von dieser Studie für verschiedene Untersuchungen Blut- und Knochenmarkproben von Dir entnommen werden (bei JMML oder Noonan Syndrom zusätzlich ein Abstrich der Mundschleimhaut oder eine kleine Hautbiopsie). Für die Studie werden gleichzeitig kleine Blutmengen entnommen (5 ml Knochenmark und 5 ml Blut). Für Dich bedeutet dies keine zusätzliche Punktion oder Biopsie wegen der Studie. Die Blut- und Knochenmarkproben für die Studie (und Material vom Abstrich der Mundschleimhaut oder Hautbiopsie bei JMML) werden im behandelnden Krankenhaus oder in einem der Referenzlabore dieser Studie aufbewahrt. Du kannst entscheiden, ob dieses Material für zukünftige nicht kommerzielle Forschung über Deine Krankheit verwendet werden darf. Du kannst jederzeit Informationen über diese zukünftigen Forschungsergebnisse einholen. Für Dich relevante Befunde werden auf jeden Fall mitgeteilt.

2. **Klinischer Verlauf der Krankheit:** Informationen über den Verlauf Deiner Krankheit und Deinen Zustand werden an das koordinierende Studienzentrum (Studienleitung) nach Freiburg, Deutschland, geschickt.

Warum wird diese Studie durchgeführt?

Um mehr über diese seltenen Erkrankungen zu erfahren und um bessere Therapieformen zu entwickeln, möchte diese Studie folgende Fragen beantworten:

- Wie häufig sind myelodysplastische Syndrome (MDS) und deren Subtypen bei Kindern und Jugendlichen?
- Wie häufig sind Auffälligkeiten an Chromosomen in den blutbildenden Knochenmarkzellen?
- Wie viele Kinder werden von MDS und JMML geheilt?
- Wie viele Kinder werden von MDS und JMML geheilt, wenn sie eine hämatologische Stammzelltransplantation (auch Knochenmarktransplantation genannt) erhalten?
- Wie ist der klinische Verlauf bei Patienten mit Noonan Syndrom?

Wie viele Patienten werden an dieser Studie teilnehmen?

Es werden ungefähr 260 Patienten in Europa an dieser Studie teilnehmen. In Deutschland werden es ca. 130 Patienten an 62 Zentren sein.

Wie werden die einzelnen Zentren dieser europäischen Studie zusammen arbeiten?

Diese Studie wird in 12 europäischen Ländern durchgeführt. Verantwortlich für Deine Behandlung ist der Arzt, der Dich vor Ort behandelt. Um die Diagnosestellung zu verbessern, wird der Arzt Blut- und Knochenmarkproben (bei JMML und Noonan Syndrom auch Zellen von der Mundschleimhaut oder von einer Hautbiopsie) an die regionalen Referenzlabore für Zytomorphologie, Pathologie und Zytogenetik schicken und klinische Informationen an die Studienleitung in Freiburg übermitteln. Die Proben werden mit Deinem Namen versehen sein. Daten zu Diagnose und klinischem Verlauf werden vom behandelnden Zentrum an das koordinierende Studienzentrum nach Freiburg, Deutschland, übermittelt. Die Daten werden in einer geschützten Datenbank gesammelt, gespeichert und analysiert. Die Richtlinien betreffend ärztlicher Schweigepflicht und Datenschutz werden befolgt. Am Ende dieser Aufklärung findest Du die Namen und Adressen der verantwortlichen Personen in den Referenzlaboren und am koordinierenden Studienzentrum in Freiburg, Deutschland.

Wie lange wirst Du in der Studie sein?

Informationen über Deinen klinischen Verlauf werden jährlich bis Ende 2010 gesammelt. Es ist zur Zeit geplant im Rahmen einer folgenden Studie über Langzeitverläufe ab 2010 weitere Daten über Deinen klinischen Verlauf zu sammeln. Du kannst jederzeit Deine Studienteilnahme beenden. Falls Du der Verwendung zusätzlicher Proben für zukünftige Forschung zugestimmt hast, werden diese Proben anonym für 15 Jahre gespeichert. Falls Du Deine Zustimmung zurückziehst, werden die vorhandenen Proben vernichtet. Du musst wissen, dass Forschungsvorhaben, die mit den Proben bereits durchgeführt wurden, nicht mehr rückgängig gemacht werden können.

Was sind die Risiken dieser Studie?

Proben von Deinem Blut und Knochenmark (und im Falle von JMML eine Hautbiopsie oder ein Abstrich der Mundschleimhaut) werden ohnehin für Routineuntersuchungen entnommen, um eine genaue Diagnose und daraus die beste Behandlung für Dich festzulegen. Auf Grund der Studienteilnahme gibt es für Dich keine zusätzlichen Risiken.

Was ist der Nutzen bei einer Studienteilnahme?

Der direkte Nutzen für Dich als Studienteilnehmer liegt in einem standardisierten Diagnostikverfahren, Zugang zu Diagnostik in Referenzlaboren und in einer standardisierten Therapieempfehlung. Die Ergebnisse dieser Studie werden in Zukunft anderen Patienten mit Deiner gleichen Erkrankung zu Gute kommen. Es gibt keine finanziellen Entschädigungen für eine Studienteilnahme.

Was sind die Kosten?

Die zusätzlichen Untersuchungen an Blut und Knochenmark im Rahmen der Studie werden keine zusätzlichen Kosten verursachen. Deine Eltern oder Deine Krankenversicherung werden für die Routineuntersuchungen bezahlen, als ob Du nicht an der Studie teilnehmen würdest.

Was sind Deine Rechte als Studienteilnehmer?

Die Studienteilnahme ist freiwillig. Du kannst die Studienteilnahme verweigern oder jederzeit aus der Studie aussteigen. Das Verlassen der Studie wird keine Nachteile haben. Wir werden jede neue Information, die Deine Studienteilnahme beeinflussen könnte, an Dich weitergeben.

Was bedeutet Vertraulichkeit und Datenschutz in der Studie?

Vertraulichkeit wird während der gesamten Studiendauer gewahrt. Proben die zu Forschungszwecken in Laboren außerhalb der regionalen Referenzlabore bearbeitet werden, werden durch eine Nummer und nicht durch den Namen identifiziert. Informationen, die zu einer Identifizierung führen können, befinden sich in der Studienzentrale in Freiburg. Diese Daten sind nur für Fachleute im Rahmen der wissenschaftlichen Tätigkeit zugänglich. Veröffentlichungen von Ergebnissen dieser Studie erfolgen ohne Nennung Deines Namens.

Alle Personen, die Einblick in die gespeicherten Daten haben, unterliegen der beruflichen Schweigepflicht und dem Datenschutzgesetz. Deine Entscheidung über die Verarbeitung und Weitergabe von Daten ist freiwillig und wird keinen Einfluss auf Deine Behandlung haben. Du kannst Dein Einverständnis jederzeit widerrufen. Auf Anfrage können wir Dir darlegen, welche Daten gesammelt werden.

Wir bitten Dich um Dein Einverständnis, dass von Dir personenbezogene Daten (Name, Geburtsdatum, Wohnort, Diagnose mit Befunderhebung, Therapieform und -verlauf und andere medizinische Daten) verarbeitet werden (Speicherung, Übermittlung, Veränderung, Löschen). Das Verarbeiten der Daten dient der medizinischen Dokumentation im Rahmen der Zusammenarbeit mehrerer Kliniken, um eine bessere Erarbeitung der Diagnose und eine Überwachung der Therapie in den einzelnen Kliniken zu gewährleisten. Eine solche Dokumentation ist daher als wichtiges Hilfsmittel einer zeitgemäßen Behandlung anzusehen. Am Ende dieser Aufklärung findest Du die Stellen, an die die Daten übermittelt werden. Zusätzlich erfolgt eine Meldung an das jeweils zuständige Landeskrebsregister.

Bei einem sekundären MDS, z.B. beim Auftreten von MDS nach einer anderen bösartigen Erkrankung, werden Daten von der Erstbehandlung erhoben. Dazu wird das Studienzentrum der ersten Behandlung (meist eine Therapieoptimierungsstudie) kontaktiert und von dort Daten erfragt. Für diese Abfrage bitten wir ebenfalls um Dein Einverständnis. Details zur betreffenden Therapieoptimierungsstudie findest Du am Ende dieser Aufklärung.

Was gibt es zu ethischen Fragen?

Diese Studie wurde der zuständigen Ethikkommission vorgelegt und von ihr positiv bewertet und genehmigt. Die ethischen Prinzipien der Deklaration von Helsinki (Weltärztebund) und der Guten Klinischen Praxis werden eingehalten.

Welche anderen Optionen gibt es?

Du kannst die Studienteilnahme verweigern. Du wirst weiterhin wegen Deiner Erkrankung an diesem Zentrum behandelt, auch wenn Du nicht an der Studie teilnimmst.

Wen kann ich bei Fragen kontaktieren?

Für Fragen zur Studie kannst Du Deinen behandelnden Arzt oder die Studienzentrale in Freiburg kontaktieren.

_____ in _____
(Name und Adresse/ Tel.Nr. des behandelnden Arztes einfügen)

Namen und Adressen der Referenzzentren und des koordinierenden Studienzentrums

EWOG-MDS 05 Studienzentrale: (Koordinierendes Studienzentrum)	Prof. Dr. C. Niemeyer Zentrum für Kinderheilkunde und Jugendmedizin Klinik IV: Pädiatrische Hämatologie und Onkologie Mathildenstr. 1, 79106 Freiburg Tel. Nr. 0761-270-4506
Referenzzentrum für Pathologie:	PD Dr. I. Baumann Institut für Pathologie im Klinikum Bayreuth Preuschwitzer Str. 101, 95445 Bayreuth
Referenzzentrum für Zytogenetik:	Prof. Dr. B. Schlegelberger Institut für Zell- und Molekularpathologie Medizinische Hochschule Hannover Carl-Neuberg-Str. 1, 30625 Hannover
Referenzzentrum für Molekulargenetik/ Zytomorphologie:	Prof. Dr. C. Niemeyer Zentrum für Kinderheilkunde und Jugendmedizin Klinik IV: Häm./Onk. Forschungslabor Mathildenstr. 1, 79106 Freiburg
Deutsche Kinderkrebsregister:	Dr. P. Kaatsch Deutsches Kinderkrebsregister Institut für Medizinische Biometrie, Epidemiologie und Informatik (IMBEI) Johannes Gutenberg Universität Mainz 55101 Mainz

Studienzentralen der Therapieoptimierungsstudien

Falls zutreffend wird bei sekundärem MDS die entsprechende primäre Studie markiert.

	Studienname	Studienleiter	Studienzentrale (Ort)
	ALL-BFM 2000	Prof. Dr. M. Schrappe	Kiel
	COALL-07-03	Prof. Dr. G. Janka-Schaub	Hamburg
	ALL-REZ BFM 2002	Prof. Dr. G. Henze	Berlin
	AML-BFM 2004	Prof. Dr. U. Creutzig	Hannover
	CML-päd 95/96	Prof. M. Suttorp	Dresden
	GPOH HD-95	Dr. W. Dörffel	Berlin-Buch
	HD 2002-Pilot	Prof. Dr. D. Körholz	Leipzig
	NHL-BFM ALCL 99 ALCL Relapse EURO-LB 02 B-NHL BFM Rituximab B-NHL BFM 04	Prof. Dr. A. Reiter	Gießen
	HIT 2000	Dr. S. Rutkowski	Würzburg
	HIT-REZ 97	Prof. Dr. U. Bode	Bonn
	Kraniopharyngeom 2000 HIT-ENDO	PD Dr. H. Müller	Oldenburg
	HIT-GBM-D	Fr. Dr. Wagner	Regensburg
	CPT-SIOP-2000	Fr. Dr. Wagner	Regensburg
	SIOP-LGG 2004	Fr. Dr. A. Gnekow	Augsburg
	EURO-E.W.I.N.G. 99	Prof. Dr. H. Jürgens	Münster
	HB 99	Prof. Dr. D. v. Schweinitz	München
	LCH-III	Prof. Dr. H. Gadner	Wien
	MAKEI 96 / (Teratoma 96) SIOP CNS GCT 96 MAHO 98	Prof. Dr. U. Göbel / Fr. Dr. G. Calaminus	Düsseldorf
	MET 97	Prof. Dr. P. Bucsky	Lübeck
	NPC-2003-GPOH	PD Dr. R. Mertens	Aachen
	SIOP 2001/GPOH	Prof. Dr. N. Graf	Homburg/ Saar
	NB 2004	Prof. Dr. F. Berthold	Köln
	EURAMOS 2005	Prof. Dr. S. Bielack	Stuttgart
	CWS-2002 Pilot	Prof. Dr. E. Koscielniak	Stuttgart
	CWS-IV 2002	Prof. Dr. T. Klingebiel	Frankfurt
	SAA 94	Fr. Dr. M. Führer	München
	Thal-99	Prof. Dr. E. Kohne	Ulm