

**Duchenne -Muskeldystrophie: Randomisierte Doppelblindstudie zur Ermittlung
der optimalen Steroidbehandlung
(FOR-DMD)**

Informationsmerkblatt für Eltern und Einwilligungserklärung

Studienleitung:

Robert C. Griggs, MD
University of Rochester
Department of Neurology
265 Crittenden Blvd, CU 420669
Rochester, NY 14642-0669

Co-Studienleitung:

Kate Bushby, MD
Institute of Genetic Medicine
International Centre for Life
Central Parkway
Newcastle upon Tyne
NE1 2BZ, UK

Patientendaten:		Prüfzentrum (Klinik/Abteilungsstempel):
Patienten-Identifikationsnummer	<input type="text"/> <input type="text"/> <input type="text"/> <input type="text"/> <input type="text"/>	
Name des Patienten		
Geburtsdatum (TT/MM/JJ)	<input type="text"/> <input type="text"/> <input type="text"/>	

Einleitung

Ihnen wurde angeboten, dass Ihr Kind an der klinischen Prüfung (Studie FOR DMD) teilnehmen kann. Bevor Sie über die Teilnahme entscheiden, ist es wichtig für Sie und Ihr Kind zu verstehen, warum diese Studie durchgeführt wird und was sie beinhaltet. Bitte nehmen Sie sich Zeit, um die folgenden Informationen sorgfältig zu lesen und besprechen Sie alle Fragen mit Ihrem Studienarzt. Ihr Kind erhält ebenfalls ein Informationsblatt. Um mehr Informationen über die Studie zu erhalten, können Sie die Webseite (www.clinicaltrials.gov) besuchen.

Wenn Sie sich entscheiden, dass Ihr Kind an dieser Studie teilnehmen sollte, bitten wir Sie, die Einverständniserklärung zu unterschreiben. Erst wenn alle Unterschriften (von beiden

Erziehungsberechtigten) vorliegen, kann Ihr Kind Studienmedikation erhalten und können studienspezifische Maßnahmen durchgeführt werden. Sie erhalten eine unterschriebene Kopie der Einwilligungserklärung für Ihre Unterlagen. Darin enthalten sind alle wichtigen Informationen zur Studie, sowie Telefonnummern. Sie sollten die Kopie während der gesamten Studiendauer gut aufbewahren. Ihr Kind erhält zudem auch einen Studenausweis, den es immer bei sich tragen soll, damit erkennbar ist, dass es an einer klinischen Studie teilnimmt und Studienmedikation erhält.

Was ist die FOR DMD-Studie?

Wie Sie wissen, leiden Jungen mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) an einer fortschreitenden Muskelschwäche. Kortikosteroide sind derzeit die einzigen Medikamente, die nachweislich die Muskelkraft bei Jungen mit DMD erhöhen. Dies äußert sich darin, dass bei diesen Kindern die Gehfähigkeit über einen längeren Zeitraum erhalten bleibt. Zudem wirken diese Medikamente einer Verringerung von Wirbelsäulenschäden sowie Atemproblemen entgegen und stellen einen möglichen Schutz vor der Entstehung von Herzproblemen dar. Leider gibt es noch keine einheitliche Regelung für die Verschreibung von Kortikosteroiden.

Ihr Prüfarzt / die Ärzte am Prüfzentrum führen diese Studie in Kooperation und im Auftrag des United States National Institutes of Health (NIH)/ USA durch.

Die FOR DMD-Studie vergleicht drei mögliche Therapievarianten für Kortikosteroide an Jungen mit DMD. Mit den Erkenntnissen zur Studie soll die bestmögliche Therapie gefunden werden, um die Muskelkraft zu erhöhen und die geringsten Nebenwirkungen zu verursachen. Es kann sein, dass Ihr Kind von dieser Studie nicht direkt profitiert, aber der Krankheitsverlauf Ihres Kindes wird intensiver als sonst überwacht. Eventuell kann auch aus den Erkenntnissen dieser Studie zukünftig anderen Kindern mit DMD geholfen werden.

Warum wird meinem Kind die Teilnahme an der Studie angeboten?

Ihrem Kind wird die Teilnahme angeboten, weil es die Erkrankung Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) hat, im entsprechenden Alter ist und weil es eine der DMD-Kliniken in Deutschland besucht, die an dieser Studie teilnehmen. Unser Ziel ist es, 300 Jungen mit DMD an 40 Standorten in fünf Ländern für diese Studie zu rekrutieren. Teilnehmende Länder sind USA, Kanada, England, Deutschland und Italien.

Muss mein Kind teilnehmen?

Die Teilnahme an dieser Studie ist freiwillig. Wenn Sie sich entscheiden, dass Ihr Kind an dieser Studie teilnehmen sollte, werden Sie gebeten, die Einverständniserklärung zu

unterschreiben. Auch Ihr Kind wird gebeten, falls es alt genug ist, ein Einwilligungsförmular zu unterschreiben. Wenn Sie nicht möchten, dass Ihr Kind an der Studie teilnimmt, wird die zukünftige Behandlung dadurch nicht beeinträchtigt und Sie können Alternativen für die medizinische Versorgung mit dem Prüfarzt besprechen.

Wie lange dauert die Studie?

Die Studie ist für ca. 5 Jahre Gesamtbehandlungsdauer geplant. Die Gesamtzeit, die Ihr Kind in dieser Studie bleibt, hängt davon ab, zu welchem Zeitpunkt es in die Studie eingeschlossen wurde. Die Dauer der Studienbehandlung kann somit zwischen 36 Monaten (drei Jahre) und maximal 60 Monaten (fünf Jahre) schwanken. Die Kinder, die zuerst die drei Behandlungsjahre abschließen, nehmen auch weiterhin das Studienmedikament ein, solange bis alle Teilnehmer die 36-monatige Behandlungszeit abgeschlossen haben.

Was ist eine multizentrische, randomisierte Doppelblindstudie?

FOR DMD ist eine internationale, multizentrische Doppelblindstudie. Die Studie wird an mehreren Krankenhäusern (Zentren) in Deutschland und im Ausland durchgeführt.

In dieser Studie gibt es 3 Studienarme (Therapiearme). Ihr Kind wird an einem der Therapiearme teilnehmen.

- 1) Prednison durchgehend eingenommen
- 2) Variante der Prednisoneinnahme
- 3) Deflazacort durchgehend eingenommen

Da wir die beste Behandlung derzeit nicht kennen, müssen wir vergleichen. Damit der Vergleich fair und nicht durch subjektive Eindrücke verfälscht wird, werden die Patienten nach dem **Zufallsprinzip** in die unterschiedlichen Therapiearme eingeteilt. Im Fall von FOR DMD wird ein zentraler Computer entscheiden, welchem Therapiearm Ihr Kind zugeteilt wird. Weder ihr Arzt noch Sie wissen, in welchem Studienarm sich Ihr Kind befindet. Eine solche Studie nennt man '**doppelverblindet**'.

Alle Studienteilnehmer erhalten ganz sicher eine Therapie mit einem Wirkstoff (d.h. Prednison oder Deflazacort). Ihr Kind erhält die Studienmedikation gewichtsangepasst und alle Studienteilnehmer erhalten zudem auch eine ähnliche Anzahl an Tabletten. Um die unterschiedlichen Therapiearme nicht sofort zu erkennen, enthalten einige wenige Tabletten im Studienarm 2 (= Variante der Prednisoneinnahme) keinen Wirkstoff.

Welches sind die Medikamente, die in der FOR DMD-Studie verwendet werden?

Die Kortikosteroide, die in dieser Studie verwendet werden, sind Prednison und Deflazacort. Beide haben in früheren Studien gezeigt, dass sie sich positiv auf die Muskelkraft bei Jungen mit DMD auswirken. Diese Studie wird drei Möglichkeiten der Einnahme von Kortikosteroiden (in Tablettenform) vergleichen:

1. Prednison 0,75 mg/kg/Tag
2. Prednison 0,75 mg/kg/Tag, abwechselnd 10 Tage mit Behandlung und 10 Tage ohne Behandlung
3. Deflazacort 0,9 mg/kg/Tag

Alle drei Dosierungen werden bei DMD eingesetzt und haben sich als vorteilhaft erwiesen. Ihr Kind wird gebeten, gewichtsabhängig zwischen zwei und sechs Tabletten jeweils morgens mit Wasser oder einem anderen Getränk einzunehmen. Ihr Kind wird die zugewiesene Studienmedikation zwischen 36 und 60 Monate einnehmen. Die Therapiedauer richtet sich nach dem Zeitpunkt, zu dem Ihr Kind in die Studie aufgenommen wurde. Die Dosierung des Studienmedikaments (Anzahl Tabletten), die Ihr Kind einnehmen wird, kann bei jedem Besuch, je nach Körpergewicht, neu eingestellt werden. Wenn bei Ihrem Kind Nebenwirkungen aufgrund des Studienmedikaments auftreten, kann der Prüfarzt entscheiden, das Studienmedikament abzusetzen oder zu reduzieren. Weitere Informationen zur genauen Einnahme der Medikation erhalten Sie bei Studienteilnahme. Hierzu wird Ihnen ein eigenes Informationsblatt mit Medikationshinweisen ausgehändigt.

Was passiert wenn ich zustimme, dass mein Kind teilnimmt und welche Tests werden an ihm durchgeführt?

Der Studienablauf gliedert sich in verschiedene Besuchsabschnitte: Vorbesuch/ -e, Baseline Visite (d.h. eigentlicher Beginn der Studientherapie), weitere Folgebesuche und die Nachbeobachtung.

1) Vorbesuch (Screening):

Wenn Ihr Kind für die Studie geeignet scheint, werden wir Sie und Ihr Kind bitten, für einen Screening-Besuch (Vorbesuch) ins Krankenhaus zu kommen. Der Screening-Besuch dauert zwischen vier und fünf Stunden. Der Gesundheitszustand Ihres Kindes wird sorgfältig überprüft um sicherzustellen, dass es alle notwendigen Voraussetzungen erfüllt, um an dieser Studie teilzunehmen. Da hierfür zahlreiche Untersuchungen / Tests durchgeführt werden müssen, kann sich der Prozess bis zu drei Monate hinziehen und es könnten

eventuell mehrere Besuche (bis zu drei) hierfür nötig sein. Während des Vorbesuchs wird Ihr Kind zusätzlich zu den Untersuchungen gebeten, einige Testtabletten (ohne Wirkstoff) zu schlucken, um sicherzustellen, dass es später in der Lage ist, das Prüfmedikament zu schlucken.

Die folgenden Untersuchungen/Tests werden durchgeführt:

- Körperliche Untersuchung (z. B. Größe, Gewicht, Körperumfang, Blutdruck, Puls)
- Befragung nach Vorerkrankungen
- Befragung zur Einnahme von Medikamenten und Vitaminen und Nahrungsergänzungsmitteln
- Blut- und Urinprobe für Routinelabor (Sicherheitslabor), Vitamin D, Knochenmarker
- Motorik-Test (Springen, Hüpfen, Zeit, um aus dem Liegen aufzustehen, Sprunggelenksbeweglichkeit usw.) Sechs-Minuten-Gehtest (6MWT). Die Studienmitarbeiter werden Ihr Kind bitten, zwischen den Markierungen auf dem Boden hin und her zu gehen, um zu sehen, wie weit es in sechs Minuten gehen kann.
- Physiotherapeutische Bewertung und Beratung
- Lungenfunktionstest. Hierbei werden die Studienmitarbeiter Ihr Kind bitten, so kräftig wie möglich in ein Röhrchen zu pusten.
- Augenuntersuchung
- Herz-Funktionstests - EKG und Echo. Diese Tests werden durchgeführt, um die Größe und Form des Herzens Ihres Kindes zu überprüfen.

Alle Untersuchungen / Tests werden Ihnen noch vor Ort genau erklärt. Die meisten sind Teil der aktuellen Behandlungsempfehlungen bei DMD und daher sollten Sie und Ihr Kind damit bereits vertraut sein. Wenn der Vorbesuch abgeschlossen ist und Ihr Kind in die Studie passt, wird es eines der drei oben beschriebenen Behandlungen mit dem Studienmedikament bekommen. Sie werden dann gebeten, zur Baseline-Visite wiederzukommen.

2) Baseline-Visite:

Dieser Besuch dauert drei bis vier Stunden.

Zusätzlich zu den bereits im Vorbesuch durchgeführten Untersuchungen / Tests werden noch durchgeführt:

- Blutprobe, Vitamin D, Knochenmarker mit einer Gesamtmenge von ca. 20-25 ml (etwa 2 Esslöffel) und optional zusätzlich Blut für Biobank (siehe Unterschrift zur Substudie).

- Untersuchung von Gesicht und Oberkörper auf Schwellungen (Nebenwirkung von Kortikosteroiden)
- Überprüfung von Ernährung und Verhalten
- Ausfüllen von Fragebögen zur Lebensqualität / PedsQL-Fragebögen (Dauer ca. 10 min.) und vier Verhaltens-Fragebögen (PARS-III, Iowa Conners, Fragebögen zu Stärken und Schwächen und überarbeitete Rutter-Skala). Falls Ihr Kind schon in der Lage ist, wird auch Ihr Kind gebeten einen kurzen Fragebogen zur Lebensqualität auszufüllen.

Am Ende der Baseline-Visite wird der Prüfarzt Ihnen das Studienmedikament geben und erklären, wie das Medikament eingenommen werden soll.

3) weitere Studienbesuche (Folgebesuche):

Drei Monate später findet ein weiterer Besuch (1. Folgebesuch) statt. Alle weiteren Besuche werden dann alle sechs Monate angesetzt. Insgesamt sind 6-10 weitere Besuche vorgesehen, d. h. Ihr Kind kommt für mindestens 36 Monate (sechs weitere Besuche) bis maximal 60 Monate in die Klinik (10 weitere Besuche), je nachdem wie früh Ihr Kind mit der Studie beginnt.

Da alle medizinischen Untersuchungen / Therapien während des Studienbesuchs durchgeführt werden, benötigt Ihr Kind während der Studienteilnahme keine zusätzlichen Krankenhaustermine.

Bei jedem Besuch kann die Dosierung des Studienmedikaments (d.h. Anzahl der Tabletten), neu eingestellt werden. Am Ende jedes Besuchs wird der Prüfarzt die angepasste Dosierung der Studienmedikation bestellen und die Studienmedikation wird Ihnen einige Tage später direkt nach Hause geliefert. Selbstverständlich erhalten Sie einen Vorrat des Studienmedikaments bis die neue Lieferung bei Ihnen zu Hause eintrifft. Sie werden gebeten, die Studienmitarbeiter zu informieren, wenn Sie die Lieferung erhalten haben. Der neue Medikamentenvorrat soll erst dann angebrochen werden, wenn der alte Medikamentenvorrat bereits verbraucht wurde. Sie werden gebeten, bei jedem Besuch alle benutzten und unbenutzten Tablettenboxen der Studienmedikation an die Studienmitarbeiter zurückzugeben.

4) Drei-Monats-Follow-up-Besuch (1. Nachbeobachtung):

Dieser Besuch dauert zwischen zwei und drei Stunden. Alle Tests, die bei der Baseline-Visite durchgeführt wurden, werden wiederholt. Darüber hinaus werden Sie aufgefordert,

einen Fragebogen auszufüllen, der zeigen soll, wie zufrieden Sie mit der Behandlung Ihres Kindes sind. Die Studienmedikation Ihres Kindes wird überprüft und die Dosierung kann, basierend auf seinem Gewicht oder aufgrund von Nebenwirkungen angepasst werden. Alle Änderungen werden Ihnen erklärt.

5) Sechs-Monats-Follow-up-Besuche: weitere Nachbeobachtung nach 6, 12, 18, 24, 30, 36, 42, 48 und 60 Monaten

Diese Besuche dauern zwischen zwei und drei Stunden. und laufen gemäß des Drei-Monats-Follow-up-Besuch ab.

Zusätzliche Tests:

Jährlich werden zusätzlich die folgenden Tests durchgeführt:

- Augenuntersuchung
- Blutentnahme für Routinelabortests (Sicherheitslabor) und Vitamin D-Spiegel und Knochenmarker mit einer Gesamtmenge von ca. 20-25 ml (etwa 2 Esslöffel) und optional zusätzlich Blut für Biobank
- Urinprobe
- Ausfüllen des Fragebogens zur Lebensqualität.
- Die Herzfunktionstests, die bei der Baseline Visite durchgeführt wurden, werden alle zwei Jahre wiederholt, bis Ihr Kind 10 Jahre alt ist. Danach erfolgen Sie jährlich. Bei dem 36-Monats-Follow-up werden Sie gefragt, in welchem Behandlungsarm Ihrer Meinung nach Ihr Kind ist.

Anrufe zwischen den Besuchen:

In den ersten sechs Monaten ruft der Prüfarzt / medizinisches Studienpersonal zwischen den Besuchen einmal im Monat, später alle drei Monate bei Ihnen an, um zu hören, ob es Ihrem Kind gut geht und es das Studienmedikament regelmäßig ohne Beschwerden einnimmt.

Videoüberwachung:

Bei einigen Studienbesuchen wird der Arzt Sie bitten, Ihr Kind während verschiedener Funktionstests (z.B. des 6-Minuten-Gehtests) mit einer Videokamera filmen zu dürfen. Diese Aufnahmen werden für qualitative Studienzwecke genutzt, um sicherzustellen, dass die Beurteilungen zuverlässig durchgeführt wurden. Die Aufnahmen werden streng vertraulich behandelt, wie alle anderen Studiendaten. Für die Videoüberwachung benötigen wir Ihre Erlaubnis und die Zustimmung Ihres Kindes. Die Teilnahme an der Videoüberwachung ist

freiwillig. Ihr Kind kann dennoch an der Studie teilnehmen, auch wenn Sie keine Erlaubnis für die Videoüberwachung geben.

Substudie Biobank

Ein optionaler Teil der FOR DMD-Studie beinhaltet die Entnahme von Blutproben für eine Begleitstudie (Substudie Biomaterialbank). Die EuroBioBank (www.eurobiobank.org) ist ein europäisches Netzwerk von 'Banken' zur Lagerung von biologischem Material (z.B. Blut) von Patienten mit seltenen Krankheiten für Forschungszwecke. Bitte beachten Sie dazu die eigene Patienteninformation und Einwilligungserklärung Biomaterialbank „Substudie- For DMD“. Die Teilnahme zur Substudie 'Biobanking' ist ebenfalls freiwillig und zusätzlich. Auch wenn Ihr Kind nicht an der Substudie Biobanking teilnimmt, kann Ihr Kind weiterhin an der Hauptstudie teilnehmen.

Muss ich irgendwelche Tests während der Studie machen?

Nur die Jungen, die an der Studie teilnehmen, durchlaufen die oben beschriebenen klinischen Tests. Aber wir werden Sie bitten, Fragebögen zur Lebensqualität, Zufriedenheit mit der Behandlung und zum Verhalten Ihres Kindes und seiner Stimmung auszufüllen.

Was geschieht mit den Blutproben und Videoaufnahmen meines Kindes nach Studienende?

Die Blutproben werden nur für studienspezifische Zwecke benutzt und mögliches Restmaterial wird vernichtet. Die Videoaufnahmen werden nur für Studienzwecke benutzt und nach Abschluss der Studie zusammen mit den übrigen Studiendaten landesspezifisch archiviert.

Andere Medikamente

Gleich zu Beginn sollten Sie die Studienmitarbeiter über alle verschreibungspflichtigen und nicht verschreibungspflichtigen Medikamente, Nahrungsergänzungsmittel, Vitamine und Reformkost, die Ihr Kind zu sich nimmt, informieren. Lebendimpfstoffe sollten bei Patienten, die Kortikosteroide nehmen, nicht verabreicht werden. Nichtsteroidale entzündungshemmende Mittel sollten vermieden werden. Es gibt keine anderen spezifischen Einschränkungen von Medikamenten, die Ihr Kind während dieser Studie einnehmen kann. Jedoch können auch andere Medikamente mit Kortikosteroiden interagieren. Daher ist es wichtig, dass Sie alle Medikamente mitteilen-, die Ihrem Kind verschrieben wurden. Informieren Sie den Prüfarzt schnellstmöglich, wenn Ihr Kind mit einer neuen Medikation

beginnt (verschreibungspflichtig oder rezeptfrei) oder wenn es irgendwelche Änderungen bei der Dosierung seiner aktuellen Medikamente gibt. Falls Ihr Kind Nahrungsergänzungsmittel einnimmt, sollte deren Dosis während der gesamten Studie gleich bleiben.

Welche Risiken bestehen bei der Teilnahme an der Studie?

Wir wollen, dass Ihr Kind zu jeder Zeit in der Studie sicher ist. Die hier genannten Nebenwirkungen können, müssen jedoch nicht bei Ihrem Kind auftreten. Die wesentlichen Risiken betreffen die möglichen Nebenwirkungen von Kortikosteroiden. Die meisten dieser Nebenwirkungen sind sehr gut bekannt und werden sorgfältig in der gesamten Studie beobachtet. Einige dieser Nebenwirkungen können nur vorübergehend auftreten und sich wieder zurückbilden, aber jeder Mensch reagiert anders. Zum Beispiel können Kortikosteroide dazu führen, dass Ihr Kind an Gewicht zunimmt und dass sein Gesicht aufgedunsen erscheint. Sie können auch dazu führen, dass Knochen leichter brechen und das Wachstum verlangsamen. Das Verhalten Ihres Kindes kann sich ändern, es kann emotionaler und reizbarer werden und eventuell vorhandene Verhaltensauffälligkeiten können sich ändern (sie können sich verschlimmern oder verbessern). Andere mögliche Nebenwirkungen sind ein erhöhter Blutdruck, Magenverstimmung, Entwicklung von Augentrübungen und ein geschwächtes Immunsystem (erhöhte Infektionsanfälligkeit). Es kann zu Veränderungen der Haut kommen, wie übermäßiger Haarwuchs, Akne und verstärkten Blutergüssen. Wenn Ihr Kind krank wird oder eine Nebenwirkung auf das Studienmedikament zeigt, sollten Sie dies dem Prüfarzt umgehend mitteilen, sodass er Sie ausführlich beraten und falls nötig entsprechend behandeln kann. Ihr Kind erhält einen Studenausweis mit Angaben zu Gewicht und Medikamentendosis, eine „Ich nehme Steroide“-Karte, die Sie Ärzten im Notfall zeigen können.

Achtung: das plötzliche Absetzen einer Kortikosteroid-Behandlung kann gefährlich sein und Symptome verursachen wie Bauchschmerzen, Durchfall, Erbrechen, Muskelschwäche und Müdigkeit, extrem niedrigen Blutdruck, Funktionsstörungen der Nieren oder Veränderungen der Stimmung und der Persönlichkeit durch Nebenniereninsuffizienz. Wenn Ihr Kind das Studienmedikament aus irgendeinem Grund nicht regelmäßig nimmt, sollten Sie daher schnellstmöglich den Prüfarzt informieren. Wenn es notwendig wird, dass Ihr Kind die Einnahme der Studienmedikation abbrechen muss, gibt Ihnen der Prüfarzt Hilfestellung. Im Rahmen der Blutentnahme kann Ihr Kind Schmerzen und/oder Blutergüsse an der Einstichstelle bekommen. Falls gewünscht, kann vor der Blutentnahme eine Creme zur lokalen Betäubung aufgetragen werden, die dann Schmerzen an der Einstichstelle vermindert. In sehr seltenen Fällen kann sich ein Gerinnsel bilden, es können Infektionen an

der Einstichstelle auftreten, oder es kann zu bleibenden Nervenschädigungen kommen. Ihr Kind kann auch in sehr seltenen Fällen ohnmächtig werden. Die Studienmitarbeiter sind darauf geschult und können Ihnen jederzeit helfen. Die Studienmedikation darf NUR von Studienteilnehmern eingenommen werden. Bitte achten Sie darauf, die Tabletten außerhalb der Reichweite von Kindern oder Menschen, die Probleme beim Lesen oder Verstehen schriftlicher Anweisungen haben, aufzubewahren. Die Verwendung des Studienmedikaments durch Personen, die nicht sorgfältig voruntersucht wurden, kann gefährlich sein. Es ist wichtig, dass Sie den Prüfarzt über alle Auffälligkeiten informieren, auch wenn sie leicht sind, oder wenn Sie denken, dass sie nicht mit der Studienmedikation in Zusammenhang stehen.

Gibt es Vorteile durch die Teilnahme an der Studie?

Möglicherweise gibt es keinen direkten Vorteil durch die Teilnahme an dieser Studie. Aber die potenziellen Vorteile für Ihr Kind durch die Teilnahme an dieser Studie sind eine engmaschige Überwachung durch einen Spezialisten für Muskelerkrankungen. Die aus dieser Studie gewonnenen Erkenntnisse können bei der zukünftigen Behandlung von DMD helfen. Dies kann aber evtl. nicht von unmittelbarem Nutzen für Sie/Ihr Kind sein.

Welche anderen Optionen gibt es?

Ihrem Kind kann Prednison oder Deflazacort ohne Teilnahme an dieser Studie verordnet werden. Wenn Ihr Kind nicht an dieser Studie teilnimmt, wird es weiterhin wie bisher medizinisch betreut. Sie können auch mit dem Prüfarzt andere Behandlungen oder klinische Studien besprechen, die verfügbar sind oder verfügbar werden könnten.

Was ist, wenn neue Informationen verfügbar werden?

Manchmal werden im Verlauf einer Studie neue Informationen verfügbar. Wir werden Sie über alle im Verlauf der Studie neu gewonnenen Erkenntnisse informieren, die Ihre Bereitschaft oder die Ihres Kindes zur Teilnahme an dieser Studie beeinflussen könnten.

Was passiert mit den Ergebnissen der Studie?

Die Erkenntnisse aus dieser Studie werden wir in medizinischen Fachzeitschriften veröffentlichen und auf Kongressen vorstellen, um sie an Angehörige der Gesundheitsberufe, Familien mit DMD-Jungen und Menschen und Organisationen, die mit Jungen mit DMD arbeiten, weiterzugeben. Die Ergebnisse dieser Studie werden Ihnen in verständlicher Sprache zur Verfügung gestellt. Die Ergebnisse werden auch an die Organisation, die die Untersuchung finanziert, gesendet werden.

Muss mein Kind in der Studie bleiben?

Ihr Kind kann jederzeit ohne Angabe von Gründen aus der Studie austreten. Dies hat keine Auswirkungen auf die weitere Behandlung. Es kann die Einnahme der Studienmedikation jederzeit nach Absprache beenden. Teilen Sie dies Ihrem Prüfarzt frühzeitig mit. Er wird Ihnen dann sagen, was zu tun ist.

Wenn Ihr Kind die Studientherapie beendet, erhält es keine FOR DMD-Studienmedikation mehr. Es kann aber weiterhin Kortikosteroide (Prednison oder Deflazacort) von Ihrem Arzt auf Rezept erhalten und auch noch an den Nachbeobachtungen (Follow-up Visiten) teilnehmen. Bitte beachten Sie: In keinem der Fälle sollte das Studienmedikament plötzlich abgesetzt werden. Wenn das Studienmedikament aus irgendeinem Grund abgesetzt werden muss, wird der Prüfarzt Ihnen Anweisungen geben, wie Sie es absetzen können.

Gibt es noch andere Umstände für eine Beendigung?

Der Prüfarzt kann entscheiden, dass es aus medizinischen Gründen notwendig ist, die Teilnahme an der Studie zu beenden. Er wird Ihnen die Gründe erläutern und dafür sorgen, dass die Routinebehandlung Ihres Kindes weitergeht. Ihr Kind kann auch von der Studie ausgeschlossen werden, wenn es die Anordnungen des Prüfarztes nicht befolgen kann. Die zuständigen Aufsichtsbehörden könnten die Studie abbrechen, wenn die Sicherheit der Teilnehmer gefährdet scheint. Wenn die Studie gestoppt wird, werden wir Sie darüber informieren.

Was passiert, wenn die Studie für mein Kind beendet ist?

Beide Medikamente, die wir untersuchen, sind auf Rezept erhältlich und werden nach Ende der Studie weiterhin verfügbar sein. Ihr Arzt wird mit Ihnen die Medikation besprechen, die Ihrem Kind am Ende der Behandlungsdauer der Studie oder wenn die Untersuchung aus einem anderen Grund beendet wird, verschrieben werden soll. Nach Ende dieser Studie führen wir eventuell zusätzlich Anschlussstudien durch. Die Details werden Ihnen hierzu von Ihrem Prüfarzt mitgeteilt werden und Sie und ihr Kind werden möglicherweise gefragt, ob Sie bereit wären, teilzunehmen. Diese zusätzlichen Follow-up-Studien würden eine zusätzliche Einwilligung von Ihnen erfordern.

Wie hoch sind die Kosten für die Teilnahme und wie sieht es aus mit Auslagen und Zahlungen?

Während der Studienteilnahme wird das Studienmedikament kostenlos zur Verfügung gestellt. Alle Studientests und Untersuchungen sind für Ihr Kind ebenso kostenlos. Die meisten Studientests sind Teil der aktuellen Behandlungsstandards für Ihr Kind. Eine

Bezahlung für die Teilnahme an dieser Studie, sowie eine Fahrtkostenerstattung kann nicht erfolgen.

Wird jemand sonst wissen, dass mein Kind in dieser Studie ist?

Ihre Daten und die Daten Ihres Kindes werden streng vertraulich behandelt. Nur Schlüsselpersonen (Prüfarzt, medizinisches Studienpersonal und weitere autorisierte Personen) werden wissen, dass Ihr Kind Studienteilnehmer ist. Die Studiendaten und die medizinischen Unterlagen Ihres Kindes können auch von Vertretern der Aufsichtsbehörden und von autorisierten Personen angesehen werden, um zu überprüfen, ob die Studie korrekt durchgeführt wird. Alle Personen haben eine Verpflichtung zur Vertraulichkeit gegenüber Ihnen und Ihrem Kind als Untersuchungsteilnehmer. Personenbezogene Daten werden ausschließlich in Ihrer Klinik geführt und gemäß den nationalen gesetzlichen Bestimmungen in der Klinik archiviert. Außerdem versichern wir Ihnen, dass keinerlei personenbezogene Daten im Rahmen einer wissenschaftlichen Publikation veröffentlicht werden. Die Einhaltung der Bestimmungen der ärztlichen Schweigepflicht und des Datenschutzes sind gewährleistet. Mit Ihrer Erlaubnis lassen wir den Hausarzt Ihres Kindes und andere Angehörige der Gesundheitsberufe, die an seiner Behandlung beteiligt sind wissen, dass es an der Studie teilnimmt.

Wer organisiert und finanziert die Untersuchung?

Diese Studie wird von den National Institutes of Health (NIH), dem National Institute for Neurological Disorders and Stroke (NINDS) in den Vereinigten Staaten von Amerika (USA) finanziert. Die University of Rochester (USA) und die Universität Newcastle (GB) koordinieren die Studie in Zusammenarbeit mit einer Reihe von Krankenhäusern in Großbritannien, Europa, USA und Kanada.

Leiter der klinischen Prüfung für Deutschland ist PD Dr. Janbernd Kirschner, Klinik II: Neuropädiatrie und Muskelerkrankungen, Universitätsklinik Freiburg, Zentrum für Kinder und Jugendmedizin.

Wer hat die Studie geprüft?

Alle Forschungsstudien werden von einer unabhängigen Forschungsethikkommission geprüft, um die Sicherheit, die Rechte, das Wohlbefinden und die Würde Ihres Kindes zu schützen. Diese Studie wurde vom South Central - Southampton Research Ethics Committee geprüft und genehmigt. Diese Studie wurde außerdem von den zuständigen Ethikkommissionen und Behörden in Deutschland geprüft und genehmigt.

Ist mein Kind versichert und was passiert, wenn mein Kind durch die Teilnahme an dieser Studie geschädigt wird?

Ihr Kind ist während der Teilnahme an der FOR- DMD Studie versichert bei der

ECCLESIA mildenberger HOSPITAL GmbH

Klingenbergstr. 4

32758 Detmold

Telefon: +49 (0) 5231 603-6211

Telefax: +49 (0) 5231 603-606211

Wir haben für Ihr Kind zudem eine Wegeunfallversicherung abgeschlossen, d. h. Ihr Kind ist bei allen Wegen von und zum Prüfzentrum unfallversichert.

Bei allen Fragen, die mit der Studienmedikation in Zusammenhang stehen, wenden Sie sich zunächst direkt an Ihren Prüfarzt am Zentrum. Eine Kopie der Versicherungspolice kann Ihnen auf Wunsch ausgehändigt werden. Bitte wenden Sie sich an das Studienpersonal vor Ort, wenn Ihr Kind während dieser Studie irgendeinen Schaden erleidet, der mit der Studie im Zusammenhang stehen könnte. Im Falle von Notfallbehandlungen und Krankenhausaufenthalten außerhalb der Studie müssen Sie den Prüfarzt unverzüglich unterrichten. Ihrem Kind wird zu Beginn der Studienteilnahme ein Studienaussweis ausgehändigt, den Sie immer bei sich tragen und in Notfällen vorzeigen sollten.

Um Ihren Versicherungsschutz nicht zu gefährden, beachten Sie (bzw. Ihre Angehörigen) bitte folgendes:

- Halten Sie sich genau an die Anweisungen Ihres Prüfarztes und des Studienpersonals.
- Während der Dauer der klinischen Prüfung dürfen Sie sich einer anderen medizinischen Behandlung nur nach Rücksprache mit dem Prüfarzt unterziehen. Dies gilt selbstverständlich nicht für Notfälle, allerdings müssen Sie in diesem Fall unverzüglich Ihren Prüfarzt von der anderen Behandlung unterrichten.
- Zeigen Sie jede Gesundheitsschädigung, die als Folge der klinischen Prüfung eingetreten sein könnte, sofort dem Versicherer an, gegebenenfalls mit Unterstützung durch Ihren Prüfarzt.
- Im Schadensfall haben Sie alle zweckmäßigen Maßnahmen zu treffen, die der Aufklärung der Ursache und des Umfangs des eingetretenen Schadens sowie dessen Minderung dienen.
- Im Schadensfall sind alle behandelnden Ärzte zu ermächtigen, der Versicherungsgesellschaft auf deren Verlangen Auskunft zu erteilen.
- 30 Tage vor, während und 30 Tage nach der Durchführung der Studie dürfen Sie an keiner

anderen Studie teilnehmen, da sonst der Versicherungsschutz gefährdet ist.

Was, wenn ich noch weitere Fragen habe?

Sie haben stets die Gelegenheit zu weiteren Beratungsgesprächen, bitte wenden Sie sich dazu an Ihren Arzt in der Prüfstelle. Kontaktdaten siehe untenstehend.

Kontaktstelle

Es existiert auch eine Patientenkontaktstelle bei der zuständigen Bundesoberbehörde.

Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte

Kurt-Georg-Kiesinger-Allee 3

D-53175 Bonn

Fachgebiet Klinische Prüfung / Inspektionen

Telefon: 0228 / 207-4318

Fax: 0228 / 207-4355

E-Mail: klinpruefung@bfarm.de

Prüfstelle/ Prüfarzt vor Ort für Fragen (Kontaktdaten- bitte hier eintragen)

Name Prüfarzt:	
Telefonnummer:	
Klinik/ Abteilung:Adresse	