

Da stampare su carta intestata del centro

Distrofia muscolare di Duchenne: Trial randomizzato in doppio cieco per trovare il regime ottimale di steroidi (studio FOR-DMD)

Scheda informativa per bambini dai sei agli otto anni

Vorremmo che tu partecipassi allo studio FOR DMD.

Cos'è lo studio FOR DMD?

Questo studio vuole aiutare i medici a rispondere a una domanda molto importante: qual è il farmaco più utile per i bambini che, come te, hanno dei problemi ai muscoli (distrofia muscolare di Duchenne.).

Perché ti chiediamo di partecipare?

Noi vorremmo far partecipare a questo studio 300 bambini che si trovano in diverse parti del mondo (America, Canada, Europa...). Chiediamo anche a te se vuoi partecipare perché stai già effettuando delle visite in un ospedale che collabora a questo studio ed hai l'età giusta per partecipare.

Qualcun altro ha controllato che vada bene fare questo studio?

Prima di iniziare, lo studio è stato approvato dal Comitato Etico di questo Ospedale, cioè da un gruppo di esperti che garantisce che sia utile e giusto fare lo studio.

Devi per forza partecipare a questo studio?

La decisione se partecipare o meno allo studio è lasciata a te e ai tuoi genitori. Se decidi di non partecipare, nessuno si arrabbierà con te. I medici e gli infermieri che si occupano già di te continueranno a farlo come fanno ora. Anche ai tuoi genitori sono stati dati dei fogli che danno tutte le informazioni su questo studio affinché possiate scegliere insieme se partecipare o no.

Cosa accadrà se accetterai di partecipare allo studio?

Se parteciperai allo studio, ti chiederemo di fare alcune prove. Può essere che tu e i tuoi genitori conosciate già la maggior parte di queste prove perché potresti averle già fatte durante le visite che già fai. Tutti i bambini che partecipano a questo studio faranno le stesse prove. All'inizio dello studio, verrai in ospedale con i tuoi genitori un po' più spesso rispetto a quanto faresti se non partecipassi allo studio e la prima volta che verrai ci vorrà un po' più di tempo perché discuteremo dello studio per essere sicuri che tu sia veramente d'accordo a partecipare allo studio.

Quando verrai in ospedale per lo studio, faremo a te e ai tuoi genitori alcune domande per sapere come stai e quali farmaci stai prendendo. In alcune visite esamineremo la tua pelle e i tuoi occhi. A volte ti chiederemo di fare la pipì in un contenitore e ti preleveremo un po' di sangue dal braccio per fare delle analisi; per ridurre il dolore durante il prelievo,

potremo mettere una crema sul braccio. Ti faremo delle domande su cosa fai, cosa mangi e bevi .



Ti chiederemo di fare alcune prove come alzarti in piedi dalla posizione sdraiata dal pavimento, di camminare per sei minuti avanti ed indietro lungo un corridoio per misurare quanti metri riuscirai percorrere.



Controlleremo come funzionano i tuoi polmoni.



Controlleremo come funziona il tuo cuore.



Faremo delle radiografie, cioè delle specie di fotografie, alle tue ossa del polso e di tutto il tuo corpo



Controlleremo che tu riesca a deglutire cioè mandare giù le compresse che dovrai prendere ogni mattina, dopo la colazione, per tutta la durata dello studio. Per fare questa prova ti daremo delle compresse finte, cioè che non contengono il farmaco.



Ti sarà anche chiesto di rispondere, con l'aiuto dei tuoi genitori, su dei questionari, ad alcune domande su come ti senti. Anche i tuoi genitori risponderanno ad alcune domande su di te. sui loro questionari.

Se parteciperai allo studio, dovrai prendere il farmaco dello studio ogni mattina dopo colazione. Noi durante le visite controlleremo come stai e che effetti ha il farmaco su di te. Se ti dovessi sentire poco bene o avvertire dei fastidi, ti chiediamo di dirlo subito ai tuoi genitori e al medico dello studio, così potremo aiutarti.

Ti darà problemi il farmaco?

Non sappiamo come starai e come ti sentirai mentre prendi il farmaco dello studio, ma se ti provocherà problemi, il medico dello studio potrebbe sospenderlo e continuerà a curarti nel miglior modo possibile.

Ti aiuterà partecipare a questo studio?

Non possiamo prometterti che lo studio ti aiuterà, ma le informazioni che otterremo dallo studio potranno essere utili per sapere come trattare in futuro altri bambini che come te hanno questi problemi ai muscoli.

Che cosa succederà alla fine della ricerca?

Una volta terminato lo studio utilizzeremo i risultati ottenuti per curarti nel miglior modo possibile.

Cosa succede se qualcosa non va bene durante lo studio?

Se questo dovesse succedere, potremmo dirti di interrompere il farmaco dello studio, e sapere esattamente quali farmaci hai assunto. Decideremo poi il modo migliore di curarti

Qualcun altro saprà della tua partecipazione allo studio FOR DMD?

I medici e gli infermieri del reparto sapranno se parteciperai allo studio, e sarebbe opportuno che anche il tuo pediatra di base sapesse che stai partecipando. Tuttavia sappi che nello studio ti sarà assegnato un codice fatto di numeri e lettere e i ricercatori dello studio utilizzeranno questo codice nello studio invece di usare il tuo nome

Cosa accadrà se non vorrai più partecipare allo studio?

Puoi decidere di non fare più parte dello studio in qualsiasi momento, sarà sufficiente che tu lo dica ai tuoi genitori oppure direttamente ai medici o agli infermieri dello studio. Nessuno si arrabbierà con te ed il medico continuerà ad curarti nel miglior modo possibile.

Cosa fare se avrai delle domande da fare?

Se hai delle altre domande, adesso o anche in qualunque altro momento, non aver paura di chiedere. I medici dello studio sono disponibili ad ascoltare le tue domande per tutta la durata dello studio e ciò non gli dispiacerà. Se vuoi, potrai scrivere le domande su un foglio di carta e portarlo con te al primo controllo previsto e noi ti daremo le risposte.