

LETTRE D'INFORMATION POUR LES ENFANTS

Titre de l'observatoire : « Un observatoire de la maladie et des résultats cliniques de patients atteints d'un déficit en lipase acide lysosomale (LAL) »

L'observatoire sera désigné dans la présente lettre d'information sous le terme « Observatoire du déficit en LAL ».

Promoteur : Alexion Pharmaceuticals, Inc.
121 Seaport Boulevard
Boston, MA 02210 (États-Unis)

Représentant légal dans l'Union européenne Alexion Europe SAS
103-105 rue Anatole France
92300 Levallois-Perret (France)

Version et date du protocole : Amendement 3.0 datée du 26 février 2016

Hôpital ou établissement : Hôpital Necker
149 rue de Sévres
75443 Paris cedex 15

Médecin de l'observatoire : Dr Jean-Baptiste ARNOUX

Numéro de téléphone

Nous voudrions te demander si tu serais d'accord pour participer à une étude. Les études sont menées pour faire de la recherche médicale. Elles sont nécessaires pour en savoir plus sur la façon dont une maladie se développe, et pour découvrir si des médicaments marchent et s'ils marchent bien, et si les gens supportent ces médicaments.

Cette lettre d'information porte sur notre recherche et ta décision d'y prendre part. Nous t'invitons à nous poser toutes les questions que tu juges pertinentes. Tu peux les poser à tout moment.

Bon à savoir :

- Tu devras décider si tu veux y participer.
- Tu peux répondre par « Non » ou « Oui ».
- Personne ne t'en voudra si tu dis « Non ».
- Si tu dis « Oui », tu pourras toujours dire « Non » plus tard.
- Tu peux dire « Non » à tout moment.
- Nous continuerons de prendre soin de toi quelle que soit ta décision.

POURQUOI ME DEMANDEZ-VOUS DE PARTICIPER A CET OBSERVATOIRE ?

Nous te demandons de participer à la présente étude car nous essayons d'en apprendre davantage sur le trouble appelé Déficit en lipase acide lysosomale (LAL). Le déficit en LAL est un trouble où les enfants et adultes ne produisent pas suffisamment une substance pour permettre à leur organisme d'éliminer les graisses. Si tu ne produis pas assez de substance, ton organisme accumule les graisses dans des organes comme le foie.

Nous t'invitons, toi et d'autres enfants et adultes atteints d'un déficit en LAL, à participer à cet observatoire.

L'observatoire du déficit en LAL recueillera des informations sur les personnes atteintes du déficit en LAL jusqu'en juin 2029. L'observatoire du déficit en LAL continuera pendant plusieurs années à fournir le plus grand nombre possible d'informations sur le déficit en LAL et son traitement. Tu peux te retirer de l'observatoire du déficit en LAL à tout moment et aucune information ne pourra plus être recueillie à ton sujet.

POURQUOI CET OBSERVATOIRE EST-IL ETABLI ?

Les informations recueillies dans cet observatoire permettront aux médecins et personnes étudiant le déficit en LAL d'en savoir davantage sur cette maladie et comment elle affecte des patients comme toi. En recueillant des informations sur toi et de nombreux autres patients atteints d'un déficit en LAL, les médecins verront comment le déficit en LAL évolue à mesure que l'on vieillit, comment les différents traitements affectent les gens, et découvriront de nouvelles façons d'offrir de meilleurs soins aux patients souffrant d'un déficit en LAL à l'avenir.

L'observatoire du déficit en LAL est également établi pour recueillir des informations supplémentaires sur la sébélipase alfa (nom de marque Kanuma™). La sébélipase alfa est approuvée par l'Agence européenne des médicaments (EMA) en Europe, et la Food and Drug Administration (FDA) aux États-Unis. Le traitement à la sébélipase alfa s'est révélé sûr et efficace. Compte tenu, toutefois, de la nature de la maladie, il reste nécessaire de surveiller l'efficacité et la sécurité du médicament sur une longue période.

L'observatoire du déficit en LAL est commandité par Alexion Pharmaceuticals, Inc. (ci-après désigné le « Promoteur »). En outre, les informations recueillies dans le cadre de l'observatoire du déficit en LAL peuvent, plus tard, éventuellement aider le Promoteur à développer des traitements contre le déficit en LAL ou à améliorer l'accès à ces traitements.

QUE SE PASSERA-T-IL SI JE PARTICIPE A L'OBSERVATOIRE ?

Il s'agit d'une étude observationnelle. Nous ne te demanderons pas de subir des examens ou interventions spécifiques dans le cadre de cette étude. Le fait qu'un traitement te soit administré ou non et la nature du traitement n'a pas d'importance. Des informations seront recueillies de tes dossiers médicaux que remplit le médecin lors de tes visites médicales régulières. Les informations de tes dossiers médicaux antérieurs, les données recueillies aujourd'hui, et celles de tes futurs dossiers médicaux seront rassemblées pour cette étude.

VAIS-JE RESENTIR DES DOULEURS DANS LE CADRE DE L'ETUDE ?

L'observatoire du déficit en LAL ne recueille que les informations des examens et interventions que ton médecin juge nécessaire de te prescrire. Tu ne seras soumis à aucune autre procédure particulière dans le cadre de l'observatoire du déficit en LAL.

QUE VAIS-JE TIRER DE L'OBSERVATOIRE ?

Nous espérons faire de nouvelles découvertes sur le déficit en LAL grâce à cet observatoire. Nous espérons que les informations recueillies auprès de tous les patients de la présente étude permettront de mieux s'occuper des autres enfants et adultes souffrant d'un déficit en LAL comme vous. Mais, nous ne savons vraiment pas si ces informations de l'observatoire te seront utiles.

MES PARENTS/TUTEURS SONT-ILS AU COURANT DE CET OBSERVATOIRE ?

Cet observatoire a été expliqué à tes parents/tuteurs. Ils nous ont dit de te demander si tu veux participer à l'étude. Tu peux en parler avec eux avant de te décider.

QUI VERRA LES INFORMATIONS RECUEILLIES À MON SUJET ?

Les informations recueillies à ton sujet lors de la présente étude demeureront confidentielles et anonymes.

Ton nom ne sera connu que de ton médecin, qui sera ainsi le seul à connaître tes informations personnelles. La plupart des informations seront regroupées avec les informations de plusieurs autres enfants et adultes avant que quiconque les voie. Il sera donc très difficile pour n'importe qui de t'identifier. Les informations regroupées seront ensuite communiquées à d'autres groupes tels que :

- Les médecins ou chercheurs qui essaient d'en savoir davantage sur le déficit en LAL.
- Les groupes qui travaillent d'ordinaire pour le compte des patients souffrant d'un déficit en LAL.
- Les groupes chargés de superviser l'observatoire pour s'assurer de son bon déroulement. Il s'agit notamment du Promoteur ou des sociétés travaillant pour le compte du Promoteur.

- Les groupes impliqués dans la recherche de traitements contre le déficit en LAL, pour qu'ils puissent s'informer davantage et prendre de meilleures décisions sur les traitements les plus favorables aux patients.
- Les organismes de santé publics aux États-Unis ou dans d'autres pays

QUELLES INFORMATIONS SERONT RECUEILLIES À MON SUJET ?

L'observatoire a prévu un plan d'étude qui présente les informations pouvant être utiles pour les médecins et autres personnes qui étudient le déficit en LAL. Seules les informations figurant dans le plan d'étude seront recueillies. Toutefois, il revient à ton médecin de décider de te prescrire des examens ou interventions et du moment propice de te les faire subir.

Il s'agit notamment de ce qui suit :

- Des informations sur toi et tes antécédents, à savoir tes initiales, tes mois et année de naissance, ton origine et ton niveau scolaire,
- Des informations sur le diagnostic de ton déficit en LAL, par exemple, les résultats d'examens qui montrent que tu souffres d'un déficit en LAL,
- Des informations sur tes antécédents médicaux,
- Les traitements que tu reçois contre le déficit en LAL. Si tu reçois la sébélipase alfa, nous recueillerons des informations sur le dosage, l'efficacité du traitement et les possibles effets secondaires ressentis,
- Les résultats des examens médicaux que tu as subis, comme les tests sanguins, les radiographies et autres échographies,
- Des informations sur les antécédents médicaux de ta famille, notamment sur la possibilité qu'un membre de ta famille soit atteint d'un déficit en LAL,
- Le remplissage de questionnaires sur ta santé, les interventions médicales que tu as subies, ton alimentation, et si le fait de souffrir d'un déficit en LAL a transformé ta vie,
- Des informations recueillies sur toi si tu as participé à un projet de recherche (tel qu'un essai clinique).

Si tu souhaites consulter les informations que ton médecin a transmises à l'observatoire, il peut te les montrer à tout moment.

COMBIEN M'EN COÛTERA-T-IL POUR PARTICIPER À L'OBSERVATOIRE ?

Toi ou tes parents/tuteurs n'avez pas à payer pour participer à l'observatoire.

SERAI-JE RÉMUNÉRÉ SI JE PARTICIPE À L'OBSERVATOIRE ?

Toi ou tes parents/tuteurs ne serez pas rémunérés pour votre participation à l'observatoire.

QUE FAIRE SI J'AI DES QUESTIONS OU PROBLÈMES ?

Tu peux nous poser toutes tes questions pertinentes au sujet de l'observatoire. Si plus tard tu as une question qui ne t'est pas venue immédiatement à l'esprit, tu peux appeler le médecin de l'observatoire au numéro de téléphone figurant en page 1. Si tu as des problèmes ou si tu décides plus tard d'interrompre ta participation à l'observatoire, ton parent/tuteur doit contacter le médecin.

QUELS SONT MES CHOIX SI JE NE FAIS PAS PARTIE DE L'OBSERVATOIRE ?

Tu n'es pas tenu de participer à l'observatoire. Ta décision d'y participer est volontaire. Prends le temps de te décider. Si tu décides de faire partie de l'observatoire, tu peux changer d'avis et interrompre ta participation à tout moment. Si tu dis à ton médecin que tu souhaites te retirer de l'observatoire, il/elle ne pourra plus entrer de nouvelles informations te concernant, et seules les données que tu as déjà autorisées seront utilisées. Il y a d'autres façons d'aider les chercheurs à étudier ton déficit en LAL si tu ne veux pas faire partie de l'observatoire. Discute avec le médecin de l'observatoire pour trouver d'autres moyens d'aider.

VEUX-TU PARTICIPER ?

Si tu veux participer à cette étude, fais-le savoir au médecin de l'observatoire. Et souviens-toi que tu peux toujours dire plus tard, à n'importe quel moment, que tu ne veux plus y participer. Cela n'aura aucun effet négatif pour toi.

Lorsque tu auras atteint l'âge légal, l'étude te sera réexpliquée et il faudra que tu confirmes que tu veux bien continuer à y participer.

Titre de l'observatoire : « Un observatoire observationnel de la maladie et des résultats cliniques de patients atteints d'un déficit en lipase acide lysosomale (LAL) »

FORMULAIRE DE NON-OPPOSITION

Déclaration du médecin de l'observatoire du déficit en LAL obtenant la non opposition au traitement des données personnelles : J'ai expliqué ce qu'est l'observatoire du déficit en LAL à l'enfant et répondu à toutes ses questions à la date indiquée sur le présent formulaire. J'estime que l'enfant comprend les informations décrites dans cette lettre d'information et qu'il ou elle accepte librement de participer.

Prénom et nom de l'enfant

Prénom et nom du médecin de l'étude qui a expliqué l'observatoire du déficit en LAL

Date

Signature du médecin de l'étude qui a expliqué l'observatoire du déficit en LAL