

FICHE 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 fiche 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 continuera pendant plusieurs années à fournir le plus grand nombre possible d'informations sur le déficit en LAL et son traitement. Tu peux te vous 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.

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

Pour commencer, nous devons noter quelles maladies ou quels symptômes tu as eus jusqu'à présent. Tu seras ensuite examiné(e) comme lors des visites chez le médecin précédentes. Cela veut dire que tu ne devras pas faire de tests ou d'examens supplémentaires pour participer à l'étude. Que tu sois sous traitement ou non et quel que soit ton traitement n'ont aucune importance. Nous allons simplement collecter tes données médicales, que ton médecin recueille de toute façon quand il contrôle comment tu vas.

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 toi. 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.

QUELLES INFORMATIONS SERONT RECUEILLIES À MON SUJET ?

Seules les informations liées à ta maladie seront recueillies.

Il s'agit notamment de ce qui suit :

- Des informations sur toi et tes antécédents, à savoir 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 pour ta maladie, les résultats des examens médicaux que tu as subis, comme les tests sanguins,
- 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 autre projet de recherche. Si tu souhaites consulter les informations que ton médecin a transmises à l'observatoire, il peut te les montrer à tout moment.

À QUI PUIS-JE POSER D'AUTRES QUESTIONS ?

Si tu as encore des questions, tu peux nous les poser à nous ou à tes parents/tuteurs. Nous nous ferons un plaisir de répondre à toutes tes questions.

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 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 fiche 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