



LEIDEN UNIVERSITY MEDICAL CENTER

Informatiebrief wetenschappelijk onderzoek voor nabestaanden van jongens/mannen met Duchenne of Becker

Hoewel in deze brief gesproken wordt over “uw zoon”, is het uiteraard mogelijk dat u een andere relatie tot de jongen/man met Duchenne of Becker spierdystrofie had (bijvoorbeeld broer/zus of partner). Deze brief is in dat geval aan u gericht.

Geachte heer/mevrouw,

Middels deze brief willen we u vragen mee te werken aan een medisch wetenschappelijk onderzoek naar Duchenne en Becker spierdystrofie, waarbij we de gegevens van uw zoon zouden willen gebruiken. Wij zijn ons ervan bewust dat uw zoon aan een van deze ziekten is overleden. We begrijpen dat dit een reden kan zijn om van deelname aan dit onderzoek af te zien. In dat geval kunt u deze brief terzijde leggen en hoeft u niet te reageren. Indien u wel overweegt om deel te nemen moet u goed geïnformeerd zijn over wat dit onderzoek inhoudt en waarom het wordt gedaan. Deze brief is bedoeld om die informatie rustig te kunnen doorlezen. Belangrijk is dat deelname aan het onderzoek vrijwillig is en dat u op elk moment kunt besluiten uw deelname in te trekken.

De Ziekte van Duchenne en Becker

Zoals u waarschijnlijk weet, zijn Duchenne en Becker spierdystrofie erfelijke spierziekten, waarbij het dystrofine, een eiwit nodig voor de stevigheid van de spiervezels, ontbreekt (bij Duchenne) of afwijkend is (bij Becker). Dit heeft tot gevolg dat de spiervezels beschadigen en kapot gaan. Dit uit zich in progressieve zwakte van de spieren. De afgelopen decennia zijn er diverse medische ontwikkelingen geweest in de zorg voor jongens/mannen met Duchenne of Becker. Voorbeelden hiervan zijn prednisongebruik en de start van thuisbeademing.

Doel van het onderzoek

In dit onderzoek komen enkele onderwerpen aan bod, waaronder:

1. Hoeveel mensen zijn er in Nederland met Duchenne of Becker spierdystrofie.
2. Hoe hebben de medische ontwikkelingen het beloop van de ziekte van Duchenne beïnvloed.
3. Meer inzicht krijgen in het beloop van Becker spierdystrofie.

Waarom meedoen?

De gegevens van dit onderzoek geven inzicht in het vóórkomen en het beloop van Duchenne en Becker spierdystrofie en het effect van medische ontwikkelingen hierop. De resultaten zorgen voor een beter begrip van de ziekten en kunnen bijdragen aan verdere ontwikkelingen in de zorg voor mensen met deze aandoeningen. Een voorbeeld is het

vergelijken van een grote groep personen die mild is aangedaan met een grote groep die ernstig is aangedaan. Zijn er dan factoren te ontdekken die het beloop van de ziekte kunnen voorspellen? Dat kan het soort mutatie zijn, maar ook nu nog onbekende factoren die niet opvallen als je slechts twee individuen met elkaar vergelijkt.

Wat houdt het onderzoek voor u in?

Wij vragen u een korte vragenlijst in te vullen over uw zoon en ons toestemming te verlenen het medisch dossier bij de behandelend arts in te zien. Naar aanleiding van de zo verkregen gegevens wordt telefonisch contact met u opgenomen om eventuele onduidelijkheden te bespreken.

Opslag van gegevens

De gegevens van dit onderzoek worden opgeslagen in een database in het LUMC in Leiden. Alle verzamelde gegevens zijn vertrouwelijk. We zullen een code gebruiken om aan te geven welke gegevens bij uw zoon horen zodat geen informatie die op hem te herleiden is, het ziekenhuis verlaat. U kunt op ieder moment uw deelname aan het onderzoek beëindigen.

Terugkoppeling onderzoeksresultaten

De resultaten van de studie over het vóórkomen en het beloop van Duchenne en Becker spierdystrofie zullen via de patiëntenverenigingen (VSN en Duchenne Parent Project) verspreid worden, door bijvoorbeeld een artikel in de nieuwsbrief. Daarnaast zullen informatie en wetenschappelijke publicaties op de website www.lumc.nl/duchenne geplaatst worden. Tot slot krijgt iedere deelnemer aan het onderzoek persoonlijk verslag van de resultaten.

Eventuele nadelen van het onderzoek voor u

Het invullen van de vragenlijst kost u ongeveer 30 minuten. Behalve de tijd die het kost zijn er geen nadelen aan dit onderzoek verbonden.

Mocht u na het lezen van deze brief nog vragen hebben, neem dan contact op met een van de onderzoekers. Er is ook een neuroloog in het LUMC die niet bij het onderzoek betrokken is beschikbaar voor vragen. Als u besluit mee te werken, kunt u de toestemmingsverklaring, het toestemmingsformulier "opvragen medische gegevens" (zie bijlagen) ondertekenen en opsturen naar onderstaand adres.

Met vriendelijke groet,

Dr. E.H. Niks, kinderneuroloog

Afdeling Neurologie
Leids Universitair Medisch Centrum
Postbus 9600
2300 RC Leiden
Telefoon: 071-5266545

E-mail: duchenne@lumc.nl

Onafhankelijk arts:

Dr. G.M.Terwindt, neuroloog
Afdeling Neurologie
Leids Universitair Medisch Centrum
Phone: 071-5262111