



## Patienteninformation und Einwilligungserklärung OPTIMISTIC-Beobachtungsstudie



**OPTIMISTIC = *Observational Prolonged Trial in Myotonic Dystrophy type 1 to Improve Quality of Life Standards, a Target Identification Collaboration***

Liebe Patientin, lieber Patient.

Sie werden eingeladen, an einer europäischen Studie mit dem Titel "OPTIMISTIC" teilzunehmen. An dieser europäischen Studie arbeiten Kliniken mit Schwerpunkt der neuromuskulären Erkrankungen eng zusammen. Neben dem Friedrich-Baur-Institut an der LMU München sind Universitätskliniken in England, den Niederlanden und Frankreich beteiligt.

Bevor Sie sich für die Teilnahme an der Studie entscheiden, möchten wir Sie darüber informieren, weshalb wir diese Studie durchführen und welche Auswirkungen die Teilnahme auf Sie hat. Bitte nehmen Sie sich daher Zeit, diese Information aufmerksam zu lesen. Auf der letzten Seite haben Sie die Möglichkeit, Ihre Fragen oder Bedenken aufzuschreiben und mit Ihrem behandelnden Arzt/ Studienarzt ausführlich zu besprechen.

► **Sie müssen sich auf keinen Fall sofort zur Teilnahme entscheiden, sondern haben Zeit, sich diese Information sorgfältig durchzulesen und Ihre Bedenken zu äußern.**

### Warum wurde ich eingeladen, an dieser Studie teilzunehmen?

Sie wurden zur Teilnahme an der Studie eingeladen, weil bei Ihnen die Diagnose einer **Myotonen Dystrophie Typ I (DM1)** gesichert wurde.

### Welchen Zweck verfolgt diese Studie?

Die **Myotone Dytrophie Typ I** ist eine fortschreitende neuromuskuläre Erkrankung mit Beteiligung unterschiedlicher Organe, u.a. auch dem Gehirn, d.h. neben den Hauptsymptomen der langsam zunehmenden Muskelschwäche, Muskelatrophie (Abbau von Muskelgewebe) und Muskelverspannungen bestehen oftmals Symptome wie Tagesmüdigkeit und allgemeines Erschöpfungssyndrom (sog. Fatigue oder Chronic-Fatigue-Syndrom, CFS). Derzeit existiert keine ursächliche Behandlungsmöglichkeit, jedoch können einige Symptome, wie beispielsweise die Tagesmüdigkeit, durch Medikamente wie Modafinil gebessert werden.

Unsere Forschungsgruppe setzt sich aus Ärzten, Forschern und Therapeuten europäischer Universitätskliniken zusammen, die sich seit langem mit der Erkrankung der **Myotonen Dystrophie Typ I** beschäftigt. Im Rahmen der OPTIMISTIC-Studie nehmen Sie als Patient an einer sogenannten randomisierten, kontrollierten Beobachtungsstudie teil. Dies bedeutet, dass Sie zufällig in eine von zwei Studiengruppen zugewiesen werden (= "Randomisierung"). Weder Sie noch Ihr Prüfarzt haben einen Einfluss darauf, in welche Gruppe Sie zugeteilt werden. Die Zuweisung erfolgt im Verhältnis 1:1, d.h. Ihre Chance, der einen oder der anderen Studiengruppe zugewiesen zu werden, beträgt jeweils 50%. In einer



der beiden Gruppen erhalten die ausgewählten Studienteilnehmer eine individuelle Behandlung, in der anderen Gruppe entfällt diese Form der Therapie. Am Ende der Studie werden anhand verschiedener Daten aus Fragebögen und Untersuchungen beide Gruppen miteinander verglichen.

► **In beiden Gruppen werden Sie als Teilnehmer stets durch das Studienteam betreut und medizinisch überwacht.**

Wie bei vielen anderen chronischen Erkrankungen kann es sein, dass sich nahe stehende Personen oder Angehörige um Sie kümmern und Unterstützung leisten (Bezugspersonen). Zusätzlich zu Ihrer Teilnahme möchten wir – Ihr Einverständnis vorausgesetzt- ebenso Ihre Bezugsperson einladen, an dieser Studie teilzunehmen. Ihre Bezugsperson erhält ebenfalls eine umfassende Information über die Studie und deren Inhalte sowie eine eigene Einwilligungserklärung. Im Rahmen Ihrer geplanten Untersuchungstermine erhält auch Ihre Bezugsperson Fragebögen zur Beantwortung. Selbstverständlich werden Ihnen unsere Therapeuten bei der Beantwortung der Fragen zu Seite stehen.

► **Sollte Ihre Bezugsperson nicht teilnehmen wollen, hat dies weder Auswirkungen auf Ihre Studienteilnahme noch auf Ihre künftige medizinische Versorgung.**

Sofern sich in dieser Studie herausstellt, dass sich diese individuelle Behandlungsform positiv auf Patienten mit myotoner Dystrophie Typ I auswirkt, können entsprechende medizinische Leitlinien erarbeitet werden, so dass künftig eine verbesserte Versorgung von Patienten mit myotoner Dystrophie Typ I bereitgestellt werden kann.

### **Was ist die individuelle Behandlung?**

Die individuelle Behandlung ist eine Form der kognitiven Verhaltenstherapie. Sie befasst sich mit unserer Wahrnehmung, dem Erkennen und Begreifen von Situationen und Umständen unseres täglichen Lebens. Die Art und Weise, wie wir denken, bestimmt, wie wir uns fühlen, verhalten und körperlich reagieren. Es werden dabei verschiedene gesprächs- und verhaltenstherapeutische Techniken angewandt, die speziell auf Ihre Lebenssituation und Symptomatik angepasst sind. Hierbei steht der Patient mit seinen Gedanken und ggf. seinen krankheitsbedingten Funktionseinschränkungen im Mittelpunkt. Zunächst wird erarbeitet, inwieweit verschiedene Krankheitssymptome das tägliche Leben beeinflussen und damit die Lebensqualität einschränken. Ziel der Verhaltenstherapie ist damit, für Sie eine individuell angepasste Therapie zu erarbeiten, um Ihre Symptome und den Umgang mit Symptomen zu verbessern. Dabei definieren Sie eigene Ziele, die Sie mit der Unterstützung der Therapeuten erreichen sollen. Vor allem im Hinblick auf die chronische Müdigkeit oder verminderte Motivation wird die kognitive Verhaltenstherapie bereits sehr erfolgreich eingesetzt. Innerhalb der Studie werden wir untersuchen, ob mit Hilfe der Verhaltenstherapie bei Patienten mit myotoner Dystrophie Typ I

- das chronische Erschöpfungssyndrom (Fatigue) verbessert werden kann
- die Tagesaktivitäten gesteigert werden können
- soziale Bindungen –bsp. zu anderen betroffenen Patienten oder Angehörigen- verbessert werden können

Weitere Inhalte der Therapie sollen zudem Ihre Schlafhygiene, Ihre Motivation und Ihr Umgang mit Schmerzen verbessern.

Sofern Sie für die Gruppe der individuellen Behandlung ausgewählt werden, werden Sie und ggf. Ihre Bezugsperson an diesen Therapien teilnehmen.

### **Muss ich an dieser Studie teilnehmen?**

► **Nein. Ihre Teilnahme an der Studie ist vollkommen freiwillig.**

### Was geschieht, wenn ich meine Teilnahme an der Studie abbrechen oder beenden möchte?

Sofern Sie an der Studie teilnehmen und sich zwischenzeitlich gegen die Fortsetzung an der Teilnahme entscheiden, können Sie **jederzeit und ohne Angabe von Gründen** Ihre Einwilligung zur Teilnahme an der Studie zurückziehen (mündlich oder schriftlich), ohne dass Ihnen daraus Nachteile für Ihre künftige medizinische Behandlung entstehen. In einem solchen Fall möchten wir Sie jedoch bitten, dass wir Ihre bisher erhobenen Daten inkl. Blut- und Urinproben im Rahmen der Studie weiterverwenden dürfen.

Im Falle eines Studienabbruchs möchten wir Sie bitten, dass Sie und ggf. Ihre Begleitperson zu einem persönlichen Gespräch zu erscheinen, um eventuell noch eine kurze Abschlussuntersuchung zu ermöglichen (siehe Besuch 5).

### Wie läuft die Studie ab?

Zunächst wird das Studienteam Ihre Studieneignung prüfen, d.h. es werden verschiedene Voraussetzungen untersucht, ob Sie geeignet und in der Lage sind, an dieser Studie teilzunehmen. Sofern Sie für die Teilnahme geeignet sind und Sie an der Studie teilnehmen möchten, werden mit Ihnen zwischen 5 und 12 Besuche am Friedrich-Baur-Institut über einen Zeitraum von 17 Monaten (ca. 1,5 Jahre) vereinbart. Die Anzahl der Besuche hängt davon ab, in welche Studiengruppe (siehe oben) Sie zufällig durch den Computer eingeteilt werden.

### Besuch 1: Voruntersuchung – alle Studienteilnehmer (ca. 3 Stunden)

Bei der Voruntersuchung erhalten Sie und ggf. Ihre Bezugsperson zunächst eine genaue Information über den Ablauf der Studie, zudem werden hier all Ihre Fragen beantwortet. Nachdem Sie sich für die Teilnahme an der Studie entschieden haben, bitten wir Sie, die Patienteneinwilligung zu unterzeichnen, die Sie in Kopie für Ihre Unterlagen erhalten. Danach erfolgen einige wenige Fragen und Untersuchungen, um zu prüfen, ob Sie aus medizinischer Sicht an dieser Studie teilnehmen können:

- allgemeiner Gesundheitsstatus
- Alter (Teilnahmevoraussetzung: über 18 Jahre), Größe, Gewicht, Mody-Mass-Index (BMI)
- vier kurze Fragebögen zu Ihren derzeitigen Symptomen
- 6-Minuten-Gehtest: es wird die Strecke gemessen, die Sie in 6 Minuten zurücklegen können.
- Genetische Diagnosesicherung: sofern noch keine molekulargenetische Sicherung Ihrer Diagnose vorliegt, bitten wir Sie, diesen Test bei uns durchzuführen. Dies geschieht durch eine einfache Blutentnahme.

Sollten die Untersuchungen ergeben, dass Sie nicht zur Studienteilnahme geeignet sind, wird Ihnen dies in einem ausführlichen Gespräch mit dem Prüfarzt erläutert.

### Besuch 2: Eingangsuntersuchung – für beide Behandlungsgruppen (ca. 4 Stunden)

Bei diesem Besuch erfahren Sie, in welche der beiden Gruppen Sie automatisch zugeteilt wurden.

Die Teilnehmer beider Gruppen werden an diesem Termin gebeten,

- Fragebögen über den Gesundheitsstatus, die Lebensqualität und Ihre Lebensaktivität auszufüllen,
- einen 6-Minuten-Gehtest zu absolvieren (siehe Besuch 1),
- eine Blut- und Urinprobe abzugeben,
- das *Actometer* anzulegen.

- Blutprobe (30 ml, ca. 2 Esslöffel)
  - a) Genetische Untersuchungen: Ein Teil des von Ihnen abgegebenen Blutes wird verwendet, um eine genetische Untersuchung durchzuführen. Die **Myotone Dystrophie Typ I** ist eine erbliche Erkrankung mit einer bestimmten Veränderung in Ihrem Gen. Dabei ist eine bestimmte Stelle im Gen verlängert und führt –je nach Länge der Genveränderung- zu einer entsprechenden Ausprägung der Krankheitssymptome. Dabei ist bekannt, dass mit höherem Alter auch die

Genverlängerung zunimmt, so dass dies bei der altersabhängigen Zunahme der Symptome eine wichtige Rolle spielt. Im Allgemeinen kann gesagt werden, dass je größer die Verlängerung in dem Gen ist, umso schwerer sind die Symptome für die Betroffenen.

Um zu untersuchen, ob die positiven Einflüsse der individuellen Behandlungsform auch eine Änderung in der genetischen Veränderung bewirkt, wird Blut zur genetischen Untersuchung (DNA-Untersuchung) am Beginn und am Ende der Studie abgenommen.

Da mittlerweile bekannt ist, dass nicht nur eine einzige Veränderung in der gesamten DNA, sondern eine Vielzahl weiterer Veränderungen die klinische Symptomatik der Patienten beeinflussen, untersuchen wir zudem, ob weitere solche Veränderungen auf Ihrem gesamten Gen vorliegen. Dazu wird Ihre gesamte DNA sequenziert und nach genetischen Veränderungen gesucht. Allerdings werden hierbei verbindlich nur Untersuchungen vorgenommen, die mit Ihrer Grunderkrankung der Myotonen Dystrophie Typ 1 in Zusammenhang stehen.

- b) Zusätzlich zur genetischen Untersuchung werden wir in Ihrer Blut- und Urinprobe spezielle Parameter messen, die mit dem Muskelstoffwechsel in Verbindung stehen. Daher werden vor, während und am Ende der Studie Blutproben abgenommen.
- „Historische Blutprobe“: Sofern es möglich ist, möchten wir zusätzlich die DNA-Probe untersuchen, die erstmals zu Ihrer Diagnose geführt hat.
    - ▶ **Diese zusätzliche Untersuchung wird nur vorgenommen, wenn Sie dem auch zustimmen. Sollten Sie dies nicht wünschen, hat dies keinen Einfluss auf Ihre Studienteilnahme.**
  - Actometer: Ihre Lebensaktivität wird mit Hilfe eines kleinen Apparates gemessen (*Actometer*), der bei den Besuchen 2, 3, 4 und 5 am Fußgelenk angebracht und für die Dauer von 14 Tagen getragen wird. Das *Actometer* ist wasserdicht und kann jederzeit bei allen Tätigkeiten getragen werden (bspw. Duschen/ Baden). Ihr Studienpersonal legt Ihnen das *Actometer* an Ihrem gewünschten Fuß an und zeigt Ihnen, wie Sie es abnehmen und an uns mit vorfrankierten und adressierten Umschlägen zurückschicken.

Sofern Sie der Gruppe mit individueller Behandlung zugelost wurden, vereinbaren Sie an diesem Besuchstermin einen Gesprächstermin für die individuelle Behandlung.

### Besuche 3, 4 und 5 – alle Studienteilnehmer (ca. 4 Stunden)

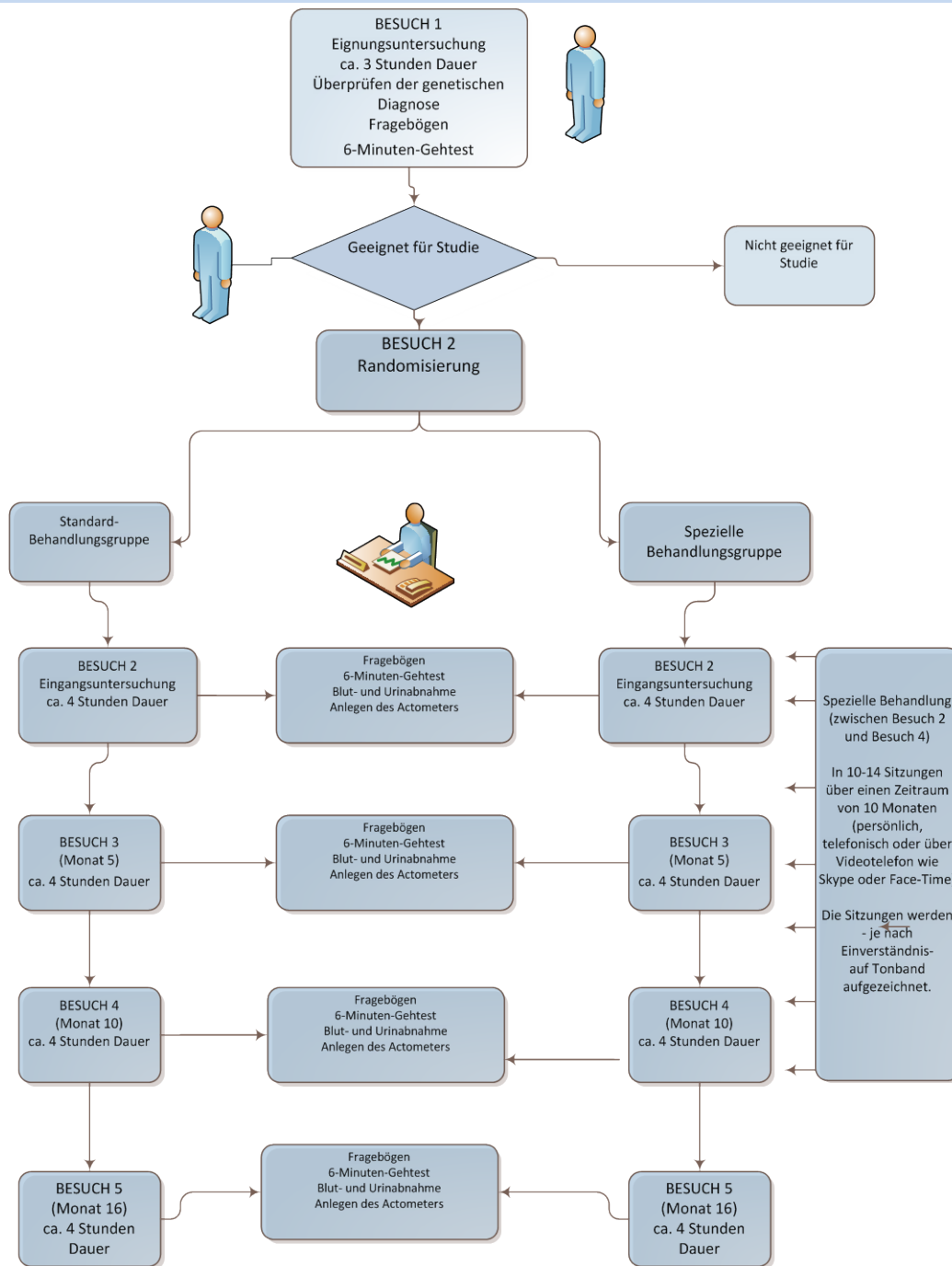
Bei jedem Besuch werden Sie nach Ihrem aktuellen Befinden gefragt und ob Sie seit dem letzten Besuch andere Medikamente als üblich zu sich genommen haben. Die Besuche 3, 4 und 5 finden unabhängig von den regulären ambulanten Vorstellungen statt.

- **Besuch 3**: etwa 5 Monate nach dem Studienbeginn (Besuch 2)
- **Besuch 4**: etwa 10 Monate nach dem Studienbeginn
- **Besuch 5**: etwa 16 Monate nach Studienbeginn, letzter Besuch innerhalb der Studie OPTIMISTIC.

Bei diesen Besuchen finden folgende Untersuchungen statt:

- Ausfüllen von Fragebögen (diese kennen Sie schon aus dem ersten Besuch)
- 6-Minuten-Gehtest
- Anlegen des jeweils neuen *Actometers*, der für 14 Tage getragen werden und dann per vorfrankiertem und adressiertem Umschlag an uns zurückgesendet werden soll.
- Bei den Besuchen 4 und 5 erfolgen Blutabnahmen und Urinproben (→ siehe Besuch 2 und Grafik).

## Grafischer Studienablauf



### Wie läuft die sog. „individuelle Behandlung“ ab?

Im Rahmen der individuellen Behandlung nehmen Sie im Zeitraum von 10 Monaten an insgesamt 10 - 14 Verhaltenstherapiesitzungen teil, die zum Teil persönlich, aber auch über das Telefon oder über das Internet abgehalten werden können (Skype, Face-Time) – je nachdem, welche Kommunikationsweise Sie bevorzugen. In besonderen Fällen können diese Sitzungen auch bei Ihnen zu Hause stattfinden. Mit Ihrer Zustimmung werden einzelne Sitzungen auf Ton aufgezeichnet.

Die jeweiligen Sitzungen werden speziell auf Ihre Symptome und Ziele angepasst, und –sofern Ihre Bezugsperson einer Teilnahme zugestimmt hat- kann auch diese an den Behandlungssitzungen teilnehmen. Auch wenn es sich um individuell angepasste Therapiesitzungen handelt, kann es sein, dass Sie zusätzlich Fragen zu Symptomen erhalten, die Sie nicht als Ihre primären Ziele ausgewählt haben, beispielsweise:

- Verbesserung des Schlafes und der Schlafhygiene
- Lernmodelle zur Steigerung der Tagesaktivitäten

- Umgang mit Symptomen, die das tägliche Leben einschränken
- Verbesserung Ihrer Kontakte zu anderen Personen

Jede Sitzung dauert etwa 50 Minuten und Sie werden gebeten, einige Aktivitäten zu Hause auszuüben. Das gesamte Studienteam bleibt während dieser Zeit in ständigem Kontakt mit Ihnen steht für Fragen zur Verfügung.

Die Daten, die wir mit Hilfe eines *Actometers* auswerten, helfen uns dabei, Ihren individuellen Plan zum Erreichen der Ziele anzupassen. Das kann beispielsweise beinhalten, einen kurzen Spaziergang zu unternehmen, ggf. die Dauer des Spaziergangs zu verlängern oder auch –je nach Ihren Wünschen- andere Aktivitäten wie Radfahren oder Schwimmen zu versuchen.

### Wie passt die Studie in meinen normalen Lebensablauf?

Während der Studienablaufs werden wir Ihre bestehende Medikation nicht ändern, und Sie sollten Ihren regulären ärztlichen Besuchen weiterhin nachgehen.

Sobald jedoch eine ärztliche Änderung Ihrer Medikation vorgenommen wird, bitten wir Sie, uns dies schnellstmöglich mitzuteilen. Dies kann unter Umständen dazu führen, dass eine weitere Teilnahme an der Studie nicht mehr möglich sein wird. Ihr betreuender Hausarzt wird –Ihr Einverständnis vorausgesetzt– über die Teilnahme an der Studie informiert und ggf. werden medizinische Fragen wie die Änderung der Medikamente besprochen.

### Was passiert mit meinen Blut- und Urinproben?

Die Urin- und Blutproben (ca. 30ml, etwa 2 Esslöffel) werden im Friedrich-Baur-Institut aufbewahrt und am Ende der Studie an ein spezialisiertes Labor, das Teil des Studienteams ist, zur Analyse gesendet. Die Aufbewahrung der Proben erfolgt in der *Biobank der Universität von Newcastle für Neuromuskuläre Erkrankungen (Newcastle MRC Centre Biobank)*. Ihre Urin- und Blutproben werden doppelt pseudonymisiert, d.h. ihr Name wird gelöscht und einer Nummer zugeordnet. Danach wird zur Erhöhung der Sicherheit diese geheime Nummer intern noch einmal codiert (=doppelte Codierung) und in einer getrennten Datenbank gespeichert. Der Zugang zu den Originaldaten und zum Verschlüsselungscode ist auf folgende Personen beschränkt: Prof. Dr. med. B. Schoser, Dr. med. Angela Schüller, Dr. med. S. Wenninger. Die Entschlüsselungsliste verbleibt im Friedrich-Baur-Institut der LMU München. Ein Zugriff des Zentrums auf die Klarnamen bedarf der Rechtfertigung. Eine Entschlüsselung erfolgt lediglich in Fällen, in denen es Ihre eigene Sicherheit erfordert („medizinische Gründe“) oder falls es zu Änderungen in der wissenschaftlichen Fragestellung kommt („wissenschaftliche Gründe“).

Die Ergebnisse aus diesen Laboruntersuchungen werden nur gesammelt ausgewertet, d.h. Sie als Patient erhalten keine individuellen Laborergebnisse.

Ein Teil der Proben wird – **je nach Ihrem Einverständnis**– zusätzlich für künftige Untersuchungen aufbewahrt. Diese Biobank bewahrt Blut und Urinproben nach strengen Kriterien und Auflagen (08/H0906/28+5) für einen **Zeitraum von 10 Jahren** auf. Unter der Voraussetzung, dass ein befürwortendes Votum der zuständigen Ethikkommission vorliegt, können die Blut- und Urinproben **anonymisiert** auch für andere Studien zur Verfügung gestellt werden.

- ▶ **Diese zusätzlichen Untersuchungen werden nur vorgenommen, wenn Sie dem auch zustimmen. Sollten Sie dies nicht wünschen, hat dies keinen Einfluss auf Ihre Studienteilnahme.**

### Was passiert mit den Untersuchungsergebnissen am Ende der Studie?

Die Ergebnisse der Studie werden in medizinischen Fachzeitschriften und auf Kongressen veröffentlicht bzw. präsentiert. Es sollen medizinische Leitlinien zur Behandlung von Patienten mit **Myotoner Dystrophie Typ I** erarbeitet werden, die dann für alle behandelnden Ärzte allgemeingültig sind. Dabei werden Ihr Name oder Sie als Person auf keinen Fall in den Ergebnissen erscheinen.

- ▶ **Sie als Patient erhalten Studienergebnisse in Form von Infobriefen und auf unserer Internetseite.**

Mit Ihrem Einverständnis kontaktieren wir Sie auch nach Abschluss der Studie, um ggf. an weiteren Studien, an denen Sie interessiert sein könnten, teilnehmen zu können.

### Werden Sie meinen Hausarzt informieren?

Nur mit Ihrer Einwilligung wird Ihr Hausarzt über Ihre Teilnahme an der Studie informiert, um ggf. relevante klinische Befunde, die im Rahmen der Studie erhoben werden, mitzuteilen.

### Werden meine medizinischen Daten vertraulich behandelt?

**Ja.** Die medizinischen und studienbezogenen Daten und auch die Einwilligungserklärung verbleiben bei Ihrem Prüfarzt bzw. am Friedrich-Baur-Institut der LMU München und werden streng vertraulich aufbewahrt. Zu diesen studienbezogenen Daten zählen auch die Fragebögen, die Sie während der Studie ausfüllen. Alle erhobenen Daten werden in einer doppelt pseudonymisierten Form elektronisch an eine Datenbank übermittelt, gespeichert und ausgewertet. Diese Datenbank wird von der TCTU (*Tayside Clinical Trials Unit*) bereitgestellt. Vertrauliche und private Aspekte der Datenbank werden durch besondere Bestimmungen gesichert. Dies schließt eine doppelte Pseudonymisierung und den Gebrauch von abhörsicheren Verbindungen ein. Pseudonymisiert bedeutet, dass ihr Name gelöscht und den Daten eine Nummer zugeordnet wird. Die Zuordnung zwischen dem Namen und der Nummer wird von Ihrem Arzt an einem sicheren Ort aufbewahrt, eine entsprechende Entschlüsselungsliste verbleibt im Friedrich-Baur-Institut und ist nur für autorisierte Personen aus dem Friedrich-Baur-Institut zugänglich (Prof. Dr. med. B. Schoser, Dr. med. Angela Schüller, Dr. med. S. Wenninger). Die Entschlüsselungsliste verbleibt im Friedrich-Baur-Institut der LMU München.

Doppelt pseudonymisiert bedeutet, dass zur Erhöhung der Sicherheit die geheime Nummer intern noch einmal codiert wird. Von Ihren persönlichen Daten wird nur Ihr Alter erfasst. Es werden keine persönlichen identifizierenden Nummern (z.B. Ausweisnummer) oder Adressen verwendet. Die Daten werden sicherheitshalber auf verschiedenen Datenbanken getrennt voneinander gespeichert.

Ihr Einverständnis vorausgesetzt, können einzelne Therapiesitzungen auf Audiodatenträgern aufgezeichnet und wortgetreu zur Übersetzung niedergeschrieben werden. Die Audio-Datenträger verbleiben verschlossen im Friedrich-Baur-Institut der LMU München und werden 1 Jahr nach Studienende vernichtet.

Alle weiteren vertraulichen Unterlagen werden bis zu 10 Jahre nach Studienende aufbewahrt und anschließend vernichtet. Die Verpflichtung zur Vertraulichkeit, Datenspeicherung und -Lagerung erfolgt gemäß **Data Protection Act Directive 95/46/EC**.

### Fahrtkosten und Erstattungen, Versicherung

Sie erhalten bei Studienteilnahme die Fahrtkosten ab Einschluss in die Studie in vollem Umfang erstattet. Eine Bezahlung für Studienteilnahme selbst ist nicht vorgesehen, ebenso können keine Zahlungen für Lohnausfälle etc. geleistet werden. Ein spezieller Wege-Unfallversicherungsschutz besteht nicht.

► **Sämtliche Fahrtkosten/ studienbedingte Auslagen werden Ihnen für die Teilnahme erstattet.**

### Welche Nachteile können für mich entstehen, wenn ich an der Studie teilnehme?

Gesundheitliche Nachteile sind im Rahmen der Studie nicht zu erwarten. Die Teilnahme an der Studie kann jedoch zusätzliche Faktoren aufweisen, die sich auf Ihr alltägliches Leben auswirken:

- durch die Studienteilnahme werden häufigere Besuche in unserem Institut notwendig, was für Sie einen erhöhten zeitlichen Aufwand bedeutet.
- einige Patienten empfinden eine Blutabnahme als unangenehm.
- das Tragen des *Actometer* am Fußgelenk für die jeweilige Dauer von 14 Tagen kann sich unangenehm anfühlen. Sollten Sie das Tragen als so unangenehm empfinden, dass Sie es vorzeitig entfernen möchten, sprechen Sie bitte zunächst mit unserem Studienteam.

### **Gibt es Nebenwirkungen, mit denen ich rechnen muss?**

Bei Patienten, die der "individuellen Behandlungsgruppe" zugeordnet werden, können durch die häufigeren Besuche und vermehrte Aktivität ggf. eine vermehrte Abgeschlagenheit und Müdigkeit oder Muskelbeschwerden auftreten.

### **Welche positiven Auswirkungen können für mich durch die Teilnahme entstehen?**

Da Sie regelmäßig während der Studienphase durch das Studienteam betreut werden, werden alle Veränderungen Ihrer Symptome oder Ihres Befindens stets protokolliert. Sollten sich hier relevante Auffälligkeiten ergeben, werden wir dies mit Ihnen und ggf. mit Ihrem Hausarzt besprechen.

Es ist nicht davon auszugehen, dass Sie innerhalb kürzester Zeit eine deutliche Verbesserung Ihrer Symptome bemerken. Ziel ist aber, eine mittel- bis langfristige Verbesserung Ihrer Lebensqualität zu erreichen, indem medizinische Leitlinien zur Behandlung und Versorgung von Patienten mit **Myotoner Dystrophie Typ I** erarbeitet werden können, die dann für alle behandelnden Ärzte gültig sind.

► Informationen hierzu werden regelmäßig auf der Internetseite [www.optimistic-dm.eu](http://www.optimistic-dm.eu) veröffentlicht.

### **Was passiert, wenn etwas „schief“ geht?**

Sollten Sie sich unwohl fühlen, an der Studie teilzunehmen oder die Studie fortzusetzen, sollten Sie zuerst mit Ihrem Prüfartzt darüber sprechen.

Sollte Ihnen im Rahmen der Studie etwas maßgeblich Unangenehmes widerfahren, besprechen Sie dies bitte mit dem Studienleiter, Herrn Prof. Dr. med. B. Schoser (Tel.: 089/5160-7400). Im Falle einer maßgeblichen Verletzung Ihres Rechtes oder Ihrer Gesundheit besteht die Möglichkeit, den Rechtsweg zu beschreiten. Dies geschieht entsprechend der gültigen Rechtsprechung zunächst auf Ihre Kosten, Beschwerden oder Klagen sind an das *Klinikum der Ludwig-Maximilians-Universität München* zu richten. Ggf. unterstützt Sie auch Ihre jeweils zuständige Landesärztekammer.

### **Wer hat die Studie gegründet und organisiert diese?**

Organisator der Studie für Deutschland ist Prof. Dr. Benedikt Schoser, Friedrich-Baur-Institut am Klinikum München. Die Studie wurde finanziert durch das 7. Forschungsrahmenprogramm der Europäischen Union.

### **Wer hat die Studie nach ethischen Grundsätzen geprüft?**

Die Ethikkommission der Medizinischen Fakultät der LMU München ist zuständig für die Beurteilung von klinischen Forschungsvorhaben, die an Menschen durchgeführt werden. Sie entscheidet hinsichtlich ethischer, rechtlicher und sozialer Sicht zum Schutz der einzelnen Person. Die Ethikkommission hatte keine Einwendungen gegen die Durchführung der Studie.



## Kontaktinformationen

### Notfallrufnummern:

Allgemeine Rufnummer der Ambulanz des Friedrich-Baur-Instituts: 089/5160-7470

Notrufnummer in dringenden Notfällen (24 Stunden Erreichbarkeit) 089/5160-2360

### Allgemeine Kontaktdaten:

Studienleiter: Prof. B. Schoser Telefon: 089/5160-7400

Email: bschoser@med.uni-muenchen.de

Studientherapeutin: S. Thiele Telefon: 089/5160-7478

Email: simone.thiele@med.uni-muenchen.de

Prüfärzte: Dr. med. A. Schüller Telefon: 089/5160-7470

Email: angela.schueller@med.uni-muenchen.de

Dr. med. S. Wenninger Telefon: 089/5160-7470

Email: stephan.wenninger@med.uni-muenchen.de

Internetseite OPTIMISTIC: <http://optimistic-dm.eu>

## Meine Fragen

## Einwilligungserklärung für Patienten

---

 Name des Patienten in Druckbuchstaben

Geburtsdatum

Teilnehmer-Nr.

### OPTIMISTIC-Beobachtungsstudie

#### **OPTIMISTIC = *Observational Prolonged Trial in Myotonic Dystrophy type 1 to Improve Quality of Life Standards, a Target Identification Collaboration***

Ich bestätige, die Patienteninformation (Version 2.4 vom 14.02.2014) zur Teilnahme an der Studie gelesen und verstanden zu haben. In einem persönlichen Gespräch durch den Prüfarzt bin ich ausführlich und verständlich über die Studie aufgeklärt und es sind all meine Fragen ausreichend beantwortet worden.

Mir ist bekannt, dass die Teilnahme an der Studie vollkommen freiwillig ist und dass ich jederzeit und ohne Angabe von Gründen meine Einwilligung zur Teilnahme an der Studie zurückziehen kann (mündlich oder schriftlich), ohne dass mir daraus Nachteile für meine künftige medizinische Behandlung entstehen.

Ich willige in die Teilnahme an der oben genannten Studie ein und bin mit der in der Patienteninformation geschilderten Vorgehensweise einverstanden.

#### **Datenschutzpassus**

1. Ich erkläre mich damit einverstanden, dass im Rahmen dieser klinischen Studie personenbezogene Daten – bsp. über meine Gesundheit - erhoben und in Papierform sowie auf elektronischen Datenträgern beim Friedrich-Baur-Institut aufgezeichnet werden. Bei dieser Studie werden die Vorschriften über die ärztliche Schweigepflicht und den Datenschutz eingehalten. Soweit erforderlich, werden persönliche Daten und Befunde über Sie erhoben, gespeichert und verschlüsselt (pseudonymisiert) zur Auswertung weitergegeben an: *Universität von Newcastle und/oder Newcastle upon Tyne NHS Foundation Trust*. Dabei erscheinen weder Ihr Name noch Ihre Initialen oder das exakte Geburtsdatum im Verschlüsselungscode.
2. Ich erkläre mich damit einverstanden, dass meine Blut-, Urin- und DNA-Proben doppelt pseudonymisiert zur Analyse weitergegeben werden, die Aufbewahrung der Proben erfolgt in der *Biobank der Universität von Newcastle für Neuromuskuläre Erkrankungen (Newcastle MRC Centre Biobank)*. Sollten die Proben für andere Studienzwecke weiterverwendet werden, bedarf dies meiner ausdrücklichen Zustimmung, in diesem Fall ist eine Anonymisierung zwingend.
3. Der Zugang zu den Originaldaten und zum Verschlüsselungscode ist auf folgende Personen beschränkt: Prof. Dr. med. B. Schooser, Dr. med. Angela Schüller, Dr. med. S. Wenninger. Die Unterlagen werden im Friedrich-Baur Institut der LMU München für 10 Jahre aufbewahrt und anschließend vernichtet. Die Entschlüsselungsliste verbleibt im Friedrich-Baur-Institut der LMU München.
4. Eine Entschlüsselung erfolgt lediglich in Fällen, in denen es Ihre eigene Sicherheit erfordert („medizinische Gründe“) oder falls es zu Änderungen in der wissenschaftlichen Fragestellung kommt („wissenschaftliche Gründe“).
5. Im Falle von Veröffentlichungen der Studienergebnisse bleibt die Vertraulichkeit der persönlichen Daten ebenfalls gewährleistet.

**Ein Exemplar der Patienteninformation und -Einwilligung habe ich erhalten.**

**Ein Exemplar verbleibt im Prüfzentrum.**

---

 Name des Patienten in Druckbuchstaben

Datum

Unterschrift des Patienten

---

 Name des/der aufklärenden Prüfarztin/Prüfarztes

Datum

Unterschrift der Prüfarztin/ des Prüfarztes

## Einwilligungserklärung für zusätzliche Punkte (optional)

---

 Name des Patienten in Druckbuchstaben

Geburtsdatum

 Teilnehmer-Nr.
 

---

### OPTIMISTIC-Beobachtungsstudie

**OPTIMISTIC = *Observational Prolonged Trial in Myotonic Dystrophy type 1 to Improve Quality of Life Standards, a Target Identification Collaboration***

---

► **Die Zustimmung oder Ablehnung der folgenden Punkte hat keinen Einfluss auf meine Studienteilnahme.**

- |  | ja                    | nein                  |
|--|-----------------------|-----------------------|
| Ich stimme zu, dass mein behandelnder Hausarzt über meine Studienteilnahme informiert wird.  | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| Ich möchte in Zukunft über weitere Studien vom Studienteam informiert werden.  | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| Ich erkläre mich damit einverstanden, dass meine im Rahmen der Studie gesammelten, doppelt pseudonymisierten Blut-, DNA- und Urinproben <b>für einen Zeitraum bis zu 10 Jahren</b> in der <i>Biobank der Universität von Newcastle (08/H0906/28+5)</i> aufbewahrt werden.  | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| Ich erkläre mich damit einverstanden, dass meine Blut-, DNA- und Urinproben ggf. für spätere Forschungszwecke in <b>irreversibel anonymisierter</b> Form im Rahmen wissenschaftlich anerkannter und ethisch überprüfter und genehmigter Studien weiterverwendet werden. Hierbei ist ein Rückschluss auf mich als Person nicht möglich. | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| Sollte meine Studienteilnahme vorzeitig beendet werden (durch meine eigene Entscheidung oder durch das Studienteam), dürfen meine bisher erhobenen Daten aufbewahrt und für die Studienauswertung berücksichtigt werden. <b>Falls nein, werden die pseudonymisiert gespeicherten Daten vernichtet.</b>                                 | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| Ich willige ein, dass das Studienteam Zugang zu alten noch zur Verfügung stehenden DNA-Proben von mir erhält.  | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| Ich stimme zu, dass Angehörige oder Bezugspersonen bei der Studie eingebunden werden, sofern diese es wünschen.  | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| Ich bin einverstanden, dass einzelne Therapiesitzungen im Rahmen der Studie auf Tonträgern aufgezeichnet oder in Schriftform dokumentiert werden. Mein Name wird sowohl auf den Tonaufnahmen als auch von den Schriftstücken entfernt.   | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |

---

 Name des Patienten in Druckbuchstaben

Datum

 Unterschrift des Patienten
 

---



---

 Name des/der aufklärenden Prüferin/Prüfers

Datum

 Unterschrift der Prüferin/ des Prüfers
 

---