



Pompe hastaları için bilgi derlemesi

Doğru, güncel tıbbi bilgilere erişim hem siz hem doktorunuz için zorunludur. Bu tıbbi bilgileri elde etmek amacıyla bilim insanları, hastalar ve endüstri bir süredir bir soruşturma ve kayıt programı üzerinde çalışmaktadır.

IPA/Erasmus MC Pompe Soruşturması (IPA/Erasmus MC Pompe Survey) hasta güdümlüdür. Hastalar bu ankette anahtar rol oynamakta ve bilim insanlarına veri sağlamaktadır. Pompe Kayıt Programı (Pompe Registry), hastaların hekimleri yoluyla elde edilen veriler için elektronik bir hastalık kayıt programıdır. Hastalığın tedavisinde hekimlere yardımcı olmak üzere verilere ve araçlara ivedi erişim sağlamaktadır. Pompe hastaları ve hekimleri internet üzerinden Pompe Registry bilgilendirme web sitesine erişebilmektedir.



Hem IPA/Erasmus MC Pompe Soruşturması hem Pompe Kayıt Programı, Pompe hastalığı hakkında daha fazla bilgi edinmeye yardımcı olan ve birbirini tamamlayan son derece önemli girişimlerdir. Bu kitapçık, her iki veri tabanının hedeflerini, nasıl işlediklerini ve nereden daha fazla bilgi edinebileceğinizi size açıklamaktadır.

S IPA/Erasmus MC Pompe Soruşturması Nedir?

C 2002 yılında, Uluslararası Pompe Derneği ve Rotterdam, Hollanda'daki Erasmus Üniversitesi Tıp Merkezi (MC) ortak bir çalışma yaparak, Pompe hastalığı olan daha yaşlı hastalar için bir anketler derlemesinin geliştirilmesini ve

dağıtılmasını içeren 'Pompe Soruşturması' projesini başlatmıştır. Bu araştırmanın amacı, Pompe hastalığının erişkin formunu tanımlamaktır: hasta nüfusunda hastalığın doğal seyri, şiddeti ve (tıbbi) bakım kullanımı. İkinci hedef, hastalık şiddetinin ölçülmesi ve zaman içindeki değişikliklerin değerlendirilmesi için ölçüm ölçeklerinin geliştirilmesi ve test edilmesidir. Enzim yerine koyma tedavisinin

Pompe hastalığının diğer adları

Asit alfa-glukozidaz yetersizliği, asit maltaz yetersizliği (AMY), tip II glikojen depo hastalığı (GDH), glikojenoz II ve lizozomal alfa-glukozidaz yetersizliği.

Pompe hastaları için bilgi derlemesi (devam)

etkilerinin hasta perspektifinden izlenebilmesi için, enzim yerine koyma tedavisine başladığınızda katılıma devam etmeniz (veya başlamanız) önemlidir.

Tanı, hastalık öyküsü, çocukluk çağında gelişim, hareket yeteneği, solunum problemleri, spesifik semptomlar, günlük etkinlikler ve bakım kullanımı gibi konuları kapsayan bir anket geliştirilmiştir. Halsizlik (halsizlik şiddeti ölçeği), engellilik düzeyi (Rotterdam 9 maddelik engellilik ölçeği) ve yaşam kalitesinin (SF-36 sağlık anketi) ölçülmesi için mevcut anketler eklenmiştir.

S IPA/Erasmus MC Pompe Soruşturması nasıl işliyor?

C Bu hasta güdümlü soruşturmaya katılmak için, hasta örgütünüzle, IPA sekreteryası ya da www.pompecenter.nl aracılığıyla Rotterdam, Erasmus MC'deki Pompe Merkezi ile temasa geçebilirsiniz. Katılma talebiniz alındığında, bir 'bilgilendirilmiş olur' imzalamanız istenecektir. Bu, araştırmanın niteliği, amaçları ve hasta gizliliği ile ilgili bilgileri açıklayan bir formdur. Doğrudan Erasmus MC'ye gönderilebilir ya da hasta örgütünüz aracılığıyla iletilebilir. Rotterdam'daki Pompe Merkezi bu bilgilendirilmiş olur belgesini aldıktan sonra, anket evinize gönderilecektir. Anketi doldurduktan sonra, Pompe Merkezi'ne ya da hasta örgütünüze geri gönderebilirsiniz. Sağladığınız veriler bilgisayara girilecek ve Erasmus MC'de analiz edilecektir. Eğer kabul ederseniz, aynı anketi her yıl doldurmanız istenecektir.

Bu sürekli veri girişi, hastalığın doğal seyri ve Myozyme tedavisinin etkisine ilişkin değerli takip bilgileri sağlamaktadır.

S IPA/Erasmus MC Pompe Soruşturması bilgileri ne ölçüde gizli tutulmaktadır?

C Pompe Merkezi'ne sağladığınız bilgiler gizlidir. Kimliğinizi açıklayabilecek bilgiler anketteki yanıtlardan ayrı tutularak, özel bir veri tabanında saklanacaktır. Bu veri tabanına yalnızca Erasmus MC Pompe Merkezi'nden bir araştırmacı ya da hekim girebilecektir. Soruşturmadaki her bir katılımcının özgün bir araştırma numarası olacaktır. Veri analizi amacıyla yalnız bu numara kullanılacak (ve adınız kullanılmayacaktır).

S IPA/Erasmus MC Pompe Soruşturması verileriyle ne yapılacak?

C İyi bir grup genel bakışı elde etmek üzere, her bir yanıt diğer Pompe hastalarının yanıtlarıyla ilişkilendirilecektir. Bu yaklaşım bilim insanlarına iyi bireysel ve grup takibi sağlamaktadır. IPA/Erasmus MC Pompe Soruşturması sonuçları bilimsel dergilerde yayımlanarak, Pompe hastalığı üzerinde çalışan diğer hekimler ve araştırmacıların derlenmiş verilerden yararlanmalarına olanak sağlanacaktır. Pompe Merkezi www.pompecenter.nl web sitesinde 'yayınlar' başlığı altında bu yayınları genel olarak gözden geçirebilirsiniz.

Pompe hastaları için bilgi derlemesi (devam)

S IPA/Erasmus MC Pompe Soruşturması'na nasıl katılabilirim?

C Pompe hastaları Hollanda, Almanya, İngiltere, Fransa, ABD, Avustralya ve Kanada'daki IPA bağlantılı hasta örgütleri aracılığıyla bu projeye katılmıştır. Diğerleri doğrudan Erasmus MC aracılığıyla bireysel olarak katılmıştır. Fransa'da, bu araştırma hasta örgütü ve Paris'teki Institut de Myologie'nin işbirliği ile yürütülmektedir.

IPA/Erasmus MC Pompe Soruşturması'na hala katılmak mümkündür. Anket Flemenca, İngilizce, Fransızca ve Almanca olarak mevcuttur. Daha fazla bilgi için Pompe Merkezi www.pompecenter.nl web sitesini ziyaret ediniz ya da IPA sekreteryasıyla temasa geçiniz.

S Hastalık kayıt programı nedir?

C Hastalık kayıt programı, spesifik bir tıbbi durumu olan hastalara ilişkin tıbbi bilgileri içeren bir veri tabanıdır. Hekimler bu veri tabanında toplanan bilgileri, hastalığın daha iyi anlaşılmasını sağlamak ve herhangi bir hastalık destek önleminin etkililiğini izlemek amacıyla kullanmaktadır. Nihai hedef, sizin gibi hastaların klinik sonuçlarını iyileştirmektir; işte bu nedenle, hekimlerin ve hastaların katılımı bu kayıt programının başarısı için kritik önem taşımaktadır. Kayıt

programlarının Pompe gibi nadir hastalıklarda özellikle değerli olduğu kanıtlanmıştır.

S Pompe Kayıt Programı nedir?

C Eylül 2004 tarihinde başlatılan ve Genzyme tarafından desteklenen Pompe Kayıt Programı, Pompe hastalığının doğal seyrinin daha iyi anlaşılmasını sağlamak ve hasta sonuçlarını izlemek amacıyla oluşturulmuş küresel, gizli, gözlemsel, İnternet tabanlı bir hastalık kayıt programıdır. Pompe Kayıt Programı, tedavi ne olursa olsun tüm Pompe hastalarına açık bir gönüllü programıdır.

S Pompe Kayıt Programı'nın amaçları nedir?

C Pompe Kayıt Programı'nın birçok amacı vardır. Birincil olarak, hastaların ve hekimlerinin Pompe hastalığının değişkenliği, ilerlemesi ve doğal öyküsünü daha iyi anlamalarına olanak sağlamaktadır. Pompe Kayıt Programı, küresel Pompe hastası nüfusunu karakterize etmeye ve tanımlamaya ve herhangi bir ve tüm hasta destek önlemlerinin zaman içindeki etkinliğini izlemeye yardımcı olan bir araçtır. Pompe Kayıt Programı aracılığıyla, hekimler hastaya özgül online raporlara erişerek hastalığın ilerlemesini izleyebilir ve klinik karar verme sürecinin niteliğini artırabilir. Pompe Kayıt Programına erişen hekimler ayrıca en son

Pompe hastaları için bilgi derlemesi (devam)

hastalık kılavuzları, yayınlar ve uygulama yaklaşımlarını da elde edebilir. Dahası, Pompe Kayıt Programı Pompe hastalığının tedavisinde yeni alanları ele alacak ortak araştırmalar ve yayınlar için de bir temel sağlamaktadır.

S Pompe Kayıt Programı nasıl işliyor?

C Siz ve hekiminizin Pompe Kayıt Programı'na katılmayı kabul ettiğinizi varsayalım. Düzenli check-up'lar yaptırdığınızda, hekiminiz tarafından toplanan klinik bilgilerden bazıları Pompe Kayıt Programı'nda belgelenir. Bu verilere örnekler arasında kalp, kas, solunum ve yaşam kalitesi bilgileri sayılabilir.

Yalnızca hekiminiz bu bireysel bilgilere erişebilir. Ancak, Kayıt Programı'ndaki tüm hastalara ait veriler katılan tüm hekimler tarafından toplu olarak ve anonim biçimde gözden geçirilebilir.

Pompe hastalığını tedavi eden tüm tıp ve sağlık mesleği mensuplarının Pompe hastalarını Pompe Kayıt Programına kaydettirmeleri ve izlemeleri teşvik edilmektedir.

S Pompe Kayıt Programı bilgileri ne ölçüde gizli tutulmaktadır?

C Ulusal gizlilik yönetmelikleri ve tıbbi bilgilerle ilgili diğer yasalar uyarınca, veriler Pompe Kayıt Programı'na sunulmadan önce hekiminiz uygun biçimde

izinizi almak zorundadır. Hasta gizliliğini korumak için, tüm hastalar başka özgün tanımlayıcılarla değil, yalnızca Kayıt Programı kimlik (ID) numarasıyla tanımlanmaktadır.

Tüm hekim bilgileri de gizlidir. Hekime özgül hasta verileri gizli kalmakta ve önceden yazılı onay alınmaksızın diğer hekimlere açıklanmamaktadır. Hekimler arası veri karşılaştırmaları yapılmamaktadır. Pompe Kayıt Programı ayrıca katılan hekimlere, kendi Pompe hastalarından elde ettikleri klinik bilgileri Kayıt Programındaki toplu verilerle karşılaştırma olanağı da sağlamaktadır.

Pompe Kayıt Programı verileri periyodik olarak ve tıp toplumundan kayıt verileri için spesifik talepler geldiğinde özel amaçlı olarak analiz edilmekte ve bildirilmektedir. Hekimler işbirliği yapma, gözlemlerini paylaşma ve değerlendirme için hipotezler üretmenin yanı sıra, gelecekteki tedavi girişimlerine yön verme ve değerlendirme çabasıyla klinik verilerin toplanmasına yardımcı olmaya teşvik edilmektedir. Sonuç olarak, Pompe Kayıt Programı uzun dönemli bir programdır ve süresiz olarak devam edecektir.

Pompe Kayıt Programı hakkında daha fazla bilgi almak için www.pomperegistry.com web sitesini ziyaret edebilirsiniz.

Pompe hastaları için bilgi derlemesi (devam)

S Pompe Kayıt Programı'na nasıl kaydolabilirim?

C Pompe Kayıt Programı sürekli olarak yeni hekimleri ve hastalarını kaydetmektedir. İlgilenen hastalar daha fazla bilgi almak üzere hekimleriyle konuşmaya teşvik edilmektedir. Hastalar da daha fazla bilgi almak için www.pomperegistry.com web sitesini ziyaret edebilir ve Pompe Hastalığı Değerlendirme Çizelgesi'ni indirebilirler. Hastaların ayrıca, tedaviyi yürüten hekim aracılığıyla edinebilecekleri Pompe Kayıt Programı Hasta İzin formunu doldurmaları da gerekecektir.

S Pompe Kayıt Programı ve/veya IPA/Erasmus MC Pompe Soruşturması'ndaki kişisel verilerime erişebilecek miyim?

C Pompe Kayıt Programındaki verilerinize yalnızca hekiminiz aracılığıyla erişebilirsiniz. İstisnai durumlarda, eğer hasta spesifik olarak talep ederse, Pompe Soruşturması'ndan elde edilen verilere erişilebilir.

Bu yayın, kapsanan konuyla ilgili genel bilgi sağlamak amacıyla tasarlanmıştır. Uluslararası Pompe Derneği tarafından bir kamu hizmeti olarak dağıtılmaktadır ve Uluslararası Pompe Derneği, tıbbi veya diğer mesleki hizmetler sunma amacını taşımamaktadır. Tıp sürekli değişmekte olan bir bilimdir. İnsan hatası ve uygulamadaki değişiklikler, böylesi karmaşık materyallerin kesin doğruluğunu garanti etmeyi olanaksız kılmaktadır. Bu bilgilerin diğer kaynaklar, özellikle de hastanın kendi hekimi tarafından doğrulanması gerekmektedir. Myozyme'in etkililiğinin kişiden kişiye farklılık gösterdiğini lütfen unutmayınız.