



## **STRIMVELIS®**

*(für die Expression von ADA transduzierte autologe CD34<sup>+</sup>-Zellen)*

▼ Dieses Arzneimittel unterliegt einer zusätzlichen Überwachung

**Patientenregister-Einwilligungsformular für Patienten mit  
schwerem kombinierten Immundefekt infolge  
Adenosindesaminase-Mangels (ADA-SCID), die mit dem  
Gentherapeutikum Strimvelis® behandelt werden: Nicht-  
interventionelle langfristige Nachbeobachtung der  
Verträglichkeit und Wirksamkeit**

Arzt des Registers:  
Name der Einrichtung:  
Adresse des Zentrums:  
Telefonnummer:  
Nummer/Kennung des Patienten:

Behandelnder Arzt:  
Name der Einrichtung:  
Adresse des Zentrums:  
Telefonnummer:

## **Einleitung**

Sie haben Ihre Einwilligung gegeben, dass Ihr Kind oder das Kind unter Ihrer Vormundschaft mit dem Gentherapeutikum Strimvelis® behandelt wird. Wir bitten Sie nun um Ihre Einwilligung, dass Ihr Kind oder das Kind unter Ihrer Vormundschaft auch an einem Nachbeobachtungsregister teilnimmt. Da es sich um eine neue Produktart handelt, wissen wir wenig über ihre langfristigen Wirkungen. Aus diesem Grund schreiben die Regulierungsbehörden die Nachbeobachtung der Patienten vor. Die aus diesem Register gewonnenen Erkenntnisse können den Ärzten dabei helfen, die Behandlungsoptionen bei ADA-SCID besser zu verstehen.

Unter diesem Register sollen alle medizinischen Informationen zu Ihrem Kind oder dem Kind unter Ihrer Vormundschaft vereint werden, die im Rahmen der gewöhnlichen medizinischen Versorgung gesammelt werden. Das Team des Registers wird Ihnen erklären, worum es sich handelt. Es wird Ihnen auch das Ziel des Registers erläutern, was Sie und Ihr Kind oder das Kind unter Ihrer Vormundschaft machen müssen und welche möglichen Risiken und Vorteile mit der Teilnahme an dem Register einhergehen.

Um die in diesem Formular enthaltenen Informationen übersichtlicher zu gestalten, verwenden wir im Folgenden den Begriff „Kind“ für Ihr Kind oder das Kind unter Ihrer Vormundschaft.

Die Teilnahme Ihres Kindes an dem Register erfolgt freiwillig. Stellen Sie dem Team des Registers jegliche Fragen, die Sie zu dem Register haben. Sie können entscheiden, dass Ihr Kind nicht an dem Register teilnimmt, ohne dass sich daraus Konsequenzen für seine medizinische Behandlung ergeben. Bitte beachten Sie aber, dass das Sammeln von Informationen über die Gesundheit Ihres Kindes sehr wichtig ist, da diese Informationen uns dabei helfen können, in Zukunft die beste Behandlungsmethode für Kinder mit diagnostiziertem ADA-SCID zu wählen.

Diese Einwilligungsförmular wurde von der Ethikkommission ..... geprüft und genehmigt. Diese Kommission prüft Forschungsstudien und achtet auf die Wahrung der Rechte und des Wohlbefindens der Teilnehmer. Einige der in diesem Einwilligungsförmular enthaltenen Informationen sind gesetzlich vorgeschrieben.

### **Was bedeutet „seine Einwilligung geben“?**

Sie allein können entscheiden, ob Sie und Ihr Kind an dem Register teilnehmen wollen. Lesen Sie sich zuerst alle Fragen und Antworten in diesem Formular durch, bevor Sie Ihre Entscheidung treffen.

Sie können die Entscheidung mit Ihrer Familie, Freunden und/oder Ihrem behandelnden Arzt besprechen. Nehmen Sie sich so viel Zeit wie nötig, um eine Entscheidung zu treffen.

Nachdem Sie das Formular gelesen haben, können Sie alle Fragen stellen, die Sie haben. Nachdem Sie alle Fragen gestellt und zufriedenstellende Antworten darauf erhalten haben und sich entscheiden, dass Ihr Kind an dem Register teilnimmt, bitten wir Sie, dieses Formular zu unterzeichnen, um anzugeben, dass Sie der Teilnahme an dem Register zustimmen. Das heißt „seine Einwilligung geben“.

Sie können Ihre Meinung ändern und entscheiden, dass Ihr Kind nicht an dem Register teilnimmt, selbst nachdem Sie das vorliegende Einwilligungsformular unterzeichnet haben. In diesem Fall wenden Sie sich bitte an das Team des Registers. Sie müssen Ihre Entscheidung nicht begründen.

### **Aus welchen Gründen wird dieses Register angelegt?**

Ziel dieses Registers ist es, die Verträglichkeit und Wirkung der Gentherapie mit Strimvelis® zu überwachen, indem über einen Zeitraum von 15 Jahren nach der Behandlung Informationen über die Gesundheit Ihres Kindes gesammelt werden. Auch wenn Strimvelis® nur ein einziges Mal angewendet wird, sollte die Behandlung eine nachhaltige Wirkung haben. Da die genetisch veränderten Zellen lange im Organismus verbleiben, ist eine langfristige Beobachtung der Gesundheit Ihres Kindes notwendig. Das Arzneimittel gehört einer neuen Arzneimittelkategorie an, die virale Vektoren benötigt, damit das normale Gen in die Zellen des Patienten transportiert wird. Da es sich um eine neue Produktart handelt, wissen wir nur wenig über die langfristigen Wirkungen. Aus diesem Grund ist die Beobachtung der Patienten notwendig.

### **Welches Unternehmen finanziert das Register und auf welchem Gebiet ist es tätig?**

GSK ist ein auf die Entwicklung und Herstellung von Impfstoffen, Arzneimitteln und anderen Gesundheitsprodukten spezialisiertes Unternehmen. GSK finanziert ein kleines Team für die Verwaltung des Registers. GSK bezahlt nicht die Ärzte, die Ihr Kind im Rahmen seiner gewöhnlichen medizinischen Versorgung aufsucht.

Weder Sie noch Ihr Kind erhalten für die Teilnahme an dem Register eine Vergütung. Durch die Teilnahme an dem Register entstehen Ihnen keine Kosten.

### **Was beinhaltet dieses Register? Was müssen mein Kind und ich im Rahmen der Teilnahme an diesem Register tun?**

Sie und Ihr Kind müssen keine anderen Untersuchungen durchführen lassen als diejenigen, die im Rahmen der gewöhnlichen medizinischen Versorgung vorgesehen sind. Während Ihr Kind im Krankenhaus San Raffaele oder von behandelnden Ärzten mit Strimvelis® und anderen Arzneimitteln behandelt wurde, werden ihm im Rahmen dieses Nachbeobachtungsprogramms keine weiteren Arzneimittel verabreicht.

Bitte informieren Sie Ärzte, die ihr Kind behandeln, dass es mit Strimvelis® behandelt wurde. Sie erhalten von uns ein Schreiben, das Sie den Ärzten vorlegen können, damit diese die Behandlung, die Ihr Kind erhalten hat, besser verstehen.

Wir bitten Sie auch darum, den Ärzten, die Ihr Kind evaluieren und behandeln, zu gestatten, dem Team des Registers Informationen zur Gesundheit des Kindes bereitzustellen. Sie werden Formulare in elektronischer oder Papierform erhalten, die Sie den Ärzten Ihres Kindes vorlegen. Diese Formulare enthalten Informationen über das Wachstum Ihres Kindes, über die Entwicklung seines Gesundheitszustandes und jede schwere Erkrankung, an der es leiden könnte, sowie die Ergebnisse der gewöhnlichen Bluttests und weitere wichtige Informationen.

Wir bitten Sie oder den Arzt Ihres Kindes, diese Formulare per E-Mail oder im vorfrankierten Rückumschlag an das Team des Registers zu schicken. Sie erhalten von uns eine Telefonnummer, unter der Sie oder der Arzt Fragen zu dem Register stellen können.

Die Ihr Kind betreffenden Informationen werden vom Arzt und vom Team des Registers geprüft. Sollten sie Fragen zur Gesundheit Ihres Kindes haben, werden sie um Ihre schriftliche Genehmigung bitten, Kontakt mit dem Arzt Ihres Kindes aufzunehmen, um weitere Informationen zu erhalten.

Sie werden bis zu 11 Jahre nach der Behandlung mit Strimvelis® mindestens einmal im Jahr kontaktiert, sowie nach 13 und 15 Jahren, um herauszufinden, ob Ihr Kind im Laufe des Vorjahres einen Arzt aufgesucht hat. Sollten diese Ärzte keine Informationen bereitgestellt haben, wird das Team des Registers Sie um die Genehmigung bitten, die Ärzte zu kontaktieren. Nach 15 Jahren und bis zum Abschluss des Nachbeobachtungsprogramms wird das Team des Registers Sie alle zwei Jahre kontaktieren, um den allgemeinen Gesundheitszustand Ihres Kindes in Erfahrung zu bringen.

Damit wir nicht den Kontakt zu Ihnen verlieren, möchten wir Sie bitten, Ihre Kontaktangaben auf dem neuesten Stand zu halten, damit das Team des Registers Sie in den nächsten Jahren bis zum Abschluss des Nachbeobachtungsprogramms wieder kontaktieren kann.

Wir bitten Sie auch um Namen und Kontaktangaben von Familienmitgliedern, Freunden und Ärzten Ihres Kindes. Falls wir Sie nicht erreichen können, werden wir uns unter Umständen an diese Personen wenden. Sollte das Team des Registers Sie während der Nachbeobachtung (und wenn Ihr Kind nicht aus dem Register ausgetreten ist) nicht erreichen können, um die Überwachung der Gesundheit Ihres Kindes fortzusetzen, kann es ein Unternehmen beauftragen, dem Arzt des Registers zu helfen, Sie zu erreichen. Dadurch sollen keine wichtigen Informationen zur Verträglichkeit der Behandlung verloren gehen.

Die Kontaktangaben, die Sie uns geben, werden vertraulich behandelt; sie werden nur vom Team des Registers aufbewahrt und GSK nicht mitgeteilt.

### **Wie lange dauert die Teilnahme meines Kindes am Register?**

Wie bereits oben beschrieben finden die Kontakte in den ersten ca. 15 Jahren nach der Behandlung mit Strimvelis® häufiger statt und nehmen bis zum Abschluss des Registers ab. Wenn Ihr Kind noch am Register teilnimmt, wenn es volljährig (zum Beispiel 18 Jahre) wird, wird es evtl. gefragt, ob es weiter am Register teilnehmen möchte (das nennt sich eine „erneute Einwilligung“).

Auch wenn Sie Ihre Einwilligung zur Teilnahme Ihres Kindes an dem Register gegeben haben, muss es, wenn es erwachsen wird und dazu in der Lage ist, an der Entscheidung hinsichtlich seiner Teilnahme an dem

Register beteiligt sein. Soll ein Kind mitentscheiden, spricht man von einer Zustimmung. Je nachdem, wie Sie und das Team des Registers den Reifegrad Ihres Kindes einschätzen, können wir regelmäßig nach seiner Zustimmung zur Teilnahme an dem Register fragen, auch wenn es noch nicht volljährig ist. Wenn Sie und das Team des Registers sich einig sind, dass Ihr Kind seine Zustimmung geben kann, wird ein Mitglied des Teams von Strimvelis® ein Gespräch mit ihm führen, um ihm auf verständliche Art die wichtigsten Informationen zu geben. Wir werden Ihr Kind bitten, ein Zustimmungsbildschirm zu unterzeichnen (Sie erhalten ein Exemplar), das seine Zustimmung zur Teilnahme am Register bestätigt.

### **Welche Auswirkungen hat meine Teilnahme an diesem Register auf meinen Lebensstil und den meines Kindes?**

Es handelt sich um ein Nachbeobachtungsregister. Das bedeutet, dass Ihr Kind im Rahmen seiner Teilnahme kein weiteres Arzneimittel erhält und auch keinen weiteren Untersuchungen unterzogen wird. Ziel des Registers ist es, alle bereits zu Ihrem Kind im Rahmen der gewöhnlichen medizinischen Versorgung gesammelten medizinischen Informationen zu vereinen. Aus der Teilnahme Ihres Kindes an dem Register ergeben sich keine Konsequenzen für seine medizinische Behandlung.

### **Welche Ereignisse werden in diesem Register beobachtet?**

Die Verträglichkeit und Wirksamkeit von Strimvelis® wurden von den zuständigen Gesundheitsbehörden beurteilt. Sie kamen zu Ergebnis, dass es sich für einige Patienten um eine gute Behandlungsmethode handelt. Nichtsdestotrotz handelt es sich bei der Gentherapie um eine neue Behandlungsart. Daher sind die Informationen aus diesem Nachbeobachtungsregister sehr wichtig, um die Auswirkungen der Behandlung mit Strimvelis® auf Ihr Kind über einen langen Zeitraum zu verstehen.

Dieses Register beobachtet das Wachstum Ihres Kindes und alle möglichen Nebenwirkungen von Strimvelis®. Im Folgenden werden die Nebenwirkungen aufgelistet, die bei Patienten mit ADA-SCID gemeldet wurden und die auf die Anwendung von Strimvelis® zurückzuführen sein können.

Folgende Nebenwirkungen sind sehr häufig aufgetreten (bei mehr als 1 von 10 Personen):

- Unterfunktion der Schilddrüse (*Hypothyreose*)
- Verstopfte oder laufende Nase (*allergische Rhinitis*)
- Pfeifende Atmung, Schwierigkeiten beim Atmen (*Asthma*)
- Entzündungen der Haut mit Juckreiz (*atopisches Ekzem, Ekzem*)

- Erhöhte Temperatur (*Fieber*)
- Antinukleäre Antikörper (ein Zeichen, dass Ihr Immunsystem versehentlich Ihr eigenes Gewebe angegriffen haben kann)

Folgende Nebenwirkungen sind häufig aufgetreten (bei bis zu 1 von 10 Personen):

- Abnahme der Anzahl von Blutkörperchen (*autoimmunhämolytische Anämie, autoimmunbedingte aplastische Anämie*)
- Rote oder violette Punkte unter der Haut, Blutungen unter der Haut (*immunthrombozytopenische Purpura*)
- Schilddrüsenentzündung (*Autoimmunthyreoiditis*)
- Schwächegefühl und Schmerzen in Händen und Füßen (*Guillain-Barré-Syndrom*)
- Leberentzündung (*Autoimmunhepatitis*)
- Anti-Neutrophile cytoplasmatische Antikörper und Antikörper gegen glatte Muskulatur (ein Zeichen, dass Ihr Immunsystem versehentlich Ihr eigenes Gewebe angegriffen haben kann)

Es ist theoretisch möglich, dass das Einschleusen des retroviralen Vektors in die DNA zu einer Leukämie führt. In klinischen Gentherapie-Studien zu anderen Krankheiten als ADA-SCID entwickelte sich bei einigen Patienten eine Leukämie oder eine andere bösartige Erkrankung des Blutsystems. Obwohl dieses Phänomen bei keinem mit Strimvelis® behandelten Patienten beobachtet wurde, wurde Ihrem Arzt empfohlen, bei Ihrem Kind während der langfristigen Nachbeobachtung auf Zeichen dieser Krebserkrankungen zu achten.

Da die Behandlung mit Strimvelis® das defekte Gen des ADA-Enzyms in den Keimzellen des Patienten (Spermazellen oder Eizellen) nicht korrigieren kann, wird dieser Defekt an alle Nachkommen weitergegeben, die, je nach Erbmateriale des anderen Elternteils, möglicherweise an ADA-SCID leiden werden. Auch wenn das theoretische Risiko besteht, dass eine kleine Menge des retroviralen Vektors noch in Strimvelis® vorhanden ist, wenn das Arzneimittel Ihrem Kind verabreicht wird, ist es unwahrscheinlich, dass dieser sich auf die Samen- oder Eizellen überträgt. Zum geeigneten Zeitpunkt empfehlen wir, dass Sie Ihren Arzt aufsuchen, um Tipps zum Thema Genetik und/oder Familienplanung zu erhalten.

## **Nur für Teilnehmerinnen**

Da die Auswirkungen von Strimvelis® auf ein ungeborenes Kind nicht bekannt sind und nicht am Menschen untersucht wurden, müssen Sie das Team des Registers umgehend informieren, wenn Ihre Tochter sexuell aktiv ist und schwanger wird. Das Team des Registers wird die Genehmigung Ihrer Tochter einholen (sowie Ihre, falls Ihre Tochter minderjährig ist), ihre Gesundheit und die ihres Babys während der Schwangerschaft beobachten zu dürfen.

### **Welche Vorteile kann mein Kind aus diesem Register erwarten?**

Die Informationen dieses Nachbeobachtungsregisters sind sehr wichtig, um zu bestimmen, ob die Behandlung mit Strimvelis® medizinische Probleme bei Ihrem Kind verursacht. Die Informationen dieses Registers können den Ärzten dabei helfen, die Behandlungsoptionen bei ADA-SCID besser zu verstehen und zu ermitteln, wem die Behandlung mit Strimvelis® am meisten nutzen könnte oder bei wem Nebenwirkungen auftreten könnten. Alle in diesem Register gesammelten Informationen können den Ärzten dabei helfen, die beste Behandlungsmethode bei ADA-SCID zu finden, was anderen Patienten in Zukunft helfen kann.

### **Gibt es andere Optionen als eine Teilnahme an diesem Register?**

Ihr Kind kann weiter von seinem Arzt und den Ärzten im Krankenhaus San Raffaele behandelt werden, auch wenn es nicht an diesem Register teilnimmt.

### **Was geschieht mit den mich und mein Kind betreffenden personenbezogenen und medizinischen Daten?**

In diesem Register werden die personenbezogenen und medizinischen Daten in Zusammenhang mit der Behandlung Ihres Kindes mit Strimvelis® verwendet. All diese Informationen werden vertraulich und geschützt behandelt. GSK wird diese Informationen entsprechend geltendem Recht schützen.

Durch Unterzeichnung dieses Einwilligungsforschulars stimmen Sie zu, dass GSK Ihre personenbezogenen und medizinischen Daten sowie die Ihres Kindes wie im Folgenden beschrieben nutzt:

- Ihre personenbezogenen Daten und die personenbezogenen und medizinischen Daten Ihres Kindes werden vom Team des Registers analysiert und können nur von befugten Dritten (wie mit der Genehmigung und Überwachung von Studien beauftragte Behörden) eingesehen werden. Diese Bestimmungen sollen garantieren, dass das Register korrekt geführt wird und die gesetzlichen Anforderungen eingehalten werden.



- Ihre personenbezogenen Daten (wie Name und Kontaktangaben) und die Ihr Kind betreffenden personenbezogenen und medizinischen Daten (wie Namen, Kontaktangaben und Geburtsdatum) werden in eine gesicherte Datenbank des Registers eingetragen. Nur das mit dem Register beauftragte Personal wird dazu befugt sein, auf diese Informationen zuzugreifen, um Ihr Kind für die Zwecke dieses Registers zu beobachten.
- Die Ihr Kind betreffenden Informationen des Registers werden mit einem Code identifiziert (z. B. 1234792). Die Verbindung zwischen dem Namen Ihres Kindes und dem Code wird nur mit den Personen geteilt, die diese Information benötigen, um Sie für die direkte Beobachtung Ihres Kindes zu kontaktieren. GSK erhält nur den Code und die codierten Informationen.

GSK kann:

- die Ihr Kind betreffenden codierten Daten in elektronischer Form speichern und sie mit einer Software analysieren, um so Ergebnisse aus dem Register zu ziehen. Diese Vorgänge können von GSK oder einem Dritten durchgeführt werden. Im letzteren Fall garantiert GSK, dass dieser Dritte Ihre Daten sichern wird.
- die Informationen mit Regulierungsbehörden teilen, die mit der Zulassung neuer Arzneimittel beauftragt sind.
- die Informationen mit den Personen teilen, die damit beauftragt sind, die korrekte Führung des Registers zu prüfen (wie Ethikkommissionen oder Prüfungsausschüsse).
- die Informationen mit einem Unternehmen teilen, das damit beauftragt wird, Sie zu kontaktieren, falls Sie nicht für die Nachbeobachtung Ihres Kindes ausfindig gemacht werden können.
- die Informationen mit den Ergebnissen aus anderen Studien kombinieren, um mehr über die Gentherapie mit Strimvelis® und anderen Arzneimitteln sowie über ADA-SCID und andere Krankheiten zu erfahren. Das könnte dabei helfen, die Risiken und Vorteile der Medikamente zu beurteilen oder ADA-SCID besser zu verstehen.
- die Ergebnisse des Registers in medizinischen Fachzeitschriften, auf Konferenzen oder im Internet veröffentlichen, damit andere Forscher sie nutzen können. Ihr Name und der Ihres Kindes sowie alle weiteren Sie betreffenden personenbezogenen Daten werden nicht veröffentlicht.
- codierte Informationen mit anderen Unternehmen, Organisationen oder Universitäten zu Forschungszwecken teilen, darunter zur Verbesserung der Qualität und Wirksamkeit von klinischen Forschungsstudien im Allgemeinen.

Die im Rahmen des Registers gesammelten personenbezogenen und medizinischen Daten können in das Land übertragen und dort gespeichert und verwendet werden, in dem Sie mit Ihrem Kind leben, oder in ein anderes Land, in dem GSK oder seine Partner tätig sind.

Über den Arzt des Registers können Sie auf alle über Ihr Kind gesammelten Informationen zugreifen und bei Bedarf Korrekturen fordern.

Die Daten werden an einem zentralen Standort von GSK in Übereinstimmung mit Empfehlungen zur Geheimhaltung und der Guten Klinischen Praxis gespeichert. Wenn die Daten in ein anderes Land (internationaler Standort) übertragen werden, werden sie wie in diesem Einwilligungensformular erläutert behandelt.

Eine Beschreibung dieses Registers ist im Register der klinischen Studien von GSK unter der Adresse <http://www.gsk-clinicalstudyregister.com/> verfügbar; diese Beschreibung kann auch in Versuchs-/Studienregistern in Ländern, in denen das Register verwaltet wird, veröffentlicht werden.

In Übereinstimmung mit dem US-amerikanischen Gesetz wird eine Beschreibung dieses Registers auch unter folgender Adresse verfügbar sein: <http://www.ClinicalTrials.gov>. Diese Website wird keine Informationen enthalten, die Sie oder Ihr Kind identifizieren könnten. Auf der Website wird höchstens eine Zusammenfassung der Ergebnisse nach Abschluss des Registers veröffentlicht. Sie können jederzeit auf diese Website zugreifen.

GSK wird Eigentümer der Ergebnisse des Registers sein. GSK kann die Daten verwenden, um geistiges Eigentum (Patente) zu schaffen oder um den Verkauf und die Marktzulassung von Strimvelis® zu unterstützen.

Wenn Sie sich entschließen, Ihre Einwilligung zur Verwendung der personenbezogenen Daten Ihres Kindes zurückzuziehen, wird es nicht mehr an dem Register teilnehmen. Alle Informationen, die vor dem Ausscheiden Ihres Kindes aus dem Register gesammelt wurden, sowie alle mit der Nachbeobachtung zusammenhängenden Informationen werden jedoch weiterhin wie in diesem Einwilligungensformular angegeben verwendet.

Sie können den Arzt oder das Team des Registers jederzeit bitten, Ihre und die personenbezogenen Daten Ihres Kindes einzusehen und bei Bedarf korrigieren zu lassen. Der Arzt des Registers wird Ihnen während der Laufzeit des Registers alle wichtigen medizinischen Informationen, die die Gesundheit Ihres Kindes betreffen, mitteilen.

Gemäß den Datenschutzgesetzen (Privatsphäre-Ausschuss - Stellungnahme Nr. 24/2014 vom 2. April 2014) ist GlaxoSmithKline Research & Development Limited, 980 Great West Road, Brentford, Middlesex, TW8 9GS, Großbritannien als „Kontrolleur“ verantwortlich für den Schutz der Ihr Kind betreffenden Daten. GSK hat die Gesellschaft PPD, Kleine Kloosterstraat 23, 1932 St. Stevens Woluwe, Belgien als seinen „Vertreter“ für die Erfüllung der mit diesem Gesetz einhergehenden Verpflichtungen beauftragt.

### **Ist mein Kind dazu verpflichtet, die Teilnahme am Register fortzusetzen?**

Nein, die Teilnahme Ihres Kindes an dem Register erfolgt freiwillig. Sie können jederzeit entscheiden, dass Ihr Kind nicht mehr an dem Register teilnimmt, ohne einen Grund hierfür angeben zu müssen. Wenn Sie die Teilnahme Ihres Kindes am Register beenden möchten, informieren Sie den Arzt des Registers über Ihre Entscheidung. Ihre Entscheidung wird keine Auswirkung auf die aktuelle oder zukünftige medizinische Versorgung Ihres Kindes haben. Es ergeben sich keine Auswirkungen auf die sonstigen Vorteile, die Ihrem Kind außerhalb des Registers zustehen.

GSK (der Auftraggeber des Registers), die Regulierungsbehörde oder der Arzt des Registers können jederzeit entscheiden, das Register zu beenden. Der Grund dafür wird Ihnen mitgeteilt.

### **Was passiert, wenn ich mich entscheide, mein Kind aus dem Register zu nehmen?**

Wenn Sie sich entscheiden, Ihr Kind aus dem Register zu nehmen und Ihre Einwilligung zurückzuziehen, wird die Erhebung der Informationen zur Gesundheit Ihres Kindes abgebrochen. Bitte beachten Sie, dass wir Ihnen und Ihrem Kind weiterhin wichtige Informationen mitteilen werden, auch wenn Sie aus dem Register ausscheiden.

Jede öffentlich verfügbare Information kann zum Zwecke des Registers verwendet werden, auch nachdem Sie Ihre Einwilligung zurückgezogen haben. Alle vor dem Ausscheiden Ihres Kindes aus dem Register gesammelten Daten werden weiter für die Zwecke des Registers verwendet.

**Was passiert, wenn meinem Kind während seiner Teilnahme am Register etwas Unerwartetes zustößt**

Kontaktieren Sie in jedem Fall den Arzt Ihres Kindes, der GSK bei Bedarf kontaktieren wird.

**Wen kann ich anrufen, wenn ich Fragen habe?**

Sie können den Arzt des Registers:..... bei jeglichen Fragen oder Bedenken in Bezug auf dieses Register anrufen.

Wählen Sie dafür die Nummer: .....

Falls Sie Fragen zu den Rechten Ihres Kindes während seiner Teilnahme am Register haben, wenden Sie sich an die Ethikkommission

.....

unter der Nummer.....

Falls Sie Fragen zu den Nebenwirkungen der Gentherapie mit Strimvelis® haben, wenden Sie sich an das Team des Registers

.....

unter der Nummer.....

## ***Genehmigung der Offenlegung von medizinischen Informationen***

**TITEL:** Nachbeobachtungsprogramm zur Evaluierung der Verträglichkeit und der langfristigen Ergebnisse der Gentherapie mit Strimvelis® bei mit dieser Therapie behandelten Kindern

- Der unterzeichnende Arzt oder das Mitglied des Registerteams hat mir erklärt, worin das Register von mit der Gentherapie mit Strimvelis® behandelten Kindern besteht.
- Dieses Register verlangt, dass der Arzt oder das Team des Registers im Namen meines Kindes die Krankenakte oder medizinische Behandlung bei den Ärzten/Gesundheitseinrichtungen einfordert, die mein Kind aufgesucht hat.
- Ich stimme zu, dass die Krankenakte oder die damit verbundenen medizinischen Daten dem Arzt oder dem Team des Registers bereitgestellt werden, damit sie die Erhebung und die Studie wie in diesem Einwilligungsförmular erläutert durchführen können.

---

Name des Vaters (in Druckbuchstaben)

---

Unterschrift des Vaters

Datum

---

Name der Mutter (in Druckbuchstaben)

---

Unterschrift der Mutter

Datum

---

ODER Name des Erziehungsberechtigten (in Druckbuchstaben)

---

Unterschrift des Erziehungsberechtigten

Datum

Name des Kindes:

Geburtsdatum (TT/MMM/JJJJ):

Ich bestätige, dass ich dieses Register mit dem oben genannten Teilnehmer besprochen habe. Diese Person hat eingewilligt, dass die Krankenakte oder die damit verbundenen medizinischen Daten zum Zwecke der Erhebung von Informationen für dieses Register bereitgestellt werden.

---

Arzt oder Mitglied des Registerteams (in Druckbuchstaben)

---

Unterschrift des Arztes oder des Mitglieds des Registerteams

Datum

Die Informationen werden gesendet an:

Verantwortlicher Herausgeber: GlaxoSmithKline Pharmaceuticals s.a./n.v.  
Site Apollo Avenue Pascal, 2-4-6  
1300 Wavre Belgien.

