

## Patienteninformation für Eltern / gesetzliche Vertreter von Kindern und Jugendlichen mit CML

Therapie der chronisch myeloischen Leukämie bei Kindern und Jugendlichen
<b>CML-paed II Register</b>
Nachbeobachtung der geschlossenen CML-paed II Studie (EudraCT Number: 2007-001339-69)
Leitung: Prof. Dr. Markus Metzler, Kinder- und Jugendklinik in Erlangen

### **Liebe Eltern bzw. gesetzliche Vertreter,**

die folgenden Informationen dienen dazu, Ihnen das CML-paed II Register vorzustellen, damit Sie anschließend über die Teilnahme Ihres Kindes entscheiden können.

### **Warum gibt es ein CML-paed II Register?**

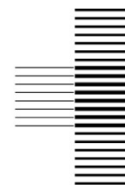
Die chronisch myeloische Leukämie (CML) ist bei Kindern und Jugendlichen eine sehr seltene Erkrankung. Um die optimale Diagnostik und Behandlung gewährleisten zu können, ist es sehr wichtig, die klinischen Daten aller in Deutschland auftretenden Fälle in Form eines Registers zu erfassen und auszuwerten.

### **Hintergrund zur CML im Kindes- und Jugendalter:**

Die chronisch myeloische Leukämie (CML) macht 2% aller Leukämien bei Kindern unter 15 Jahren aus und 9% aller Leukämien bei Jugendlichen zwischen 15 und 19 Jahren. Die jährliche Neuerkrankungsrate beträgt 1 bzw. 2,2 Fälle pro eine Million in diesen beiden Altersgruppen.

Mit der Einführung der Tyrosinkinasehemmer (TKI) kam es zu einem Paradigmawechsel in der Therapie der CML. Die dauerhafte Behandlung mit einem TKI wurde Standard für erwachsene Patienten mit chronischer CML. Die Indikationen für eine hämatopoetische Stammzelltransplantation (HSCT), der einzig etablierten kurativen Behandlung der CML, sind nun sehr limitiert. Inzwischen ist bei einem Teil der Patienten nach längerer Dauer und gutem Ansprechen auf die TKI-Behandlung ein Absetzen der Therapie mit einer anhaltenden Remission (funktionelle Heilung) möglich.

Ein Großteil des Wissens wurde bisher aus der Erwachsenenmedizin übernommen, weil die Erkrankung in dieser Altersgruppe wesentlich häufiger ist. Die Ergebnisse einer Vielzahl biologischer und genetischer Untersuchungen zeigten aber, dass Unterschiede zwischen der



CML-Erkrankung im Kindes – und des Erwachsenenalters in Bezug auf das Erscheinungsbild und dem Fortschreiten der Erkrankung bestehen. Deswegen erfassen und koordinieren wir die Diagnostik, Therapie und Nachsorge von Kindern und Jugendlichen mit CML im CML-paed II Register.

***Wie ist der Ablauf des Registers und was habe ich bei der Teilnahme zu beachten?***

Der behandelnde Arzt leitet die Daten an das CML-paed II Register weiter. Dazu benötigt er die unterschriebene Einwilligungserklärung zur Teilnahme am Register. Dabei gibt es verschiedene Auswahlmöglichkeiten, die Sie bitte den jeweiligen Einwilligungserklärungen entnehmen. Die Behandlung erfolgt im Rahmen der Zulassung sowohl für Imatinib, als auch inzwischen zugelassene Tyrosinkinaseinhibitoren der zweiten Generation Dasatinib und Nilotinib. Die Medikamente werden nicht studienbedingt gegeben.

***Welchen persönlichen Nutzen habe ich von der Teilnahme am CML-paed II Register?***

Die Daten aus dem CML-paed II Register helfen Ihnen und Ihrem behandelnden Arzt, Ihr Kind und andere Kinder und Jugendliche mit CML besser beraten zu können. Das kann in Form von Empfehlungen zur Therapie sein – z.B. bezüglich der individuellen Dosierung, eines notwendigen Medikamentenwechsel oder eines geeigneten Zeitpunktes für eine Therapiepause.

***Was ändert sich durch die Teilnahme am CML-paed II Register gegenüber der sonst üblichen Behandlung?***

Durch das CML-paed II Register entstehen für die Patienten keine Nachteile. Das heißt, es erfolgen keine zusätzlichen Untersuchungen oder Behandlungen. Die Patienten sind unabhängig vom Register in Behandlung (bereits davor und danach).

Es entstehen durch das Register auch keine Nachteile für aktuelle und zukünftige Therapien. Ihre Entscheidung, Ihr Kind, an diesem Register teilnehmen zu lassen, ist freiwillig und kostenfrei. Sie können die Teilnahme jederzeit beenden ohne Gründe anzugeben.

***Was geschieht mit meinen Blut- und Gewebeproben?***

Die Proben werden zur Untersuchung der Erkrankung verwendet, wie von dem behandelnden Arzt angeordnet. Wenn Sie damit einverstanden sind, wird übriges Material für die medizinisch-wissenschaftliche Forschung verwendet. Weitere Informationen entnehmen Sie bitte dem Formblatt „Einwilligungserklärung zur wissenschaftlichen Verwendung von Blut- bzw. Gewebeproben“.



***Was geschieht mit den Daten?***

Alle Informationen werden gemäß des aktuellen Datenschutzgesetzes verschlüsselt. Die im Rahmen des Registers erfassten Daten werden über eine Patientenummer gespeichert. Die Ärzte und alle anderen Mitarbeiter im Krankenhaus haben Schweigepflicht. Das bedeutet, sie dürfen Informationen über die Krankheiten der Patienten nur mit ihrem Einverständnis an Dritte weitergeben. Die Daten Ihres Kindes werden also absolut vertraulich behandelt und gelangen nicht an die Öffentlichkeit. Weitere Informationen entnehmen Sie bitte dem Formblatt „Datenschutzrechtliche Einwilligungserklärung“.

***An wen wende ich mich bei weiteren Fragen?***

Falls Sie jetzt oder auch im Laufe der Behandlung noch Fragen haben, wird der behandelnde Arzt sie gerne beantworten.

Hier finden Sie den Namen Ihres Arztes und die Telefonnummer:

Name: \_\_\_\_\_

Adresse: \_\_\_\_\_

\_\_\_\_\_

\_\_\_\_\_

Tel.: \_\_\_\_\_