



Dr. n. med. Daniel Zielonka
Koordynator EHND Polska

Katowice
18 października 2014



Otwarte wrota do badań klinicznych





- Enroll-HD — ogólnościatowe obserwacyjne, prospektywne, wieloośrodkowe badanie nad chorobą Huntingtona otwarte dla każdego pacjenta z HD oraz dla rodzin pacjentów.
- Platforma Enroll-HD służy:
 - Rozwojowi i ocenie nowych metod badania (np.: zaawansowanemu stadium HD, postaci młodzieńczej itp.),
 - Zidentyfikowaniu (kwalifikacji) markerów biologicznych w HD,
 - Znalezieniu potencjalnych uczestników przyszłych badań klinicznych,
 - Wykorzystaniu szczegółowej charakterystyki stanu klinicznego pacjenta i dużej ilości danych celem poprawy opieki nad pacjentami z HD.



Cele badania

Podstawowym celem badania Enroll-HD jest lepsze zrozumienie zmiany obrazu klinicznego pacjentów i patomechanizmów HD poprzez:

- zebranie danych dotyczących zaburzeń poznawczych, zaburzeń zachowania i zaburzeń ruchowych, umożliwiających oszacowanie tempa progresji HD, umożliwiających wgląd w neurobiologię HD;
- zebranie danych i próbek biologicznych w celu określenia genetycznych i środowiskowych czynników wpływających na kształtowanie fenotypu HD i postęp choroby;
- promowanie badań interrogacyjnych, które mogą pomóc w ustaleniu patogenezы HD.



Istotne kwestie dotyczące badania Enroll-HD

- Badanie nie wiąże się z ewentualnym leczeniem ani inwazyjnymi procedurami.
- Wymagane jest odbycie tylko jednej wizyty rocznie.
- Uczestnicy mają możliwość uzyskania informacji o zbliżających się badaniach obserwacyjnych i klinicznych, w tym badaniach dotyczących nowych metod leczenia.



Kto może wziąć udział w badaniu?

- W badaniu może uczestniczyć każdy członek rodziny dotkniętej HD. Obejmuje to:
 - osoby, które wiedzą, że są nosicielami zmutowanego genu, niezależnie od tego czy występują u nich objawy choroby;
 - osoby zagrożone chorobą (które nie przeszły dotychczas badań genetycznych);
 - osoby z HD w wywiadzie rodzinnym, które wiedzą, że nie posiadają zmutowanego genu;
 - małżonkowie/partnerzy (niespokrewnieni) członków rodziny z HD.
- Dzieci z rozpoznaną klinicznie młodzieńczą postacią HD, które nie ukończyły jeszcze 18 lat, mogą wziąć udział w badaniu za zgodą rodzica lub opiekuna prawnego.



Co należy zrobić, aby wziąć udział w badaniu?

- poinformować personel swojego ośrodka o zainteresowaniu udziałem w badaniu Enroll-HD
- wyrazić zgodę na udział w badaniu

Jaki jest czas trwania badania?

- Badanie Enroll-HD jest badaniem bezterminowym, nie ma określonego ostatecznego terminu jego zakończenia, jednak można się z niego w każdej chwili wycofać.
- Uczestnicy będą odbywali jedną wizytę rocznie.



Jaki jest przebieg wizyt badania?

- ❑ Bardzo podobny do przebiegu wizyt badania REGISTRY również pod względem czasu trwania.
- ❑ Podczas każdej wizyty uczestnicy przechodzą serię badań w kierunku zaburzeń ruchowych i zachowania. Ocena funkcjonowania przeprowadzana będzie w celu określenia stopnia samodzielnego wykonywania przez uczestnika pewnych zadań. Uczestnicy odpowiedzą również na pytania oceniające ich stan emocjonalny i jakość życia. Dodatkowo, w czasie każdej wizyty uczestnicy będą mogli oddać małą ilość krwi, aby pomóc naukowcom:
 - zrozumieć dlaczego i kiedy pojawiają się pewne objawy HD,
 - określić możliwości opracowywania nowych i skutecznych leków.



W jaki sposób zabezpieczane są dane uczestników badania?

- Aby zapewnić ochronę prywatności, dane takie jak imię i nazwisko, adres, numer telefonu i inne informacje identyfikujące uczestników nie są udostępniane nikomu poza lokalnymi koordynatorami badania.
- Dla zapewnienia bezpieczeństwa uczestników oraz zachowania poufności ich danych, prowadzenie badań klinicznych, w tym obserwacyjnych, regulowane jest bardzo surowymi przepisami. Obejmuje to usunięcie danych identyfikujących z informacji i próbek przekazywanych przez uczestników i zastosowanie specjalnego kodowania.



- W czasie procesu wyrażania świadomej zgody i przed włączeniem do badania, uczestnicy otrzymują wszystkie dane dotyczące udziału w badaniu.
- Przed przystąpieniem do badania konieczne jest podpisanie dokumentu świadomej zgody. Dokument ten nie jest wiążący i w każdej chwili z dowolnej przyczyny można wycofać się z badania.
- Zachęcamy, aby przed przystąpieniem do tego lub jakiegokolwiek innego badania, porozmawiać o tym ze swoją rodziną.
- Członkowie rodziny mogą towarzyszyć badanemu podczas wizyt badania lub w inny sposób pomagać w czasie udziału w badaniu.
- Zapewnienie sobie wsparcia rodziny może mieć bardzo istotne znaczenie.



- Uczestnicy badania Enroll-HD mogą liczyć na kwotową refundację dojazdów do ośrodków.
- UWAGA: przekazywana pacjentowi jest jedynie pewna stała kwota ryczałtowa zależna od odległości miejsca zamieszkania/pobytu od Ośrodka.
- Środki finansowe są przekazywane uczestnikom badania/ich opiekunom w postaci karty kredytowej **ClinCard** wydawanej na okres pomiędzy wizytami przez koordynatora/osobę uprawnioną w Ośrodku.




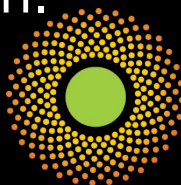
Dlaczego powinienem wziąć udział w badaniu?

- Umożliwia ono dołączenie do ogólnoswiatowej społeczności starającej się znaleźć skuteczne metody leczenia HD. Uczestnicy badania są rekrutowani z: Ameryki Północnej, Ameryki Środkowej, Europy, Azji, Australii i Nowej Zelandii.
- Osoby biorące udział w badaniu mają możliwość uzyskania informacji o zbliżających się badaniach obserwacyjnych i klinicznych.

Wspieraj postęp – pomóż w rozwoju badań nad HD

Co to jest Europejska Sieć Choroby Huntingtona?

- Europejska Sieć Choroby Huntingtona (EHDN – European Huntington’s Disease Network) jest organizacją nieochodową prowadzącą badania nad chorobą Huntingtona (HD) na terenie Europy, a działającą na terenie Polski od 2007 roku.
- Stanowi ona wspólną platformę dla lekarzy, naukowców oraz pacjentów i ich rodzin, która ułatwia współpracę pomiędzy tymi grupami społecznymi w celu poszerzania wiedzy o HD, prowadzenia badań, udzielania wsparcia pacjentom i ich rodzinom.
- Celem organizacji jest nie tylko odkrycie lekarstwa na HD ale także poprawa jakości życia pacjentów z HD poprzez umożliwienie wykorzystania i usprawnianie obecnie dostępnych możliwości terapeutycznych i organizacyjnych.
- EHDN jest finansowana przez  foundation, sponsora badania:



EHDN a Enroll-HD

Po co nam EHDN skoro mamy Enroll-HD?

- EHDN pozostanie nadal naszą europejską organizacją skupiającą naukowców, lekarzy i rodziny dotknięte HD i umożliwiającą wspólne prace nad poprawą jakości życia, prowadzenie badań, udzielanie wsparcia pacjentom i rodzinom dotkniętym HD,
- Enroll-HD na terenie Europy będzie kierowane/nadzorowane przez EHDN,
- Badania dodatkowe sub-studies prowadzone na terenie Europy będą administrowane przez EHDN.



Na co możemy liczyć ze strony EHDN

1. Granty na badania naukowe,
2. Tworzenie i wspieranie grup roboczych,
3. Zjazdy europejskie i światowe poświęcone problematyce HD,
4. EHDN tworzy i administruje ośrodkami badawczymi w Europie dążąc do stworzenia sieci tzw. centrów doskonałości.

Organizacja EHDN Polska

- Obecnie EHDN w Polsce jest złożona z sześciu Ośrodków przyjmujących i badających pacjentów z rozpoznaną HD oraz z grupy ryzyka, oraz z Ośrodka koordynacyjnego nadzorującego i monitorującego pracę wszystkich sześciu ośrodków.
- W skład EHDN wchodzi również laboratorium genetyczne do badań molekularnych osób z podejrzeniem HD.

Organizacja EHDN Polska

- Ośrodki badawcze znajdują się w pięciu miastach na terenie Polski:
 - Poznaniu (ośrodek badawczy oraz koordynacyjny),
 - Gdańsku (ośrodek badawczy),
 - Warszawie (dwa ośrodki badawcze, jeden koordynacyjny),
 - Katowicach (ośrodek badawczy),
 - Krakowie (ośrodek badawczy).

Organizacja EHDN Polska

- Aby zapewnić równomierny rozdział pacjentów została utrzymana rejonizacja.
- Rejonizacja obejmuje poszczególne województwa przynależne do ośrodków badawczych.

Organizacja EHDN Polska

- Ośrodek w Poznaniu przyjmuje pacjentów z województw:
 - Wielkopolskie,
 - Dolnośląskie,
 - Lubuskie,
 - Zachodniopomorskie,Pacjenci zamieszkujący na terenie tych województw mogą się zgłaszać do poznańskiego ośrodka.

Organizacja EHDN Polska

- Ośrodek w Gdańsku przyjmuje pacjentów z województw:
 - Pomorskie,
 - Kujawsko – Pomorskie,
 - Warmińsko – Mazurskie,Pacjenci zamieszkujący na terenie tych województw mogą się zgłaszać do gdańskiego ośrodka.

Organizacja EHDN Polska

- Ośrodki w Warszawie przyjmują pacjentów z województw:

- Mazowieckie,

- Podlaskie,

- Lubelskie.

Pacjenci zamieszkujący na terenie tych województw mogą się zgłaszać do warszawskich ośrodków.

Organizacja EHDN Polska

- Ośrodek w Krakowie przyjmuje pacjentów z województw:

- Małopolskie,
- Świętokrzyskie,
- Podkarpackie.

Pacjenci zamieszkujący na terenie tych województw mogą się zgłaszać do krakowskiego ośrodka.

Organizacja EHDN Polska

- Ośrodek w Katowicach przyjmuje pacjentów z województw:

- Śląskie,
- Łódzkie,
- Opolskie.

Pacjenci zamieszkujący na terenie tych województw mogą się zgłaszać do katowickiego ośrodka.

Organizacja EHDN Polska

- Adresy ośrodków do których należy się zgłaszać po uzgodnieniu telefonicznym terminu wizyty w ramach Enroll-HD zostaną zamieszczone w internecie www.enroll-hd.org.
- Są one również wymienione poniżej.

Organizacja EHDN Polska

- Poznań:

Uniwersyteckie Centrum Medyczne

ul. Przybyszewskiego 39

60-356 Poznań.

Telefon: +48 61 854-72-99;

Fax: +48 61 854-72-99.

Organizacja EHDN Polska

- Gdańsk:

Szpital Specjalistyczny Copernicus

Oddział Neurologiczny

ul. Jana Pawła II, 50,

80-462 Gdańsk.

Telefon: +48 58 7684560

Fax: +48 58 5563870

Organizacja EHDN Polska

- Warszawa – NPU

Instytut Psychiatrii i Neurologii

We Włocławku

Klasyfikacja KIC

02-057 Warszawa.

Telefon: +48 22 458 2800

Fax: +48 22 458 2857

Telefon: +48 22 599 2858

Fax: +48 22 599 1857

Organizacja EHDN Polska

- Katowice: Nowy Ośrodek!

**Specjalistyczna Praktyka Lekarska Prof.
Grzegorz Opala**

ul. Grzegorza Fitelberga 34/1

40-588 Katowice

Telefon: +48 32 7894601

Fax: +48 32 2525955

Organizacja EHDN Polska

- Kraków:

Krakowska Akademia Neurologii

ul. Ariańska 7/3,

31-505 Kraków

Telefon: +48 12 4269280

Fax: +48 12 4225977

Organizacja EHDN Polska

- „Who is who” Administratorzy ośrodków (SSA) oraz główni badacze (PI):
 - Poznań:
 - SSA: prof. Jerzy Marcinkowski, Magdalena Karczewska
 - PI: dr Daniel Zielonka.
 - Gdańsk:
 - SSA: prof. dr hab. Jarosław Sławek,
 - PI: lek. Witold Sołtan.

Organizacja EHDN Polska

- Warszawa – IPIŃ:
 - SSA: prof. Danuta Ryglewicz,
 - PI: dr Grzegorz Witkowski.
- Warszawa – MU:
 - SSA: prof. Anna Kamińska,
 - PI: dr hab. Piotr Janik.
- Katowice:
 - SSA: prof. Andrzej Szczudlik, dr hab. Monika Rudzińska,
 - PI: dr hab. Monika Rudzińska,
- Kraków:
 - SSA: prof. Andrzej Szczudlik, dr hab. Monika Rudzińska,
 - PI: dr Monika Rudzińska.

Organizacja EHDN Polska

- Mentorem EHDN w Polsce jest prof. dr hab. Jarosław Sławek,
 - Członkiem Komitetu Sterującego 'REGISTRY' był kierownik Zakładu Genetyki prof. Jacek Zaremba, obecnie wakat.
 - Koordynatorem EHDN Polska dr Daniel Zielonka.
 - Telefon +48 504609951
 - e-mail1: daniel.zielonka@wp.pl
 - e-mail2: daniel.zielonka@gmail.com
 - e-mail3: zielonka@amp.edu.pl
- oraz dr Grzegorz Witkowski

UNIwersYTET MEDYCZNY
im. Karola Marcinkowskiego
w POZNANIU
KATEDRA MEDYCYNy SPOŁECZNEJ
ZAKŁAD HIGIENY

EUROPEAN HUNTINGTON'S
DISEASE NETWORK POLAND