

Registro de Terapia Génica de la FMH

Guía del usuario para personas con hemofilia



Publicado por la Federación Mundial de Hemofilia (FMH) © World Federation of Hemophilia, 2022

La Federación Mundial de Hemofilia no se dedica a la práctica de la medicina y bajo ninguna circunstancia recomienda un tratamiento particular para individuos específicos.

La FMH no hace ninguna declaración, expresa o implícita, de que las dosis de medicamentos u otras recomendaciones de tratamiento en esta publicación sean correctas. Por estas razones, se recomienda encarecidamente que las personas busquen el consejo de un asesor médico y/o consulten las instrucciones impresas proporcionadas por la compañía farmacéutica antes de administrar cualquiera de los medicamentos mencionados en esta publicación.

La FMH alienta la traducción y redistribución de sus publicaciones con fines educativos por parte de organizaciones sin fines de lucro dedicadas a la hemofilia y a los trastornos de la coagulación.

Para obtener el permiso de reimpresión, redistribución o traducción de esta publicación, póngase en contacto con el Departamento de Educación en la dirección indicada a continuación:

Federación Mundial de Hemofilia
1425 René Lévesque Boulevard West,
Suite 1200, Montréal,
Québec H3G 1T7, CANADÁ
Teléfono: (514) 875-7944
Fax: (514) 875-8916
Correo electrónico: wfh@wfh.org
www.wfh.org

Contenido

Colaboración con su centro de tratamiento de la hemofilia.....	2
Participación y protecciones	3
Privacidad y seguridad de los datos.....	3
Incorporación al Registro de Terapia Génica de la Federación Mundial de Hemofilia.....	3
Dar el consentimiento informado	4
Recopilación de datos.....	4
Datos de referencia.....	5
Infusión de terapia génica	5
Visitas de seguimiento.....	5
Seguridad y notificación de eventos adversos	5
Resultados informados por los pacientes.....	6
Idiomas.....	6
Duración de la participación en el registro.....	6
Acceso a los datos del Registro de Terapia Génica de la Federación Mundial de Hemofilia.....	7
Buenas prácticas para las personas con hemofilia que participan en el Registro de Terapia Génica de la Federación Mundial de Hemofilia.....	7
Anexo A	8
Notas	9

El Registro de Terapia Génica (RTG) de la Federación Mundial de Hemofilia (FMH) es una base de datos privada y segura que recopila información clínica sobre las personas con hemofilia que reciben terapia génica, ya sea en un ensayo clínico o como producto aprobado.

El RTG de la FMH está disponible para el acceso de todas las personas con hemofilia a nivel mundial a través de su Centro de Tratamiento de Hemofilia (CTH).

No todas las personas con hemofilia serán elegibles para recibir terapia génica, lo que significa que el número de personas que se inscriban en este registro será relativamente pequeño. Por lo tanto, los datos de cada participante tratado con terapia génica son esenciales. Su participación en el RTG de la FMH contribuirá a incrementar nuestro conocimiento y comprensión de la terapia génica para las personas con hemofilia, a mejorar la atención clínica y a desarrollar la próxima generación de tratamientos de terapia génica.

El RTG de la FMH fue desarrollado por expertos internacionales en terapia génica y hemofilia.



Colaboración con su Centro de Tratamiento de Hemofilia

El personal sanitario de su centro de tratamiento de la hemofilia trabajará estrechamente con usted y su familia/cuidadores durante su participación en el RTG de la FMH. Le proporcionarán la información que necesita para comenzar en el registro y responderán a cualquier pregunta que pueda tener. Son el principal punto de contacto para todo lo relacionado con su participación en el registro.

Antes de inscribirse en el registro, debe comunicarse abiertamente con el equipo de profesionales sanitarios de su centro de salud y asegurarse de que respondan todas sus preguntas. El equipo investigador introducirá sus datos clínicos en el registro en cada una de sus citas clínicas programadas.

No se le realizarán pruebas o visitas adicionales basadas únicamente en su participación en el RTG de la FMH.



Participación y protecciones

La participación en el RTG de la FMH es voluntaria. Si decide participar en el registro, puede dejar de hacerlo en cualquier momento sin perjuicio de su atención médica posterior. Su tratamiento y atención de seguimiento no se verán afectados por su decisión de participar o abandonar el registro. Seguirá recibiendo el mismo nivel de atención independientemente de su decisión y tendrá visitas clínicas programadas regularmente con su CTH para controlar los posibles efectos

Un comité independiente protege los derechos y el bienestar de los participantes en el registro. Garantiza que todas las investigaciones realizadas se ajusten a los estándares éticos más estrictos. Su CTH obtendrá la aprobación de su comité de ética local antes de inscribir a los participantes.



Privacidad y seguridad de los datos

El RTG de la FMH es muy seguro y cumple con los más altos estándares de seguridad. Los datos introducidos en la base de datos del registro están anonimizados para proteger su privacidad, lo que significa que su identidad, y la de cualquier otra persona inscrita en el registro, está protegida. Los nombres de los participantes u otra información de identificación no se almacenarán en la base de datos.



Inscripción en el RTG de la FMH

Cuando haya tomado una decisión informada de recibir terapia génica (en colaboración con su equipo de profesionales sanitarios), se le invitará a participar en el registro. Si ya ha recibido terapia génica a través de un ensayo clínico, también se le invitará a unirse.

Todas las personas con hemofilia que hayan recibido terapia génica pueden participar en el registro, independientemente del momento en que se encuentren en su proceso de terapia génica, ya sea en la fase de infusión o unos años después.



Dar el consentimiento informado

Si decide participar en el registro, se le pedirá que revise y firme un formulario de consentimiento informado. En él se indica que usted comprende los beneficios y los riesgos de participar en el RTG de la FMH y que acepta participar. Su equipo de profesionales sanitarios ha recibido formación para proporcionarle la información necesaria con el fin de ayudarlo a tomar una decisión informada sobre la participación en el registro.

Su equipo de atención médica también se asegurará de que disponga de tiempo adecuado para hacer preguntas y discutir con su familia/cuidadores si desea participar. Su CTH continuará proporcionándole información sobre cualquier cambio en el registro durante su participación. Si decide participar, se les pedirá a usted y a su médico que firmen el formulario de consentimiento.



HAGA CLIC AQUÍ para acceder al documento de la FMH de Preguntas que debe hacer antes de participar en un estudio clínico

Antes de firmar el formulario de consentimiento, su equipo médico trabajará con usted para asegurarse de que entiende lo siguiente:

- El propósito del registro
- Las responsabilidades de los participantes
- Los beneficios y riesgos de la participación
- Que la participación es totalmente voluntaria y puede terminar en cualquier momento
- La duración prevista de la participación
- La información de contacto para su CTH



Recopilación de datos

Los datos se recopilarán y se introducirán en la base de datos del RTG de la FMH en sus visitas clínicas programadas. No tendrá ninguna visita clínica, prueba o procedimiento adicional debido a su participación. El registro recopilará la misma información de todos los participantes que hayan recibido terapia génica.



Datos de referencia

Su CTH recopilará datos demográficos después de que usted acepte participar en el registro. Esto incluye información sobre su diagnóstico de hemofilia y sus antecedentes médicos.



Infusión de terapia génica

Los detalles relativos a su tratamiento de terapia génica, incluyendo la fecha y la información de la infusión, se introducirán en el registro.



Visitas de seguimiento

Después de recibir la terapia génica, su CTH recopilará datos cada vez que venga a una visita. Esto incluye varias visitas durante los dos primeros años con el fin de determinar cómo está funcionando el tratamiento, para asegurar su salud y seguridad, y al menos anualmente a partir de entonces.

La participación en el registro no afectará su atención ni al seguimiento habitual de visitas a la clínica.



Seguridad y notificación de eventos adversos

Al igual que con cualquier medicamento o procedimiento nuevo, debe informar a su CTH de todos los eventos relacionados con su salud. En cada visita a la clínica, su equipo de profesionales sanitarios preguntará sobre cualquier efecto secundario que haya experimentado. Esta información se recopilará en el registro de todas las personas con hemofilia participantes. Al reunir estos datos de todos los participantes del registro de todo el mundo, los médicos podrán identificar cualquier efecto secundario común o grave relacionado con la terapia génica.



Resultados informados por los pacientes

Además de los datos médicos recopilados en cada visita, usted tendrá la oportunidad de proporcionar información directamente en el registro desde su teléfono a través de una aplicación móvil (“myGTR”). Los datos que introduce directamente se denominan “resultados reportados por el paciente” (PRO). Estos datos incluyen información sobre su calidad de vida, cómo repercute su enfermedad y cualquier evento hemorrágico o tratamiento que pueda recibir.

Los datos PRO son importantes porque le permiten aportar sus propias experiencias y perspectivas al registro. Los datos que introduzca en myGTR se transmitirán directamente a la base de datos RTG de la FMH en su CTH, y su médico podrá verlos. También recibirá los datos en la aplicación de su teléfono, lo que le permitirá controlar su progreso a lo largo del tiempo.



Idiomas

Inicialmente, el registro estará disponible en inglés, con planes para traducirlo a otros idiomas según sea necesario. La aplicación móvil para pacientes, myGTR, también estará disponible en inglés y en otros idiomas cuando sea necesario.



Duración de la participación en el registro

Los datos a largo plazo recopilados en el registro son importantes para usted y otras personas porque contribuirán a la comprensión de la terapia génica por parte de la comunidad mundial de la hemofilia. Su permanencia a largo plazo en el registro es importante. Sin embargo, es libre de dejar de participar en el registro en cualquier momento, por cualquier motivo; simplemente hable con su equipo de profesionales sanitarios para informarles. Si se producen cambios importantes en el RTG de la FMH, su equipo de profesionales sanitarios se pondrá en contacto con usted, y es posible que se le pida que firme un nuevo formulario de consentimiento.



Acceso a los datos del RTG de la FMH

Puede acceder a sus datos en cualquier momento hablando con su equipo médico. Los miembros de su equipo sanitario también podrán ver y acceder a sus datos en el registro. La FMH y el proveedor de la base de datos podrán ver todos los datos anónimos introducidos en el registro. La Junta de Asesoramiento Científico de la FMH custodia los datos del registro y evaluará y aprobará cualquier solicitud de datos (**consulte el anexo A**).

Los investigadores, fabricantes y otras partes interesadas pueden presentar una solicitud a la FMH para acceder a los datos desidentificados con el fin de examinar las tendencias y responder a las preguntas de investigación. Los fabricantes tendrán acceso a los datos anonimizados para examinar los resultados de seguridad y eficacia de productos específicos. Al participar en este registro, usted contribuirá al desarrollo de la próxima generación de tratamientos de terapia génica.



Buenas prácticas para la participación de las personas con hemofilia en el RTG de la FMH

- Anote sus preguntas con antelación y llévelas a sus visitas a al centro de tratamiento.
- Si no entiende algo, ¡pregunte! El equipo clínico o de investigación espera que usted les haga preguntas, así que no dude en hacer todas las que necesite.
- Asegúrese de asistir a todas las visitas del CTH. Estas son esenciales para controlar su salud y seguridad y mejorar los resultados de la terapia génica para las generaciones futuras.
- Mantenga abiertas las líneas de comunicación con su equipo médico. Hable con ellos sobre sus preocupaciones de salud y otros obstáculos que pueda encontrar en su atención de seguimiento.
- Utilice la aplicación móvil myGTR.

Anexo A

Junta de Asesoramiento Científico del RTG de la FMH

Federación Mundial de Hemofilia; miembro de la Junta Médica (presidente del Comité Directivo del RTG de la FMH)

Federación Mundial de Hemofilia; vicepresidente médico

Fundación Nacional de Hemofilia; representante del Consejo de Asesoramiento Médico y Científico

Consorcio Europeo de Hemofilia; representante del Grupo de Asesoramiento Médico

Asociación Europea de Hemofilia y Trastornos Afines; representante

Sociedad Internacional de Trombosis y Hemostasia; representante

Defensores de los pacientes (2)

El RTG recibe apoyo financiero de:

ALIADOS VISIONARIOS FUNDADORES

 BIOMARIN[®]

 **CSL Behring**
Biotherapies for Life[™]

 **Pfizer**

 **Spark**[™]
THERAPEUTICS

ALIADOS COLABORADORES

 **Takeda**

Federación Mundial de Hemofilia
1425 René Lévesque Boulevard West,
Suite 1200, Montréal,
Québec H3G 1T7, CANADÁ
Teléfono: (514) 875-7944
Fax: (514) 875-8916
Correo electrónico: wfh@wfh.org

www.wfh.org

