

Celem sieci TREAT-NMD (Europejska Sieć Badawcza – Diagnostyka i Leczenie Chorób Nerwowo-Mięśniowych, ang. Translational Research in Europe for the Assessment and Treatment of Neuromuscular Diseases ) jest poprawa standardów opieki i opracowanie nowych metod leczenia pacjentów z chorobami nerwowo-mięśniowymi.

Łącząc 21 organizacji z 11 krajów Europy, pierwsza tego rodzaju "sieć doskonałości", finansowana przez Unię Europejską, jednoczy działania przodujących europejskich specjalistów. Partnerami w sieci są także organizacje pacjentów i ich rodzin oraz przedstawiciele przemysłu farmaceutycznego.

INSERM U827 przewodzi od stycznia 2007 sieci rejestrów pacjentów, która zyskała już światowe uznanie jako modelowe rozwiązanie. W 2008 r. do inicjatywy tej przyłączyły się inne kraje (Australia, Kanada, Czechy, Polska, Portugalia, Japonia, Ukraina, USA), co pozwala na utworzenie rejestrów pacjentów o światowym zasięgu.



## Rejestry pacjentów TREAT-NMD

W sieci rejestrów pacjentów zrzeszonych jest 21 partnerów z 11 krajów Unii Europejskiej:



**Belgii**

**Francji**

**Niemiec**

**Finlandii**

**Węgier**

**Włoch**

**Holandii**

**Hiszpanii**

**Szwecji**

**Szwajcarii**

**Wielkiej Brytanii**

Koordynatorem działań sieci jest zespół badawczy INSERM U827 z Montpellier (Francja)

[www.treat-nmd.eu/registries](http://www.treat-nmd.eu/registries)

Jeśli chcesz włączyć się w tę inicjatywę, skontaktuj się z kuratorem w swoim kraju lub z ogólnoeuropejską bazą danych.  
email: [christophe.beroud@inserm.fr](mailto:christophe.beroud@inserm.fr)



**Rejestry pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne'a/Beckera i rdzeniowym zanikiem mięśni tworzone w ramach TREAT-NMD**



[www.treat-nmd.eu](http://www.treat-nmd.eu)



## Rejestry pacjentów TREAT-NMD

### Cel

Celem utworzenia rejestrów w ramach TREAT-NMD jest ocena możliwości przeprowadzenia i zaplanowanie prób klinicznych dla pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne'a/Beckera i rdzeniowym zanikiem mięśni.



Konieczność międzynarodowej współpracy wynika z potrzeby zgromadzenia odpowiedniej liczby pacjentów spełniających wymagane kryteria genetyczne i kliniczne. Przyjęty model działania posłuży do tworzenia rejestrów pacjentów z bardzo rzadkimi chorobami jakimi są schorzenia nerwowo-mięśniowe.

### Co to jest rejestr pacjentów utworzony w ramach TREAT-NMD?

Rejestr pacjentów jest zbiorem informacji o pacjentach chorych na tę samą chorobę.

Celem utworzenia rejestrów w poszczególnych krajach jest zebranie informacji o większości pacjentów z danego kraju. Zadaniem kuratorów jest dopilnowanie, by zbierane dane miały najwyższą jakość. Zakodowane dane są następnie przekazywane do światowego (paneuropejskiej) rejestru pacjentów.



## Rejestry Pacjentów TREAT-NMD

### Kto może się zarejestrować?

Celem utworzenia rejestru pacjentów w ramach TREAT-NMD jest zarejestrowanie wszystkich osób mieszkających w Europie, u których potwierdzono dystrofię mięśniową Duchenne'a/Beckera lub rdzeniowy zanik mięśni przez wykrycie nieprawidłowości w genie odpowiedzialnym za daną chorobę (gen DMD w przypadku dystrofii mięśniowej Duchenne'a/Beckera lub gen SMN w przypadku rdzeniowego zaniku mięśni -SMA). Dane od uczestnika programu (pacjenta lub prawnego przedstawiciela) mogą być bezpośrednio zapisane przez samego uczestnika przez wypełnienie "formularza osobistego zgłoszenia". Dane mogą być także zapisane przez klinicystę i/lub genetyka przez wypełnienie "formularza zgłoszenia przez lekarza". W niektórych krajach zgłoszenia mogą być przyjmowane obiema drogami (zgłoszenie osobiste i przez lekarza).

### Co zawierają rejestry pacjentów ?

Rejestry tworzone w ramach TREAT-NMD zawierają informacje konieczne (brak tych danych wyklucza pacjenta z rejestru) i informacje dodatkowe, których dostarczenie jest bardzo pożądane. Informacje konieczne obejmują zakodowany identyfikator, rozpoznanie, defekt genetyczny, opis stanu ruchowego, informacje dotyczące operacji skoliozy, terapii sterydowej (tylko w przypadku DMD) i połykania (tylko w przypadku SMA).



## Rejestry pacjentów TREAT-NMD

### Jak są zabezpieczone dane?

Dane dotyczące pacjentów są wprowadzane do rejestru zgodnie z prawem narodowym i międzynarodowym (dyrektywa Komisji Europejskiej 96/46EC zawarta w deklaracji helsińskiej).

Dane dotyczące pacjentów są wprowadzane do rejestru na podstawie zgody wyrażonej przez nich lub ich prawnych przedstawicieli (świadoma zgoda pacjenta).

Każdy pacjent ma dostęp do swoich danych za pośrednictwem krajowego rejestru.

Dane przekazywane z krajowego rejestru do światowego (europejskiej) rejestru są anonimowe i kodowane w sposób odwracalny.



### Kto będzie korzystał z rejestrów danych?

Uprawnieni lekarze – specjaliści i pracownicy naukowcy mają dostęp do anonimowych danych, o ile realizowany przez nich projekt jest zgodny z celami TREAT-NMD i uzyskał aprobatę komitetu nadzorującego tworzenie światowej bazy danych.

