

Hoja de información y formulario de consentimiento informado para el paciente

Título del estudio: Estudio observacional, multicéntrico, de un solo brazo, para evaluar la efectividad de pegcetacoplán en condiciones reales en pacientes con hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN)

Nombre del estudio: COMPLETE

Protocolo del estudio: Sobi.PEGCET-304

Promotor del estudio: Swedish Orphan Biovitrum AB (Sobi)

Investigador: <nombre del investigador>

Número de teléfono del Investigador: <número de teléfono del investigador>

Nombre y dirección del centro: <nombre y dirección del centro>

Número de participante:

Introducción

Nos dirigimos a usted para invitarle a participar en un estudio de investigación observacional. Antes de tomar una decisión, debe comprender en qué consiste el estudio y las implicaciones de su participación en el mismo. Este proceso se denomina «consentimiento informado». Tómese todo el tiempo que necesite para leer detenidamente esta información y comentarla con otras personas si así lo desea. Pregunte al médico del estudio si hay algo que no está claro o si desea obtener más información.

Si decide que quiere participar, le pedirán que firme el formulario de consentimiento adjunto. Se le entregará un ejemplar firmado y fechado de la hoja de información y del formulario de consentimiento informado para el paciente para que lo conserve, y el original se conservará en la consulta del médico del estudio.

Este estudio cuenta con el dictamen favorable de un comité de ética de la investigación con medicamentos de acuerdo con la legislación actual, el RD 957/2020 y la Ley Orgánica 3/2018, de 5 de diciembre, que regulan los estudios de investigación observacionales.

¿Cuál es el objetivo del estudio?

El objetivo de este estudio es evaluar los efectos de pegcetacoplán en el tratamiento de participantes con hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN) en la atención médica habitual. El estudio también tiene como objetivo determinar los cambios en su estado de salud en términos de calidad de vida antes y después de recibir el tratamiento con pegcetacoplán, así como describir el grado de satisfacción de médicos y participantes con respecto al tratamiento con pegcetacoplán.

Este estudio lo financia Swedish Orphan Biovitrum AB, también conocida como SOBI, a la que se hará referencia como el «promotor» en este formulario.

Un estudio observacional es un tipo de investigación cuya finalidad es recopilar datos a lo largo del tiempo sobre la forma en la que se utiliza un tratamiento determinado y sus efectos sin ocasionar ningún cambio en su atención médica habitual. Es decir, se mantiene la práctica clínica habitual y cualquier tratamiento que se le administre formará parte de su atención habitual y será una decisión que tomen usted y su médico. Este estudio no alterará ni interferirá en modo alguno en la asistencia médica que recibe de forma habitual.

¿Por qué se le ha invitado?

Se le ha invitado a participar porque se le ha diagnosticado HPN, que es un trastorno sanguíneo que se produce cuando una parte del sistema inmunitario ataca y daña los glóbulos

rojos, y porque ha estado recibiendo tratamiento con pegcetacoplán para la HPN antes de incorporarse a este estudio o bien se le ha recetado recientemente.

¿Cuántas personas participarán en este estudio?

En este estudio participarán aproximadamente 200 personas en unos 80 centros ubicados en Europa, Oriente Próximo, Canadá y Australia.

¿Qué tratamiento recibirá?

Como se trata de un estudio observacional, el promotor no le proporcionará medicamentos ni otros tratamientos como parte de este estudio. Aspaveli (pegcetacoplán) está aprobado tanto en la Unión Europea como en España, y su médico se lo receta o se lo ha recetado recientemente como parte de su atención médica habitual, por lo que no se le administrará como parte de este estudio.

¿Qué sucederá si participa en este estudio?

Se prevé que su participación en el estudio dure aproximadamente un máximo de 27 meses (alrededor de 2 años y 3 meses). Para participar en el estudio, en primer lugar se le pedirá que proceda como se describe a continuación:

- Se le proporcionará esta hoja de información y formulario de consentimiento informado para el paciente. Revise este formulario de consentimiento en su totalidad. Si tiene alguna pregunta, hable con el médico del estudio.
- Es posible que el médico del estudio o el personal del centro le visiten en su domicilio o se pongan en contacto con usted por teléfono o videollamada para revisar la hoja de información y formulario de consentimiento en su totalidad. Si tiene alguna pregunta, hable con el médico del estudio o el personal del centro.
- Si decide participar, deberá firmar la hoja de información y formulario de consentimiento informado para el paciente en el centro o a distancia desde su domicilio, ya sea en papel o mediante firma electrónica. Se le entregará un ejemplar firmado de ambos documentos.
- Si se produce un embarazo durante su participación (si se queda embarazada o engendra un hijo), se le pedirá a usted o a su pareja embarazada que firmen un formulario de consentimiento aparte para recopilar información relacionada con el embarazo.

Si cumple todos los requisitos del estudio, se le incluirá en el estudio. Cuando acuda a las visitas habituales en el centro, desde su domicilio o mediante llamadas telefónicas rutinarias, el médico del estudio o el personal del centro recopilará la siguiente información (entre otros datos):

- Su información personal, incluido su número de teléfono fijo o móvil, dirección de correo electrónico o dirección del domicilio, el sexo, la edad, el peso y la estatura.
- Historia clínica correspondiente, incluida la información sobre la HPN.
- Antecedentes de medicamentos, incluidos los detalles del tratamiento con pegcetacoplán, tratamientos previos para la HPN y otros medicamentos que haya tomado o esté tomando en la actualidad.
- Cualquier cambio en el estado de salud o cualquier acontecimiento hemolítico que presente mientras toma pegcetacoplán a lo largo del estudio.
- Los resultados de las pruebas realizadas como parte de su atención médica habitual, incluidos los análisis de sangre, transfusiones y otras exploraciones realizadas de forma habitual para la HPN.
- Grado de satisfacción con el tratamiento con pegcetacoplán, según su propia evaluación y la de su médico.
- En caso de embarazo, detalles sobre el embarazo, su desenlace y el nacimiento y la salud de su bebé.

También se le pedirá que rellene cuestionarios en papel denominados «resultados comunicados por el paciente (RCP)» para dar su opinión sobre la enfermedad o sobre cómo

se encuentra mientras recibe el tratamiento con pegcetacoplán. La cumplimentación de los cuestionarios descritos a continuación es opcional y tendrá una duración aproximada de 15 minutos.

Cuestionarios cumplimentados por el paciente:

- **Evaluación funcional del tratamiento de enfermedades crónicas (FACIT) para la evaluación de la fatiga:** cuestionario de 13 elementos para evaluar de forma autónoma la fatiga y su impacto en las actividades cotidianas.
- **Cuestionario de calidad de vida para los pacientes con anemia aplásica o hemoglobinuria paroxística nocturna (QLQ AA/PNH):** cuestionario de 54 elementos para evaluar los síntomas de la enfermedad, incluido cómo se encuentra en el momento de su visita.

Pregunta para el médico y el paciente:

- Se evaluará el grado de satisfacción con el tratamiento con pegcetacoplán respondiendo a esta pregunta:
«En una escala del 1 al 5, en la que 5 significa que está muy satisfecho y 1 muy insatisfecho, ¿cómo puntuaría su grado de satisfacción con el resultado deseado del tratamiento con pegcetacoplán?»

¿Cuáles son sus responsabilidades si participa en este estudio?

Acudirá a sus citas habituales con su médico y seguirá tomando la medicación que este le haya recetado.

¿Tendrá que pagar para participar en el estudio?

No tendrá que pagar nada para participar en este estudio.

¿Se le pagará por participar en este estudio?

No recibirá retribución alguna por participar en este estudio.

Los tratamientos o procedimientos de este estudio se consideran parte de la atención médica habitual para la supervisión o el tratamiento de su enfermedad.

¿Está obligado a participar en este estudio?

Su participación en este estudio es voluntaria. Si decide no participar, continuará recibiendo su tratamiento habitual por parte de su médico sin participar en un estudio. No está obligado a participar en este estudio para recibir dicho tratamiento para su enfermedad.

¿Cuáles son los posibles riesgos de participar en este estudio?

Como se trata de un estudio observacional, su participación no afectará el modo en que su médico trata la HPN. No existen riesgos físicos derivados de la participación en este estudio.

Existe un mínimo riesgo de pérdida de la confidencialidad de su información personal; a pesar de ello, se han dado los pasos necesarios para garantizar que esto no suceda. Encontrará más información acerca de la protección de su información personal más adelante en este formulario.

¿Cuáles son los posibles beneficios de la participación en este estudio?

Su participación en este estudio no le supondrá ningún beneficio directo. Sin embargo, la información recopilada en este estudio puede dar lugar a una mejor comprensión de la HPN. Los hallazgos de este estudio también podrían proporcionar información importante para el tratamiento de la HPN por parte de los profesionales sanitarios en el futuro.

¿Qué sucederá si sufre lesiones como consecuencia de la participación en este estudio?

Puesto que se trata de un estudio observacional en el que no se recibe ningún medicamento ni tratamiento en relación con este estudio, no se prevé ningún riesgo físico.

Si usted enferma o sufre una lesión física durante el mismo, póngase en contacto con el médico del estudio inmediatamente. No recibirá ninguna compensación en caso de que se produzca una lesión debido a su participación en este estudio. Al firmar este formulario de consentimiento, no renuncia a ninguno de sus derechos legales.

¿Qué debo hacer si tengo preguntas o problemas?

Si tiene alguna pregunta sobre este estudio, llame a su médico al número que aparece en la parte superior de la primera página de este documento.

¿Qué ocurrirá si no desea continuar en el estudio?

Podrá dejar de participar en el estudio en cualquier momento, sin dar ninguna explicación, al comunicárselo al médico del estudio. Esto no afectará al tratamiento ni a la atención médica que reciba en el futuro ni a su relación con cualquiera de sus médicos.

El médico del estudio o el promotor también podrían decidir retirarle del estudio en cualquier momento. También se le podrá retirar de este estudio por cualquiera de los siguientes motivos:

- Si revoca su consentimiento.
- Si interrumpe el tratamiento con pegcetacoplán.
- Si se determina que este estudio no es lo mejor para usted.

Es posible que se interrumpa el estudio en cualquier momento antes de su finalización. Si así fuese, el médico del estudio se lo comunicará de inmediato y su atención médica habitual no se verá afectada por ello.

¿Quién ha revisado el estudio?

Todos los estudios de investigación deben contar con la revisión de un grupo independiente de personas, denominado comité de ética de la investigación con medicamentos, para velar por su seguridad, sus derechos, su bienestar y su dignidad.

¿Con quién debe ponerse en contacto para obtener más información?

Si tiene alguna pregunta acerca de su participación en el estudio, póngase en contacto con el médico del estudio o con el equipo de investigación.

Gracias por leer este documento y considerar su participación en este estudio.

Formulario de consentimiento informado

Declaro lo siguiente:

<ul style="list-style-type: none">• He leído y entiendo la hoja de información y el formulario de consentimiento informado para el paciente del estudio mencionado anteriormente y he tenido tiempo suficiente para reflexionar sobre mi participación.
<ul style="list-style-type: none">• Estoy conforme con las respuestas que se han dado a todas mis preguntas.
<ul style="list-style-type: none">• Acepto participar de forma voluntaria en este estudio de investigación y proporcionar la información que el médico del estudio, el personal de enfermería u otros miembros del personal me soliciten.
<ul style="list-style-type: none">• Entiendo que puedo retirarme de este estudio en cualquier momento sin dar explicaciones y sin que mis derechos o mi atención médica habitual se vean afectados por ello.
<ul style="list-style-type: none">• Si decido retirarme y abandonar este estudio, acepto que la información y los datos recopilados sobre mí hasta el momento en que me retire del mismo puedan seguir utilizándose.
<ul style="list-style-type: none">• Me han comunicado que recibiré un ejemplar firmado de esta hoja de información y formulario de consentimiento informado para el paciente para que lo conserve.
<ul style="list-style-type: none">• En caso de que el médico del estudio sea distinto a mi médico de cabecera, accedo a que se informe a este último acerca de mi participación en el estudio y se le solicite información médica sobre mí.
<ul style="list-style-type: none">• Asimismo, doy permiso para que mi información personal se recopile y se utilice como parte de este estudio y:<ul style="list-style-type: none">- se identifique solamente a través de mi código de participante;- se revise, trate y revele por y al promotor, sus representantes autorizados y los monitores del estudio para los fines descritos en el protocolo del mismo;- se revise o audite por las organizaciones debidamente autorizadas;- se publique y envíe a las autoridades sanitarias o a las aseguradoras médicas de mi país o de otros países; y- se transfiera, si fuese necesario, a un país en el que las leyes de protección de mi información personal pudieran ser diferentes a las de mi país.
<ul style="list-style-type: none">• Entiendo que podrían ponerse en contacto conmigo en fechas posteriores para pedir mi autorización con relación a este estudio.
<ul style="list-style-type: none">• Acepto que se pongan en contacto conmigo en mi domicilio, por teléfono fijo o móvil o por correo electrónico para los fines de este estudio.

Al firmar este documento acepto participar en este estudio según lo expuesto en la hoja de información y el formulario de consentimiento informado para el paciente. Asegúrese de obtener un ejemplar de este formulario firmado y fechado por usted y el investigador (o su persona designada).

Este formulario de consentimiento no tiene fecha de vencimiento.

Nombre completo del participante en letras de imprenta

Firma del participante

Fecha de hoy en letras de imprenta indicada por el participante

Investigador o persona designada autorizada:

- ✓ He explicado exhaustiva y detenidamente el estudio a la persona cuyo nombre aparece más arriba y declaro que, según mi leal saber y entender, esta persona entiende claramente la naturaleza de este estudio.
- ✓ Declaro que le he ofrecido la oportunidad de hacer preguntas sobre el estudio y que he contestado correctamente y en la medida de mis posibilidades a todas las preguntas que me ha planteado.
- ✓ Declaro que no se le ha obligado a otorgar su consentimiento y que lo ha hecho de forma libre y voluntaria.
- ✓ Declaro que facilitaré al participante un ejemplar de esta hoja de información y del formulario de consentimiento firmado.

Nombre completo del investigador (o persona designada autorizada) en letras de imprenta

Firma del investigador (o persona designada autorizada)

Fecha de hoy en letras de imprenta indicada por el investigador (o persona designada autorizada)

Formulario de consentimiento para testigos

Yo, <<nombre y apellidos del testigo>>, como testigo afirmo que, en mi presencia, (nombre del participante) ha recibido información sobre el estudio y ha leído la hoja de información para el paciente que se le ha entregado, y que:

- El participante ha entendido la información contenida en la hoja de información para el paciente del estudio mencionado anteriormente y ha tenido tiempo suficiente para reflexionar sobre su participación.
- El participante ha tenido tiempo suficiente para plantear preguntas y estoy conforme con las respuestas que le han dado.
- El participante acepta voluntariamente participar en este estudio, cumplir los requisitos de este y proporcionar la información que le soliciten el médico del estudio, el personal de enfermería u otros miembros del personal.
- El participante entiende que su participación en este estudio es confidencial y que puede retirarse del mismo en cualquier momento y con absoluta libertad, sin necesidad de dar explicación alguna y sin que se vean afectados sus derechos o su atención médica habitual.
- El participante acepta que, si decide retirarse y abandonar el estudio de forma anticipada, se podrá seguir utilizando la información y los datos recopilados sobre su persona hasta ese momento.
- El participante entiende que recibirá un original firmado y fechado de esta hoja de información y formulario de consentimiento para el paciente para que lo guarde.
- El participante acepta que, si el médico del estudio fuese distinto a su médico de cabecera, se informará a este sobre su participación en el estudio y se le solicitará información médica sobre él.
- El participante da su permiso para que su información personal se recopile y se utilice como parte de este estudio y:
 - se trate según se describe en esta hoja de información.
 - se transfiera, en caso necesario, a países en los que las leyes que protegen los datos personales son diferentes a las de su propio país.
- El participante da su permiso para que sus datos codificados:
 - se envíen a las autoridades sanitarias o a las compañías aseguradoras sanitarias de su país o de otros países y se incluyan en cualquier publicación sobre los resultados del estudio.
 - se transfieran, en caso necesario, a países en los que puede que las leyes de protección de datos personales sean diferentes a las de su propio país.

- El participante entiende que también se podrán poner en contacto con él en una fecha posterior para solicitar su permiso en relación con este estudio.
- El participante entiende que también se pondrán poner en contacto con él en su domicilio, por teléfono fijo o móvil o por correo electrónico para los fines de este estudio.

Al firmar este documento, confirmo que el participante participará en este estudio según lo expuesto en esta hoja de información y formulario de consentimiento para el paciente.

Nombre en letras de imprenta del testigo:

Firma del testigo:

Fecha de hoy en letras de imprenta indicada por el testigo:

Investigador o persona designada autorizada:

- ✓ He explicado exhaustiva y detenidamente el estudio a la persona cuyo nombre aparece más arriba y declaro que, según mi leal saber y entender, esta persona entiende claramente la naturaleza de este estudio.
- ✓ Declaro que le he ofrecido la oportunidad de hacer preguntas sobre el estudio y que he contestado correctamente y en la medida de mis posibilidades a todas las preguntas que me ha planteado.
- ✓ Declaro que no se le ha obligado a otorgar su consentimiento y que lo ha hecho de forma libre y voluntaria.
- ✓ Declaro que facilitaré al participante un ejemplar de esta hoja de información y del formulario de consentimiento firmado.

Nombre completo del investigador (o persona designada autorizada) en letras de imprenta

Firma del investigador (o persona designada autorizada)

Fecha de hoy en letras de imprenta indicada por el investigador (o persona designada autorizada)

Anexo 1: Protección de datos

¿Se tratará con carácter confidencial su participación en este estudio? ¿Cómo se utilizará su información personal?

El médico del estudio y el equipo de investigación recopilarán, registrarán y utilizarán su información personal para los fines del estudio. La información personal recopilada durante el estudio podría incluir información confidencial sobre su estado o trastorno físico o mental, así como su información médica.

Su privacidad e información personal quedarán protegidas mediante la adopción de medidas que cumplen los requisitos pertinentes en España para la protección de su información personal. Toda la información recopilada sobre usted y utilizada durante este estudio se mantendrá bajo la más estricta confidencialidad.

El promotor prevé que su información personal se conservará durante aproximadamente 25 años después de la finalización de este estudio. Durante el estudio, la información personal obtenida sobre usted, incluida su historia clínica, podrá comunicarse al promotor y a los representantes que colaboran con él en el estudio de investigación, a los monitores y auditores del estudio, a las autoridades sanitarias gubernamentales o normativas correspondientes, así como al comité de ética de la investigación con medicamentos. Su historia clínica se revisará únicamente en el hospital (o en la consulta del médico del estudio) para comprobar la información y verificar los procedimientos del estudio, todo ello sin infringir su confidencialidad.

Se identificará con su número de participante del estudio toda aquella información recopilada sobre usted incluida en los registros que salgan de la consulta del médico del estudio para los propósitos de las actividades clínicas, de laboratorio, estadísticas o normativas relacionadas con el estudio de investigación. Los datos personales codificados solo se pueden relacionar directamente con un participante específico usando la clave del código. Estos registros no incluirán su nombre completo ni ningún detalle de su dirección o número de teléfono.

La información del estudio se podrá publicar o enviar a las autoridades sanitarias o a las compañías aseguradoras médicas de su país o de otros países en los que se necesite la autorización normativa o el pago de la medicación. Mediante la firma de este formulario de consentimiento, concede su autorización para el tratamiento y el uso de su información personal para este estudio. También da permiso para el tratamiento de su información personal o parte de la misma para su transferencia a personas y organizaciones (mencionadas anteriormente) fuera de su país, donde las leyes de protección de datos personales podrían ser diferentes. Si se accede a su información personal o se trata fuera de su país, el promotor se asegurará de que la privacidad y confidencialidad de su información quedan protegidas de acuerdo con las leyes y normativas de protección de datos vigentes en su país. Asimismo, puede hacer uso de sus derechos al amparo de las leyes locales de protección de datos para acceder y corregir su información personal o solicitar su eliminación. En caso de que decida retirarse del estudio, no se podrá recopilar información nueva sobre usted, pero la información que ya se recopilara seguirá utilizándose para el estudio. Usted podrá oponerse a cualquier tratamiento ulterior de su información personal notificándolo al médico del estudio. La información recopilada para el estudio y utilizada en este que no le identifique no se verá afectada por estas disposiciones.

Es posible que el médico del estudio le comunique a su médico de cabecera su participación en el estudio y le solicite información médica sobre usted.

Encontrará una descripción de este estudio en <http://www.ClinicalTrials.gov>, según establece la legislación estadounidense. Este sitio web no incluirá información alguna que permita identificarle. A lo sumo, incluirá un resumen de los resultados. El promotor también publicará

los resultados del estudio a través del Registro Español de estudios clínicos (REec): <https://reec.aemps.es/reec/public/web.html>. Usted puede consultar estos sitios web cuando lo desee.

¿Qué ocurrirá con los resultados de este estudio?

Se publicarán los resultados generales del estudio; sin embargo, la información personal que pueda identificarle no se utilizará ni estará disponible.

En el espacio de la Unión Europea, la responsabilidad del tratamiento de sus datos personales recaerá en el responsable del tratamiento de datos. El responsable del tratamiento de los datos de este estudio es Swedish Orphan Biovitrum AB (Sobi), el promotor de este estudio. Si tiene alguna pregunta sobre sus derechos acerca de la protección de datos personales como participante en este estudio, o alguna queja sobre el uso de su información personal, póngase en contacto con el médico del estudio o el equipo de la investigación. Ellos podrán dirigir sus preguntas al delegado de protección de datos del promotor.

Correo electrónico: privacy@sobi.com

También tiene derecho a presentar una queja sobre la recopilación, el tratamiento, el uso y la divulgación de su información personal ante su autoridad nacional de protección de datos: Agencia Española de Protección de Datos (<https://www.aepd.es>).