

**Información y formulario de consentimiento informado para el padre/la madre/el tutor legal que decide si un paciente de 0 a 9 años de edad participará en un estudio de investigación para la grabación opcional de videos**

**Título del estudio:** Estudio De Incremento De La Dosis, Aleatorizado, Y Controlado De Nusinersen (BIB058) En Participantes Con Atrofia Muscular Espinal

**Protocolo del estudio:** 232SM203

**Medicamento del estudio:** Nusinersen, denominado "medicamento del estudio" en todo el documento

**Patrocinador del estudio:** Biogen Idec Research Limited

**Dirección del patrocinador:** Innovation House. 70 Norden Road, Maidenhead, Berkshire. SL6 4AY Reino Unido

**Representante (para el estudio en Chile):** IQVIA RDS Chile  
**Dirección del representante:** Av. Santa Clara 085, Of. 202A, Huechuraba, Santiago, Chile  
**Nombre de la persona de contacto del representante:** Eduardo Urrejola Montenegro  
**Número de contacto del representante:** 800 202868

**Nombre de la institución:** Hospital Luis Calvo Mackenna  
**Dirección de la institución:** Av. Antonio Varas 360 Providencia, Santiago de Chile  
**Número de teléfono de la institución:** 562-25756029  
**Investigador:** Dr. Ricardo Erazo Torricelli

### Introducción

Usted ya ha aceptado que su hijo/a participe en el estudio principal, mencionado anteriormente, al firmar el documento de información y formulario de consentimiento informado para el padre/la madre/el tutor legal que decide si un paciente de 0 a 9 años de edad participará en un estudio de investigación. Ahora se le pide que otorgue su consentimiento para que su hijo/a participe en una evaluación **opcional** por separado.

Todos los derechos de su hijo/a como paciente en una investigación están cubiertos en el documento de información y consentimiento informado para el padre/la madre/el tutor legal que decide si un paciente de 0 a 9 años de edad participará en un estudio de investigación del estudio principal.

Este formulario solo proporciona información adicional para que usted decida si desea otorgar su permiso para que su hijo/a participe en una grabación opcional en video de las evaluaciones de la función motora (movimiento). Su hijo/a puede permanecer en el estudio principal incluso si usted decide no otorgar su permiso para la grabación opcional de los videos. Antes de otorgar su consentimiento para la grabación de videos de su hijo/a, lea este formulario. Haga todas las preguntas que sean necesarias antes de decidir si desea que su hijo/a participe.

Pídale al médico del estudio o al personal del estudio que le expliquen cualquier parte del formulario que no comprenda claramente. Puede llevarse a su hogar una copia sin firmar de este formulario de consentimiento para reflexionar o hablar al respecto con sus familiares o amigos antes de tomar una decisión. Si decide que desea que su hijo/a participe en la grabación opcional de videos, se le pedirá que firme 2 copias del formulario de consentimiento informado. Se le entregará un original del formulario firmado y fechado como constancia y el otro original se conservará en el centro del estudio.

### **¿Cuál es el propósito de la grabación de videos durante la evaluación de metas motoras y las evaluaciones de la función motora?**

Nos gustaría grabar a su hijo/a mientras realiza las siguientes evaluaciones:

- Exámenes físicos

Si su hijo/a tiene atrofia muscular espinal (AME) de aparición tardía:

- Escala ampliada de la función motora de Hammersmith (Hammersmith Functional Motor Scale - Expanded, HFMSE): esta prueba evalúa determinadas funciones como

sentarse, acostarse, rodar de lado a lado, arrodillarse, levantar la cabeza, gatear, ponerse de pie, mover las piernas hacia arriba y hacia abajo, subir y bajar escalones, ponerse en cuclillas y saltar.

- Módulo revisado de extremidades superiores (Revised Upper Limb Module, RULM): estas pruebas se pueden realizar para evaluar la función de las extremidades superiores de su hijo/a. Estas pruebas reflejan las actividades habituales de la vida cotidiana (por ejemplo, llevarse una lata a la boca como si estuviera bebiendo, tomar una moneda y colocarla en una caja, quitar la tapa de un recipiente).
- Prueba de caminata de 6 minutos (6-Minute Walk Test, 6MWT): ÚNICAMENTE para participantes que pueden caminar en forma independiente en el momento del enrolamiento, para medir la distancia que se puede recorrer caminando rápidamente en 6 minutos.
- Prueba de caminata/carrera de 10 metros (10-meter Walk/Run Test, 10MWR): ÚNICAMENTE para los participantes que pueden caminar en forma independiente en cualquier momento durante el estudio, para medir el tiempo que se necesita para caminar/correr 10 metros.

Estas grabaciones de videos se usarán para comprender mejor el efecto de nusinersen (el medicamento del estudio) en la función motora de su hijo/a. Las grabaciones también serán revisadas por los entrenadores fisioterapeutas durante el estudio para evaluar la uniformidad del examen entre los fisioterapeutas, las visitas y los centros.

Las grabaciones de videos se utilizarán para la capacitación constante de los fisioterapeutas durante el estudio.

#### **¿Qué sucederá con las grabaciones de videos de su hijo/a?**

Las grabaciones de videos incluirán el número del estudio de su hijo/a al igual que los rasgos faciales completos o parciales.

Las grabaciones de videos se almacenarán y se cargarán en un servidor seguro, se etiquetarán con el número del estudio de su hijo/a y las conservará el patrocinador del estudio, Biogen. El patrocinador solo podrá vincular los videos con los datos de la investigación de su hijo/a usando su número del estudio.

Estas grabaciones de videos serán propiedad del patrocinador del estudio, Biogen. Estas grabaciones de videos también se pueden usar en futuras conversaciones con autoridades regulatorias nacionales, como la Administración de Medicamentos y Alimentos (Food and Drug Administration, FDA) de los Estados Unidos y la Agencia Europea de Medicamentos (European Medicines Agency, EMA), en el momento de una solicitud de comercialización para el medicamento del estudio. Estas grabaciones de videos se almacenarán de forma indefinida o, al menos, hasta que se cumplan todos los compromisos regulatorios.

#### **¿Puede retirar su consentimiento?**

La decisión de participar en la grabación opcional de videos durante las evaluaciones de la función motora es completamente voluntaria. Puede retirar su consentimiento en cualquier momento. Si cambia de opinión, informe al médico del estudio que ya no desea que se filme a su hijo/a durante las evaluaciones de la función motora. No es necesario que explique el motivo por el que cambia de opinión. Es posible que cualquier video que se haya grabado de su hijo/a hasta este momento aún se tenga que conservar o usar debido a requisitos legales y regulatorios.

#### **¿Se mantendrá la confidencialidad de la grabación de videos de su hijo/a?**

Cualquier información sobre su hijo/a que se recopile durante esta grabación de videos se procesará y usará para las evaluaciones de la función motora, se mantendrá la confidencialidad y se protegerá con medidas que cumplan con los requisitos vigentes en su país para la protección de la información personal de su hijo/a. La información personal recopilada de su hijo/a durante el estudio principal se usará según se requiera para la grabación de videos, y el consentimiento que otorgó en el documento de información para el paciente/tutor legal y formulario de consentimiento informado del estudio principal se aplicará al uso de la información personal de su hijo/a para la grabación de los videos.

#### **Gastos y pago**

No se le pagará por la participación de su hijo/a en la grabación opcional de videos.

La grabación opcional de videos no implicará ningún costo para usted ni para su hijo/a. El patrocinador del estudio cubrirá todos los costos de los exámenes, la atención médica y la recopilación de datos de estas evaluaciones opcionales.

**¿Qué ocurrirá con los resultados de la grabación opcional de videos de su hijo/a?**

Los resultados generados a partir de la grabación opcional de videos de su hijo/a tienen fines de investigación únicamente y no contienen información personal que lo identifique. Los resultados no se compartirán con usted, el médico del estudio, ninguna compañía de seguros, su empleador, su familia ni ningún otro médico que le brinde tratamiento a su hijo/a en este momento o en el futuro. La información obtenida de esta investigación no se incluirá en los registros médicos de su hijo/a. Los resultados de esta investigación se podrán publicar en revistas científicas, se analicen en congresos científicos, o se podrán usar para tomar decisiones clínicas informadas para el desarrollo de este nuevo medicamento.

**¿Qué sucede si tiene más preguntas sobre la grabación opcional de videos?**

Al igual que en el estudio principal, si hay algo que no esté claro, hable con el médico del estudio. Independientemente de lo que decida hacer, su decisión no afectará la atención de su hijo/a y su hijo/a podrá participar en el estudio principal de todas maneras.

Tanto el estudio principal como estas evaluaciones opcionales están organizados y financiados por el patrocinador del estudio.

Si tiene alguna pregunta sobre la participación en esta grabación opcional de videos, comuníquese con el médico del estudio o el equipo del estudio:

Póngase en contacto con el médico del estudio:

Nombre: Dr. Ricardo Erazo Torricelli

Teléfono: 569-93307013

Si tiene preguntas acerca de sus derechos como participante de la investigación, o inquietudes o quejas acerca de la investigación sobre las que no desea hablar con el médico del estudio ni con el equipo del estudio.

Póngase en contacto con (el Comité de Ética):

Comité de Ética Científico Pediátrico Servicio de Salud Metropolitano Oriente. Dirección: Bernarda Morín 545 - Santiago - Chile. Teléfono: +56229641900. Presidente: Francisca Browne. Correo electrónico: comite@comite-ssmo.cl

**Gracias por leer este documento y considerar la posibilidad de que su hijo/a participe en esta grabación opcional de videos.**

**Formulario de consentimiento informado**

**Título del estudio:** Estudio De Incremento De La Dosis, Aleatorizado, Y Controlado De Nusinersen (BIIB058) En Participantes Con Atrofia Muscular Espinal

**Protocolo del estudio:** 232SM203

Confirmando lo siguiente:

- He leído y comprendo el documento de información para el padre/la madre/el tutor legal para la grabación opcional de videos descrita anteriormente y he tenido suficiente tiempo para pensar sobre la participación de mi hijo/a.
- Estoy satisfecho con las respuestas que dieron a todas mis preguntas.
- He sido informado acerca de la naturaleza, el propósito y la duración de esta grabación opcional de videos, y de sus procedimientos. También se me ha dado la oportunidad de hacer preguntas.
- Acepto voluntariamente que mi hijo/a participe en esta grabación opcional de videos, seguir los procedimientos del estudio y proporcionar la información que el médico del estudio, el personal de enfermería u otros miembros del personal me soliciten y le soliciten a mi hijo/a.
- Sé que tengo la libertad de retirar mi consentimiento para la grabación opcional de videos en cualquier momento, sin explicar el motivo y sin que esto afecte la atención médica de mi hijo/a o sus derechos.
- He recibido un original de esta información para el paciente/tutor legal y formulario de consentimiento informado como constancia.
- Acepto que las evaluaciones que le realicen a mi hijo/a se graben y que se usen como se describe en este documento de información para el paciente/tutor legal.
- Autorizo que se divulguen los registros médicos y la información médica personal de mi hijo/a relacionada con esta grabación opcional de videos al patrocinador y a sus representantes, al Comité de Ética, al Instituto de Salud Pública de Chile, a la FDA, a la EMA y a otros organismos regulatorios, según lo descrito en el documento de información principal para el padre/tutor legal.
- Doy permiso para que la información personal de mi hijo/a recopilada durante el estudio principal y como parte de la grabación opcional de videos se use y sea:
  - revisada, procesada y revelada por el patrocinador y sus representantes autorizados y monitores del estudio, y a estos, para los fines descritos en este documento de información para el paciente/tutor legal y formulario de consentimiento informado;
  - revisada o auditada por las organizaciones debidamente autorizadas; y
  - enviada sin identificación a las autoridades regulatorias de mi país o de otros países.

Al firmar este documento, acepto que mi hijo/a participe en la grabación opcional de videos, según se explica en este documento de información para el paciente/tutor legal y formulario de consentimiento.

**Paciente:**

Nombre del paciente, en letra de  
impresión

Fecha

**Madre:**

(La madre debe firmar, fechar y escribir su nombre de su puño y letra en caso de que el paciente sea menor).

Nombre de la madre, en letra de imprenta	Firma de la madre	Fecha de la firma
--	-------------------	-------------------

**Padre:**

(El padre debe firmar, fechar y escribir su nombre de su puño y letra en caso de que el paciente sea menor).

Nombre del padre, en letra de imprenta	Firma del padre	Fecha de la firma
--	-----------------	-------------------

**Representante legal (si corresponde):**

(El representante legal debe firmar, fechar y escribir su nombre de su puño y letra en caso de que esté a cargo del paciente).

Nombre del representante legal, en letra de imprenta	Firma del representante legal
--	-------------------------------

Relación con la paciente	Fecha de la firma
--------------------------	-------------------

**Persona que obtiene el consentimiento (investigador principal o persona delegada por el investigador principal):**

*(La persona debe firmar, fechar y escribir su nombre de su puño y letra).*

El paciente, su familiar o representante legal han recibido una explicación cuidadosa y completa de este estudio, han firmado el formulario de consentimiento actual y han tenido la oportunidad de hacer preguntas respecto de la naturaleza, los riesgos y los beneficios de participar en el estudio de investigación.

Nombre de la persona que obtiene el consentimiento, en letra de imprenta	Firma de la persona que obtiene el consentimiento	Fecha de la firma
--	---	-------------------

**Testigo (si corresponde):**

*(El testigo debe firmar en el caso de que el paciente o el familiar que otorga el consentimiento en nombre del paciente no tengan la capacidad de leer el presente documento. En este caso, el testigo debe firmar, fechar y escribir su nombre de su puño y letra).*

La persona que firma a continuación certifica que ha estado presente durante el análisis y la obtención del consentimiento y que, a su leal saber y entender, el paciente que participa en este estudio o el familiar o el representante legal del paciente han recibido una explicación completa y detallada, y comprenden claramente la naturaleza, los riesgos y los beneficios de participar en este estudio de investigación.

---

Nombre del testigo, en letra de imprenta	Firma del testigo	Fecha de la firma
--	-------------------	-------------------

---

Relación con el paciente

**Director del centro:**

*(El director del centro o la persona delegada deben firmar, fechar y escribir su nombre de su puño y letra).*

---

Nombre del director del centro o de la persona delegada, en letra de imprenta	Firma del director del centro o de la persona delegada	Fecha de la firma
---	--	-------------------