

Il Registro Vanishing White Matter (VWM)

L'Amsterdam Leukodystrophy Center ha sviluppato un Registro Globale online specifico per soggetti affetti da Vanishing White Matter (VWM). Lo scopo di tale strumento è quello di ottenere informazioni in merito al decorso della malattia, alle specifiche caratteristiche cliniche, all'impatto di malattia sulla persona affetta e sul nucleo familiare, alle specifiche immagini neuroradiologiche associate alla malattia. Questo database svolgerà un ruolo chiave nello sviluppo di strategie di trattamento e nell'indirizzamento di specifiche sperimentazioni terapeutiche. In caso di avvio di studi di ricerca o trial clinici, il registro fornisce informazioni rapide e accesso ai candidati idonei. È pertanto di estrema importanza che il maggior numero possibile di pazienti faccia parte del Registro.

Chi può iscriversi al Registro?

Possono iscriversi al Registro pazienti di ogni età con diagnosi genetica di Vanishing White Matter, senza limitazioni geografiche

Cosa implica la partecipazione al Registro?

Una volta iscritto al Registro, verrà chiesto al paziente di firmare un consenso informato, che ci autorizzerà a raccogliere informazioni su di Lei/ Suo figlio. Le chiederemo quindi di fornire informazioni e documentazione medica in merito alla situazione clinica, alle indagini neuroradiologiche ed ai test genetici condotti. Riceverà inoltre una e-mail per effettuare l'accesso al Registro online, dove potrà trovare questionari malattia-specifici da compilare.

Nel tempo, riceverà ulteriori e-mail volte alla raccolta ulteriori informazioni mediante invio di ulteriori questionari. La frequenza di invio di tali questionari varierà in base all'età della persona iscritta al registro, come segue: 4 volte l'anno (età 0-4 anni), 2 volte l'anno (4-8 anni), oppure una volta l'anno (8 anni e più). Inviando un massimo di 3 questionari e 3 moduli di punteggio per invito, con tempo atteso di compilazione pari a 30 minuti circa.

Attraverso il Registro potrà inoltre partecipare ad ulteriori studi futuri. È correntemente in fase di sviluppo uno studio focalizzato sul carico della malattia imposto su pazienti, genitori, fratelli e partner.

Una volta completata la registrazione, sarà libero di scegliere se partecipare o meno a qualsiasi studio condotto tramite il Registro. Non saranno necessarie visite ospedaliere. In caso di esecuzione di ulteriori indagini neuroradiologiche (nello specifico, risonanze magnetiche), avremmo piacere ad ottenere una copia delle immagini.

Come registrarsi?

È possibile registrarsi online inviando un'e-mail a registerVWM@amsterdamumc.nl. Al ricevimento della sua e-mail, Le invieremo informazioni più dettagliate in merito al Registro in modo che possa scegliere se partecipare o meno. In caso di partecipazione, Le forniremo i moduli di consenso informato da compilare e restituire.