

# CHILDREN'S HOSPITAL

Centro de Ciencia Traslacional  
111 Michigan Avenue, NW  
Washington, DC 20010  
(202) 476-2197

## ESTUDIO DE INVESTIGACIÓN CLÍNICA

### PAGINA DE PREGUNTAS FRECUENTES para posibles participantes

---

**TÍTULO DEL ESTUDIO:** Estudio principal A: Recurso traslacional para enfermedades fibroquísticas hepatorreñales

**INVESTIGADORA PRINCIPAL:** Dra. Lisa Guay-Woodford, MD

**PROTOCOLO DE IRBEAR (sistema de revisión de solicitudes electrónicas del IRB):**  
Pro00003209

---

**INTRODUCCIÓN:** Estamos llevando a cabo un proyecto de investigación, como se describe a continuación

**PROYECTO:** Estamos realizando una investigación para obtener más información sobre las enfermedades reñales poliquísticas autosómicas recesivas (ARPKD) y otras enfermedades fibroquísticas hepatorreñales (HRFD). Esta es una breve información sobre el estudio de investigación: "Estudio principal A: Recurso traslacional para enfermedades fibroquísticas hepatorreñales", y sobre cómo participar en él. No se sabe mucho acerca de su enfermedad. Queremos crear un registro de información clínica sobre su enfermedad para tratar de comprenderla más.

Este estudio tiene dos partes, la base de datos clínicos (información médica), y la parte educativa. En este estudio queremos crear un registro con información de las enfermedades fibroquísticas hepatorreñales (HRFD) para aprender más sobre ellas. Deseamos brindar información sobre estas enfermedades a las familias, los médicos y los asesores en genética a través del sitio web del estudio.

#### **¿Qué son las enfermedades reñales poliquísticas autosómicas recesivas (ARPKD) y las enfermedades fibroquísticas hepatorreñales?**

Las ARPKD y otras enfermedades fibroquísticas hepatorreñales (HRFD) son enfermedades genéticas que afectan los riñones y el hígado y se presentan principalmente en bebés y niños, causando problemas de salud graves, a veces mortales. Entre los trastornos fibroquísticos hepatorreñales se incluyen los síndromes oral-facial-digital, de Joubert, de Bardet Biedl, de Meckel-Gruber y de Caroli (CS), la fibrosis hepática congénita (CHF), la poliquistosis hepática, la nefronoptosis (NPHP) y la enfermedad reñal glomeruloquística.

#### **¿Quién puede participar en este estudio?**

Personas de ambos sexos de hasta 35 años (incluidos fetos) con diagnóstico de enfermedades reñales poliquísticas autosómicas recesivas u otra enfermedad fibroquísticas hepatorreñal basado en información clínica, estudios por imágenes, biopsias, autopsias o datos genéticos.

#### **¿Quién no puede participar en este estudio?**

Personas que tengan: enfermedad reñal poliquística autosómica dominante (ADPKD), malformaciones de las vías urinarias u otro defecto grave y fatal de otros sistemas desde su nacimiento, que sugieran un diagnóstico distinto de HRFD.

**Si desea inscribirse o inscribir a su hijo (vivo o fallecido) como participante en el Estudio principal A: “Recurso traslacional para enfermedades fibroquísticas hepatorreñales”, siga las instrucciones que se incluyen a continuación.**

**INSTRUCCIONES:**

- En el sitio web <http://www.arpkdstudies.uab.edu/> (casillero Patient/family information and consent [Información y consentimiento de los pacientes/familiares]) haga clic en Consent (Consentimiento) y descargue el Formulario de Consentimiento informado y Conformidad (si el participante tiene entre 12 y 18 años). Lea los formularios en su totalidad para obtener más detalles sobre el estudio.
- Una vez que haya leído el/los Formulario(s) de Consentimiento informado, haga clic en Información de contacto, llene los campos requeridos y envíelo. Los datos se enviarán encriptados (seguros) a la coordinadora del estudio de investigación: Elena Gibson ([gibson@childrensnational.org](mailto:gibson@childrensnational.org)) a través de Internet. Ella recibirá una notificación automática por correo electrónico que la alertará para revisar esta información y lo llamará por teléfono para hablar sobre el estudio y el formulario de consentimiento, y responder cualquier pregunta que tenga.
- Una vez que hayan respondido todas sus preguntas, firme los Formularios de Consentimiento informado o Conformidad y envíenoslo(s) por correo a través del correo postal de los EE. UU. Recibirá una copia de su formulario de consentimiento firmado por la Dra. Guay-Woodford o la Sra. Gibson.
- Una vez que la Sra. Gibson reciba el Consentimiento (y la Conformidad, si corresponde) firmado, se asignará un número exclusivo al participante del estudio.

**Opción uno: Inscripción a través del médico;** el médico que lo atiende puede ingresar sus datos clínicos en la base de datos.

**Opción dos: Autorización para divulgación de información médica;** usted puede firmar una autorización para que el médico que lo atiende envíe sus datos clínicos a nuestro sitio, donde nosotros los volcaríamos a la base de datos.

***Este estudio no requiere que venga a una consulta clínica en nuestro centro ni proporciona pruebas genéticas gratuitas.***

***Gracias por su interés.***

**RIESGOS/CONFIDENCIALIDAD:** Si bien los investigadores no prevén ningún riesgo por su participación en este estudio, siempre existe la posibilidad de que se viole la confidencialidad. Sólo las personas que trabajen en el estudio conocerán su nombre. Los investigadores tomarán las medidas necesarias para que este riesgo no ocurra; para lo cual mantendrán los registros del estudio en forma confidencial.

**PARTICIPACIÓN VOLUNTARIA:** Su decisión de participar o no participar en esta investigación no afectará su atención actual o futura en el Children's National Medical Center.

**PREGUNTAS:** Si tiene alguna pregunta, llame a la investigadora principal, [Dra. Lisa Guay-Woodford, MD](#), al: 202-476-6439 o a [Elena Gibson](#), coordinadora de investigación clínica, al 202-476-2197.