

¿Por qué unirse al registro?

El Registro de Pacientes de Miopatía Miotubular y Centronuclear tiene como objetivo ayudar a los investigadores a localizar pacientes adecuados para ensayos clínicos específicos. También puede mejorar nuestra comprensión de dicha condición y su prevalencia, incluso puede fomentar nuevas investigaciones.

Esto a su vez ayudará a desarrollar mejores estándares de atención y cuidado a pacientes, familias y a la comunidad médica, también en el futuro ayudará a los genetistas a preparar y a asesorar mejor a las familias afectadas por estas condiciones.

Los pacientes se pueden registrar para:

- ✓ **Ayudar** a identificar pacientes para ensayos clínicos a medida que estos sean disponibles.
- ✓ **Apoyar** proyectos de investigación con información específica sobre MTM y CNM.
- ✓ **Fomentar** nuevas investigaciones sobre las condiciones gracias a la existencia y disponibilidad de los datos.
- ✓ **Proporcionar** a los médicos información actualizada sobre el manejo de MTM y CNM, para así ayudarles a ofrecer mejores estándares de atención y cuidado a sus pacientes.
- ✓ **Receive** updates on relevant research, studies or clinical trials.

Fuerza en los Números

Únase hoy al registrarse en línea en:

www.mtmcnmregistry.org

O envíenos un correo electrónico a:

mtmcnmregistry@treat-nmd.eu



www.mtmcnmregistry.org

El Registro de Pacientes de Miopatía Miotubular y Centronuclear

Alcanzando ensayos clínicos

Están en marcha investigaciones para encontrar tratamientos o curas para condiciones musculares, como la miopatía miotubular y la miopatía centronuclear, con algunos resultados alentadores hasta ahora.

Estudios de historia natural y estudios observacionales ya se encuentran en progreso, y los arreglos para los primeros ensayos clínicos para tratar pacientes con miopatía miotubular ligada al cromosoma X, se encuentran en la cartera de proyectos.

También se están realizando investigaciones sobre otras formas de la condición, conocidas como miopatía centronuclear. Los primeros signos son esperanzadores, y sugieren que los ensayos clínicos podrían estar a una distancia tangible.

El objetivo principal del Registro de Pacientes de Miopatía Miotubular y Centronuclear es ofrecer a los clínicos e investigadores un camino más fácil para los ensayos clínicos, e informar a los pacientes y familias sobre la investigación o sobre nuevos tratamientos.

www.mtmcnmregistry.org

¿Quién se puede registrar?

Acogemos el registro de:

- ✓ Pacientes con un diagnóstico de miopatía miotubular o centronuclear confirmado por medio de una prueba genética o una biopsia muscular.
- ✓ Mujeres portadoras de miopatía miotubular ligada al cromosoma X, especialmente quienes hayan manifestado síntomas de tipo miopatía miotubular.
- ✓ Todo paciente fallecido, pero con un diagnóstico confirmado.

Si usted no cumple con las categorías anteriores, pero quisiera recibir actualizaciones y boletines informativos del registro, por favor envíenos un correo electrónico y lo agregaremos a nuestra lista general de correos.

¿Qué tipo de información se recolecta?

- ✓ Datos personales como nombre, dirección, fecha de nacimiento y género
- ✓ Información clínica y genética como síntomas y diagnóstico

¿Cómo me registro?

Regístrese en nuestra página web y cree una cuenta en línea. Si un paciente es menor de edad (menor de 18 años), uno de los padres lo puede registrar en su nombre.

Fuerza en los números: únase hoy

¿Mis datos están seguros?

Si su información será almacenada en un servidor seguro y será atendida por la Coordinadora del Registro en la Universidad de Newcastle, como parte de la Red Neuromuscular TREAT-NMD. Los investigadores pueden solicitar datos anónimos del Registro, o pedir a la Coordinadora del Registro que envíe información sobre su proyecto a los pacientes pertinentes.

El Comité Directivo del Registro (un panel de expertos doctores, investigadores y representantes de pacientes) evaluarán dichas peticiones para asegurar que estas sean éticas e idóneas.

La información identificable de los pacientes o datos de contacto jamás serán compartidos.

Visite nuestra página web para mayor información:



www.mtmcnmregistry.org