

# Core Outcome Set



# Delphi Survey

**Patients CTD et GAMT, aidants, professionnels de santé et conseillers en stratégie :  
NOUS AVONS BESOIN DE VOUS !**



Les chercheurs du monde entier étudient les traitements pour améliorer les soins pour les personnes souffrant de déficit en transporteur de la créatine (Creatine Transporter Deficiency - CTD) et de déficit en guanidinoacétate méthyltransférase (GAMT Deficiency - GAMT). Ces projets de recherche doivent mesurer les résultats appropriés de ces troubles.

## QUELLES SONT CES RÉSULTATS ?

- Ces résultats peuvent comprendre le ressenti de la personne, ce qu'elle peut faire, les symptômes observables ou le résultat de tests de laboratoire.
- Elles sont utilisées pour déterminer si le traitement est efficace ou pas.

## QU'EST QU'UN ENSEMBLE DE RÉSULTATS DE BASE (CORE OUTCOME SET - COS) ET POURQUOI LE COS EST UTILISÉ ?

- Un « ensemble de résultats de base » est un ensemble réduit de résultats considérées comme importantes et qui doivent être collectées dans toutes les études de recherche sur une pathologie.
- L'établissement d'un COS évite que les études ne mesurent que trop peu de résultats ou des résultats inappropriés pour cette pathologie. Toutes les résultats du COS doivent être renseignés.

## POURQUOI LE COS EST-IL IMPORTANT ?

- Si les chercheurs mesurent des résultats différentes, il est difficile de comparer et de mettre en lumière l'efficacité des interventions ou des traitements.
- Un COS aide à comparer les études sur le déficit CTD et GAMT pour identifier les traitements qui fonctionnent le mieux.



Les chercheurs sont en train de développer un ensemble de résultats pour le déficit CTD et GAMT et nous avons besoin de vous ! Nous voulons connaître les résultats importantes pour vous !



# Delphi Survey FAQs

## COMMENT PUIS-JE CONTRIBUER ?

Durant les différents cycles de l'enquête en ligne, nous vous montrerons une liste des résultats en lien avec le déficit CTD et GAMT et nous vous demanderons d'évaluer l'importance de chaque caractéristique pour vous. L'enquête sera disponible en anglais, en français et en espagnol. Nous avons besoin du plus grand nombre de patients, d'aidants et de cliniciens possible pour la communauté en lien avec cette maladie rare.

## QUI EST ÉLIGIBLE ?

- Les patients adultes (d'au moins 18 ans) pour lesquels un déficit CTD ou GAMT a été diagnostiqué.
- Un parent ou un aidant de patient pour lequel un déficit CTD ou GAMT a été diagnostiqué.
- Un professionnel de santé ou un aidant professionnel (par ex. un généticien, un diététicien, un enseignant, un physiothérapeute, une assistante sociale) qui s'occupe de patients souffrant de déficit CTD ou GAMT.
- Un consultant en politique de santé (par ex. la FDA)

## QUEL EST L'ENGAGEMENT EN TERMES DE TEMPS ?

- Il vous sera demandé de répondre à 2 ou 3 enquêtes dans les 3 à 5 mois.
- Chaque enquête prendra environ 1 heure.
- Après avoir rempli une enquête, vous participerez à un tirage au sort pour gagner :
  - L'une des cinq cartes-cadeaux d'Amazon d'une valeur de \$50 USD pour la première enquête
  - L'une des cinq cartes-cadeaux d'Amazon d'une valeur de \$75 USD pour la deuxième enquête
  - L'une des cinq cartes-cadeaux d'Amazon d'une valeur de \$75 USD pour la troisième enquête, si nécessaire.

## OÙ PUIS-JE EN SAVOIR PLUS ? QUAND POURRAIS-JE ACCÉDER À L'ENQUÊTE ?

La première enquête Delphi sera publiée en janvier 2023. En savoir plus : [creatineinfo.org/cos](https://creatineinfo.org/cos).

## DES QUESTIONS ?

Envoyez un courriel à Emily à [registry@creatineinfo.org](mailto:registry@creatineinfo.org)

