

Roma, 16.11.2015

firmato

Al Comitato Etico "Sapienza"
Azienda Policlinico Umberto I
SEDE

Oggetto: richiesta di PARERE UNICO per studio clinico

Titolo dello studio: Valutazione retrospettiva del fenotipo clinico e del trattamento nei pazienti affetti da difetti del fibrinogeno (afibrinogenemia/ipofibrinogenemia/disfibrinogenemia)

Codice/Titolo abbreviato: Difetti del fibrinogeno

Promotore: Ematologia AO Policlinico Umberto I Roma - (Non commerciale)

Tipologia dello studio: Osservazionale

Condizione clinica/patologia in studio: A-Ipo-Dis-fibrinogenemia

La sottoscritta, **Prof.ssa Maria Gabriella Mazzucconi**, in qualità di Sperimentatore Coordinatore, chiede l'autorizzazione alla conduzione dello studio in oggetto presso l'Ematologia dell'AO Policlinico Umberto I di Roma (**centro coordinatore**).

Principali criteri di inclusione: lo studio include pazienti adulti e pediatrici affetti da a-ipo-dis-fibrinogenemia, diagnosi effettuata in base al fenotipo coagulativo

Disegno dello studio: studio osservazionale, retrospettivo, non farmacologico, multicentrico. I pazienti saranno segnalati dai centri appartenenti all'Associazione Italiana Centri Emofilia (AICE). Potranno essere arruolati tutti i pazienti affetti da a-ipo-dis-fibrinogenemia. La diagnosi sarà effettuata in base al fenotipo coagulativo: assenza di fibrinogeno attività e antigene per l'afibrinogenemia e ridotti livelli, consensuali, di fibrinogeno attività e antigene per l'ipofibrinogenemia. In caso di disfibrinogenemia la diagnosi sarà basata sulla discrepanza tra l'attività e l'antigene del fibrinogeno. In particolare un rapporto $<0,7$ viene considerato suggestivo per disfibrinogenemia. Il fenotipo emorragico verrà quantificato utilizzando il "bleeding assessment tool" (BAT) della Società Internazionale di Emostasi e Trombosi. Verranno raccolti i dati clinici anamnestici già presenti nelle cartelle cliniche. Per raccogliere i dati si utilizzerà una CRF ad hoc, che verrà inviata a tutti i centri insieme con il protocollo. I dati richiesti sono sia di natura

demografica, sia riguardanti la storia clinica. In particolare verranno rilevati: 1) eventi emorragici; 2) eventi trombotici; 3) interventi chirurgici e/o manovre invasive, complicanze intra/post operatorie di tipo emorragico o trombotico, nonché trattamenti, anche di tipo profilattico, per emorragie e/o trombosi effettuati; 4) in donne affette saranno riportati anche, quali eventi, le gravidanze e le eventuali complicanze correlate (aborti, morti intrauterine, gestosi), i parti, la modalità degli stessi e le eventuali complicanze, i trattamenti (anche in profilassi) eseguiti.

Dimensione del campione: la dimensione del campione per centro non è definita. Saranno inclusi tutti i pazienti eleggibili arruolati in 54 centri italiani partecipanti

Obiettivo principale: valutare il fenotipo clinico dei pazienti con difetti del fibrinogeno presenti sul territorio italiano, e la relativa gestione di episodi emorragici e/o trombotici e loro complicanze

Si dichiara che lo studio sarà condotto nel pieno rispetto delle norme di Buona Pratica Clinica (Decreto Ministeriale n.162 del 15/07/1997 e successivi aggiornamenti) ed in conformità a quanto previsto dalla normativa in materia di trattamento dei dati personali (DLgs 196/2003).

Distinti saluti.

Il Responsabile dello studio

Prof.ssa Maria Gabriella Mazzucconi



Allegati:

- | | |
|-----|-------------------------------------|
| 1. | Autorizzazione del Dipartimento BCE |
| 2. | Scheda budget CTC |
| 3. | CV sperimentatore principale |
| 4. | Protocollo |
| 5. | CRF |
| 6. | ISTH-SSC bleeding score 2013 |
| 7. | Elenco centri partecipanti |
| 8. | FI/CI adulti |
| 9. | FI/CI adolescenti |
| 10. | FI/CI bambini |
| 11. | FI/CI genitori |
| 12. | CD documentazione |

Tel. +39 06 4984



SAPIENZA
UNIVERSITÀ DI ROMA



UMBERTO I
POLICLINICO DI ROMA