

Data e numero di protocollo (assegnato dagli uffici AOUM):	
Inserito in osservatorio AIFA (OSsC):	
Data di avvio procedura di validazione:	
Numero dello studio nell'Ordine del Giorno:	10545

IDENTIFICAZIONE DELL'EMENDAMENTO allo studio clinico	
TITOLO:	Studio randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo, della durata di sei mesi per valutare l'efficacia, la sicurezza e la tollerabilità di sarizotan in pazienti affetti dalla sindrome di Rett con sintomi respiratori
Codice, versione e data del protocollo del promotore:	Sarizotan/001/II/2015, versione , data
Numero EudraCT:	2015-004448-20
Indicazione del promotore (specificare anche se profit o no-profit):	NEWRON PHARMACEUTICALS (Profit)
Centro COORDINATORE (solo per studi multicentrici):	Tenere presente che, se il centro coord è fuori dalla regione, l'informazione non è raccolta nelle schede dello studio; occorre aggiungerla nella scheda di riassunto?
Denominazione del CE Coordinatore e data di rilascio del parere (se applicabile):	Tenere presente che, se il centro coord è fuori dalla regione, l'informazione non è raccolta nelle schede dello studio; occorre aggiungerla nella scheda di riassunto?

IDENTIFICAZIONE DELLO SPERIMENTATORE RESPONSABILE DELLO STUDIO (richiedente)	
(Qualifica) Cognome e Nome:	
Sede di svolgimento dello studio:	

ELENCO STORICO DEGLI EMENDAMENTI (SOSTANZIALI E NON SOSTANZIALI), con indicazione della tipologia, del numero e della data di approvazione/notifica da parte del Comitato Etico a cui afferisce lo sperimentatore richiedente	
1.	
2.	
3.	
Eventuali note (testo libero)	

IDENTIFICAZIONE DELL'EMENDAMENTO "SOSTANZIALE" DA VALUTARE	
Numero emendamento e data:	3 - 13/04/2017
Descrizione dell'emendamento e motivi per apportarlo:	Presentazione di emendamento sostanziale identificato con il codice: Clinical Trial Protocol v7.0 dated 13Apr2017. Modifica principale: consentire l'inclusione di pazienti con sindrome di Rett (RTF) di età compresa tra 6 e <13 anni e con peso pari ad almeno 10kg e introdurre un paradigma di dosaggio basato sul peso. . In merito all'inclusione di pazienti con sindrome di Rett (RTF) di età compresa tra 6 e <13 anni e con peso pari ad almeno 10kg , il Comitato ha ritenuto opportuno acquisire la consulenza del Comitato Etico Regionale Pediatrico. La Segreteria scientifica del Comitato Etico Pediatrico, sentito il parere di esperti membri del CEP, in data 19/07/2017, comunica che non ritiene sufficientemente attendibile l'estrapolazione del profilo di farmacocinetica ottenuto a partire dalla relazione peso corporeo/concentrazione plasmatica e pertanto ritiene problematico l'emendamento per la parte relativa all'estensione dell'arruolamento a pazienti in età 6-12 anni, in assenza di un adeguato studio preliminare di farmacocinetica.
Eventuali osservazioni (testo libero):	

DOCUMENTAZIONE PRESENTATA	
Lettera di trasmissione,	Sì

contenente le motivazioni per considerare l'emendamento come sostanziale, firmata e datata	
Appendice 9 (se applicabile)	Sì
Elenco dei documenti emendati in versione track-change e clean	
Informazioni di supporto, se applicabili	Presentazione di emendamento sostanziale identificato con il codice: Clinical Trial Protocol v7.0 dated 13Apr2017. Modifica principale: consentire l'inclusione di pazienti con sindrome di Rett (RTF) di età compresa tra 6 e <13 anni e con peso pari ad almeno 10kg e introdurre un paradigma di dosaggio basato sul peso. . In merito all'inclusione di pazienti con sindrome di Rett (RTF) di età compresa tra 6 e <13 anni e con peso pari ad almeno 10kg , il Comitato ha ritenuto opportuno acquisire la consulenza del Comitato Etico Regionale Pediatrico. La Segreteria scientifica del Comitato Etico Pediatrico, sentito il parere di esperti membri del CEP, in data 19/07/2017, comunica che non ritiene sufficientemente attendibile l'estrapolazione del profilo di farmacocinetica ottenuto a partire dalla relazione peso corporeo/concentrazione plasmatica e pertanto ritiene problematico l'emendamento per la parte relativa all'estensione dell'arruolamento a pazienti in età 6-12 anni, in assenza di un adeguato studio preliminare di farmacocinetica.

RICHIESTA DOCUMENTAZIONE INTEGRATIVA
Specificare i documenti mancanti e la data di richiesta:
Specificare i documenti ricevuti e la data di ricezione:
<i>Eventuali elementi critici riscontrati (testo libero):</i>

ELEMENTI DA VALUTARE	
L'emendamento è tale da "incidere sulla sicurezza dei soggetti della sperimentazione o modificare l'interpretazione della documentazione scientifica a sostegno dello svolgimento dello studio oppure siano significativi in relazione allo svolgimento clinico dello studio" (definizione emendamento sostanziale dal DM 21 dicembre 2007)	Sì
L'emendamento è stato oggetto di misure urgenti ed adeguate per proteggere i soggetti dello studio contro ogni possibile rischio	NA
ELEMENTI MODIFICATI DALL'EMENDAMENTO	
Protocollo	Sì
Dati sulla qualità e/o sicurezza dell'IMP	NA
Informative al paziente/genitore/tutore legale	Sì
Informazioni al medico curante	NA
Sperimentatore principale di un centro	NA
Polizza assicurativa	NA
Bozza di convenzione	NA
Altro (specificare):	
L'emendamento ha conseguenze per i soggetti già inclusi nello studio	NA
L'emendamento riguarda la sospensione temporanea dello studio	NA
Eventuali note (testo libero):	
ELEMENTI MODIFICATI NEL PROTOCOLLO CLINICO (SE APPLICABILE) E RIVALUTATI	
Aspetti etici, quali tutela dei diritti, salute, benessere dei soggetti	Sì
Procedure per la qualità dei dati	NA
Obiettivi dello studio	NA
Disegno dello Studio	NA
Modalità di sottomissione del Consenso informato	NA
Procedure di arruolamento	Sì
Misurazioni di esito	NA
Tempistica degli esami clinico-diagnostici	NA
Aggiunta o eliminazione di test o di misurazioni	NA
Numero dei partecipanti	NA
Intervallo di età dei partecipanti	Sì

Criteri di inclusione	Sì
Criteri di esclusione	Sì
Monitoraggio della sicurezza	NA
Variazione dei criteri di sicurezza per interrompere il trattamento sperimentale	NA
Durata dell'esposizione al prodotto sperimentale	NA
Variazione di posologia del medicinale sperimentale	NA
Variazione del prodotto di confronto	NA
Analisi statistica	NA
Variazione della definizione di conclusione dello studio	NA
Modificazione alla valutazione del rapporto beneficio/rischio	NA
Eventuali note (testo libero):	

ALTRI ASPETTI PARTICOLARI CHE SI RITIENE DI PORTARE ALL'ATTENZIONE DEL COMITATO ETICO (testo libero):

Relatori