

Prot n 45214

Pisa, il 22/08/2017

*Al promotore* PFIZER LIMITED

*Alla CRO* ICON PUBLIC LIMITED COMPANY

*Allo sperimentatore Principale locale* Emdin Michele

*e p.c. al Direttore Generale della struttura di afferenza dello Sperimentatore Principale locale*

**Oggetto:** Comunicazione del parere relativo alla richiesta di approvazione alla conduzione dello studio clinico

"Transthyretin-Associated Amyloidosis Outcomes Survey (THAOS): A Global, Multi-Center, Longitudinal, Observational Survey of Patients With Documented Transthyretin (TTR) Mutations or Wild-Type TTR Amyloidosis."

Codice Protocollo: THAOS

Eudract (se applicabile): NA

In riferimento alla richiesta di cui all'oggetto, si trasmette il parere del Comitato Etico Regionale per la Sperimentazione Clinica della Toscana - sezione AREA VASTA NORD OVEST riunitosi in data **20/07/2017**.

Si ricorda che l'avvio della sperimentazione da parte del Promotore è subordinato a:

- stipula della convenzione economica (se applicabile)
- rilascio della disposizione autorizzativa della Direzione Generale dell'Azienda sanitaria.

**IN CASO DI PARERE FAVOREVOLE**

Il Comitato si riserva la facoltà di monitorare nel corso del suo svolgimento, in accordo alle disposizioni normative vigenti, lo studio clinico approvato.

**Il Responsabile Segreteria Tecnico Scientifica**

**Il Comitato Etico**  
**in osservanza alle legislazioni vigenti in materia di**  
**studi osservazionali / studi con interventi sanitari diversi da farmaci e dispositivi medici**  
**ha esaminato la richiesta di parere relativa allo studio**

"Transthyretin-Associated Amyloidosis Outcomes Survey (THAOS): A Global, Multi-Center, Longitudinal, Observational Survey of Patients With Documented Transthyretin (TTR) Mutations or Wild-Type TTR Amyloidosis."  
Codice Protocollo: THAOS

Eudract (se applicabile): NA

**Avendo valutato la seguente documentazione nella seduta del 20/07/2017**

**DOCUMENTAZIONE GENERALE**

- **Delega del Promotore al Richiedente** (del 06/12/2016)
- **Dichiarazione sulla natura osservazionale dello studio** (del 23/11/2016)

- **Modulo RSO** (del 13/12/2016)
- **Protocollo di studio** (versione 4 del 07/07/2015)
- **Sintesi del protocollo in lingua italiana** (versione 4 del 07/07/2015)
- **Elenco dei Centri partecipanti (se multicentrico)** (versione 5 del 31/01/2017)
- **Questionario: THAOS\_EQ5D\_Italian\_V\_1990**
- **- Questionario: NorfolkQoL\_Italian** (del 27/05/2008)
- **B3461001\_Karnofsky\_Performance\_Status\_Scale\_definitions\_rating\_(%)\_criteria**
- **Protocol\_Administrative\_Change\_Letter** (del 10/02/2016)
- **Parere Unico del Centro Coordinatore (se applicabile)** (del 18/03/2009)
- **Parere Unico del Centro Coordinatore (se applicabile)** (versione Em.4 del 19/01/2016)
- **Schede di raccolta dati** (del 06/12/2016)
- **Istruzioni d'uso per le CRF** (versione 1.3 del 20/11/2012)

#### DOCUMENTAZIONE CENTRO-SPECIFICA

- **Lettera di accettazione dello sperimentatore locale** (versione 1 del 10/05/2017)
- **Dichiarazione pubblica sul conflitto di interessi (Appendice 15 al DM 21/12/2007)** (versione 1 del 10/05/2017)
- **Curriculum vitae in formato UE aggiornato dello sperimentatore locale** (versione 1 del 10/05/2017)
- **Bozza di convenzione economica tra il promotore e il centro clinico dove si svolgerà lo studio** (versione 1 del 10/05/2017)
- **AUTORIZZAZIONE DIRETTORE GENERALE FTGM** (versione 1 del 03/05/2017)
- **Analisi d'impatto aziendale per la fattibilità locale** (versione 1 del 10/05/2017)
- **Lettera di intenti del promotore per il CE** (del 01/03/2017)
- **Modulo informativo per il paziente/genitore/tutore legale - completo di modulo di consenso informato e modulo di consenso al trattamento dei dati personali** (versione 4 del 15/11/2012)
- **Lettera al medico di medicina generale/pediatra di libera scelta** (del 23/10/2008)

Data di arrivo della documentazione completa: 22/06/2017

**Ha espresso il seguente parere:  
PARERE FAVOREVOLE**

**Il Comitato Etico di Area Vasta Nord Ovest (CEAVNO) per la Sperimentazione clinica, preso atto del Parere favorevole espresso dal Comitato etico del Centro coordinatore, approva lo studio in oggetto.  
Il CEAVNO raccomanda di emendare la bozza di convenzione in considerazione delle precisazioni fornite dal promotore ai quesiti posti in fase istruttoria.**

Numero registro pareri del Comitato Etico: 1480

Elenco componenti del CE presenti alla discussione e votanti che hanno dichiarato assenza di conflitti di interessi di tipo diretto o indiretto:

**Dr.Ssa Editta BALDINI, Clinico Oncologo - Altresì Vicepresidente;**

**Dr.ssa Elena BRUNORI**, *Clinico Pediatra*  
**Dr. Francesco CARACCILO**, *Clinico Ematologo*  
**Dr.ssa Luana DAL CANTO**, *Farmacista SSR*  
**Prof. Romano DANESI**, *Farmacologo*  
**Dr. Giuseppe DE VITO**, *Clinico Psichiatra*  
**Ing. Vincenzo FERRARI**, *Ingegnere Clinico*  
**Prof. Angiolo GADDUCCI**, *Clinico Ostertrico-ginecologico*  
**Dr. Antonello GIANNONI**, *Clinico Anestesista - Esperto In Nutrizione Clinica*  
**Prof.ssa Francesca GIARDINA**, *Esperto In Materia Giuridica*  
**Dr.ssa Mariella IMMACOLATO**, *Medico Legale - altresì Delegato della Direzione Di Area Vasta Nord Ovest*  
**Prof. Claudio PASSINO**, *Clinico Cardiologo - Altresì Delegato Della Fondazione Monasterio*  
**Dr. Luca PULIZIA**, *Rappresentante Area Infermieristica*  
**Dr. Marcello ROSSI**, *Clinico Pneumologo*

#### **Sussistenza numero legale (n. 14 su 22)**

Si ricorda che è obbligo notificare al Comitato Etico:

- data di arruolamento del primo paziente;
- stato di avanzamento dello studio, con cadenza semestrale e/o annuale, corredato da una relazione scritta;
- fine del periodo di arruolamento;
- data di conclusione dello studio studio a livello locale ed a livello globale;
- risultati dello studio, entro un anno dalla conclusione della stessa.

Il Proponente deve ottemperare alle disposizioni legislative vigenti e riferire immediatamente al Comitato relativamente a:

- deviazioni dal protocollo, anche quando queste si rendano necessarie per eliminare i rischi immediati per i partecipanti
- modifiche al protocollo, che non potranno essere messe in atto senza che il Comitato abbia rilasciato parere favorevole ad uno specifico emendamento, eccetto quando ciò sia necessario per eliminare i rischi immediati per i partecipanti o quando le modifiche riguardino esclusivamente aspetti logistici o amministrativi dello studio.

**Il Presidente**

Pisa, il 22/08/2017

---