

Data e numero di protocollo (assegnato dagli uffici AOUM):	29/03/2017 10866_2017
Inserito in osservatorio AIFA (OSsC):	
Data di avvio procedura di validazione:	06/04/2017
Numero dello studio nell'Ordine del Giorno:	10866

IDENTIFICAZIONE DELLA SPERIMENTAZIONE CLINICA (interventistica)	
TITOLO:	Studio AATD OR Stima dei soggetti con Deficit di alfa-1 antitrypsin (AATD) e di consumo di risorse a carico del Sistema Sanitario Nazionale di questi pazienti
Codice, versione e data del protocollo del promotore:	20170130 Studio AATD OR , versione 1, data 30/01/2017
Numero EudraCT:	NA
Indicazione del promotore (specificare anche se profit o no-profit):	CLICON SRL (Profit)
Centro COORDINATORE (solo per studi multicentrici):	na
Denominazione del CE Coordinatore e data di rilascio del parere (se applicabile):	na -

IDENTIFICAZIONE DELLO SPERIMENTATORE RESPONSABILE DELLO STUDIO (richiedente)	
(Qualifica) Cognome e Nome:	OLIVIERI CARMELA
Sede di svolgimento dello studio:	Azienda USL Toscana Sud Est, U.O.C. PNEUMOLOGIA

Breve descrizione del DISEGNO DELLO STUDIO, DELL'OBIETTIVO E DELLA POPOLAZIONE INTERESSATA (se applicabile specificarne i sottogruppi) Gli elementi essenziali sono riassunti con il termine EPICOT (Evidence, Population, Intervention, Comparison, Outcome, and Time). Vedi articolo: How to formulate research recommendations. BMJ. Oct 14, 2006; 333(7572): 804-806.	
<p><b>DISEGNO DELLO STUDIO:</b></p> <p><i>L'Alfa-1-antitripsina (AAT) è una glicoproteina primaria prodotta dagli epatociti nel fegato, che circola passivamente fino ai polmoni attraverso il sangue. Appartiene alla famiglia delle serpina (concentrazione plasmatica di 90-200 mg/dL ; tempo di emivita di 4/5 giorni). Nei pazienti con una deficienza di Alfa-1-antitripsina (AATD), la concentrazione di proteina nei polmoni è insufficiente. Di conseguenza, l'enzima elastasi, che a sua volta è degradato dalla proteina alfa-1, continua a "lavorare", causando la distruzione delle pareti alveolari.</i></p> <p><i>La deficienza di alfa-1-antitripsina (AATD) è sotto diagnosticata e solo il 10% dei pazienti sono diagnosticati con un ritardo di circa 7 anni dopo la comparsa dei primi sintomi.</i></p> <p><i>Da qui si deduce che la precoce diagnosi di AATD è molto importante, unita a uno stile di vita attento e ai tempestivi trattamenti, possono aiutare a rallentare il decorso della patologia polmonare associata. Tuttavia l'identificazione della AATD risulta impossibile dai sintomi o da esame fisico del paziente. La diagnosi può essere accertata solo dopo analisi dettagliata degli esami del sangue e dei livelli di alfa-1-antitripsina.</i></p>	<p>• retrospettivo</p> <p>Bracci: 1</p>
<p><b>OBIETTIVO:</b></p> <p>Stimare la prevalenza dei soggetti con bassa concentrazione di alfa-1-antitripsina e/o alfa-1-globuline.1</p> <p>Stimare i costi sanitari diretti nei pazienti con carenza di alfa-1-antitripsina e/o basso tasso di</p>	

alfa-1-globuline e/o affetti da AATD in trattamento sostitutivo Stimare i costi sanitari diretti nei pazienti con carenza di alfa-1-antitripsina e/o basso tasso di alfa-1-globuline e/o affetti da AATD non trattati o in trattamento sintomatico Effettuare una valutazione costo/efficacia tra le due precedenti opzioni	
POPOLAZIONE: Tutti i pazienti della ASL/AO con una rilevazione dell'alfa-1-globulina inferiore 236 o 161 mg/dL (valutati rispettivamente con metodo CZE o AGE) o una rilevazione dell'alfa-1-antitripsina plasmatica inferiore a 113 mg/dL nel periodo dal 1 Gennaio 2012 al 31 Dicembre 2015 Tutti gli assistiti con un cambio di ASL di appartenenza nel periodo di caratterizzazione o di follow up.	• Pazienti  Età:  • Maggiore di 18 Anni a  Sesso: Femminile e Maschile  ICD9:
INTERVENTO:	
CONFRONTO:	
OUTCOME:	
TIME STOP DELLE EVIDENZE DISPONIBILI:	
Altre informazioni:	
Numero ed età dei soggetti previsti per centro:	100 soggetti
Contributo lordo previsto dal promotore (per soggetto completato, ove applicabile):	
Durata dello studio:	6 Mesi
Periodo di arruolamento (ove applicabile):	
Periodo di Follow-up (ove applicabile):	

## DOCUMENTAZIONE PRESENTATA

### RICHIESTA DOCUMENTAZIONE INTEGRATIVA

Specificare la data di richiesta dei documenti mancanti e il tipo di documenti:	
Specificare la data dei documenti ricevuti e il tipo di documenti:	29/03/2017
Eventuali elementi critici riscontrati o altre osservazioni (testo libero):	

## ELEMENTI DA VALUTARE

### ASPETTI ETICI

Il promotore e/o lo sperimentatore locale ha documentato con formale accettazione dello studio che lo stesso verrà condotto nel rispetto dei diritti fondamentali della dignità e dei diritti umani in conformità ai principi etici, che traggono la loro origine dalla Dichiarazione di Helsinki e dalla Convenzione di Oviedo nonché da tutte le normative internazionali applicabili	Sì
Il promotore dichiara il rispetto delle Good Clinical Practice nonché delle disposizioni normative applicabili	Sì
I diritti, la sicurezza e il benessere dei soggetti dello studio hanno costituito le considerazioni più importanti e sono prevalsi sugli interessi della scienza e della società	Sì
La ricerca su persone che non sono in grado di dare il loro consenso informato è giustificata	NA
La ricerca su persone che non sono in grado di dare il loro consenso informato è giustificata	

### INFORMAZIONE AI SOGGETTI E PROCEDURE PER IL CONSENSO INFORMATO

Modulo di consenso informato, data e versione (approvate dal CE coordinatore, se applicabile):	
	NA

Se applicabile, i fogli informativi ed i moduli di assenso/consenso informato sono distinti per le diverse fasce di età pediatrica	
Se applicabile, la descrizione dello studio è adeguata alle diverse fasce di età considerate	NA
Se applicabile, l'informativa risponde alle principali domande previste dal CE	Sì
Le informazioni sono conformi al protocollo	Sì
Le informazioni sono conformi al protocollo	Sì
Il linguaggio utilizzato è chiaro, privo di termini tecnici e specialistici	Sì
La procedura da seguire per sottoporre al/i soggetto/i il consenso informato è ben descritta	NA
Rischi e benefici sono ben descritti e congruenti	NA
Il responsabile della conservazione, l'utilizzo e la durata di uso dei campioni biologici sono aspetti ben descritti (se applicabile)	NA
La data e l'ora di consegna del modulo informativo ai pazienti da parte del medico sono presenti, così come la data e l'ora di firma del consenso informato	NA
E' presente altro materiale per i soggetti	NA
Eventuali elementi critici riscontrati o altre osservazioni (testo libero):	
La protezione dei dati personali e la confidenzialità è assicurata	Sì
Eventuali elementi critici riscontrati o altre osservazioni (testo libero):	
E' presente la lettera al medico curante/pediatra di libera scelta (se applicabile)	NA
Eventuali elementi critici riscontrati o altre osservazioni (testo libero):	

<b>STRUTTURE, PERSONALE ED ASPETTI ECONOMICO-AMMINISTRATIVI</b>	
L'idoneità dello sperimentatore e dei suoi collaboratori è stata valutata dal Curriculum Vitae e dalla sua dichiarazione sul conflitto di interessi	Sì
L'adeguatezza della struttura sanitaria (in termini di personale, strutture e costi coinvolti nello studio secondo la specifica tipologia) è stata valutata dall'analisi di impatto aziendale fornita e riportante la firma del Direttore Generale	Sì
L'adeguatezza della struttura sanitaria (in termini di personale, strutture e costi coinvolti nello studio secondo la specifica tipologia) è stata valutata dall'analisi di impatto aziendale fornita e riportante la firma del Direttore Generale	Sì
Per studi profit, lo sperimentatore locale ha rilasciato dichiarazione attestante che il personale coinvolto svolgerà le relative attività oltre il normale orario di lavoro per tutto il personale coinvolto	NA
Per studi no-profit, lo sperimentatore locale ha rilasciato dichiarazione attestante che il personale coinvolto potrà svolgere le relative attività nell'orario di lavoro, senza pregiudicare le normali attività assistenziali	NA
Per studi no-profit: a) lo sperimentatore locale ha rilasciato dichiarazione attestante che per lo studio non è previsto alcun contributo economico e che lo studio non comporterà aggravio di costi a carico del SSN in quanto i costi relativi agli esami strumentali e di laboratorio extraroutinari saranno sostenuti con fondi ad hoc o che il sostenimento di costi aggiuntivi sia autorizzato dalla Direzione Aziendale	NA
b) lo sperimentatore locale ha rilasciato dichiarazione attestante che per lo studio è previsto un contributo economico e sono state dettagliatamente descritte le modalità di impiego dello stesso, al netto del sostenimento di eventuali costi, per le finalità proprie della ricerca	NA
Esiste un finanziamento per lo studio clinico definito in un contratto tra promotore/supplier e centro clinico, e questo è stato concordato tra le parti (se applicabile)	NA
Sono stati valutati gli importi e le eventuali modalità di retribuzione o di compenso o di emolumenti di qualsiasi natura da corrispondersi agli sperimentatori (se applicabile)	Sì
Sono stati valutati gli importi e le eventuali modalità di retribuzione o di compenso o di emolumenti di qualsiasi natura da corrispondersi agli sperimentatori (se applicabile)	Sì
Nel caso di enti no-profit è stato accertato il rispetto dei requisiti previsti dal DM 17/12/2004 (come indicato dall'allegato 1)	NA
Lo studio presenta una partnership profit/no-profit, i cui interessi sono chiaramente definiti in un agreement	NA
Altro, specificare:	

<b>ALTRI ASPETTI PARTICOLARI CHE SI RITIENE DI PORTARE ALL'ATTENZIONE DEL COMITATO ETICO (testo libero):</b>
--

