



REGIONE CAMPANIA
AZIENDA OSPEDALIERA DI RILIEVO NAZIONALE E DI ALTA SPECIALIZZAZIONE
“SANT'ANNA E SAN SEBASTIANO”
CASERTA

Deliberazione del Direttore Generale N. 836 del 21/10/2022

Proponente: Il Direttore COMITATO ETICO

**Oggetto: Studio clinico osservazionale “Prevalenza della malattia di Gaucher e di Niemann Pick A/B (ASMD) in pazienti affetti da splenomegalia e/o trombocitopenia nella regione Campania” – (PARAGON)-
Provvedimenti.**

PUBBLICAZIONE

In pubblicazione dal 21/10/2022 e per il periodo prescritto dalla vigente normativa in materia (art.8 D.Lgs 14/2013, n.33 e smi)

ESECUTIVITA'

Atto immediatamente esecutivo

TRASMISSIONE

La trasmissione di copia della presente Deliberazione è effettuata al Collegio Sindacale e ai destinatari indicati nell'atto nelle modalità previste dalla normativa vigente. L'inoltro alle UU. OO. aziendali avverrà in forma digitale ai sensi degli artt. 22 e 45 D.gs. n° 82/2005 e s.m.i. e secondo il regolamento aziendale in materia.

UOC AFFARI GENERALI

Direttore Eduardo Chianese

ELENCO FIRMATARI

Gaetano Gubitosa - DIREZIONE GENERALE

Angela Anneschiarico - DIREZIONE SANITARIA

Amalia Carrara - DIREZIONE AMMINISTRATIVA

Tommaso Sgueglia - COMITATO ETICO

Per delega del Direttore della UOC AFFARI GENERALI, il funzionario Pasquale Cecere

Oggetto: Studio clinico osservazionale “Prevalenza della malattia di Gaucher e di Niemann Pick A/B (ASMD) in pazienti affetti da splenomegalia e/o trombocitopenia nella regione Campania” – (PARAGON)- Provvedimenti.

IL REFERENTE QUALIFICATO DELL'UFFICIO DI SEGRETERIA AFFERENTE ALLA SEGRETERIA CENTRALE DEL COMITATO ETICO CAMPANIA NORD

A conclusione di specifica istruttoria, descritta nella narrazione che segue e i cui atti sono custoditi presso la struttura proponente, rappresenta che ricorrono le condizioni e i presupposti giuridico-amministrativi per l'adozione del presente provvedimento, ai sensi dell'art. 2 della Legge n. 241/1990 e s.m.i. e, in qualità di responsabile del procedimento, dichiara l'insussistenza del conflitto di interessi, ai sensi dell'art. 6 bis della legge 241/90 e s.m.i.

Premesso

- **che** la Giunta Regionale della Campania con deliberazione n.16 del 23/01/2014 avente ad oggetto: “Recepimento ed esecuzione del decreto del ministero della salute 8 febbraio 2013 – Riorganizzazione e funzionamento dei comitati etici in Regione Campania”, pubblicata sul BURC n.7 del 27/01/2014, ha individuato il “Comitato Etico Campania Nord” quale competente per le attività di sperimentazione e ricerca biomedica a cui fanno riferimento le Aziende Sanitarie Locali di Avellino, Benevento e Caserta, le Case di Cura del territorio di competenza, le Aziende Ospedaliere di Rilievo Nazionale “San Giuseppe Moscati” di Avellino, “Gaetano Rummo” di Benevento e “Sant’Anna e San Sebastiano” di Caserta;

Preso atto

- **che** con deliberazioni n.478 del 11 luglio 2014, n.632 del 10 ottobre 2014, n.670 del 14 agosto 2017 e n. 1381 del 30-12-2021 tutte dell’A.O.R.N. “San Giuseppe Moscati” di Avellino, è stato istituito e rinnovato il “Comitato Etico Campania Nord”, con sede presso la stessa A.O.R.N. “San Giuseppe Moscati” di Avellino;
- **che** questa Azienda con deliberazione n.330 del 13 novembre 2014 ha proceduto alla ratifica della costituzione e della sede del succitato comitato;
- **che** con Deliberazione del Direttore Generale n. 3 del 10/01/2022 ad oggetto “Preso d’atto deliberazione n. 1381 del 31.12.2021 dell’A.O.R.N. Moscati di Avellino” è stata ratificata la composizione del Comitato Etico in carica;

Vista

- la richiesta del Dr Ferdinando Frigeri – Direttore della UOC Ematologia ad indirizzo oncologico di quest’AORN – costituente parte integrante e sostanziale del presente atto, per lo svolgimento dello Studio clinico osservazionale “Prevalenza della malattia di Gaucher e di Niemann Pick A/B (ASMD) in pazienti affetti da splenomegalia e/o trombocitopenia nella regione Campania” (PARAGON), che individua sé medesimo quale Sperimentatore Principale;

Deliberazione del Direttore Generale

Acquisiti

- il prescritto parere favorevole del Comitato Etico Campania Nord, costituente parte integrante e sostanziale del presente atto, espresso nella Seduta del 20.04.2022 - Registro CECN/1807, acquisito con Prot n. 13086 del 26.04.2022 e rimesso a quest'Azienda a mezzo mail dall'USC di Avellino, relativo al protocollo di Studio in parola, previa verifica di tutta la documentazione prodotta;
- la dichiarazione per lo svolgimento dello Studio in argomento, sottoscritta dal Dr Ferdinando Frigeri – acquisita con Prot. n. 30280 del 20.10.2022 - costituente parte integrante e sostanziale del presente atto;

Preso atto

- che per lo studio de quo e per le attività connesse non sono previsti costi e/o oneri aggiuntivi per quest'Azienda;

Considerato

- **che** il citato Comitato, avendo accertato che gli adempimenti di carattere etico-amministrativi, connessi alla corretta conduzione dello studio in oggetto, sono stati formalmente assicurati, ha, unanimemente, espresso parere positivo in merito alle valutazioni etiche, riferite alle dichiarazioni di Helsinki, nonché, ove applicabili, alle raccomandazioni del Comitato Nazionale di Bioetica ed, altresì, alla valutazione scientifico-metodologica della sperimentazione, facendo riferimento alle norme di Good Clinical Practices, per le sperimentazioni dei medicinali, alla bibliografia esistente sull'argomento, come da verbale regolarmente sottoscritto dai membri partecipanti, agli atti dell'Ufficio Segreteria Centrale del Comitato medesimo;

Ritenuto

- di dover provvedere ad autorizzare il Dr Ferdinando Frigeri, Direttore della UOC Ematologia ad indirizzo oncologico di quest'AORN, per lo svolgimento dello Studio clinico osservazionale "Prevalenza della malattia di Gaucher e di Niemann Pick A/B (ASMD) in pazienti affetti da splenomegalia e/o trombocitopenia nella regione Campania" (PARAGON);
-

Attestata

la legittimità della presente proposta, che è conforme alla vigente normativa in materia;

Deliberazione del Direttore Generale



REGIONE CAMPANIA
AZIENDA OSPEDALIERA DI RILIEVO NAZIONALE E DI ALTA SPECIALIZZAZIONE
"SANT'ANNA E SAN SEBASTIANO"
CASERTA

PROPONE

1. di autorizzare il Dr Ferdinando Frigeri, Direttore della UOC Ematologia ad indirizzo oncologico di quest'AORN, per lo svolgimento dello Studio clinico osservazionale "Prevalenza della malattia di Gaucher e di Niemann Pick A/B (ASMD) in pazienti affetti da splenomegalia e/o trombocitopenia nella regione Campania" (PARAGON);
2. di specificare che, per lo studio de quo e le attività connesse, non sono previsti costi e/o oneri per quest'AORN
3. di trasmettere copia della presente deliberazione al Collegio Sindacale, ai sensi di legge, all'Ufficio di Segreteria Locale del Comitato Etico Campania Nord e alla UOC Ematologia ad indirizzo oncologico;
4. di rendere lo stesso immediatamente eseguibile, per la materia.

Il Referente Qualificato
Ufficio di Segreteria afferente la Segreteria Centrale
del Comitato Etico Campania Nord
Dr Tommaso Sgueglia

Deliberazione del Direttore Generale

Il presente atto, in formato digitale e firmato elettronicamente, costituisce informazione primaria ed originale ai sensi dei combinati disposti degli artt. 23-ter, 24 e 40 del D.Lgs. n. 82/2005. Eventuale riproduzione analogica, costituisce valore di copia semplice a scopo illustrativo.



IL DIRETTORE GENERALE

Dr. Gaetano Gubitosa

nominato con D.P.G.R.C. n. 76 del 10/06/2020
insediatosi giusta deliberazione n. 1 del 11/06/2020

Vista la proposta di deliberazione che precede, a firma del Referente Qualificato – Dr. Tommaso Sgueglia;

Acquisiti i pareri favorevoli del Direttore Sanitario e del Direttore Amministrativo sotto riportati:

Il Direttore Sanitario Dr.ssa Angela Anecchiarico _____

Il Direttore Amministrativo Avv. Amalia Carrara _____

DELIBERA

per le causali in premessa, che qui si intendono integralmente richiamate e trascritte, di prendere atto della proposta di deliberazione che precede e, per l'effetto:

1. di autorizzare il Dr Ferdinando Frigeri, Direttore della UOC Ematologia ad indirizzo oncologico di quest'AORN, per lo svolgimento dello Studio clinico osservazionale "Prevalenza della malattia di Gaucher e di Niemann Pick A/B (ASMD) in pazienti affetti da splenomegalia e/o trombocitopenia nella regione Campania" (PARAGON);
2. di specificare che, per lo studio de quo e le attività connesse, non sono previsti costi e/o oneri per quest'AORN
3. di trasmettere copia della presente deliberazione al Collegio Sindacale, ai sensi di legge, all'Ufficio di Segreteria Locale del Comitato Etico Campania Nord e alla UOC Ematologia ad indirizzo oncologico;
4. di rendere lo stesso immediatamente eseguibile, per la materia.

**Il Direttore Generale
Gaetano Gubitosa**

Deliberazione del Direttore Generale

DIPARTIMENTO ONCOLOGICO

Unità Operativa Complessa di Ematologia a Indirizzo Oncologico

Edificio F – 4° piano

E-mail: oncoematologia@ospedale.caserta.it

Caserta, lì 16.03.2022

Al Comitato Etico Campania NORD
AO S. Giuseppe Moscati -
Contrada Amoretta – Pal Uffici
83100 - Avellino

**Oggetto: Richiesta di Parere alla conduzione del progetto educativo no profit:
"Prevalenza della malattia di Gaucher e di Niemann Pick A/B (ASMD) in pazienti affetti da
splenomegalia e/o trombocitopenia nella regione Campania."**

Egregio Presidente,

signori componenti

con la presente si richiede l'approvazione e l'autorizzazione del progetto in oggetto, che verrà condotto presso l' UOC di Ematologia ad indirizzo oncologico – AORN "S. Anna e S. Sebastiano - Caserta

A tal fine, si allega la seguente documentazione:

- Protocollo
- Sinossi in italiano
- Schede raccolta dati
- Lista dei centri partecipanti e relativi ricercatori responsabili
- Nota informativa e Modulo di consenso informato
- Informativa privacy
- Lettera al medico curante
- Lettera di intenti per studi spontanei non farmacologici da parte della società Sanofi Genzyme che supporta il Progetto
- Centro specifica (Allegato 2.4)
- Dichiarazione pubblica sul conflitto di interessi
- CV del PI
- Dichiarazione studio Osservazionale

DIPARTIMENTO ONCOLOGICO

Unità Operativa Complessa di Ematologia a Indirizzo Oncologico

Edificio F - 4° piano

E-mail: oncoematologia@ospedale.caserta.it

Si dichiara inoltre:

- che il progetto sarà condotto in ottemperanza al protocollo, alle norme dettate dalla GCP e alle disposizioni normative applicabili;
- che verrà comunicato il termine, la sospensione o la rinuncia al progetto;
- che verrà inviata, appena disponibile, copia della relazione finale.

In fede

Il Direttore


A.O.R.N. Sant'Anna e San Sebastiano
CASERTA
U.O.C. Ematologia ad Indirizzo Oncologico
Direttore: Dott. Ferdinando Frigeri
NA 22042



SAN GIUSEPPE MOSCATI - AVELLINO

AZIENDA OSPEDALIERA DI RILIEVO NAZIONALE E DI ALTA SPECIALITÀ

Contrada Amoretta – Città Ospedaliera - Pal. Uffici – 83100 AVELLINO

**COMITATO ETICO CAMPANIA NORD
per la sperimentazione e ricerca biomedica**

Sede e Ufficio di Segreteria centrale:

AZIENDA OSPEDALIERA “SAN GIUSEPPE MOSCATI” DI AVELLINO

PRESIDENTE: DR./PROF. GIOVANNI DI MINNO

RESPONSABILE TECNICO-SCIENTIFICO
E COORDINATORE AMMINISTRATIVO: DR.SSA CARMEN SEMENTA
(MEDICO LEGALE)

SEGRETERIA AMMINISTRATIVA TEL. 0825/203025 - CELL. 3289426451

TELEFAX 0825/203083 E-MAIL: comitatoeticoav@gmail.com
comitato.etico@aornmoscati.it

OGGETTO: VALUTAZIONE
STUDIO CLINICO OSSERVAZIONALE

SEDUTA 20/04/2022. REGISTRO CECN N. 1807

IL COMITATO ETICO CAMPANIA NORD

recepisce le linee guida, “per quanto applicabili”, dettate ai fini dell’istituzione e del funzionamento dei Comitati Etici dal D.M. 15.7.1997, dal D.M. 18.3.1998, dal D.L. 24.6.2003, dal D.M. 12.05.2006, dal Decreto 21 Dicembre 2007, dal decreto ministeriale 8 febbraio 2013 - pubblicato in G.U. n. 96 del 24 aprile 2013 -, dalla delibera della Giunta Regionale Campania n. 16 del 23/01/2014 avente ad oggetto: “Recepimento ed esecuzione del decreto del ministero della salute 8 febbraio 2013 - Riorganizzazione e funzionamento dei comitati etici in Regione Campania” - pubblicata sul burc n. 7 del 27 gennaio 2014, nonché dalle disposizioni comunitarie, nazionali e regionali che regolano le attività di sperimentazione clinica; in particolare quelle contenute nella Dichiarazione di Helsinki e le norme europee di buona pratica clinica.

Il Comitato Etico si ispira al rispetto della vita umana, così come indicato nelle Carte dei Diritti dell’Uomo, nei Codici della deontologia medica nazionale e internazionale e in particolare nella revisione corrente della Dichiarazione di Helsinki e nella Convenzione di Oviedo.

Nella sua attività il Comitato Etico Campania Nord tiene conto dei documenti del Comitato Nazionale per la Bioetica, degli organismi internazionali in materia di tutela dell’uomo negli ambiti della ricerca biomedica e della pratica clinica.



Il Comitato Etico Campania Nord è stato istituito con delibera AORN "S.G. MOSCATI" di Avellino n. 1381 del 30/12/2021 ed è costituito dai componenti di cui all'Allegato "A" del presente verbale.

Valutazione studio clinico osservazionale

Titolo: Prevalenza della malattia di Gaucher e di Niemann Pick A/B (ASMD) in pazienti affetti da splenomegalia e/o trombocitopenia nella Regione Campania

Richiedente e Centro Coordinatore Prof. F. Pane e M. Picardi - UOC Ematologia e Trapianto di Midollo - Università di Napoli Federico II

CENTRO CLINICO E SPERIMENTATORE:

AORN "S.ANNA E S.SEBASTIANO" DI CASERTA
UOC DI EMATOLOGIA A INDIRIZZO ONCOLOGICO
SPERIMENTATORE PRINCIPALE: DR. FERDINANDO FRIGERI

Firmato digitalmente da

Giovanni Di Minno COORDINATORE ESAMINATI:

U = Università degli Studi di Napoli
Federico II
C = IT

C.V. Iovine

C.V. P.I. Picardi - AOU FEDERICO II

C.V. Troiano

Dichiarazione pubblica conflitto interesse - AORN CE - Iovine

Dichiarazione pubblica conflitto interesse - AORN CE - P.I. Frigeri

Dichiarazione pubblica conflitto interesse - AORN CE - Troiano

Dichiarazione pubblica conflitto interesse - AOU FEDERICO II - P.I. Picardi

Dichiarazione Studio Osservazionale - AOU FEDERICO II P.I. Picardi

Elenco Centri HRT Gaucher-Niemann pick

Informativa trattamento dati v.1.0 del 13.07.20 - AORN CE - P.I. Frigeri

Informativa trattamento dati v.1.0 del 13.07.20 - AOU FEDERICO II - P.I. Picardi

Lettera d_intenti a CECN - AORN CE - P.I. Frigeri

Lettera informativa per MMG v.1.0 del 13.07.20 - AOU FEDERICO II P.I. Picardi

Lettera informativa per MMG v.1.0 del 13.07.20 - P.I. Frigeri AORN CE

Modulo informativo e consenso informato v.1.0 del 13.07.20 - AORN CE Frigeri

Parere favorevole C.E. Federico II per Centro AOU FEDERICO II - P.I. Picardi

Protocollo Educational_Project_Protocol

Richiesta sottomissione P.I. Picardi a C.E. AOU Federico II

Sanofi Genzyme - Lettera d_intenti a AOU FEDERICO II

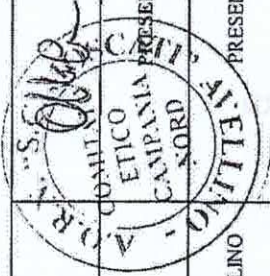
Sanofi Genzyme - Previsional HRC Meeting minutes

Sanofi Genzyme Application Form Rare Disease diagnostic testing project

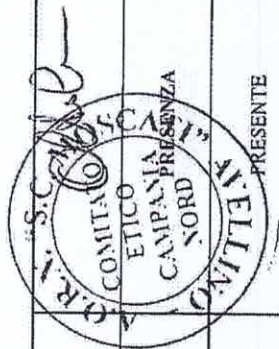
Scheda Raccolta Dati

29/36

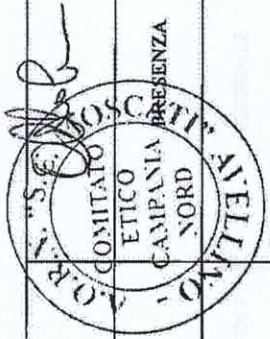
COMITATO ETICO CAMPANIA NORD - COMPONENTI - 20/04/2022			
ALLEGATO A	RUOLO COMITATO ETICO	QUALIFICA E SEDE DI LAVORO	ASSEGNAZIONE
NOMINATIVI -DOTTORI			
ACONE NICOLA	CLINICO	PENSIONATO (EX DIRETTORE UOC MALATTIE INFETTIVE AORN "S.G.MOSCATI" DI AVELLINO)	AORN "S.G. MOSCATI" AVELLINO PRESENTE
ANNECCHIARICO ANGELA	DIRETTORE SANITARIO	DIRETTORE SANITARIO AORN "S. ANNA E S. SEBASTIANO" DI CASERTA	AORN "S. ANNA E S. SEBASTIANO" DI CASERTA PRESENTE
BERRINO LIBERATO	FARMACISTA	PROFESSORE ORDINARIO DIPARTIMENTO DI MEDICINA SPERIMENTALE UNIVERSITÀ DEGLI STUDI DELLA CAMPANIA "L. VANVITELLI"	ASL CASERTA PRESENTE
BIANCO ELVIRA	DIRETTORE SANITARIO	DIRETTORE SANITARIO ASL AVELLINO	ASL AVELLINO ASSENTE
BISCEGLIA MARIA DEZIA	FARMACISTA	DIRIGENTE UOC DI FARMACIA AORN "S. ANNA E S. SEBASTIANO" DI CASERTA	AORN "S. ANNA E S. SEBASTIANO" DI CASERTA PRESENTE
BIZZARRO EMILIA MARIA	FARMACISTA	FARMACISTA UOC FARMACIA AORN "S. PIO" DI BENEVENTO	AORN "S. PIO" DI BENEVENTO PRESENTE
CALABRO' PAOLO	CLINICO	DIRETTORE UOC CARDIOLOGIA CLINICA A DIREZIONE UNIVERSITARIA-PROFESSORE UNIVERSITÀ "L. VANVITELLI" DI CASERTA	AORN "S. ANNA E S. SEBASTIANO" DI CASERTA PRESENTE
CAPOGROSSO PAOLO	CLINICO ESPERTO IN DISPOSITIVI MEDICI	PENSIONATO (EX DIRETTORE UOC CARDIOLOGIA E UTIC OSPEDALE SAN GIOVANNI BOSCO DI NAPOLI)	AORN "S.G. MOSCATI" AVELLINO PRESENTE
CARRARA AMALIA	ESPERTO IN MATERIA GIURIDICA E ASSICURATIVA	DIRETTORE AMMINISTRATIVO AORN "S. ANNA E S. SEBASTIANO" DI CASERTA	AORN "S. ANNA E S. SEBASTIANO" DI CASERTA PRESENTE
CASTALDO VINCENZO	DELEGATO DIRETTORE GENERALE AORN "S.G.MOSCATI" AVELLINO	DIRETTORE SANITARIO DI PRESIDIO AORN "S.G.MOSCATI" AVELLINO	PRESENTE
COCCA FRANCESCO	PEDIATRA	DIRETTORE DIPARTIMENTO MATERNO-INFANTILE E DIRETTORE UOC DI NEONATOLOGIA E TIN - AORN "S. PIO" DI BENEVENTO	AORN "S. PIO" DI BENEVENTO PRESENTE
DEL DONNO MARIO	CLINICO	DIRETTORE UOC DI PNEUMOLOGIA AORN "S. PIO" DI BENEVENTO	AORN "S. PIO" DI BENEVENTO ASSENTE



COMITATO ETICO CAMPANIA NORD - COMPONENTI - 20/04/2022			
ALLEGATO A	RUOLO COMITATO ETICO	QUALIFICA E SEDE DI LAVORO	ASSEGNAZIONE
NOMINATIVI -DOTTORI DEL FORNO DOMENICO	ESPERTO DI BIOETICA-VICE PRESIDENTE	GIÀ RESP. U.O.S. SETT. ACCERT. DEL DANNO PSICOPATOLOGICO - E FUNZ. RADIOTERAPIA - MED. LEG. DELL'A.O.U. FEDERICO II NAPOLI	ASL AVELLINO
DE LUCA ANTONIO	CLINICO	PROFESSORE ORDINARIO UNIVERSITA' DEGLI STUDI DELLA CAMPANIA "L. VANVITELLI"	ASL AVELLINO
DI MINNO GIOVANNI	CLINICO-PRESIDENTE	PROFESSORE ORDINARIO DI MEDICINA INTERNA- UNIV. FEDERICO II-DIRETTORE CENTRO DI RIFERIMENTO REGIONALE PER LE EMOCOAGULOPATIE	AORN "S.G. MOSCATT" AVELLINO
DI SANTO GIOVANNI	DIRETTORE SANITARIO	DIRETTORE SANITARIO AORN "S.PIO" DI BENEVENTO	AORN "S.PIO" DI BENEVENTO
FERRARO MARIACONSIGLIA	RAPPRESENTANTE DELLE PROFESSIONI SANITARIE	INFERMIERE PROFESSIONALE-ASL CASERTA	ASL CASERTA
FRIGERI FERDINANDO	CLINICO ESPERTO IN RELAZIONE A STUDI DI NUOVE PROCEDURE TECNICHE DIAGNOSTICHE E TERAPEUTICHE-VICE PRESIDENTE	DIRETTORE UOC ONCOEMATOLOGIA AORN "S.ANNA E S.SEBASTIANO" DI CASERTA	AORN "S. ANNA E S. SEBASTIANO" DI CASERTA
FRONCILLO ANTONIO	ESPERTO IN MATERIA GIURIDICA E ASSICURATIVA	DIRIGENTE AMM.VO RESPONSABILE UO SD IMPLEMENTAZIONE DEI PROCESSI E MONITORAGGIO DELLA ATTIVITA' DIREZIONALI AORN "S.PIO" DI BENEVENTO	AORN "S.PIO" DI BENEVENTO
GENZALE RAFFAELA	ESPERTO IN MATERIA GIURIDICA E ASSICURATIVA	DIRETTORE UOC AFFARI GENERALI AORN "S.G.MOSCATTI" DI AVELLINO	AORN "S.G. MOSCATT" AVELLINO

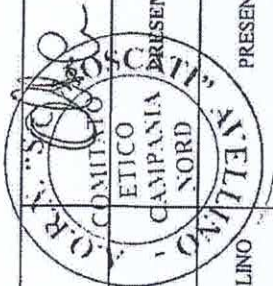


COMITATO ETICO CAMPANIA NORD - COMPONENTI - 20/04/2022			
ALLEGATO A	RUOLO COMITATO ETICO	QUALIFICA E SEDE DI LAVORO	ASSEGNAZIONE
NOMINATIVI -DOTTORI			
GIORDANO MAURO	CLINICO ESPERTO IN RELAZIONE A STUDI DI NUOVE PROCEDURE TECNICHE DIAGNOSTICHE E TERAPEUTICHE	PROFESSORE UNIVERSITA' "L.VANVITELLI" - MEDICINA INTERNA E D'URGENZA	ASL CASERTA ASSENTE
GUARENTE NICOLA	CLINICO	DIRIGENTE MEDICO-CARDIOANESTESISTA - (CASA DI CURA MONTEVERGINE-AVELLINO)	AORN "S.G. MOSCATTI" AVELLINO PRESENTE
GUBITOSA GAETANO	DIRETTORE GENERALE	DIRETTORE GENERALE A.O.R.N. SANT'ANNA E SAN SEBASTIANO CASERTA	AORN "S. ANNA E S. SEBASTIANO" DI CASERTA ASSENTE
LEO SALVATORE	RAPPRESENTANTE DELLE PROFESSIONI SANITARIE	COORDINATORE INFERMIERISTICO SPDC ASL DI AVELLINO	ASL AVELLINO PRESENTE
MAIONE SABATINO	FARMACOLOGO	PROFESSORE ORDINARIO DI FARMACOLOGIA UNIVERSITA' "L.VANVITELLI" DI CASERTA	AORN "S. ANNA E S. SEBASTIANO" DI CASERTA ASSENTE
MAZZEO NICOLE	FARMACISTA	DIRIGENTE FARMACISTA AORN "S.G.MOSCATTI" DI AVELLINO	AORN "S.G. MOSCATTI" AVELLINO PRESENTE
MILANO LUCA	MEDICO DI MEDICINA GENERALE E TERRITORIALE	RAPPRESENTANTE MMG E MEDICINA TERRITORIALE ASL BENEVENTO	ASL BENEVENTO PRESENTE
MORGANTE MARIA	DIRETTORE GENERALE	DIRETTORE GENERALE ASL AVELLINO	ASL AVELLINO ASSENTE
PROCACCINI MASSIMO	RAPPRESENTANTE DELLE PROFESSIONI SANITARIE	PRESIDENTE ORDINE INFERMIERI DI BENEVENTO- DIRETTORE CORSO DI LAUREA IN INFERMIERISTICHE	ASL BENEVENTO PRESENTE
RUCCI CLAUDIO	RAPPRESENTANTE DEL VOLONTARIATO / ASSOCIAZIONISMO DI TUTELA DEI PAZIENTI	PRESIDENTE DELLA CONFRATERNITA DELLA MISERICORDIA DI SANT'ANGELO A CUPOLO	AORN "S. PIO" DI BENEVENTO PRESENTE



COMITATO ETICO CAMPANIA NORD - COMPONENTI - 20/04/2022

COMITATO ETICO CAMPANIA NORD - COMPONENTI - 20/04/2022			
ALLEGATO A	RUOLO COMITATO ETICO	QUALIFICA E SEDE DI LAVORO	ASSEGNAZIONE
NOMINATIVI -DOTTORI			
RUTOLI GENNARO	INGEGNERE CLINICO	PENSIONATO (EX DIRETTORE UOC ING.CLINICA ASL NAPOLI I CENTRO)	AORN "S.G. MOSCATT" AVELLINO
SALVATI ALFONSO	MEDICO LEGALE	RESPONSABILE ASL AVELLINO UO SD MEDICINA LEGALE	ASL AVELLINO
SAVOIA CELESTINO	MEDICO DI MEDICINA GENERALE E TERRITORIALE	MEDICO DI MEDICINA GENERALE E TERRITORIALE	ASL CASERTA
SCARANO CINZIA	FARMACISTA	DIRIGENTE FARMACISTA ASL BENEVENTO	ASL BENEVENTO
SEMENTA CARMEN	DELEGA DIRETTORE SANITARIO AORN "S.G.MOSCATT" DI AVELLINO-RESPONSABILE TECNICO-SCIENTIFICO-AMM.VO	MEDICO LEGALE-DIRIGENTE UO DI MEDICINA LEGALE AORN "S.G. MOSCATT" AVELLINO	
SIGNORIELLO GIUSEPPE	BIOSTATISTICO	PROF.ASSOCIATO DI STATISTICA MEDICA - UNIV.STUDI "L. VANVITELLI" DI CASERTA	AORN "S.G. MOSCATT" AVELLINO



COMITATO ETICO CAMPANIA NORD
A.O.R.N. "S.G. MOSCATT"
Contrada Amaretta (Città Spedaliera)
83100 AVELLINO
SEGRETERIA

SECRETARIAT
GOVERNMENT OF KERALA
Public Works Department
Office of the Secretary
Public Works Department

Sl. No.	Name of the Project	Value of the Project	Status	Remarks	Date
1
2
3
4
5
6
7
8
9
10
11
12
13
14
15
16
17
18
19
20
21
22
23
24
25
26
27
28
29
30
31
32
33
34
35
36
37
38
39
40
41
42
43
44
45
46
47
48
49
50
51
52
53
54
55
56
57
58
59
60
61
62
63
64
65
66
67
68
69
70
71
72
73
74
75
76
77
78
79
80
81
82
83
84
85
86
87
88
89
90
91
92
93
94
95
96
97
98
99
100

23/11/2023
 SECRETARY
 PUBLIC WORKS DEPARTMENT
 GOVERNMENT OF KERALA



20/10/2022 17.34-20220030280

Modello domanda per la proposta di studio osservazionale

profit no-profit da parte dello sperimentatore

PROPOSTA DI STUDIO OSSERVAZIONALE

A)

1. TITOLO DELLO STUDIO

Prevalence of Gaucher disease and Nieman Pick A/B (ASMD) in patients with splenomegaly and/or thrombocytopenia in Campania region.

2. IDENTIFICAZIONE DEL FARMACO (se applicabile)

Nome commerciale	
Ditta	
Principio attivo	
Preparazione farmaceutica (compresse, fiale, ecc.)	

B)

CARATTERISTICHE DELLA RICERCA

1. Sintesi delle premesse tecniche dello studio

La Malattia di Gaucher, è una malattia ereditaria a trasmissione autosomica recessiva, dovuta ad un deficit congenito dell'enzima lisosomiale β -glucosidasi acida, con conseguente accumulo di glico-sfingolipidi non degradati (glucocerebroside) nei lisosomi delle cellule macrofagiche del sistema reticolo-endoteliale. L'incidenza della malattia nella popolazione caucasica è stimata in 1:40000 -1:60000.

Le manifestazioni della malattia di Gaucher tipo 1 (non neuronopatica), la forma più frequente di malattia, costituendo circa il 90% dei casi totali, sono conseguenti all'accumulo di cellule macrofagiche ricolme del substrato non degradato, dette cellule di Gaucher, a livello del fegato, milza, polmone, midollo osseo e osso. Esiste una vasta eterogeneità per quel che riguarda la severità e il pattern di coinvolgimento d'organo. Tuttavia la malattia di Gaucher è una malattia progressiva che se non trattata può condurre a grave morbilità conseguente a complicanze emorragiche e scheletriche, insufficienza epatica, ipertensione polmonare e sepsi, con riduzione della qualità e dell'aspettativa di vita. Molto spesso i primi segni e sintomi di malattia sono l'affaticabilità attribuibile ad anemia, le emorragie ed ecchimosi conseguenti principalmente a trombocitopenia, coagulopatia e anomalie dell'aggregazione piastrinica, e la distensione addominale attribuibile ad epatomegalia e splenomegalia.

La splenomegalia e la piastrinopenia sono le due manifestazioni più caratteristiche e frequenti della malattia di Gaucher: dati dal registro di malattia evidenziano che l'89% dei pazienti presenta una splenomegalia di grado moderato o severo (>5 volte il volume normale) ed il 60% di essi una piastrinopenia (< 120000/mm³) al momento della diagnosi. Per questi motivi spesso i pazienti non ancora correttamente diagnosticati afferiscono ad un ambulatorio di Ematologia.

La rarità della condizione, associata all'aspecificità ed al grado non severo dei sintomi e segni iniziali di malattia, fanno sì che spesso la malattia di Gaucher venga misconosciuta o considerata solo dopo un lungo iter diagnostico durante il quale vengono via via scartate le altre possibili e più comuni ipotesi diagnostiche differenziali.

Poiché una diagnosi precoce è essenziale per ottenere i massimi benefici dalla terapia enzimatica sostitutiva, il trattamento specifico ottenuto somministrando al paziente l'enzima deficitario ottenuto attraverso tecniche biofarmaceutiche, un gruppo di esperti internazionali nella gestione della malattia di

Gaucher ha identificato una serie di segni e sintomi altamente suggestivi di malattia di Gaucher e, in base a questi, ha messo a punto un algoritmo diagnostico specificatamente indirizzato all'ematologo.

La presente ricerca si pone quindi l'obiettivo di verificare l'effettiva prevalenza della Malattia di Gaucher quale causa di splenomegalia e/o piastrinopenia non altrimenti giustificate nella popolazione di pazienti afferenti ai dipartimenti di ematologia, per valutare quanto, azioni correttive nei confronti dell'usuale iter diagnostico, debbano essere prese in considerazione per migliorare l'accuratezza diagnostica in tali strutture.

Bisogna però tenere presente che altre malattie da accumulo lisosomiale e disordini ematologici, possono avere la medesima presentazione clinica di splenomegalia associata ad anomalie ematologiche. Tra queste la malattia di Niemann-Pick A/B (ASMD), frequentemente riscontrata in pazienti investigati per malattia di Gaucher.

La NPD A e la NPD B (altrimenti note come deficit della sfingomielinasi acida [ASMD]) sono causate da mutazioni del gene della sfingomielina fosfodiesterasi 1 (SMPD1). La sfingomielina si accumula nel sistema monocito-macrofagico, e tale accumulo può causare danno d'organo (specie nei tessuti epatico, splenico e polmonare) nonché danno neurologico.

ITER DIAGNOSTICO PREVISTO DAL PROTOCOLLO

Lo studio osservazionale si baserà sostanzialmente nell'applicazione dell'algoritmo diagnostico descritto da Mistry et al. ai pazienti che si presentano presso l'ambulatorio di ematologia con un quadro clinico di splenomegalia e/o piastrinopenia.

I pazienti verranno sottoposti agli accertamenti clinici e laboratoristici routinari per escludere le possibili diagnosi differenziali ipotizzabili in base al quadro sintomatologico e clinico presentato.

Qualora nessuna delle ipotesi diagnostiche alternative formulate possa essere validamente confermata, i pazienti verranno sottoposti ad un dosaggio dell'attività enzimatica per la glucocerebrosidasi mediante test DBS (Dried Blood Spot) presso un laboratorio centralizzato.

Tale valutazione consentirà di ottenere in tempi brevi e con minima invasività per il paziente un'accurata indicazione della presenza di Malattia di Gaucher come possibile causa della sintomatologia presentata.

Vista la sovrapposizione nella presentazione clinica, tra malattia di Gaucher e malattia di Niemann-Pick A/B (ASMD), allo scopo di accelerare l'iter diagnostico, qualora il test per malattia di Gaucher risultasse negativo, si procederà con il test per ASMD sullo stesso campione ematico prelevato.

Con la ricezione dei risultati del test dal laboratorio centralizzato lo studio si concluderà, ed il paziente sarà riaffidato ai medici di riferimento del centro per gli ulteriori passi diagnostici e/o terapeutici del caso.

2. Sintesi dei dati della letteratura già disponibili (massimo 5 referenze bibliografiche)

Mistry PE Diagnostic and Disease Management Algorithms for Gaucher Disease: A Guide for Haematologists (in pubblicazione)

Motta I, Cappellini MD et Al. A multicentre observational study for early diagnosis of Gaucher disease in patients with Splenomegaly and/or Thrombocytopenia. European Journal of Haematology 2015; 96 (352-359)

3. Obiettivo della ricerca

Si pone come obiettivo quello di:

- Determinare, tra i pazienti che si presentano in visita per la comparsa di segni e sintomi specifici (quali milza ingrossata o riduzione del numero di piastrine), e per i quali non è possibile stabilire una diagnosi, quanti siano colpiti dalla malattia di Gaucher o dalla ASMD;
- Sensibilizzare i medici affinché inseriscano la malattia di Gaucher e di Niemann Pick A/B (ASMD)

- nella diagnosi differenziale della splenomegalia e/o della trombocitopenia;
 o b. Educare i medici della regione Campania a riconoscere la malattia di Gaucher attraverso l'utilizzo di un algoritmo diagnostico validato.

4. Fase della ricerca

Fase IV - Lo studio osservazionale si baserà sostanzialmente nell'applicazione dell'algoritmo diagnostico descritto da Mistry et al. ai pazienti che si presentano presso l'ambulatorio di ematologia con un quadro clinico di splenomegalia e/o piastrinopenia.

C)

Studio policentrico SI

NO

N. pazienti totali: 500

N. centri: 11

Altri centri partecipanti (nomi e sedi)

AOU FEDERICO II - NAPOLI
CARDARELLI - NAPOLI
SAN GIOVANNI DI DIO E RUGGI D'ARAGONA - SALERNO
MOSCATI - AVELLINO
MOSCATI-AVERSA
OSPEDALE DEL MARE - NAPOLI
S. PIO (RUMMO) - BENEVENTO
TORTORA - P. AGANI
ASL NA 2 NORD EMATOLOGIA - GIUGLIANO DI NAPOLI
L. VANVITELLI - NAPOLI

D)

Coordinatore della ricerca policentrica	PROF. MARCO PICARDI
Istituto di appartenenza	AZIENDA OSPEDALIERA UNIVERSITARIA FEDERICO II
Sede	NAPOLI

E)

1. Struttura presso cui si svolge la ricerca

AORN SANT'ANNA E SAN SEBASTIANO CASERTA, UOC EMATOLOGIA AD INDIRIZZO ONCOLOGICO

2. Responsabile e partecipanti alla sperimentazione (nomi, ruoli e firme)

DOTT. FERDINANDO FRIGERI

DOTT. MARIO TROIANO

DOTT. SSA MARIA KULWE

3. Nome del monitor organizzativo della sperimentazione

Non applicabile

4. Nome del responsabile della struttura nella quale si svolge la sperimentazione

DOTT. FERDINANDO FRIGERI

F)

N. previsione pazienti arruolati localmente: 50

Pazienti ricoverati: SI NO Ambulatoriali: SI NO Entrambi: SI NO

E' previsto il calcolo del campione: SI NO

E' descritta un'analisi statistica: SI NO Se SI con quale(i) metodo(i)

G)

CRITERI DI AMMISSIONE ALLO STUDIO

I pazienti che presentano almeno una delle due seguenti caratteristiche indicate con i numeri 1) e 2):

- 1) Splenomegalia (definita come margine splenico palpabile, a ≥ 1 cm dall'arcata costale o diagnosticata con Ecografia, RMN e TAC splenica)
- 2) Piastrinopenia ($< 150000/\text{mm}^3$) + almeno 1 tra i seguenti segni/sintomi:
 - dolore osseo;
 - MGUS
 - Gammopatia policlonale in soggetti ≤ 30 anni
 - Hb < 12 gr/dl negli uomini a < 11 gr/dl nelle donne
 - Pregressa splenectomia
- 3) Età ≥ 18 anni

CRITERI DI ESCLUSIONE DALLO STUDIO (SINTESI)

- 1) Diagnosi delle cause più comuni di splenomegalia e/o trombocitopenia
 - Splenomegalia da ipertensione portale (documentata da eco addome o altro esame strumentale);
 - Neoplasia ematologica (documentata da positività all'esame obiettivo + striscio di sangue periferico o agoaspirato midollare o biopsia osteomidollare);
 - Difetto di membrana eritrocitaria e talassemia
- 2) Età < 18 anni
- 3) Mancanza di consenso informato

H)

DURATA PREVISTA DELLO STUDIO: 2 anni

PRESUMIBILE DATA D'INIZIO: DICEMBRE 2020

I)

CONSENSO INFORMATO (OBBLIGATORIO) Scritto SI NO

L)

Sezione amministrativa

1. Stima del costo presunto della ricerca suddiviso in:

a - oneri aggiuntivi per l'Ente (ad es., esami non di routine, ecc.)

Non applicabile

b - compensi per gli sperimentatori, specificando se la ricerca viene eseguita fuori o dentro l'orario di lavoro.

Non applicabile

Se fuori orario: indicare l'impegno orario presunto: _____

2. Proposte di utilizzazione della somma resa disponibile

Non applicabile

Firma del Responsabile della sperimentazione e dei Collaboratori consenzienti

Ferdinando Fy

Th. Domipom

Nulla Osta del Responsabile U.O.C. o di Dipartimento

Ferdinando Fy

20/10/2022