

Registro della terapia genica WFH

Guida per persone affette
da emofilia



Publicata dalla World Federation of Hemophilia (WFH) © World Federation of Hemophilia, 2022

La World Federation of Hemophilia non esercita la professione medica e in nessun caso raccomanda trattamenti particolari per individui specifici.

La WFH non garantisce in alcun modo, esplicito o implicito, che le dosi dei farmaci o altre raccomandazioni terapeutiche contenute in questa pubblicazione siano corrette. Per questi motivi si raccomanda vivamente di rivolgersi al proprio medico di fiducia e/o di consultare le istruzioni stampate fornite dalla casa farmaceutica prima di somministrare uno dei farmaci citati in questa pubblicazione.

La WFH incoraggia la traduzione e la redistribuzione delle sue pubblicazioni a fini didattici da parte di organizzazioni no-profit che si occupano di emofilia e disturbi della coagulazione.

Per ottenere l'autorizzazione a ristampare, ridistribuire o tradurre questa pubblicazione, contattare il Dipartimento dell'Istruzione al seguente indirizzo:

World Federation of Hemophilia
1425 René Lévesque Boulevard West,
Suite 1200, Montréal,
Québec H3G 1T7, CANADA
Tel.: (514) 875-7944
Fax: (514) 875-8916
E-mail: wfh@wfh.org
www.wfh.org

Sommario

Lavorare insieme al Centro per il trattamento dell'emofilia	2
Partecipazione e tutele.....	3
Privacy e sicurezza dei dati.....	3
Adesione al registro della terapia genica della World Federation of Hemophilia..	3
Fornire il consenso informato	4
Raccolta dati.....	4
Dati sul quadro clinico iniziale.....	5
Infusione della terapia genica	5
Visite di follow-up	5
Segnalazione di eventi avversi e sicurezza.....	5
Esiti riferiti dal paziente.....	6
Lingue.....	6
Durata della partecipazione al registro	6
Accesso ai dati del registro della terapia genica della World Federation of Hemophilia.....	7
Buone pratiche per le persone affette da emofilia che partecipano al registro della terapia genica della World Federation of Hemophilia	7
Appendice A	8
Note.....	9

Il registro della terapia genica (GTR) della World Federation of Hemophilia (WFH) è una banca dati protetta che raccoglie informazioni cliniche sulle persone affette da emofilia (PWH) che ricevono la terapia genica, sia in una sperimentazione clinica che come prodotto approvato.

Il GTR della WFH è accessibile a tutte le PWH a livello globale attraverso il loro Centro per il trattamento dell'emofilia (HTC).

Non tutte le PWH saranno idonee a ricevere la terapia genica, il che significa che il numero di persone che faranno parte di questo registro sarà relativamente basso. Pertanto, i dati di ogni partecipante trattato con la terapia genica sono essenziali. Il coinvolgimento del paziente nel GTR della WFH contribuirà a far progredire la conoscenza e la comprensione della terapia genica per la PWH, a migliorare l'assistenza clinica e a sviluppare la prossima generazione di trattamenti di terapia genica.

Il GTR della WFH è il frutto del lavoro di esperti internazionali di terapia genica ed emofilia.



Lavorare insieme al Centro per il trattamento dell'emofilia

L'équipe sanitaria del suo HTC lavorerà a stretto contatto con il paziente e la sua famiglia/i suoi caregiver per tutta la durata della partecipazione al GTR della WFH. Fornirà le informazioni necessarie per iniziare a partecipare al registro e risponderà a tutte le domande del paziente. L'équipe funge da punto di contatto principale per tutto ciò che riguarda la partecipazione del paziente al registro.

Prima di iscriversi al registro, è necessario discutere la partecipazione apertamente con l'équipe sanitaria del proprio HTC e assicurarsi che tutte le domande ricevano risposta. L'équipe sanitaria inserirà i dati clinici del paziente nel registro a ogni appuntamento programmato in clinica. Il paziente non dovrà sottoporsi a ulteriori esami o visite legate esclusivamente alla sua partecipazione al GTR della WFH.



Partecipazione e tutele

La partecipazione al GTR della WFH è volontaria. Se il paziente decide di iscriversi al registro, potrà interrompere la sua partecipazione in qualsiasi momento e nessuno farà domande al riguardo. Il trattamento e le cure di follow-up non saranno influenzati dalla decisione del paziente di partecipare al registro o di abbandonare. Il paziente continuerà a ricevere lo stesso standard di cura indipendentemente dalla sua decisione e a sottoporsi a visite cliniche regolarmente programmate con il suo HTC per monitorare i potenziali effetti collaterali e il buon andamento del trattamento.

Un comitato indipendente, il Comitato Etico, tutela i diritti e il benessere dei partecipanti coinvolti nel registro. Garantisce che tutte le ricerche condotte rispettino i più alti standard etici. L'HTC del paziente otterrà l'approvazione del Comitato Etico locale prima di iscrivere i partecipanti.



Privacy e sicurezza dei dati

Il GTR della WFH è conforme ai più elevati standard di sicurezza. I dati inseriti nella banca dati anagrafica vengono resi anonimi a tutela della privacy: questo significa che l'identità del paziente e quella di qualsiasi altra persona iscritta al registro è protetta. I nomi dei partecipanti o altre informazioni identificative non saranno memorizzati nella banca dati.



Partecipare al GTR della WFH

Una volta presa la decisione informata di ricevere la terapia genica (in collaborazione con il suo team sanitario), il paziente sarà invitato a partecipare al registro. Sarà invitato a partecipare anche nel caso in cui abbia già ricevuto una terapia genica attraverso una sperimentazione clinica.

Tutte le PWH che hanno ricevuto la terapia genica possono partecipare al registro, indipendentemente dal punto in cui si trovano nel loro percorso di terapia genica, sia al momento dell'infusione che dopo alcuni anni.



Fornire il consenso informato

Se il paziente decide di partecipare al registro, riceverà un modulo di consenso informato da leggere e firmare. In questo modo, il paziente dichiara di aver compreso i vantaggi e i rischi della partecipazione al GTR della WFH e di accettare di parteciparvi. L'équipe sanitaria è competente e pronta a fornire al paziente le informazioni necessarie per aiutarlo a prendere una decisione informata sulla partecipazione al registro.

L'équipe sanitaria si assicurerà inoltre che il paziente abbia a disposizione un tempo adeguato per porre domande e discutere con i familiari/caregiver sull'opportunità di partecipare. L'HTC del paziente continuerà a fornire informazioni su eventuali modifiche al registro durante la partecipazione. Se decide di partecipare al registro, il paziente e il suo medico riceveranno un modulo di consenso informato da leggere e firmare.



CLICCA QUI per accedere al documento della WFH **Domande da porre prima di partecipare a una sperimentazione clinica**

Prima di firmare il modulo di consenso, l'équipe sanitaria si assicurerà che il paziente abbia compreso quanto segue:

- Lo scopo del registro
- Le responsabilità dei partecipanti
- I vantaggi e i rischi della partecipazione
- Che la partecipazione è del tutto volontaria e può terminare in qualsiasi momento
- La durata prevista della partecipazione
- Le informazioni di contatto per l'HTC del paziente



Raccolta dati

Le informazioni saranno raccolte e inserite nella banca dati del GTR della WFH durante le visite cliniche regolarmente programmate. La partecipazione non comporterà visite, esami o procedure aggiuntive. Il registro raccoglierà le stesse informazioni da tutti i partecipanti che hanno ricevuto la terapia genica.



Dati sul quadro clinico iniziale

Una volta che il paziente accetta di aderire al registro, l'HTC raccoglierà i dati demografici, fra cui informazioni sulla diagnosi di emofilia e sull'anamnesi.



Infusione della terapia genica

I dettagli relativi al trattamento di terapia genica, comprese la data e le informazioni sull'infusione, saranno inseriti nel registro.



Visite di follow-up

Dopo aver ricevuto la terapia genica, l'HTC raccoglierà i dati di ogni visita. Questo include diversi controlli durante i primi due anni per determinare l'efficacia del trattamento e garantire la salute e la sicurezza del paziente; in seguito, almeno una volta all'anno.

La partecipazione al registro non influirà sul programma di cure o di visite alla clinica.



Segnalazione di eventi avversi e sicurezza

Come per ogni nuovo farmaco o procedura, è necessario segnalare al proprio HTC ogni questione legata allo stato di salute. A ogni visita clinica, l'équipe sanitaria chiederà al paziente quali sono gli effetti collaterali eventualmente riscontrati. Queste informazioni saranno inserite nel registro per tutte le PWH partecipanti. Raccogliendo questi dati su tutti i partecipanti al registro di tutto il mondo, i medici saranno in grado di identificare eventuali effetti collaterali comuni o gravi legati alla terapia genica.

Esiti riferiti dal paziente

Oltre ai dati medici raccolti a ogni visita, il paziente avrà la possibilità di inserire informazioni direttamente al registro dal proprio telefono tramite un'applicazione mobile ("myGTR"). I dati inseriti direttamente dall'utente sono chiamati effetti riportati direttamente dal paziente (PRO). Esempi di PRO sono le informazioni sulla qualità della vita, sull'impatto della patologia e su eventuali eventi emorragici o sulla possibilità di ricevere determinati trattamenti.

I PRO sono importanti perché consentono di comunicare le proprie esperienze e prospettive al registro. I dati inseriti in myGTR saranno trasmessi direttamente al database del GTR della WFH presso l'HTC del paziente, e saranno consultabili dal medico. Anche il paziente riceverà i dati i dati introdotti nell'applicazione sul telefono, e potrà così monitorare i suoi progressi nel tempo.

Lingue

Inizialmente il registro sarà disponibile in inglese, con l'intenzione di tradurlo in altre lingue se necessario. Anche l'app mobile per i pazienti, myGTR, sarà disponibile in inglese e in altre lingue se necessario.

Durata della partecipazione al registro

I dati a lungo termine raccolti nel registro sono importanti per il paziente e per i colleghi, perché contribuiranno alla comprensione della terapia genica da parte della comunità emofiliaca mondiale. È importante che la permanenza a lungo termine di un paziente nel registro sia mantenuta. Tuttavia, è possibile interrompere la partecipazione al registro in qualsiasi momento e per qualsiasi motivo: sarà sufficiente comunicarlo all'équipe sanitaria. In caso di modifiche sostanziali al GTR della WFH, l'équipe sanitaria contatterà il paziente e potrebbe chiedergli di firmare un nuovo modulo di consenso.



Accesso ai dati del GTR della WFH

È possibile accedere ai propri dati in qualsiasi momento rivolgendosi alla propria l'équipe sanitaria. Anche i membri dell'équipe sanitaria potranno visualizzare e accedere ai dati del registro. La WFH e il fornitore della banca dati potranno visualizzare tutti i dati anonimizzati inseriti nel registro. Il comitato scientifico consultivo del GTR della WFH gestisce i dati del registro e valuta e approva qualsiasi richiesta di dati (v. **Appendice A**).

Ricercatori, produttori e altre parti interessate possono presentare una richiesta alla WFH per accedere ai dati resi anonimi per esaminare i trend e rispondere alle domande di ricerca. I produttori avranno accesso a dati resi anonimi per esaminare i risultati di sicurezza ed efficacia specifici del prodotto. Partecipando a questo registro, il paziente contribuirà allo sviluppo della prossima generazione di trattamenti di terapia genica.



Buone pratiche per le persone affette da emofilia (PWH) che partecipano al GTR della WFH

- Scrivete le vostre domande in anticipo e portatele alle visite in clinica.
- Se non capite qualcosa, chiedete senza timore! Il team di ricerca/clinico si aspetta che abbiate domande, quindi sentitevi liberi di chiedere tutto ciò che volete.
- Assicuratevi di partecipare a tutte le visite presso l'HTC. Sono essenziali per monitorare la salute e la sicurezza del paziente e per migliorare i risultati della terapia genica per le generazioni future.
- Mantenete una comunicazione aperta con l'équipe sanitaria. Parlate con loro dei vostri problemi di salute e di altri ostacoli che potreste incontrare nelle cure di follow-up.
- Utilizzate l'app mobile myGTR!

Appendice A

Comitato scientifico consultivo del GTR della WFH

World Federation of Hemophilia: membro del Consiglio Medico (Presidente del Comitato Direttivo GTR WFH)

World Federation of Hemophilia: Vice Presidente Medico

National Hemophilia Foundation: rappresentante del Consiglio Consultivo Medico e Scientifico

European Haemophilia Consortium: rappresentante del Gruppo Consultivo

Medico European Association for Haemophilia and Allied Disorders: rappresentante

International Society on Thrombosis and Haemostasis: rappresentante

Difensori dei diritti dei pazienti (2)

Il GTR è sostenuto da finanziamenti di:

PARTNER FONDATORI VISIONARI

 BIOMARIN[®]

 **CSL Behring**
Biotherapies for Life[™]

 **Pfizer**

 **Spark**[™]
THERAPEUTICS

PARTNER COLLABORATORE

 **Takeda**

World Federation of Hemophilia
1425 René Lévesque Boulevard West,
Suite 1200, Montréal,
Québec H3G 1T7, CANADA
Tel.: (514) 875-7944
Fax: (514) 875-8916
E-mail: wfh@wfh.org

www.wfh.org

