

STUDIO OSSERVAZIONALE SULLE MANIFESTAZIONI OSSEE DEI PAZIENTI AFFETTI DA MALATTIA DI GAUCHER IN TRATTAMENTO

2° newsletter luglio 2009

A tutti gli Sperimentatori dei Centri partecipanti allo studio GAU-DI

Gentili dottori,

desideriamo aggiornare i centri che partecipano allo studio GAU-DI con una nuova newsletter sull'andamento dello studio.

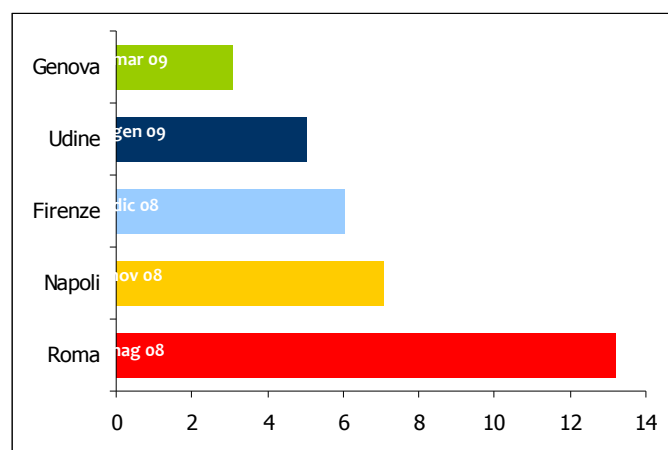
Ricordiamo che i 5 centri specialistici aderenti allo studio GAU-DI sono i seguenti:

Centro	Sperimentatori
Ist. Ematologia Dip. Biotecnologie Cellulari ed Ematologia Università Sapienza ROMA	dr.ssa Fiorina Giona dr.ssa Giovanna Palumbo
SOD Centro Emofilia Az. Osp. Univ. Careggi FIRENZE	dr. Massimo Morfini dr.ssa Silvia Linari
Istituto Gaslini U.O. Pediatria Indirizzo Endocrinologico e Reumatologico GENOVA	dr.ssa Maja Di Rocco
Dipartimento Pediatria Policlinico Federico II NAPOLI	prof. Generoso Andria dr.ssa Roberta Taurisano dr.ssa Michelina Sibilio
Coordinamento Regionale per le Malattie Rare Az. Osp. Univ. S.Maria della Misericordia UDINE	dr. Bruno Bembì dr. Giovanni Ciana

I responsabili di tutti i centri partecipano allo studio anche in qualità di membri del board scientifico, insieme al dr. Giuliano Mariani del Centro Regionale Medicina Nucleare di Pisa.

Lo studio è patrocinato dall'Associazione Italiana Gaucher e sostenuto da Actelion Pharmaceuticals Italia srl.

Nel grafico sottostante sono rappresentati il n° di mesi di attività di ogni centro, conteggiati a partire dal mese in cui sono stati consegnati i documenti cartacei e gli smartphone necessari per la conduzione dello studio:



L'ARRUOLAMENTO PAZIENTI (datia122/07/09)

Rispetto al precedente aggiornamento, si è verificato un notevole incremento nell'arruolamento dei pazienti con l'inserimento di altri 11 in **un periodo di soli 3 mesi: ad oggi, quindi, risultano in studio 18 pazienti.**

La distribuzione dei pazienti tra i centri è la seguente:

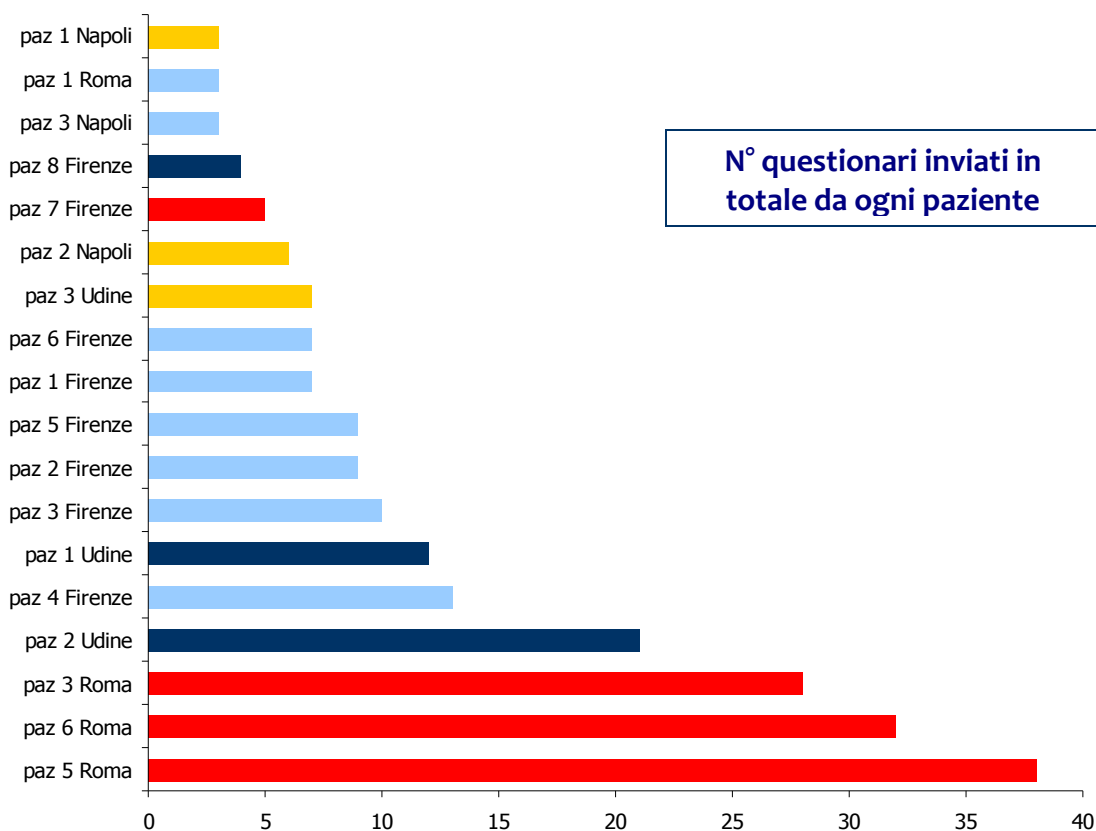
Roma **4 pazienti**
Firenze **8 pazienti**
Udine **3 pazienti**
Napoli **3 pazienti**

Il centro di Genova pur avendo in più occasioni proposto lo studio ai propri pazienti, non ha ancora raccolto le prime adesioni. Il centro si propone di reclutare alcuni dei nuovi pazienti che verranno visitati nel mese di luglio.

Il 4° paziente reclutato a Roma, è in realtà stato inserito nello studio a luglio 2008, ma i suoi primi dati sono arrivati solo nello scorso aprile (per questo motivo non era stato conteggiato nella precedente newsletter).

Per quanto riguarda l'invio dei questionari, ad oggi ne abbiamo ricevuto un totale di **217** spediti dai pazienti tramite gli Smartphone.

Il grafico sottostante illustra la distribuzione del numero complessivo dei questionari inviati dai singoli pazienti, senza tenere in considerazione il tempo trascorso dal momento dell'arruolamento.

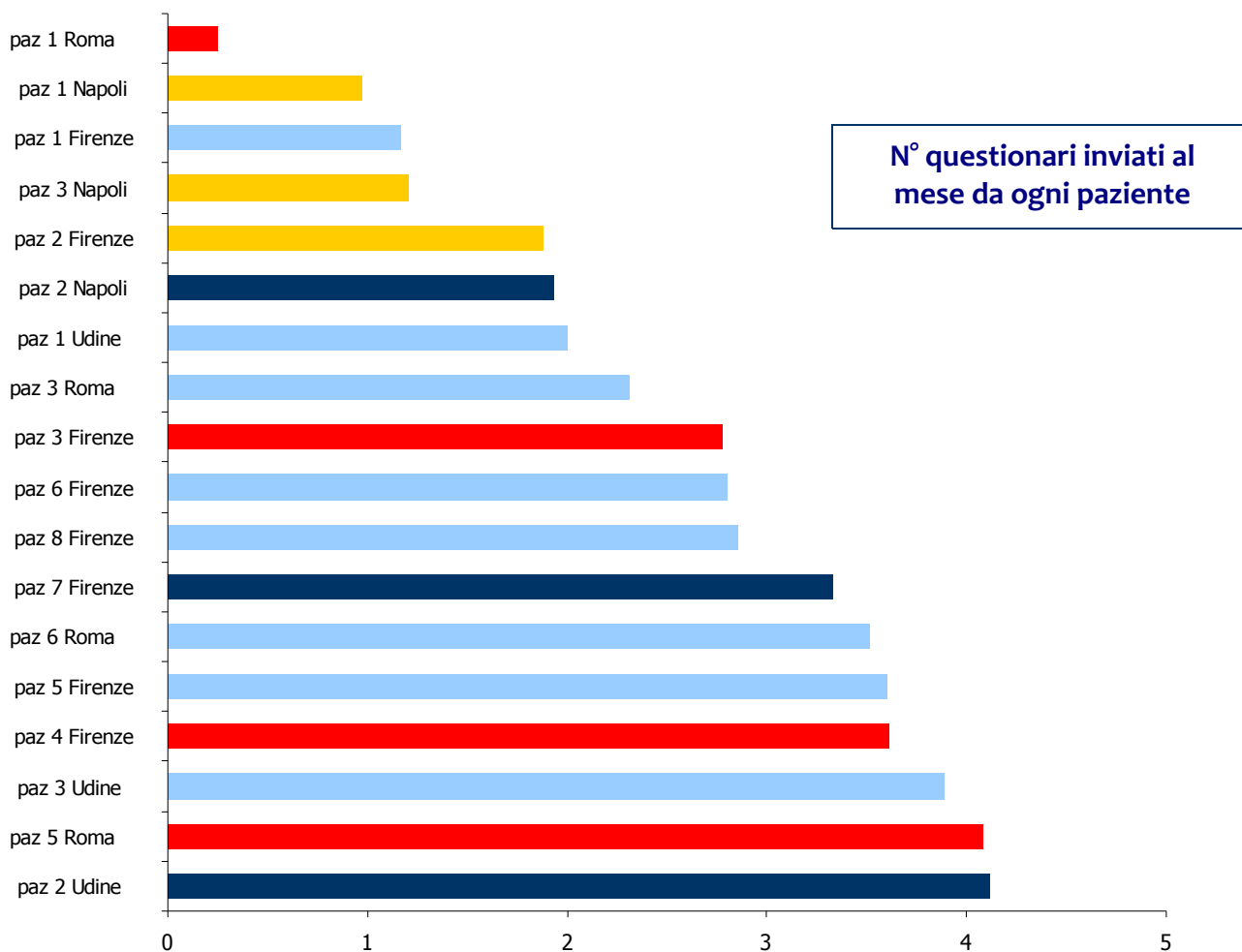


Nel grafico successivo invece sono riportati il numero medio di questionari spediti per mese a partire dal momento della consegna dello smartphone.

Dal grafico si nota che vi sono: 10 pazienti che si dimostrano molto precisi ed inviano le proprie informazioni 3-4 volte al mese, come richiesto dal protocollo di studio; 4 pazienti che inviano dati 2 volte al mese e 4 pazienti che fino ad oggi hanno inviato i questionari soltanto una volta o meno di una volta al mese.

Tra questi ultimi quattro pazienti, i due del centro di Napoli hanno riscontrato ultimamente qualche difficoltà nell'utilizzo dello smartphone e sono in corso verifiche per renderli al più presto in grado di proseguire l'attività.

Per due pazienti (1 di Roma e 1 di Firenze) ci sono delle difficoltà nell'ottenere la loro costante collaborazione.



Nella tabella a pagina 4 sono riportate le date di arruolamento (e cioè le date in cui è stato consegnato lo smartphone ad ogni paziente), le date di invio del primo questionario ed il numero medio di giorni trascorsi tra invii successivi.

Si evidenziano in questo modo alcune situazioni in cui, dopo una iniziale difficoltà, il paziente ha fornito regolarmente il suo contributo allo studio (in particolare: paz 3 di Roma e paz 2 di Napoli).

Paziente	data arruolamento	data 1° invio dati	n° medio gg tra invii successivi
n. 1 Roma	23/7/2008	02/04/2009	33
n. 3 Roma	24/07/2008	14/10/2008*	10,3
n. 5 Roma	14/10/2008	16/10/2008	7,4
n. 6 Roma	22/10/2008	25/10/2008	8,5
n. 1 Firenze	23/01/2009	04/02/2009	26,8
n. 2 Firenze	27/02/2009	05/03/2009	14,8
n. 3 Firenze	03/04/2009	14/04/2009	10,8
n. 4 Firenze	03/04/2009	15/04/2009	8
n. 5 Firenze	07/05/2009	19/05/2009	7
n. 6 Firenze	08/05/2009	20/05/2009	9,3
n. 7 Firenze	06/06/2009	15/06/2009	8,8
n. 8 Firenze	09/06/2009	24/06/2009	7
n. 1 Napoli	20/04/2009	10/06/2009	16,5
n. 2 Napoli	20/04/2009	26/05/2009	7,6
n. 3 Napoli	08/05/2009	31/05/2009	9,5
n. 1 Udine	23/01/2009	30/01/2009	14,8
n. 2 Udine	19/02/2009	25/02/2009	7
n. 3 Udine	29/05/2009	04/06/2009	7,2

* in questo caso si sono verificati inizialmente alcuni problemi tecnici (si è resa necessaria la correzione delle impostazioni di connessione dello smartphone) che hanno ritardato l'inizio della partecipazione attiva del paziente.

Link Studi tiene monitorato costantemente l'andamento della spedizione dei dati da parte dei pazienti: qualora si riscontri una interruzione dell'invio dati che supera i quindici giorni, viene avvisato il medico sperimentatore di riferimento che, non appena ne avrà l'occasione, contatterà il proprio paziente per verificare i motivi di tale interruzione.

Qualora insorgano difficoltà di tipo tecnico dipendenti da malfunzionamenti dello smartphone, è necessario informare Link Studi che provvederà a supportare il paziente via telefono (se arriverà la chiamata tramite il numero verde) o a sostituire l'apparecchio.

Finora, spesso i malfunzionamenti segnalati dipendevano da modifiche delle impostazioni del palmare che determinavano una difficoltà nella connessione alla rete: con il ripristino delle impostazioni di base, tutti i palmari hanno ripreso a funzionare regolarmente.

Esiste anche la possibilità di partecipare allo studio GAU-DI compilando diari cartacei, nel caso venissero arruolati pazienti che abbiano difficoltà nell'utilizzo di uno strumento come il palmare. In questo caso il medico dovrà consegnare al paziente le apposite buste preaffrancate con le quali potrà spedire i diari a Link Studi senza alcuna spesa.

LE CARATTERISTICHE DELLO STUDIO

Ricordiamo ancora gli aspetti fondamentali dello studio GAU-DI:

- si prevede l'arruolamento di **40 pazienti** di età superiore a 18 anni, affetti da malattia di Gaucher di tipo I attualmente in terapia.
- sono esclusi dallo studio i pazienti con concomitante patologia osteoarticolare, muscolare, cardiaca o respiratoria non dipendente dalla malattia di Gaucher.
- **ogni centro si impegna a reclutare da un minimo di 4 ad un massimo di 8 pazienti.**

Ogni centro dedicherà i primi 6 mesi all'arruolamento ed ogni paziente sarà osservato per un periodo di 12 mesi.

ARRUOLAMENTO

- Il medico ricercatore deve spiegare dettagliatamente le caratteristiche dello studio al paziente e consegnare il **foglio informativo**
- il medico ricercatore deve far firmare il modulo per il **consenso informato** e deve fissare l'appuntamento per la visita di controllo che darà inizio allo studio.
- Il medico ricercatore deve quindi inviare a Link Studi la **comunicazione di arruolamento paziente** (con data arruolamento e terapia eseguita): questa comunicazione è indispensabile per impostare correttamente il questionario che comparirà sullo smartphone.
- Subito dopo, Link Studi risponde comunicando al medico i codici grazie ai quali il paziente potrà avere accesso al diario attraverso lo smartphone.
Tali codici sono personali e permettono di identificare la provenienza dei dati inviati da ogni paziente al database centralizzato.

VISITA BASALE

- Al momento della visita, deve essere compilata dal medico ricercatore la **scheda visita basale** che raccoglie informazioni relative ai dati anagrafici e anamnestici, alla diagnosi, ai dati clinici principali, agli esami strumentali effettuati ed alle terapie.
- Il paziente dovrà quindi compilare un **questionario sulla qualità di vita (SF-36)** che dovrà consegnare allo sperimentatore.
- In occasione della visita basale, gli sperimentatori dovranno consegnare al paziente lo **smartphone**, illustrando le modalità di utilizzo limitatamente all'invio dei dati per lo studio GAU-DI.
Nel caso il paziente preferisca utilizzare diari cartacei, il medico dovrà consegnargli quelli forniti con il materiale dello studio richiedendo quindi a Link Studi quelli successivi.

OSSERVAZIONE

- I dati inviati dai pazienti, che non possono in alcun modo essere identificati, sono archiviati in un apposito database gestito da Link Studi.
Il paziente dovrà quindi ricordare di inviare i propri dati una volta alla settimana per un periodo di 12 mesi.
I pazienti hanno a disposizione un Numero Verde (800/576999) da utilizzare in caso di difficoltà nell'utilizzo dello smartphone.

FOLLOW UP A 12 MESI

- Il medico ricercatore dovrà poi rivedere i propri pazienti a distanza di 12 mesi dalla visita basale e compilare la **scheda di follow up**.
- Anche in occasione di questa seconda visita, il paziente dovrà compilare il **questionario SF36**.

Le fotocopie delle schede (basali e follow-up) ed i questionari SF36 compilati dai pazienti dovranno essere spediti dal medico ricercatore a Link Studi che provvederà al loro inserimento.

PER CONCLUDERE

Da quanto illustrato in questa newsletter, possiamo affermare che lo studio GAU-DI sta raggiungendo gli obiettivi che erano stati prefissi dopo un'iniziale fase di difficoltà sia nel reclutamento che nell'utilizzo dello smartphone.

Nella precedente newsletter era stato richiesto l'impegno di tutti per cercare di reclutare la prima ventina di pazienti entro il mese di giugno: **questo risultato è stato praticamente raggiunto** e di questo ringraziamo i medici partecipanti che hanno dimostrato impegno e collaborazione.

Grazie al contributo di tutti gli sperimentatori sarà sicuramente possibile raggiungere anche l'obiettivo finale, che consiste nell'arruolamento di un totale di 40 pazienti, che rappresentano un campione statisticamente significativo della popolazione dei pazienti con malattia di Gaucher nel nostro paese

Per favorire il raggiungimento del target di 40 pazienti, sarebbe consigliabile **prolungare il periodo di arruolamento**, che era inizialmente stato concordato della durata di 6 mesi.

Alcuni centri infatti hanno già oltrepassato tale scadenza, manifestando tuttavia l'intenzione di proseguire con l'arruolamento.

Se tutti i centri concorderanno con tale decisione, Link Studi provvederà ad inviare una opportuna comunicazione ai Comitati Etici.

Ovviamente, per i centri che hanno già reclutato tutti gli 8 pazienti o che li recluteranno entro i primi 6 mesi di attività, tale comunicazione non sarà necessaria.

Ricordiamo che per qualsiasi necessità gli Sperimentatori possono telefonare a Link Studi al numero 059/355705 o inviare una e-mail all'indirizzo bpreti@link-ita.com.

Sottolineiamo che ognuno dei Responsabili dei Centri può intervenire con osservazioni e proposte in relazione all'andamento dello studio. Qualsiasi suggerimento può rivelarsi prezioso per favorire il successo di questa iniziativa.

Certi che l'impegno fino ad oggi dimostrato sarà mantenuto fino al raggiungimento degli obiettivi comuni, auguriamo a tutti i Responsabili e a tutti i collaboratori dei centri partecipanti un sereno periodo di vacanza.