

Calendario e programma dello studio



**Per ragazzi fino a 18 anni affetti da emofilia A grave o emofilia B da moderatamente grave a grave, con o senza inibitori**

# GRAZIE PER LA PARTECIPAZIONE ALLO STUDIO BASIS KIDS.

Siamo davvero grati per l'adesione di Suo figlio a questo studio. Qualsiasi informazione che raccogliamo potrebbe aiutare in futuro altri giovani che convivono con l'emofilia.

Il presente opuscolo fornisce una panoramica su:

- ✓ lo studio;
- ✓ le modalità di somministrazione dei trattamenti;
- ✓ ciò che succede durante le visite dello studio.

Inoltre, contiene uno spazio per tenere nota degli appuntamenti così come informazioni utili e promemoria. Anche se può essere impegnativo recarsi a tutte le visite dello studio, è importante per il medico monitorare la salute di Suo figlio.

Il personale dello studio sarà lieto di rispondere a ogni Sua domanda. Le ricordiamo che la partecipazione è volontaria e che Suo figlio può scegliere di interrompere lo studio in qualsiasi momento.

Grazie,  
***il personale dello studio BASIS KIDS***





## In che consiste la sperimentazione dello studio BASIS KIDS?

Lo studio BASIS KIDS sta testando un farmaco per verificare se un'iniezione sottocutanea settimanale possa prevenire in modo sicuro il sanguinamento nei giovani affetti da emofilia A o B.

## Chi parteciperà allo studio?

I ragazzi che parteciperanno allo studio dovranno:

- ✓ essere di sesso maschile e avere meno di 18 anni;
- ✓ soffrire di emofilia A grave o emofilia B da moderatamente grave a grave, con o senza inibitori;
- ✓ soddisfare altri requisiti determinati mediante un processo di screening.

**Alcuni soggetti sviluppano degli "inibitori" alla terapia sostitutiva del fattore, che ne impediscono il funzionamento e la coagulazione. Ciò rende più difficile arrestare il sanguinamento. Il farmaco in studio non è influenzato dagli inibitori.**

## Che cosa succede durante lo studio?

Suo figlio rimarrà nello studio per circa 14 mesi. Durante tutto questo tempo il personale dello studio lo visiterà presso il centro clinico e lo chiamerà al telefono, per verificare il suo stato di salute. Se si preferisce e se le norme locali lo consentono, alcune visite possono avere luogo a casa.

### SCREENING

 Fino a 1 mese e mezzo

 Una o più visite

### TRATTAMENTO IN STUDIO

 12 mesi

 9 visite

 5 telefonate

### FOLLOW-UP *(dopo il trattamento in studio)*

 1 mese

 1 telefonata

Quando Suo figlio avrà terminato lo studio, potrà continuare ad assumere il farmaco dello studio per un certo periodo di tempo nell'ambito di uno studio separato. Se Lei è interessato/a può discuterne con il medico dello studio assegnato a Suo figlio.

## SCREENING

Prima di iniziare lo studio, dovrà fornire la Sua autorizzazione alla partecipazione leggendo e firmando un **Modulo di consenso informato**, un documento contenente tutti i dettagli dello studio. Anche Suo figlio deve firmare un modulo simile chiamato **Modulo di assenso**, se accetta di partecipare.

A questo punto, il medico dello studio raccoglierà informazioni sullo stato di salute e sull'anamnesi medica di Suo figlio ed eseguirà alcuni esami per verificare che sia idoneo per la sperimentazione.



## INFORMAZIONI SULLO STATO DI SALUTE



CARATTERISTICHE  
PERSONALI



ANAMNESI  
MEDICA



ANAMNESI  
DEGLI EPISODI  
EMORRAGICI



REVISIONE  
DEI FARMACI

## TEST E CONTROLLI SANITARI



SEGNI  
VITALI



ESAME  
OBIETTIVO



PESO



ALTEZZA



ESAMI  
DEL SANGUE



ESAME  
DELLE URINE



ATTIVITÀ  
CARDIACA

## Mio figlio riceverà sicuramente il farmaco in studio?

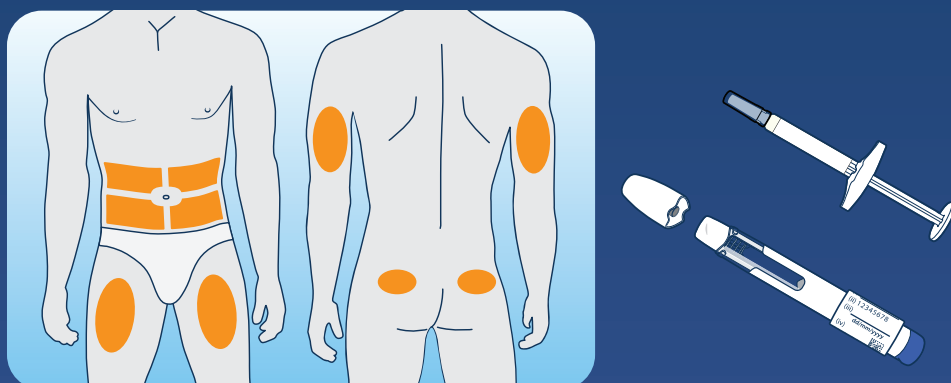
Tutti i ragazzi idonei alla sperimentazione riceveranno il farmaco in studio.

*Nota: non dovrà usare il farmaco in studio per trattare gli episodi emorragici. Se si verificano dei sanguinamenti, dovrà usare il normale farmaco prescritto per l'emofilia di Suo figlio, come indicherà il medico dello studio.*

## Come viene somministrato il farmaco in studio?

Il farmaco in studio viene somministrato con un'iniezione, inserendo un ago sottile nel tessuto adiposo direttamente sotto la pelle.

*Nota: il sito dell'iniezione può dipendere dalla scelta di una penna o siringa preriempita.*



Suo figlio riceverà l'iniezione del farmaco in studio una volta alla settimana.

La prima iniezione sarà effettuata presso il centro dello studio. Poi sarà Lei a somministrargli le dosi rimanenti del farmaco in studio una volta alla settimana. Oppure, se preferisce, potrà rivolgersi al personale del centro che lo farà al Suo posto. Il personale dello studio insegnerà sia a Lei sia a Suo figlio, se necessario, come fare l'iniezione.

**Da pagina 16 può accedere ad alcune risorse utili, ad es. i video su come iniettare il farmaco in studio usando una penna o siringa preriempita.**

## Che cos'è il diario elettronico (eDiary)?

Riceverà un dispositivo elettronico portatile simile allo smartphone, su cui raccoglierà informazioni durante lo studio, tra cui:



### **eventuali sanguinamenti manifestati da Suo figlio**

- sito del sanguinamento
- causa del sanguinamento (nessun motivo noto né esito di una ferita)



### **eventuali farmaci per trattare i sanguinamenti del ragazzo**



### **le date in cui Suo figlio riceve l'iniezione del farmaco in studio**



**Porti l'eDiary alle visite dello studio e lo tenga a portata di mano durante le telefonate.**

**Il personale dello studio analizzerà le informazioni che ha inserito nell'eDiary.**

## TRATTAMENTO IN STUDIO

Durante l'assunzione del farmaco in studio, Suo figlio sarà sottoposto a circa 9 visite al centro e riceverà 5 telefonate per controllare lo stato di salute. Se lo preferisce e se le norme locali lo consentono, 2 di queste visite possono avere luogo a casa.

Suo figlio non dovrà sottoporsi a tutti gli esami ad ogni visita.

### Le visite al centro consisteranno in:

#### INFORMAZIONI SULLO STATO DI SALUTE



REVISIONE  
DEI FARMACI



REVISIONE DELL'  
eDIARY



REVISIONE DEL  
TRATTAMENTO AL  
BISOGNO



CONTROLLO  
DELL'ADERENZA AL  
FARMACO IN STUDIO

#### TEST E CONTROLLI SANITARI



SEGNI  
VITALI



ESAME  
OBIETTIVO



PESO



ALTEZZA



CONTROLLO  
DELLE ARTICOLAZIONI



ESAMI  
DEL SANGUE



ESAME  
DELLE URINE



ATTIVITÀ CARDIACA  
(se necessario)



QUESTIONARI



CONTROLLO  
DI SICUREZZA

## TRATTAMENTO IN STUDIO

 **Le telefonate consisteranno in:**

### INFORMAZIONI SULLO STATO DI SALUTE



REVISIONE  
DEI FARMACI



REVISIONE DELL'  
eDIARY



REVISIONE DEL  
TRATTAMENTO AL  
BISOGNO



CONTROLLO  
DELL'ADERENZA AL  
FARMACO IN STUDIO

### INFORMAZIONI SULLO STATO DI SALUTE



CONTROLLO DI  
SICUREZZA

Suo figlio sarà monitorato per tutta la durata dello studio per verificare eventuali effetti collaterali del farmaco dello studio.



## TRATTAMENTO IN STUDIO

Usi la tabella sottostante per tenere traccia delle visite programmate di Suo figlio e delle informazioni importanti.



Visita presso il centro



Telefonata

Visita	Giorno	Data/ora programmata	Note e promemoria
2/3	1		 La prima dose del farmaco in studio sarà somministrata presso il centro. Suo figlio sarà sottoposto agli esami prima e dopo la dose del farmaco in studio.
4	7		
5	28		 Alla visita di Suo figlio, porti il farmaco in studio rimasto inutilizzato.
6	60 (mese 2)		 Alla visita di Suo figlio, porti il farmaco in studio rimasto inutilizzato.
7	90 (mese 3)		
8	120 (mese 4)		 Alla visita di Suo figlio, porti il farmaco in studio rimasto inutilizzato.
9	150 (mese 5)		
10	180 (mese 6)		 Alla visita di Suo figlio, porti il farmaco in studio rimasto inutilizzato.
11	210 (mese 7)		
12	240 (mese 8)		 Alla visita di Suo figlio, porti il farmaco in studio rimasto inutilizzato.
13	270 (mese 9)		
14	300 (mese 10)		 Alla visita di Suo figlio, porti il farmaco in studio rimasto inutilizzato.
15	330 (mese 11)		
16	360 (mese 12)		 Alla visita di Suo figlio, porti il farmaco in studio rimasto inutilizzato.

## FOLLOW-UP *(dopo il trattamento in studio)*

Data: \_\_\_\_\_

Ora: \_\_\_\_\_

Il medico dello studio La contatterà circa 30 giorni dopo la dose finale del farmaco in studio per verificare lo stato di salute di Suo figlio. Se necessario, potrebbe anche chiedergli di sottoporsi a una nuova visita.

 **La telefonata consisterà in:**

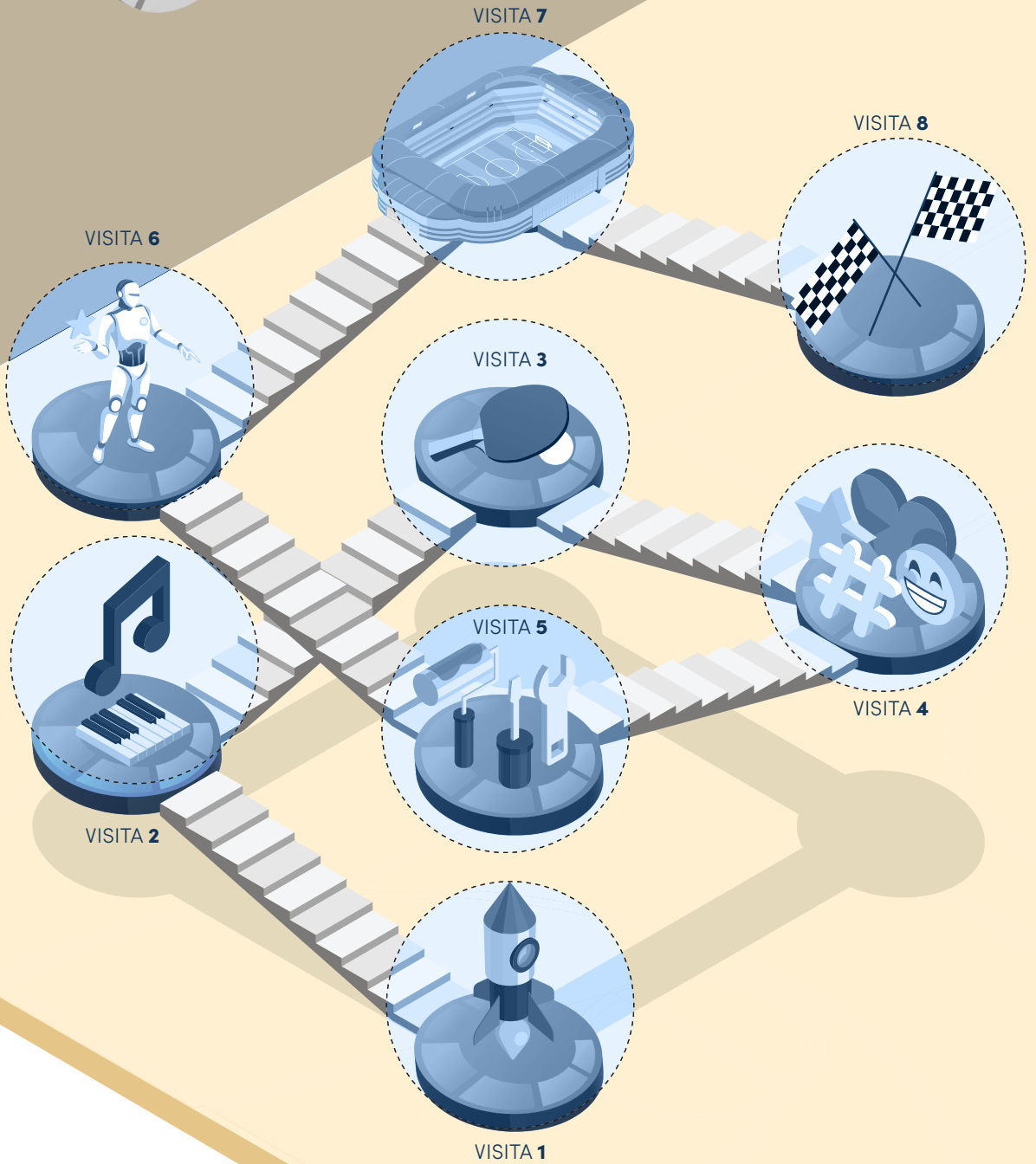


REVISIONE  
DEI FARMACI



CONTROLLO DI  
SICUREZZA



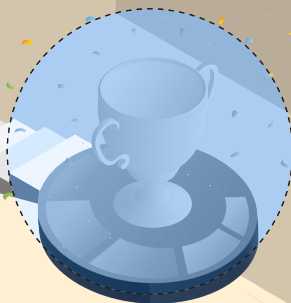


Divertiti a registrare le visite con questi adesivi!

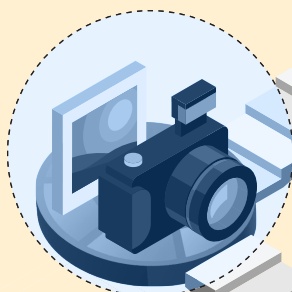
VISITA 15



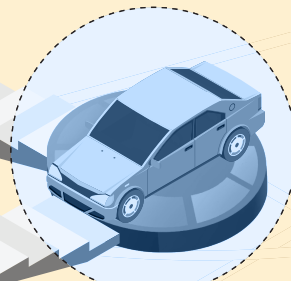
VISITA 16



VISITA 14



VISITA 11

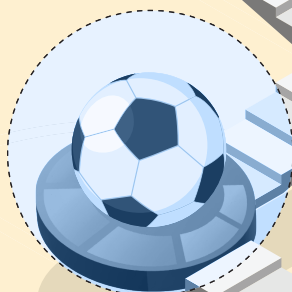


VISITA 12

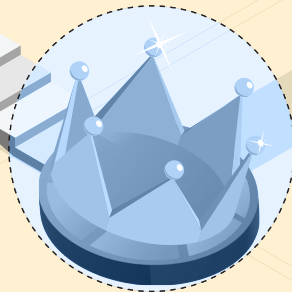
VISITA 13



VISITA 10



VISITA 9



## Glossario



**Anamnesi degli episodi emorragici:** il personale dello studio analizzerà le informazioni sugli eventuali sanguinamenti di Suo figlio avvenuti nell'ultimo anno e su come sono stati trattati.



**Esame del sangue:** saranno prelevati campioni di sangue per esaminare i fattori di coagulazione e l'attività di coagulazione di Suo figlio. L'esame del sangue serve anche a valutare l'efficacia del farmaco in studio, la quantità presente nell'organismo di Suo figlio e in che modo potrebbe influire sulle altre parti del corpo.



**Attività cardiaca:** l'attività elettrica del cuore di Suo figlio verrà misurata tramite un test indolore, chiamato elettrocardiogramma (ECG). Il ragazzo dovrà restare sdraiato e verranno applicati dei piccoli dischetti adesivi (elettrodi) sul torace, le braccia e le gambe. Tali dischetti sono collegati tramite dei cavi a un computer, che rileva i segnali del cuore di Suo figlio.



**Altezza:** un membro del personale dello studio misurerà l'altezza di Suo figlio a piedi nudi.



**Controllo delle articolazioni:** il medico dello studio esaminerà le articolazioni di Suo figlio per verificarne il gonfiore, la mobilità, la forza, il dolore e la flessibilità.



**Anamnesi medica:** dovrà rispondere ad alcune domande sullo stato di salute di Suo figlio, sulla sua emofilia, le emorragie che hanno richiesto un trattamento e le articolazioni affette da episodi di sanguinamento, oltre ad eventuali interventi chirurgici o medici che si sono resi necessari.



**Caratteristiche personali:** il personale dello studio raccoglierà dati personali su Suo figlio, ad esempio il nome e la data di nascita.



**Esame obiettivo:** il medico controllerà diverse parti del corpo di Suo figlio, come cuore, polmoni, gola, articolazioni e stomaco.



**Questionari:** tramite un tablet elettronico, Lei e Suo figlio risponderete a domande su come si sente, qual è il suo stato di salute generale e come l'emofilia incida sulle sue attività e sulla vita quotidiana.



**Revisione dell'eDiary:** il personale dello studio analizzerà le registrazioni dell'eDiary in occasione delle visite in clinica e durante le telefonate. L'eDiary Le serve per monitorare eventuali sanguinamenti di Suo figlio, ad es. il sito, la causa e gli eventuali farmaci utilizzati. Inoltre sull'eDiary registrerà le iniezioni eseguite con il farmaco in studio.



**Revisione dei farmaci:** dovrà rispondere ad alcune domande sui farmaci che Suo figlio assume attualmente o ha assunto in passato, compresa un'eventuale terapia sostitutiva con fattore o terapia bypassante.



**Revisione del trattamento al bisogno:** il personale dello studio esaminerà eventuali eventi emorragici manifestati da Suo figlio e i farmaci usati per trattare i sanguinamenti.



**Controllo di sicurezza:** Suo figlio sarà sottoposto a un monitoraggio costante per l'intera durata dello studio in caso di effetti collaterali (indesiderati o imprevisti) dovuti al farmaco in studio.



**Controllo dell'aderenza al farmaco in studio:** il personale dello studio verificherà sul Suo eDiary il calendario delle iniezioni del farmaco in studio, per accertarsi che siano somministrate correttamente.



**Esame delle urine:** un campione delle urine di Suo figlio sarà analizzato per verificare la presenza di zuccheri, proteine e sangue. Dagli esami delle urine è possibile valutare anche il funzionamento dei reni di Suo figlio.



**Segni vitali:** il personale dello studio misurerà la pressione sanguigna (capacità di pompaggio del cuore), la temperatura corporea e il polso (numero di battiti cardiaci in 1 minuto) di Suo figlio.



**Peso:** Suo figlio sarà pesato su una bilancia a piedi nudi mentre indossa abiti leggeri.





---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

Per trovare altre risorse utili, scansioni il codice QR qui sotto



Codice PIN: bs432



## Recapiti dello studio

Contatti il personale dello studio in caso di domande, se deve spostare un appuntamento o se nota cambiamenti nello stato di salute di Suo figlio.

Medico dello studio:

---

Numero di telefono:

---

E-mail:

---

Infermiere/coordinatore dello studio:

---

Numero di telefono:

---

E-mail:

---



[www.basiskidstrial.com](http://www.basiskidstrial.com)

Codice PIN: bs432

ISSN 979-8-89062-465-9  
B7841008\_Schedule Planner\_IT V1.0\_28OCT2022