FONDAZIONE ITALIANA LINFOMI

INFORMATIVA PUBBLICA PER IL PAZIENTE

Versione n. 1.0 del 3 gennaio 2025

Studio retrospettivo-prospettico per valutare la gestione del trattamento e gli outcomes dei pazienti con Macroglobulinemia di Waldenström (WM) trattati in Italia secondo il programma di uso compassionevole (CUP) di Zanubrutinib (Brukinsa®) ed in pratica clinica dopo l'approvazione commerciale

ID Studio: FIL_BRUCE-ITA
Sponsor: Fondazione Italiana Linfomi - ETS (FIL ETS)

Gentile signore/a,

con la presente intendiamo informarLa che la Fondazione Italiana Linfomi - ETS (FIL ETS) ha promosso uno studio osservazionale retrospettivo-prospettico dal titolo “Studio retrospettivo-prospettico per valutare la gestione del trattamento e gli outcomes dei pazienti con Macroglobulinemia di Waldenström (WM) trattati in Italia secondo il programma di uso compassionevole (CUP) di Zanubrutinib (Brukinsa®) ed in pratica clinica dopo l'approvazione commerciale”.

La FIL ETS è un ente no profit che da diversi anni si occupa, sia a livello nazionale che internazionale, di studi clinici sui linfomi (www.filinf.it).

Lo studio è stato discusso e disegnato da un gruppo di medici esperti e le informazioni da esso ottenute potrebbero aiutare i medici a decidere come curare meglio i pazienti che soffriranno di Macroglobulinemia di Waldenström negli anni futuri.

Si tratta di una malattia rara, classificata all’interno dei linfomi non Hodgkin come linfoma linfoplasmacitico a cui si associa la presenza nel sangue periferico di una componente monoclonale di tipo IgM.

Questa malattia colpisce prevalentemente i soggetti di età media/avanzata (72-75 anni) e i maschi sono leggermente più colpiti delle femmine. La diagnosi di Macroglobulinemia di Waldenström viene spesso preceduta da una condizione non ancora patologica definita come gammopatia monoclonale di significato indeterminato (MGUS).

Diversi fattori di rischio possono influenzare lo sviluppo della WM, come fattori genetici, fattori acquisiti e la presenza di MGUS.

Non tutti i pazienti a cui viene diagnosticata la WM necessitano di un trattamento. I pazienti con MGUS IgM e con Macroglobulinemia di Waldenström “asintomatica”, cioè quella in cui non sono presenti sintomi dovuti alla malattia, vengono tenuti in osservazione, cioè, vengono visitati e controllati tramite esami di laboratorio e strumentali effettuati ad intervalli regolari, senza che venga loro somministrato alcun tipo di terapia.
La Macroglobulinemia di Waldenström “sintomatica”, cioè quella associata alla presenza di sintomi nel paziente o alterazioni dei parametri di laboratorio come riportato dalle linee guida, richiede invece un trattamento. Infatti, quando si manifestano segni e/o sintomi che riducono la qualità della vita del paziente o ne mettono a rischio la salute, è necessario ricorrere a uno dei trattamenti disponibili, che permettono solitamente di controllare in maniera soddisfacente e per lunghi periodi la malattia e i sintomi.

Quali sono gli obiettivi dello studio?

Sulla base di queste considerazioni la FIL ha deciso di disegnare questo studio clinico con lo scopo di valutare la gestione del trattamento, l’efficacia, la sicurezza, la qualità di vita in pazienti adulti affetti da Macroglobulinemia di Waldenström trattati con il farmaco Zanubrutinib nell’ambito di programmi di uso compassionevole o dopo la sua approvazione commerciale.

Criteri di inserimento in studio

Lo studio prevede l’arruolamento dei pazienti che rispettino i seguenti criteri. In caso contrario non sarà possibile partecipare:

- Modulo di consenso informato scritto firmato e datato.
- Diagnosi di macroglobulinemia di Waldenström con necessità di trattamento secondo le linee guida ESMO 2018.
- Pazienti che hanno ricevuto Zanubrutinib secondo il programma CUP italiano o in pratica clinica dopo l'approvazione commerciale di Zanubrutinib.
- Trattamento con zanubrutinib secondo l'attuale RCP.
- Decisione del tipo di trattamento prima dell'inclusione in questo studio non interventistico.
- Età ≥18 anni.

Criteri di esclusione dello studio

I pazienti saranno considerati non eleggibili in presenza di anche solo una delle seguenti situazioni:

- Controindicazione/i secondo l'RCP per i pazienti con WM
- Partecipazione a uno studio clinico interventistico durante il trattamento con zanubrutinib.
- Pazienti con progressione di malattia durante un precedente trattamento con BTKi (se pretrattati con BTKi, sono considerati eleggibili solo gli intolleranti).

Quanti pazienti parteciperanno a questo studio e quale sarà la sua durata?

Questo studio è definito “multicentrico” perché coinvolge numerosi centri di Ematologia ed Oncologia che fanno parte della Fondazione Italiana Linfomi – ETS. Lo studio si propone di raccogliere i dati di 125 pazienti, selezionati sulla base dei criteri precedentemente esposti. Lo studio avrà una durata complessiva di 24 mesi per poter eseguire le valutazioni finali.

Arruolamento pazienti e scopo della presente informativa

Ai pazienti rintracciabili è richiesta la firma di un apposito consenso informato. Al fine di non pregiudicare i risultati dello studio vi è la necessità di raccogliere i dati di tutti i potenziali pazienti elegibili, compresi quelli non raggiungibili. I dati dei pazienti per i quali non sia stato possibile raccogliere il consenso informato sono stati trattati in accordo alla normativa vigente (“Provvedimento recante le prescrizioni relative al trattamento di categorie particolari di dati, ai sensi dell’art. 21, comma 1 del d.lgs. 10 agosto 2018, n. 101”): il trattamento è stato effettuato solo a seguito dell’approvazione dello studio da parte del comitato etico competente ed è inoltre stata redatta e resa pubblica per la consultazione la scheda di valutazione del rischio, disponibile sul sito web del Promotore. Questa informativa ha appunto lo scopo di informare pubblicamente circa lo studio e i suoi obiettivi i possibili pazienti non raggiungibili.

Se Lei dovesse riconoscere le caratteristiche della Sua patologia tra i criteri di inclusione ed esclusione dello studio, se fosse stato curato in passato presso i centri che hanno aderito allo studio (l’elenco è disponibile sul sito web del Promotore al seguente indirizzo https://ricercatori.filinf.it/studi/bruce-ita/) e volesse avere maggiori informazioni in merito alla presente sperimentazione La invitiamo a

contattare il medico che l'ha avuta in cura presso il centro per ricevere informazioni integrative circa il suo inserimento nello studio.

Cosa sarà richiesto ai pazienti arruolati?

La partecipazione dei pazienti allo studio non comporta indagini addizionali.

Lo studio prevede l'utilizzo dei dati clinici derivanti dal pregresso percorso di cura nell'ambito della pratica clinica.

La partecipazione dei pazienti verrà mantenuta riservata?

Tutte le informazioni raccolte durante questo studio sono confidenziali e verranno trattate in ottemperanza alle normative applicabili.

Dal momento che è di estrema importanza che i dati siano raccolti in maniera accurata e corretta, le informazioni raccolte durante lo studio saranno controllate da personale specialistico autorizzato, che manterrà la confidenzialità delle informazioni. Il personale del centro, lo Sponsor Fondazione Italiana Linfomi - ETS, eventuali apposite società esterne che svolgono attività di monitoraggio dello studio, il Comitato Etico e le autorità sanitarie possono avere accesso ai dati dei pazienti arruolati, compresi quelli contenuti nei documenti clinici originali, al fine di valutare la correttezza e l'esattezza dei dati. Lo scopo di queste verifiche è controllare che lo studio sia stato condotto correttamente.

Una descrizione del presente studio clinico sarà disponibile sia sul sito della Fondazione Italiana Linfomi - ETS www.filinf.it sia, più dettagliatamente, sul sito *http://www.ClinicalTrials.gov*. Su tali siti non saranno incluse informazioni che potranno identificare i pazienti. Potrà esserci al massimo una sintesi dei risultati. È possibile cercare questi siti Web in qualsiasi momento.

Cosa ne sarà dei risultati dello studio di ricerca?

Tutti i dati codificati raccolti sui singoli pazienti verranno gestiti attraverso un Case Report Form (Modulo di Raccolta dati clinici) elettronico e trasmessi alla Fondazione Italiana Linfomi - ETS. I dati saranno analizzati da esperti in statistica per valutare il raggiungimento degli obiettivi dello studio. I risultati dello studio potranno quindi essere

utilizzati per elaborare rapporti sullo studio e per pubblicazioni scientifiche, nei quali i dati saranno presentati in forma aggregata o codificata.

Considerazioni importanti

1. Nessun compenso economico o di alcuna natura è previsto per i pazienti e i loro familiari e conviventi;
2. I documenti relativi allo studio, inclusi i dati raccolti presso il centro, verranno conservati per 7 anni dal termine dello studio e poi successivamente anonimizzati;
3. Resta inteso che i pazienti hanno il diritto in ogni momento di revocare senza giustificazione e senza che ciò comporti alcun pregiudizio nei loro confronti il consenso allo studio. Eventuali dati che a seguito di trattamento non consentono più l'identificazione dei pazienti potranno essere inclusi nei risultati dello studio. Nessuna nuova informazione sarà raccolta o aggiunta ai dati o alle banche dati esistenti;

Informativa ai sensi dell'art. 13 Reg. UE 2016/679 per i dati personali

TITOLARI DEL TRATTAMENTO

I Titolari del trattamento (soggetti che, ai sensi del regolamento privacy europeo, definiscono finalità e strumenti del trattamento), in via autonoma fra loro, sono pertanto:

- il Promotore che ha commissionato lo studio che Le è stato descritto (Fondazione Italiana Linfomi – ETS con sede legale in Piazza Turati, 5 – 15121 Alessandria), nonché
- il Centro Partecipante (……).

I Titolari ai quali potrà rivolgersi per l'esercizio dei Suoi diritti sono contattabili ai seguenti indirizzi:

- per il Promotore: filonlus@pec.it ;
- per il Centro di sperimentazione: ……

RESPONSABILE DELLA PROTEZIONE DEI DATI

Il Responsabile della Protezione dei Dati Personali della FIL, in quanto designato dal Titolare ai sensi dell'articolo 37 del Regolamento Generale sulla Protezione dei Dati, è l'avvocato Cathy La Torre, con sede in Piazza dei Martiri 1943/1945 ½, Bologna, email dpo@filinf.it PEC avv.latorre@ordineavvocatibopec.it

Il Responsabile della Protezione dei Dati Personali del Centro Sperimentale, nominato dal rispettivo Titolare, è contattabile ai seguenti recapiti: ……..

FINALITA' DEL TRATTAMENTO E BASI GIURIDICHE

La Fondazione Italiana Linfomi - ETS (FIL ETS) con sede legale in Piazza Turati, 5 Alessandria tel. 0131/033151 mail dpo@filinf.it PEC filonlus@pec.it che ha commissionato lo studio descritto e il Centro di Sperimentazione (_____), ciascuno per gli ambiti di propria competenza, e quindi in qualità di autonomi Titolari del trattamento dei dati personali dei pazienti, in accordo alle responsabilità previste dalle norme applicabili in materia, tratteranno i dati personali, in particolare:

Finalità	Dati Trattati	Base Giuridica
Ricerche biomediche	Dati anagrafici (età, sesso, stato in vita); Dati sanitari (anamnestici, relativi ai trattamenti ed allo stato di salute); Dati genetici (limitatamente alla caratterizzazione del tumore)	Art. 110 del d. lgs n° 196 del 30/06/2003 così come novellato dal D.lgs 56/2024, art. 36 Reg. UE 2016/679 e pareri favorevoli dei Comitati Etici dei centri coinvolti

Ricerche epidemiologiche	Dati anagrafici (età, sesso, stato in vita); Dati sanitari (anamnestici, relativi ai trattamenti ed allo stato di salute); Dati genetici (limitatamente alla caratterizzazione del tumore)	Art. 110 del d. lgs n° 196 del 30/06/2003 così come novellato dal D.lgs 56/2024, art. 36 Reg. UE 2016/679 e pareri favorevoli dei Comitati Etici dei centri coinvolti

I dati anagrafici (età, sesso, stato in vita), i dati sanitari (anamnestici, relativi ai trattamenti ed allo stato di salute) e i dati genetici (limitatamente alla caratterizzazione del tumore) saranno trattati esclusivamente in funzione della realizzazione dello studio in oggetto.

A tal fine i dati indicati saranno raccolti dal Centro di sperimentazione e trasmessi alla FIL titolare del trattamento con sede legale in P.zza Turati, 5 – 15121 Alessandria.

MODALITÀ e PERIODO DI CONSERVAZIONE DEI DATI

Il trattamento dei dati personali potrà essere effettuato sia con strumenti elettronici sia su supporti (secondo i casi) di tipo cartaceo o elettronico e ciò potrà avvenire per il tempo necessario a conseguire gli scopi per cui le informazioni personali sono state raccolte (studi clinici) in relazione all'obbligo di conservazione previsto per legge dalla normativa sugli studi clinici e comunque entro, e non oltre, 7 anni dalla loro raccolta.
FIL adotta misure di sicurezza di tipo tecnico e organizzativo per prevenire la perdita dei dati, usi illeciti o non corretti ed accessi non autorizzati. Il personale della FIL e i laboratori coinvolti nello studio non hanno possibilità di identificare l'identità, essendo questa associata ad un codice (pseudonimizzazione). Il codice è generato automaticamente da un sistema informatico al momento della registrazione dei dati da parte del Medico del centro. Solo il medico dello studio e il personale autorizzato saranno in grado di collegare il codice al suo nominativo. I dati tramessi alla FIL saranno dunque pseudonimizzati, ovvero non in grado di identificarla.

NATURA DEL CONFERIMENTO DEI DATI E CONSEGUENZE IN CASO DI EVENTUALE RIFIUTO

Il conferimento dei dati è obbligatorio per partecipare allo studio clinico in oggetto. L'eventuale rifiuto determina l'impossibilità di partecipare allo studio clinico.

SOGGETTI E CATEGORIE CUI POTREBBERO ESSERE COMUNICATI I DATI PERSONALI

I dati personali potrebbero essere comunicati a:

- altri soggetti pubblici che li richiederanno e siano espressamente autorizzati a trattarli (più in specifico, siano autorizzati da norme di legge o di regolamento o comunque ne abbiano necessità per finalità istituzionali).
- ulteriori soggetti anche privati che siano legittimati a conoscerli in base a specifiche norme di legge o di regolamento.

- in forma aggregata (ovvero per fini statistici e senza poter risalire alla Sua identità personale) per pubblicazioni scientifiche, statistiche e convegni scientifici.
- soggetti terzi eventualmente incaricati del monitoraggio e della verifica dello studio.
- il Comitato Etico e le autorità sanitarie italiane e straniere con modalità tali da garantire comunque la riservatezza della Sua identità.
- nel caso di condivisione con altri ricercatori per ulteriori analisi valutate idonee da FIL i dati saranno condivisi in formato anonimizzato, garantendo così che i terzi nuovi ricercatori non siano in grado di identificare in alcun modo le persone. Laddove l'anonimizzazione non sia possibile, sarà bloccata una qualunque condivisione in attesa del recepimento del consenso delle persone interessate

EVENTUALE TRASFERIMENTO DATI AD UN SOGGETTO TERZO

I dati personali potranno essere trasmessi a soggetti terzi o società esterne, sempre in forma pseudonimizzata (codificata in modo da non poterla identificare) in Paesi appartenenti all'UE che applicano il Regolamento generale sulla protezione dei dati (GDPR) o in paesi al di fuori dell'UE che garantiscono un adeguato livello di protezione dei dati codificati in accordo alla direttiva 95/46/CE. Tra questi soggetti vi sono fornitori di servizi connessi alle finalità di cui sopra: server schede di raccolta dati e archivi elettronici (verificare ed eventualmente indicare se previsto invio dati extra UE).

DIRITTI DELL'INTERESSATO

Gli interessati potranno esercitare i diritti di cui agli articoli 15, 16, 17, 18, 20 e 21 del "Regolamento Generale sulla Protezione dei Dati". L'esercizio dei diritti menzionati potrà avere luogo rivolgendo la relativa richiesta al Titolare dei dati ai recapiti suindicati, anche per il tramite di uno degli Incaricati del trattamento o mediante raccomandata, telefax o posta elettronica o altro mezzo idoneo individuato dal "Garante per la protezione dei dati personali". Fermo restando il diritto dell'interessato di proporre reclamo all'autorità Garante per la protezione dei dati personali (www.garanteprivacy.it).