



***5° Rapporto Annuale  
del Comitato Etico  
Pediatrico  
della Regione Toscana  
Anno 2019***

# Studi Clinici Valutati

*nel corso dell'anno 2019 (16 Sedute)*

165

Studi Clinici  
Valutati

370

Emendamenti Non  
Sostanziali e  
Notifiche

13

Richieste Usi  
Terapeutici

6

Consulenze per  
CE Area Vasta

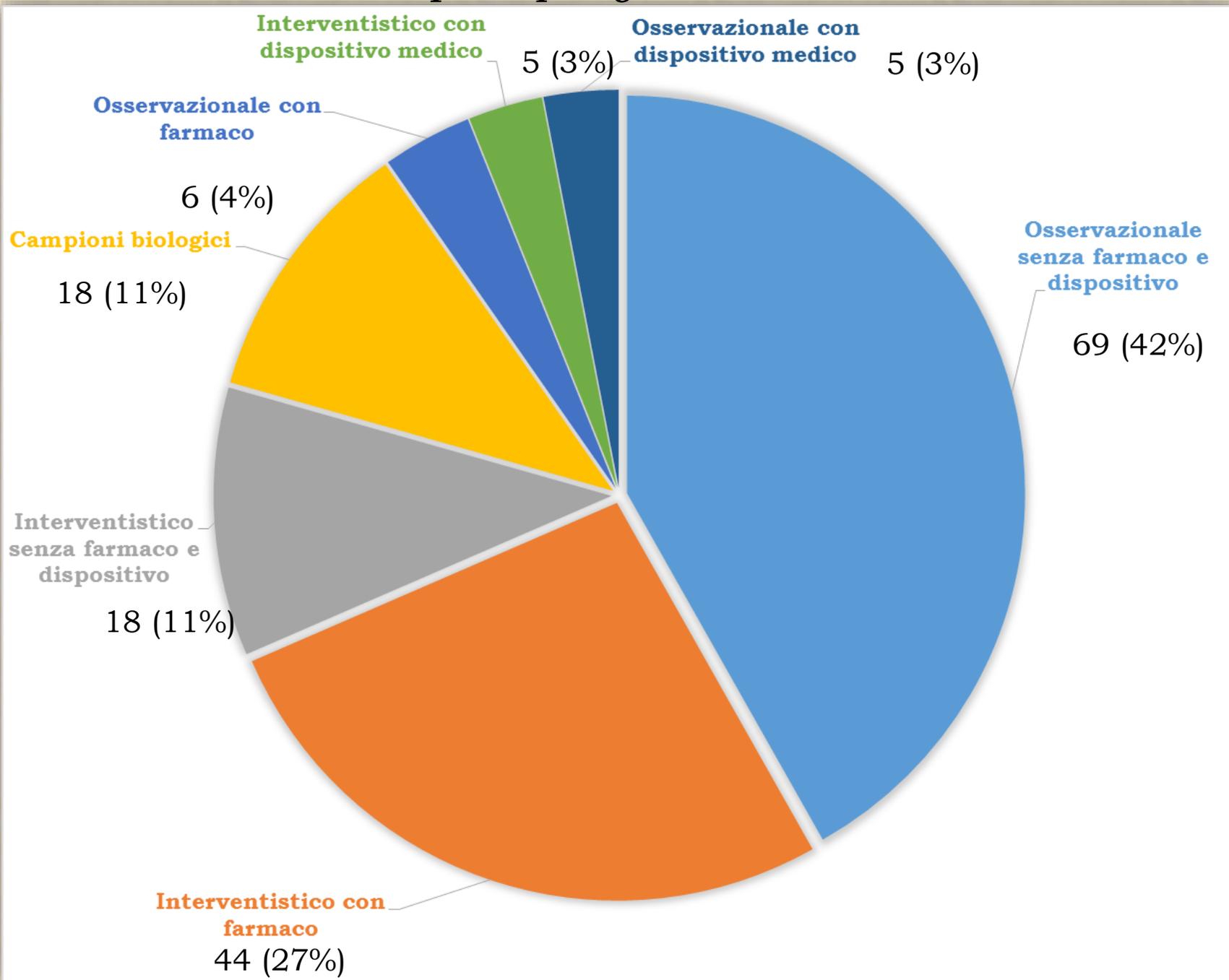
135

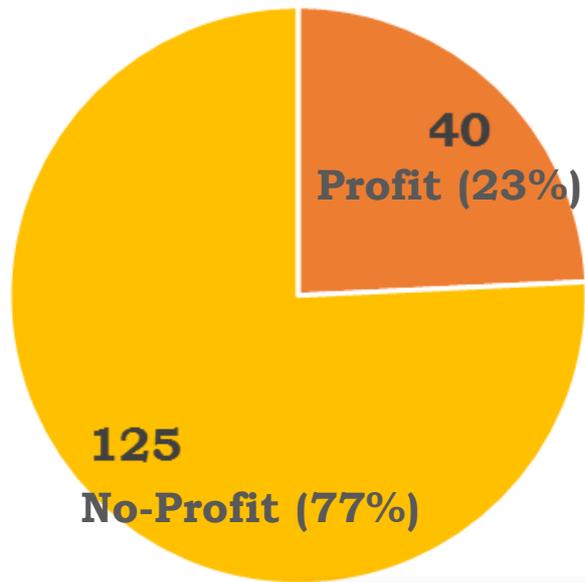
Emendamenti  
sostanziali

3

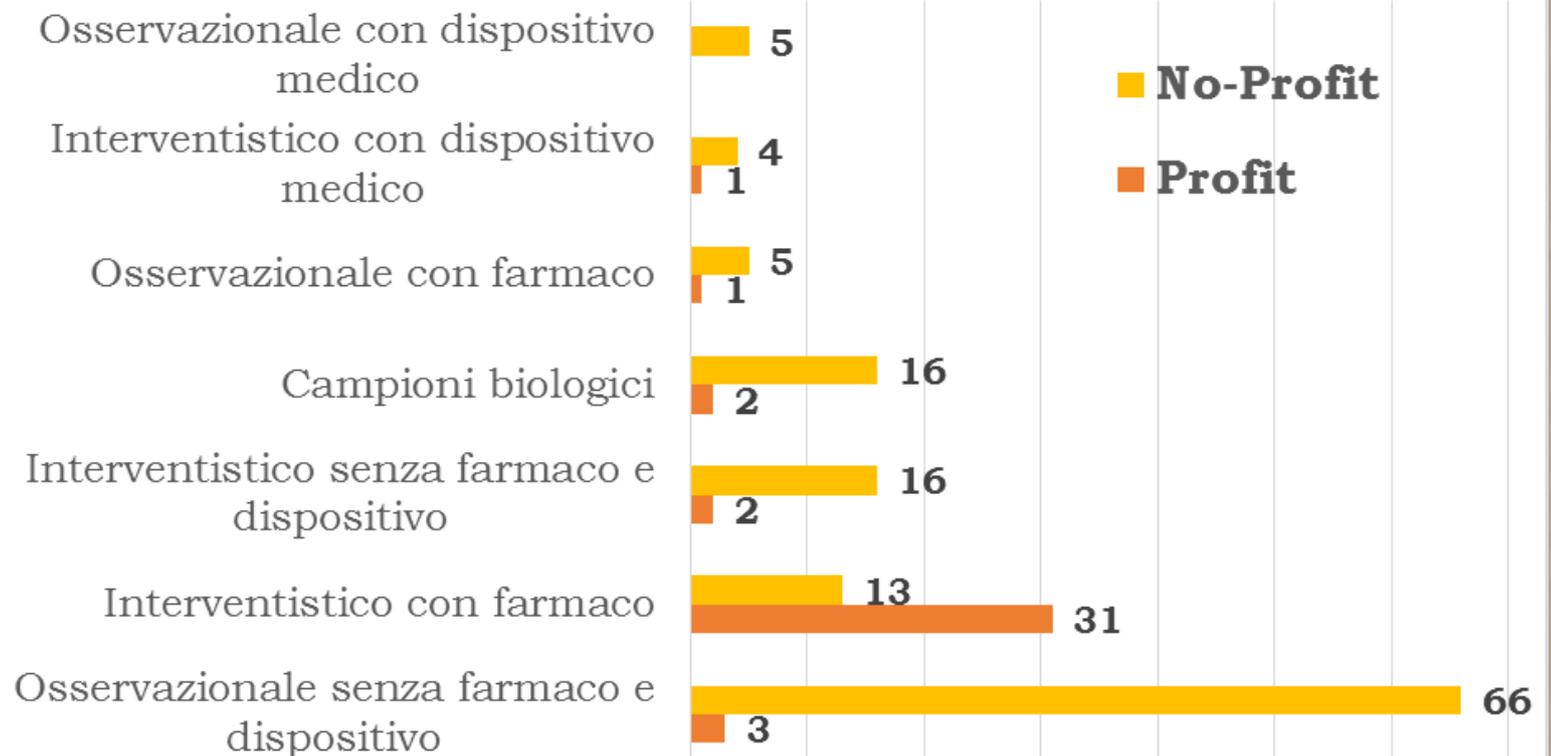
Case Report

# Studi Clinici Valutati per Tipologia di Studio



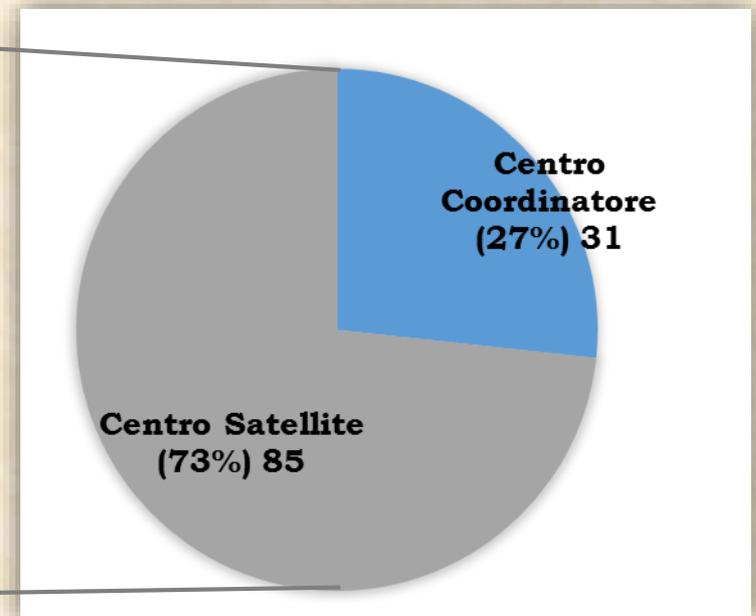
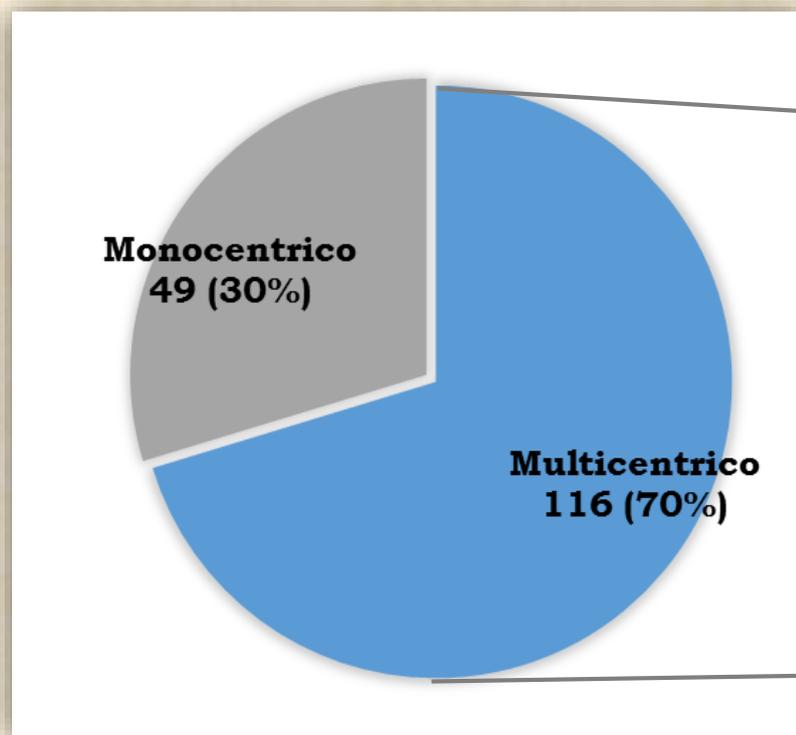


## Studi Clinici Valutati per Tipo di Promotore e Tipologia di Studio



# Studi Clinici Valutati

*per centri coinvolti*



# Studi Clinici Valutati per Aree Terapeutiche

Area Terapeutica	N. Studi	Percentuale
Neurologia	32	19%
Neonatologia	18	11%
Reumatologia	17	10%
Oncologia	16	10%
Psichiatria/psicologia	13	8%
Malattie dell'apparato respiratorio	8	5%
Malattie Metaboliche e Muscolari Ereditarie	8	5%
Cardiologia/Malattie vascolari	7	4%
Immunologia e malattie infettive	6	4%
Endocrinologia	6	4%
Ematologia	5	3%
Altro	4	2%
Gastroenterologia	3	2%
Chirurgia generale	3	2%
Nefrologia	3	2%
Diabetologia	3	2%
Traumatologia e medicina d'urgenza	2	1%
Anestesiologia	2	1%
Medicina interna	2	1%
Dermatologia/chirurgia plastica	2	1%
Urologia	1	1%
Neurochirurgia	1	1%
Otorinolaringoiatria	1	1%
Oftalmologia	1	1%
Odontoiatria e chirurgia maxillofacciale	1	1%

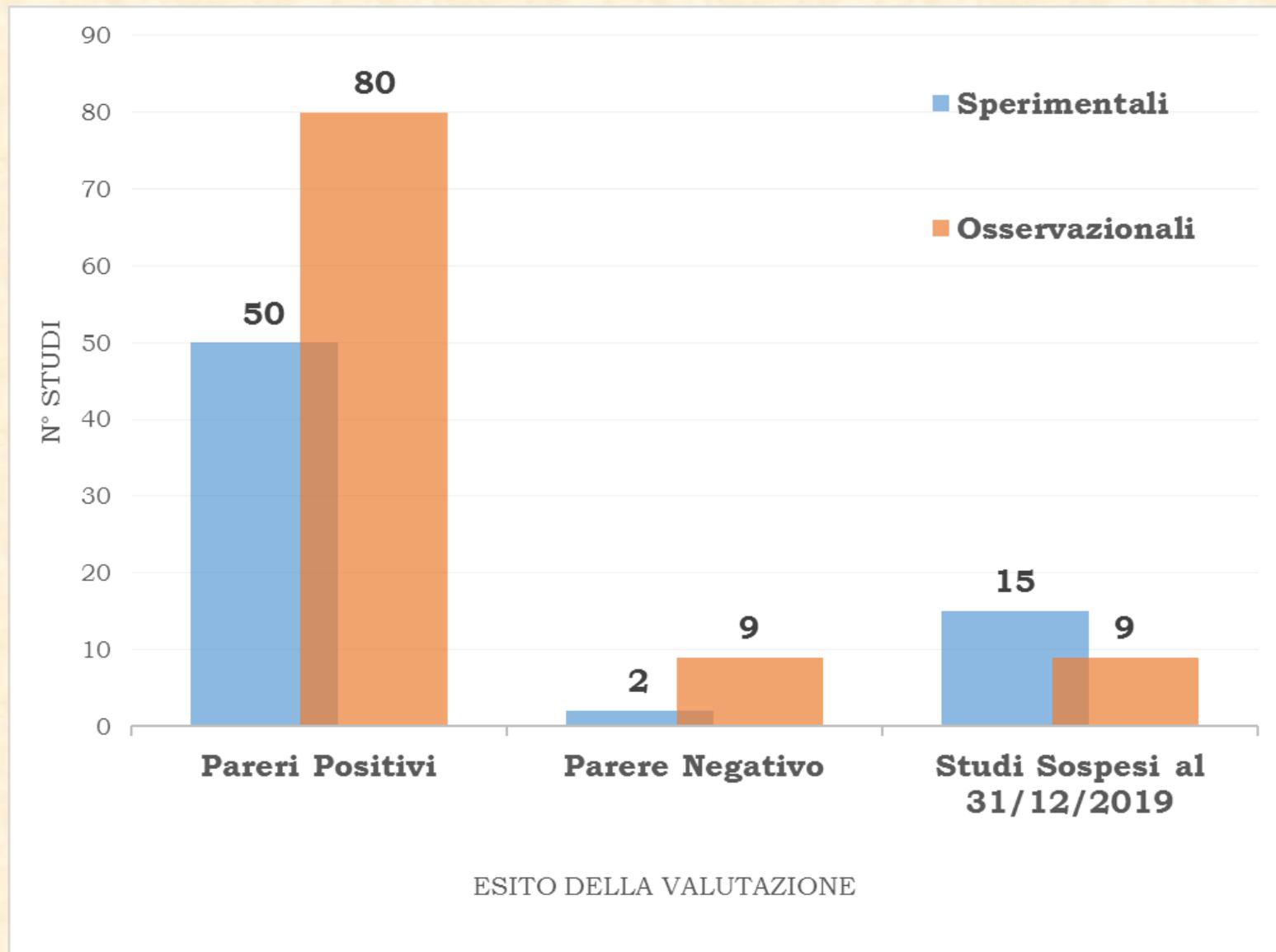
# **Studi Clinici Valutati**

## *per Centro Clinico coinvolto*

<b>Azienda Ospedaliera e USL</b>	<b>N. Studi</b>	<b>Percentuale</b>
Azienda Ospedaliera Universitaria Meyer di Firenze	103	62%
IRCSS Stella Maris	20	12%
Azienda Ospedaliera Universitaria Pisana	16	10%
Azienda Ospedaliero Universitaria Careggi	12	7%
Azienda Ospedaliera Universitaria Senese	7	4%
Centro "Don Carlo Gnocchi" - Firenze	2	1%
Azienda USL Toscana Centro	2	1%
Azienda USL Toscana Sud Est	2	1%
Azienda USL Toscana Nord Ovest	1	1%

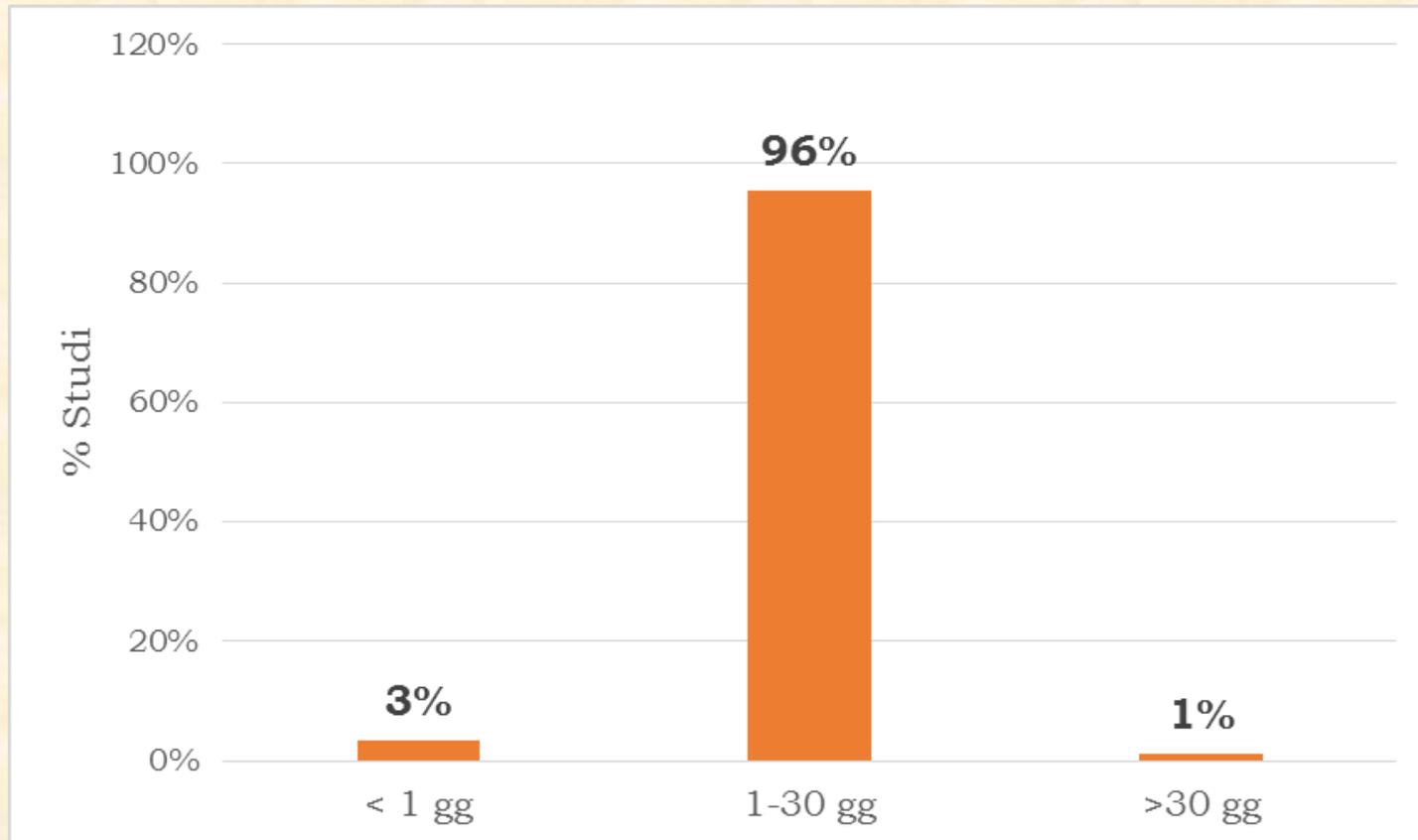
# Studi Clinici Valutati

*Esito Valutazione (al 31-12-2019)*



## Studi Clinici Valutati

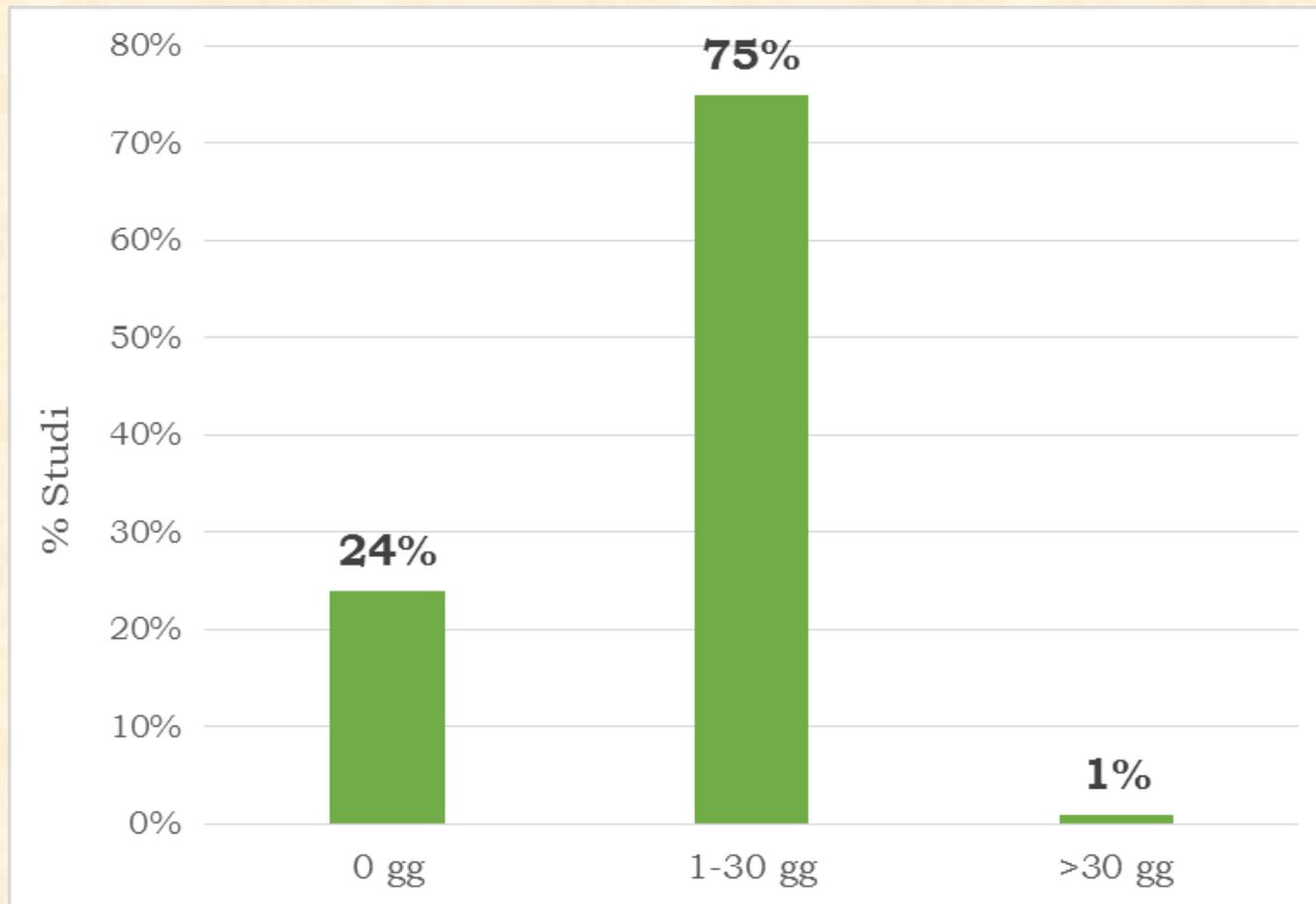
*Tempi di rilascio del parere*



Media	Mediana	Massimo	Minimo	N° Pareri Rilasciati
8,2 gg	7 gg	75 gg	0	165

## Studi Clinici Valutati

*Tempi di validazione amministrativa*

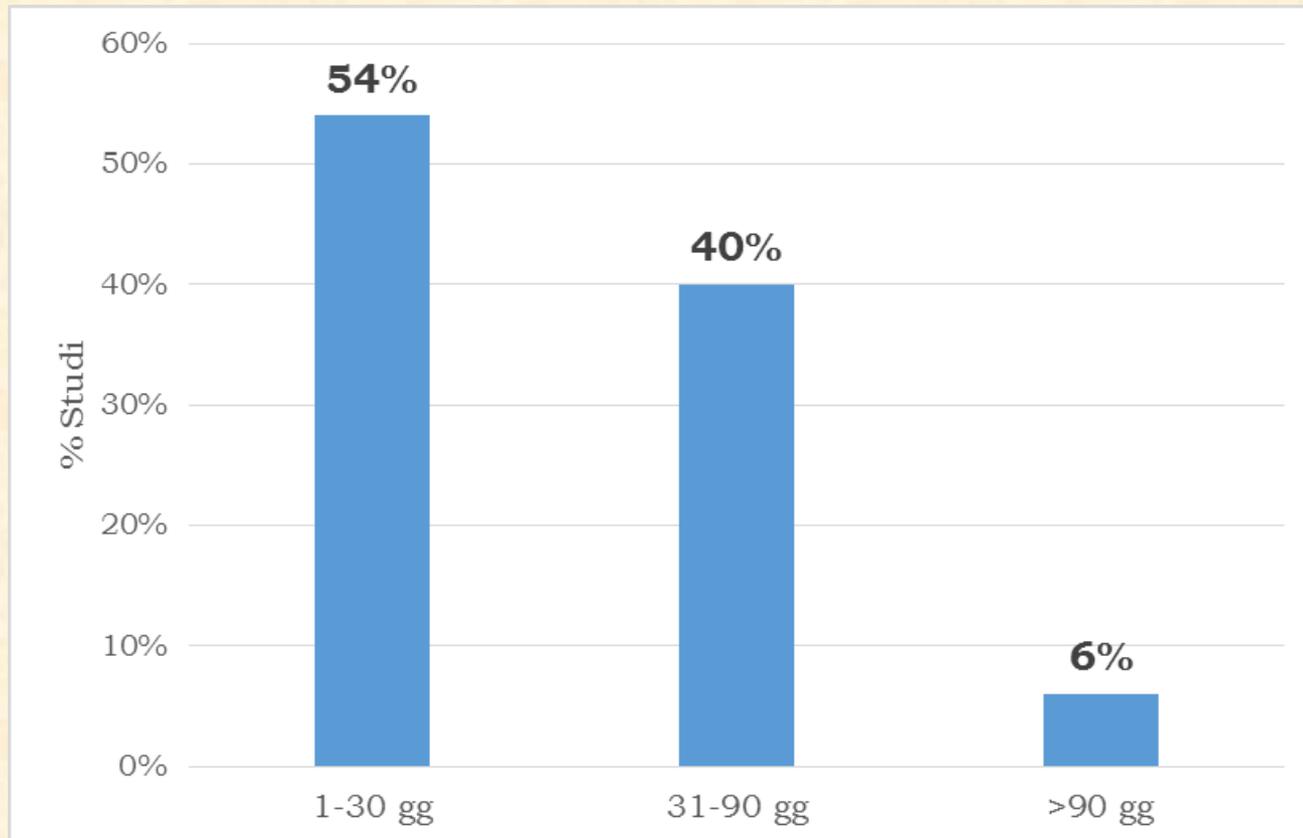


*Tempo che intercorre tra la ricezione della documentazione e la presa in carico da parte della Segreteria Tecnico Scientifica.*

Media	Mediana	Massimo	Minimo
5,5 gg	4 gg	56 gg	0

## Studi Clinici Valutati

### *Tempi di firma del contratto*

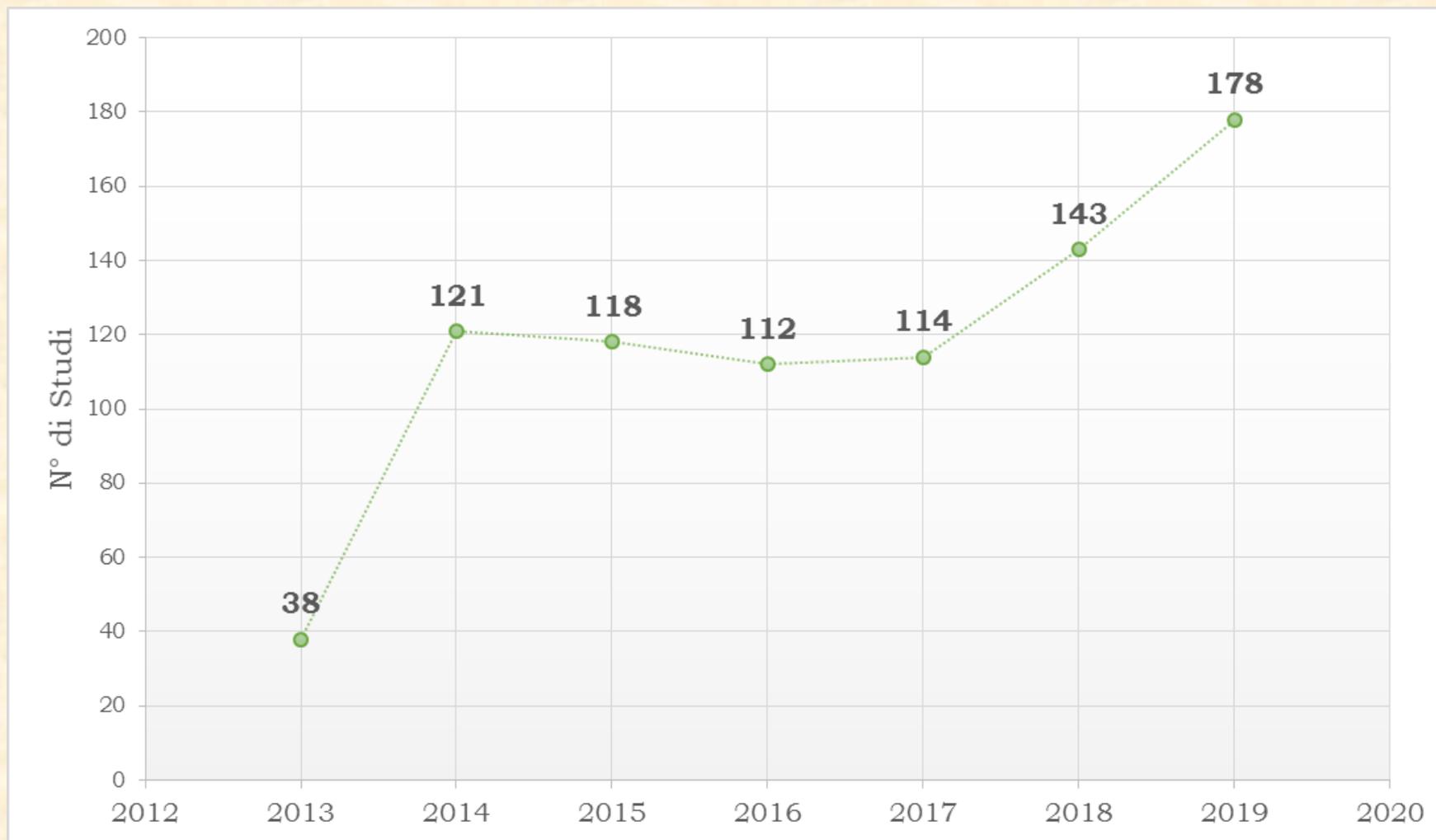


*Tempo che  
intercorre tra la  
data di firma del  
parere e la data  
di firma del  
contratto.*

<b>Media</b>	<b>Mediana</b>	<b>Massimo</b>	<b>Minimo</b>
35,2 gg	28 gg	119 gg	3 gg

# Studi Clinici Valutati e Usi Terapeutici

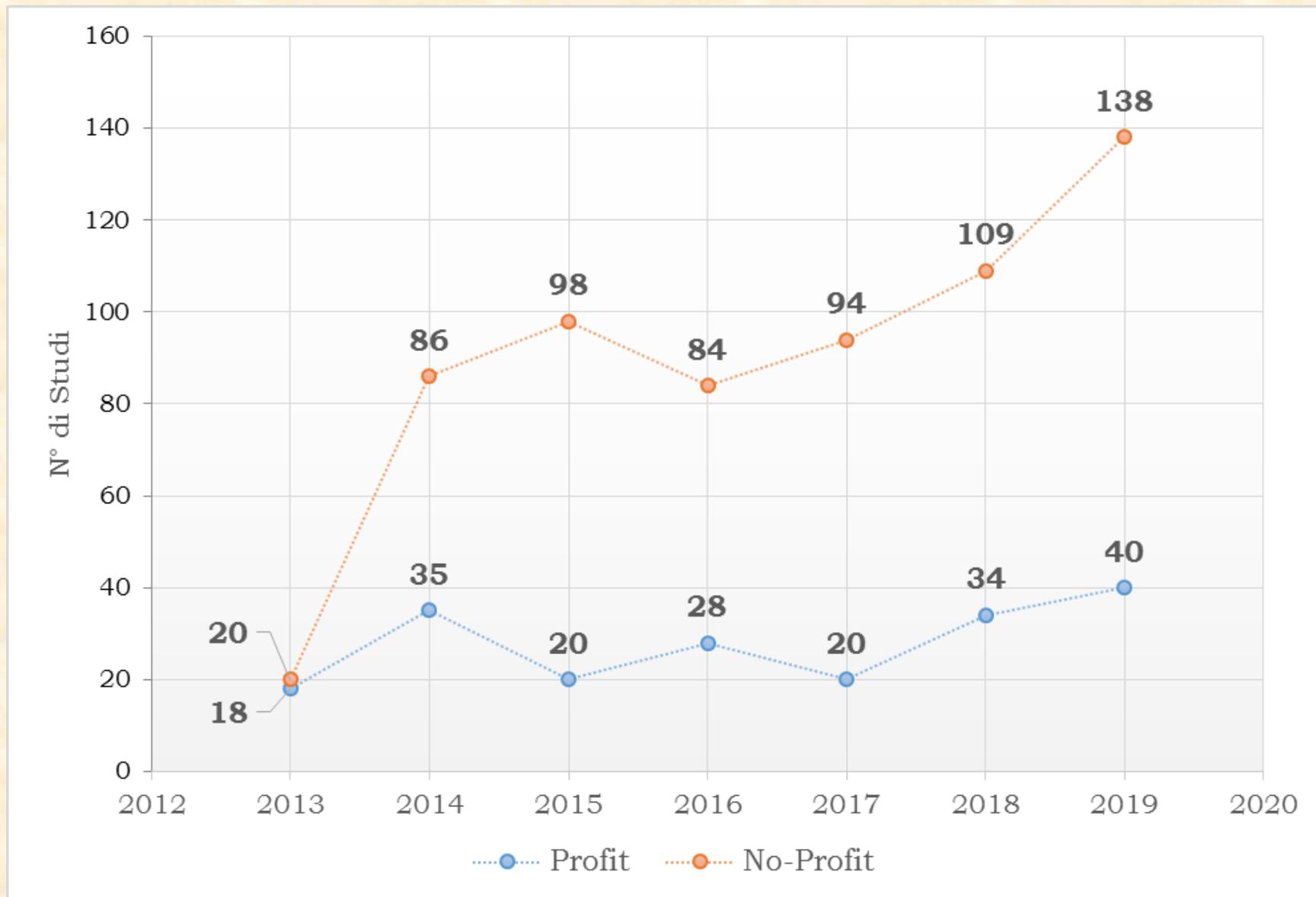
*Andamento da Luglio 2013 a Dicembre 2019*



# Studi Clinici Valutati e Usi Terapeutici

*Andamento da Luglio 2013 a Dicembre 2019*

*Tipo di Promotore*



# Studi Clinici valutati

## Da Luglio 2013 a Dicembre 2019

	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	Totale
<b>Interventistico con Farmaco</b>	12	17	21	29	24	33	44	<b>180</b>
<b>Interventistico con DM</b>	1	4	4	5	8	8	5	<b>35</b>
<b>Interventistico senza farmaco e dispositivo</b>	0	4	8	1	7	9	18	<b>47</b>
<i><b>Interventistico con Integratori Alimentari</b></i>	<i>0</i>	<i>1</i>	<i>2</i>	<i>0</i>	<i>0</i>	<i>2</i>	<i>6</i>	<i>11</i>
<b>Osservazionale senza farmaco e dispositivo</b>	3	26	41	63	49	63	69	<b>314</b>
<b>Osservazionale con farmaco</b>	3	6	11	8	3	3	6	<b>40</b>
<b>Osservazionale con DM</b>	0	3	3	3	3	3	5	<b>20</b>
<b>Campioni biologici</b>	1	4	3	12	12	11	18	<b>61</b>
								<b>697</b>

## Sperimentazioni cliniche farmacologiche

Anno 2019

### Pareri

- **35** Comitato Etico Satellite
- **9** Comitato Etico Coordinatore

Il CEP ha rilasciato Parere Unico per studi in ambito **Reumatologico (2)**, **Endocrinologico (2)**, Diabetologico (1), Neurologico (1), Nefrologico (1), Neonatologico (1), Oncologico (1)

### Promotore

- **31** PROFIT
- **13** NO PROFIT

I promotori di studi no-profit sono i seguenti: Centri Clinici (6), Associazioni (5), Università (2)

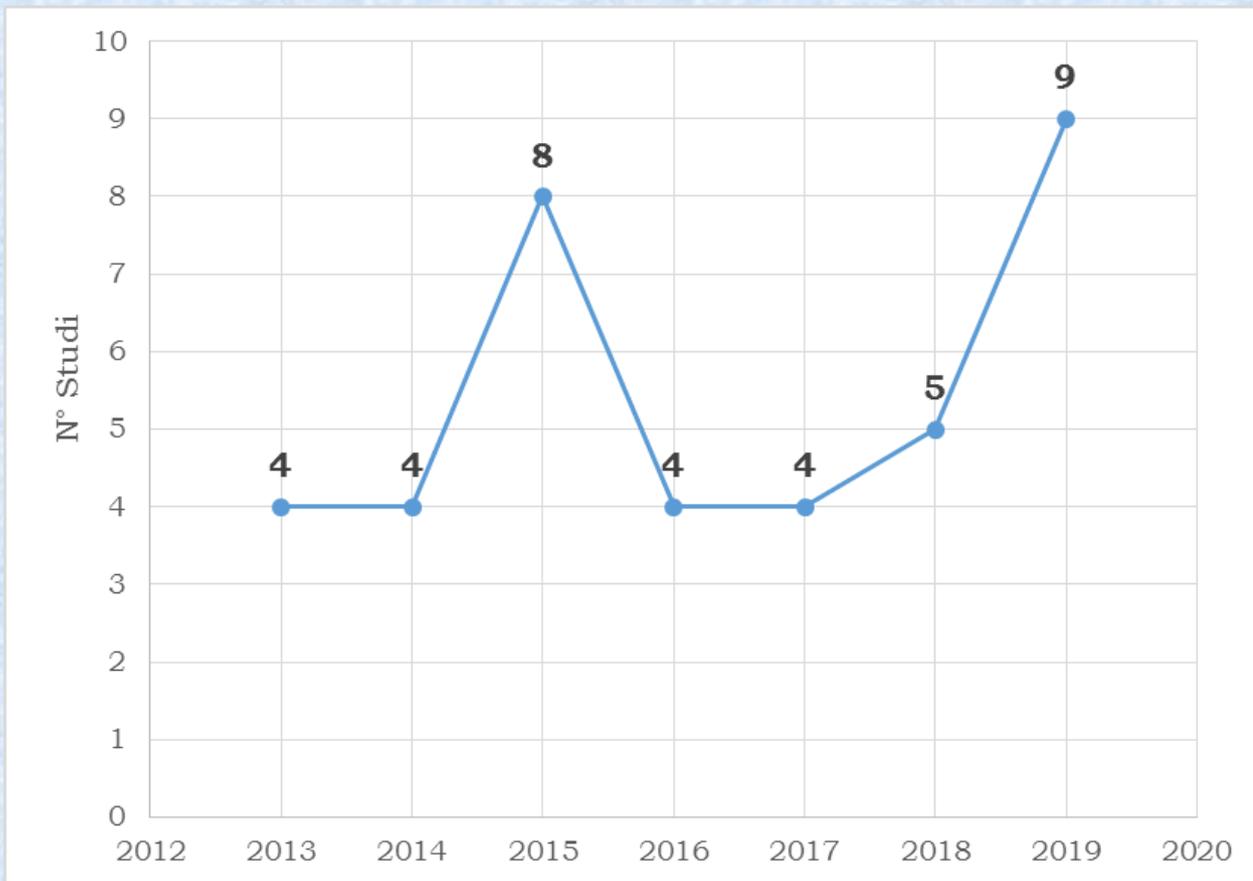
### Fase

- **1** FASE I
- **13** FASE II
- **29** FASE III
- **1** FASE IV

Lo studio di Fase I approvato nel corso del 2019 è uno Studio sulla combinazione di binimetinib ed encorafenib in pazienti adolescenti affetti da melanoma non resecabile

# Sperimentazioni cliniche farmacologiche

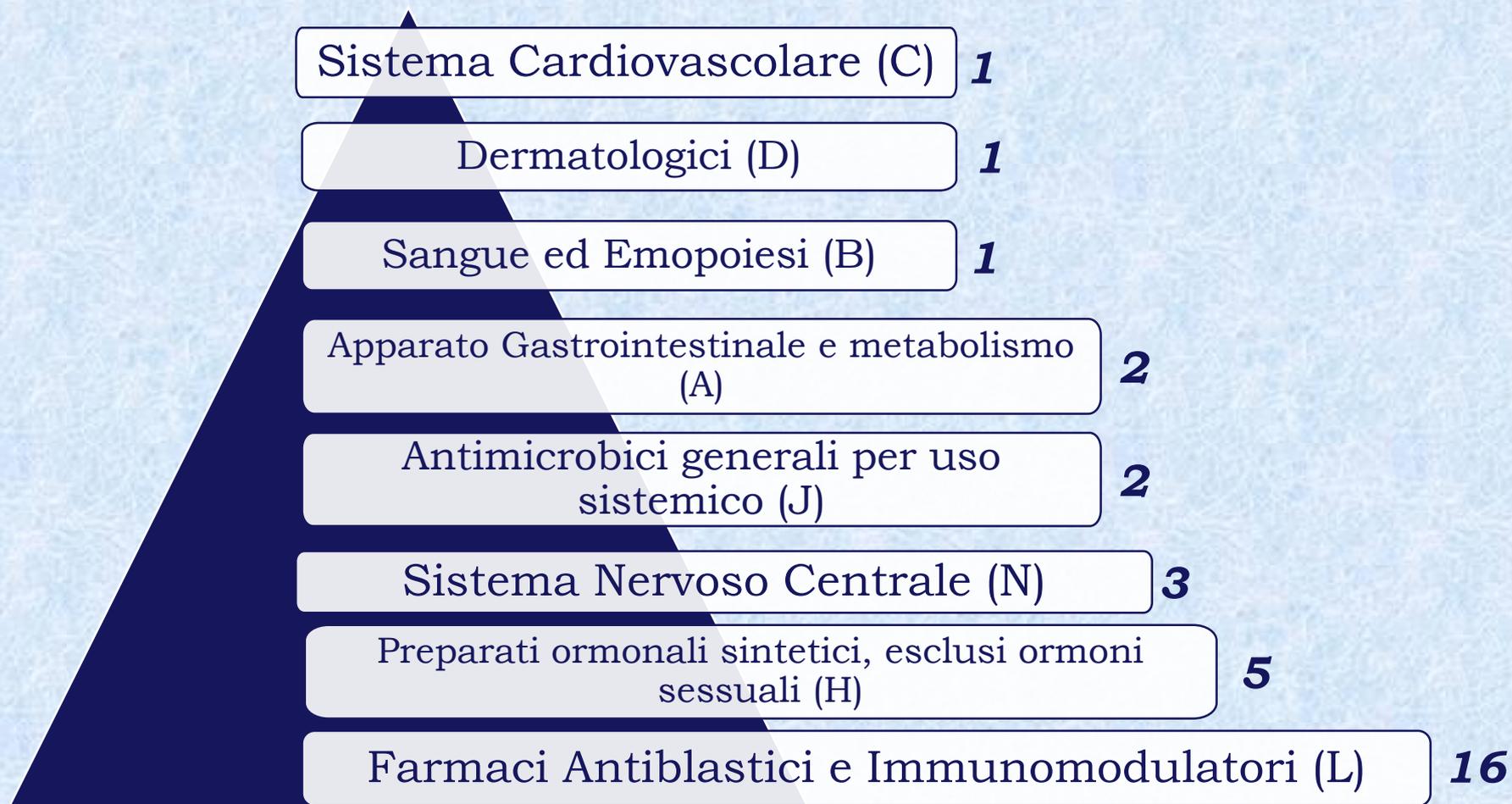
*Andamento da Luglio 2013 a Dicembre 2019*  
*Parere Unico*



Anno	Numero di Pareri Unici sul Totale degli Studi Farmacologici
2013	33%
2014	24%
2015	38%
2016	14%
2017	33%
2018	15%
2019	20%

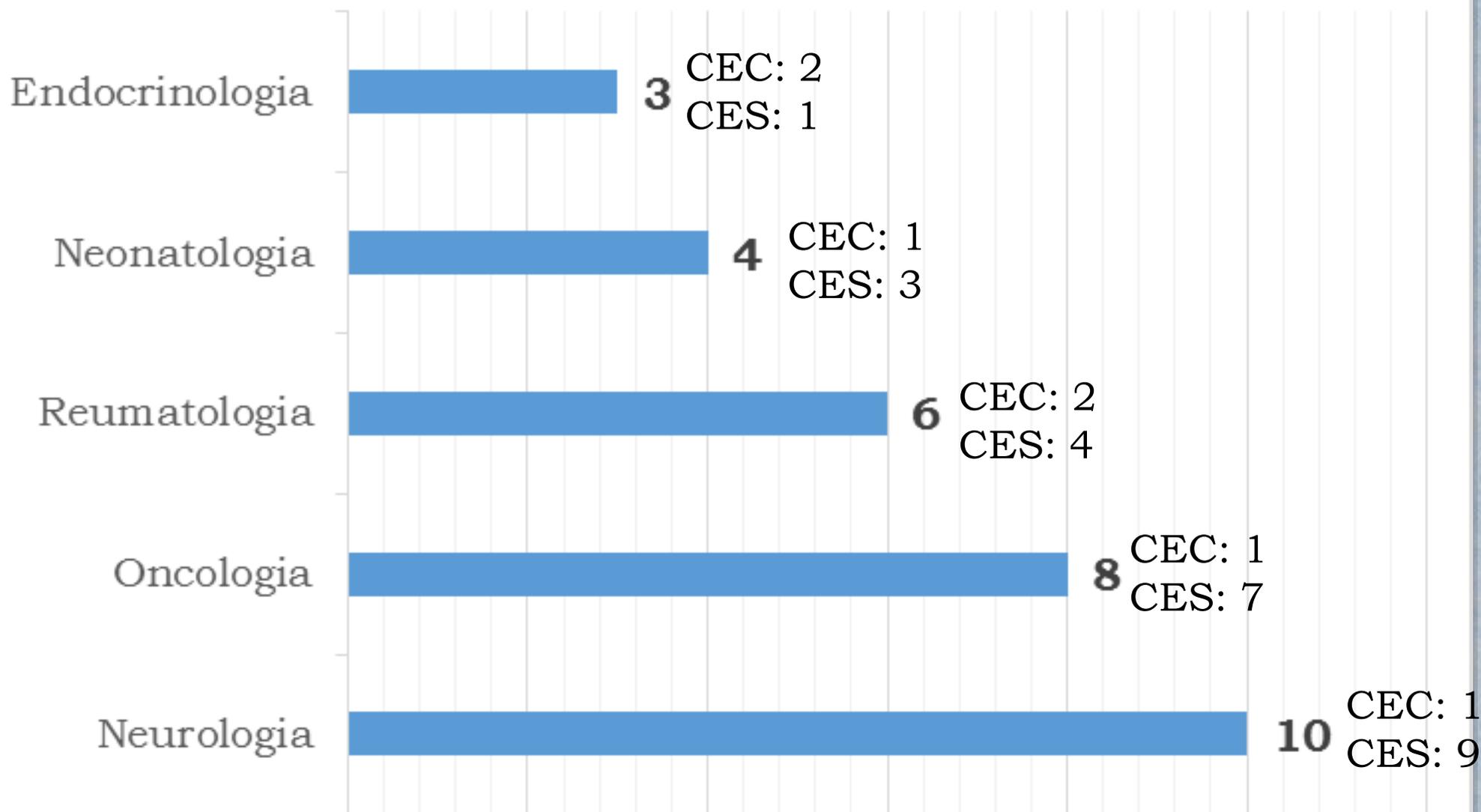
# Sperimentazioni cliniche farmacologiche per classificazione terapeutica (ATC)

Anno 2019



# Sperimentazioni cliniche farmacologiche per Area Terapeutica

Anno 2019



# Sperimentazioni cliniche farmacologiche

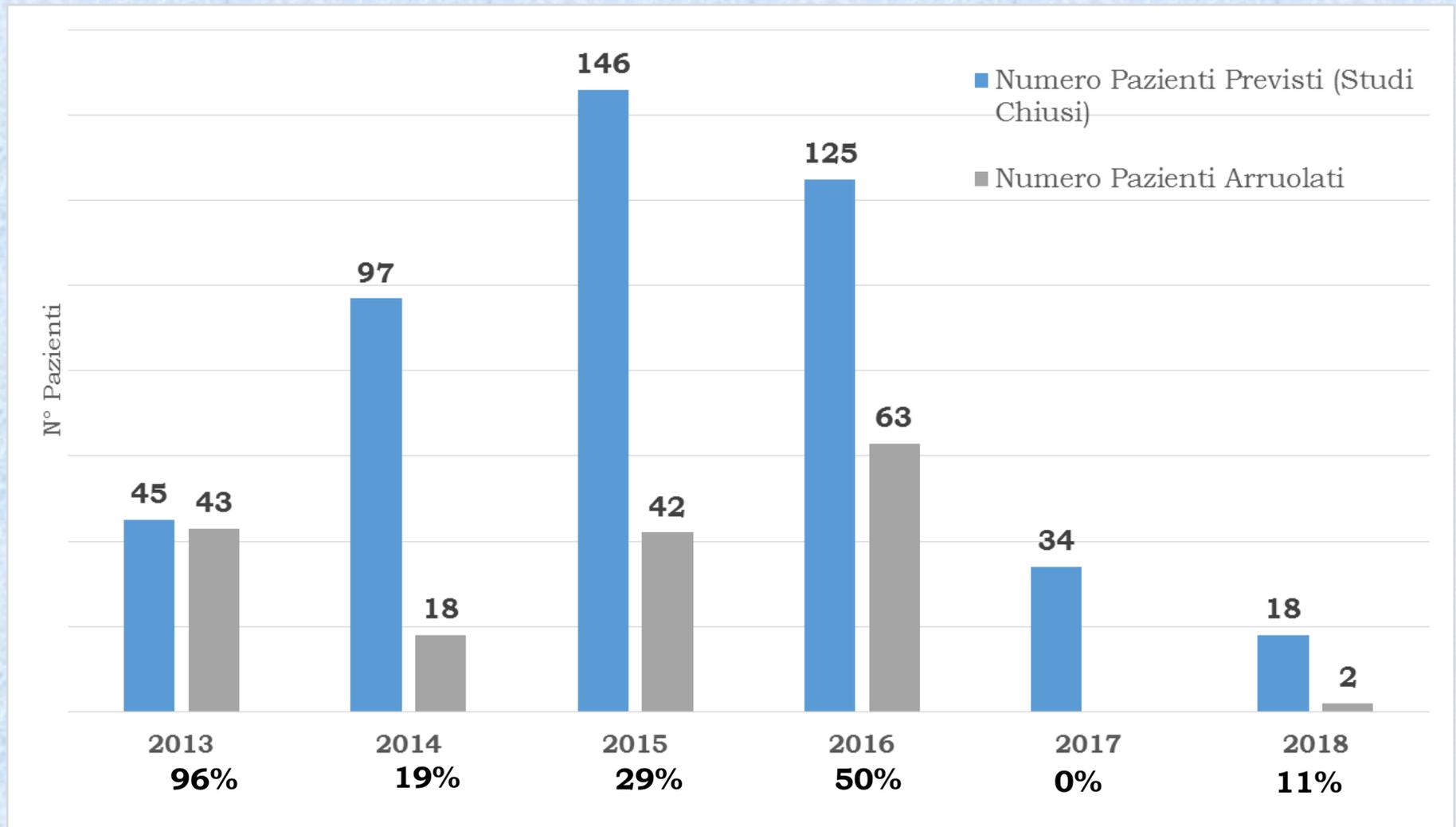
*Da Luglio 2013 a Dicembre 2019*

*Approvate - Chiuse*



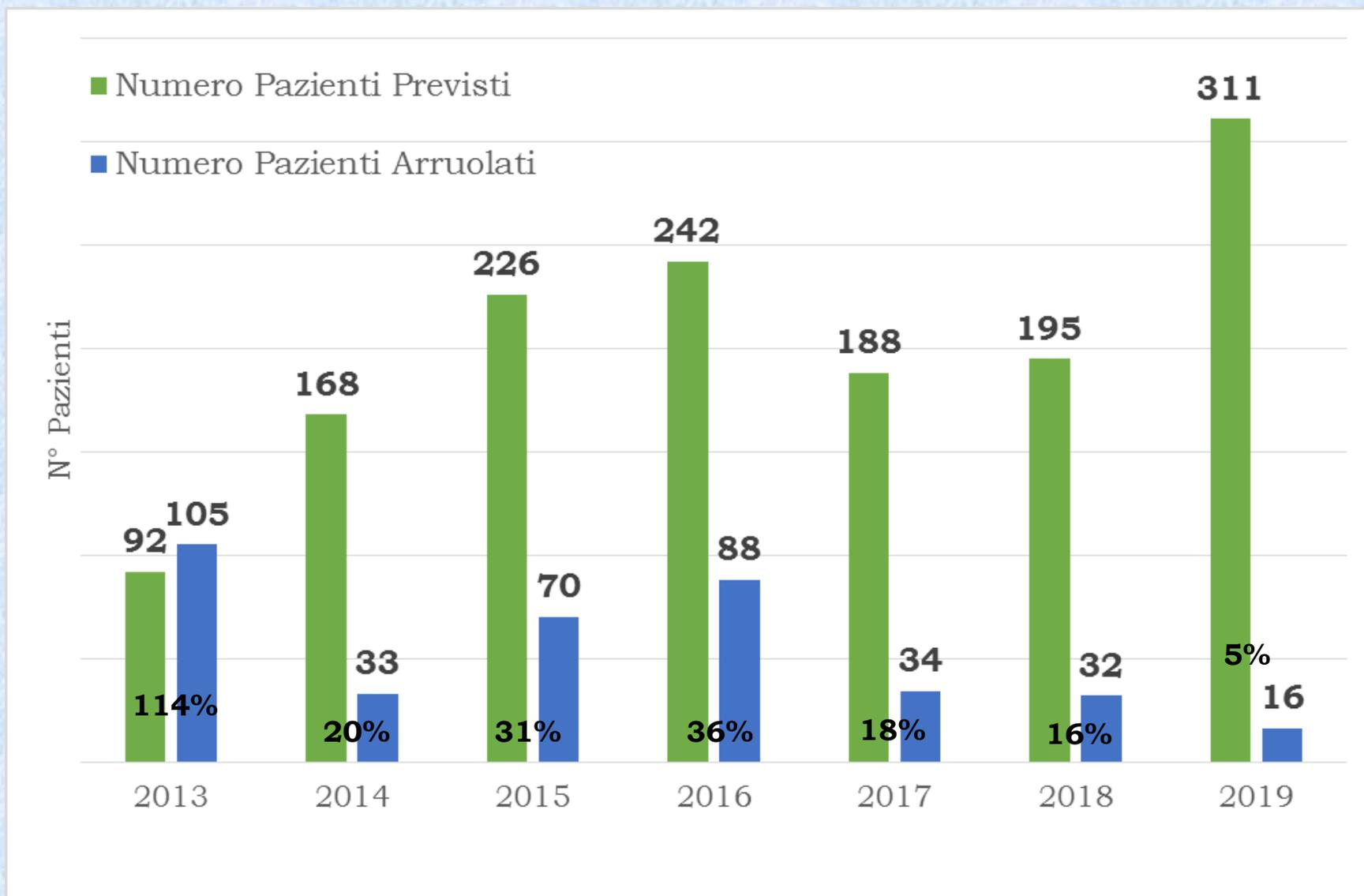
# Sperimentazioni cliniche farmacologiche

## *Performance di Arruolamento – Studi Chiusi*



# Sperimentazioni cliniche farmacologiche

## *Performance di Arruolamento per Studi Approvati*



# Sperimentazioni cliniche farmacologiche

## Sito Web dedicato

### Sperimentazioni cliniche pediatriche

Contatti

✉ E-mail

sperimentazioni.cliniche@meyer.it



Leggofacile sulla sperimentazione clinica



In questa pagina potete trovare un elenco delle sperimentazioni cliniche sui farmaci in ambito pediatrico attualmente in corso sul territorio della Regione Toscana. Se desiderate maggiori informazioni su uno degli studi clinici elencati o in generale sulle attività di ricerca in ambito pediatrico, potete scrivere al seguente indirizzo e-mail [sperimentazioni.cliniche@meyer.it](mailto:sperimentazioni.cliniche@meyer.it), gestito dalla Segreteria Tecnico-Scientifica del Comitato Etico Pediatrico della Regione Toscana. L'elenco è aggiornato periodicamente. In fondo alla pagina potete consultare l'[elenco degli studi chiusi](#).

Gli studi clinici sui minori (neonati, bambini e adolescenti da 0 a 17 anni) sono importanti per approfondire la causa delle patologie, migliorare le diagnosi e trovare farmaci sempre più efficaci e sicuri.

Prima che un bambino o un soggetto venga arruolato in uno studio, i suoi genitori o il suo tutore legale devono firmare un modulo di consenso informato. Il consenso scritto deve essere firmato solo dopo che un medico spieghi chiaramente gli scopi, gli obiettivi, i rischi e i benefici dello studio, sia a lei che al minore che deve rilasciare il suo assenso. In qualsiasi momento è possibile ritirarsi dallo studio senza che ci siano pregiudizi o ripercussioni. Gli studi sono sempre valutati da un punto di vista etico e scientifico da un Comitato composto da esperti medici e non medici, tra cui un rappresentante delle associazioni dei pazienti.

Il coinvolgimento dei pazienti negli studi clinici è assolutamente importante e garantito da molte autorità governative internazionali.

#### Aree terapeutiche:

- Andrologia
- Anestesia e rianimazione
- Cardiologia
- Diabetologia
- Emofilia
- Endocrinologia
- Epatologia
- Fibrosi cistica
- Gastroenterologia
- Immunologia
- Malattie apparato respiratorio
- Malattie infettive
- Malattie metaboliche e muscolari ereditarie
- Nefrologia e dialisi
- Neonatologia
- Neurologia
- Neuro-oncologia
- Odontoiatria
- Oftalmologia
- Oncoematologia
- Oncologia
- Psichiatria / Psicologia
- Reumatologia

## Usi Terapeutici con medicinali sottoposti a sperimentazione clinica

Farmaco	Patologia	Numero pazienti	Segnalazioni ADR SI/NO	In corso di trattamento SI/NO
Darzalex	Leucemia Linfoblastica Acuta	1	NO	NO
Selumetinib	Neurofibromatosi tipo 1 e Neurofibroma plessiforme non operabile	1	SI (2)	
Trametinib	Neurofibroma plessiforme in Neurofibromatosi tipo 1	2	NO	
Cannabidiolo	Epilessia farmaco-resistente, encefalopatia epilettica-sindrome di Dravet, movimenti discinetici	2	NO	//
Fenfluramina	Encefalopatia Epilettica a tipo Sindrome di Dravet e/o Sindrome di Lennox Gastaut	26	NO	SI (per alcuni pazienti)
Elexacaftor/Tezacaftor /Ivacaftor	Fibrosi Cistica e che presentano mutazioni CFTR con funzione minima	15	NO	SI

# Eventi Organizzati dal CEP

**04  
Febbraio  
2019**

**«Gli sperimentatori incontrano il Comitato Etico  
Pediatrico»**

*Partecipanti: 48*

**25 Marzo  
2019**

**«Gene Editing: A Star is Born»**

*Partecipanti: 43*

**04  
Ottobre  
2019**

**«Il trattamento dei dati personali nella ricerca.  
Problematiche e casi studio»**

*Partecipanti: 92*

**15  
Novembre  
2019**

**«Le indagini cliniche sui dispositivi medici: un confronto  
tra etica e regolatorio»**

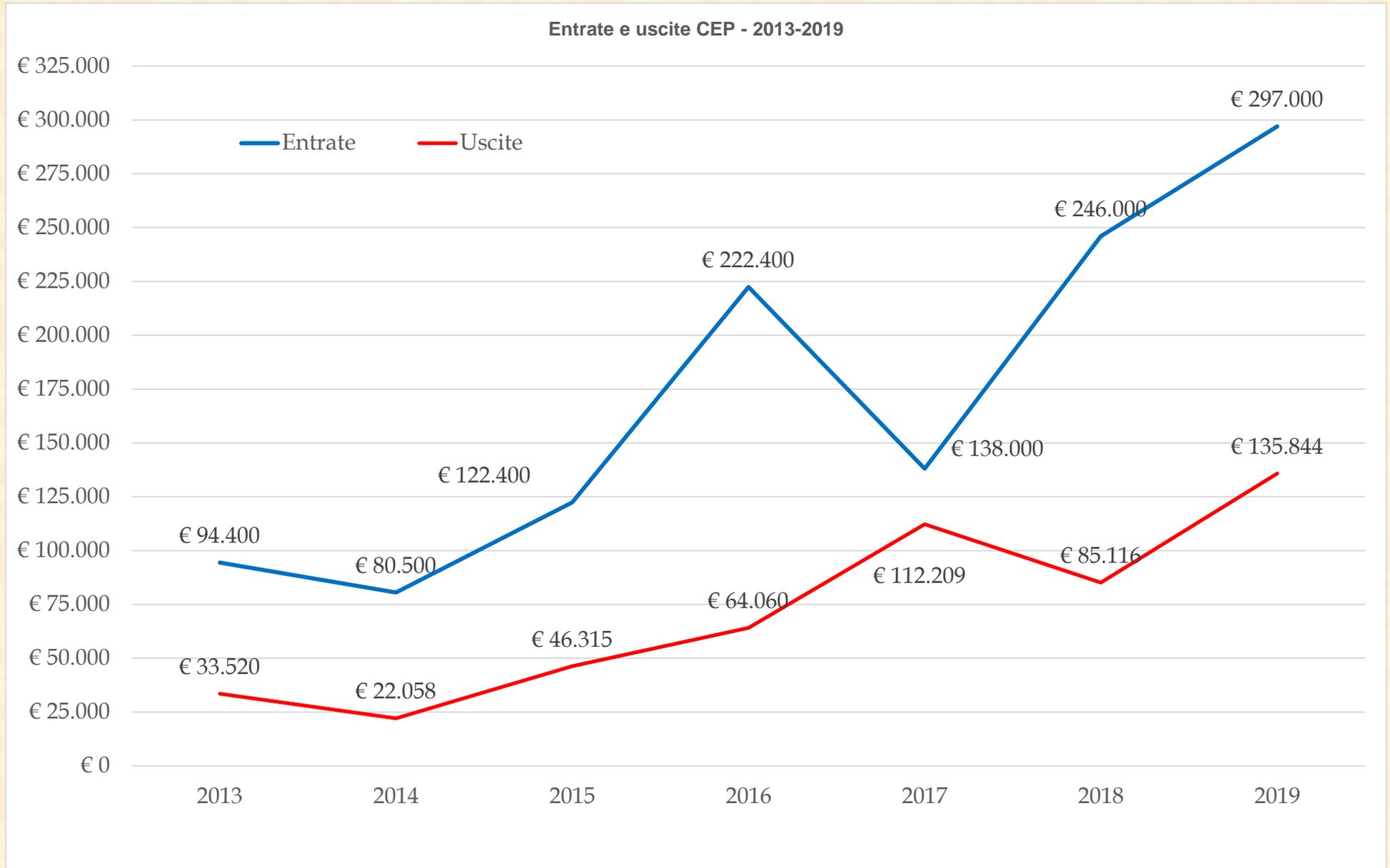
*Partecipanti: 68*

# Presenze CEP 2019

Componenti CEP	16/1	6/2	27/2	19/3	9/4	30/4	21/5	11/6	2/7	23/7	3/9	24/9	15/10	5/11	26/11	17/12	TOT presenze
MUGELLI Alessandro	1	1	1	1	1	1	1	1	1	1		1	1	1	1	1	15
TORALDO DI FRANCIA Monica	1	1		1	1	1	1	1		1		1	1	1		1	12
BIMBI Maria	1	1	1	1	1	1	1	1	1	1	1	1	1	1	1	1	16
BINI Carla	1	1		1	1	1		1	1		1			1			9
CICCARONE Antonio		1	1	1	1	1	1	1	1		1	1	1	1			12
CIPRIANI Paola		1	1	1	1	1	1	1		1	1	1	1		1	1	13
CONTI Grazia	1	1		1	1		1	1			1	1		1	1	1	11
CROCETTI Emanuele	1	1		1	1			1	1	1	1	1	1	1		1	12
DI SIMONE Lorena		1	1		1	1	1		1		1	1	1	1			10
FAVRE Claudio								1	1	1					1		4
GIGLIO Sabrina				1				1		1							3
INDOLFI Giuseppe	1	1			1	1	1	1		1				1	1		9
MACCHIARINI Ada	1	1	1	1	1	1	1		1	1	1		1	1	1	1	14
MARELLO Giovanni	1	1	1		1		1	1	1		1	1	1	1	1		12
PACI Eugenio	1	1		1	1	1	1		1			1	1	1	1	1	12
PAOLI Silvia	1	1	1	1		1	1		1	1		1	1	1	1		12
PINI Roberto	1		1			1	1	1	1					1		1	8
PUGLIESE Anna Maria	1	1	1		1	1	1		1	1	1		1	1	1	1	13
SIMONINI Gabriele	1	1	1	1	1			1	1		1		1				9
TOMASINI Barbara	1	1	1	1	1	1	1		1		1		1			1	11
<b>Totale presenti</b>	<b>15</b>	<b>17</b>	<b>12</b>	<b>14</b>	<b>16</b>	<b>14</b>	<b>15</b>	<b>14</b>	<b>15</b>	<b>11</b>	<b>12</b>	<b>11</b>	<b>14</b>	<b>15</b>	<b>11</b>	<b>11</b>	

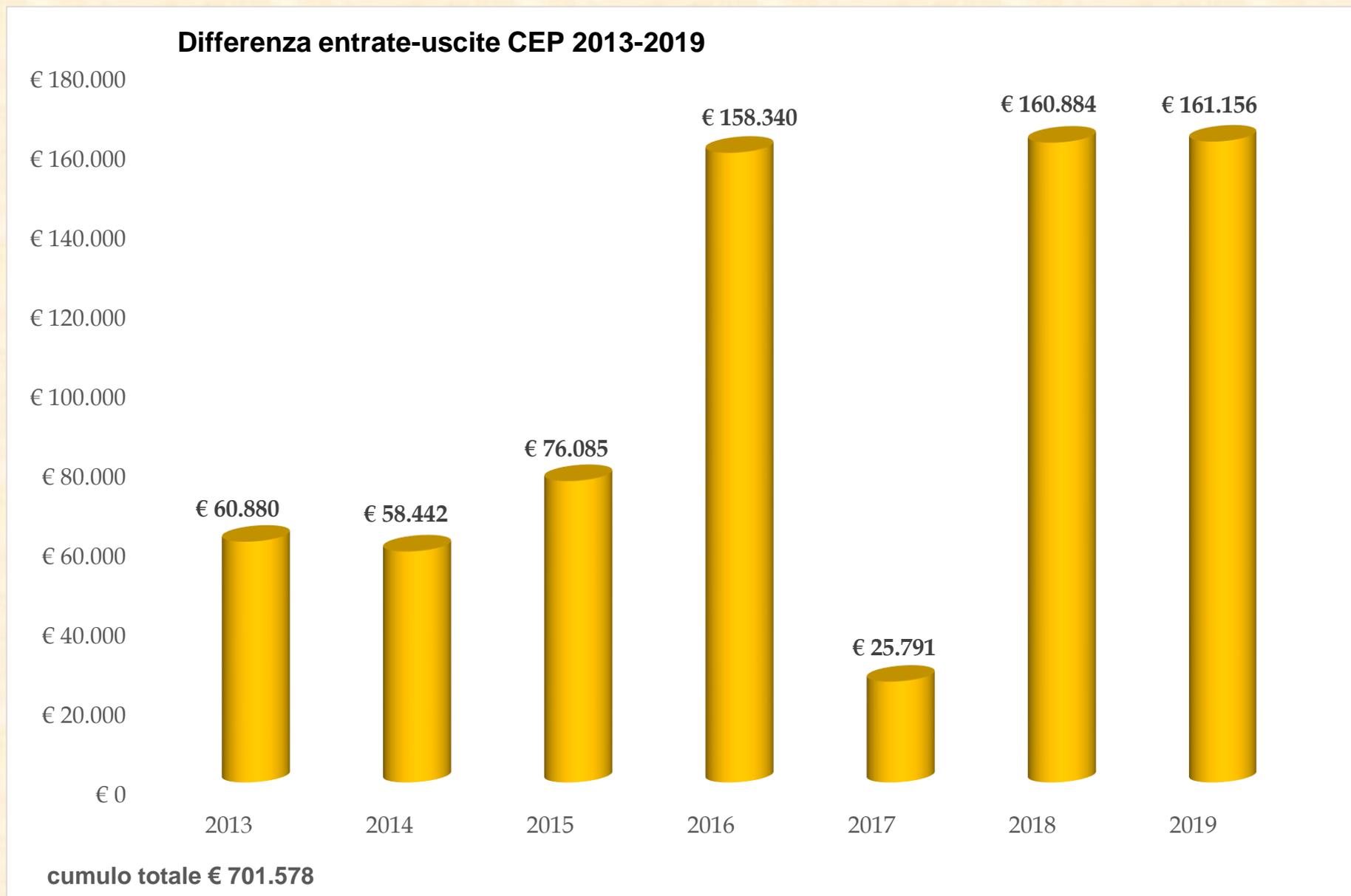
# Entrate-Uscite CEP

## Luglio 2013 – Dicembre 2019



# Differenze Entrate-Uscite CEP

*Luglio 2013 – Dicembre 2019*

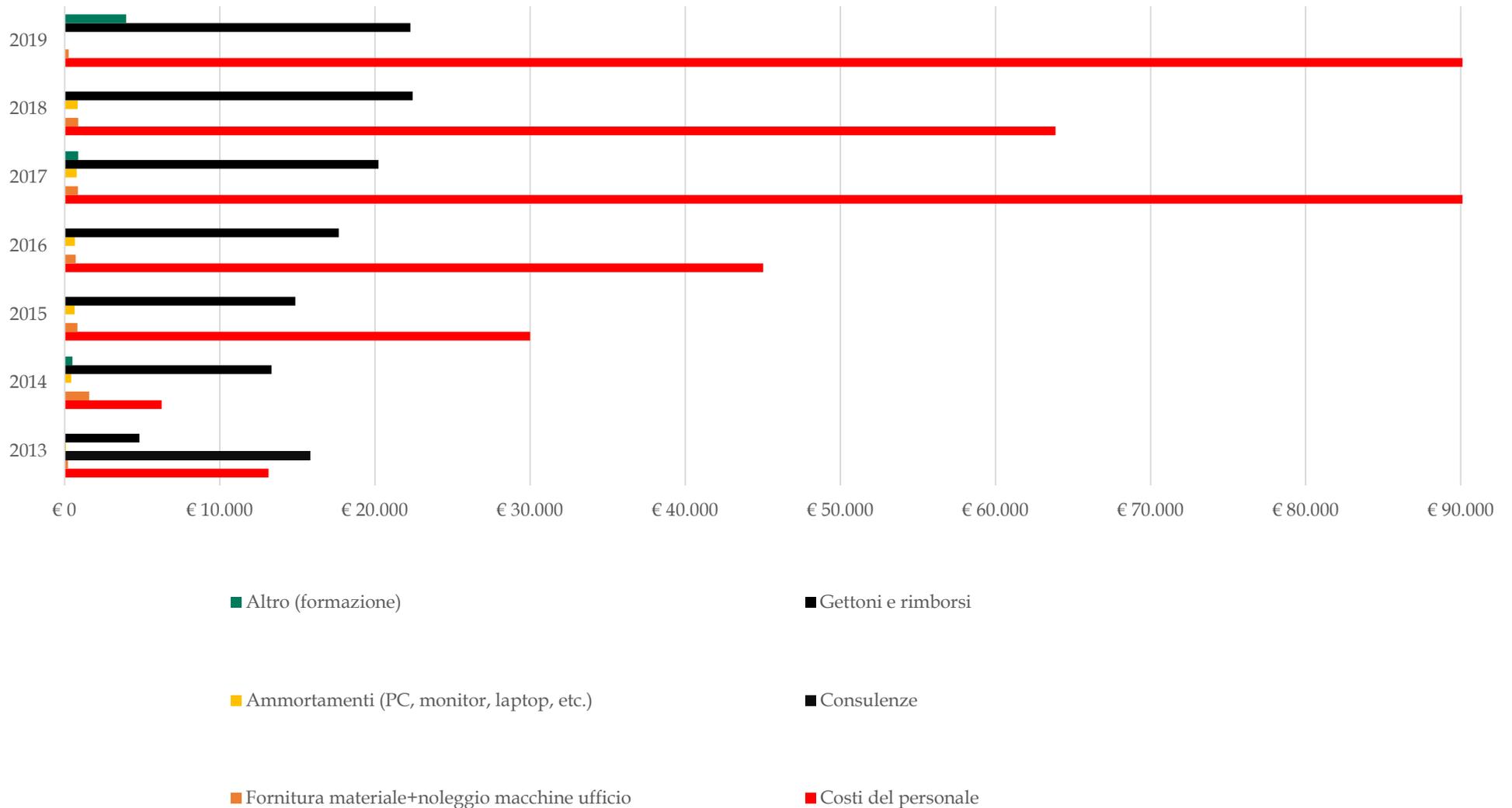


# Uscite CEP

## *Classificate per voce budget*

### *Luglio 2013 – Dicembre 2019*

Uscite per voce budget - 2013-2019



# Gettoni presenza e rimborsi

*Luglio 2013 – Dicembre 2019*

