

### **Titolo Studio:**

**Studio retrospettivo, mediante revisione delle cartelle cliniche, della storia naturale e progressione di malattia in pazienti affetti da sclerosi laterale amiotrofica con mutazioni nel gene FUS (SLA-FUS)**

### **Codice dello studio :**

NH00004

### **Promotore:**

Ionis Pharmaceuticals, Inc. (Ionis)  
2855 Gazelle Court  
Carlsbad, CA 92010  
USA

### **Responsabile dello Studio:**

Prof. ssa Jessica Mandrioli  
Dipartimento di Neuroscienze  
AOU Modena

## **FOGLIO INFORMATIVO**

Gentile Signora/e,

Le è stato chiesto di far partecipare il/la Suo/a tutelato/a a questo studio, promosso da Ionis Pharmaceuticals, Inc.(Ionis)

Lo studio “ **Studio retrospettivo, mediante revisione delle cartelle cliniche, della storia naturale e progressione di malattia in pazienti affetti da sclerosi laterale amiotrofica con mutazioni nel gene FUS (SLA-FUS)**” ha carattere osservazionale, cioè non comporta ulteriori indagini strumentali o di laboratorio, rispetto a quelle eseguite nella pratica clinica.

Lo studio ha come obiettivo quello di raccogliere informazioni sulla SLA-FUS per aiutarci a comprendere la storia naturale e la progressione della malattia. Lo studio raccoglierà informazioni su questa rara malattia neurodegenerativa dalle cartelle cliniche del Suo/a tutelato/a per caratterizzare la presentazione clinica all’insorgenza dei primi sintomi e quando viene confermata una diagnosi, nonché il decorso della malattia nel tempo. Lo studio effettuerà una “revisione a ritroso” delle cartelle cliniche per scoprire cosa è accaduto e, pertanto, viene detto retrospettivo.

Le informazioni ottenute da questo studio potrebbero contribuire a migliorare la comprensione della SLA-FUS ed essere preziose per i medici che si occupano di pazienti affetti da SLA-FUS e per le società che sviluppano trattamenti per la SLA-FUS.

Lei può decidere in piena autonomia se far partecipare il/la Suo/a tutelato/a a questo Studio; può anche discuterne con il suo medico di famiglia o con altre persone. Se qualcosa non Le è chiaro, è

libero di chiedere tutte le informazioni necessarie al Medico che Le ha proposto questo Studio ed i cui riferimenti sono in calce a questa informativa.

Se decidesse di far partecipare il/la Suo/a tutelato/a, il Medico Le chiederà di sottoscrivere un Modulo per confermare che ha letto e capito tutti gli aspetti dello Studio e che desidera farlo/a partecipare.

Lei riceverà una copia del modulo firmato.

### **Cosa accadrà se decido di far partecipare il/la mio/a tutelato/a?**

Il/la Suo/a tutelato/a, non dovrà presentarsi ad alcuna visita medica aggiuntiva, né assumere eventuali farmaci aggiuntivi o sottoporsi a esami. Il consenso del/della Suo/a tutelato/a a partecipare non influirà sulle decisioni terapeutiche prese dal Suo medico. Tutte le decisioni relative al trattamento, compresi i farmaci prescritti, la frequenza delle visite, i test di laboratorio e altre valutazioni, saranno prese esclusivamente dal Suo medico e non saranno influenzate dalla partecipazione a questo studio.

### **Cosa accadrà se decido di non far partecipare il/la mio/a tutelato/a?**

Se decidesse di non far partecipare il/la Suo/a tutelato/a allo studio non ci sarà alcuna conseguenza sulla qualità della terapia o dell'assistenza che riceverà.

### **Potrà uscire dall'indagine in qualsiasi momento?**

Lei ha facoltà di interrompere la partecipazione del Suo/a tutelato/a allo Studio in qualsiasi momento, senza alcuna conseguenza sulla qualità della terapia o dell'assistenza che riceverà.

### **Quali benefici potrà ottenere?**

La partecipazione a questa indagine osservazionale non comporta benefici diretti alla persona del Suo/a tutelato/a. Partecipando a questo Studio Lei contribuirà comunque a migliorare le nostre conoscenze in merito a questa rara malattia neurodegenerativa

### **Quali sono i rischi?**

Non ci sono rischi specifici associati alla partecipazione a questo Studio. Non è previsto l'uso di nessun farmaco sperimentale. Sarà comunque informato tempestivamente qualora divengano disponibili informazioni che possano influenzare la Sua volontà di far continuare la partecipazione al Suo/a tutelato/a.

### **I suoi dati resteranno anonimi?**

Tutte le informazioni connesse alla partecipazione del/della Suo/a tutelato/a al presente Studio saranno trattate in modo strettamente riservato in conformità alle norme di Buona Pratica Clinica (D.Lgs. 211/2003), nonché a quelle relative alla protezione e al trattamento dei dati personali, ai sensi del Regolamento Europeo n. 679/2016, c.d. GDPR, e della normativa italiana attualmente in vigore in materia di Privacy.

Versione n. \_\_1.0\_\_ del \_\_18 agosto 2023\_\_

I dati personali del/della Suo/a tutelato/a saranno associati a un codice, dal quale sarà impossibile risalire alla identità del/della Suo/a tutelato/a: solo il medico sperimentatore potrà collegare il codice al nominativo.

Il medico sperimentatore che seguirà il/la Suo/a tutelato/a nello Studio, gli incaricati addetti al monitoraggio dello studio e le Autorità Regolatorie potranno avere accesso ai suoi dati personali, nel rispetto e con le limitazioni previste dal Regolamento Europeo n. 679/2016, dal D.Lgs. 196/2003, come modificato dal D.Lgs. 101/2018, e dalle Linee Guida del Garante per la protezione dei dati personali (delibera n. 52 del 24/07/2008 e successive modifiche e integrazioni). Il personale addetto allo Studio è comunque obbligato a mantenere, in ogni caso, la riservatezza di tali informazioni.

Le chiediamo di fare riferimento alla Nota Informativa al trattamento dei dati personali, che Le verrà consegnata insieme al presente Foglio Informativo, per prendere piena visione dei suoi diritti in materia.

### **Copertura Assicurativa**

Trattandosi di uno studio osservazionale che comporta la mera raccolta e analisi di dati, non è prevista una copertura assicurativa.

### **Come verranno utilizzati i risultati dell'indagine?**

Tutti i dati del Suo/a tutelato/a saranno raccolti dal medico sperimentatore e nessuno, ad eccezione dei soggetti autorizzati come sopra specificati, potrà risalire alla sua identità.

I risultati di questo Studio potrebbero essere divulgati e/o pubblicati su una rivista scientifica. L'identità del/della Suo/a tutelato/a non sarà comunque mai resa nota.

### **Chi posso contattare per ulteriori informazioni?**

Per eventuali domande o se desidera ulteriori informazioni, non esiti a rivolgerti al medico sperimentatore responsabile dello studio NH00004 che le ha proposto la partecipazione a questo studio osservazionale.

Prof. ssa Jessica Mandrioli

email: [jmandrio@unimore.it](mailto:jmandrio@unimore.it)

tel: +39 0593961640

Le ricordiamo che, al termine dello studio, potrà chiedere al medico sperimentatore di prendere visione dei risultati dell'indagine effettuata grazie al contributo del/della Suo/a tutelato/a.

Questo studio e la relativa documentazione sono stati approvati dal C.E. Area Vasta Emilia Nord.

