

JUSTIFICACIÓN Y PROCESO PARA EL CONSENTIMIENTO INFORMADO DE FORMA REMOTA

Título del estudio: Estudio observacional, multicéntrico, de un solo brazo, para evaluar la efectividad de pegcetacoplán en condiciones reales en pacientes con hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN)

Promotor: Swedish Orphan Biovitrum AB

Organización de investigación clínica (OIC): IQVIA

Número de protocolo: Sobi.PEGCET-304

1. INTRODUCCIÓN

La hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN) es un trastorno clonal crónico adquirido de las células madre hematopoyéticas y maduras de la sangre poco común. Se caracteriza por una anemia hemolítica debilitante mediada por el complemento, así como por insuficiencia de la médula ósea, un mayor riesgo de trombosis y la necesidad de transfusiones de eritrocitos (ERI).

Aunque la inhibición del componente C5 del complemento controla la hemólisis intravascular (HIV) en la HPN no tratada, no puede abordar la hemólisis extravascular (HEV). La anemia continua relacionada con la HEV mediada por el componente C3 del complemento y la HIV residual se observan en hasta el 88 % de los pacientes tratados con inhibidores del componente C5 del complemento, lo que contribuye a la dependencia de transfusiones en hasta el 52 % de estos pacientes.

El pegcetacoplán es un inhibidor del componente C3 del complemento que ejerce una amplia regulación de la cascada del complemento al actuar de forma próxima tanto a C3b como a la formación del complejo de ataque a membrana (CAM), controlando así los mecanismos que conducen a la hemólisis tanto extravascular como intravascular.

Dado que el pegcetacoplán es un producto nuevo en el mercado con un nuevo mecanismo de acción, existe una necesidad urgente de proporcionar datos a los responsables del tratamiento, a las aseguradoras y a la comunidad con HPN sobre el uso real y la eficacia del pegcetacoplán. El objetivo de este estudio es compensar parte de esa laguna de conocimientos y aportar información a la base de conocimientos sobre el uso del pegcetacoplán en la práctica médica habitual. Otra justificación importante de este estudio es proporcionar información sobre los resultados antes y después del tratamiento con el pegcetacoplán.

Este es un estudio observacional, multicéntrico, de 24 meses de duración, diseñado para describir la eficacia real del pegcetacoplán en pacientes con HPN. Se incluirá en el estudio a los pacientes que cumplan los criterios de idoneidad en la visita de inclusión y se les realizará un seguimiento prospectivo durante 24 (+/-3) meses. El ámbito del estudio es la recopilación retrospectiva y prospectiva de datos. La parte principal del estudio será prospectiva y en ella se recopilarán datos sobre la eficacia, la seguridad, los resultados comunicados por los pacientes y los médicos y el uso de recursos sanitarios. Se recopilará información sobre el tratamiento habitual durante los 12 meses anteriores al inicio del tratamiento con el pegcetacoplán, que consistirá en información sobre el tratamiento de la HPN, las transfusiones de sangre y el uso de recursos sanitarios. La información sobre el tratamiento habitual

con pegcetacoplán podrá recopilarse a partir de la fecha en que se obtuvo la autorización inicial del pegcetacoplán en el país respectivo que participe en el estudio. Esto significa que el periodo de recopilación de datos variará en función de cuándo se recetó el pegcetacoplán.

Debido a la naturaleza observacional del estudio, en el protocolo no se indica ningún calendario de visitas, y los pacientes visitan al médico responsable según su rutina clínica.

2. PROCESO PARA EL FCI DE FORMA REMOTA

El personal del centro recibirá formación sobre el proceso de consentimiento de forma remota por parte del adjunto de investigación clínica o del director del centro. Debe obtenerse el consentimiento informado del participante firmado y fechado, antes de proceder a la recopilación de datos.

El procedimiento de consentimiento de forma remota está previsto según se describe:

- El centro identificará una lista de posibles participantes, en función de los criterios de inclusión y exclusión del estudio.
- Si el participante o representante legalmente autorizado está interesado, se le enviarán 2 originales del FCI por correo postal o mensajería (los centros recibirán sobres prefranqueados o se utilizará un servicio de mensajería) con el nombre y los datos de contacto en caso de que el participante o representante legalmente autorizado tenga alguna pregunta adicional.
- Si el participante lo solicita, puede tener lugar una conversación telefónica adicional sobre la naturaleza, el propósito y los posibles riesgos y beneficios del estudio después de recibir el FCI.
- Una vez que el participante haya tenido la oportunidad de formular preguntas y hablar según desee con su familia u otras personas, y si está interesado en participar en el estudio:
 1. El participante firmará y fechará los 2 originales del FCI que recibió del centro y los devolverá al centro (se proporcionarán al participante sobres prefranqueados o se utilizará un servicio de mensajería).
 2. Una vez recibidos los FCI firmados por el participante, el investigador o su delegado:
 3. Firmarán y fecharán los 2 FCI originales.
 4. Devolverán al participante un FCI original por correo postal o por servicio de mensajería.
 5. Archivarán el segundo original del FCI en el archivo del investigador.
 6. El equipo del estudio añadirá los siguientes detalles en los «Registros de inclusión en la selección y firma del FCI»:
 - Fecha en que se mantuvo la conversación sobre el FCI.
 - Fecha en que se envió el FCI al participante.
 - Fecha en que el participante firmó el FCI.
- El proceso de firma del FCI debe estar claramente documentado en los documentos originales de los pacientes.

Esta información se explicará al participante utilizando la ***Carta de presentación del FCI***, facilitada en el idioma local del paciente.

Se aplicará el mismo proceso al cuidador del participante idóneo en caso de que el cuidador decida dar su consentimiento de forma remota.