

<b>Título del estudio:</b>	Estudio observacional, multicéntrico, de un solo brazo, para evaluar la efectividad de pegcetacoplán en condiciones reales en pacientes con hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN) COMPLETE
<b>Número de protocolo:</b>	Sobi.PEGCET-304 – IAB37395
<b>Promotor:</b>	Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)/SOBI, SE-112 76 Estocolmo, Suecia
<b>Investigador coordinador nacional:</b>	Dra. Anna Gaya Valls AGAYAV@clinic.cat +34932279214
<b>Nombre del centro:</b>	Hospital Clínic de Barcelona

**Asunto:** Envío de una modificación relevante de un estudio no intervencionista con fármaco (pegcetacoplán)

En Sofia, a 25 de Marzo de 2024.

Estimada/o Sr/a.:

En nombre de SOBI, estamos presentando una modificación relevante del estudio mencionado anteriormente para su revisión y aprobación. La **versión 2.0** actualizada del **Protocolo, con fecha de 24 de enero de 2024**, y sus respectivos documentos.

Este estudio observacional prospectivo tiene como objetivo describir la eficacia del pegcetacoplán en el tratamiento de pacientes con hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN) en un entorno real. Además, el estudio evaluará la calidad de vida de los pacientes antes y después del tratamiento con pegcetacoplán y describirá la satisfacción del médico y del paciente con el tratamiento con pegcetacoplán.

A continuación, se presenta un resumen de los principales cambios de la versión del protocolo del 9 de febrero de 2023 a la versión 2.0 «Modificación del protocolo», del 24 de enero de 2024:

- **Apartado 2.2 Información y consentimiento del paciente**
  - El Formulario de Consentimiento Informado se puede obtener en una visita rutinaria en el centro, en una visita domiciliaria o durante una llamada telefónica de rutina con el paciente si lo permite la normativa local.
- **Apartado 5.2 Diseño y plan general del estudio**
  - El número de centros aumentó de 70 a 80.
  - Los datos sobre el tratamiento habitual del pegcetacoplán podrán recopilarse a partir de la fecha en que se obtuvo la autorización inicial del pegcetacoplán en el país respectivo que participa en el estudio, lo que significa que el periodo de recopilación de datos variará en función de cuándo se recetó el pegcetacoplán.
  - Las visitas durante el periodo prospectivo de recopilación de datos variarán de un paciente a otro.
- **Apartado 5.3.1 Criterios de inclusión**

Se ha eliminado el límite de 12 meses de tratamiento con pegcetacoplán antes de la inclusión.
- **Apartado 6.1.1 Programa de actividades**
  - Información sobre las transfusiones que se deben recoger.
  - Se han aclarado los puntos temporales de recopilación de datos.



- **Apartado 7.1.3 Acontecimientos hemolíticos agudos**
  - Se ha aclarado la recopilación de datos de acontecimientos hemolíticos.
- **Apartado 7.2 Características de la enfermedad/del paciente**
  - Los datos analíticos de referencia se recopilarán retrospectivamente antes de la inscripción de los participantes y durante su participación (si se realizan según la práctica clínica habitual).
- **Apartado 9.3.3 Criterios secundarios de valoración que respaldan el objetivo principal**
  - Aumento en la concentración de hemoglobina  $\geq 2$  g/dl durante el periodo de análisis.

La modalidad de firma de consentimiento informado de los participantes propuesta en este estudio es la firma con tinta húmeda mediante una plataforma de control electrónico de versiones de documentos. Esto permite al personal del centro imprimir los documentos de consentimiento para recopilar las firmas con tinta húmeda después de hablar con el médico del estudio. El PDF impreso será una copia exacta de la versión original aprobada.

Los participantes pueden dar su consentimiento a distancia, como se describe en el documento «Justificación y proceso para el consentimiento informado a distancia» adjunto a este paquete.

El coordinador nacional es Dra. Anna Gaya Valls que trabaja en el Servicio de Hematología del Hospital Clínic de Barcelona.

Los resultados del estudio estarán disponibles en [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov). La difusión de los resultados también puede ser en forma de reuniones científicas o artículos originales publicados en una revista científica.

A continuación, encontrará la lista de documentos adjuntos para respaldar su revisión.

Quedamos a su disposición en caso de que necesite cualquier documento o información adicional.

Atentamente,

**Tanya Taneva**  
*Site Manager I*  
Real World Solutions



103, Aleksandar Stamboliyski Blvd.  
Sofia Tower, 7th Floor, 1303, Sofia, Bulgaria

T: +34 (0) 900 822 309 | E: [tanya.taneva@iqvia.com](mailto:tanya.taneva@iqvia.com)



## ACUSE DE RECIBO DEL PAQUETE DE PRESENTACIÓN



<b>Título del estudio:</b>	Estudio observacional, multicéntrico, de un solo brazo, para evaluar la efectividad de pegcetacoplán en condiciones reales en pacientes con hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN) COMPLETE
<b>Promotor</b>	Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)/SOBI
<b>Número de protocolo:</b>	Sobi.PEGCET-304 – IAB37395
<b>Presentación</b>	<input type="checkbox"/> Inicial – <input checked="" type="checkbox"/> Modificación: Versión 2.0 del protocolo de 24 de enero de 2024

Documentos	Idioma	Número de copias (copia impresa o electrónica)	Versión	Fecha	Nombre del archivo en los medios electrónicos	¿Presente? Sí/No (a cumplimentar solo por el CE)
1. Carta de presentación y justificación de la enmienda	Español	1	2.0	20 de febrero de 2024	1. Sobi.PEGCET-304_COMPLETE_Country Cover Letter_V2.0_25Mar2024_Spain	
2. Protocolo del estudio						
2.1. Protocolo del estudio con cambios señalados	Inglés	1	2.0	24 de enero de 2024	2.1 Sobi.PEGCET-304_Protocol V2.0_24Jan2024_track changes	



2.2. Protocolo del estudio final firmado por el Promotor	Inglés	1	2.0	24 de enero de 2024	2.2 Sobi.PEGCET-304_CSP V2.0_Final_24Jan2024_Signed by Sponsor	
3. Sinopsis del estudio	Español	1	2.0	24 de enero de 2024	3. Sobi.PEGCET-304_CSP V2.0_Protocol synopsis_24Jan2024_ES	
4. Formularios de consentimiento informado (FCI)						
4.1 FCI principal con cambios señalados	Español	1	2.0	08 de febrero de 2024	4.1 Sobi.PEGCET-304_COMPLETE_Main ICF V2.0SPA(es)1.0(13Feb2024)_Track changes	
4.2 FCI principal final	Español	1	2.0	08 de febrero de 2024	4.2 Sobi.PEGCET-304_COMPLETE_Main ICF V2.0SPA(es)1.0(13Feb2024)_Final	
4.3 FCI de embarazo con cambios señalados	Español	1	2.0	08 de febrero de 2024	4.3 Sobi.PEGCET-304_COMPLETE_Pregnancy ICF V2.0SPA(es)1.0(13Feb2024)_Track changes	

4.4 FCI de embarazo final	Español	1	2.0	08 de febrero de 2024	4.4 Sobi.PEGCET-304_COMPLETE_Pregnancy ICF V2.0SPA(es)1.0(13Feb2024)_Final	
5. Carta de presentación del FCI para los participantes	Español	1	1.0	14 de febrero de 2024	5. COMPLETE study_ICF cover letter to participants_DRAFT core_v1.0_14Feb2024_es	
6. Justificación y proceso para el consentimiento informado a distancia	Español	1	1.0	14 de febrero de 2024	6. Sobi_COMPLETE study_RATIONALE and PROCESS for Remote Consent v1.0_14Feb2024_es	
7. Listado actual de investigadores y centros participantes	Español	1	3.0	21 de marzo de 2024	7. Sobi.PEGCET-304_Site list v3.0_21Mar2024	
8. Dictamen positivo del CEIm de referencia	Español	1	1.0	21 de marzo de 2024	8. ENMIENDA Dictamen positivo 21Mar2024	



Confirmando que los documentos anteriores se recibieron correctamente.

Nombre completo:	Cargo:
Fecha:	Firma:
<b>Comité de Ética de la Investigación con medicamentos</b> <b>Hospital Clínic de Barcelona</b> <b>C/ Villarroel, 170. 08036 Barcelona, España</b>	Sello:

Cumplimente, firme y devuelva todas las páginas de este formulario a:

**Nombre del solicitante: Tanya Taneva**  
**Teléfono: +34 (0) 900 822 309**  
**Correo electrónico: tanya.taneva@iqvia.com**