



## **DETERMINAZIONE RARA**

### **SESSIONE A**

### **ATTIVAMENTE INSIEME NELLA RICERCA DI FRONTIERA E NELLA SPERIMENTAZIONE CLINICA**

#### **Modulo 1**

#### **Soggetti di diritti, soggetti di ricerca**

**8 – 9 novembre 2013**

IRCCS Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Roma

**Venerdì 8 novembre 2013**

**9.30 - 10.00 Il Bambin Gesù un luogo esemplare di sviluppo della ricerca e delle cure.**  
Bruno Dalla Piccola, direttore scientifico

Introduzione al percorso e alla logica del modulo  
Renza Barbon, presidente Uniamo FIMR onlus e Sara Casati, responsabile  
scientifico Determinazione Rara

**10.00 – 13.30 :**

**1.1. QUALITÀ DELLA CONOSCENZA E PARTECIPAZIONE AL CENTRO DELLA RICERCA  
SCIENTIFICA: OLTRE LA FIRMA DEL CONSENSO INFORMATO**

**10.00– 10.30:**

Presentazione dei partecipanti

**10.30 -11.30:**

**Non più ricerca senza consapevolezza**

Lavori in piccoli gruppi a partire da esperienze e cortocircuiti dei partecipanti.  
Restituzione in plenaria  
(facilitano Sara Casati e tutor Uniamo)

**11.30 - 11.45:**

Pausa

**11.45 – 12.45:**

**L'abc del consenso informato nella sperimentazione con esseri umani**  
Discussione interattiva a partire dalle storie raccolte tra le associazioni  
(facilita Sara Casati)

**12.45– 13.30:**

**I soggetti vulnerabili**

- Il minore: dalla tutela al coinvolgimento
  - I soggetti incapaci e l'amministratore di sostegno
- Drammatizzazione di una storia o scene scelte da un film.



**13.30 – 14.30**

Pausa pranzo

**14.30 – 18.00**

**1.2. SPAZI DI TUTELA E VALUTAZIONE DELLA RICERCA**

**14.30 – 15.45**

**Nuovi diritti, protezione dei dati e accesso ai risultati della ricerca.**

**Data Protection Act**

Lavori per piccoli gruppi su documento europeo e restituzione in plenaria.  
(facilitano Sara Casati e tutor Uniamo)

**15.45 – 16.00**

Pausa

**16.00 – 18.00**

**I Comitati Etici dopo il Decreto Balduzzi.**

**Quali nuovi scenari e spazi di interazione per i pazienti e le Associazioni.**

Intervista all'esperto, Gianni Tognoni, direttore scientifico Mario Negri Sud

\*\*\*\*\*

**Sabato, 9 novembre 2013**

**9.30 – 13.30**

**1.3. PAZIENTI, RICERCATORI E ISTITUZIONI DI RICERCA: SOGGETTI ATTIVI NELLO SVILUPPO DELLA RICERCA BIOMEDICA E DELLA CONOSCENZA**

*Esplorazione di uno studio clinico in ambito farmacologico di fase 2 con pazienti affetti da difetto di cblC discutendo ed evidenziando le tappe conoscitive-decisionali, dalla sua genesi al suo sviluppo operativo.*

*Laboratorio interattivo con la U.O.C. di Patologia Metabolica, Dipartimento di Medicina Pediatrica, IRCCS Ospedale Pediatrico Bambino.*

Partecipano:

Carlo Dionisi Vici, direttore U.O.C. di Patologia Metabolica

Sara Boenzi specialista del laboratorio

Ferdinando Ceravolo, ricercatore coinvolto nello studio clinico

I genitori di Andrea

Francesco Gesualdo, pediatra metodologo

*(facilita Sara Casati)*

**9.30 – 10.00**

**Come nasce lo studio clinico EPI 743 cobalmin: storie di malattia e di cura.**

Percorso narrativo con i genitori di Andrea e i ricercatori

**10.00 – 10.45**

**Verso un razionale.**

**Le tappe precliniche, la rilevanza scientifica: come si configura la conoscenza scientifica alla base dello studio**

**10.45 – 11.00**

Pausa

Soggetto legittimato ad agire per la tutela giudiziaria delle persone con disabilità, vittime di discriminazioni, in riferimento al Decreto 21 giugno 2007, art. 4, comma 2

Associazione riconosciuta – iscritta al Registro della Prefettura di Roma con il n. 726/2010



**11.00 – 12.00**

**Il disegno dello studio clinico EPI 743 cobalmin**

- tipo di studio
- disegno dello studio
- come si colloca all'interno delle fasi di sviluppo del farmaco
- obiettivi primari e secondari
- criteri di successo
- criteri di inclusione e di esclusione: cosa sono, a cosa servono, quali sono
- rischi e benefici
- consenso informato

**12.00 – 12.30:**

**Verso la fase operativa.**

Dalla richiesta di autorizzazione dell'AIFA, alla domanda di parere al Comitato Etico, al coinvolgimento dei pazienti

**12.30 -13.30:**

**Sviluppo dello studio EPI 743.**

**Dalla governance clinica, alle regole economiche e la proprietà dei risultati**

***Conclusioni.***

***Verso il modulo 2.***