

Roma, 24 novembre 2020

## **Registro per la Ricerca Scientifica e Clinica sull'Emoglobinuria parossistica notturna**

nell'ambito delle iniziative intraprese dal Centro Nazionale Malattie Rare (CNMR) dell'Istituto Superiore di Sanità (ISS) va annoverata l'attivazione nel 2010 del database per l'Emoglobinuria Parossistica Notturna (DB-EPN), una malattia rara di grande rilievo in ematologia.

Partendo da questa esperienza il CNMR ha sviluppato la Piattaforma RegistRare finalizzata all'implementazione di registri di patologia specifici e progettata in accordo con gli standard europei, conforme con la vigente normativa sulla tutela dei dati personali (UE 2016/679 GDPR) e basata sui requisiti necessari per una prospettiva di interoperabilità con altre fonti informative. I registri afferenti alla piattaforma, pur mantenendo la loro autonomia gestionale hanno linee di indirizzo e uno schema comuni. Inoltre sono stati predisposti il modello di consenso informato e di accordo di collaborazione tra Istituto Superiore di Sanità e le strutture che inseriscono i dati via web nella piattaforma.

Anche il Database EPN è stato inserito in questa nuova piattaforma ed è stato implementato ed aggiornato con l'istituzione del Registro per la Ricerca Scientifica e Clinica sull'Emoglobinuria Parossistica Notturna sempre in collaborazione con l'Associazione Italiana Emoglobinuria Parossistica Notturna (AIEPN).

Il Registro AIEPN funziona quindi su una piattaforma web appositamente predisposta. Ogni medico autorizzato dall'ISS all'immissione dei dati sarà identificato con username e password strettamente personali ed univoche rilasciate dal CNMR.

Vantaggi attesi: descrivere l'epidemiologia della malattia in Italia e approfondire le conoscenze sulla storia naturale della patologia e di ottenere una valutazione imparziale della risposta ai trattamenti farmacologici disponibili.

Alla luce di ciò è quindi importante completare la copertura a livello nazionale del Registro per poter fornire dati realmente rappresentativi della situazione italiana.

La raccolta dei dati presso un'istituzione pubblica quale l'ISS è, per la comunità dei clinici coinvolti, garanzia di imparzialità, correttezza istituzionale ed aderenza alle norme e leggi vigenti (Regolamento UE 2016/679 e della normativa italiana di attuazione - Decreto n.101/18 del 10 agosto 2018).

Il progetto è stato condiviso dai clinici più attivamente impegnati nella ricerca, diagnosi e cura dell'Emoglobinuria parossistica notturna, ed ha ottenuto l'approvazione del comitato etico dell'Istituto Superiore di Sanità in data 14/05/2020.

Vista l'importanza del progetto, riteniamo fondamentale la partecipazione del suo ospedale.

Roma, 24 novembre 2020

Certi di poter contare sulla sua collaborazione le porgiamo cordiali saluti

Domenica Taruscio  
Direttore  
Centro Nazionale Malattie Rare



Sergio Ferini Strambi  
Presidente Associazione Italiana  
Emoglobinuria Parossistica Notturna

