**Studio di estensione in aperto per valutare la sicurezza a lungo termine di apraglutide nella sindrome dell’intestino corto**

**OBIETTIVI DELLO STUDIO**

#### Obiettivo primario

* Valutare la sicurezza e la tollerabilità a lungo termine di apraglutide nei soggetti con sindrome dell’intestino corto (SBS)

#### Obiettivi secondari

* Valutare i marcatori indicativi degli effetti clinici dell'apraglutide
* Valutare i cambiamenti registrati dal soggetto
* Valutare i cambiamenti dell’escrezione urinaria di sodio
* Valutare l’immunogenicità dell’apraglutide

**PIANO DELLO STUDIO**

Si prevede l’arruolamento di 154 soggetti adulti con SBS, ai quali verrà somministrata apraglutide per valutarne la sicurezza e gli effetti farmacologici. Nello specifico, i soggetti riceveranno una dose di 2,5 mg o 5 mg di apraglutide s.c. una volta alla settimana per un massimo di 208 settimane, o fino a quando l’apraglutide non sarà disponibile in commercio, a seconda di quale evento si verifichi per primo. Il farmaco può essere somministrato al domicilio o presso il Centro di Sperimentazione. I soggetti arruolati nello studio inseriranno i dati nel diario elettronico sulla somministrazione dei farmaci eseguita al domicilio. Le valutazioni di follow-up sulla sicurezza verranno eseguite a ogni visita medica e a 4 settimane (±1 settimana) dopo l'ultima dose.

**DISEGNO DELLO STUDIO E TRATTAMENTI**

La visita di screening comprende la raccolta dell’anamnesi del paziente e dei dati provenienti dai test programmati secondo la normale pratica clinica (ad esempio, esami di laboratorio, ECG, colonscopia/colonografia, segni vitali, esame obiettivo). Verranno valutati i criteri di inclusione ed esclusione dallo studio. I soggetti arruolati utilizzeranno il diario elettronico della sperimentazione per inserire i dati, dopo essere stati formati sull’utilizzo dello stesso.

Nelle visite successive allo screening verranno raccolti i parametri vitali, il supporto parenterale (volume in L/settimana), la quantità media giornaliera del volume urinario e i dati provenienti dal diario elettronico.

**PIANO DELLE ATTIVITA’ E PROGRAMMA FORMATIVO**

* Gestione dei consensi informati e dei dati clinici, secondo le regole GCP
* Formazione del soggetto alla compilazione del diario elettronico
* Programmazione delle visite ambulatoriali
* Collaborazione alla raccolta e analisi dei dati
* Collaborazione nelle attività di divulgazione scientifica