

## Registro Mondiale dei Pazienti Crigler-Najjar

**SCOPO:** Il trattamento e il monitoraggio dei pazienti con sindrome di Crigler-Najjar sono effettuati in ospedali locali, da singoli specialisti o dai medici di base, di conseguenza i dati sul decorso naturale della malattia e sui vari trattamenti adottati non sono facili da recuperare. L'obiettivo di questo registro è rendere questi dati accessibili a tutti i pazienti e ai medici che li hanno in carico per avere più informazioni possibili sul decorso naturale di questo grave disturbo e per aiutare medici, pazienti e famiglie a trovare il trattamento migliore.

**IL REGISTRO:** Il registro è stato istituito sulla base delle indicazioni della Piattaforma Europea per le Malattie Rare, del comitato di esperti dell'Unione Europea sulle Malattie Rare e dell'Agenzia Europea per i Medicinali. Viene utilizzata una piattaforma clinica online estremamente valida che consente un facile accesso per l'inserimento dei dati ma allo stesso tempo garantisce una protezione ottimale della privacy di ciascun paziente.

**GOVERNANCE:** Per decidere l'accesso ai dati nel registro, è stato istituito un comitato di controllo composto da medici che già hanno in trattamento pazienti CN, coadiuvati da un consulente etico e legale e dai rappresentanti delle associazioni dei pazienti CN. Il comitato assicurerà

- 1) procedure di accesso facili ma sicure per tutti coloro che sono coinvolti nella raccolta dei dati,
- 2) trasparenza nelle operazioni,
- 3) potere decisionale,
- 4) divulgazione dei risultati attraverso pubblicazioni e sul sito web,
- 5) possibilità di accesso per parti terze

**PARTECIPANTI:** per compilare questo registro mondiale, i centri e i medici che trattano i pazienti CN a noi noti sono stati contattati direttamente o tramite la rete del progetto CureCN. Più di 14 centri e/o medici di diverse nazioni stanno già partecipando (vedi mappa). Per una copertura globale sono necessari ulteriori dati da altre nazioni .

**PRENDERE PARTE:** i pazienti che desiderano partecipare a questa iniziativa devono chiedere al proprio medico di riferimento di contattare via email il seguente indirizzo

[p.j.bosma@amc.uva.nl](mailto:p.j.bosma@amc.uva.nl).

Se un paziente non ha un ospedale o un medico di riferimento può ugualmente contattare il Registro Mondiale via email, per avere i dettagli su come partecipare.

[p.j.bosma@amc.uva.nl](mailto:p.j.bosma@amc.uva.nl).

**PER RICHIESTE DI INFORMAZIONI:** Le richieste di accesso ai dati registrati devono essere inviate per email a

[p.j.bosma@amc.uva.nl](mailto:p.j.bosma@amc.uva.nl)