



UNIVERSITÀ  
DEGLI STUDI  
DI PALERMO



Dipartimento di Promozione della Salute: Materno-Infantile, Medicina Interna e Specialistica di Eccellenza "G. D'Alessandro"

**DIPARTIMENTO DI PROMOZIONE DELLA SALUTE, MATERNO-  
INFANTILE, MEDICINA INTERNA E SPECIALISTICA DI ECCELLENZA  
"G. D'ALESSANDRO"**

**Direttore: Prof. Antonio Carroccio**

**Report con tutti i trial sulle malattie rare a cui hanno partecipato nel 2023 e nel  
2024 i ricercatori del Dipartimento PROMISE**

<b>Numero</b>	<b>Principal Investigator</b>	<b>Codice Protocollo</b>	<b>Protocollo</b>
1	Prof. Angelo Baldassare Cefalù	ISIS 678354CS13	Studio fase III randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo, AKCEAAPOCIILRx somministrato per via sottocutanea a pazienti affetti da sindrome da chilomicronemia familiare (FCS)
2	Prof. Antonino Tuttolomondo	EFC17045-	Studio di fase 3 randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo, della durata di 12 mesi per valutare l'effetto di venglustat sul dolore neuropatico e addominale in adulti di sesso maschile e femminile affetti da malattia di Fabry che siano nati al trattamento o non trattati da almeno 6 mesi
3	Prof.ssa Giuliana Guggino 2023 e 2024	80202135SJS2001	Studio multicentrico, randomizzato, controllato con placebo, in doppio cieco per valutare l'efficacia e la sicurezza di Nipocalimab in adulti affetti da sindrome di Sjogren primaria (PSS)
4	Prof.ssa Maria Napolitano	ClinPhaGenE	studio osservazionale retrospettivo sulle caratteristiche cliniche, farmacocinetiche e genetiche di pazienti emofilici A trattati con Efmoroctocog Alfa
5	Prof.ssa Maria Napolitano	IMPACT	JOIHA – Long-term treatment outcome of Jivi® prophylaxis on joint health in adult patients with hemophilia A
6	Prof.ssa Maria Napolitano	NN7088-4928	Studio non interventistico sul cambiamento della salute articolare in pazienti adulti affetti da emofilia A dopo il passaggio



**DIPARTIMENTO DI PROMOZIONE DELLA SALUTE, MATERNO-  
INFANTILE, MEDICINA INTERNA E SPECIALISTICA DI ECCELLENZA  
"G. D'ALESSANDRO"**

**Direttore: Prof. Antonio Carroccio**

			alla profilassi con turoctocog alfa pegol (N8-GP)
7	Prof.ssa Maria Napolitano	GES-GRA -	Gestione di gravidanza, parto e post-partum in donne portatrici di emofilia A e B in Italia: studio osservazionale multicentrico retrospettivo"
8	Prof.ssa Vincenza Calvaruso	CLIN-60190-453	Studio di fase II, multicentrico, in doppio cieco, randomizzato, controllato con placebo, e un'estensione a lungo termine in aperto per valutare la sicurezza e l'efficacia di Elafibranor in partecipanti adulti affetti da colangite sclerosante primaria (PSC)

**Prof. Vito Di Marco**