

Sperimentatore	DIPARTIMENTO/UO	Titolo sperimentazione
Amodeo Antonino	Cardiologia	Studio prospettico, randomizzato, in aperto, multicentrico sulla sicurezza e la farmacocinetica di Apixaban versus l'Antagonista della Vitamina K o l'Eparina a Basso Peso Molecolare in soggetti pediatrici con malattia cardiaca congenita o acquisita che richiedono terapia anticoagulante cronica per la prevenzione del tromboembolismo. CV185-362
Bartuli Andrea	Malattie Rare e Genetica Medica	Studio di fase 1/2 su ARQ 092 in pazienti affetti da malattie da iperacrescimento e anomalie vascolari con alterazioni genetiche del pathway PI3K/AKT. Protocollo ARQ 092-103
Bartuli Andrea	Malattie Rare e Genetica Medica	STUDIO MULTICENTRICO, RANDOMIZZATO, IN DOPPIO CIECO, A GRUPPI PARALLELI, CONTROLLATO VERSO PLACEBO VOLTO A CARATTERIZZARE L'EFFICACIA, LA SICUREZZA E LA TOLLERABILITÀ DI 24 SETTIMANE DI TRATTAMENTO CON EVOLOCUMAB PER LA RIDUZIONE DEL COLESTEROLO LEGATO ALLE LIPOPROTEINE A BASSA DENSITÀ (C-LDL) IN AGGIUNTA ALLA DIETA E ALLA TERAPIA IPOLIPEMIZZANTE IN SOGGETTI PEDIATRICI DAI 10 AI 17 ANNI DI ETÀ AFFETTI DA IPERCOLESTEROLEMIA FAMILIARE ETEROZIGOTE (HEFH). PROTOCOLLO 20120123
Bertini Enrico	Malattie Muscolari e Neurodeg.	Studio prospettico in aperto per valutare il mantenimento della efficacia e la sicurezza a lungo termine di EPI-743 nei bambini con malattia di Leigh. Protocollo OPBGC&RS 2011-004_CA2012
Bertini Enrico	Malattie Muscolari e Neurodeg.	STUDIO RANDOMIZZATO DI FASE 2, IN DOPPIO CIECO, CONTROLLATO VERSO PLACEBO, A DOSE MULTIPLA ASCENDENTE PER VALUTARE LA SICUREZZA, L'EFFICACIA, LA FARMACOCINETICA E LA FARMACODINAMICA DI PF-06252616 IN RAGAZZI DEAMBULANTI DI SESSO MASCHILE CON DISTROFIA MUSCOLARE DI DUCHENNE. Protocollo B5161002
Bertini Enrico	Malattie Muscolari e Neurodeg.	Primo studio nell'uomo, a parti multiple, in aperto, con LMI070 in infanti con atrofia muscolare spinale di tipo I (SMA I). PROTOCOLLO CLMI070X2201
Bertini Enrico	Malattie Muscolari e Neurodeg.	Studio in aperto volto alla valutazione dell'efficacia, la sicurezza, la tollerabilità e la farmacocinetica di ISIS 396443 somministrato in dosi multiple per via intratecale in soggetti con diagnosi genetica di atrofia muscolare spinale in fase presintomatica. Protocollo 232SM201
Bertini Enrico	Malattie Muscolari e Neurodeg.	STUDIO MULTICENTRICO, IN APERTO, A BRACCIO SINGOLO PER VALUTARE SICUREZZA, TOLLERABILITÀ ED EFFICACIA A LUNGO TERMINE DI OLESOXIME 10 MG/KG IN PAZIENTI AFFETTI DA SMA. Protocollo BN29854
Bertini Enrico	Malattie Muscolari e Neurodeg.	SPERIMENTAZIONE DI FASE 3, RANDOMIZZATA, IN DOPPIO CIECO, A GRUPPI PARALLELI, CONTROLLATA CON PLACEBO PER VALUTARE L'EFFICACIA E LA SICUREZZA DI INIEZIONI SOTTOCUTANEE GIORNALIERE DI ELAMIPRETIDE IN SOGGETTI CON MIOPATIA MITOCONDRIALE PRIMARIA SEGUITA DA UN'ESTENSIONE DEL TRATTAMENTO IN APERTO. CODICE DEL PROTOCOLLO SPIMM-301
Bertini Enrico	Malattie Muscolari e Neurodeg.	STUDIO INTERNAZIONALE DI UN'UNICA DOSE SINGOLA DI AVXS-101 SOMMINISTRATA A NEONATI AFFETTI DA ATROFIA MUSCOLARE SPINALE CON COPIE MULTIPLE DI SMN2 GENETICAMENTE DIAGNOSTICATA E PRESINTOMATICA. Protocollo AVXS-101-CL-304
Bertini Enrico	Malattie Muscolari e Neurodeg.	Uno studio in due parti in continuo, in aperto, multicentrico per valutare la sicurezza, la tollerabilità, la farmacocinetica, la farmacodinamica e l'efficacia di RO7034067 in neonati con atrofia muscolare spinale di tipo 1. BP39055
Bertini Enrico	Malattie Muscolari e Neurodeg.	Uno studio in due parti in continuo, in aperto, multicentrico per valutare la sicurezza, la tollerabilità, la farmacocinetica, la farmacodinamica e l'efficacia di RO7034067 in neonati con atrofia muscolare spinale di tipo 1. BP39056
Bertini Enrico	Malattie Muscolari e Neurodeg.	Studio in aperto a lungo termine volto a valutare la sicurezza, la tollerabilità e l'efficacia di GIVINOSTAT in pazienti affetti da distrofia muscolare di Duchenne che sono stati precedentemente trattati in uno studio con GIVINOSTAT. DS/14/2357/ 51
Bertini Enrico	Malattie Muscolari e Neurodeg.	Studio multicentrico, randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo, volto a valutare l'efficacia e la sicurezza di givinostat in pazienti deambulanti affetti da distrofia muscolare di Duchenne. DS/14/2357/48
Bertini Enrico	Malattie Muscolari e Neurodeg.	Studio di estensione multicentrico, in aperto volto a valutare la sicurezza a lungo termine di PF-06252616 nei ragazzi con la distrofia muscolare di Duchenne B5161004

Bianchi Roberto	Rianimazione Pediatrica Generale	Efficacia della ketamina nello stato di male epilettico convulsivo refrattario in età pediatrica: uno studio multicentrico, randomizzato, controllato, in aperto, no profit, con disegno sequenziale. Protocollo KETASER01
Cancrini Caterina	Diagnosi e Follow-Up delle Immunodeficienze Congenite	Studio esplorativo in aperto su UCB5857 in soggetti con sindrome da attivazione della fosfatidilinositolo 3-chinasi (PI3K) delta (ADPS). Protocollo APD001
Cancrini Caterina	Diagnosi e Follow-Up delle Immunodeficienze Congenite	STUDIO DI ESTENSIONE MULTICENTRICO, ESPLORATIVO, IN APERTO, PER LA VALUTAZIONE A LUNGO TERMINE DI SICUREZZA, TOLLERABILITÀ, FARMACOCINETICA ED EFFICACIA DI UCB5857 IN SOGGETTI CON SINDROME DA ATTIVAZIONE DELLA FOSFATIDILINOSITOLO-3-CHINASI (PI3K) DELTA (ADPS). PROTOCOLLO APD003
Cappa Marco	Endocrinologia	STUDIO MULTICENTRICO PROSPETTICO IN APERTO CON RANDOMIZZAZIONE A GRAPPOLO DI CONFRONTO TRA INSULINA PREMISCELATA BIAsp 70/30 VS. RAPIDA E/O ULTRARAPIDA IN PAZIENTI PEDIATRICI CON DIABETE MELLITO TIPO 1 PER VALUTARE IL CONTROLLO METABOLICO E LA QoL. Protocollo IGG_GdA_001 AIFA FARM8MR2J7
Cappa Marco	Endocrinologia	Studio clinico di fase III, multicentrico, randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo per valutare la sicurezza e l'efficacia di MK-0431A XR (compressa a dosaggio fisso dell'associazione di sitagliptin e metformina a rilascio prolungato) in pazienti pediatrici affetti da diabete mellito di tipo II con inadeguato controllo glicemico in terapia con metformina (da sola o in associazione ad insulina). PROT. MK0431A-XR-289
Cappa Marco	Endocrinologia	STUDIO CUNICO DI FASE III, MULTICENTRICO, RANDOMIZZATO, IN DOPPIO CIECO, CONTROLLATO VERSO PLACEBO PER VALUTARE LA SICUREZZA E L'EFFICACIA DI SITAGLIPTIN IN PAZIENTI PEDIATRICI AFFETTI DA DIABETE MELLITO DI TIPO IL SCARSAMENTE COMPENSATI". PROTOCOLLO MK0431-083
Cappa Marco	Endocrinologia	TRATTAMENTO CON ANALOGO DELL'ORMONE TIROIDEO T3 (TRIAc) NEI PAZIENTI AFFETTI DA GRAVE RITARDO PSICOMOTORIO CAUSATO DA UNA MUTAZIONE DEL TRASPORTATORE MCT8: STUDIO TRIAC
Cappa Marco	Endocrinologia	Sperimentazione di fase III multicentrica, randomizzata, in aperto, con controllo attivo e a gruppi paralleli volta a valutare la sicurezza, la tollerabilità e l'efficacia di TransCon hGH somministrato una volta alla settimana rispetto alla terapia di sostituzione standard con hGH somministrata una volta al giorno nell'arco di 52 settimane in bambini in età prepuberale con deficit dell' ormone della crescita (GHD). TransCon hGH CT-301
Cappa Marco	Endocrinologia	Studio Multicentrico di Fase IIb in Aperto a Singoli Gruppi per valutare l'efficacia e la sicurezza di MK-8962 (corifollitropina alfa) in combinazione con gonadotropina corionica umana (hCG) per iniziazione o ripristino della pubertà valutata mediante un aumento del volume testicolare in maschi adolescenti da 14 a <18 anni di età con ipogonadismo ipogonadotropo. Protocol No. MK-8962-043-07
Cappa Marco	Endocrinologia	Studio multicentrico, randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo, per valutare l'efficacia e la sicurezza di Alogliptin rispetto al placebo in soggetti pediatrici con diabete mellito di tipo 2. SYR-322_309
Cappa Marco	Endocrinologia	Studio clinico multicentrico, di fase III, randomizzato, in aperto e in controllo attivo, in gruppo parallelo studiando la sicurezza, la tollerabilità e l'efficacia di TransCon hGH somministrato una volta a settimana rispetto a una terapia standard giornaliera sostitutiva di 52 settimane con hGH a bambini in età pre-pubertale con deficit dell'ormone della crescita (GHD). Protocollo TransCon hGH CT-301EXT
Castellano Aurora	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Studio clinico randomizzato di Fase IIb A su bevacizumab aggiunto a temozolomide ± irinotecan in bambini con neuroblastoma refrattario/recidivato – Studio BEACON-Neuroblastoma. Studio Beacon RG_11-087
Castelli Gattinara	Vaccinazioni	Studio di Fase III, in cieco per l'osservatore, randomizzato, controllato con vaccino non antinfluenzale di confronto, a gruppi paralleli, multinazionale condotto su bambini di età compresa tra 6 e 35 mesi per valutare la sicurezza e l'efficacia del vaccino antinfluenzale quadrivalente candidato di Abbott. INFQ3003
Cotugno Giovanna	Patologia Metabolica	Studio di fase 4 in aperto, a singola coorte, sugli esiti neurocognitivi a lungo termine in bambini di 4-5 anni affetti da fenilchetonuria trattati con sapropterina dicloridrato (Kuvan®) per 7 anni". Studio KOGNITO Protocollo: (ex EMR700773-002) BMN 162-502
Cozza Raffaele	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Studio di fase III sull'efficacia dell'intensificazione della dose in pazienti con sarcoma di ewing non metastatico. (ISG/AIEOP EW-1)

Cozza Raffaele	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Protocollo Diagnostico e Terapeutico per il Retinoblastoma alla Diagnosi. Protocollo RTB AIEOP 012
Cozza Raffaele	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Protocollo terapeutico con chemioterapia ad alte dosi, radioterapia, terapia di mantenimento con ciclofosfamide a basse dosi e anti-COX 2 per sarcoma di Ewing metastatico. Studio ISG/AIEOP (ISG/AIEOP EW-2)
Cozza Raffaele	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Espressione di ABCB1/P-glycoprotein come fattore per la stratificazione biologica dell' osteosarcoma non metastatico delle estremità. Protocollo ISG/OS-2
Cutrerà Renato	Broncopneumologia	IMPIEGO DI IDROSSICLOROCHINA (HCQ) PER IL TRATTAMENTO DELLA PNEUMOPATIA CRONICA INTERSTIZIALE (ILD) PEDIATRICA START STUDIO RANDOMIZZATO CONTROLLATO A GRUPPI PARALLELI, CON PASSAGGIO SUCCESSIVO DAL PLACEBO AL PRINCIPIO ATTIVO E STOP STUDIO RANDOMIZZATO CONTROLLATO A GRUPPI PARALLELI PER VALUTARE L'EFFICACIA E LA SICUREZZA DI IDROSSICLOROCHINA (HCQ). PROTOCOLLO HCQinpediatricILD
Cutrerà Renato	Broncopneumologia	Studio randomizzato, in doppio cieco, a gruppi paralleli, multicentrico, stratificato, per valutare l'efficacia e la sicurezza della polvere per inalazione di fluticasone turoeto/vilenterolo somministrata una volta al giorno rispetto alla polvere per inalazione di fluticasone furoato somministrata una volta al giorno nel trattamento dell'asma in partecipanti di età compresa tra 5 e 17 anni inclusi al momento non controllati con corticosteroidi per via inalatoria. HZA107116
Dall'Oglio Luigi	Chirurgia Endoscopica Digestiva	VALUTAZIONE DELLA SICUREZZA E DELL'EFFICACIA DEL DISPOSITIVO GASTROPORT. Protocollo 945_OPBG_2015
Dall'Oglio Luigi	Chirurgia Endoscopica Digestiva	Studio randomizzato, in singolo-cieco, controllato e multicentrico per valutare l'efficacia, la sicurezza, la tollerabilità, l'accettabilità e la palatabilità di PMF104 rispetto ad una convenzionale soluzione elettrolitica di polietilenglicole, somministrate a bambini di età da 2 a meno di 6 anni, da 6 a meno di 12 anni e ad adolescenti da 12 a meno di 18 anni che necessitano di una procedura diagnostica a livello del colon. PMF104 PD1-2-3/2013
De Angelis Paola	Chirurgia Endoscopica Digestiva	STUDIO RANDOMIZZATO CONTROLLATO IN PAZIENTI PEDIATRICI AFFETTI DA MALATTIA DI CROHN STRATIFICATI PER CLASSI DI RISCHIO: METHOTREXATE A CONFRONTO CON AZATIOPRINA O ADALIMUMAB PER IL MANTENIMENTO DELLO STATO DI REMISSIONE RISPETTIVAMENTE NEI PAZIENTI A BASSO O ALTO LIVELLO DI RISCHIO PER DECORSO AGGRESSIVO DI MALATTIA. PROTOCOLLO REDUCE-RISKINCD-PIBD-TRIAL
De Angelis Paola	Chirurgia Endoscopica Digestiva	Studio multicentrico in aperto per la valutazione della farmacocinetica di dosi endovenose singole e multiple di pantoprazolo in due coorti di età di soggetti pediatrici ospedalizzati di età compresa fra 1 e 16 anni che sono candidati per la terapia di soppressione acida. B1791089
De Benedetti Fabrizio	Reumatologia	STUDIO DI ESTENSIONE A LUNGO TERMINE PER LA VALUTAZIONE DELLA SICUREZZA E DELL'EFFICACIA DI TOCILIZUMAB SOMMINISTRATO PER VIA SOTTO CUTANEA IN PAZIENTI AFFETTI DA ARTRITE IDIOPATICA GIOVANILE A DECORSO POLIARTICOLARE E SISTEMICA. PROTOCOLLO WA29231
De Benedetti Fabrizio	Reumatologia	Studio multicentrico per il monitoraggio a lungo termine dei pazienti affetti da HLH che hanno ricevuto un trattamento con NI-0501, un anticorpo monoclonale anti-interferone gamma (anti-IFN γ). Protocollo NI-0501-05
De Benedetti Fabrizio	Reumatologia	Studio in aperto, sequenziale, a dosi ripetute, crescenti, per la determinazione della dose di sarilumab, somministrato mediante iniezione sottocutanea (SC), in bambini e adolescenti, di età compresa tra 2 anni e 17 anni, affetti da artrite idiopatica giovanile poliarticolare (AIGp), seguito da una fase di estensione DRI13925
De Benedetti Fabrizio	Reumatologia	Studio in aperto, sequenziale, a dosi ripetute, crescenti, per la determinazione della dose di sarilumab, somministrato mediante iniezione sottocutanea (SC), in bambini e adolescenti, di età compresa tra 1 anno e 17 anni, affetti da artrite idiopatica giovanile sistemica (AIGs), seguito da una fase di estensione. DRI13926
De Vincentiis Giovanni	Otorinolaringoiatria	STUDIO DI EFFICACIA CONTROLLATO RANDOMIZZATO IN DOPPIO CIECO DI OROGERMINA SPRAY ORALE VS PLACEBO IN PAZIENTI PEDIATRICI CON IPERTROFIA ADENOTONSILLARE CON FLOGOSI. CODICE DEL PROTOCOLLO ORO-01-2018
Dello Strologo Luca	Clinica del Trapianto Renale	Studio multicentrico, in aperto, randomizzato, controllato, della durata di 12 mesi per valutare l'efficacia, la tollerabilità e la sicurezza della somministrazione precoce di everolimus, in associazione a dose ridotta di inibitore della calcineurina (CNI) e alla eliminazione precoce di steroide in confronto alla terapia con dose standard di CNI, micofenolato mofetile e steroide in pazienti pediatrici sottoposti a trapianto di rene, con un ulteriore follow-up di sicurezza a 24 mesi. Protocollo CRAD001A2314
Deodato Federica	Patologia Metabolica	STUDIO CLINICO DI ARIMOCLOMOL, PROSPETTICO, RANDOMIZZATO, DOPPIO CIECO, CONTROLLATO VERSO PLACEBO IN PAZIENTI CON DIAGNOSI DI MALATTIA NIEMANN-PICK DI TIPO C. CODICE PROTOCOLLO CT-ORZY-NPC 002

Deodato Federica	Patologia Metabolica	Estensione in aperto dello studio HGT-MLD-070 per la valutazione della sicurezza e dell'efficacia a lungo termine della somministrazione intratecale di HGT-1110 in pazienti affetti da leucodistrofia metacromatica. HGT-MLD-071
Deodato Federica	Patologia Metabolica	STUDIO IN APERTO, MULTICENTRICO, CON DUE COORTI DI TRATTAMENTO, VOLTO A VALUTARE LA FARMACOCINETICA, LA SICUREZZA E L'EFFICACIA DI ELIGLUSTAT (CON E SENZA IMIGLUCERASI) IN PAZIENTI PEDIATRICI AFFETTI DA MALATTIA DI GAUCHER DI TIPO 1 E TIPO 3. PROTOCOLLO EFC13738
Diociaiuti Andrea	Dermatologia	Studio di fase III, in doppio cieco, randomizzato, controllato con veicolo, teso a valutare l'efficacia e la sicurezza di Oleogel S10 in pazienti con epidermolisi bollosa ereditaria con un follow-up in aperto della durata di 24 mesi. BEB-13
El Hachem May	Dermatologia	EXPLORATIVE STUDY ON THE CLINICAL EFFICACY AND TOLERABILITY OF METHYLPREDNISOLONE ACEPONATE CREAM AND A NEW TOPICAL MEDICAL DEVICE IN PAEDIATRIC PATIENTS WITH MILD TO MODERATE ATOPIC DERMATITIS, TESTING TWO DIFFERENT APPLICATION MODALITIES IN THE SAME PATIENT ON FLEXURAL CONTRALATERAL LESION PROTOCOLLO 1069_OPBG_2016
Emma Francesco	Nefrologia e Dialisi	PROFILASSI ANTIBIOTICA E DANNO RENALE NELLE ANOMALIE CONGENITE DEL RENE E DELLE VIE URINARIE - ANTIBIOTIC PROPHYLAXIS AND RENAL DAMAGE IN CONGENITAL ABNORMALITIES OF THE KIDNEY AND URINARY TRACT. PROTOCOLLO PREDICT
Emma Francesco	Nefrologia e Dialisi	BELNEPH: Studio prospettico aperto di fase II sull'uso del Belimumab per il trattamento di pazienti pediatrici affetti da sindrome nefrosica corticosensibile a frequenti recidive. Protocollo 1352_OPBG_2017
Fiocchi Alessandro	Allergologia	Studio multinazionale, randomizzato, in doppio cieco, controllato, a gruppi paralleli volto a studiare l'effetto di un latte artificiale parzialmente idrolizzato, addizionato di simbiotici, sulla composizione del microbiota intestinale e l'efficacia clinica nei neonati ad alto rischio di sviluppare allergie. TEMPO protocollo EBB15BL89847
Fiocchi Alessandro	Allergologia	THE EFFECT OF LOW PROTEIN, EXTENSIVELY HYDROLYZED INFANT FORMULA ON ALLERGY PREVENTION IN AT-RISK INFANTS UP TO 1 YEAR OF AGE: A RANDOMIZED, DOUBLE-BLIND, CONTROLLED INTERVENTION STUDY AND THE LONG-TERM EFFECT ON ALLERGY PREVENTION OF EARLY NUTRITION GIVEN IN THE FIRST 120 DAYS OF LIFE IN AT-RISK INFANTS UNTIL THE CHILD IS 6 YEARS OF AGE. PADI STUDY
Fiocchi Alessandro	Allergologia	STUDIO MONOCENTRICO IN APERTO PER VALUTARE L'IPOLLERGENICITÀ DEI PRODOTTI "KINDER CARDS" IN BAMBINI ALLERGICI ALLA NOCCIOLA E "GUSCI DI CIOCCOLATO" IN BAMBINI ALLERGICI ALLE PROTEINE DEL LATTE E VALUTAZIONE PROTEOMICA PER SUPERARE L'ETICHETTATURA PRECAUZIONALE. PROTOCOLLO FER-01-017
Fiocchi Alessandro	Allergologia	A multi-center, randomized, 12-week treatment, doubleblind study to assess the efficacy and safety of QMF149 (150/80 microgram) compared with MF Twisthaler® (200 microgram) in adult and adolescent patients with asthma. CQVM149B2303
Galeotti Angela	Odontostomatologia	STUDIO CLINICO PER VALUTARE LA COMPLIANCE DEL PAZIENTE AUTISTICO ALLA POLTRONA ODONTOIATRICA : COMPARAZIONE DELLA COMPLIANCE PRIMA E DOPO L'UTILIZZO DI UNO STRUMENTO PEDAGOGICO VISUALE E DELLA SEDAZIONE COSCIENTE TRAMITE PROTOSSIDO D'AZOTO. Protocollo 725 OPBG 2013
Galeotti Angela	Odontostomatologia	EFFETTI DELLA TERAPIA ORTODONTICA CON ALLINEATORI SULLA MALOCCLUSIONE DI CLASSE II DENTO-SCHELETRICA MEDIANTE STUDIO CLINICO. PROTOCOLLO 1414_OPBG_2017
Giampaolo Rosaria	Ambulatorio pediatrico	Studio randomizzato, prospettico in doppio cieco controllato verso placebo per la valutazione del numero, della durata e della gravità delle infezioni delle alte vie respiratorie in bambini ad elevato rischio di ricorrenza dopo trattamento standard con il lisato batterico "Paspat 3 mg compresse" nell'arco di un periodo di sei mesi di osservazione. Protocollo DS IT-2015-02
Grutter Giorgia	Trapiantologia Toracica ed Ipertensione Polmonare	Studio multicentrico, in aperto, con somministrazione singola, per valutare la sicurezza, la tollerabilità, la farmacocinetica e la farmacodinamica di LCZ696 seguito dallo studio di 52 settimane, randomizzato, in doppio cieco, a gruppi paralleli, con controllo attivo per valutare l'efficacia e la sicurezza di LCZ696 rispetto ad enalapril in pazienti pediatrici di età compresa tra 1 mese e < 18 anni con insufficienza cardiaca dovuta a disfunzione sistolica del ventricolo sinistro sistemico. Protocollo CLCZ696B2319
Latorre Stefano	Chirurgia Plastica e Maxillo-facc.	OPEN-LABEL, PILOT STUDY TO INVESTIGATE THE SAFETY AND TOLERABILITY OF HYPEROIL IN THE TREATMENT OF EPIDERMOLYSIS BULLOSA. HYP-01-2016
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	AIEOP LAM 2013/01
Locatelli Franco	Dip. Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	STUDIO DI FASE 3, A BRACCIO SINGOLO, VOLTO A VALUTARE L'EFFICACIA E LA SICUREZZA DELLA TERAPIA GENICA IN SOGGETTI AFFETTI DA F3-TALASSEMIA TRASFUSIONE DIPENDENTE, GENOTIPICAMENTE NON FLO/FLO, APPLICATA CON TRAPIANTO DI CELLULE STAMINALI AUTOLOGHE CD34+ TRASDOTTE EX VIVO MEDIANTE UN VETTORE LENTIVIRALE DEL GENE GLOBINICO JJI-T87Q IN SOGGETTI DI ETA COMPRESA TRA 12 E 50 ANNI. CODICE DI IDENTIFICAZIONE DEL PROTOCOLLO HGB-207

Locatelli Franco	Dip. Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	A RANDOMIZED, OPEN-LABEL, SAFETY AND EFFICACY STUDY OF IBRUTINIB IN PEDIATRIC AND YOUNG ADULT PATIENTS WITH RELAPSED OR REFRACTORY MATURE B-CELL NON-HODGKIN LYMPHOMA. PROTOCOL 54179060LYM3003
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Studio Interfant-2006: Protocollo di trattamento internazionale collaborativo per bambini di età inferiore ad 1 anno affetti da Leucemia Acuta Linfoide e bifenotipica" (International collaborative treatment protocol for infants under one year with acute lymphoblastic or biphenotypic leukemia- Interfant-06)
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	"Studio Clinico di Fase II con Dasatinib in bambini e adolescenti con CML in fase cronica di nuova diagnosi o con Leucemia Ph+ resistenti o intolleranti a Imatinib". Protocollo CA180-226
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Studio Clinico di Fase II, Multicentrico, controllato verso i dati storici, con Dasatinib aggiunto alla chemioterapia standard in bambini e adolescenti con nuova diagnosi di Leucemia Linfoblastica Acuta Philadelphia positiva (Ph+ ALL). Protocollo CA180-372
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	"Studio europeo per il neuroblastoma a rischio basso ed intermedio". protocollo: SIOPEN study for low risk NB - LINES
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Studio multicentrico per il monitoraggio a lungo termine dei pazienti affetti da HLH che hanno ricevuto un trattamento con NI-0501, un anticorpo monoclonale anti-interferone gamma (anti-IFN γ). Protocollo NI-0501-05
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	International Collaborative Study for Treatment of Standard Risk Childhood Relapsed ALL. Protocol IntReALL SR 2010
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	LCH-IV : protocollo internazionale collaborativo per il trattamento della Istiocitosi a Cellule di Langerhans. Protocollo 042011
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	OMS/DES 2011 Multinational European Trial for Children with Opsoclonus Myoclonus Syndrome/ Dancing Eye Syndrome
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Studio di fase I/III di lenvatinib in bambini e adolescenti affetti da tumori solidi maligni recidivanti o remittenti. Protocollo E7080-G000-207
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Studio multicentrico, in aperto, ad accesso allargato con blinatumomab per il trattamento di soggetti pediatrici e adolescenti affetti da leucemia linfoblastica acuta (LLA) da precursori delle cellule B recidiva e/o refrattaria (studio Rialto). Protocollo AMG 103 20130320
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Studio di fase I in aperto, a dosaggio scalare, per determinare la MTD, la sicurezza, la PK e l'efficacia di afatinib in monoterapia nei bambini di età compresa tra 2 anni e <18 anni con tumori recidivanti/refrattari neuroectodermici, rabdomiosarcoma e/o altri tumori solidi con nota deregolazione della via ErbB indipendentemente dalla istologia tumorale. Protocollo BI 1200.120
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Studio Adattativo di Fase 3 Controllato, in Aperto, Randomizzato per valutare l'Efficacia, la Sicurezza e la Tollerabilità dell'Anticorpo BITE® Blinatumomab come Terapia di Consolidamento Rispetto alla Chemioterapia di Consolidamento Convenzionale in Soggetti Pediatrici con Leucemia Linfoblastica Acuta (LLA) da precursori delle cellule B in Prima Recidiva ad Alto Rischio. Protocollo 20120215
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	STUDIO DI FASE INIZIALE, MULTICENTRICO, IN APERTO SULLA SICUREZZA E LA FARMACOCINETICA di ATEZOLIZUMAB (MPDL3280A) IN PAZIENTI PEDIATRICI E GIOVANI ADULTI CON TUMORI SOLIDI PRECEDENTEMENTE TRATTATI. G029664
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Studio a braccio singolo per valutare l'efficacia di UVADEX® (metoxsalene) soluzione sterile in abbinamento al sistema di fotoferesi THERAKOS® CELLEX® in pazienti pediatrici affetti dalla forma acuta della malattia del trapianto contro l'ospite (aGvHD) steroide-refrattaria. Protocollo TKS-2014-001
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Studio di fase I/II su pembrolizumab (MK-3475) in bambini affetti da melanoma avanzato o da tumore solido o linfoma avanzato, recidivante o refrattario, PD-L1 positivo. Protocollo MK3475-051
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	A PHASE I STUDY OF SAFETY, PHARMACOKINETICS AND EFFICACY OF DONOR BPX-501 CELLS AND AP1903 INFUSION FOR CHILDREN WITH RECURRENT OR MINIMAL RESIDUAL DISEASE HEMATOLOGIC MALIGNANCIES AFTER ALLOGENEIC TRANSPLANT". PROTOCOLLO BP-I-008
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Studio multicentrico, esplorativo, non randomizzato, non controllato, prospettico, in aperto, di fase II atto a valutare la sicurezza e l'efficacia di Ibuprofene (IBU), G-CSF e Plerixafor come regime di mobilizzazione di cellule staminali in pazienti affetti da X-CGD. XCGD-MOBI
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	SECOND INTERNATIONAL INTER-GROUP STUDY FOR CLASSICAL HODGKIN'S LYMPHOMA IN CHILDREN AND ADOLESCENT (EURONET PHL-C2)

Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Studio di fase 3, randomizzato, adattativo per confrontare l'efficacia e la sicurezza di Defibrotide rispetto alla migliore terapia di supporto per la prevenzione della malattia veno-occlusiva epatica nei pazienti adulti e pediatrici che vengono sottoposti al trapianto di cellule staminali ematopoietiche. 15-007
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Follow-up di studio di fase I/II sull'impiego di cellule T CaspaCide derivate da donatore familiare parzialmente compatibile sottoposto a procedura di T deplezione $\alpha\beta$, in pazienti pediatrici affetti da disturbi ematologici dopo trapianto aploidentico. BP-404
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Studio di fase 3, a braccio singolo, volto a valutare l'efficacia e la sicurezza della terapia genica in soggetti affetti da β -talassemia trasfusione-dipendente, genotipicamente β^0/β^0 , applicata con trapianto di cellule staminali autologhe CD34+ trasdotte ex vivo mediante un vettore lentivirale del gene globinico $\beta A T87Q$ in soggetti di età ≤ 50 anni. HGB-212
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	CC-4047-BRN-0014. STUDIO CLINICO DI FASE 2 SU POMALIDOMIDE (CC-4047) IN MONOTERAPIA PER IL TRATTAMENTO DI BAMBINI E GIOVANI ADULTI AFFETTI DA TUMORI CEREBRALI PRIMARI RICORRENTI O PROGRESSIVI. PROTOCOLLO CC-4047-BRN-001
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	SPERIMENTAZIONE A PHASE 2, PROSPECTIVE, RANDOMIZED, OPEN-LABEL STUDY ON THE EFFICACY OF DEFIBROTIDE ADDED TO STANDARD OF CARE IMMUNOPROPHYLAXIS FOR THE PREVENTION OF ACUTE GRAFT-VERSUS-HOST-DISEASE IN ADULT AND PEDIATRIC PATIENTS AFTER ALLOGENEIC HEMATOPOIETIC STEM CELL TRANSPLANT. PROTOCOLLO JZP963-201
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	SPERIMENTAZIONE DI FASE 1/2 SULLA SICUREZZA ED EFFICACIA DI UNA SINGOLA DOSE DI CELLULE EMATOPOIETICHE STAMINALI E PROGENITRICI UMANE (HHSPCS) AUTOLOGHE, CD34+, MODIFICATE CON CRISPR-CAS9, IN SOGGETTI CON β -TALASSEMIA TRASFUSIONE DIPENDENTE. PROTOCOLLO CTX001-111
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	SPERIMENTAZIONE PHASE II OPEN-LABEL GLOBAL STUDY TO EVALUATE THE EFFECT OF DABRAFENIB IN COMBINATION WITH TRAMETINIB IN CHILDREN AND ADOLESCENT PATIENTS WITH BRAF V600 MUTATION POSITIVE RELAPSED OR REFRACTORY HIGH GRADE GLIOMA (HGG). PROTOCOLLO CDRB436G2201
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	SPERIMENTAZIONE AN OPEN-LABEL, RANDOMIZED, MULTI-CENTER, PARALLEL GROUP, TWO-ARM STUDY TO ASSESS THE SAFETY, OVERALL TOLERABILITY, AND ANTIVIRAL ACTIVITY OF BRINCIDOFOVIR VERSUS STANDARD OF CARE FOR TREATMENT OF ADENOVIRUS INFECTIONS IN HIGH-RISK PEDIATRIC ALLOGENEIC HEMATOPOIETIC CELL TRANSPLANT RECIPIENTS. PROTOCOLLO CMX001-999
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	SPERIMENTAZIONE DI FASE 1 B CHE VALUTA IDELALISIB IN BAMBINI E ADOLESCENTI AFFETTI DA LINFOMA DIFFUSO A GRANDI CELLULE B O LINFOMA A CELLULE B MEDIASTINICO RECIDIVANTE O REFRATTARIO, IN COMBINAZIONE CON RICE. PROTOCOLLO GS-US-313-1090
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Studio in aperto, a braccio singolo, multicentrico, per ampliare l'accesso ad emapalumab, un anticorpo monoclonale anti-interferone γ , e per valutarne la sua efficacia, sicurezza, impatto sulla Qualità di Vita, e outcome a lungo termine in pazienti pediatrici con linfocitocitosi emofagocitica primaria. Protocollo NI-0501-09
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Uno studio in aperto, multicentrico, di fase 2 per valutare l'efficacia e la sicurezza di daratumumab in soggetti pediatrici e giovani adulti di età compresa tra 1 e 30 anni con Leucemia Linfoblastica Acuta o Linfoma Linfoblastico da precursori delle cellule B o T, di tipo recidivante o refrattario. Protocollo 54767414ALL2005
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Studio di fase 1b/2, in aperto, a braccio singolo, a coorti multiple, multicentrico per valutare la sicurezza e l'efficacia di JCAR017 in soggetti pediatrici con Leucemia Linfoblastica Acuta a cellule B recidivante/refrattaria e linfoma non-Hodgkin a cellule B. Protocollo JCAR017-BCM-004
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Studio di fase 2/3, in aperto, a singolo braccio, multicentrico, per valutare la sicurezza, tollerabilità, farmacocinetica ed efficacia di somministrazioni intravenose multiple di NI-0501, un anticorpo monoclonale anti-interferone gamma (anti-IFN γ), in pazienti pediatrici con Linfocitocitosi Emofagocitica primaria (HLH) . PROTOCOLLO NI-0501-04
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Clinical phase II trial to compare Treosulfan-based conditioning therapy with Busulfan-based conditioning prior to allogeneic haematopoietic stem cell transplantation (HSCT) in paediatric patients with non-malignant diseases. Protocollo MC-FludT.16/NM
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Clinical phase II study to describe the safety and efficacy of Treosulfan-based conditioning therapy prior to allogeneic stem cell transplantation in paediatric patients with haematological malignancies. Protocollo MC-FludT.17/M
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Allogeneic Stem Cell Transplantation in Children and Adolescents with Acute Lymphoblastic Leukaemia. ALL SCTped 2012 FORUM

Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	An Open-Label Study of Brentuximab Vedotin+Adriamycin, Vinblastine, and Dacarbazine in Pediatric Patients With Advanced Stage Newly Diagnosed Hodgkin Lymphoma PROTOCOLLO C25004
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	PHASE VII STUDY OF ANTI-CD 19 CHIMERIC ANTIGEN RECEPTOR-EXPRESSING T CELLS IN PEDIATRIC PATIENTS AFFECTED BY RELAPSED/REFRACTORY CD19+ ACUTE LYMPHOBLASTIC LEUKEMIA AND NON HODGKIN LYMPHOMA. PROTOCOLLO CD19-CAR01
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Trattamento della malattia del trapianto contro l'ospite (GvHD) acuta, di grado severo, steroide-resistente con cellule stromali mesenchimali Protocollo clinico multicentrico, randomizzato, di fase III HOVON study. HOVON 113 MSC
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	A phase III randomized open-label multi-center study of ruxolitinib versus best available therapy in patients with corticosteroid-refractory acute graft vs. host disease after allogeneic stem cell transplantation. Protocollo CINC424C2301
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	A phase III randomized open-label multi-center study of ruxolitinib vs. best available therapy in patients with corticosteroid-refractory chronic graft vs host disease after allogeneic stem cell transplantation (REACH 3). Protocollo CINC424D2301
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	STUDIO DI FASE I/II SUL BOSUTINIB IN PAZIENTI PEDIATRICI CON LEUCEMIA MIELOIDE CRONICA RESISTENTI O INTOLLERANTI AD ALMENO UNA PRECEDENTE TERAPIA CON L'INIBITORE DELLA TIROSIN-CHINASI ITCC-054/AAML1621
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Studio di fase 3, in doppio cieco, randomizzato di Ibrutinib in combinazione con corticosteroidi rispetto al placebo in combinazione con corticosteroidi in soggetti con malattia cronica da reazione del trapianto contro l'ospite di nuova insorgenza (cGVHD, 'Chronic Graft Versus Host Disease'). PCYC-1140-IM
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Phase I/II study of anti-GD2 Chimeric Antigen Receptor-Expressing T cells in pediatric patients affected by High Risk and/or relapsed/refractory Neuroblastoma. GD2CAR01
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Studio clinico di fase I/II, in aperto, a dosi crescenti per valutare la farmacocinetica, la farmacodinamica, la sicurezza e l'attività clinica del farmaco begelomab come trattamento iniziale della malattia del trapianto contro l'ospite (GvHD) acuta in combinazione con la terapia standard con steroidi. protocollo ADN014
Locatelli Franco	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Studio di fase I/II su Inotuzumab Ozogamicina (InO) come singolo agente e in combinazione con la chemioterapia per la leucemia linfoblastica acuta recidivante/refrattaria CD22-positiva pediatrica. Protocollo Studio ITCC-059
Luciani Matteo	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Treatment study for children and adolescents with Acute Promyelocytic Leukemia. Protocollo ICCAPL01
Luciani Matteo	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	STUDIO PROSPETTICO, IN APERTO, CON DABIGATRAN ETEXILATO PER LA PREVENZIONE SECONDARIA DELLA TROMBOEMBOLIA VENOSA IN BAMBINI DALLA NASCITA FINO AI 18 ANNI". PROTOCOLLO BI 1160.108
Luciani Matteo	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Valutazione in aperto, multicentrica della sicurezza e dell'efficacia della proteina di fusione ricombinante costituita dal fattore VIII di coagulazione connesso al dominio Fc (rFVIII-Fc; BIIB031) nella prevenzione e nel trattamento del sanguinamento in pazienti affetti da emofilia A severa non trattati in precedenza. Protocollo 997HA306
Luciani Matteo	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	STUDIO CLINICO IN APERTO, NON CONTROLLATO, PER VALUTARE LA SICUREZZA DI UNA SINGOLA DOSE DI IDARUCIZUMAB, SOMMINISTRATO PER VIA ENDOVENOSA IN PAZIENTI PEDIATRICI ARRUOLATI NEGLI STUDI IN CORSO DI FASE IIB/III CON DABIGATRAN ETEXILATO PER IL TRATTAMENTO E LA PREVENZIONE SECONDARIA DEL TROMBOEMBOLISMO VENOSO. CODICE 1321.7

Luciani Matteo	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Studio di fase 3, prospettico, in aperto, internazionale, multicentrico sull'efficacia e la sicurezza della profilassi con rVWF della malattia di von Willebrand in forma grave Protocollo 071301
Luciani Matteo	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Studio clinico di fase 3, prospettico, multicentrico, non controllato, in aperto, per determinare l'efficacia, la sicurezza e la tollerabilità di rVWF, con o senza ADVATE, nel trattamento e nel controllo di episodi emorragici, l'efficacia e la sicurezza di rVWF in procedure chirurgiche di elezione e di emergenza, e la farmacocinetica (PK) di rVWF in bambini con diagnosi di malattia di von Willebrand in forma grave PROTOCOLLO 071102
Luciani Matteo	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Valutazione in aperto, multicentrica della sicurezza e dell'efficacia della proteina di fusione ricombinate costituita dal fattore IX di coagulazione connesso al dominio Fc (rFIXFc;BIIB029) nella prevenzione e nel trattamento del sanguinamento in pazienti affetti da emofilia B severa non trattati in precedenza. Protocollo 998HB303
Luciani Matteo	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	STUDIO IN APERTO, MULTICENTRICO, RANDOMIZZATO, CON CONTROLLO ATTIVO, PER GRUPPI PARALLELI, DI NON INFERIORITÀ, CON DABIGATRAN ETEXILATO VERSO UNA TERAPIA STANDARD PER IL TRATTAMENTO DELLA TROMBOEMBOLIA VENOSA IN BAMBINI DALLA NASCITA FINO AI 18 ANNI: STUDIO DIVERSITY. PROTOCOLLO BI: 1160.106
Lucidi Vincenzina	Fibrosi Cistica	Studio di fase 3, in aperto, di rollover per valutare la sicurezza e l'efficacia del trattamento a lungo termine con VX-661 in associazione con ivacaftor in soggetti di età pari o superiore a 12 anni affetti da fibrosi cistica, omozigoti o eterozigoti per la mutazione F508del-CFTR Protocollo VX14-661-110
Lucidi Vincenzina	Fibrosi Cistica	Studio randomizzato, in doppio cieco, di fase 3B sulla valutazione della sicurezza e dell'efficacia di 2 regimi terapeutici di Aztreonam 75 mg polvere e solvente per soluzione per nebulizzatore/Aztreonam soluzione per inalazione (AZLI) in soggetti pediatrici con fibrosi cistica (FC) e infezione/colonizzazione del tratto respiratorio da Pseudomonas aeruginosa (PA) di nuova insorgenza. GS-US-205-1850
Mastronuzzi Angela	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	An International Prospective Study in Children Older than 3 to 5 Years with Clinically Standard-Risk Medulloblastoma with Low-Risk Biological Profile. SIOP - PNET 5 MB - LR
Mastronuzzi Angela	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	SIOP EPENDYMOMA PROGRAM II -An international Clinical Program for the diagnosis and treatment of children, adolescents and young adults with ependymoma". Codice Protocollo: ET13-002
Menghini Deny	Neuropsichiatria Infantile	LA MINDFULNESS NEL TRATTAMENTO DEL DISTURBO DA DEFICIT DELL'ATTENZIONE E IPERATTIVITÀ: UNO STUDIO RANDOMIZZATO CONTROLLATO IN SINGOLO-CIECO CON VALUTATORE CIECO. Protocollo 1162_OPBG_2016
Milano Giuseppe Maria	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Protocolli RMS 2005 – rabdomiosarcoma non metastatico - e NRSTS 2005 – sarcoma dei tessuti molli localizzato non-rabdomiosarcoma
Milano Giuseppe Maria	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Studio in aperto, multi-centrico, randomizzato, di fase II per valutare l'aggiunta del bevacizumab alla chemioterapia in pazienti infantili e adolescenti che presentano rabdomiosarcoma e sarcoma molle non-rabdomiosarcoma metastatici. Protocollo BO20924
Milano Giuseppe Maria	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	Studio internazionale multicentrico randomizzato di fase II sulla combinazione di Vincristina e Irinotecan, con o senza Temozolomide, in pazienti affetti da rabdomiosarcoma refrattario o in recidiva. Protocollo VIT-0910 + Emendamento sost. VIT-0910 - 1.1 a - 15/07/2011
Milano Giuseppe Maria	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	INTERNATIONAL RANDOMISED CONTROLLED TRIAL OF CHEMOTHERAPY FOR THE TREATMENT OF RECURRENT AND PRIMARY REFRACTORY EWING SARCOMA. rEECur codice RG_13-277
Mosiello Giovanni	Chirurgia della Continenza e Neurourologia	Studio di estensione a lungo termine di BOTOX® nel trattamento dell'incontinenza urinaria dovuta a iperattività neurogenica del muscolo detrusore in pazienti da 8 a 17 anni di età. Protocollo 191622-121
Mosiello Giovanni	Chirurgia della Continenza e Neurourologia	BOTOX nel trattamento dell'incontinenza urinaria dovuta a iperattività detrusoriale neurogena in pazienti di età compresa tra 8 e 17 anni. Protocollo 191622-120
Mosiello Giovanni	Chirurgia della Continenza e Neurourologia	BOTOX® nel trattamento dell'incontinenza urinaria dovuta a vescica iperattiva in pazienti di età compresa tra 12 e 17 anni. Protocollo: 191622-137
Nicolai Rebecca	Reumatologia	RUOLO DEGLI INTERFERONI DI TIPO I E II NELLA PATOGENESI DELLA DERMATOMIOSITE GIOVANILE. 1236_OPBG_2016

Nobili Valerio	Epatologia, Gastroent. e Nutrizione	STUDIO DI EFFICACIA E TOLLERABILITÀ DEL TRATTAMENTO CON IDROSSITIROSOLO E VITAMINA E IN BAMBINI AFFETTI DA STEATOEPAITITE NON ALCOLICA Prot 1066_OPBG_2016
Palumbo Giuseppe	Onco Ematologia e Terapia Cellulare e Genetica	STUDIO IN APERTO PER VALUTARE L'EFFICACIA E LA SICUREZZA DI AG-348 IN SOGGETTI ADULTI REGOLARMENTE TRASFUSI AFFETTI DA DEFICIT DI PIRUVATO CHINASI (PK). PROTOCOLLO AG348-C-007
Parisi Francesco	Trapiantologia Toracica ed Iperensione Polmonare	Studio in aperto, di titolazione della dose individuale per valutare la sicurezza, la tollerabilità e la farmacocinetica di Riociguat in bambini e ragazzi da 6 a meno di 18 anni di età affetti da ipertensione arteriosa polmonare (PAH) (IAP). Protocollo BAY63-2521/15681
Santilli Antonella	Cardiologia	STUDIO DI FASE 1, IN APERTO, A DOSE SINGOLA, NON RANDOMIZZATO ATTO A VALUTARE LA FARMACOCINETICA (PHARMACOKINETICS, PK) E LA FARMACODINAMICA (PHARMACODYNAMICS, PD) DI EDOXABAN IN SOGGETTI PEDIATRICI. PROTOCOLLO DU176B-A-U157
Schiaffini Riccardo	Diabetologia	STUDIO MULTICENTRICO, RANDOMIZZATO, IN APERTO, A 2 BRACCI PARALLELI, DELLA DURATA DI 6 MESI PER CONFRONTARE L'EFFICACIA E LA SICUREZZA DI UNA NUOVA FORMULAZIONE DI INSULINA GLARGINE E LANTUS® SOMMINISTRATI PER INIEZIONE UNA VOLTA AL GIORNO A BAMBINI E ADOLESCENTI DI ETÀ COMPRESA FRA 6 E 17 ANNI CON DIABETE MELLITO DI TIPO 1, CON UN PERIODO DI ESTENSIONE DI SICUREZZA DI 6 MESI. PROTOCOLLO EFC13957
Specchio Nicola	Epilessie rare e complesse	Studio pilota di 26 settimane, multicentrico in aperto con Ganaxolone in bambine affette da Epilessia pediatrica associata a mutazione del gene PCDH 19 e altre rare forme di epilessia genetica seguito da una fase di estensione in aperto di 52 settimane. Protocollo 1042-900
Specchio Nicola	Epilessie rare e complesse	Studio di estensione multicentrico e multinazionale per valutare l'efficacia e la sicurezza a lungo termine di BMN 190 in pazienti affetti da malattia CLN2. Protocollo 190-202
Specchio Nicola	Epilessie rare e complesse	Studio di fase II, in aperto, per valutare la sicurezza, la tollerabilità e l'efficacia di BMN 190 somministrato per via intracerebroventricolare a pazienti affetti da CLN2. 190-203
Valeriani Massimiliano	Neuroscienze e Neuroriabilit.	Studio in aperto, randomizzato, multicentrico, a dosi multiple, con controllo attivo, a gruppi paralleli, sulla sicurezza e l'efficacia di BG00012 nei bambini di età compresa tra 10 e 18 anni affetti da sclerosi multipla recidivante remittente. Protocollo 109MS306
Vigevano Federico	Neuroscienze e Neuroriabilit.	STUDIO DI ESTENSIONE, MULTICENTRICO, IN APERTO, A LUNGO TERMINE PER VALUTARE L'EFFICACIA E LA SICUREZZA DI LACOSAMIDE COME TERAPIA AGGIUNTIVA IN SOGGETTI PEDIATRICI AFFETTI DA EPILESSIA CON CRISI AD ESORDIO PARZIALE. EP0034
Vigevano Federico	Neuroscienze e Neuroriabilit.	A MULTICENTER, DOUBLE-BLIND, RANDOMIZED, PLACEBO-CONTROLLED, PARALLEL-GROUP STUDY TO INVESTIGATE THE EFFICACY AND SAFETY OF LACOSAMIDE AS ADJUNCTIVE THERAPY IN SUBJECTS WITH EPILEPSY ≥1 MONTH TO <4 YEARS OF AGE WITH PARTIAL-ONSET SEIZURES PHASE 3. PROTOCOL SP0967
Vigevano Federico	Neuroscienze e Neuroriabilit.	Sperimentazione multicentrica, randomizzata, in doppio cieco, a gruppi paralleli, controllata verso placebo di due dosi fisse di soluzione orale ZX008 (fenfluramina cloridrato) come terapia supplementare in bambini e giovani adulti affetti dalla sindrome di Dravet. ZX008-1502
Vigevano Federico	Neuroscienze e Neuroriabilit.	An Open-Label Extension Trial to Assess the Long-Term Safety of ZX008 (Fenfluramine Hydrochloride) Oral Solution as an Adjunctive Therapy in Children and Young Adults with Dravet Syndrome. ZX008-1503

Vigevano Federico	Neuroscienze e Neuroriabilit.	STUDIO IN DUE PARTI DI ZX008 NEI BAMBINI E NEGLI ADULTI AFFETTI DA SINDROME DI LENNOX-GASTAUT (LGS); PARTE 1: STUDIO RANDOMIZZATO, IN DOPPIO CIECO, CONTROLLATO CON PLACEBO DI DUE DOSI FISSE DI ZX008 (FENFLURAMINA CLORIDRATO) SOLUZIONE ORALE COME TERAPIA AGGIUNTIVA PER LE CRISI NEI BAMBINI E NEGLI ADULTI AFFETTI DA LGS, SEGUITO DALLA PARTE 2: STUDIO DI ESTENSIONE IN APERTO PER VALUTARE LA SICUREZZA A LUNGO TERMINE DI ZX008 NEI BAMBINI E NEGLI ADULTI AFFETTI DA LGS. PROTOCOLLO ZX008-1601
Vivarelli Marina	Nefrologia e Dialisi	STUDIO RANDOMIZZATO DI FASE 2, IN DOPPIO CIECO, CONTROLLATO CON PLACEBO, VOLTO A VALUTARE LA SICUREZZA E L'EFFICACIA DI AVACOPAN (CCX168) IN PAZIENTI AFFETTI DA GLOMERULOPATIA C3. PROTOCOLLO: CL011_168
Vivarelli Marina	Nefrologia e Dialisi	STUDIO PROSPETTICO SULLA SICUREZZA ED EFFICACIA DELL'IMPIEGO DI CELLULE STROMALI MESENCHIMALI COME TERAPIA IMMUNOMODULATORIA IN PAZIENTI PEDIATRICI E GIOVANI ADULTI AFFETTI DA FORME SEVERE E DIFFICILI DI SINDROME NEFROSICA IDIOPATICA CORTICOSENSIBILE A FREQUENTI RECIDIVE O STEROIDO-DIPENDENTE: STUDIO MESNEPH. Protocollo 1262_OPBG_2018
Vivarelli Marina	Nefrologia e Dialisi	Studio multicentrico, in aperto, di fase 3 su ALXN1210 in bambini e adolescenti affetti da sindrome emolitica uremica atipica (SEUa). ALXN1210-aHUS-312