



Estudos iniciados pelo investigador Vertex Visão geral do programa

Nosso objetivo

Nossas bolsas para estudos iniciados por investigadores (Investigator-Initiated Studies, IIS) apoiam pesquisas independentes iniciadas por investigadores e desenhadas para promover o conhecimento científico de estados de doenças, populações de pacientes e tratamento médico, em alinhamento com nossas áreas clínicas e não clínicas de interesse. Trabalhamos com pesquisadores, médicos, especialistas em saúde pública e outros colaboradores líderes que compartilham nossa visão para transformar a vida das pessoas com doenças sérias, suas famílias e a sociedade.

Tipos de pesquisa elegíveis para apoio

Financiamento e/ou apoio a medicamentos podem estar disponíveis para as seguintes categorias de pesquisa:

- Estudos clínicos envolvendo KALYDECO® (ivacaftor), ORKAMBI® (lumacaftor/ivacaftor) e tezacaftor/ivacaftor
- Estudos observacionais que apoiam a pesquisa em estados de doença de fibrose cística, por exemplo, estudos epidemiológicos e estudos de resultados
- Estudos não clínicos que utilizam compostos da Vertex para ensaios *in vitro* ou modelos *in vivo**

*Os pedidos de compostos somente para estudos não clínicos devem ser enviados diretamente para compoundrequests@vrtx.com (e-mail: compoundrequests@vrtx.com)

Programas de pesquisa de interesse

- Fibrose cística

Critérios de análise

As seguintes áreas são levadas em consideração durante a análise da proposta:

- Disponibilidade de suporte
- Inovação
- Justificativa e rigor científico
- Considerações éticas
- Qualificações da Instituição e do IP
- Razoabilidade do apoio
- Alinhamento com as estratégias globais de pesquisa e desenvolvimento da Vertex

Para ser elegível para receber apoio, você precisa assumir a responsabilidade total por desenhar, realizar e monitorar seus próprios estudos.

Processo de envio da proposta

Você pode solicitar o programa de IIS usando o sistema de pedidos on-line da Vertex, localizado em:

www.vrtxiisgrants.com

Para pesquisas clínicas, o pedido é um processo de 2 etapas que envolve o envio de uma proposta de conceito preliminar que, se aceita, é seguida pelo envio de protocolo mais detalhado. Os pedidos não clínicos normalmente requerem uma apresentação única.

Proposta de conceito

Uma proposta de conceito é uma descrição breve e de alto nível do seu estudo. Não é destinado a ser um resumo ou protocolo completo.

Pedidos de pesquisa não clínica requerem uma apresentação de proposta de conceito única. Para pesquisas clínicas, as propostas de conceito aprovadas requerem um envio de protocolo detalhado subsequente, que passa em seguida por uma segunda rodada de análise.

As análises de conceitos geralmente são concluídas dentro de 8 a 12 semanas. Você será notificado das decisões de análise por e-mail. Após a aprovação de um protocolo, estudos não podem ser iniciados até que um contrato de bolsa mutuamente aceitável tenha sido assinado.

Protocolo detalhado

Para estudos clínicos, se uma proposta de conceito for aprovada, o passo seguinte é enviar um protocolo completo. Um protocolo é significativamente mais detalhado e bem desenvolvido e é necessário somente para pedidos de pesquisa clínica.

Observe que a apresentação de uma proposta de protocolo não garante financiamento ou materiais eventuais.

As análises de protocolo geralmente são concluídas dentro de 60 dias. Você será notificado das decisões de análise por e-mail. Os estudos não podem ser iniciados até que um contrato de bolsa mutuamente aceitável tenha sido assinado.

Orçamentos do estudo

Os orçamentos de estudo devem ser apresentados no momento do envio do conceito e devem incluir todos os custos do estudo esperados. Todos os orçamentos serão analisados para determinar a exatidão e alinhamento com o valor justo de mercado.

Todos os pedidos de estudo não clínico precisam apresentar um orçamento de estudo abrangente no momento da apresentação do conceito. Estes orçamentos devem incluir estoques do estudo, análise estatística, custos de animais e quaisquer outros custos únicos. As despesas gerais institucionais devem ser incluídas.

Os pedidos de estudo clínico precisam apresentar uma estimativa detalhada do orçamento do estudo no momento da apresentação do conceito. Se a sua proposta de conceito clínico for aprovada, você precisará enviar um orçamento do estudo detalhado com linhas de itens. Certifique-se de incluir quaisquer custos de inicialização, salários para pessoal de apoio, custos de pacientes, taxas laboratoriais e quaisquer outras exigências. Em um esforço para assegurar que isto possa ser feito de forma eficiente, recomendamos que você comece com o modelo de orçamento fornecido à esquerda da página Web de envio do protocolo e altere-o para refletir suas atividades relacionadas ao protocolo e os custos institucionais.

Ao enviar seu orçamento, você está certificando que qualquer percentagem indireta indicada é condizente com as suas diretrizes institucionais. Observe que alguns custos, por exemplo, taxas de CEP (Comitê de Ética em Pesquisa), custos com animais, etc., são considerados custos indiretos do estudo e não estão sujeitos a despesas gerais institucionais.

Informações adicionais sobre os orçamentos de IIS estão disponíveis no documento das Diretrizes orçamentais de IIS (IIS Budget Guidelines) no portal de IIS (vrtxiisgrants.com)

Processo de análise e contratação

Se uma proposta de conceito não clínico for aprovada, a Vertex entrará em contato com o departamento jurídico ou o escritório de contratos que você listou no seu pedido para começar a negociar um contrato de bolsa. Observe que os estudos não podem ser iniciados até que um contrato de bolsa mutuamente aceitável tenha sido assinado.

Se uma proposta de conceito clínico for aprovada, você será instruído por e-mail para fazer log-in no site de IIS da Vertex e enviar um protocolo completo. O protocolo passa em seguida por um segundo ciclo de análise. Se o protocolo receber a aprovação final do Comitê de Revisão de IIS, a Vertex entrará em contato com o departamento jurídico ou o escritório de contratos que você listou no seu pedido para começar a negociar um contrato de bolsa. Observe que os estudos não podem ser iniciados até que um contrato de bolsa mutuamente aceitável tenha sido assinado.

O contrato de pesquisa abrangerá itens como responsabilidades regulatórias, exigências de relato de segurança, indenização, propriedade intelectual e publicações.

Exigências de iniciação

Se o seu conceito não clínico for aprovado, a Vertex exigirá um contrato de pesquisa e documentação de aprovação institucional de cuidados e uso de

animais (Institutional Animal Care and Use, IUCAC), se necessário, antes do início do estudo.

Se o seu protocolo clínico for aprovado, a Vertex exigirá a documentação de aprovação do Comitê de Ética em Pesquisa (CEP), uma cópia do protocolo final aprovado pelo CEP, a confirmação da aprovação da autoridade regulatória (se aplicável) e um contrato de concessão totalmente assinado antes do início do estudo.

Responsabilidades regulatórias (pesquisa clínica)

Como patrocinador do estudo, você precisa assegurar que o estudo seja realizado de acordo com todas as exigências regulatórias aplicáveis, inclusive a adesão às diretrizes da Conferência Internacional sobre Harmonização (International Conference on Harmonisation, ICH) e Boas Práticas Clínicas (BPC). Você precisa assumir todas as responsabilidades regulatórias, inclusive, sem limitação, as aprovações do CEP, as aprovações das autoridades regulatórias e quaisquer obrigações de relatos associadas às autoridades regulatórias.

Se o estudo utilizar um produto de forma não condizente com o rótulo do produto aprovado, você, como patrocinador do estudo, precisa apresentar um pedido à autoridade regulatória relevante, por exemplo, um pedido de novo medicamento em investigação (Investigational New Drug, IND) para a Agência de alimentos e medicamentos dos EUA (Food and Drug Administration, FDA) ou um pedido de estudo clínico (Clinical Trial Application, CTA) para o Ministério da Saúde do Canadá. A Vertex fornecerá documentação de apoio necessária para documentos IND/CTA sob a forma de uma carta de referência cruzada.

Atualizações do estudo

Todos os investigadores serão requeridos por contrato a enviar atualizações de progresso do estudo trimestralmente. Isto exigirá que o investigador descreva, de maneira específica e quantificável, o status atual do protocolo e relate quaisquer publicações planejadas, aprovações de estudo atualizadas ou propostas de emendas propostas.

Emendas ao protocolo

Todas as emendas aos protocolos do estudo precisam ser enviadas e aprovadas pela Vertex antes do envio ao CEP ou autoridade regulatória regente. A documentação das aprovações do CEP e aprovações regulatórias subsequentes precisam ser enviadas à Vertex.

Exigências de relatos de segurança (pesquisa clínica)

Se o seu estudo envolver o uso de um produto da Vertex, será necessário que você siga as exigências de relato de segurança da Vertex.

Você precisa relatar todo evento adverso sério (EAS) à Vertex dentro de 24 horas do primeiro conhecimento. Os EASs podem ser relatados usando um

formulário de relato de EAS fornecido pela Vertex ou outro formulário de relato aprovado pela Vertex.

Os relatos de EAS são enviados para o departamento de segurança do paciente global da Vertex em:

globalpatientsafety@vrtx.com

Qualquer relato agregado de segurança, por exemplo, relatório anual enviado a qualquer autoridade da saúde ou agência regulatória também precisa ser relatado ao departamento de segurança do paciente global da Vertex em paralelo.

Todas as exigências de relatos de segurança também serão dispostas no contrato entre a Vertex e a sua instituição. O relato à Vertex não o dispensa de suas obrigações de relato ao CEP ou à autoridade regulatória. A Vertex não relatará EAs/EASs para sua autoridade regulatória em seu nome.

Informações de pagamento

Os pagamentos estão ligados à realização dos marcos do estudo estabelecidos no contrato de bolsa. Para receber um pagamento associado a um marco em particular, você precisa enviar uma fatura ao nosso departamento de contas a pagar. As faturas podem ser enviadas por e-mail para:

Accounts_Payable@vrtx.com
e com cópia para: vrtx_iisgrants@vrtx.com

Fornecimento de medicamentos

A Vertex fornecerá o medicamento em estudo de acordo com os termos do contrato de bolsa. O medicamento em estudo será usado exclusivamente no estudo e não pode ser disponibilizado para nenhuma outra parte. O medicamento restante na conclusão do estudo precisa ser destruído de acordo com a política institucional e a documentação da sua destruição precisa ser fornecida à Vertex.

As remessas de materiais não clínicos serão feitas após o recebimento de um contrato de bolsa totalmente assinado e de acordo com a programação concordada.

Para estudos clínicos, salvo indicado de outro modo, o medicamento em estudo será fornecido na embalagem comercial aprovada. Qualquer etiquetagem específica do estudo é de sua responsabilidade como patrocinador do estudo. O armazenamento seguro, contabilidade de medicamentos, etc., também são de sua responsabilidade como patrocinador do estudo.

A expedição inicial de medicamentos clínicos será realizada mediante o recebimento de um contrato de bolsa totalmente assinado, aprovação do CEP, uma cópia do protocolo aprovado pelo CEP, documentação de recebimento de IND/CTA (conforme aplicável) e verificação do licenciamento farmacêutico.

Envios de medicamentos clínicos adicionais serão realizados dependendo da inscrição de sujeitos. Você pode solicitar envios adicionais por meio do site de gerenciamento de pedidos e estudos on-line.

Exigências de fechamento

A Vertex requer um relatório por escrito final documentando os resultados do estudo na conclusão de cada estudo iniciado pelo investigador. Os detalhes relativos a este requisito serão descritos no contrato de bolsa. Na conclusão do estudo, também será necessário fornecer à Vertex uma reconciliação financeira com os financiamentos fornecidos e a documentação da destruição de qualquer medicamento em estudo restante.

Publicações

A Vertex está comprometida com a transparência dos dados do estudo e incentiva a publicação de todos os resultados do estudo. Sendo assim, esperamos que todos os investigadores analisem os princípios orientadores dispostos pelo Comitê internacional de editores de publicações médicas (*International Committee of Medical Journal Editors*) e estejam em conformidade com suas exigências de registro e publicação, que podem ser encontrados aqui: <http://www.icmje.org> (<http://www.icmje.org/>) / (<http://www.icmje.org/>)

Conforme mencionado acima, requeremos, em nossos contratos, que manuscritos, resumos e apresentações sejam enviados à Vertex, antes da sua apresentação, para análise de cortesia e para permitir a proteção dos direitos de propriedade intelectual.

Registro de estudos em sites públicos

A Vertex incentiva investigadores ou suas instituições a publicar estudos aplicáveis na base de dados ClinicalTrials.gov da FDA (www.ClinicalTrials.gov) ou em um site de registro de estudos em seu país.

Divulgação financeira

A Vertex pode divulgar publicamente o financiamento associado ao apoio de IIS.

Ajuda para pedidos

Para dúvidas sobre o programa de IIS da Vertex, entre em contato com: vrtx_iisgrants@vrtx.com.