



**ASU FC**  
Azienda sanitaria  
universitaria  
Friuli Centrale

## **DECRETO DEL DIRETTORE GENERALE**

**dott. Denis Caporale**

*nominato con deliberazione della Giunta Regionale  
n. 591 del 21 aprile 2021*

**N. 1407**

**DEL 20/12/2023**

### **AVENTE AD OGGETTO:**

Sperimentazione clinica profit di fase 4, dal titolo: "Uno studio di efficacia post-autorizzazione di fase IV, multicentrico, in aperto, della durata di 24 mesi, per valutare l'efficacia, la sicurezza e l'immunogenicità del trattamento quotidiano sottocutaneo con metreleptina in pazienti con lipodistrofia parziale." - Protocollo APL-22 - Numero EU-CT 2022-502950-14 - SOC Coordinamento Regionale Malattie Rare - Sperimentatore Principale Dott.ssa Annalisa Sechi.

Con la partecipazione per l'espressione dei pareri di competenza:

**del Direttore Amministrativo avv. Francesco Magris**  
**del Direttore Sanitario dott. David Turello**  
**del Direttore dei Servizi Sociosanitari dott. Massimo Di Giusto**

OGGETTO: Sperimentazione clinica profit di fase 4, dal titolo: "Uno studio di efficacia post-autorizzazione di fase IV, multicentrico, in aperto, della durata di 24 mesi, per valutare l'efficacia, la sicurezza e l'immunogenicità del trattamento quotidiano sottocutaneo con metreleptina in pazienti con lipodistrofia parziale." - Protocollo APL-22 - Numero EU-CT 2022-502950-14 - SOC Coordinamento Regionale Malattie Rare - Sperimentatore Principale Dott.ssa Annalisa Sechi.

**PRESO ATTO** che la CRO Fortrea Inc., che agisce in nome e per conto del Promotore Amryt Pharmaceuticals DAC, ha presentato regolare domanda di autorizzazione per lo svolgimento della sperimentazione clinica profit di fase 4, multicentrico, in aperto, dal titolo: "*Uno studio di efficacia post-autorizzazione di fase IV, multicentrico, in aperto, della durata di 24 mesi, per valutare l'efficacia, la sicurezza e l'immunogenicità del trattamento quotidiano sottocutaneo con metreleptina in pazienti con lipodistrofia parziale.*" - Protocollo APL-22 - Numero EU-CT 2022-502950-14, da condursi presso la SOC Coordinamento Regionale Malattie Rare, diretta dal Prof. Maurizio Scarpa;

**RICHIAMATA** la normativa di riferimento in materia di sperimentazioni cliniche:

- D.Lgs. n. 211 del 24.06.2003 e s.m.i. relativo all'applicazione della buona pratica clinica nell'esecuzione delle sperimentazioni cliniche di medicinali, così come integrato e modificato dal D.Lgs. n. 200 del 06.11.2007 e dal Decreto del Ministero della Salute 21.12.2007;
- Regolamento (UE) n. 536/2014 del Parlamento Europeo e del Consiglio del 16 aprile 2014 sulla sperimentazione clinica di medicinali per uso umano e che abroga la direttiva 2001/20/CE;
- Regolamento di esecuzione (UE) 2022/20 della Commissione del 7 gennaio 2022 recante modalità di applicazione del Regolamento (UE) n. 536/2014 del Parlamento Europeo e del Consiglio per quanto riguarda la definizione delle norme e delle procedure per la cooperazione degli Stati membri nella valutazione della sicurezza delle sperimentazioni cliniche;
- DM 27.01.2023 Regolamentazione della fase transitoria ai sensi dell'art. 2, comma 15, della legge 11 gennaio 2018, n. 3. In relazione alle attività di valutazione e alle modalità di interazione tra il Centro di coordinamento, i

comitati etici territoriali, i comitati etici a valenza nazionale e l'Agencia italiana del Farmaco;

**VISTA** la dichiarazione sulla fattibilità della sperimentazione clinica del 06.06.2023 (prot. n. 86489 del 12.06.2023), validata dal Direttore di Struttura, con la quale la Dott.ssa Annalisa Sechi, dirigente medico presso la SOC Coordinamento Regionale Malattie Rare, ha chiesto l'attivazione, sotto la sua responsabilità, della sperimentazione clinica in oggetto;

**ATTESO CHE** la Sperimentazione è stata regolarmente autorizzata a norma del Capo II del Regolamento, previo provvedimento di autorizzazione nazionale AIFA caricato sul portale UE di cui all'art. 80 del Regolamento in data 9 Ottobre 2023 (prot. n. 167885 del 15.11.2023), che include il parere emesso dal Comitato Etico Nazionale per le sperimentazioni cliniche in ambito pediatrico;

**PRESO ATTO** del nulla osta rilasciato in data 18.12.2023 (prot. n. 184789 del 18.12.2023) da parte del Nucleo Ricerca Clinica;

**DATO ATTO** che:

- tutte le informazioni raccolte durante la sperimentazione verranno trattate in ottemperanza al Regolamento Europeo 2016/679;
- verranno adottate tutte le misure fisiche e tecniche di cui all'art. 32 del GDPR e verranno effettuati gli eventuali controlli di sicurezza previsti dalla normativa vigente, a protezione di dati, informazioni e documenti (cartacei e elettronici);
- l'Azienda Sanitaria Universitaria Friuli Centrale è il Titolare del trattamento dei dati personali e lo Sperimentatore Principale è individuato dall'Ente quale persona autorizzata al trattamento dei dati inerenti alla Sperimentazione in oggetto ai sensi dell'art. 29 GDPR e quale soggetto designato ai sensi dell'art. 2-quaterdecies del D.Lgs. n. 196/2003, così come modificato dal D.Lgs. n. 101/2018, e s.m.i.;

**DATO ATTO** inoltre che "Il Centro di Coordinamento Nazionale dei Comitati Etici Territoriali per le sperimentazioni cliniche sui medicinali per uso umano e sui dispositivi medici", tenendo conto anche dei commenti, osservazioni e suggerimenti pervenuti a seguito della Consultazione Pubblica, ha definito il "Contratto per la conduzione della sperimentazione clinica profit sui medicinali", in ottemperanza a quanto definito dall'articolo 2, comma 6, Legge n. 3/2018, precisando:

- si tratta di un documento che contiene i contenuti minimi, il che vuol dire che, in caso di particolari disegni di studio o di specifiche necessità, potrà essere integrato;
- in assenza di esigenze specifiche di integrazione, il contratto dovrà invece essere utilizzato nella sua forma originale, in modo da garantire l'omogeneità della sua applicazione nell'ambito di studi multicentrici;

**VISTO** lo schema di contratto, redatto ai sensi della normativa vigente in materia e di quanto sopra riportato, che sarà sottoscritto dal Direttore generale;

**DATO ATTO** che il contratto è stato oggetto di minime integrazioni apportate in relazione alle specifiche necessità del disegno di studio;

**PRESO ATTO** che dalla documentazione dello studio risulta quanto segue:

- lo Sperimentatore principale è la Dott.ssa Annalisa Sechi;
- la sperimentazione prevede l'arruolamento competitivo di circa n. 1-2 soggetti, secondo le modalità previste dal protocollo al quale si fa espresso rinvio;
- la sperimentazione avrà inizio dalla data di sottoscrizione del contratto e terminerà al completamento di tutte le attività previste dal protocollo, prevista presumibilmente per il mese di agosto 2027;
- il prodotto farmaceutico oggetto della Sperimentazione [Myalepta (Mentreleptina) - prodotto in commercio] non sarà fornito da parte del Promotore, sulla base di quanto previsto dal Protocollo;

**ACCERTATO** che il Promotore si impegna a sollevare l'Ente dalle responsabilità connesse alla sperimentazione e dai danni cagionati ai pazienti derivanti dalla somministrazione di farmaci, purché la stessa sia effettuata a norma del Protocollo, e che lo stesso Promotore ha stipulato una polizza assicurativa per la sperimentazione clinica in oggetto con la compagnia LLOYD'S (polizza n. HSLCET23011 con scadenza 1° Maggio 2027), che provvederà a rinnovare se necessario;

**DATO ATTO** che, così come stabilito dalla normativa di riferimento, dalla documentazione agli atti dell'Ufficio proponente, risulta che nessun costo aggiuntivo sarà a carico del Servizio Sanitario Regionale;

**PRESO ATTO** che il Responsabile della SOSD Gestione amministrativa ricerca, sperimentazioni e progetti finanziati, nel proporre il presente atto, attesta l'avvenuta regolare istruttoria del procedimento, anche in ordine alla compatibilità con la vigente normativa, la regolarità tecnica ed amministrativa e la legittimità e congruenza dell'atto con le finalità istituzionali di questo Ente;

**ACQUISITO** il parere favorevole del Direttore Amministrativo, del Direttore Sanitario e del Direttore dei Servizi Sociosanitari, per quanto di rispettiva competenza;

## **D E C R E T A**

per i motivi di cui in premessa, che si intendono integralmente riportati, di:

- 1) autorizzare lo svolgimento della sperimentazione clinica profit di fase 4, multicentrico, in aperto, dal titolo: *"Uno studio di efficacia post-autorizzazione di fase IV, multicentrico, in aperto, della durata di 24 mesi, per valutare l'efficacia, la sicurezza e l'immunogenicità del trattamento quotidiano sottocutaneo con metreleptina in pazienti con lipodistrofia*

*parziale.*" - Protocollo APL-22 - Numero EU-CT 2022-502950-14, da condursi presso la SOC Coordinamento Regionale Malattie Rare, diretta dal Prof. Maurizio Scarpa;

- 2) autorizzare la sottoscrizione del contratto sopracitato, predisposto in conformità a quanto definito da "Il Centro di Coordinamento Nazionale dei Comitati Etici Territoriali per le sperimentazioni cliniche sui medicinali per uso umano e sui dispositivi medici" e autorizzare le minime integrazioni apportate allo stesso in relazione alle specifiche necessità del disegno di studio;
- 3) dare atto che la sperimentazione, la cui chiusura è prevista presumibilmente per il mese di agosto 2027, prevede l'arruolamento competitivo di circa n. 1-2 soggetti, secondo le modalità previste dal protocollo al quale si fa espresso rinvio;
- 4) dare atto che il prodotto farmaceutico oggetto della Sperimentazione [Myalepta (Metreleptina) - prodotto in commercio] non sarà fornito da parte del Promotore, sulla base di quanto previsto dal Protocollo;
- 5) dare atto che, sulla base di quanto riferito in premessa, nessun costo aggiuntivo sarà a carico del Servizio Sanitario Regionale;
- 6) dare atto che il Promotore si impegna a sollevare l'Ente dalle responsabilità connesse alla sperimentazione e dai danni cagionati ai pazienti derivanti dalla somministrazione di farmaci, purché la stessa sia effettuata a norma del Protocollo, e che lo stesso Promotore ha stipulato una polizza assicurativa per la sperimentazione clinica in oggetto con la LLOYD'S (polizza n. HSLCET23011 con scadenza 1° Maggio 2027), che provvederà a rinnovare se necessario;

7) prendere atto che lo Sperimentatore Principale, Dott.ssa Annalisa Sechi, è individuato dall'Ente quale persona autorizzata al trattamento dei dati inerenti alla Sperimentazione in oggetto ai sensi dell'art. 29 GDPR e quale soggetto designato ai sensi dell'art. 2-*quaterdecies* del D.Lgs. n. 196/2003, così come modificato dal D.Lgs. n. 101/2018, e s.m.i.

Letto, approvato e sottoscritto digitalmente

Il Direttore Amministrativo  
**avv. Francesco Magris**

Il Direttore Sanitario  
**dott. David Turello**

Il Direttore dei Servizi Sociosanitari  
**dott. Massimo Di Giusto**

Il Direttore Generale  
**dott. Denis Caporale**

# Elenco firmatari

ATTO SOTTOSCRITTO DIGITALMENTE AI SENSI DEL D.P.R. 445/2000 E DEL D.LGS. 82/2005 E SUCCESSIVE MODIFICHE E INTEGRAZIONI

Questo documento è stato firmato da:

NOME: FRANCESCO MAGRIS

CODICE FISCALE: MGRFNC69D27G888F

DATA FIRMA: 20/12/2023 15:43:56

IMPRONTA: 0DB701E3C72E042D5E837F98F1A027235581889ADA28D17CA3B64F71EBD7871D  
5581889ADA28D17CA3B64F71EBD7871D49F76585EE3C20139D33F5058F44E75F  
49F76585EE3C20139D33F5058F44E75FC2A536526BC2E29823BB6CB085454C13  
C2A536526BC2E29823BB6CB085454C13167994B00F932A0A848B30C896B035BD

NOME: DAVID TURELLO

CODICE FISCALE: TRLDVD77S13G284T

DATA FIRMA: 20/12/2023 16:05:30

IMPRONTA: 53818D7633D7E47B926F01B325A7291C139171BB44D6881F6E1FEC94527B89C6  
139171BB44D6881F6E1FEC94527B89C6D5FC2222ECBE592F29B9D3A87EACD066  
D5FC2222ECBE592F29B9D3A87EACD066A2E566A93D262DDD6ADBAAC688BEE781  
A2E566A93D262DDD6ADBAAC688BEE7811928BB7215EF8FA20E868C33ECC19BBC

NOME: MASSIMO DI GIUSTO

CODICE FISCALE: DGSMSM70R19L483N

DATA FIRMA: 20/12/2023 16:26:36

IMPRONTA: 341A3A0CE1308E55C8F6341A9D2D9FF43D8F08CEB5C3CBA7D17C344C047BD98C  
3D8F08CEB5C3CBA7D17C344C047BD98CC2839EE65EE6E219E2E5DEC18E6A3D52  
C2839EE65EE6E219E2E5DEC18E6A3D5200309DDA83CC7A8494A8C6C33D65D594  
00309DDA83CC7A8494A8C6C33D65D5945607B29BAD220D4AE7A9C686C30E7F54

NOME: DENIS CAPORALE

CODICE FISCALE: CPRDNS75M11C758X

DATA FIRMA: 20/12/2023 16:35:09

IMPRONTA: 14DC8D946E81B556D1813A49B799EE5AEEDAA28FDE78038930DFDC26EE7EACB7  
EEDAA28FDE78038930DFDC26EE7EACB76F49AE473E1A38EBF8FEDB14F02CE71F  
6F49AE473E1A38EBF8FEDB14F02CE71FCBAE50AB00AECECEC29605C767AC3D9B3  
CBAE50AB00AECECEC29605C767AC3D9B372CBFE2F27AFF147D3E5D97297ED1B5E