



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. 27

DEL 13/01/2023

AVENTE AD OGGETTO:

Autorizzazione studio profit, interventistico con farmaco, protocollo DNLI-E-007, Soc Coordinamento Regionale Malattie Rare, Prof. Maurizio Scarpa

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 facente funzioni dott. Massimo Di Giusto

OGGETTO: Autorizzazione studio profit, interventistico con farmaco, protocollo DNLI-E-007, Soc Coordinamento Regionale Malattie Rare, Prof. Maurizio Scarpa

PRESO ATTO che PPD Italy Srl in nome proprio e per conto di Denali Therapeutics inc., ha presentato regolare domanda di autorizzazione per lo svolgimento dello studio profit, interventistico con farmaco, di fase II, intitolato: "Studio di fase 2/3, multicentrico, in doppio cieco, randomizzato per determinare l'efficacia e la sicurezza di DNL310 rispetto a idursulfasi in partecipanti pediatrici con mucopolisaccaridosi neuronopatica o non neuronopatica di tipo II", protocollo DNLI-E-0007, da condursi presso la Soc Coordinamento Regionale Malattie Rare, diretta dal Prof. Maurizio Scarpa;

RICHIAMATA la normativa di riferimento in materia di sperimentazioni:

- D.Lgs. n. 211 del 24.06.2003 e s.i.m. relativo all'applicazione della buona pratica clinica nell'esecuzione delle sperimentazioni cliniche di medicinali, così come integrato e modificato dal D.Lgs. nr. 200 del 06.11.2007 e dal Decreto 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;

VISTO lo scioglimento riserve del Comitato Etico Unico Regionale del parere condizionato espresso nella seduta del 22.11.2022 odg. 4.9 (parere CEUR-2022 Sper. 97), come da protocollo agli atti n. 608 del 02.01.2023;

ACQUISITA la disponibilità del Prof. Maurizio Scarpa, (come da protocollo agli atti nr. 176256 del 09.11.2022), Direttore della Soc Coordinamento Regionale Malattie Rare, nonché Sperimentatore Principale, alla conduzione dello studio che non ostacolerà la pratica assistenziale e verrà condotto secondo il protocollo di studio, in conformità ai principi della Buona Pratica Clinica, della dichiarazione di Helsinki, nel rispetto delle normative vigenti e dell'organizzazione interna;

DATO ATTO che:

- tutte le informazioni raccolte durante il predetto studio verranno trattate in ottemperanza al Regolamento Europeo 2016/679 del 27.04.2016 e al D.Lgs. nr. 196 del 30.06.2003, così come modificato dal D.Lgs. nr. 101 del 18.08.2018 recante disposizioni in materia di protezione dati personali, e le Linee guida delle autorità competenti;
- l'Azienda Sanitaria Universitaria Friuli Centrale è il Titolare del trattamento dei dati personali e allo Sperimentatore Principale è attribuito, ai sensi dell'art. 29 del GDPR e quale soggetto designato ai sensi dell'art. 2, quaterdecies del D.Lgs. nr. 196 del 30.06.2003 e s.i.m., il trattamento di tutti i dati inerenti alla sperimentazione stessa;

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 nr. 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 o suo delegato, dando atto che potrà essere oggetto di minime integrazioni in relazione alle specifiche necessità del disegno di studio;

ATTESO che:

- lo studio, la cui chiusura è prevista presumibilmente entro 18 mesi dall'attivazione, prevede l'arruolamento competitivo di 2/3 pazienti, secondo le modalità previste dal protocollo al quale si fa espresso rinvio;
- i farmaci in studio, (DNLI310 e Idursulfase (Elaprase™), e gli altri farmaci previsti dal protocollo in ottemperanza al D.M. 21 dicembre 2007, Allegato 1, punto 3 Tabella I, e tutto il materiale necessario all'effettuazione dello studio relativamente alle procedure espressamente richieste dal Protocollo saranno forniti gratuitamente dal Promotore per tutti i pazienti e per l'intera durata dello studio;

DATO ATTO che nell'ambito dello studio verrà concessa, in comodato d'uso gratuito, la seguente attrezzatura:

- n. 1 ECG 12 Lead Clario, MAC 2000;
- n. 1 Spirometro, SpiroSphere;
- n. 1 TOVA kit, microswitch and cables;
- n. 1 VeraSci iPad (Vineland-III audio recording);
- n. 1 TOVA laptop, Dell Latitude 3310 Laptop;
- n. 1 Pompa di infusione, Braun Infusomat Space pump;
- n. 1 Termometro timpanico, TsPro600TH889J;
- n. 1 Scatola contenente il seguente materiale:KABC (Kaufman Assessment Battery for Children), BSID (Bayley-III Complete Screening), WISC (Wechsler Intelligence Scale for Children);
- n. 1 Goniometer Baseline – AA12"/30 cm;
- n. 1 TruLab Sample scanning device, iPhone 8;

ACCERTATO che il Promotore ha provveduto alla stipula di idonea copertura assicurativa ai sensi e per gli effetti del DM 14.07.2009 recante scadenza 09.08.2025;

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

PRESO ATTO che il Dirigente afferente alla SOSD Gestione amministrativa ricerca, sperimentazioni e progetti finanziati ha attestato l'avvenuta regolare istruttoria del procedimento, anche in ordine alla compatibilità con la vigente normativa;

PRESO ATTO che il Direttore ad interim della SOSD Gestione amministrativa ricerca, sperimentazioni e progetti finanziati, nel proporre il presente atto, attesta la regolarità tecnica ed amministrativa e la legittimità e congruenza dell'atto con le finalità istituzionali di questo ente, stante anche l'istruttoria effettuata a cura del suddetto Dirigente;

ACQUISITO il parere favorevole del Direttore amministrativo, del Direttore sanitario e del Direttore dei Servizi Sociosanitari facente funzioni, per quanto di rispettiva competenza;

D E C R E T A

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

- 1) di autorizzare, lo svolgimento dello studio clinico, profit, interventistico con farmaco, di fase II, intitolato: "Studio di fase 2/3, multicentrico, in doppio cieco, randomizzato per determinare l'efficacia e la sicurezza di DNL310 rispetto a idursulfasi in partecipanti pediatrici con mucopolisaccaridosi neuronopatica o non neuronopatica di tipo II", protocollo DNLI-E-0007, da condursi presso la Soc Coordinamento Regionale Malattie Rare, diretta dal Prof. Maurizio Scarpa;
- 2) di autorizzare la sottoscrizione del contratto sopra citato, 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", autorizzandone in caso di necessità ed in relazione alla specificità del disegno di studio, eventuali integrazioni che saranno condivise con la controparte firmataria e che sarà sottoscritto dal Direttore Generale o suo delegato;

- 3) di dare atto che lo studio, la cui chiusura è prevista presumibilmente entro 18 mesi, prevede l'arruolamento competitivo di 2/3 pazienti, secondo le modalità previste dal protocollo al quale si fa espresso rinvio;
- 4) di dare atto che i farmaci in studio, (DNLI310 e Idursulfase (Elaprase™), e gli altri farmaci previsti dal protocollo in ottemperanza al D.M. 21 dicembre 2007, Allegato 1, punto 3 Tabella I, e tutto il materiale necessario all'effettuazione dello studio relativamente alle procedure espressamente richieste dal Protocollo saranno forniti gratuitamente dal Promotore per tutti i pazienti e per l'intera durata dello studio;
- 5) di dare atto che, per lo svolgimento dello studio, verrà concessa in comodato d'uso gratuito la seguente attrezzatura:
 - n. 1 ECG 12 Lead Clario, MAC 2000;
 - n. 1 Spirometro, SpiroSphere;
 - n. 1 TOVA kit, microswitch and cables;
 - n. 1 VeraSci iPad (Vineland-III audio recording);
 - n. 1 TOVA laptop, Dell Latitude 3310 Laptop;
 - n. 1 Pompa di infusione, Braun Infusomat Space pump;
 - n. 1 Termometro timpanico, TsPro600TH889J;
 - n. 1 Scatola contenente il seguente materiale:KABC (Kaufman Assessment Battery for Children), BSID (Bayley-III Complete Screening), WISC (Wechsler Intelligence Scale for Children);
 - n. 1 Goniometer Baseline – AA12"/30 cm;
 - n. 1 TruLab Sample scanning device, iPhone 8;

- 6) di dare atto, sulla base di quanto riferito nella premessa, che nessun costo aggiuntivo sarà a carico del Servizio Sanitario Regionale;
- 7) di dare atto che il Promotore ha provveduto alla stipula di idonea copertura assicurativa ai sensi e per gli effetti del DM 14.07.2009 recante scadenza 09.08.2025;
- 8) di prendere atto che al Prof. Maurizio Scarpa, Sperimentatore Principale dello studio, è attribuita, ai sensi dell'art. 2, quaterdecies del D.Lgs. nr. 196 del 30.06.2003 e s.i.m., la responsabilità del trattamento di tutti i dati inerenti la sperimentazione stessa.

Letto, approvato e sottoscritto digitalmente

Il Direttore Amministrativo
avv. Francesco Magris

Il Direttore Sanitario
dott. David Turello

Il Direttore dei Servizi Sociosanitari facente funzioni
dott. Massimo Di Giusto

Il Direttore Generale
dott. Denis Caporale

Allegati:

--	--

Uffici notificati:

Gestione Ricerca e Sviluppo

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: 13/01/2023 11:54:11
IMPRONTA: 70D0F74D4F23AC954C6D04A2ECBD257C4D4722B0B140CC40D62F33AC03A7BC54
4D4722B0B140CC40D62F33AC03A7BC54DEE64A01DC5B1965B51074AD0ADA4660
DEE64A01DC5B1965B51074AD0ADA466027BF48736D350046105712437923F15E
27BF48736D350046105712437923F15E32BC9FFCB30705A4B72EA5B25174C5C7

NOME: DAVID TURELLO
CODICE FISCALE: TRLDVD77S13G284T
DATA FIRMA: 13/01/2023 12:06:24
IMPRONTA: 1938ED6139C54F66DF9B71AAEF87E0E365CF6B3E6EC72B6FCE839B8715849AAA
65CF6B3E6EC72B6FCE839B8715849AAA66D9909EDDF5A0B99ADBC9FACF8EDED2
66D9909EDDF5A0B99ADBC9FACF8EDED295E2CAD647C1C7D6DE4AC9DCC7A2388F
95E2CAD647C1C7D6DE4AC9DCC7A2388F0605529520E7FAD3B9C8FE8EF13B3B87

NOME: MASSIMO DI GIUSTO
CODICE FISCALE: DGSMSM70R19L483N
DATA FIRMA: 13/01/2023 12:54:39
IMPRONTA: 9D2BE87BEC1A81A9C4DE0E19040BCE9E646C17B238603B4061F287FC69631E4F
646C17B238603B4061F287FC69631E4FF91BE798129AB29D21CF0D595D3A575A
F91BE798129AB29D21CF0D595D3A575A84646C131EB71E215A30C35AC62954D3
84646C131EB71E215A30C35AC62954D324EC36A0F5C61240C62DEEADF3782D95

NOME: DENIS CAPORALE
CODICE FISCALE: CPRDNS75M11C758X
DATA FIRMA: 13/01/2023 13:04:23
IMPRONTA: 686BDC22FE2ED32DD0FABCB039D4D581E4D83FC2ED0E89D56FB86D5ACFEE6D54
E4D83FC2ED0E89D56FB86D5ACFEE6D54B93EE02BA26BFD6968682611CA4CCC2F
B93EE02BA26BFD6968682611CA4CCC2F6B4E1B914B35241DB176F7689346AE2B
6B4E1B914B35241DB176F7689346AE2B13A86180F40D6585C3FEF20F8BB6DA16