ASU FC
Azienda sanitaria universitaria Friuli Centrale

# DECRETO
# DEL DIRETTORE GENERALE SOSTITUTO

## dott. David Turello

*nominato con Decreto del Direttore Generale*
*n. 1274 del 21.11.2023 e*
*con Decreto del Direttore Generale*
*n. 610 del 26.06.2025*

**N. 723** **DEL 06/08/2025**

**AVENTE AD OGGETTO:**

Sperimentazione clinica profit, dal titolo: "Studio di estensione in aperto volto a valutare la sicurezza, la tollerabilità e l'efficacia a lungo termine di DNL310 in pazienti con mucopolisaccaridosi di tipo II (MPS II) provenienti dallo studio DNLI-E-0002 o dallo studio DNLI-E-0007." – codice Protocollo DNLI-E-0008 - codice EU CT n. 2023-503837-23-00 - SOC Centro di Coordinamento Regionale Malattie Rare ASU FC - Sperimentatore Principale 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 dott. Massimo Di Giusto**

OGGETTO: Sperimentazione clinica profit, dal titolo: "Studio di estensione in aperto volto a valutare la sicurezza, la tollerabilità e l'efficacia a lungo termine di DNL310 in pazienti con mucopolisaccaridosi di tipo II (MPS II) provenienti dallo studio DNLI-E-0002 o dallo studio DNLI-E-0007." – codice Protocollo DNLI-E-0008 - codice EU CT n. 2023-503837-23-00 - SOC Centro di Coordinamento Regionale Malattie Rare ASU FC - Sperimentatore Principale Prof. Maurizio Scarpa.

**PRESO ATTO** che il Promotore Denali Therapeutics Inc. ha presentato regolare domanda di autorizzazione per lo svolgimento della sperimentazione clinica profit, dal titolo: *"Studio di estensione in aperto volto a valutare la sicurezza, la tollerabilità e l'efficacia a lungo termine di DNL310 in pazienti con mucopolisaccaridosi di tipo II (MPS II) provenienti dallo studio DNLI-E-0002 o dallo studio DNLI-E-0007."* – codice Protocollo DNLI-E-0008 - codice EU CT n. 2023-503837-23-00, da condursi presso la SOC Centro di Coordinamento Regionale Malattie Rare ASU FC, 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;

**VISTA** la dichiarazione del Prof. Maurizio Scarpa, in qualità di Sperimentatore Principale per la sperimentazione clinica in oggetto, del 18.07.2025 (prot. n. 117197 del 28.07.2025);

**ATTESO** che la sperimentazione clinica è stata regolarmente autorizzata dall'AIFA in data 07.11.2023, con provvedimento che comprende la conclusione favorevole del Comitato Etico Nazionale per le sperimentazioni cliniche in ambito pediatrico (CEN Pediatrico) e che in data 17.02.2025 è stato autorizzato l'emendamento sostanziale SM-9, che prevede l'inserimento tra i Centri partecipanti della SOC Centro di Coordinamento Regionale Malattie Rare ASU FC (prot. n. 72740 del 09.05.2025);

**PRESO ATTO** del Nulla Osta rilasciato in data28.07.2025 da parte del Nucleo Ricerca Clinica ASU FC (prot. n. 117197 del 28.07.2025);

**DATO ATTO** che la sperimentazione clinica sarà condotta in conformità con la normativa vigente in materia di sperimentazioni cliniche e di protezione dei dati personali, inclusi il Regolamento (UE) 2016/679 (GDPR);

**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, L. n. 3/2018, precisando che:

- 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;

**RITENUTO** di approvare lo schema di contratto, di cui all'allegato (Allegato 1), parte integrante del presente atto, che sarà sottoscritto dal Direttore Generale o suo delegato, dando atto che potranno essere apposte modifiche di carattere non sostanziale;

**PRESO ATTO** che dalla documentazione della sperimentazione clinica risulta quanto segue:

- lo Sperimentatore Principale è il Prof. Maurizio Scarpa;
- la sperimentazione clinica prevede l'arruolamento competitivo di circa n. 2 soggetti, secondo le modalità previste dal Protocollo al quale si fa espresso rinvio;
- la sperimentazione clinica avrà inizio dalla data di sottoscrizione del contratto, e terminerà al completamento di tutte le attività previste dal Protocollo, al quale si fa espresso rinvio, presumibilmente entro il 15.10.2027;
- il prodotto farmaceutico oggetto della sperimentazione clinica (DNL310) e gli altri farmaci previsti dal protocollo in ottemperanza al D.M. 21 dicembre 2007, Allegato 1, punto 3 Tabella I, inclusi i medicinali da utilizzarsi in associazione o combinazione tra loro, ogniqualvolta oggetto dello studio sia appunto l'associazione o combinazione, e ogni altro materiale necessario all'esecuzione della sperimentazione clinica saranno forniti gratuitamente all'Ente, per tutta la durata della sperimentazione clinica e nelle quantità necessarie e sufficienti all'esecuzione della stessa, da parte del Promotore;

**DATO ATTO** che nell'ambito della sperimentazione clinica verranno concessi in comodato d'uso gratuito i seguenti Strumenti:

- n. 1 ECG 12 Lead Clario, MAC 2000 (o articolo equivalente);
- n. 1 Spirometro, SpiroSphere (o articolo equivalente);
- n. 1 TOVA kit, microswitch and cables (o articolo equivalente);
- n. 1 VeraSci iPad (Vineland-III audio recording), iPad – 10.2 "iPad 9° generazione (o articolo equivalente);

- n. 1 TOVA laptop, Dell Latitude 3310 Laptop - 13.3" HD - 8th Gen Intel Core i3-8145U Processor w/Intel HD Graphics 620 - 4GB DDR4 - 128GB SSD (o articolo equivalente);
- n. 1 Pompa di infusione, Braun Infusomat Space pump (o articolo equivalente);
- n. 1 Termometro timpanico, TsPro600 (o articolo equivalente);
- n.1 Scatola che contiene il seguente materiale KABC (Kaufman Assessment Battery for Children), BSID (Bayley-III Complete Screening), WISC (Wechsler Intelligence Scale for Children) (o articolo equivalente);
- n. 1 goniometro Baseline – AA12''/30 cm (o articolo equivalente);
- n. 2 TruLab Sample scanning device, modello iPhone 8, marca Apple (o articolo equivalente);
- n. 1 Monitor Parametri Vitali e Schermo esterno, Philips Intellivue X3 incl Phillips XDS screen (o articolo equivalente);

e che tali Strumenti sono già stati consegnati all'Ente per la sperimentazione codice Protocollo DNLI-0007 e saranno mantenuti in uso per tutta la durata della sperimentazione in oggetto;

**ACCERTATO** che il Promotore si impegna a sollevare l'Ente dalle responsabilità connesse alla sperimentazione clinica e dai danni cagionati ai pazienti derivanti dalla somministrazione di farmaci, purché la stessa sia effettuata a norma del Protocollo, e che il Promotore ha stipulato una polizza assicurativa per la sperimentazione clinica in oggetto con la compagnia Lloyd's Insurance Company S.A (polizza n. MCICET22654; scadenza 30.06.2030), 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 il presente provvedimento non comporta oneri a carico del bilancio aziendale;

**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, dal titolo: *"Studio di estensione in aperto volto a valutare la sicurezza, la tollerabilità e l'efficacia a lungo termine di DNL310 in pazienti con mucopolisaccaridosi di tipo II (MPS II) provenienti dallo studio DNLI-E-0002 o dallo studio DNLI-E-0007."* – codice Protocollo DNLI-E-0008 - codice EU CT n. 2023-503837-23-00, da condursi presso la SOC Centro di Coordinamento Regionale Malattie Rare ASU FC, diretta dal Prof. Maurizio Scarpa;

2) autorizzare la sottoscrizione del contratto di cui all'allegato, parte integrante del presente atto, dando atto che potranno essere apposte modifiche di carattere non sostanziale;

3) prendere atto che lo Sperimentatore Principale, Prof. Maurizio Scarpa, è individuato dall'Ente quale persona autorizzata al trattamento dei dati inerenti alla sperimentazione clinica 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.;

4) dare atto che la sperimentazione clinica prevede l'arruolamento competitivo di circa n. 2 soggetti, secondo le modalità previste dal Protocollo al quale si fa espresso rinvio;

5) dare atto cha sperimentazione clinica avrà inizio dalla data di sottoscrizione del contratto, e terminerà al completamento di tutte le attività previste dal Protocollo, al quale si fa espresso rinvio, presumibilmente entro il 15.10.2027;

6) dare atto che il prodotto farmaceutico oggetto della sperimentazione clinica (DNL310) e gli altri farmaci previsti dal Protocollo in ottemperanza al D.M. 21 dicembre 2007, Allegato 1, punto 3 Tabella I, inclusi i medicinali da utilizzarsi in associazione o combinazione tra loro, ogniqualvolta oggetto dello studio sia appunto l'associazione o combinazione, e ogni altro materiale necessario all'esecuzione della sperimentazione clinica saranno forniti gratuitamente all'Ente, per tutta la durata della sperimentazione clinica e nelle quantità necessarie e sufficienti all'esecuzione della stessa, da parte del Promotore;

7) prendere atto che nell'ambito della sperimentazione clinica verranno concessi in comodato d'uso gratuito i seguenti Strumenti:

- n. 1 ECG 12 Lead Clario, MAC 2000 (o articolo equivalente);
- n. 1 Spirometro, SpiroSphere (o articolo equivalente);
- n. 1 TOVA kit, microswitch and cables (o articolo equivalente);
- n. 1 VeraSci iPad (Vineland-III audio recording), iPad – 10.2 "iPad 9° generazione (o articolo equivalente);
- n. 1 TOVA laptop, Dell Latitude 3310 Laptop - 13.3" HD - 8th Gen Intel Core i3-8145U Processor w/Intel HD Graphics 620 - 4GB DDR4 - 128GB SSD (o articolo equivalente);
- n. 1 Pompa di infusione, Braun Infusomat Space pump (o articolo equivalente);
- n. 1 Termometro timpanico, TsPro600 (o articolo equivalente);

- n.1 Scatola che contiene il seguente materiale KABC (Kaufman Assessment Battery for Children), BSID (Bayley-III Complete Screening), WISC (Wechsler Intelligence Scale for Children) (o articolo equivalente);
- n. 1 goniometro Baseline – AA12''/30 cm (o articolo equivalente);
- n. 2 TruLab Sample scanning device, modello iPhone 8, marca Apple (o articolo equivalente);
- n. 1 Monitor Parametri Vitali e Schermo esterno, Philips Intellivue X3 incl Phillips XDS screen (o articolo equivalente);

e che tali Strumenti sono già stati consegnati all'Ente per la sperimentazione codice Protocollo DNLI-0007 e saranno mantenuti in uso per tutta la durata della sperimentazione in oggetto;

8) dare atto che il Promotore si impegna a sollevare l'Ente dalle responsabilità connesse alla sperimentazione clinica e dai danni cagionati ai pazienti derivanti dalla somministrazione di farmaci, purché la stessa sia effettuata a norma del Protocollo, e che il Promotore ha stipulato una polizza assicurativa per la sperimentazione clinica in oggetto con la compagnia Lloyd's Insurance Company S.A (polizza n. MCICET22654; scadenza 30.06.2030), che provvederà a rinnovare se necessario;

9) dare atto che, sulla base di quanto riferito in premessa, il presente provvedimento non comporta oneri a carico del bilancio aziendale.

Letto, approvato e sottoscritto digitalmente

Il Direttore Amministrativo
**avv. Francesco Magris**

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

Il Direttore Generale sostituto
Il Direttore Sanitario
**dott. David Turello**

# 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: 06/08/2025 13:31:05*
*IMPRONTA: 6CAB7EF7C0B09560F6DCD646F8B59081BBF40D261B9F02196232CB0C8C443CEA*
*BBF40D261B9F02196232CB0C8C443CEA7F88C62AC7A3BB5D2049760E874FE274*
*7F88C62AC7A3BB5D2049760E874FE274FD102096DBE292FF4A619CB6F4FA18F3*
*FD102096DBE292FF4A619CB6F4FA18F31E29F1FC4D03E9F29304B686EEB52F61*

*NOME: MASSIMO DI GIUSTO*
*CODICE FISCALE: DGSMSM70R19L483N*
*DATA FIRMA: 06/08/2025 13:41:41*
*IMPRONTA: 68CA4FD3A98CBC5E5FBADB07193F8349860DBB8D2031396D87891E22A80CFF43*
*860DBB8D2031396D87891E22A80CFF43773E7B9A446FE4AAC0E3B8CD48B7A76B*
*773E7B9A446FE4AAC0E3B8CD48B7A76B39E3275972A3E977381002089994BF59*
*39E3275972A3E977381002089994BF59588A2638C671E8B6B6DAAB45BA802321*

*NOME: DAVID TURELLO*
*CODICE FISCALE: TRLDVD77S13G284T*
*DATA FIRMA: 06/08/2025 13:49:50*
*IMPRONTA: 77FDA40C1EB28485DA737DFABA5457442AFDDAF913B01C688A81AD44F6E22D19*
*2AFDDAF913B01C688A81AD44F6E22D19598D797D57899DAC04670136821C384B*
*598D797D57899DAC04670136821C384BCEF5D4245EDDA65CE0F5C5283C38D290*
*CEF5D4245EDDA65CE0F5C5283C38D290C38BB56903E3F3A9C773412E945955B7*