

 REGIONE AUTONOMA FRIULI VENEZIA GIULIA	
ISTITUTO DI RICOVERO e CURA a CARATTERE SCIENTIFICO Burlo Garofolo di Trieste	
	
DIREZIONE SCIENTIFICA	
34137 Trieste, via dell'Istria 65/1 tel. +39 040 3785.419 fax +39 040 660919	cf. 00124430323 email: direzione.scientifica@burlo.trieste.it pec: OIBurloTS.protgen@certsanita.fvg.it

c.a.

Ministero della Salute

Direzione Generale della Ricerca e dell'Innovazione in
Sanità

Viale Giorgio Ribotta 5, 00144 ROMA

invio via Workflow

Oggetto: Obiettivi e modalità di utilizzo del finanziamento relativo al 5 per mille (anno 2017)''

Il finanziamento del 5 per mille - in coerenza con la legge 266/05 che prevede la possibilità per il contribuente di vincolare il 5 per mille della imposta sul reddito a sostegno della attività di ricerca sanitaria, e in ottemperanza a quanto comunicato dal Ministero in data 18.07.08 che precisa che tale contributo sia da considerarsi come aggiuntivo al finanziamento per la RC e quindi soggetto a programmazione e rendicontazione secondo le linee di ricerca in cui si articola l'attività dell'Istituto - consente di sviluppare ulteriormente programmi di ricerca già in atto, di attivarne di nuovi nell'ambito delle linee esistenti e di acquisire di conseguenza beni e servizi atti a realizzare tali progetti di ricerca con particolare riferimento, nel caso di questo I.R.C.C.S., a progetti a forte caratterizzazione traslazionale.

Alcune di questi nuovi progetti di ricerca riguardano l'uso di terapia innovative per la cura dei tumori. Si tratta, in particolare, di terapie geniche che fanno ricorso ai CAR-T ("Chimeric Antigen Receptor T cell therapies" ovvero "Terapie a base di cellule T esprimenti un Recettore Chimerico per antigene") ovvero a molecole con azione diretta sul sistema immunitario di pazienti affetti da tumore, rendendolo capace di riconoscere e distruggere le cellule tumorali (immunoterapie). Le CAR-T rientrano tra le cosiddette terapie avanzate, frutto dei progressi scientifici nel campo della biotecnologia cellulare e molecolare. Sono, più nello specifico, terapie geniche, poiché agiscono attraverso l'inserzione di materiale genetico all'interno delle cellule dell'organismo umano.

Il Parlamento ha iniziato a stanziare, nel 2019, un cospicuo finanziamento per lo sviluppo del progetto CAR-T e altri finanziamenti sono stati destinati grazie alla Legge 136 del 17 dicembre 2018. La Camera dei Deputati ha inoltre delineato il percorso attuativo e i relativi attori (Ordine del Giorno 1334-B/217 del 30 dicembre 2018). A cascata, il Ministero della Salute, in sinergia con la Rete nazionale Alleanza contro il Cancro, ha individuato il gruppo degli Istituti di Ricerca chiamati a sviluppare officine farmaceutiche idonee allo sviluppo di terapie CAR-T (Decreto Ministero della Salute 11 marzo 2019). Attraverso le amministrazioni regionali, infine, anche a seguito dell'adozione da parte dell'AIFA del provvedimento di autorizzazione all'immissione in commercio e rimborsabilità della prima terapia genica CAR-T, sono stati individuati i centri idonei all'impiego di tali terapie, aventi i requisiti normativi e ministeriali previsti. Con Deliberazione di Giunta n. 1629/2019, la Regione Friuli Venezia Giulia ha individuato sia la struttura complessa di Clinica Ematologica del Presidio Ospedaliero "Santa Maria della

Direzione Scientifica

Struttura competente: Direzione Scientifica

Direttore Scientifico: *prof. Fabio Barbone*

Responsabile del Procedimento/Procedura: *dott.ssa Monica Goina*

Responsabile dell'Istruttoria: *dott.ssa Monica Goina*

● tel: 040.3785.210/863/419/356 ● fax 040.660919

● e-mail: direzione.scientifica@burlo.trieste.it ● posta certificata: direzione.scientifica@pec.burlo.trieste.it

Misericordia" dell'Azienda Sanitaria Universitaria Integrata di Udine che la struttura complessa di Oncoematologia dell'IRCCS Burlo Garofolo di Trieste.

L'impiego dei CAR-T nei bambini oncologici è molto promettente. La tecnologia CAR-T, altamente innovativa, è stata inizialmente sviluppata dall'Università della Pennsylvania. Il primo trattamento è stato somministrato nel 2012 negli Stati Uniti a una bambina di 7 anni che non rispondeva alle terapie classiche. Si è finora rivelata efficace per alcuni tumori ematologici, anche se in tutto il mondo sono in corso sperimentazioni per altre indicazioni terapeutiche.

Per poter somministrare in sicurezza tale terapia, l'Istituto ha il dovere di adeguare alcune strutture e di completare il proprio organico con competenze specifiche, in una cornice legislativa che prende il nome di "Fase 1" e ne stabilisce i requisiti specifici.

Nell'ambito degli studi sperimentali, su un potenziale farmaco che ambisce all'immissione in commercio, gli studi di Fase 1 sono successivi ai test "in vitro" ed "in vivo" su modelli animali e rappresentano la prima sperimentazione sull'uomo.

Gli studi di Fase 1, come tutti gli studi sperimentali eseguiti presso l'Istituto, vengono avviati solo dopo il parere positivo del Comitato Etico, e coinvolgono esclusivamente volontari che abbiano espresso formalmente il loro consenso. Lo scopo degli studi di Fase 1 è quello di fornire una valutazione preliminare sulla sicurezza e sulla tollerabilità del potenziale farmaco. Se la sostanza oggetto di studio supera i test della Fase 1, viene avviata alla Fase 2 (ove si indaga sull'effettiva potenzialità terapeutica) e successivamente alla Fase 3 (che contempla test di "confronto", ovvero vengono valutati i riscontri clinici che emergono dal confronto fra farmaco sperimentale versus terapia standard o versus placebo o versus "nessuna terapia").

L'intrinseca pericolosità contestuale al primo step sull'uomo di una sperimentazione farmacologica rende gli studi di Fase 1 particolarmente insidiosi per i potenziali profili di tossicità a carico dei pazienti coinvolti. Pertanto il Ministero della Salute e l'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA), legiferando in proposito, hanno individuato perentori requisiti logistici, tecnici ed organizzativi (in particolare inerenti eventuali situazioni cliniche di pericolo per i pazienti) che vengono sottoposti a costante monitoraggio presso le strutture accreditate.

In linea con la propria designazione quale potenziale utilizzatore di CAR-T, e consapevole dell'importanza e delle potenzialità che derivano dalla conduzione degli studi clinici di fase 1, il Burlo nel corso del 2019, ha effettuato un Audit interno per valutare le eventuali criticità organizzative-gestionali al fine di avviare il percorso per la richiesta di accreditamento all'AIFA.

Per le motivazioni in premessa, l'Istituto intende devolvere parte della quota del 5 per mille (anno 2017) per supportare l'avvio di tale percorso.

Inoltre in coerenza con le indicazioni programmatiche nazionali in materia di ricerca in sanità ed in continuità con gli interventi in tale ambito adottati negli anni precedenti, intende destinare la quota residua del finanziamento ad un bando rivolto ai professionisti del Burlo, per l'elaborazione di progettualità nell'ambito della spettrometria di massa e degli studi di fattibilità.

Si allega il file excel "Ripartizione 2017 Burlo".

Cordiali saluti

IL DIRETTORE GENERALE
Dott. Stefano Dorbolò
- *firmato digitalmente* -

IL DIRETTORE SCIENTIFICO
Prof. Fabio Barbone
- *firmato digitalmente* -