



1680 10 SET. 2019

Pag. 1

Determinazione del Direttore Generale n. \_\_\_\_\_ del \_\_\_\_\_, Atti n. 286/2018

**STUDIO CLINICO PROFIT, DAL TITOLO: "STUDIO DI FASE 3, IN APERTO, A BRACCIO SINGOLO VOLTO A VALUTARE L'EFFICACIA E LA SICUREZZA DI BMN 270, UN VIRUS ADENO-ASSOCIATO CHE FUNGE DA VETTORE DEL GENE TERAPEUTICO CHE CODIFICA IL FATTORE VIII UMANO IN PAZIENTI AFFETTI DA EMOFILIA A CON LIVELLI RESIDUI DI FVIII  $\leq 1$  IU/DL IN TRATTAMENTO CON INFUSIONI PROFILATTICHE DI FVIII", CODICE PROTOCOLLO 270- 301, NUMERO EUDRACT 2017-003215-19, SPONSOR BIOMARIN PHARMACEUTICAL INC. (USA) CRO PSI CRO ITALY S.R.L., DA SVOLGERSI PRESSO L'U.O.C MEDICINA GENERALE – EMOSTASI E TROMBOSI**

#### ATTESTAZIONE REGOLARITA' ISTRUTTORIA E LEGITTIMITA' DEL PROVVEDIMENTO

**1. Breve esposizione del contenuto della determinazione**

- Autorizzazione esecuzione dello studio, approvazione del contratto.

**2. Estremi relativi ai principali documenti e/o normative citate**

- Parere Favorevole Comitato Etico Milano Area 2
- Proposta di contratto tra la Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico e la Società PSI CRO Italy S.r.l. che agisce in nome del Promotore BioMarin Pharmaceutical Inc. (USA)

**3. Attestazione contabile**

- La presente determina non comporta oneri.

Pratica gestita da: Dott.ssa Valentina Cavinato

Responsabile del procedimento

Direttore Scientifico

Prof. Silvano Bosari





1680 10 SET. 2019

Pag. 2

Determinazione del Direttore Generale n. \_\_\_\_\_ del \_\_\_\_\_, Atti n. 286/2018

### ATTESTAZIONE COPERTURA ECONOMICA/PATRIMONIALE

Il costo complessivo di € \_\_\_\_\_ sarà imputato nel BPE così come segue:

BILANCIO	N. CONTO E DESCRIZIONE	N. IMPEGNO	PROGETTO	IMPORTO 2017	IMPORTO 2018	IMPORTO 2019	TOTALI
SAN							
Totale							
RIC							
Totale							
TOTALE							

Milano, \_\_\_\_\_

Il Direttore U.O.C. Economico-Finanziaria

(Dott. Roberto Alberti)

Gli eventuali costi imputati saranno coperti dai fondi rivenienti dallo studio.







1680

11.0 SET, 2019

Pag. 3

Determinazione del Direttore Generale n. \_\_\_\_\_ del \_\_\_\_\_, Atti n. 286/2018

**STUDIO CLINICO PROFIT, DAL TITOLO: "STUDIO DI FASE 3, IN APERTO, A BRACCIO SINGOLO VOLTO A VALUTARE L'EFFICACIA E LA SICUREZZA DI BMN 270, UN VIRUS ADENO-ASSOCIATO CHE FUNGE DA VETTORE DEL GENE TERAPEUTICO CHE CODIFICA IL FATTORE VIII UMANO IN PAZIENTI AFFETTI DA EMOFILIA A CON LIVELLI RESIDUI DI FVIII  $\leq 1$  IU/DL IN TRATTAMENTO CON INFUSIONI PROFILATTICHE DI FVIII", CODICE PROTOCOLLO 270- 301, NUMERO EUDRACT 2017-003215-19, SPONSOR BIOMARIN PHARMACEUTICAL INC. (USA) CRO PSI CRO ITALY S.R.L., DA SVOLGERSI PRESSO L'U.O.C MEDICINA GENERALE – EMOSTASI E TROMBOSI**

#### IL DIRETTORE GENERALE

su proposta del DIRETTORE SCIENTIFICO

**VISTO** il D.lgs. del 24/06/2003, n. 211, con il quale si recepisce la direttiva comunitaria n. 2001/20/cee, sull'esecuzione delle sperimentazioni cliniche di farmaci per uso clinico;

**VISTO** il D.M. del 17/12/2004 "Prescrizioni e condizioni di carattere generale, relative all'esecuzione delle sperimentazioni cliniche di medicinali, con particolare riferimento a quelle ai fini del miglioramento della pratica clinica, quale parte integrante dell'assistenza sanitaria", nonché le linee guida che sul Decreto stesso la Regione Lombardia ha fornito con la circolare del 29/06/2005, protocollo 2005.0031947;

**VISTO** il D.M. del 08/02/2013 "Criteri per la composizione e il funzionamento dei comitati etici";

**VISTE** le note di Regione Lombardia G1.2016.0035472 del 16/11/2016 "Ricostituzione dei Comitati Etici", G1-20160036044 del 22/11/2016 "Ricostituzione dei Comitati Etici – chiarimenti", G1.2016.0037810 del 09/12/2016 "Ricostituzione dei Comitati Etici – precisazioni", e successive;

**VISTA** la Determinazione n. 452 del 14/03/2017 "Costituzione Comitato Etico Milano Area 2" e successive;

**VISTA** la Determinazione n. 367 del 22/02/2018 "Definizione delle modalità di ripartizione e definizione delle quote di attribuzione al personale dipendente dei proventi derivati da studi profit";

**VISTA** la lettera d'intenti, datata 29/11/2017 e corredata dalla relativa documentazione, con la quale la Società PSI CRO Italy S.r.l. che agisce in nome del Promotore BioMarin Pharmaceutical Inc. (USA) chiede che sia approvato dal Comitato Etico Milano Area 2 e autorizzato dalla Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico lo studio clinico, profit dal titolo: "Studio di fase 3, in aperto, a braccio singolo volto a valutare l'efficacia e la sicurezza di BMN 270, un virus adeno-associato che funge da vettore del gene terapeutico che codifica il fattore VIII umano in pazienti affetti da emofilia A con livelli residui di FVIII  $\leq 1$  IU/dL in trattamento con infusioni profilattiche di FVIII", Codice Protocollo 270-301, Numero EudraCT, 2017-003215-19, da svolgersi presso l'U.O.C Medicina Generale – Emostasi e Trombosi. In Atti 286/2018;

**VISTA** la lettera d'intenti con la quale la Prof.ssa Flora Peyvandi Direttore dell'U.O.C Medicina Generale – Emostasi e Trombosi, chiede che sia approvato dal Comitato Etico Milano Area 2 e autorizzato dalla Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico lo studio in oggetto, da svolgersi presso l'U.O.C. da lei diretta sotto la sua responsabilità scientifica. In Atti 286/2018;



R





1680 110 SET. 2019

Pag. 4

Determinazione del Direttore Generale n. \_\_\_\_\_ del \_\_\_\_\_, Atti n. 286/2018

**DATO ATTO** che il Promotore si è impegnato a sollevare la Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico da ogni danno eventualmente causato a persone dalla somministrazione del farmaco secondo il protocollo, mediante polizza assicurativa n.BMN270-302, stipulata con la Compagnia HDI Global SE ed approvata dal Comitato Etico Milano Area 2. Massimale per Protocollo € 5.000.000,00; massimale per Paziente di € 1.500.000,00. In Atti 286/2018;

**DATO ATTO** che il Comitato Etico Milano Area 2, nella seduta del 09/01/2018: *"...ha espresso all'unanimità Parere Unico favorevole allo studio subordinato ..."*. In Atti 286/2018;

**DATO ATTO** che con una nota datata 14/08/2018, il Comitato Etico Milano Area 2: *"scioglie ogni riserva e conferma all'unanimità il Parere Unico favorevole allo studio precedentemente espresso."* In Atti 286/2018;

**VISTA** la proposta di contratto tra la Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico e la Società PSI CRO Italy S.r.l. che agisce in nome del Promotore BioMarin Pharmaceutical Inc. (USA). Atti 286/2018;

**VISTA** l'attestazione di regolarità istruttoria e di legittimità del provvedimento;

**VISTA** l'attestazione di copertura economica;

**DATO ATTO** che le predette attestazioni costituiscono parte integrante del presente atto;

**DATO ATTO** che il Responsabile del procedimento è il Direttore Scientifico;

**ACQUISITI** i pareri favorevoli del Direttore Amministrativo, del Direttore Sanitario, del Direttore Scientifico;

#### DETERMINA

Per tutti i motivi in premessa indicati:

1. di approvare il contratto di studio di cui in premessa;
2. di autorizzare, ai sensi della normativa in materia vigente, l'esecuzione dello studio clinico: *"Studio di fase 3, in aperto, a braccio singolo volto a valutare l'efficacia e la sicurezza di BMN 270, un virus adeno-associato che funge da vettore del gene terapeutico che codifica il fattore VIII umano in pazienti affetti da emofilia A con livelli residui di FVIII  $\leq 1$  IU/dL in trattamento con infusioni profilattiche di FVIII"*, Codice Protocollo 270-301, Numero EudraCT, 2017-003215-19, da svolgersi presso l'U.O.C Medicina Generale – Emostasi e Trombosi;
3. di introitare le somme specificate nel contratto di studio al conto economico 790510 del Bilancio di competenza;
4. di ripartire la somma introitata secondo quanto stabilito con Determinazione n. 367 del 22/02/2018 e precisamente:





Determinazione del Direttore Generale n. **1680** del **10 SET, 2019** Atti n. 286/2018

- 10% alla Direzione Scientifica, per la costituzione del fondo destinato al finanziamento degli studi no profit spontanei, di cui al D.M. 17-12-2004
  - 15% alla Direzione Scientifica per il Clinical Trial Center
  - 25% alla Fondazione
  - 50% all'U.O. ove si svolge lo studio, che potrà utilizzare questi fondi secondo le modalità previste dai regolamenti della Direzione Scientifica;
5. di dare atto che le attestazioni richiamate in premessa formano parte integrante del presente atto;
6. di disporre la pubblicazione del presente provvedimento all'Albo online dell'Azienda, dando atto che lo stesso è immediatamente esecutivo (art. 17 comma 6, L.R. n.33/2009 così come sostituito dall'art.1 della L.R. n.23/2015);
7. di disporre l'invio della presente determinazione alle Unità Operative interessate.

IL DIRETTORE GENERALE  
Dott. Ezio Belli

IL DIRETTORE SCIENTIFICO  
Prof. Silvano Bosari

IL DIRETTORE AMMINISTRATIVO  
Dott. Fabio Agnoli

IL DIRETTORE SANITARIO  
Dr.ssa Laura Chiappa

REGISTRATA NELL'ELENCO DELLE DETERMINAZIONI  
IN DATA **10 SET, 2019** AL N. **1680** 1

UOS/UOSD/UOC proponente	Direzione Scientifica	
Responsabile del procedimento:	Prof. Silvano Bosari	(Firma)
Pratica gestita da:	Dott.ssa Valentina Cavinato	(Firma)



