



SC RICERCA E INNOVAZIONE CLINICO ASSISTENZIALE - 930 REG.DEC.

OGGETTO: Autorizzazione alla conduzione dello Studio sperimentale con fine di lucro farmacologico intitolato “Studio multicentrico, in aperto e a braccio singolo volto a valutare l’efficacia e la sicurezza di rilzabrutinib per via orale in adulti affetti da trombocitopenia immune (ITP) dopo il fallimento del trattamento di prima linea”. Presa d’atto dell’approvazione per la Parte II dello studio ai sensi del Regolamento (UE) 2014/536, da parte del Comitato Etico Territoriale Sicilia e approvazione dello schema di contratto economico con SANOFI-AVENTIS RECHERCHE & DÉVELOPPEMENT, con sede legale in 82 Avenue Raspail, 94250 Gentilly, FRANCIA, C.F. e P. IVA n. B 713 002 269, (N. Ordine 054/2025H#NewRegUe#).

**SERVIZIO SANITARIO REGIONALE
AZIENDA SANITARIA UNIVERSITARIA
GIULIANO ISONTINA**

**DECRETO
DEL DIRETTORE GENERALE**

L’anno **duemilaventicinque**
il giorno tredici del mese di NOVEMBRE

IL DIRETTORE GENERALE

dott. Antonio Poggiana

nominato con Delibera della Giunta Regionale n° 2002 dd. 20 dicembre 2024

OGGETTO: Autorizzazione alla conduzione dello Studio sperimentale con fine di lucro farmacologico intitolato “*Studio multicentrico, in aperto e a braccio singolo volto a valutare l'efficacia e la sicurezza di rilzabrutinib per via orale in adulti affetti da trombocitopenia immune (ITP) dopo il fallimento del trattamento di prima linea*”. Presa d’atto dell’approvazione per la Parte II dello studio ai sensi del Regolamento (UE) 2014/536, da parte del Comitato Etico Territoriale Sicilia e approvazione dello schema di contratto economico con SANOFI-AVENTIS RECHERCHE & DÉVELOPPEMENT, con sede legale in 82 Avenue Raspail, 94250 Gentilly, FRANCIA, C.F. e P. IVA n. B 713 002 269, (N. Ordine 054/2025H#NewRegUe#).

Stato Membro:	Italia
N. Ordine	054/2025H#NewRegUe#
Protocollo numero:	Lps18573 versione n. 02 del 30 Settembre 2025
Numero EU CT (Eudrac):	2025-522070-36-00
Titolo dello Studio	“ <i>Studio multicentrico, in aperto e a braccio singolo volto a valutare l'efficacia e la sicurezza di rilzabrutinib per via orale in adulti affetti da trombocitopenia immune (ITP) dopo il fallimento del trattamento di prima linea</i> ”.
Tipologia dello studio / Fase della sperimentazione	Studio di fase IIb, multicentrico, in aperto e a braccio singolo
Nome IMP (se farmacologico)	PRN1008/SAR444671 - (<i>rilzabrutinib</i>)
Promotore	Sanofi-Aventis Recherche & Développement
CRO	Syneos Health
Centro sperimentale ASUGI	SC Ematologia- ASUGI
Sperimentatore principale	Prof. Francesco Zaja
Data di Idoneità sito specifica (Art. 1, DM 31 dicembre 2021)	Rilasciata dal Rappresentante dell’Ente in data 13.05.2025
Numero di pazienti previsti (internazionale/nazionale/nel centro)	60 pazienti affetti da trombocitopenia immune (ITP), a livello globale, 7 in Italia dei quali circa 1-2 presso ASUGI
Durata dello studio	24 mesi

Premesso che con L.R. FVG 17 dicembre 2018, n. 27 “Assetto istituzionale e organizzativo del Servizio Sanitario regionale”, così come attuata giusta D.G.R. FVG n. 2174 dd. 12.12.2019 resa esecutiva con decreto del Presidente della Regione Autonoma FVG n. 0223/Pres. dd. 20.12.2019 debitamente pubblicato ex lege ed esecutivo, è stata costituita a decorrere dal giorno 1 gennaio 2020 l’Azienda Sanitaria Universitaria Giuliano Isontina (A.S.U. G.I.);

visto il dec. ASUGI n. 454 dd. 19.05.2022 e s.m.i. di adozione dell'Atto Aziendale dell'Azienda Sanitaria Universitaria Giuliano Isontina in applicazione del quarto comma dell'art. 54 della LR FVG 12 dicembre 2019 n. 22;

considerato che con dec. ASUGI n. 701 dd. 29.07.2022 e s.m. e i. si è data attuazione all'Atto Aziendale approvato con decreto n. 454/2022 approvando le declaratorie delle funzioni delle strutture e aree dipartimentali, delle strutture complesse e delle strutture semplici a valenza dipartimentale attuando la ricognizione degli incarichi gestionali di direzione di struttura complessa e di struttura semplice dipartimentale;

atteso che con D.G.R. FVG n. 2002 dd. 20.12.2024 il dott. Antonio Poggiana è stato nominato Direttore Generale dell'Azienda Sanitaria Universitaria Giuliano Isontina (A.S.U. G.I.);

rilevato che:

- Syneos Health per conto del Promotore SANOFI-AVENTIS RECHERCHE & DÉVELOPPEMENT, con sede legale in 82 Avenue Raspail, 94250 Gentilly, FRANCIA, C.F. e P. IVA n. B 713 002 269, ha informato codesta Azienda in data 05/05/2025 che ha avviato le procedure per ottenere il parere di Parte II e autorizzazione dell'Autorità locale a condurre, presso la Struttura Complessa SC Ematologia dell' Azienda Sanitaria Universitaria Giuliano Isontina e sotto la responsabilità scientifica del Prof. Francesco Zaja, lo Studio sperimentale farmacologico intitolato "*Studio multicentrico, in aperto e a braccio singolo volto a valutare l'efficacia e la sicurezza di rizabrutinib per via orale in adulti affetti da trombocitopenia immune (ITP) dopo il fallimento del trattamento di prima linea*", in base alle procedure previste dall'Art. 71 del Regolamento (UE) 2014/536 del 16 aprile 2014;
- che lo sponsor ha avanzato tale richiesta utilizzando esclusivamente il Portale europeo dell'Agenzia Europea del Farmaco (EMA) denominato "*Clinical Trials Information System*" (CTIS), come unico punto di accesso per la presentazione dei dati e delle informazioni concernenti le sperimentazioni cliniche, come previsto dall'Art. 80 del Regolamento, attivo dal 31 gennaio 2022;
- su tale portale lo sponsor ha dichiarato di aver archiviato i documenti dell'istanza (fascicolo di domanda di autorizzazione) come previsti negli elenchi dell'Allegato I del Regolamento (UE) 2014/536, comprendenti anche la modulistica approvata dal Centro di coordinamento nazionale dei Comitati Etici territoriali per le sperimentazioni cliniche sui medicinali per uso umano e sui dispositivi medici, relativi al Centro sperimentale ASUGI, tra i quali:

- le informative ai soggetti da includere nella sperimentazione, modulo per il consenso informato e procedura di acquisizione del consenso informato;
- la Dichiarazione di “Idoneità sito specifica”,
- il “Curriculum vitae sperimentatore principale”,
- la “Dichiarazione di interessi” dello sperimentatore principale,
- l’eventuale “Indennità per i partecipanti alla sperimentazione”,
- la certificazione della copertura assicurativa,
- la bozza di Contratto per la conduzione della Sperimentazione Clinica su medicinali;

precisato che la Dichiarazione di “Idoneità sito specifica” relativa al Centro sperimentale di ASUGI, prescritta dall’art. 50 e al punto N. dell’Allegato I del citato Regolamento (UE), è stata rilasciata, dopo opportuna verifica, dal Rappresentante legale dell’Ente in data 18/05/2025, come anche previsto dall’Art. 1, comma 1 e 2, del DM del Ministero della Salute del 31 dicembre 2021 (G.U. n. 71 del 25.03.2022), conservata agli atti;

considerato che tali modalità operative sono state adottate nelle more di poter meglio specificare e formalizzare l’iter interno di ASUGI in un nuovo Regolamento unico, reso necessario dall’intervenuta applicazione integrale del richiamato Regolamento (UE) 2014/536;

considerato che tale procedura semplificata sostituisce in toto quanto previsto dagli artt. 6 e 10 del *Regolamento per l’effettuazione di sperimentazioni cliniche nell’ambito dell’Azienda Ospedaliero-Universitaria “Ospedali Riuniti” di Trieste*, approvato, da ultimo, con decreto n. 373 dd. 22.12.2015 e recepito dall’ ex A.S.U.I. di Trieste con decreto n. 242 dd. 02.05.2016, circa il nulla osta aziendale di fattibilità della sperimentazione;

preso atto che la sperimentazione in oggetto è stata valutata in data 06/10/2025 per la Parte II della relazione di valutazione, compresa la conclusione favorevole, da parte del Comitato Etico Territoriale Sicilia, ai sensi dell’art. 7 del citato Reg. (EU) n. 536/2014, selezionato dall’Agenzia Nazionale (AIFA), come comunicato con provvedimento n. 2025-522070-36-00 ID – 53775 di Aifa prot. Nr. 0125027-06/10/2025-AIFA-AIFA_USC-P, conservato agli atti;

atteso che, per quanto afferisce al trattamento dei dati personali, lo schema di contratto allegato riprende – oltre alle previsioni dello schema AIFA rilasciato da tale Autorità competente in data 21.11.2022 – quanto ulteriormente e specificatamente emendato dal DPO di A.S.U.G.I., non apportando alcuna modifica in tema privacy, e che pertanto non si rende necessario il parere espresso del DPO nel caso di specie;

verificato che, in base alle informazioni ricevute dallo sponsor, si renderà necessario trasferire i dati pseudonimizzati raccolti per la sperimentazione in paesi al di fuori dell’Unione Europea che non rientrano nell’ambito di applicazione del diritto dell’Unione Europea, in particolare per quanto

attiene ai requisiti ex artt. 44 e 45 del GDPR (UE) 2016/679, il promotore ha compilato un documento di Clausole Contrattuali Standard (*Standard Contractual Clauses* non allegato al Contratto ma a disposizione di ASUGI in caso di richiesta), conservato agli atti;

considerato che per questo studio il Promotore ha stipulato una Polizza di Assicurazione di responsabilità civile Sperimentazioni cliniche n. CT15/2025-26 con la Compagnia Carraig Insurance DAC, a garanzia dei danni conseguenti all'esecuzione della sperimentazione, conformemente all'Art. 76, comma 1 del citato Regolamento (UE), alle normative vigenti ed in particolare al D.M. 14.07.2009;

atteso che lo Studio è una sperimentazione clinica di fase *IIIb* di medicinale, multicentrica internazionale, in aperto e a braccio singolo volto a valutare l'efficacia e la sicurezza di *rilzabrutinib* per via orale in adulti affetti da trombocitopenia immune (ITP) dopo il fallimento del trattamento di prima linea e che prevede l'arruolamento totale di circa 60 partecipanti con ITP, a livello globale, dei quali circa 1-2 presso ASUGI;

che l'obiettivo primario dello studio è quello di valutare l'efficacia e la sicurezza di *rilzabrutinib* per via orale nei partecipanti nel periodo di analisi principale (PAP) di 28 settimane, seguiti per un periodo di follow-up di ulteriori 28 settimane (o *long-term extension - LTE*), per un successivo periodo di follow-up di ulteriori 24 settimane di remissione senza trattamento (o *sustained remission off treatment - SROT*) ed un periodo finale di 2 settimane di sicurezza;

specificato che trattandosi di studio presentato come sperimentazione *a scopo di lucro*, per la Sperimentazione è previsto un compenso così suddiviso:

1. € 11.429,77 per Soggetto in Sperimentazione per il periodo di analisi principale (PAP), € 14.756,65 per Soggetto in Sperimentazione PAP + estensione del follow-up (LTE), € 15.526,89 per Soggetto di Sperimentazione - PAP + LTE + remissione senza trattamento (SROT) per circa n. 1-2 pazienti, come analiticamente descritti nell'Allegato "A", al Contratto,
2. € 3.300,00, quale Corrispettivo del Centro, di cui € 1.500,00 come Commissioni di avvio, € 900,00 come commissioni per il monitoraggio economico, di € 900,00 come commissione di archiviazione e chiusura, oltre ad € 461,00 come commissione per la farmacia ed € 302,00 come commissione per il laboratorio (come richiamato nell'Allegato A);

considerato che il corrispettivo per paziente di cui al precedente punto 1. sarà suddiviso in quote secondo l'art. 13 del citato Regolamento per l'effettuazione di sperimentazioni cliniche nell'ambito dell'Azienda Ospedaliero-Universitaria "Ospedali Riuniti" di Trieste, recepito, da ultimo, dall'ex A.S.U.I. di Trieste con decreto n. 242 dd. 02.05.2016, con previsione di una quota pari al 25%, relativa al rimborso forfettario dei costi sostenuti dall'Azienda connessi allo svolgimento della

sperimentazione, fatto salvo quanto previsto al punto c) dell'art. 12 circa le prestazioni "extra" protocollo;

atteso che i prodotti farmaceutici oggetto della Sperimentazione (*Rilzabrutinib*) e gli altri farmaci previsti dal protocollo, saranno forniti dallo Sponsor;

evidenziato che non è prevista l'utilizzo di strumentazione biomedicale non presente in Azienda e che pertanto non si rende necessario contrarre con lo sponsor un comodato d'uso, dettagliatamente riportato all'Art. 5 dell'Allegato contratto economico;

e che pertanto lo Studio non comporta costi aggiuntivi a carico del Sistema Sanitario Nazionale, così come dichiarato nella dichiarazione di fattibilità dal Responsabile dello studio, conservata agli atti;

che il Responsabile dello Studio avrà cura di compilare le Schede Raccolta Dati (CRF/eCRF), fornite dal Promotore, per documentare la partecipazione dei soggetti allo Studio e che l'Azienda e il Responsabile dello Studio consentono l'accesso diretto ai documenti pertinenti durante le visite di monitoraggio e nel corso di eventuali audit e ispezioni da parte delle Autorità competenti, purché non vengano violate le norme in materia di riservatezza e di tutela della privacy dei pazienti;

considerato che il soggetto autorizzato al trattamento dei dati da A.S.U.G.I. per la conduzione scientifica dello Studio in argomento è il Prof. Francesco Zaja, sotto la cui responsabilità avverrà l'acquisizione del consenso dei pazienti, anche con riguardo alle modalità di trattamento dei dati necessario al fine della ricerca e alle modalità di comunicazione dei risultati della ricerca stessa;

osservato che, ai sensi dell'art. 16 del citato Regolamento aziendale del 2015, l'attività di sperimentazione deve essere svolta in regime di timbratura in aggiunta alla normale attività istituzionale;

atteso che il Responsabile dello studio ed i suoi Collaboratori provvederanno ad ottenere il consenso informato scritto dai soggetti sottoposti allo Studio, prima dell'arruolamento, previa una completa ed esauriente esposizione dello studio, utilizzando le Informative ed i Consensi approvati dal Comitato Etico Territoriale Sicilia;

precisato che il Responsabile dello studio ed i suoi Collaboratori dovranno avere la massima attenzione ad ogni evento avverso che si dovesse manifestare nel corso dello stesso e che dovranno darne comunicazione al Promotore, al Comitato Etico ed al Servizio di Farmacia aziendale per i dovuti successivi adempimenti;

constatato che sono state rispettate tutte le procedure per l'autorizzazione ed assolte tutte le condizioni come da documentazione conservata agli atti;

rilevato che il provvedimento è proposto dal Direttore f.f. della SC RICERCA E INNOVAZIONE CLINICO ASSISTENZIALE, che attesta la regolarità tecnica, amministrativa e la legittimità dell'atto nonché la copertura della spesa prevista nel budget assegnato per l'anno in corso;

acquisito il parere favorevole del Direttore Sanitario, del Direttore Amministrativo e del Direttore dei Servizi Sociosanitari, ciascuno per le materie di propria competenza;

IL DIRETTORE GENERALE

DECRETA

per quanto esposto in narrativa:

1. di autorizzare il Prof. Francesco Zaja, della SC Ematologia dell'A.S.U.G.I. a condurre, sotto la sua responsabilità, presso la predetta Struttura Complessa, lo Studio sperimentale *con scopo di lucro* intitolato “*Studio multicentrico, in aperto e a braccio singolo volto a valutare l'efficacia e la sicurezza di rilzabrutinib per via orale in adulti affetti da trombocitopenia immune (ITP) dopo il fallimento del trattamento di prima linea*” secondo le modalità indicate nel protocollo di studio approvato dal Comitato Etico Territoriale Sicilia, selezionato da AIFA per la valutazione di Parte II del Regolamento (UE) nr. 2014/536 del Parlamento Europeo e del Consiglio del 16 Aprile 2014, che ha espresso parere favorevole in data 06/10/2025 comunicato con provvedimento n. 2025-522070-36-00 ID – 53775 di Aifa prot. Nr. 0125027-06/10/2025-AIFA-AIFA_USC-P, conservato agli atti;
2. di approvare lo schema di Contratto con SANOFI-AVENTIS RECHERCHE & DÉVELOPPEMENT, con sede legale in 82 Avenue Raspail, 94250 Gentilly, FRANCIA, C.F. e P. IVA n. B 713 002 269, allegato al presente provvedimento e che dello stesso diviene parte integrante;
3. di disporre che:
 - a. il Responsabile dello studio ed i suoi Collaboratori, prima di dare avvio allo stesso, accertino la sussistenza di ogni garanzia a rispetto delle norme di legge e dei regolamenti vigenti volti a tutelare la dignità personale dei soggetti coinvolti nello studio, ivi compreso il necessario consenso informato e pertanto forniscano adeguate e complete informazioni al paziente ed acquisiscano il consenso informato scritto dal medesimo, utilizzando le Informative ed i Consensi approvati dal Comitato Etico Territoriale Sicilia;

- b. il Responsabile dello studio ed i suoi Collaboratori, nell'effettuare lo stesso, in nessun caso forniscano ad altri soggetti dati personali ma solo ed esclusivamente informazioni e dati anonimi;
 - c. il Responsabile dello studio trasmetta alla Direzione Sanitaria dell'A.S.U.G.I., alla S.C. Ricerca e Innovazione clinico assistenziale, la comunicazione di avvio e di conclusione dello stesso, accompagnata da una relazione con i risultati ottenuti nonché di inviare annualmente un rapporto sull'andamento della sperimentazione ("Rapporto sullo Stato di Avanzamento" secondo il D.M. 15.07.1997);
4. di delegare il Direttore *f.f.* della SC Ricerca e Innovazione Clinico Assistenziale alla firma di tutti gli atti di propria competenza inerenti e conseguenti all'adozione del presente provvedimento;
 5. di suddividere il corrispettivo per paziente previsto nell'Allegato A al Contratto nelle quote secondo l'art. 13 dell'attuale Regolamento vigente, con previsione di una quota pari al 25%, relativa al rimborso forfettario dei costi sostenuti dall'Azienda connessi allo svolgimento della sperimentazione, fatto salvo quanto previsto al punto c) dell'art. 12 del Regolamento stesso circa le prestazioni "extra" protocollo.

L'introito conseguente al presente provvedimento sarà contabilizzato al conto 630.300.700 "Sperimentazioni" del bilancio aziendale di competenza da suddividere in quote secondo gli artt. 12 e 13 del Regolamento per l'effettuazione di sperimentazioni cliniche nell'ambito dell'Azienda Ospedaliero-Universitaria "Ospedali Riuniti" di Trieste, approvato, da ultimo, con decreto n. 373 dd. 22.12.2015 e recepito dall' ex A.S.U.I. di Trieste con decreto n. 242 dd. 02.05.2016.

Il compenso da erogare ai professionisti coinvolti nella sperimentazione farà carico ai conti 305.100.800.400.10 "Compensi per sperimentazioni cliniche", 320.100.100.100.90.5 "Oneri sociali dirigenza medica e veterinaria", 400.100 "IRAP personale dipendente", 305.100.650.600.45 "Quota di perequazione", del bilancio di competenza.

Il presente provvedimento che diviene esecutivo, ai sensi dell'art. 4 della L.R. 21/92, dalla data di pubblicazione all'Albo aziendale telematico.

Il Responsabile dell'Istruttoria
Daniele Glavina

IL DIRETTORE GENERALE
dott. Antonio Poggiana

Parere favorevole del
Direttore Sanitario
dott. Daniele Pittioni

Parere favorevole del
Direttore Amministrativo
dott. Eugenio Possamai

Parere favorevole del
Direttore dei Servizi Sociosanitari
dott. Giulio Antonini

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: EUGENIO POSSAMAI

CODICE FISCALE: PSSGNE59M27C957L

DATA FIRMA: 13/11/2025 12:03:37

IMPRONTA: 851DF2F5249C6BDE99B529AC63FBC3676F09D3E83F90704AA0EA81F15D7EAC7B
6F09D3E83F90704AA0EA81F15D7EAC7B9DB619652F146C0315C38F194A9C6DFB
9DB619652F146C0315C38F194A9C6DFBA75007EE5D37244D89EAAA39FB5830C4
A75007EE5D37244D89EAAA39FB5830C41AD7EF17BD5B32270FD18B2689F6334F

NOME: DANIELE PITTONI

CODICE FISCALE: PTTDNL61R10L483B

DATA FIRMA: 13/11/2025 12:09:51

IMPRONTA: 97A80564451E406F3EF52E3FB99BDF1E272AF36D9F18E0C7696D4CB8BE707FB4
272AF36D9F18E0C7696D4CB8BE707FB4B696579B639C3A75479F44D279AB6E7C
B696579B639C3A75479F44D279AB6E7C01C9433AC5353A3835E8F74F9E4A35C3
01C9433AC5353A3835E8F74F9E4A35C3E3308578F984A2A3D9942AD7B2611F6F

NOME: GIULIO ANTONINI

CODICE FISCALE: NTNGLI66S23L736J

DATA FIRMA: 13/11/2025 12:13:36

IMPRONTA: 7E80889F4C48B5AA9BF520BF56DD1DC93E632AB4881D1E97627C7BCB07C40224
3E632AB4881D1E97627C7BCB07C40224E29CE2DE939D076ABE7CF20E49FF3A17
E29CE2DE939D076ABE7CF20E49FF3A17CB3D281AF482548C55191A95FF1058FC
CB3D281AF482548C55191A95FF1058FCB2092E3432709764C1D078175456E810

NOME: ANTONIO POGGIANA

CODICE FISCALE: PGGNTN64M30C743F

DATA FIRMA: 13/11/2025 13:52:01

IMPRONTA: 5C249EEBDB01E9E05C42B060AE71271AEBDDACCD589E13CF8F2592669192CE20
EBDDACCD589E13CF8F2592669192CE20DB16A41B4E90B9C2C1BC013186A25F5D
DB16A41B4E90B9C2C1BC013186A25F5D7C8DBC2F039372910B7B6B163B5D4295
7C8DBC2F039372910B7B6B163B5D429515E9455D4C8E0A037CD95151F78F2CCC