



SC RICERCA E INNOVAZIONE CLINICO ASSISTENZIALE - 1012 REG.DEC.

OGGETTO: Autorizzazione alla conduzione dello Studio sperimentale no profit farmacologico intitolato "Efficacy and Safety of Luspatercept for the Treatment of Anemia Due to Myelodysplastic Syndromes with del5q refractory/resistant/intolerant to Prior Treatments, Who Require Red Blood Cell Transfusion (QOL-ONE Phoenix)". Approvazione del contratto con l'Associazione QOL-ONE, con sede legale in Via C. Quattrone, 8, 89134 Reggio Calabria, C.F. n.92057640804, (N. Ordine 250/2023H).

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

**DECRETO
DEL DIRETTORE GENERALE**

L'anno **duemilaventitre**
il giorno sei del mese di DICEMBRE

IL DIRETTORE GENERALE

dott. Antonio Poggiana

nominato con Delibera della Giunta Regionale n° 2266 dd. 27 dicembre 2019

OGGETTO: Autorizzazione alla conduzione dello Studio sperimentale *senza finalità di lucro* farmacologico intitolato “*Efficacy and Safety of Luspatercept for the Treatment of Anemia Due to Myelodysplastic Syndromes with del5q refractory/resistant/intolerant to Prior Treatments, Who Require Red Blood Cell Transfusion (QOL-ONE Phoenix)* “. Approvazione del contratto con l’Associazione QOL-ONE, con sede legale in Via C. Quattrone, 8, 89134 Reggio Calabria, C.F. n.92057640804, (N. Ordine 250/2023H).

N. Ordine	250/2023H
ID Studio/Cineca	
Codice protocollo Studio	QOL-ONE Phoenix
Codice EUDRACT	2021-001538-20
Titolo dello Studio	“ <i>Efficacy and Safety of Luspatercept for the Treatment of Anemia Due to Myelodysplastic Syndromes with del5q refractory/resistant/intolerant to Prior Treatments, Who Require Red Blood Cell Transfusion (QOL-ONE Phoenix)</i> ”
Tipologia dello studio / Fase della sperimentazione	studio di fase 2, multicentrico, prospettico, a braccio singolo, <i>senza finalità di lucro</i>
Promotore	Associazione Culturale e di Ricerca QOL-ONE
CRO	N/A
Centro Coordinatore	Grande Ospedale Metropolitano “Bianchi Melacrino Morelli”, Reggio Calabria
Centro sperimentale ASUGI	S.C. Ematologia dell’Azienda Sanitaria Universitaria Giuliano Isontina
Sperimentatore	Prof. Francesco Zaja

Premesso che l’Associazione QOL-ONE, con sede legale in Via C. Quattrone, 8, 89134 Reggio Calabria, ha inoltrato in data 14.12.2022 (SCRICAQARC / ASUIT 0001505 A dd 21/12/2022) la lettera di intenti volta ad ottenere l’autorizzazione a condurre, presso la Struttura Complessa Ematologia dell’Azienda Sanitaria Universitaria Giuliano Isontina e sotto la responsabilità scientifica del Prof. Francesco Zaja, lo Studio sperimentale *senza finalità di lucro* farmacologico intitolato “*Efficacy and Safety of Luspatercept for the Treatment of Anemia Due to Myelodysplastic Syndromes with del5q refractory/resistant/intolerant to Prior Treatments, Who Require Red Blood Cell Transfusion (QOL-ONE Phoenix)*”;

acquisita, ai sensi degli 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, la fattibilità della sperimentazione nella specifica realtà aziendale da parte del Nucleo di Ricerca Clinica di A.S.U.G.I. di data 25.05.2023 ed il successivo nulla osta di data 26.05.2023 della Direzione Sanitaria;

preso atto che, nella seduta del 28.02.2023 il Comitato Etico competente, Comitato Etico Unico Regionale FVG (di seguito Comitato Etico), ha deliberato che, in riferimento alla fase transitoria per l'autorizzazione a condurre le sperimentazioni cliniche farmacologiche e/o con dispositivo medico, secondo la direttiva 2001/20/CEE ed in osservanza a quanto previsto dal Comunicato AIFA del 23 febbraio u.s., di recepimento dei Decreti attuativi della Legge n. 3 del 2018, il Comitato Etico non ha proceduto alla valutazione dello studio, in quanto ha ritenuto valido in via esclusiva il Parere Unico favorevole rilasciato dal Comitato Etico Regionale Sezione Area Sud, individuato come coordinatore;

atteso che, per quanto afferisce al trattamento dei dati personali, lo schema di contratto allegato riprende - oltre alle previsioni dello schema AIFA, così come trasmesso dall'ARCS con Nota 38067/P/GEN/ARCS di data 24/12/2019 alle Direzioni generali degli Enti del SSR - 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;

considerato che per questo studio il Promotore ha stipulato una Polizza di Assicurazione di responsabilità civile Sperimentazioni cliniche n. 390-01586917-30023 con la Compagnia HDI Global SE, a garanzia dei danni conseguenti all'esecuzione della sperimentazione, conformemente alle normative vigenti ed in particolare al D.M. 14.07.2009;

atteso che lo Studio è una sperimentazione clinica di fase 2 di medicinale, e che prevede l'arruolamento totale di 22 pazienti affetti da Sindromi Mielodisplastiche (MDS) con del5q con indice IPSS-R a rischio molto basso, basso e intermedio e, dei quali 1 presso l'A.S.U.G.I.;

che l'obiettivo principale dello Studio consiste nel valutare l'effetto del *Luspatercept* sulla RBC-TI (indipendenza del paziente da trasfusioni, intesa come assenza di trasfusioni per 8 settimane consecutive entro le prime 24 settimane di trattamento), nonché sicurezza e tollerabilità del *Luspatercept* in soggetti con Sindromi Mielodisplastiche (MDS) con del5q con indice *International Prognostic Scoring System - Revised* (IPSS-R) a rischio molto basso, basso e intermedio e presenza di <5% di blasti, resistenti/refrattari/intolleranti alla *Lenalidomide* e dipendenti da trasfusione di globuli rossi;

specificato che trattandosi di sperimentazione *senza finalità di lucro*, per la Sperimentazione non è previsto alcun compenso;

atteso che i farmaci (*Luspatercept*) oggetto della Sperimentazione, così come gli altri farmaci previsti dal protocollo ed ogni materiale eventualmente necessario all'esecuzione della Sperimentazione, saranno forniti dal Promotore;

preso atto che non è prevista la fornitura di alcun bene o strumento in comodato d'uso all'Azienda;

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, 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 Unico Regionale del Friuli Venezia Giulia;

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 ad interim della SC RICERCA E INNOVAZIONE CLINICO ASSISTENZIALE, che attesta la regolarità tecnica, amministrativa e la legittimità dell'atto e i cui uffici ne hanno curato l'istruzione e la redazione;

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

IL DIRETTORE GENERALE

DECRETA

per quanto esposto in narrativa:

1. di prendere atto che nella seduta del 28.02.2023 il Comitato Etico competente, Comitato Etico Unico Regionale FVG (di seguito Comitato Etico), ha deliberato che, in riferimento alla fase transitoria per l'autorizzazione a condurre le sperimentazioni cliniche farmacologiche e/o con dispositivo medico, secondo la direttiva 2001/20/CEE ed in osservanza a quanto previsto dal Comunicato AIFA del 23 febbraio u.s., di recepimento dei Decreti attuativi della Legge n. 3 del 2018, il Comitato Etico non ha proceduto alla valutazione dello studio, in quanto ha ritenuto valido in via esclusiva il Parere Unico favorevole rilasciato dal Comitato Etico Regionale Sezione Area Sud individuato come coordinatore;
2. di autorizzare il Prof. Francesco Zaja, della S.C. Ematologia dell'A.S.U.G.I. a condurre, sotto la sua responsabilità, presso la predetta Struttura Complessa, lo Studio sperimentale *no profit* intitolato "*Efficacy and Safety of Luspatercept for the Treatment of Anemia Due to Myelodysplastic Syndromes with del5q refractory/resistant/intolerant to Prior Treatments, Who Require Red Blood Cell Transfusion (QOL-ONE Phoenix)*", secondo le modalità indicate nel protocollo di studio approvato dal Comitato Etico Regionale Sezione Area Sud individuato come coordinatore conservata agli atti;
3. di approvare il testo del Contratto con l'Associazione QOL-ONE, con sede legale in Via C. Quattrone, 8, 89134 Reggio Calabria, C.F. n.92057640804, allegato al presente provvedimento e che dello stesso diviene parte integrante;
4. 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 Regionale Sezione Area Sud individuato come coordinatore;

- 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, nonché alla Segreteria del Comitato Etico Unico Regionale – FVG 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);
5. di delegare il Direttore ad interim della SC RICERCA E INNOVAZIONE CLINICO ASSISTENZIALE alla firma di tutti gli atti inerenti e conseguenti all'adozione del presente provvedimento.

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

IL DIRETTORE GENERALE
dott. Antonio Poggiana

Parere favorevole del
Direttore Sanitario
dott. Andrea Longanesi

Parere favorevole del
Direttore Amministrativo
dott. Eugenio Possamai

Parere favorevole del
Direttore dei Servizi Sociosanitari f.f.
dott.ssa Marilena Francioso

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: ANTONIO POGGIANA
CODICE FISCALE: PGGNTN64M30C743F
DATA FIRMA: 06/12/2023 16:19:54
IMPRONTA: 819D0B077A41FBBAA0C88FCBE471C67F98DA2FDCB8C13E274CEA330C867BEE49
98DA2FDCB8C13E274CEA330C867BEE499A7D4733D51B480F440FA15BB61111E7
9A7D4733D51B480F440FA15BB61111E79538ABB4AF879FB9573C1823ED9AE13F
9538ABB4AF879FB9573C1823ED9AE13F4A921FDD1787CB8CD8013CAE8A2C2AFE

NOME: EUGENIO POSSAMAI
CODICE FISCALE: PSSGNE59M27C957L
DATA FIRMA: 06/12/2023 16:37:23
IMPRONTA: C18C2266808D32355866F14BF1A429D58D53E9B08EC2ABCE291C1B0093334B43
8D53E9B08EC2ABCE291C1B0093334B430185BA0BEC6FCB54181C8CAE16B9A6E7
0185BA0BEC6FCB54181C8CAE16B9A6E75F5F547926FEDE88186180C55AFD1949
5F5F547926FEDE88186180C55AFD19492307C7B5B0FB717EE2D43BFF59DD93E9

NOME: ANDREA LONGANESI
CODICE FISCALE: LNGNDR61R19A547T
DATA FIRMA: 06/12/2023 16:49:37
IMPRONTA: 37E88112D4943702EF777D52753EE1093DFCF28EA734814D82898C3F6516057E
3DFCF28EA734814D82898C3F6516057E41D0AC77A555EE72C6109D3F3146F1EB
41D0AC77A555EE72C6109D3F3146F1EB624533C171290F2746B60A21DA573D47
624533C171290F2746B60A21DA573D472265E3479424D9AB5F95D6ED8C4BE29F

NOME: MARILENA FRANCIOSO
CODICE FISCALE: FRNMLN57L54E098U
DATA FIRMA: 07/12/2023 08:58:30
IMPRONTA: 20A7F398D466B7EF2A6BB7B4C1CB657681BE66A6FF86FCCE49C1ADEA6A811CAF
81BE66A6FF86FCCE49C1ADEA6A811CAFD178F438E834B9E071DF7243BB07F773
D178F438E834B9E071DF7243BB07F773FBFE83A206E076032B4812ADE0236928
FBFE83A206E076032B4812ADE0236928D79150BB7F7A112CB82078139DE79EC5