



Determinazione del Direttore Generale n. **429** del **09 MAR. 2017** Pag. 1
Atti n. 339/2017

STUDIO CLINICO PROFIT DAL TITOLO: "STUDIO DI ESTENSIONE DI FASE 3B, IN APERTO, PER VALUTARE LA SICUREZZA E L'EFFICACIA DELLE COMPRESSE DI ACIDO ACENEURAMICO A RILASCIO PROLUNGATO (ACE-ER) IN PAZIENTI AFFETTI DA MIOPATIA GNE (GNEM) O MIOPATIA EREDITARIA DA CORPI INCLUSI (HIBM)", CODICE PROTOCOLLO UX001-CL302, NUMERO EUDRACT 2016-000360-42, PROMOTORE ULTRAGENYX PHARMACEUTICAL INC (USA); CRO CLINTEC INTERNATIONAL ITALY S.R.L; DA SVOLGERSI PRESSO L'U.O.C. NEUROLOGIA

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 B
- proposta di convenzione, tra la Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico e il Promotore Ultragenyx Pharmaceutical Inc

3. Attestazione contabile

La presente determina non comporta oneri.

Pratica gestita da Dott.ssa Federica Massacesi

Responsabile del procedimento

Milano, _____

Direttore Scientifico

X Prof. Silvano Bosari





Determinazione del Direttore Generale n. **429** del **09 MAR. 2017**, Atti n. 339/2017

Pag. 2

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							

Gli eventuali costi imputati saranno coperti dai fondi rivenienti dalla Sperimentazione in oggetto.

Milano, 6/3/17

Il Direttore della UOC Economico-Finanziaria

(Dott. Roberto Alberti)





Determinazione del Direttore Generale n. **429** del **09 MAR. 2017**, Atti n. 339/2017

STUDIO CLINICO PROFIT DAL TITOLO: "STUDIO DI ESTENSIONE DI FASE 3B, IN APERTO, PER VALUTARE LA SICUREZZA E L'EFFICACIA DELLE COMPRESSE DI ACIDO ACENEURAMICO A RILASCIO PROLUNGATO (ACE-ER) IN PAZIENTI AFFETTI DA MIOPATIA GNE (GNEM) O MIOPATIA EREDITARIA DA CORPI INCLUSI (HIBM)", CODICE PROTOCOLLO UX001-CL302, NUMERO EUDRACT 2016-000360-42, PROMOTORE ULTRAGENYX PHARMACEUTICAL INC (USA); CRO CLINTEC INTERNATIONAL ITALY S.R.L; DA SVOLGERSI PRESSO L'U.O.C. NEUROLOGIA

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";

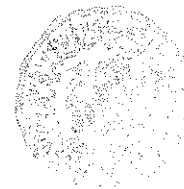
VISTA la Determinazione n. 1698 del 30/07/2013 "Costituzione Comitato Etico Milano Area B"; la Determinazione n. 1857 del 05/09/2013 "Integrazione Determina n. 1698 del 30/07/2013" e successive; la determinazione n. 1085 del 21/05/2015 "Modifica determinazione n. 1698 del 30/07/2013";

VISTA la lettera d'intenti, datata 11/11/2016 e corredata dalla relativa documentazione, con la quale la CRO ClinTec International Italy, delegata dal Promotore Ultragenyx Pharmaceutical Inc., chiede che sia approvato dal Comitato Etico Milano Area B e autorizzato dalla Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico lo studio farmacologico, dal titolo: *"Studio di estensione di fase 3b, in aperto, per valutare la sicurezza e l'efficacia delle compresse di acido aceneuramico a rilascio prolungato (Ace-ER) in pazienti affetti da miopatia GNE (GNEM) o miopatia ereditaria da corpi inclusi (HIBM)", Codice Protocollo UX001-CL302, Numero EudraCT 2016-000360-42, da svolgersi presso l'U.O.C. Neurologia, diretta dal Prof. Nereo Bresolin, sotto la responsabilità scientifica del Prof. Giacomo Comi. In Atti 339/2017;*

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. BARCLT16108, stipulata con la compagnia Lloyd's di Londra ed approvata dal Comitato Etico Milano Area B. Massimale per il Protocollo € 5.000.000,00; massimale per Persona di € 1.000.000,00. In Atti 339/2017;

DATO ATTO che il Comitato Etico Milano Area B, nella seduta del 07/02/2017, "... ha accettato all'unanimità il Parere Unico favorevole allo studio espresso dal Comitato Etico della Fondazione Pol. Univ. A. Gemelli Università Cattolica del S. Cuore nella seduta del 15.12.2016, subordinando tale accettazione alle seguenti modifiche/integrazioni ...". In Atti 339/2017;





Determinazione del Direttore Generale n. 429 del 09 MAR. 2017 Atti n. 339/2017

DATO ATTO che con nota datata 20/02/2017 il Comitato Etico Milano Area B, , "... *scioglie ogni riserva e conferma all'unanimità l'accettazione del Parere Unico favorevole allo studio espresso dal Comitato Etico della Fondazione Pol. Univ. A. Gemelli Università Cattolica del S. Cuore nella seduta del 15.12.2016*". In Atti 339/2017;

VISTA la proposta di convenzione, tra la Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico e il Promotore Ultragenyx Pharmaceutical Inc. In Atti 339/2017;

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, Direttore Scientifico;

DETERMINA

Per tutti i motivi in premessa indicati:

- di approvare il contratto di sperimentazione clinica di cui in premessa;
- di autorizzare, ai sensi della normativa in materia vigente, l'esecuzione dello studio farmacologico, dal titolo: *"Studio di estensione di fase 3b, in aperto, per valutare la sicurezza e l'efficacia delle compresse di acido aceneuramico a rilascio prolungato (Ace-ER) in pazienti affetti da miopatia GNE (GNEM) o miopatia ereditaria da corpi inclusi (HIBM"*, Codice Protocollo UX001-CL302, Numero EudraCT 2016-000360-42, da svolgersi presso l'U.O.C. Neurologia;
- di introitare le somme specificate nel contratto di sperimentazione clinica al conto economico 790510 del Bilancio di competenza;
- di ripartire la somma introitata secondo quanto stabilito con la Determinazione n. 1085 del 21/05/2015 e precisamente:

30% alla Fondazione, salva refusione di costi aggiuntivi

70% all' U.O. della Fondazione ove si svolge la Sperimentazione;

- di dare atto che le attestazioni richiamate in premessa formano parte integrante del presente atto;
- 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





Determinazione del Direttore Generale n. **429** del **09 MAR. 2017**, Atti n. 339/2017

dall'art.1 della L.R. n.23/2015);

- di disporre l'invio della presente determinazione alle UOS/UOC interessate.

IL DIRETTORE GENERALE
Dott.ssa Simona Girolodi

IL DIRETTORE SCIENTIFICO
Prof. Silvano Bosari

PER IL DIRETTORE AMMINISTRATIVO
Dott. Fabio Agrò

IL DIRETTORE SANITARIO
Dr.ssa Laura Chiappa

REGISTRATA NELL'ELENCO DELLE DETERMINAZIONI
IN DATA **09 MAR. 2017** AL N. **429**

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

