

**18-19-20 SETTEMBRE 2024**  
**BARI | VILLA ROMANAZZI CARDUCCI**



**SVILUPPO DI TERAPIE CELLULARI AVANZATE E  
APPLICAZIONI CLINICHE:  
IL RUOLO DI  
CASA SOLLIEVO DELLA SOFFERENZA**

*Dott. Massimo Carella*

Vice Direttore Scientifico

Fondazione IRCCS Casa Sollievo della Sofferenza

@ForumRisk    

[www.forummediterraneosanita.it](http://www.forummediterraneosanita.it)

**18-19-20 SETTEMBRE 2024**  
**BARI | VILLA ROMANAZZI CARDUCCI**



**IRCCS CASA SOLLIEVO DELLA SOFFERENZA:  
TEMATICA DI RICONOSCIMENTO ED AREE TEMATICHE**

16 Luglio 1991

Riconoscimento IRCCS  
**“Malattie genetiche ed eredo-familiari”**

5 Dicembre 2012

Rinnovo del riconoscimento IRCCS ed  
estensione della tematica di riconoscimento  
**“Malattie genetiche, terapie innovative  
e medicina rigenerativa”**

25 Ottobre 2023

Riordino della disciplina degli IRCCS  
Aree Tematiche  
**Neurologia, Oncologia e Diagnostica**

**18-19-20 SETTEMBRE 2024**  
**BARI | VILLA ROMANAZZI CARDUCCI**



ISBReMIT (Institute for Stem cells Biology, Regenerative Medicine and Innovative Therapies)



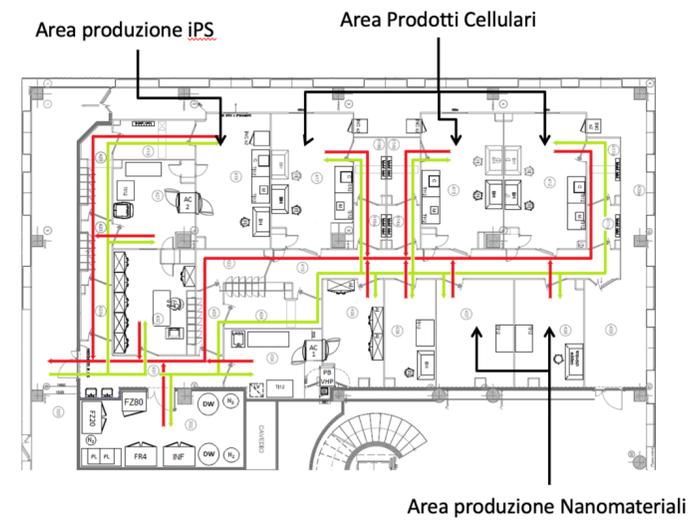
@ForumRisk    

[www.forummediterraneosanita.it](http://www.forummediterraneosanita.it)

**18-19-20 SETTEMBRE 2024**  
**BARI | VILLA ROMANAZZI CARDUCCI**



**ISBReMIT – OFFICINA FARMACEUTICA UNITA' PRODUTTIVA TERAPIE AVANZATE (UPTA)**



@ForumRisk    

[www.forummediterraneosanita.it](http://www.forummediterraneosanita.it)

ISBReMIT – OFFICINA FARMACEUTICA UNITA' PRODUTTIVA TERAPIE AVANZATE (UPTA)

0158796-13/12/2023-AIFA-AIFA\_GMPMED-P

GMPMED/PC/ADP AIFA/GMPMED/PV

**AIFA**  
AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

Roma,

Ufficio Ispezioni e Autorizzazioni  
GMP Medicinali

Aifa Società  
IRCCS CASA SOLLIEVO DELLA  
SOFFERENZA  
VIALE CAPPUCCINI  
71013 - SAN GIOVANNI ROTONDO  
(FG)

**OGGETTO:** Autorizzazione per l'officina farmaceutica IRCCS CASA SOLLIEVO DELLA SOFFERENZA sita in SAN GIOVANNI ROTONDO (FG), VIA PADRE PIO, 7.

Con la presente si trasmette l'Autorizzazione n. aM-153/2023 del 22/11/2023, emessa a seguito del follow-up relativo all'ispezione del 13/06/2023 -16/06/2023 presso l'officina specificata in oggetto. Si precisa che le attività di produzione e certificazione dei lotti di placebo sono coperte dall'autorizzazione alla produzione di medicinali sperimentali.

**IL DIRIGENTE**  
(Angela Del Vecchio)

**ALLEGATO 2**

**SCOPO DELL'AUTORIZZAZIONE**  
Denominazione ed indirizzo: IRCCS CASA SOLLIEVO DELLA SOFFERENZA - VIA PADRE PIO, 7 - 71013 SAN GIOVANNI ROTONDO(FG)

Prodotti Medicinali Umani

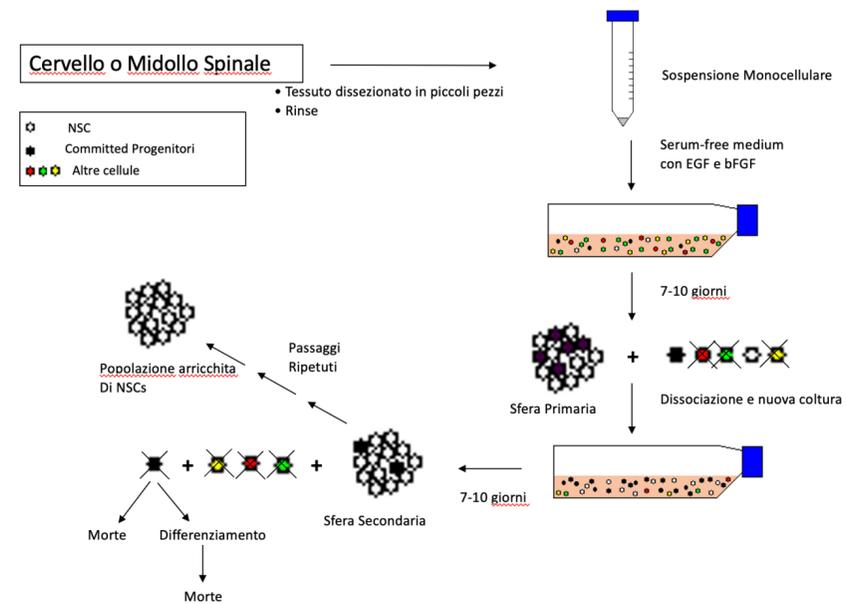
**Attività Autorizzate**  
Attività di Produzione (Parte 1)  
**Parte 1 - ATTIVITA' DI PRODUZIONE PER MEDICINALI SPERIMENTALI**

<b>1.1</b>	<b>Prodotti sterili</b>
f.1.1	Preparati in asepsi
1.1.1.4	Liquidi di piccolo volume
1.1.1.6	Altri prodotti preparati in asepsi
<b>1.3</b>	<b>Prodotti medicinali biologici</b>
f.3.1	Prodotti medicinali biologici
1.3.1.3	Prodotti per terapia cellulare
f.3.2	Certificazione del lotto
1.3.2.3	Prodotti per terapia cellulare
<b>1.5</b>	<b>Confezionamento</b>
f.5.2	Confezionamento secondario
<b>1.6</b>	<b>Test per il controllo di qualità</b>
f.6.3	Chimico/Fisico
f.6.4	Biologici

Modello 020/04 "Certificazioni Autorizzazioni" Rev. 6.2, Data 02/06/2017

Referente amministrativo: PALETTI CRISTIANA; tel: 06 5978 4488; fax: 06 5978 4312; indirizzo E-mail: C.Paletti@aifa.gov.it  
Referente tecnico: Fabrizio Sacco; tel: 06 5978 4312; indirizzo E-mail: F.sacco@aifa.gov.it  
NB: Si prega di allegare alla risposta copia della presente. SIS: 4980; codice pratica: 048756/2023

### UPTA - PRODUZIONE DI CELLULE STAMINALI NEURALI



**18-19-20 SETTEMBRE 2024**  
**BARI | VILLA ROMANAZZI CARDUCCI**



## TRATTAMENTO CON CELLULE STAMINALI NEURALI – STUDI CONCLUSI

*Trapianto di cellule staminali neurali umane nella sclerosi laterale amiotrofica (SLA) (hNSCALS)  
(EudraCT: 2009-014484-39)*

Periodo: 2012-2015

Numero pazienti trattati: 18

Dose del farmaco: da 2,5 milioni di cellule fino a 4,5 milioni di cellule

*Studio multicentrico di Fase I di trapianto allogenico intra-cerebroventricolare di cellule staminali neurali umane per il trattamento sperimentale di pazienti con Sclerosi Multipla secondaria progressiva (EudraCt-2015-004855-37).*

Periodo: 2017-2021

Numero pazienti trattati: 15

Dose del farmaco: da 5 milioni di cellule fino a 24 milioni di cellule

**18-19-20 SETTEMBRE 2024**  
**BARI | VILLA ROMANAZZI CARDUCCI**



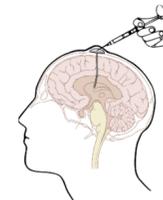
**Forum  
Mediterraneo  
in Sanità™ 2024**

## TRATTAMENTO CON CELLULE STAMINALI NEURALI – STUDI IN CORSO

Graduatoria MR Bando PNRR

Rank	MDC	Codice progetto	Research type	Destinatario Istituzionale	Titolo progetto	Valid Score	Budget Richiesto	budget residuo
1	Neurologia E Psichiatria	PNRR-MR1-2022-12375938	B2) Malattie rare: sviluppo di soluzioni trasversali che possano avere impatto su molteplici patologie in termini di ricerca e assistenza	Piemonte	Neural Stem Cell Treatment for Amyotrophic Lateral Sclerosis: A multicenter, randomized placebo controlled and biological endpoints clinical trial	8,50	1.000.000,00 €	49.000.000,00 €

Valutare la sicurezza e l'efficacia di differenti dosaggi di **cellule staminali neuronali umane (hNSC)** iniettate tramite un metodo chirurgico meno invasivo (ICV, intracerebroventricolare).



Fornire importanti informazioni sull'attività biologica delle cellule *in vivo* attraverso i cambiamenti nei **biomarcatori** e tramite analisi degli effetti delle cellule su modelli cellulari di pazienti trattati.

@ForumRisk    

[www.forummediterraneosanita.it](http://www.forummediterraneosanita.it)

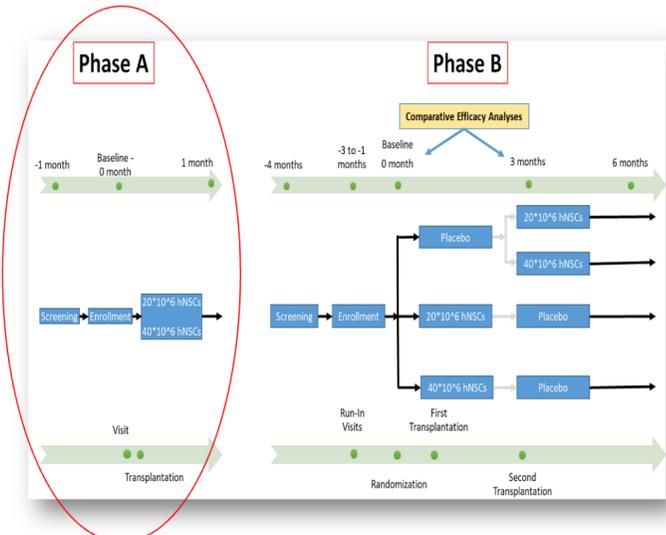
**18-19-20 SETTEMBRE 2024**  
**BARI | VILLA ROMANAZZI CARDUCCI**

**Forum  
Mediterraneo  
in Sanità™ 2024**

TRATTAMENTO CON CELLULE STAMINALI NEURALI PER LA SCLEROSI LATERALE AMIOTROFICA:  
UNO STUDIO CLINICO MULTICENTRICO, RANDOMIZZATO CONTROLLATO CON PLACEBO E CON ENDPOINT BIOLOGICI

- FASE A**
- ✓ In aperto
  - ✓ Singola iniezione
  - ✓ 6 pazienti in due coorti:
    - 3 pz a 20 milioni di hNSCs
    - 3 pz a 40 milioni di hNSCs

- FASE B**
- ✓ Triplo cieco (clinico, paziente e biostatistico)
  - ✓ Randomizzato, controllato vs placebo, 3 bracci
  - ✓ Doppia iniezione, cellule/placebo, a T0 e a T3 mesi
  - ✓ 24 pazienti
  - ✓ Due dosaggi cellulari: 20 e 40 milioni di hNSCs



**18-19-20 SETTEMBRE 2024**  
**BARI | VILLA ROMANAZZI CARDUCCI**



## PROGETTI FINANZIATI IN AMBITO DI TERAPIE AVANZATE

*Life Science Hub Regione Puglia (LSH-Puglia) – Codice locale progetto T4-AN-01*  
finanziato dal Ministero della Salute nell’ambito della Traiettorie 4 del Piano operativo salute: “Biotecnologie, bioinformatica e sviluppo farmaceutico”.  
Ammontare finanziamento: 1.330.000,00 euro

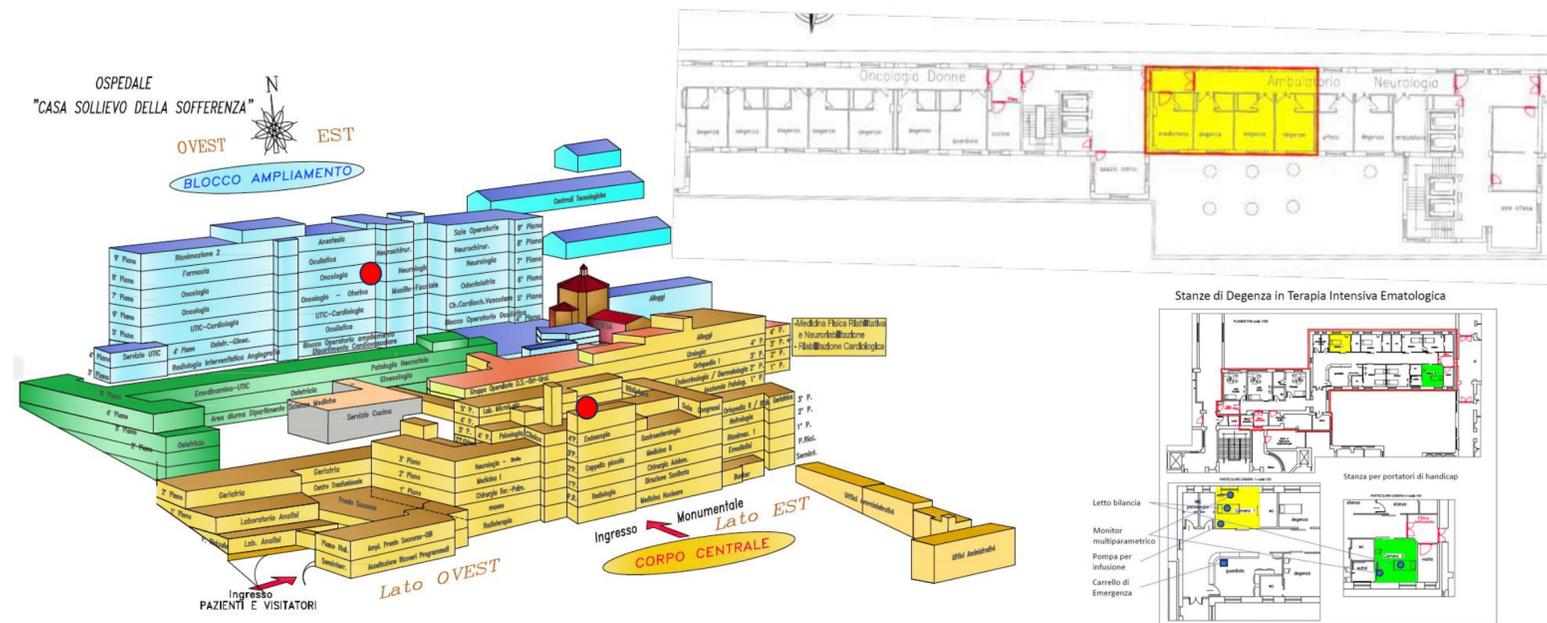
*Hub Life Science – Terapia Avanzata (LSH-TA) PNC-E3-2022-23683269,*  
finanziato dal Ministero della Salute nell’ambito del Piano Nazionale Complementare Ecosistema Innovativo della Salute.  
Ammontare finanziamento: 4.200.000,00 euro

*Genotypic, metabolic and immunophenotypic characterization of Early Tcell Precursor (ETP) Acute Lymphoblastic Leukemia (ALL) for the preclinical development of CAR-T cells*  
finanziato dal Ministero della Salute nell’ambito del secondo bando PNRR-salute (2023)  
Ammontare finanziamento: 400.000,00 euro

**18-19-20 SETTEMBRE 2024**  
**BARI | VILLA ROMANAZZI CARDUCCI**

**Forum Mediterraneo in Sanità™ 2024**

**UNITA' CLINICA DI FASE 1**



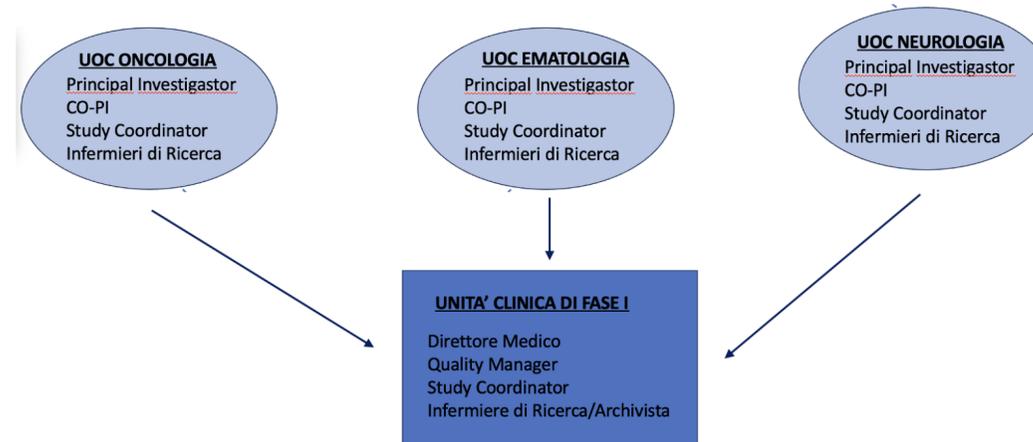
@ForumRisk     [www.forummediterraneosanita.it](http://www.forummediterraneosanita.it)

**18-19-20 SETTEMBRE 2024**  
**BARI | VILLA ROMANAZZI CARDUCCI**



**Forum  
Mediterraneo  
in Sanità™ 2024**

### UNITA' CLINICA DI FASE 1



**18-19-20 SETTEMBRE 2024**  
**BARI | VILLA ROMANAZZI CARDUCCI**



## STUDI PROFIT CON TERAPIE AVANZATE

Centro coordinatore per l'Italia nel primo trial clinico eseguito con:

- i. un farmaco antisenso (ASO) in una malattia neurodegenerativa dell'adulto, Generation-HD1,
- ii. splicing modifier nella malattia di Huntington, PIVOT-HD

## TERAPIE AVANZATE NELLA PRATICA CLINICA

Trattamento con terapia cellulare CAR-T commerciali

Pazienti trattati: 5 + 3 sottoposti a linfocitoafesi

Periodo: 2024

@ForumRisk    

[www.forummediterraneosanita.it](http://www.forummediterraneosanita.it)

**18-19-20 SETTEMBRE 2024**  
**BARI | VILLA ROMANAZZI CARDUCCI**



**RUOLO DI CASA SOLLIEVO DELLA SOFFERENZA NEL PROGETTO**  
Life Science Hub Regione Puglia (LSH-Puglia)

**Studio clinico pilota CAR T**

Attivazione di un clinical trial basato sulla produzione di cellule CAR T presso l'Officina Farmaceutica di OPBG, per il trattamento di pazienti della Regione Puglia, presso i centri clinici del consorzio.

**Generazione di nuovi prodotti CAR T/NK per indicazioni ad alto impatto clinico, come i tumori solidi nell'adulto**

Saranno caratterizzati nuovi mAB diretti verso cellule leucemiche.

**18-19-20 SETTEMBRE 2024**  
**BARI | VILLA ROMANAZZI CARDUCCI**



@ForumRisk    

[www.forummediterraneosanita.it](http://www.forummediterraneosanita.it)

### **Delitti in materia di violazione del diritto d'autore (Art. 25-novies, D.Lgs. n. 231/2001) [articolo aggiunto dalla L. n. 99/2009]**

- Messa a disposizione del pubblico, in un sistema di reti telematiche, mediante connessioni di qualsiasi genere, di un'opera dell'ingegno protetta, o di parte di essa (art. 171, legge n.633/1941 comma 1 lett. a) bis)
- Reati di cui al punto precedente commessi su opere altrui non destinate alla pubblicazione qualora ne risulti offeso l'onore o la reputazione (art. 171, legge n.633/1941 comma 3)
- Abusiva duplicazione, per trarne profitto, di programmi per elaboratore; importazione, distribuzione, vendita o detenzione a scopo commerciale o imprenditoriale o concessione in locazione di programmi contenuti in supporti non contrassegnati dalla SIAE; predisposizione di mezzi per rimuovere o eludere i dispositivi di protezione di programmi per elaboratori (art. 171-bis legge n.633/1941 comma 1)
- Riproduzione, trasferimento su altro supporto, distribuzione, comunicazione, presentazione o dimostrazione in pubblico, del contenuto di una banca dati; estrazione o reimpiego della banca dati; distribuzione, vendita o concessione in locazione di banche di dati (art. 171-bis legge n.633/1941 comma 2)
- Abusiva duplicazione, riproduzione, trasmissione o diffusione in pubblico con qualsiasi procedimento, in tutto o in parte, di opere dell'ingegno destinate al circuito televisivo, cinematografico, della vendita o del noleggio di dischi, nastri o supporti analoghi o ogni altro supporto contenente fonogrammi o videogrammi di opere musicali, cinematografiche o audiovisive assimilate o sequenze di immagini in movimento; opere letterarie, drammatiche, scientifiche o didattiche, musicali o drammatico musicali, multimediali, anche se inserite in opere collettive o composite o banche dati; riproduzione, duplicazione, trasmissione o diffusione abusiva, vendita o commercio, cessione a qualsiasi titolo o importazione abusiva di oltre cinquanta copie o esemplari di opere tutelate dal diritto d'autore e da diritti connessi; immissione in un sistema di reti telematiche, mediante connessioni di qualsiasi genere, di un'opera dell'ingegno protetta dal diritto d'autore, o parte di essa (art. 171-ter legge n.633/1941)
- Mancata comunicazione alla SIAE dei dati di identificazione dei supporti non soggetti al contrassegno o falsa dichiarazione (art. 171-septies legge n.633/1941)
- Fraudolenta produzione, vendita, importazione, promozione, installazione, modifica, utilizzo per uso pubblico e privato di apparati o parti di apparati atti alla decodificazione di trasmissioni audiovisive ad accesso condizionato effettuate via etere, via satellite, via cavo, in forma sia analogica sia digitale (art. 171-octies legge n.633/1941).

**[Torna all'inizio](#)**