

REPUBBLICA ITALIANA  
Regione Siciliana



ASSESSORATO DELLA SALUTE  
Dipartimento della Pianificazione Strategica  
Dipartimento Attività Sanitarie e Osservatorio Epidemiologico  
Servizio 6 “Trasfusionale” Centro Regionale Sangue

Individuazione di un Centro prescrittore per la terapia genica della Talassemia

**L’ASSESSORE PER LA SALUTE**

- VISTO lo Statuto della Regione;
- VISTA la Legge 23 dicembre 1978 n. 833 di istituzione del Servizio Sanitario Nazionale;
- VISTO il Decreto legislativo 30 dicembre 1992, n. 502 e successive modifiche e integrazioni;
- VISTA la Legge regionale 14 aprile 2009, n. 5, recante “Norme per il riordino del Servizio sanitario regionale”;
- VISTO il Decreto Legislativo 24 aprile 2006, n. 219, recante “Attuazione della Direttiva 2001/83/CE relativa ad un codice comunitario concernente i medicinali per uso umano”;
- VISTO il Regolamento CE 1394/2007 del 13 novembre 2007 del Parlamento Europeo e del Consiglio sui medicinali per terapie avanzate recante modifica della Direttiva 2001/83/CE e del Regolamento CE/726/2004;
- VISTO il Decreto legislativo 6 novembre 2007, n. 191, recante “Attuazione della direttiva 2004/23/CE sulla definizione di norme di qualità e di sicurezza per la donazione, l’approvvigionamento, il controllo, la lavorazione, la conservazione, lo stoccaggio e la distribuzione di tessuti e cellule umane”;
- VISTO il Decreto legislativo 25 gennaio 2010, n. 16, recante “Attuazione delle direttive 2006/17/CE e 2006/86/CE, che attuano la direttiva 2004/23/CE per quanto riguarda le prescrizioni tecniche per la donazione, l’approvvigionamento e il controllo di tessuti e cellule umani, nonché per quanto riguarda le prescrizioni in tema di rintracciabilità, la notifica di reazioni ed eventi avversi gravi e determinate prescrizioni tecniche per la codifica, la lavorazione, la conservazione, lo stoccaggio e la distribuzione di tessuti e cellule umani” e s.m.i.;
- VISTO il Decreto legislativo 16 dicembre 2016, n. 256, recante “Attuazione della direttiva 2015/565/UE che modifica la direttiva 2006/86/CE per quanto riguarda determinate prescrizioni tecniche relative alla codifica di tessuti e cellule umani”;
- VISTO EUDRALEX Volume 4 Medicinal Product for human and veterinary use: Good Manufacturing Practice – Part I - Basic requirement for medicinal products and relative annex e, in particolare, Annex 1 – Annex 2 – Annex 11 – Annex 13 – Annex 15 – Annex 16 – Annex 20;
- VISTO il Decreto Assessoriale 11 gennaio 2019 recante “Adeguamento della rete ospedaliera al D.M. 2 aprile 2015, n. 70”

- VISTO il Decreto Assessoriale n. 2646 del 20 del 20 dicembre 2011 recante Rifunionalizzazione della Rete Regionale della Talassemia e delle Emoglobinopatie e, in particolare, l'articolo 4, comma 1, che identifica il Centro Hub Regionale della Rete presso l'Unità Operativa Complessa di Ematologia e Malattie Rare del Sangue e degli Organi Ematopoietici, dell'Azienda Ospedaliera "Ospedali Riuniti Villa Sofia – Cervello" di Palermo;
- VISTA la nota prot. n. 5281 del 28.06.2019 del Direttore Generale dell'Azienda Ospedaliera "Ospedali Riuniti Villa Sofia – Cervello" di Palermo, di trasmissione della nota prot. n. 1979/XLS/19 con la quale il Direttore della U.O.C. di Ematologia per le Malattie Rare del Sangue e degli Organi Ematopoietici richiede a questo Assessorato di identificare la predetta U.O.C. quale Centro di riferimento per la Terapia Genica della Talassemia, ritenuto che l'unità operativa già intrattiene un rapporto di collaborazione con il Centro Trapianti di Midollo Osseo aziendale autorizzato all'autotrapianto di midollo ed è in possesso, altresì, di requisiti, strutturali, professionali e di accreditamento adeguati ai fini del trattamento dei pazienti talassemici mediante terapia genica;
- VISTA la risoluzione n. 16 della VI Commissione "Servizi Sociali e Sanitari" dell'Assemblea Regionale Siciliana, approvata nella seduta n.142 del 27.12.2019, che impegna il Governo della Regione e, per esso, l'Assessore per la Salute a prevedere l'istituzione del centro di riferimento per la terapia genica dei talassemici presso l'Unità Operativa Complessa di Ematologia e Malattie Rare del Sangue e degli Organi Ematopoietici, dell'Azienda Ospedaliera "Ospedali Riuniti Villa Sofia – Cervello" di Palermo;
- CONSIDERATO che l'European Medicine Agency (EMA) ha già autorizzato l'uso di un farmaco lentivirale per terapie avanzate di tipo genico (Advanced Therapy Medicinal Products – ATMP) che si è rivelato in grado, in apposito protocollo, di ripristinare la sintesi dell'emoglobina adulta normale in pazienti affetti da beta talassemia trasfusione – dipendente;
- CONSIDERATO che il trattamento terapeutico di rivolge ad un *setting* di pazienti eleggibili fortemente rappresentato sul territorio regionale affetti da una emoglobinopatia rara nella quale una mutazione del gene beta-globinico determina un'anemia cronica che rende i pazienti dipendenti dalla terapia trasfusionale e li espone alle severe complicanze da questa indirettamente provocate;
- CONSIDERATO che la terapia genica rappresenterebbe attualmente l'unica opzione terapeutica rivelatasi in grado di rendere i pazienti indipendenti dalla terapia trasfusionale a mezzo dell'ingegneria genetica in assenza di complicanze con esito fatale, come documentato dagli studi clinici fino ad oggi effettuati;
- CONSIDERATO che nelle more del rilascio, da parte dell'AIFA, dell'Autorizzazione all'Immissione in Commercio (AIC) di farmaci utilizzabili nell'ambito del trattamento mediante terapia genica della talassemia trasfusione dipendente, si rende necessario individuare il Centro prescrittore per il trattamento dei pazienti eleggibili sul territorio regionale;
- CONSIDERATO che il protocollo di terapia genica della talassemia prevede il prelievo delle cellule staminali emopoietiche del paziente talassemico in ambiente ospedaliero, seguito dalla loro manipolazione presso i laboratori dell'industria farmaceutica che detiene l'autorizzazione all'immissione in commercio (AIC) del farmaco e la successiva reinfusione presso un Centro Trapianti di Midollo (TMO)
- CONDIDERATO che in relazione alla specificità del protocollo terapeutico, il Centro prescrittore della terapia genica deve essere collegato ad un Centro TMO in possesso di specifici requisiti normativi e qualitativi in materia di: a) Certificazione, rilasciata dal Centro Nazionale Trapianti e dal Centro Nazionale Sangue, che attesta la rispondenza del Centro TMO ai requisiti prescritti dalle Direttive Europee; b) Accreditamento JACIE  $\geq 6.0$  per trapianto

allogenic e deve altresì disporre di un team multidisciplinare qualificato per la gestione clinica del paziente nelle diverse fasi del trattamento;

RITENUTO che l'identificazione del Centro prescrittore della terapia genica della talassemia costituisca una misura atta a garantire il trattamento dei pazienti talassemici del territorio regionale e a contrastare il rischio della mobilità sanitaria extraregionale;

RITENUTO che il Centro Hub della Rete Regionale della Talassemia e delle Emoglobinopatie operante presso l'Unità Operativa Complessa di Ematologia e Malattie Rare del Sangue e degli Organi Ematopoietici, dell'Azienda Ospedaliera "Ospedali Riuniti Villa Sofia – Cervello" di Palermo e il Centro Trapianti di Midollo Osseo della predetta azienda siano in possesso dei requisiti di ordine regolatorio e organizzativi specifici per il trattamento, mediante terapia genica, dei pazienti talassemici eleggibili:

## DECRETA

### Articolo 1

Per le motivazioni di cui in premessa, il Centro Hub della Rete Regionale della Talassemia e delle Emoglobinopatie, operante presso l'Unità Operativa Complessa di Ematologia e Malattie Rare del Sangue e degli Organi Ematopoietici dell'Azienda Ospedaliera "Ospedali Riuniti Villa Sofia – Cervello" di Palermo, è individuato quale Centro prescrittore per la terapia genica della talassemia.

### Articolo 2

L'operatività del Centro prescrittore di cui all'articolo 1 farà seguito al rilascio dell'Autorizzazione all'Immissione in Commercio (AIC), da parte dell'AIFA, del farmaco per la terapia genica della talassemia e alla qualificazione propedeutica da parte dell'Azienda che detiene l'AIC.

Il presente Decreto è trasmesso al Responsabile del procedimento di pubblicazione dei contenuti sul sito istituzionale, ai fini dell'assolvimento degli obblighi di pubblicazione on line, e alla Gazzetta Ufficiale della Regione Siciliana per la pubblicazione per esteso.

Palermo 01/02/2021

L'ASSESSORE  
Avv. Ruggero Razza

Il Dirigente Generale  
Dipartimento Pianificazione Strategica  
Ing. Mario La Rocca

Il Dirigente Generale  
Dipartimento ASOE  
Dott.ssa Maria Letizia Di Liberti

Il Dirigente pro tempore  
Servizio 7 Farmaceutica

Il Dirigente pro tempore  
Servizio 6 Trasfusionale