

Repubblica Italiana



Regione Siciliana
Assessorato alla Sanità
Dipartimento Attività Sanitarie e
Osservatorio Epidemiologico
Area Interdipartimentale 6
Progetti, Ricerca e Innovazione

Prot.n°026 del 12 giugno 2009

**OGGETTO: Programma per la Ricerca Sanitaria 2008: Bandi Ministeriali
Malattie Rare e Cellule Staminali**

Ai Direttori Generali
Ai Direttori Sanitari
delle Aziende Ospedaliere
delle Aziende U.S.L.
delle Aziende Ospedaliere
Universitarie
della Regione Siciliana

Ai Rappresentanti Legali
degli IRCCS

Al Direttore Generale dell'ISMETT

Al Direttore Generale della Fondazione
Istituto San Raffaele – G. Giglio

Al Magnifico Rettore
della Università degli Studi di Palermo

Al Magnifico Rettore
della Università degli Studi di Catania

Al Magnifico Rettore
della Università degli Studi di Messina

Al Preside della Facoltà di Medicina e
Chirurgia della Università degli Studi
di Palermo

Al Preside della Facoltà di Medicina e
Chirurgia della Università degli Studi
di Catania

Al Preside della Facoltà di Medicina e
Chirurgia della Università degli Studi
di Messina

Al Consiglio Nazionale delle Ricerche

Al Presidente AIOP Sicilia

Al Direttore Generale Istituto
Zooprofilattico Sperimentale della
Sicilia

LORO SEDI

Si trasmette, in allegato, la direttiva regionale per la presentazione di progetti di ricerca nell'ambito dei bandi Attività di Ricerca sulle Malattie Rare e Attività di Ricerca sulle Cellule Staminali, relativi al Programma per la Ricerca Sanitaria 2008, pubblicati dal Ministero del Lavoro, della Salute e delle Politiche Sociali in data 29 maggio 2009.

I bandi e le modulistiche sono disponibili sul sito del Ministero www.ministerosalute.it ai link <http://www.ministerosalute.it/bandi/dettaglio.jsp?id=56> e <http://www.ministerosalute.it/bandi/dettaglio.jsp?id=57>.

Per qualsiasi chiarimento si invita a far riferimento al Dipartimento Attività Sanitarie e Osservatorio Epidemiologico, (consultando l'Area ricerca sanitaria accessibile all'indirizzo www.doesicilia.it/ricercasanitaria), e ai seguenti recapiti: Dott. Francesco Palazzo tel. 0917079225 – Sig.ra Pia Bruno tel. 0917079226 e-mail: ricerca@doesicilia.it.

Per quanto non esplicitato nella presente direttiva e per ogni ulteriore approfondimento si rimanda direttamente ai Bandi Ministeriali.

L'Assessore per la Sanità
(Dr. Massimo Russo)

FIRMATO

REPUBBLICA ITALIANA
REGIONE SICILIANA
ASSESSORATO DELLA SANITÀ

Programma per la Ricerca Sanitaria 2008: Attività di Ricerca sulle Malattie Rare e sulle Cellule Staminali
Direttiva Assessoriale

Il 29 maggio 2009 il Ministero del Lavoro, della Salute e delle Politiche Sociali ha pubblicato, sul sito <http://www.ministerosalute.it/dettaglio/dettaglioNews.jsp?id=1102>, due bandi per il finanziamento di programmi di ricerca sanitaria - anno 2008, riguardanti l'Attività di Ricerca sulle Malattie Rare e sulle Cellule Staminali, ai quali sono destinate risorse complessive pari a 16 milioni di euro.

Attività di Ricerca sulle Malattie Rare

Nell'ambito della Politica di Ricerca e Sviluppo del Ministero del Lavoro, della Salute e delle Politiche Sociali, il Programma Nazionale di Ricerca sulle Malattie Rare 2008 intende promuovere una ricerca strumentale agli obiettivi strategici del Servizio Sanitario Nazionale. Il Programma per l'anno 2008 è focalizzato sulle seguenti tre tematiche: **A, B, C.**

AREA A

1. Modelli di studio, inclusi quelli basati su cellule e/o animali, anche basati sull'analisi molecolare, biochimica e strumentale, per la prevenzione (primaria, secondaria, terziaria) di malattie rare.
2. Caratterizzazione di entità nosologiche e condizioni morbose senza diagnosi certa (dal sospetto diagnostico, alla caratterizzazione fenotipica e management clinico).
3. Sviluppo di nuovi approcci (molecolari, biochimici, strumentali, incluso RM e PET, ecc.) diagnostici e prognostici.
4. Modelli sperimentali, incluso modelli cellulari ed animali (topo etc.) geneticamente modificati, per lo sviluppo di nuove terapie (fase pre-clinica) e per la valutazione della loro sicurezza ed efficacia, anche con riguardo a terapie innovative di tipo genico e cellulare.

AREA B

1. Valutazione del profilo rischio/beneficio delle terapie farmacologiche e non farmacologiche mirate al trattamento delle malattie rare.

Per quanto riguarda i trattamenti farmacologici si fa riferimento a farmaci in commercio (utilizzati sia all'interno dell'indicazione approvata che off-label) o non in commercio (per esempio farmaci con "designazione" di farmaco orfano dall'EMA).

Per quanto riguarda le terapie non farmacologiche, si fa riferimento a presidi non invasivi (ad esempio, dieta e/o attività fisica) e invasivi (procedure interventistiche, impianto di device, chirurgia), che possano cambiare la storia naturale della malattia (qualità/quantità).

2. Studi su popolazioni di pazienti non responder alle terapie standard identificati sulla base di biomarcatori, diagnosi molecolare e medicina di laboratorio.

AREA C

1. Ricerche in ambito epidemiologico, con particolare riferimento a studi su incidenza, prevalenza, fattori di rischio, nonché studi su organizzazione di percorsi diagnostico-assistenziali condivisi.
2. Validazione ed ottimizzazione di modelli per la valutazione della qualità della vita dei cittadini affetti da malattie rare, anche in relazione alla qualità dei servizi erogati.

DESTINATARI

I finanziamenti per i progetti di ricerca per le Aree A e C sono destinati ai Destinatari Istituzionali (D.I.) del Ministero del Lavoro, della Salute e delle Politiche Sociali, ex comma 6 dell'art. 12/bis del D.Lgs. 502/92 come modificato ed integrato dal D.Lgs. 229/99, ovvero: Regioni e Province Autonome, Istituto Superiore di Sanità, Istituto Superiore per la Prevenzione e la Sicurezza sul Lavoro, Agenzia Nazionale per i Servizi Sanitari Regionali, Istituti di Ricovero e Cura a Carattere Scientifico pubblici e privati, Istituti Zooprofilattici Sperimentali. Limitatamente ai progetti di ricerca dell'area B, si rimanda a quanto previsto nel Bando Ministeriale.

RISORSE

Sono destinate al Programma di Ricerca sulle Malattie Rare, complessivamente a livello nazionale, risorse pari a € 8.000.000: 4.000.000 per l'area A di cui 1.000.000 di euro sono riservati al finanziamento di progetti presentati da DI italiani nell'ambito del programma E-RARE, € 3.000.000 per l'area B, € 1.000.000 per l'area C. I progetti possono prevedere un cofinanziamento. Il cofinanziamento dovrà essere costituito da risorse documentatamente disponibili alla data di presentazione dei progetti e queste risorse dovranno essere reperite attraverso fondi specificatamente dedicati, date da Enti, Istituzioni, Fondazioni, Associazioni ed Imprese Pubbliche e Private. Il finanziamento annuo, per ogni singolo progetto, in linea di massima sarà compreso tra 200.000 e 400.000 Euro.

DURATA

I progetti dovranno avere una durata massima biennale escluso il periodo di follow up, e comunque con durata complessiva non superiore a quattro anni.

MODALITÀ E PROCEDURE PER LA PRESENTAZIONE DEI PROGETTI ALLA REGIONE

Ogni ricercatore potrà presentare e partecipare ad un solo progetto in relazione al presente bando. Egli dovrà dimostrare di possedere esperienza documentabile nel settore e un'adeguata produzione scientifica. Possono presentare progetti coloro che hanno manifestato interesse a collaborare con la Regione Siciliana per la realizzazione di programmi di ricerca ed hanno presentato la propria candidatura nell'apposita sezione del sito del Dipartimento Osservatorio Epidemiologico (DOE) <http://www.doesticilia.it/ricercasanitaria>, ai sensi del bando pubblicato nella GURS concorsi n. 2 del 27 febbraio 2004. Le proposte di progetto devono essere presentate alla Regione Siciliana attraverso l'Area Ricerca del sito www.doesticilia.it/ricercasanitaria, accedendo alla sezione "**Candidature**", previa autenticazione, utilizzando le credenziali fornite al momento della presentazione della candidatura. La modulistica, da compilare in lingua italiana e inglese e poi inviare, è uguale a quella già pubblicata dal Ministero insieme al bando, e sarà scaricabile dal profilo della propria candidatura. Le proposte potranno essere presentate alla Regione **sino alle ore 14,00 del 3 luglio 2009**. Sino a questa data sarà possibile presentare anche la manifestazione di interesse necessaria per la presentazione dei progetti. Sul sito sono disponibili le istruzioni per la corretta esecuzione della procedura. Saranno inviati al Ministero della Salute quei progetti che risponderanno ai requisiti formali e alle finalità del bando ministeriale. I responsabili scientifici dei progetti dovranno, contemporaneamente, inserire i progetti sul sito del Ministero della Salute, all'indirizzo <http://ricerca.cbim.it/pub/home>, accreditandosi preventivamente sullo stesso sito come coordinatori scientifici.

E' esclusa ogni altra forma di presentazione dei progetti. Qualsiasi documento presentato alla Regione Siciliana oltre la scadenza prevista, anche se caricato sul sito del Ministero, non sarà preso in considerazione.

Attività di Ricerca sulle Cellule Staminali

Nell'ambito della Politica di Ricerca e Sviluppo del Ministero del Lavoro, della Salute e delle Politiche Sociali, finanziata ai sensi della vigente normativa (art.12 e 12/bis del D.Lgs. 502/92 come modificato ed integrato dal D.Lgs. 229/99), il Programma Nazionale di Ricerca sulle Cellule Staminali 2008 intende promuovere una ricerca strumentale agli obiettivi strategici del Servizio Sanitario Nazionale (SSN). Il Programma per l'anno 2008 è focalizzato sulle seguenti due tematiche:

- LA BIOLOGIA DELLE CELLULE STAMINALI COME PREMESSA PER UN IMPIEGO TERAPEUTICO
- LA CELLULA STAMINALE COME BIOMARCATORE E BERSAGLIO

SOGGETTI AMMESSI AL FINANZIAMENTO

I finanziamenti per i progetti di ricerca sono destinati esclusivamente ai Destinatari Istituzionali (D.I.) del Ministero del Lavoro, della Salute e delle Politiche Sociali, ex comma 6 dell'art. 12/bis del D.Lgs. 502/92 come modificato ed integrato dal D.Lgs. 229/99, d'ora in poi denominati Destinatari Istituzionali (DI), ovvero: Regioni e Province Autonome, Istituto Superiore di Sanità, Istituto Superiore per la Prevenzione e la Sicurezza sul Lavoro, Agenzia Nazionale per i Servizi Sanitari Regionali, Istituti di Ricovero e Cura a Carattere Scientifico pubblici e privati, Istituti Zooprofilattici Sperimentali. In ogni progetto deve essere comunque garantita la presenza di almeno una Unità Operativa appartenente al SSN. Alla realizzazione dei progetti possono concorrere le Università, il Consiglio Nazionale delle Ricerche e gli altri Enti di ricerca pubblici e privati, nonché le imprese pubbliche e private, sulla base di specifici accordi, contratti o convenzioni da stipularsi con la Regione Siciliana.

AREE TEMATICHE

1. LA BIOLOGIA DELLE CELLULE STAMINALI COME PREMESSA PER UN IMPIEGO TERAPEUTICO

Come è noto, agli impieghi clinici già in atto delle cellule staminali, si affiancano una serie di possibili applicazioni terapeutiche che sono alla base delle attuali ricerche scientifiche e che costituiscono la premessa ed il razionale per il presente bando. I progetti dovranno, pertanto, rivolgersi ad uno dei maggiori campi di applicazione terapeutica delle cellule staminali, che è quello della "medicina rigenerativa". Oggetto dei progetti sarà quindi l'utilizzazione delle cellule staminali per riparare il danno strutturale o funzionale di organi e tessuti, con particolare riferimento ad aspetti di sicurezza biologica, eterogeneità delle sorgenti di cellule staminali, rapporto con l'ospite, capacità di attecchimento e di integrazione nonché mantenimento della funzionalità nel tessuto bersaglio. Obiettivo prioritario dovrà quindi essere l'identificazione della popolazione cellulare più appropriata per ogni specifica applicazione clinica, in termini di sorgente, condizionamento e modalità di inoculazione.

Saranno inoltre considerati i progetti finalizzati alla manipolazione, modificazione e reclutamento *in vivo* di cellule staminali a fini terapeutici ed i progetti aventi per oggetto

l'impiego di cellule staminali a scopo terapeutico di ingegneria tissutale e in ambito emato-oncologico, sia nella promozione di una risposta immunitaria contro il tumore, sia come strategia immunomodulante. Saranno esclusi i progetti che prevedono l'utilizzo di cellule staminali embrionali di origine umana.

2. LA CELLULA STAMINALE COME BIOMARCATORE E BERSAGLIO

Sempre più solida è l'evidenza scientifica che una piccola sottopopolazione delle cellule di ogni tumore, le "cellule staminali tumorali" o "*tumor initiating cells*", sia in grado di determinare la progressione del tumore in termini di invasività e metastatizzazione.

Si ipotizza che queste cellule condividano caratteristiche particolari con le cellule staminali adulte per quanto concerne la capacità di rinnovarsi e andare incontro ad un processo di differenziazione, seppur aberrante. Sfortunatamente proprio queste cellule sembrano essere le più resistenti alle terapie oggi disponibili. Anche il microambiente che circonda il tumore ha una notevole influenza sulla vita delle cellule e sullo sviluppo tumorale.

E', quindi, di grande importanza conoscere nei dettagli, non solo le caratteristiche delle cellule staminali tumorali, ma anche ogni processo biologico/molecolare che interferisca nella loro funzione e comportamento. La rivoluzione genomica ha aperto vaste possibilità per l'identificazione di queste cellule, con la speranza di poterle sfruttare sia a scopo diagnostico/prognostico, che come bersaglio terapeutico. L'identificazione di un grande numero di candidati non si è finora tradotta in test diagnostici e prognostici attendibili e nell'identificazione di bersagli terapeutici ottimali. E' quindi importante che gli studi siano focalizzati sull'identificazione e caratterizzazione degli specifici bersagli della cellula che li esprime e sulle interazioni delle cellule staminali tumorali con il microambiente circostante. D'altra parte, l'utilizzo della cellula staminale come bersaglio terapeutico o marcatore prognostico/produttivo non si esaurisce in ambito oncologico, ma riveste notevole interesse anche in altre patologie.

RISORSE

Sono destinate al Programma di Ricerca sulle Cellule Staminali, complessivamente a livello nazionale, risorse pari a € 8.000.000, di cui € 4.000.000 per l'area 1 ed € 4.000.000 per l'area 2 . Un quarto dell'intera cifra è destinato a progetti eseguiti in collaborazione con laboratori di ricerca statunitensi; in questo caso la collaborazione dovrà essere documentata da una lettera, formale e dettagliata, di partecipazione al progetto da parte del centro con cui si intende collaborare. Il finanziamento annuo, per ogni singolo progetto, in linea di massima sarà compreso tra 100.000 e 200.000 Euro.

COFINANZIAMENTI

I progetti devono prevedere un cofinanziamento obbligatorio. Pertanto il finanziamento erogato per ogni singolo progetto coprirà una quota pari al 50% del costo complessivo del progetto presentato. Il rimanente 50% dovrà essere cofinanziato da risorse documentatamente disponibili, reperite attraverso fondi specificatamente dedicati, date da Enti, Istituzioni, Fondazioni, Associazioni ed Imprese Pubbliche e Private.

DURATA

I progetti dovranno avere una durata massima biennale e non potranno avere più di tre unità operative.

MODALITÀ E PROCEDURE PER LA PRESENTAZIONE DEI PROGETTI ALLA REGIONE

Ogni ricercatore potrà presentare e partecipare ad un solo progetto in relazione al presente bando. Egli dovrà dimostrare di possedere esperienza documentabile nel settore e un'adeguata produzione scientifica. Possono presentare progetti coloro che hanno manifestato interesse a collaborare con la Regione Siciliana per la realizzazione di programmi di ricerca ed hanno presentato la propria candidatura nell'apposita sezione del sito del Dipartimento Osservatorio Epidemiologico (DOE) <http://www.doesicilia.it/ricercasanitaria>, ai sensi del bando pubblicato nella GURS concorsi n. 2 del 27 febbraio 2004. Le proposte di progetto devono essere presentate alla Regione Siciliana attraverso l'Area Ricerca del sito www.doesicilia.it/ricercasanitaria, accedendo alla sezione "**Candidature**", previa autenticazione, utilizzando le credenziali fornite al momento della presentazione della candidatura. La modulistica, da compilare in lingua italiana e inglese e poi inviare, è uguale a quella già pubblicata dal Ministero insieme al bando, e sarà scaricabile dal profilo della propria candidatura. Le proposte potranno essere presentate alla Regione **sino alle ore 14,00 del 3 luglio 2009**. Sino a questa data sarà possibile presentare anche la manifestazione di interesse necessaria per la presentazione dei progetti. Sul sito sono disponibili le istruzioni per la corretta esecuzione della procedura. Saranno inviati al Ministero della Salute quei progetti che risponderanno ai requisiti formali e alle finalità del bando ministeriale. I responsabili scientifici dei progetti dovranno, contemporaneamente, inserire i progetti sul sito del Ministero della Salute, all'indirizzo <http://ricerca.cbim.it/pub/home>, accreditandosi preventivamente sullo stesso sito come coordinatori scientifici.

E' esclusa ogni altra forma di presentazione dei progetti. Qualsiasi documento presentato alla Regione Siciliana oltre la scadenza prevista, anche se caricato sul sito del Ministero, non sarà preso in considerazione.

*L'ASSESSORE
Dr. Massimo Russo*

FIRMATO