



Ministero della Salute – Direzione Generale della Ricerca e dell’Innovazione in Sanità

Rendiconto 5 per mille ANNO 2021
Contributo percepito € 2.188.494,28 In data 27 Settembre 2022

Ente della Ricerca Sanitaria

Denominazione Ente: Ospedale San Raffaele S.r.l.

Codice fiscale: 07636600962

Sede legale: Via Olgettina, 60 – 20132 Milano

Indirizzo di posta elettronica dell'ente: dir.scientifica@hsr.postecert.it

Dati del rappresentante legale: Il Direttore Generale Ing. Marco Centenari

Titolo del progetto: Sviluppo, validazione e produzione di ATMP di grado clinico per il trattamento di patologie ereditarie e patologie neurologiche, oncologiche o pancreatiche

Data di inizio progetto: 01/09/2023	Data di fine progetto: 31/08/2026
Fondi 5 per mille assegnati al progetto: €	Di cui: Quota sostenuta entro l’anno di rendicontazione: € 0,00 Quota accantonata, da sostenere, per progetti pluriennali (durata massima tre anni): € 2.188.494,28

VOCI DI SPESA	Quota sostenuta entro l’anno di rendicontazione	Quota accantonata, da sostenere, per progetti pluriennali (durata massima tre anni)
Personale di ricerca (borsista, a contratto e di ruolo in quota parte)		€ 439.644,86

Apparecchiature (ammortamento, canone di locazione/leasing)		
Materiale d'uso destinato alla ricerca (per laboratori di ricerca, acquisto farmaci ecc.)		
Spese di organizzazione (manifestazioni e convegni, viaggi e missioni ecc.)		
Elaborazione dati		
Spese amministrative		€ 218.849,42
Altro (indicare quali): Investimento per l'implementazione di una struttura in grado di aumentare la capacità produttiva di prodotti cellulari di grado GMP		€ 1.530.000,00
TOTALE		2.188.494,28 €

Data

Il Responsabile del Progetto

Il Direttore Generale
Rappresentante Legale per procura

Si autorizza al trattamento dei dati ai sensi del d.lgs. 196/2003

Il Direttore Generale
Rappresentante Legale per procura

Rendiconto di assegnazione risorse 5 per mille

Anno – 2021 contributo percepito: 2.188.494,28 €

Un obiettivo primario dell'IRCCS Ospedale San Raffaele (OSR) di Milano è quello di produrre ricerca scientifica di altissimo livello in grado di trovare nuove soluzioni diagnostiche e terapeutiche per le numerose problematiche cliniche che si presentano nella pratica medica quotidiana, al fine di assicurare ai pazienti la migliore assistenza possibile. La ricerca di cui sopra riguarda sia ambiti fondamentali cosiddetti "di laboratorio", sia ambiti traslazionali e clinici, ed è orientata a tutte le aree della ricerca biomedica, anche grazie alle numerose collaborazioni con i principali centri di ricerca internazionali.

Alla luce di ciò, la missione della Ricerca OSR può essere riassunta nei seguenti punti:

- Condurre una ricerca scientifica all'avanguardia
- Migliorare le nostre conoscenze delle malattie umane
- Identificare nuovi percorsi diagnostici e terapeutici a beneficio dei pazienti;

Sviluppo, validazione e produzione di ATMP di grado clinico per il trattamento di patologie ereditarie e patologie neurologiche, oncologiche o pancreatiche.

Molte malattie umane sono ancora prive di trattamenti efficaci e potenzialmente curativi e/o spesso soffrono di gravi effetti collaterali associati alle terapie convenzionali che influiscono sulla qualità della vita dei pazienti. I medicinali biologici che vengono classificati come *Advanced Therapies Medicinal Products* o ATMP comprendono medicinali di terapia genica, medicinali di terapia cellulare somatica, medicinali di ingegneria tissutale e medicinali per terapie avanzate combinate (contenenti uno o più dispositivi medici a base di cellule o tessuti). Gli ATMP sono l'ultima frontiera della medicina di precisione e personalizzata, in cui le malattie vengono affrontate, spesso a livello molecolare, attraverso trattamenti basati sull'infusione di cellule coltivate/manipolate ex vivo, talvolta geneticamente modificate.

Gli ATMP rappresentano inoltre un settore in rapida crescita in termini di innovazione, investimenti e opportunità commerciali. Inoltre, gli ATMP già contribuiscono a migliorare lo scenario terapeutico e il rapporto costi/benefici del trattamento per alcune patologie gravi, potenzialmente letali o invalidanti. Esempi paradigmatici di questo potenziale rivoluzionario sono chiaramente rappresentati dai risultati senza precedenti ottenuti con l'uso di cellule CAR T a bersaglio CD19 in pazienti affetti da neoplasie ematologiche o dagli approcci di terapia genica in pazienti con errori innati dell'immunità, disordini da accumulo lisosomiale/perossisomiale o emoglobinopatie.

Ospedale San Raffaele S.r.l.
Istituto di Ricovero e Cura a Carattere Scientifico

Via Olgettina 60 – 20132 Milano (MI) | Tel. +39 02.26431 | info@hsr.it
C.F., P.IVA e Reg. Imp. Milano 07636600962 – C.C.I.A.A. 1972938
Capitale Sociale € 60.817.200 i.v.

www.hsr.it

Sistema Sanitario  Regione
Lombardia

 UniSR
Università Vita-Salute
San Raffaele




Nonostante questa enorme potenzialità, le ATMP hanno ancora un campo di applicazione terapeutica limitato, in parte a causa della limitata capacità delle istituzioni accademiche di eseguire lo sviluppo del processo e la costosa messa in scala e produzione dei vari prodotti in condizioni di *Good Manufacturing Practice* o GMP.

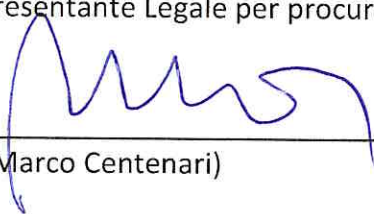
In questo progetto cercheremo di colmare questo divario attraverso la generazione di nuovi costrutti per la terapia genica e il "genome editing" che siano conformi alle norme GMP e la creazione - sempre GMP-grade - di cellule modificate geneticamente e non (o derivate da *Induced Pluripotent Stem Cells* o iPSC) per la cura di diverse patologie ereditarie, oncologiche, neurologiche o pancreatiche. Il progetto si prefigge poi di produrre test standardizzati per gli studi sulla sicurezza, tra cui la mutagenesi inserzionale e l'analisi del sito di integrazione nel caso di approcci di terapia genica. Soprattutto, però, il progetto si propone di generare una rinnovata struttura accademica GMP approvata in grado di fornire nuovi ATMP a costi relativamente contenuti. Nel giro di pochi anni questa struttura potrebbe essere capace di avviare studi pilota di Fase I che siano finanziariamente sostenibili da fondi accademici (fondi provenienti da enti governativi e/o charities no profit). L'implementazione di una struttura in grado di aumentare la capacità produttiva di prodotti cellulari di grado GMP in ambito accademico rappresenta quindi un'importante sfida a livello nazionale e internazionale e potrebbe fornire un nuovo modello di sviluppo anche socioeconomico per la cura di malattie ad oggi incurabili e ad alto impatto di morbidità e mortalità.

Grazie a varie partnership con aziende farmacologiche in grado di sostenere gli elevati costi di produzione dei vari ATMP, OSR già vanta un'impressionante serie di attività ATMP-relate nel campo della correzione genetica di disturbi ereditari. Queste attività verranno potenziate ed estese anche ad altri campi terapeutici come le suddette malattie oncologiche, neurologiche e pancreatiche.

A garanzia di un successo protratto nel tempo, i nostri sforzi e investimenti saranno dedicati non solo al raggiungimento degli obiettivi sopracitati, ma anche al sostegno della crescita scientifica di giovani medici/ricercatori che si dedicheranno agli obiettivi di questo progetto.

Milano, 10 luglio 2023

Il Direttore Generale
Rappresentante Legale per procura



(Ing. Marco Centenari)

Ospedale San Raffaele S.r.l.
Istituto di Ricovero e Cura a Carattere Scientifico

Via Olgettina 60 – 20132 Milano (MI) | Tel. +39 02.26431 | info@hsr.it
C.F., P.IVA e Reg. Imp. Milano 07636600962 – C.C.I.A.A. 1972938
Capitale Sociale € 60.817.200 i.v.

www.hsr.it



Ministero della Salute – Direzione Generale della Ricerca Scientifica e Tecnologica

Rendiconto di assegnazione risorse 5 per mille ANNO 2021 Contributo percepito € 2.188.494,28 In data 27 Settembre 2022

Ente della Ricerca Sanitaria

Denominazione Ente: OSPEDALE SAN RAFFAELE S.R.L.

Codice Fiscale: 07636600962

Sede Legale: Via Olgettina, 60 - 20132 Milano

Indirizzo di posta elettronica dell'ente: dir.scientifica@hsr.postecert.it

Dati del rappresentante legale: Il Direttore Generale Ing. Marco Centenari

Num. Prog.	Titolo del progetto	Fondi 5 per mille assegnati al progetto	Costo complessivo del progetto	Data indicativa di inizio progetto	Durata prevista
1	Sviluppo, validazione e produzione di ATMP di grado clinico per il trattamento di patologie ereditarie e patologiche neurologiche, oncologiche o pancreatiche	2.188.494,28	2.188.494,28	1 settembre 2023	3 anni

Data 13 luglio 2023

Il Direttore Generale - Rappresentante Legale per procura

Si autorizza al trattamento dei dati ai sensi del d.lgs. 196/2003

Il Direttore Generale - Rappresentante Legale per procura

*Istituzione beneficiaria del contributo del 5 per mille.