

Programma per la Ricerca Sanitaria 2008: attività di Ricerca sulle Malattie Rare

*(art.12 e 12 bis del D.Lgs. 502/92, come modificato ed integrato dal Decreto Legislativo n.229/99;
DL n. 269 del 30/9/2003 convertito in legge, legge 24/11/2003 n. 236 Art. 48, DM 17/12/2004, art.1,
comma 2, lettera a))*

INVITO ALLA PRESENTAZIONE DI PROGETTI

1. Finalità e caratteristiche generali
2. Soggetti ammessi al finanziamento
3. Aree tematiche
4. Risorse disponibili per i progetti di ricerca ammessi al finanziamento
5. Finanziamento
6. Modalità e procedure per la presentazione dei progetti
7. Selezione dei progetti: modalità e punteggi
8. Presentazione delle domande
9. Erogazione dei fondi

1. FINALITÀ E CARATTERISTICHE GENERALI

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) e DL n. 269 del 30/9/2003 convertito in legge, legge 24/11/2003 n. 236 Art. 48 comma 19 lettera b), il Programma Nazionale di Ricerca sulle Malattie Rare 2008 intende promuovere una ricerca strumentale agli obiettivi strategici del Servizio Sanitario Nazionale (SSN) sulle tematiche specifiche individuate come prioritarie, definite al successivo punto 3.

Il programma per l'attività di Ricerca sulle Malattie Rare per il 2008, ispirandosi alle indicazioni del Piano Sanitario Nazionale 2006-2008, avrà come propri criteri-guida:

- la promozione e lo sviluppo dell'attività scientifica dei ricercatori italiani che si occupano di malattie rare attraverso il finanziamento di progetti di ricerca, che abbiano come finalità la comprensione dei meccanismi patogenetici, lo sviluppo e la standardizzazione di nuove tecnologie e strumenti diagnostici, la valutazione del profilo rischio/beneficio di terapie per la cura ed il miglioramento della qualità della vita dei pazienti;
- l'organizzazione di interventi di promozione della qualità dell'assistenza sanitaria fornita ai pazienti affetti da malattie rare;
- la promozione della ricerca traslazionale sia nel passaggio dalla fase preclinica alla clinica, sia in quello fra ricerca clinica e applicazione nella pratica corrente del SSN;
- lo sviluppo di analisi condotte sul modello dell'Health Technology Assessment tese a verificare l'impatto complessivo (in termini di costi e ricadute sulla salute) dell'applicazione di nuovi interventi diagnostico-terapeutici);
- Sono definite malattie rare le malattie che colpiscono non più di 5 individui su 10.000 nell'Unione Europea. Per l'elenco delle malattie rare è possibile fare riferimento a quelle presenti nel Decreto del

Ministero della Sanità n. 279 del 18 maggio 2001 e nel successivo accordo Stato-Regioni dell'11 luglio 2002, il cui elenco è disponibile presso il Centro Nazionale Malattie Rare sito web (<http://www.iss.it/cnmr/>) dell'Istituto Superiore di Sanità (ISS) o nell'elenco presente sul sito web di Orphanet (portale delle malattie rare e dei farmaci orfani): (http://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Disease_Search_List.php). (Il ricercatore dovrà presentare riferimenti bibliografici con indicazione della prevalenza della malattia inferiore a 5 su 10.000).

La selezione dei progetti si baserà su dati misurabili e in particolare:

- il valore scientifico del progetto e la sua ricaduta nel SSN;
- l'effettiva condivisione dei partecipanti alla ricerca nella patologia oggetto del progetto;
- l'alto profilo scientifico del personale sia in termini di attività di ricerca che assistenza;
- l'effettiva esecuzione di diagnosi e terapie di alto livello e, se previsti, la gestione di registri;
- l'effettiva presenza di piattaforme tecnologiche e/o l'utilizzazione di modelli preclinici;
- l'effettiva presenza di procedure operative e collegamenti delle strutture attraverso lo sviluppo di reti collaborative di ricerca sul territorio nazionale;
- l'effettivo riconoscimento nazionale ed internazionale delle competenze sia in termini di ricerca che assistenza;
- la dimostrata capacità di portare a conclusione i progetti assegnati; a tal proposito non verranno valutati positivamente i responsabili scientifici di progetti, di cui all'art 12 del D.Lgs. 502/92 e successive modifiche, che nell'ultimo triennio non abbiano relazionato sui progetti a scadenza, non consentendo di fatto la valutazione ex post;
- la potenzialità della ricerca proposta nel favorire l'acquisizione di nuove conoscenze, lo sviluppo di innovazioni trasferibili, nonché la trasferibilità stessa al SSN.

Il Programma per l'anno 2008 sarà focalizzato sulle seguenti tre tematiche: **A, B, C**

2. SOGGETTI AMMESSI AL FINANZIAMENTO

I finanziamenti per i progetti di ricerca 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, 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.

Limitatamente per i progetti di ricerca dell'area B sono ammessi al finanziamento i soggetti afferenti a strutture o istituzioni pubbliche o private non profit indicate, in particolare sia per il citato DL n. 269 del 30/9/2003 convertito in legge, legge 24/11/2003 n. 236 Art. 48 comma 19 lettera b) e l'art.1, comma 2, lettera a) del DM 17/12/2004, "Prescrizioni e condizioni di carattere generale, relative all'esecuzione delle sperimentazioni cliniche dei medicinali, con particolare riferimento a quelle ai fini del miglioramento della pratica clinica, quale parte integrante dell'assistenza sanitaria". Specificamente rispetto ai "destinatari istituzionali" attualmente indicati, possono concorrere senza alcuna restrizione tutte le istituzioni pubbliche (incluse le università) e le associazioni/fondazioni/società scientifiche (incluse le associazioni di pazienti) non a fini di lucro.

3. AREE TEMATICHE

1) AREA A

I ricercatori sono invitati a presentare progetti sulle aree tematiche di seguito descritte, utilizzando strategie innovative proprie della ricerca traslazionale:

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.

Possono concorrere all'area A i Destinatari istituzionali (D.Lgs 229/99).

La cifra totale per l'area A sono 3 milioni di euro, inoltre un 1.000.000 di euro sono riservati al finanziamento di progetti presentati da DI Italiani nell'ambito del programma E-RARE (<http://www.e-rare.eu>).

2) AREA B

I ricercatori sono invitati a presentare progetti sulle aree tematiche di seguito descritte, finalizzati allo studio del profilo rischio/beneficio dei trattamenti sia farmacologici sia non farmacologici:

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.

Possono concorrere all'area B i Destinatari istituzionali (DL n. 269 del 30/9/2003 convertito in legge 24/11/2003 n. 236 Art. 48 istitutivo dell'Agenzia *DM 17/12/2004, art.1, comma 2, lettera a.*

La cifra totale per l'area B sono 3 milioni di euro.

3) AREA C

I ricercatori sono invitati a presentare progetti sulle aree tematiche di seguito descritte.

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.

Possono concorrere all'area C i Destinatari istituzionali (D.Lgs 229/99).

La cifra totale per l'area C è 1 milione di euro.

4. RISORSE DISPONIBILI PER I PROGETTI DI RICERCA AMMESSI AL FINANZIAMENTO

Sono destinate al Programma di Ricerca sulle Malattie Rare risorse pari a € 8.000.000 (di cui € 5.000.000 ai sensi dell'art. 1, comma 813 della Legge Finanziaria 2007, € 3.000.000 provenienti da fondi dell'AIFA, DL n. 269 del 30/9/2003 convertito in legge, legge 24/11/2003 n. 236 Art. 48 comma 19 lettera b). Delle risorse destinate al Programma di Ricerca sulle Malattie Rare saranno assegnati € 3.000.000 per l'area A, € 3.000.000 per l'area B, € 1.000.000 per l'area C.

5. FINANZIAMENTO

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.

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

Nel caso si verificano delle economie (i progetti in un'area non raggiungono il finanziamento complessivo di cui al precedente punto 4 del presente bando), è possibile utilizzare le stesse per finanziare i progetti che abbiano avuto un'alta valutazione ed appartenenti alle altre aree.

6. MODALITÀ E PROCEDURE PER LA PRESENTAZIONE DEI PROGETTI

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.

La presentazione di un progetto da parte di più ricercatori dovrà essere motivata scientificamente e non garantirà, in caso di approvazione, un finanziamento superiore a quello che si sarebbe ottenuto con progetti singoli. Inoltre, la presenza di una parte scientificamente debole potrà compromettere l'approvazione dell'intero progetto.

I Progetti, utilizzando la modulistica riportata in allegato, dovranno essere redatti in lingua inglese, secondo i termini definiti dal Bando, e saranno composti da:

- a. *General information about the project*

- b. *Scientific Coordinator*
- c. *Project Administrative Coordinator*
- d. *List of participating Units*
- e. *Description of the project (Summary , Background ,.....)*
- f. *Cost of the Project*
- g. *Description of each participating unit contribution to the project*

7. SELEZIONE DEI PROGETTI: MODALITÀ E PUNTEGGI

I progetti presentati saranno valutati da parte di tre referees esterni (di cui almeno uno straniero) che forniranno la loro valutazione. Tale valutazione servirà a predisporre una graduatoria. Tale graduatoria sarà sottoposta alla Commissione Nazionale Ricerca Sanitaria. L'associazione dei progetti con i referees sarà curata utilizzando specifiche parole chiave.

7.1 Punteggi

I progetti, pervenuti nel termine e con le modalità sopraindicate, saranno ammessi a valutazione previa verifica formale, da parte della Commissione Nazionale per la Ricerca Sanitaria, della rispondenza alle finalità generali e specifiche previste dal Bando.

Dopo questo vaglio iniziale, i progetti saranno valutati sulla base dei seguenti criteri:

- Validità ed originalità scientifica della proposta;
- Rilevanza e grado di trasferibilità al SSN;
- Qualificazione scientifica e dimostrata competenza sull'argomento da parte del Coordinatore Scientifico e dei Responsabili Scientifici delle Unità Operative, sulla base dei rispettivi *curricula*;
- L'effettiva adesione dei partecipanti alla ricerca nella patologia oggetto del progetto;
- L'effettiva esecuzione di diagnosi e terapie di alto livello e, se previsti, la gestione di registri;
- L'effettiva presenza di piattaforme tecnologiche e/o l'utilizzazione di modelli preclinici;
- L'effettiva presenza di procedure operative e collegamenti sul territorio delle strutture;
- L'effettivo riconoscimento nazionale ed internazionale delle competenze sia in termini di ricerca che assistenza;
- Valore aggiunto dell'aggregazione tra soggetti diversi;
- La dimostrata capacità di portare a conclusione i progetti assegnati; a tal proposito non verranno valutati positivamente i responsabili scientifici di progetti di cui all'art 12 del D.Lgs. 502/92 e successive modifiche, che nell'ultimo triennio non abbiano relazionato sui progetti a scadenza, non consentendo di fatto la valutazione ex post;
- La presenza di cofinanziamento.

Il punteggio attribuito alle predette voci è quantificabile fino ad un valore:

a) Validità ed originalità scientifica della proposta;	30
--	----

b) Rilevanza e grado di trasferibilità al SSN;	20
c) Qualificazione scientifica e dimostrata competenza sull'argomento da parte del Coordinatore Scientifico e dei Responsabili Scientifici delle Unità Operative, sulla base dei rispettivi <i>curricula</i> , l'effettivo riconoscimento nazionale ed internazionale delle competenze sia in termini di ricerca che assistenza	15
d) Presenza e disponibilità di risorse tecnologiche, strutturali ed organizzative necessarie allo svolgimento del progetto (servizi diagnostici e terapeutici, registri di patologie, modelli preclinici, servizi di bioinformatica, di biostatistica, di data management, reti di servizi sul territorio)	20
e) Valore aggiunto delle sinergie derivate dall'aggregazione tra soggetti diversi	10
f) Presenza di cofinanziamento	5

La Commissione Nazionale per la Ricerca Sanitaria si riserva di richiedere un coordinamento o un'aggregazione di progetti tra loro simili o complementari.

8. PRESENTAZIONE DELLE DOMANDE

I Progetti devono essere trasmessi dai Destinatari Istituzionali titolari del Progetto **entro le ore 20.00 del giorno 20 luglio 2009.**

La documentazione deve essere inoltrata per via telematica al sito web del Ministero del Lavoro, della Salute e delle Politiche Sociali <http://www.ministerosalute.it>.

La documentazione dovrà, inoltre, essere spedita entro la data di scadenza **in due copie cartacee** (e su supporto informatico) al Ministero del Lavoro, della Salute e delle Politiche Sociali, Direzione Generale della Ricerca Scientifica e Tecnologica ex Ministero Salute – Commissione Nazionale per la Ricerca Sanitaria – Via Giorgio Ribotta 5 – 00144 ROMA -

Il plico, recapitato anche a mano, dovrà recare, oltre l'indicazione del destinatario, la seguente dicitura: **BANDO MALATTIE RARE 2008;**

Ai fini dell'accettazione, farà fede la data di spedizione comprovata dal timbro a data dell'ufficio postale accettante.

Istruzioni da seguire per le modalità di presentazione

La trasmissione telematica dei progetti viene attivata, per ciascun ricercatore (Coordinatore Scientifico) che, appositamente accreditato in base all'Ente di appartenenza, accede alle funzioni riservate per la trasmissione via rete dei progetti stessi.

Sul sito del Ministero del Lavoro, della Salute e delle Politiche Sociali (indirizzo <http://www.ministerosalute.it>) sarà resa disponibile un'applicazione Web di supporto per l'acquisizione dei dati di progetto richiesti.

Detta applicazione sarà destinata, per le parti di loro spettanza, ai Coordinatori Scientifici di progetto. I Coordinatori Scientifici interessati dovranno accreditarsi presso l'Amministrazione per poter usufruire delle funzionalità previste. A tale scopo sarà messa a disposizione una funzione attraverso la quale si potrà inoltrare richiesta di accreditamento al sistema, indicando l'identificativo utente e la parola chiave che si desiderano utilizzare. A questa funzione sarà possibile accedere dal sito del Ministero del Lavoro, Salute e delle Politiche Sociali (indirizzo www.ministerosalute.it).

Sempre sul sito Web del Ministero del Lavoro, della Salute e delle Politiche Sociali (indirizzo: <http://www.ministerosalute.it>) nella sezione relativa all'area tematica Ricerca Sanitaria, saranno rese disponibili le istruzioni operative relative a:

- modalità di utilizzo delle funzionalità dell'applicazione;

- caratteristiche hardware e software di base delle postazioni di lavoro Personal Computer.

Non saranno ammessi a valutazione i progetti presentati con modalità diverse da quelle sopra descritte, che non forniranno le informazioni richieste nella modulistica specifica o comunque spediti oltre il termine sopra indicato.

9. EROGAZIONE DEI FONDI

I progetti, che hanno durata biennale, vengono finanziati nei limiti delle disponibilità finanziarie, con riferimento ad un unico esercizio finanziario.

L'erogazione dei fondi avviene secondo le procedure normativamente previste per i singoli DI, previa verifica del raggiungimento degli obiettivi e su presentazione delle rendicontazioni finanziarie e delle relazioni scientifiche.

Per tutti i D.I., in relazione ai progetti di ricerca approvati, l'erogazione avviene secondo il seguente schema:

50% al momento della comunicazione dell'inizio dell'attività di ricerca;

40% successivamente all'invio ed all'approvazione della relazione annuale intermedia;

10% successivamente all'approvazione del progetto concluso.

L'attività di verifica e monitoraggio è di competenza del Ministero del Lavoro, della Salute e delle Politiche Sociali – Direzione Generale della Ricerca Scientifica e Tecnologica, che si avvale della Commissione Nazionale per la Ricerca Sanitaria e dell'AIFA.

Per assicurare la massima trasparenza, vengono resi pubblici sul sito web del Ministero del Lavoro, della Salute e delle Politiche Sociali i progetti finanziati, le unità operative partecipanti, i risultati riassuntivi delle rendicontazioni scientifiche parziali e definitive, le attività ufficiali previste dal Ministero per la divulgazione dei risultati.

La presente nota è pubblicata sul sito web <http://www.ministerosalute.it>, su <http://www.iss.it> e su <http://www.agenziafarmaco.it>.

IL VICEMINISTRO
Prof. Ferruccio Fazio

ALLEGATI:

A: Modulistica per i Progetti

