

DECRETO NR. 66

Del 29.12.2020

OGGETTO: BANDO EUROPEAN JOINT PROGRAMME ON RARE DISEASES (EJP) JTC 2020: PRESA D'ATTO GRADUATORIA PROGETTI AMMESSI E FINANZIATI E PROGETTI NON AMMESSI – PROVVEDIMENTO DI CONCESSIONE

L'atto si compone di nr. 59 pagine  
di cui nr. 52 pagine di allegati

## IL DIRETTORE GENERALE DELLA FONDAZIONE REGIONALE PER LA RICERCA BIOMEDICA

### **RICHIAMATE:**

- la DGR nr. IX/2401 del 26.10.2011 con la quale è stata istituita la Fondazione Regionale per la Ricerca Biomedica (di seguito "FRRB");
- la DGR nr. X/5221 del 31.05.2016 con la quale è stato approvato il nuovo Statuto di FRRB;
- la DGR nr. XI/1016 del 17.12.2018 con la quale è stato approvato lo schema di Accordo di Cooperazione tra Regione Lombardia e FRRB per lo sviluppo di iniziative a favore della ricerca biomedica in Lombardia;
- la DGR nr. XI/1695 del 03.06.2019 con la quale è stato approvato il Piano di Azione 2019 che prevede, al suo interno, l'allocazione fino ad un massimo di € 1.000.000,00 per la partecipazione di FRRB al programma europeo European Joint Programme on Rare Diseases (EJP) Bando JTC 2020;

### **PREMESSO che:**

- il Regolamento (UE) nr. 1291/2013 del Parlamento Europeo e del Consiglio dell'11.12.2013 ha istituito il Programma Quadro per la Ricerca e l'Innovazione 2014-2020 "Horizon 2020";
- la Commissione Europea ha approvato il progetto European Joint Programme on Rare Diseases - EJP RD (Grant Agreement nr. 825575) partito il 1° gennaio 2019, con l'obiettivo di supportare e coordinare gli sforzi nel campo della ricerca di Stati membri, associati e Paesi extra-europei, nel campo delle malattie rare, anche al fine di implementare gli obiettivi dell'International Rare Disease Research Consortium (IRDiRC);
- il progetto EJP RD è coordinato dall'agenzia francese Institut National de la Santé et de la Recherche Medicale (INSERM) a cui partecipano un totale di 88 Partner (tra cui Ministeri, funding agencies nazionali e regionali e Consigli di ricerca);
- dopo il successo registrato nella Call 2019, FRRB ha deciso di confermare la sua partecipazione, in qualità di funding agency, anche alla seconda EJP RD Joint Transnational Call (JTC 2020), cofinanziata dalla Commissione Europea sul tema "Pre-clinical research to develop effective therapies for rare diseases";
- in data 17.12.2019 FRRB ha formalizzato il proprio impegno a partecipare come *funding agency* alla EJP RD JTC 2020 firmando il relativo *Memorandum of Understanding*

(Protocollo d'Intesa);

#### **CONSIDERATO CHE:**

- l'obiettivo del Bando è favorire la collaborazione su progetti di ricerca interdisciplinari, basati sullo scambio di conoscenze e competenze, in grado di apportare evidenti benefici futuri ai pazienti;
- i progetti dovranno focalizzarsi su attività di ricerca nelle seguenti aree: i) Sviluppo di nuove terapie in ambito preclinico; ii) Utilizzo di modelli di patologia per lo sviluppo di farmaci, secondo le linee guida EMA; iii) Sviluppo di biomarcatori predittivi e farmacodinamici (PD) in ambito preclinico; iv) Studi di "*proof of principle*" che promuovano lo sviluppo di farmaci;

#### **DATO ATTO che:**

- il 18.12.2019 il Segretariato Congiunto della Call (JCS), affidato all'agenzia francese ANR, ha pubblicato sul sito internet del progetto ([www.ejprarediseases.org](http://www.ejprarediseases.org)) la Call for Proposals 2020 sul tema "*Pre-clinical research to develop effective therapies for rare diseases*" le seguenti scadenze:
  - il 18.02.2020 per la presentazione dei pre-proposal;
  - il 16.06.2020 per la presentazione dei full proposal.
- FRRB ha formalizzato i propri criteri di ammissibilità all'interno del documento "*Guidelines*" stabilendo che la Fondazione finanzia gli enti del sistema sanitario lombardo (I.R.C.S.S. pubblici e privati e ASST), eventualmente in partenariato con Università e centri di ricerca con sede sul territorio lombardo;

#### **PRESO ATTO che:**

- l'intervento finanziato con la JTC 2020 mira a sostenere l'implementazione di progetti di "*ricerca fondamentale*" ovvero "*lavori sperimentali o teorici svolti soprattutto per acquisire nuove conoscenze sui fondamenti di fenomeni e di fatti osservabili, senza che siano previste applicazioni o utilizzazioni commerciali dirette*" secondo la definizione di cui al punto 1.3 lettera m) della Comunicazione della Commissione Europea n. 2014/C 198/01 ad oggetto "*Disciplina degli aiuti di stato a favore di ricerca,*

*sviluppo e innovazione”;*

**RITENUTO** pertanto di subordinare l'erogazione dell'agevolazione finanziaria alla dichiarazione da parte del Soggetto beneficiario di svolgere, con riferimento al progetto di cui è Coordinatore o Partner, esclusivamente attività non economiche ai sensi dei paragrafi nn. 18, 19 e 20 del punto 2 della Comunicazione della Commissione Europea n. 2014/C 198/01 sopra citata;

**DATO ATTO che:**

- entro il 18.02.2020 (ore 2:00 p.m. CET) sono pervenute nr. 26 proposte progettuali (*Pre-proposal*) presentate da partenariati internazionali aventi, al proprio interno, soggetti lombardi richiedenti un contributo a FRRB per un importo totale pari a € 10.407.462,00;
- il 25.02.2020 le funzioni Gestione Bandi e Progetti e Gestione Progetti Europei di FRRB hanno effettuato l'istruttoria formale-amministrativa dei progetti pervenuti, ammettendo alla prima fase di valutazione scientifica di merito tutti i 26 pre-proposal;
- a conclusione della prima fase di valutazione scientifica di merito solo 5 dei 26 partenariati che avevano presentato un pre-proposal e che includevano partner lombardi richiedenti un contributo a FRRB sono stati invitati dal Segretariato di EJP a presentare il progetto completo (*Full proposal*) entro la seconda scadenza fissata al 16.06.2020;
- il 18.06.2020 le due funzioni sopra citate hanno effettuato una seconda verifica sui contributi richiesti a FRRB da parte dei 5 partenariati con soggetti lombardi invitati a presentare il full proposal comunicando, tramite il portale predisposto dal JCS, l'ammissione di tutti i progetti alla valutazione finale di merito;

**RILEVATO che:**

- a conclusione del *Scientific Evaluation Committee meeting*, tenutosi in modalità da remoto a causa del protrarsi dell'emergenza sanitaria da COVID-19, in data 18 settembre 2020, il *Call Steering Committee (CSC)* della JTC 2020 ha stilato una prima graduatoria di merito provvisoria chiedendo alle *funding agencies* partecipanti alla

Call di confermare e/o incrementare il proprio impegno economico sulla Call al fine di giungere al maggior numero di progetti ammessi e finanziabili;

- in data 23.11.2020, si è tenuta, in modalità da remoto, una riunione delle funding agencies coinvolte nella JTC 2020 a conclusione della quale sono risultati 18 i progetti ammessi a finanziamento in risposta alla Call;

#### **CONSIDERATO che:**

- il Joint Call Secretariat ha inviato, in data 14 dicembre 2020, a mezzo e-mail, il documento "*Del. 6.10. Second Joint selection list of the projects to be funded in JTC2020*" (**Allegato 1**) contenente l'elenco dei 18 progetti ammessi a finanziamento per un contributo finale complessivo pari a **€ 24.543.982,00**, inclusivo del cofinanziamento comunitario;
- tra i progetti elencati nella graduatoria di merito finale solo 3 dei 5 progetti con beneficiari lombardi richiedenti un contributo a FRRB sono risultati tra quelli ammessi e finanziati per un contributo massimo richiesto pari a complessivi euro **€ 1.245.400,00** a fronte di una dotazione finanziaria complessiva pari a **€ 1.000.000,00**;
- l'importo pari a € 245.400,00, dato dalla differenza tra la dotazione finanziaria stanziata da FRRB con il Piano d'Azione 2019 e l'importo complessivo richiesto dai 3 progetti vincitori, sarà garantito dal cofinanziamento comunitario, come da comunicazione del JCS ricevuta in data 17 dicembre 2020 (Prot. 20200478E);

#### **PRESO ATTO che:**

- nella seduta del 29.12.2020 il Consiglio di Amministrazione di FRRB ha preso atto dell'informativa del Direttore Generale relativa ai progetti ammessi e finanziati con soggetti beneficiari lombardi richiedenti un contributo a FRRB per complessivi **€ 1.245.400,00**;

**RILEVATO** che, sulla base degli esiti istruttori sopra elencati, sono stati predisposti gli Allegati 1 e 2, parte integrante del presente provvedimento;

**PRESO ATTO** che i soggetti lombardi richiedenti il contributo a FRRB nell'ambito del Bando EJP JTC 2020 e oggetto del presente provvedimento di concessione sono i seguenti:

1. Università degli Studi Milano Bicocca – Responsabile Scientifico Rocco Piazza, Partner nr. 1 del progetto nr. 008 (Acronimo TREAT-SGS);
2. Ospedale San Raffaele I.R.C.C.S., Milano - Responsabile Scientifico Alessandro Sessa, Partner nr. 2 del progetto nr. 008 (Acronimo TREAT-SGS);
3. Ospedale San Raffaele I.R.C.C.S., Milano – Responsabile Scientifico Vania Broccoli, Partner nr. 1 del progetto nr. 071 (Acronimo SCN1A-up!);
4. Istituto Auxologico Italiano I.R.C.C.S., Milano - Responsabile Scientifico Lia Crotti Partner nr. 1 del progetto nr. 188 (Acronimo SILENCELQTS);

**VERIFICATA** la regolarità contributiva dei soggetti lombardi sopra elencati tramite l'acquisizione, per via telematica, del relativo DURC, la cui copia è archiviata, in formato elettronico, tra la documentazione relativa al Bando;

#### **DECRETA**

per i motivi espressi in premessa, parte integrante del presente provvedimento:

1. di prendere atto degli esiti delle valutazioni formali e di merito dei progetti presentati in risposta al Bando EJP JTC 2020, svolte dagli uffici di FRRB, dal CSC e dal SEC del progetto tramite *Peer Review internazionale*, riassunte nel documento "*Del. 6.10 Second Joint selection list of the projects to be funded in JTC2020*" (**Allegato 1**);
2. di approvare l'elenco dei progetti ammessi e finanziati (**Allegato 2**) e dei progetti non ammessi a finanziamento (**Allegato 3**) da parte di FRRB, che costituiscono parte integrante e sostanziale del presente atto;
3. di comunicare il presente decreto agli enti dei progetti ammessi e finanziati richiedendo loro, contestualmente, esplicita accettazione del contributo assegnato e conferma che, nell'ambito del progetto scientifico approvato in risposta alla JTC 2020, svolgeranno esclusivamente attività non economiche, ai sensi dei paragrafi nn. 18, 19 e 20 del punto 2 della Comunicazione della Commissione Europea n. 2014/C 198/01;
4. di incrementare lo stanziamento di bilancio riguardante la dotazione finanziaria complessiva del Bando EJP JTC 2020 (relativo al Piano d'Azione 2019) da € 1.000.000,00 a € 1.245.400,00;



5. di prendere atto dell'importo aggiuntivo di € 245.400,00, che rappresenta il massimale garantito dal cofinanziamento comunitario a fronte della giustificazione di spesa dell'intero budget richiesto dai progetti finanziati e dal versamento dei fondi da parte della Commissione Europea, come da comunicazione del JCS (Prot. 20200478E);
6. di demandare a successivi provvedimenti i conseguenti atti amministrativi e di liquidazione delle risorse finanziarie al fine di permettere l'avvio delle attività progettuali;
7. di disporre la pubblicazione del presente provvedimento e degli Allegati 2 e 3 sul sito internet istituzionale di FRRB alla pagina della Call (<http://www.frrb.it/it/ejp-jtc-2020>).

IL DIRETTORE GENERALE  
Marina Gerini

*F.to digitalmente*

Allegato nr. 2 al Decreto nr. 66 del 29.12.2020

European Joint Programme on Rare Diseases (EJP RD)

Call for Proposals 2020 sul tema

“Pre-Clinical Research to Develop Effective Therapies for Rare Diseases”

Grant Agreement nr. 825575

ELENCO PROGETTI TRANSNAZIONALI AMMESSI E FINANZIATI DALLA FONDAZIONE REGIONALE PER LA RICERCA BIOMEDICA (FRRB)

| <i>Progetto nr.</i> | <i>Titolo</i>   | <i>Acronimo</i> | <i>Principal Investigator e ente(i) richiedente(i)</i>                               | <i>Punteggio finale</i> | <i>Contributo richiesto</i> | <i>Contributo deliberato</i> |
|---------------------|---|-----------------|--|-------------------------|-----------------------------|------------------------------|
| 008                 | Development and preclinical testing in human cell models and transgenic mice of a novel treatment for Schinzel-Giedion Syndrome | TREAT-SGS       | Rocco Piazza<br>Università degli Studi Milano - Bicocca<br>Milano<br>(Partner nr. 1) | 14                      | € 200.000,00                | € 200.000,00                 |
|                     |   |                 | Alessandro Sessa<br>Ospedale San Raffaele I.R.C.C.S., Milano<br>(Partner nr. 2)      |                         | € 250.000,00                | € 250.000,00                 |
| 071                 | Therapeutic strategies for Dravet syndrome: upregulation of endogenous SCN1A and modulation of remodeling.                      | SCN1A-up!       | Vania Broccoli<br>Ospedale San Raffaele I.R.C.C.S., Milano<br>(Partner nr. 1)        | 14                      | € 318,800,00                | € 318,800,00                 |
| 188                 | SGK1 inhibition as a novel therapeutic approach in Long QT syndrome   | SILENCELQTS     | Lia Crotti<br>Istituto Auxologico Italiano<br>(Partner nr.1)                         | 14                      | € 476.600,00                | € 476.600,00                 |
| <b>TOTALE</b>       |   |                 |  |                         | <b>€ 1.245.400,00</b>       | <b>€ 1.245.400,00</b>        |





Allegato 3 al Decreto nr. 66 del 29.12.2020

European Joint Programme on Rare Diseases (EJP RD)

Call for Proposals 2020 sul tema

“Pre-Clinical Research to Develop Effective Therapies for Rare Diseases”

Grant Agreement nr. 825575

ELENCO PROGETTI TRANSNAZIONALI NON AMMESSI A FINANZIAMENTO

| <i>Progetto nr.</i> | <i>Titolo</i>  | <i>Acronimo</i> | <i>Principal Investigator e ente(i) richiedente(i)</i>   | <i>Esito</i> |
|---------------------|--|-----------------|--|--------------|
| 181                 | <i>Congenital MYOpathies with CORES: optimization of murine and patient-derived models, identification of biomarkers and preclinical drug screen</i> | <i>MYOCORES</i> | <i>Ester Zito<br/>Istituto di Ricerche Farmacologiche Mario<br/>Negri-IRCCS</i>  | NOT FUNDED   |
| 186                 | <i>Building an European platform for CMT Gene Therapy</i>  | <i>MYGENTER</i> | <i>Davide Pareyson<br/>Fondazione IRCCS Istituto Neurologico<br/>C.Besta</i><br><i>Alessandra Bolino<br/>IRCCS Ospedale San Raffaele</i> | NOT FUNDED   |