

**Progetto - Hub Life Science – Terapia Avanzata (LSH-TA) PNC-E3-2022-23683269 -
finanziato dal Ministero della Salute nell’ambito del Piano Nazionale
Complementare Ecosistema Innovativo della Salute**

CUP E83C22006230001

**Capitolato Tecnico per la fornitura del servizio Quote Type: Cell Line
Characterization, Modality: Viral Gene Therapies**

Per le attività di ricerca presso l’Unità di Ricerca Terapia Genica dei Tumori, afferente all’Area di Ricerca Oncoematologia, l’Ospedale Pediatrico Bambino Gesù (OPBG) richiede a Solvias NL (di seguito Società) il servizio di caratterizzazione di banche cellulari e vettori virali, secondo protocolli standard e report standard in accordo alla normativa GMP e finalizzati alla realizzazione di prodotti farmaceutici per terapia genica da impiegarsi in clinical trials di fase I/II.

Le banche cellulari ed i vettori virali possono essere utilizzati nell’ambito del processo produttivo di farmaci per terapia genica solo dopo verifica della stabilità del transgene durante la proliferazione della banca cellulare produttrice e della efficienza del vettore virale da essa derivato nel trasferire ed integrare correttamente (integro ed identico alla sequenza plasmidica iniziale) il transgene nel genoma della cellula sottoposta a trasduzione (in questo caso linfociti T). Di seguito si riporta la normativa di riferimento:

- **ICH Q5B** – *Quality of Biotechnological Products: Analysis of the Expression Construct in Cells Used for Production of r-DNA Derived Protein Products*
- **ICH Q5D** – *Derivation and Characterisation of Cell Substrates Used for Production of Biotechnological/Biological Products*

Pertanto, si richiedono nello specifico i seguenti servizi analitici e di supporto alle attività di 3 linee di produzione:

Progetto B7H3

- Analisi genetica costituita da:
 - o analisi della MCB (campione monoclonale) per identità, integrità ed integrazione del transgene
 - o analisi della EPCB (campione monoclonale) per identità, integrità ed integrazione del transgene
 - o stima del numero di copie vettore per cellula (VCN)
- analisi dei linfociti trasdotti (campione eterogeneo) con il VV B7H3 per identità, integrità ed integrazione del transgene (efficienza di trasduzione)

Progetto CLEC2A

- Analisi genetica costituita da:
 - o analisi della MCB (campione monoclonale) per identità, integrità ed integrazione del transgene

- analisi della EPCB (campione monoclonale) per identità, integrità ed integrazione del transgene
- stima del numero di copie vettore per cellula (VCN)
- analisi dei linfociti trasdotti (campione eterogeneo) con il VV CLEC2A per identità, integrità ed integrazione del transgene (efficienza di trasduzione)

Progetto GD2

- Analisi genetica costituita da:
 - analisi della MCB (campione monoclonale) per identità, integrità ed integrazione del transgene
 - analisi della EPCB (campione monoclonale) per identità, integrità ed integrazione del transgene
 - stima del numero di copie vettore per cellula (VCN)
- analisi dei linfociti trasdotti (campione eterogeneo) con il VV GD2 per identità, integrità ed integrazione del transgene (efficienza di trasduzione)

Altri servizi di supporto per i 3 progetti sopraelencati:

- attivazione documentale ed informatica dei servizi analitici
- Kit per preparazione campioni
- ritiro campioni

Modalità di consegna della fornitura

I servizi analitici si intendono erogati al momento dell'emissione e all'invio a OPBG dei report analitici finali relativi alle attività sopraelencate, corredati di verifica da parte dell'Assicurazione di Qualità della Società per gli aspetti relativi alla corrispondenza delle attività svolte con la normativa vigente e con le procedure standard interne.

L'accettazione dei report, da parte del personale dell'Unità di Ricerca Terapia Genica dei Tumori dell'Ospedale, non esonera la Società dal rispondere di eventuali commenti e delucidazioni da parte di OPBG.