



in collaborazione con

**cencora**  
PharmaLex

# EXPLORARE

Rare Disease  
Access Deepdive

## 2.0

**17 APRILE 2024 | ROMA**

Istituto Luigi Sturzo - Palazzo Baldassini  
streaming online su Vincent On Air

web | [www.explorare-rare.it](http://www.explorare-rare.it)

Con il patrocinio di



CONFERENZA DELLE REGIONI  
E DELLE PROVINCE AUTONOME



SOCIETÀ ITALIANA DI FARMACOLOGIA

**ÜNIAMO**

Federazione Italiana Malattie Rare



UNIVERSITÀ DEL PIEMONTE ORIENTALE

Il progetto ExploRare è nato da una collaborazione tra Pharmalex e ISPOR Italy – Rome Chapter con l'obiettivo di rivedere in senso critico e propositivo il percorso e la valutazione che portano al rimborso dei farmaci per malattie rare, per contribuire ad un accesso lineare e ad una migliore definizione del valore.

Nel corso della prima edizione di ExploRare, terminata nel Febbraio 2023, sono stati individuati alcuni aspetti critici della gestione dell'incertezza nella valutazione tecnico-scientifica e della definizione del prezzo e delle condizioni di rimborsabilità dei farmaci per malattie rare. Con la seconda edizione del progetto (Explorare 2) sono stati posti due principali obiettivi:

- l'esplorazione delle priorità sulle criticità emerse nella prima edizione e gli strumenti per gestire le priorità, attraverso un'analisi della frequenza delle criticità negli studi per i farmaci per malattie rare in sviluppo e prossime ad arrivare sul mercato e un'indagine sull'opinione degli stakeholder (istituzioni nazionali e regionali, referenti di imprese e di associazioni dei pazienti) su tali criticità e, soprattutto, sugli strumenti necessari alla loro gestione.
- una proiezione di spesa per farmaci per malattie rare nei prossimi anni, per ipotizzarne l'evoluzione in termini di entità e trend.

I risultati del progetto, derivante dal lavoro dei workstream specifici e dalla revisione di un board di esperti, sono raccolti in un documento finale che verrà presentato e discusso in occasione dell'evento dedicato.

# PROGRAMMA PRELIMINARE

- 10:00** Registrazione dei partecipanti
- 10:30** Apertura e obiettivi dell'incontro  
**Pier Luigi Canonico**
- 10:40** Malattie Rare e accesso alle terapie:  
dove siamo oggi?  
**Annalisa Scopinaro**  
**Marcello Gemmato\***  
**Rocco Bellantone**  
**Pier Luigi Russo\***
- 11:20** Il Progetto ExploRare: dalla prima alla seconda edizione  
**Fulvio Luccini**
- 11:30** **Workstream 1** - Tra le proposte derivanti da ExploRare 1 quali devono essere attuate immediatamente?  
**Obiettivi, percorso e risultati**  
**Claudio Jommi**
- 12:00** **Workstream 1** - discussione  
Claudio Jommi, Annalisa Adani, Emanuele Angelucci\*, Mauro Biffoni, Antonella Brunello, Arturo Cavaliere, Pier Luigi Canonico, Maria Luisa Mazzella, Anna Ponzianelli\*, Patrizia Popoli, Maurizio Scarpa, Marco Silano, Paolo Daniele Siviero, Maurizio Tagliatela, Francesco Trotta\*

**13:15**

Lunch break

**14:15**

**Workstream 2** - Quale sarà l'andamento della spesa farmaceutica nei prossimi anni per trattare i pazienti affetti da malattie rare?

**Andrea Marcellusi**

**14:45**

**Workstream 2** - discussione

Andrea Marcellusi, Angela Adduce, Fulvio Luccini, Orfeo Mazzella\*, Francesco Saverio Mennini\*, Marcello Pani, Massimo Riccaboni, Anna Chiara Rossi, Annalisa Scopinaro, Giovanna Scroccaro, Paolo Daniele Siviero

**16:00**

Conclusioni e next steps

**Claudio Jommi, Andrea Marcellusi**

*\*invited*

# FACULTY

## **Annalisa Adani**

General Manager presso Swedish Orphan Biovitrum AB

## **Angela Adduce**

Ispettore Generale Capo dell'Ispettorato Generale per la Spesa Sociale I.GE.SPE.S, Ragioneria generale dello Stato - Ministero dell'Economia e delle Finanze

## **Emanuele Angelucci**

Direttore Dipartimento Ematologia e Terapie Cellulari IRCCS Ospedale San Martino di Genova, Vice Presidente SIE - Società Italiana di Ematologia

## **Rocco Bellantone**

Presidente dell'Istituto Superiore di Sanità e Professore ordinario di Chirurgia generale presso l'Università Cattolica, campus di Roma

## **Mauro Biffoni**

Direttore Dipartimento Oncologia e Medicina Molecolare Istituto Superiore Sanità, già membro CTS e CPR dell'AIFA (Agenzia Italiana del Farmaco)

## **Antonella Brunello**

Responsabile UOS Sarcomi e Tumori dell'osso, Direttrice f.f. UOC Oncologia 1, Istituto Oncologico Veneto IOV - IRCCS, Padova, Membro del Consiglio Direttivo AIOM

## **Pier Luigi Canonico**

Professore a contratto di Farmacologia presso Università degli Studi del Piemonte Orientale "Amedeo Avogadro", Dipartimento di Scienze del Farmaco e Past President ISPOR Italy-Rome Chapter

## **Arturo Cavaliere**

Presidente della Società Italiana di Farmacia Ospedaliera e dei Servizi Farmaceutici delle Aziende Sanitarie (SIFO)

## **Marcello Gemmato**

Sottosegretario di Stato alla Salute

## **Claudio Jommi**

Professore di Economia Sanitaria presso Università degli Studi del Piemonte Orientale "Amedeo Avogadro", Dipartimento di Scienze del Farmaco

## **Fulvio Luccini**

Managing Director presso Pharmalex Italy

## **Andrea Marcellusi**

Research Fellow presso il CEIS-EEHTA, dell'Università degli studi di Roma di "Tor Vergata" e Presidente ISPOR Italy-Rome Chapter

## **Maria Luisa Mazzella**

Dirigente farmacista UOC, Farmacia Ospedale Monaldi AO dei Colli, Centro di Coordinamento Malattie Rare Regione Campania

## **Orfeo Mazzella**

Senatore della Repubblica e promotore dell'Integrappo Parlamentare Malattie Rare e OncoEmatologiche

**Francesco S. Mennini**

Dipartimento della programmazione, dei dispositivi medici, del farmaco e delle politiche in favore del Servizio Sanitario Nazionale, Ministero della Salute

**Marcello Pani**

Direttore Farmacia Ospedaliera del Policlinico Universitario Agostino Gemelli e Segretario Nazionale della Società Italiana di Farmacia Ospedaliera e dei Servizi Farmaceutici delle Aziende Sanitarie (SIFO)

**Anna Ponzianelli**

Director of Market Access and Public Affairs presso Moderna Italy, Membro del Consiglio Direttivo della Società Italiana Health Technology Assessment (SIHTA)

**Patrizia Popoli**

Direttore del Centro Nazionale per la ricerca e valutazione dei farmaci dell'Istituto Superiore di Sanità (ISS), già Presidente della Commissione Tecnico Scientifica dell'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)

**Massimo Riccaboni**

Direttore dell'unità di ricerca AXES (Analysis of complex Economic Systems), Scuola IMT Altì Studi, Lucca

**Anna Chiara Rossi**

VP & General Manager Italy presso Alexion e co-coordinatrice del Gruppo di lavoro "Farmaci Orfani e Malattie Rare" di Assobiotech

**Pierluigi Russo**

Direttore Tecnico Scientifico dell'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)

**Maurizio Scarpa**

Direttore del Centro di Coordinamento Malattie Rare, Azienda Sanitaria Universitaria Friuli Centrale, Udine e coordinatore di MetabERN (European Reference Network for Hereditary Metabolic Diseases)

**Annalisa Scopinaro**

Presidente UNIAMO

**Giovanna Scroccaro**

Direttore presso la Direzione Farmaceutico-Protesica-Dispositivi medici, Area Sanità e Sociale della Regione Veneto

**Marco Silano**

Direttore del Centro Nazionale Malattie Rare - Istituto Superiore di Sanità (ISS)

**Paolo Daniele Siviero**

Capo Area Attività Regolatorie/Direzione Tecnico Scientifica, Farmindustria

**Maurizio Tagliatela**

Professore di farmacologia presso l'Università degli Studi di Napoli Federico II, Membro del Gruppo di Lavoro Malattie Rare Società Italiana Farmacologia (SIF)

**Francesco Trotta**

Responsabile della divisione Health Technology Assessment dell'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)

Realizzato con il supporto non condizionante di

Platinum Sponsor



Silver Sponsor



Sponsor



Evento organizzato da

**cencora**

PharmaLex

e-mail | [Chiara.Lucchetti@pharmalex.com](mailto:Chiara.Lucchetti@pharmalex.com)

e-mail | [Melissa.Guardigni@pharmalex.com](mailto:Melissa.Guardigni@pharmalex.com)