



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

In collaborazione con:



Con il patrocinio di:



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
Rocco Bellantone
Pier Luigi Russo*
- 11:20** Il Progetto ExploRare: dalla prima alla seconda
edizione
Fulvio Luccini
- 11:30** **Workstream 1** - Dall'Horizon Scanning all'analisi
delle criticità da studi clinici e prioritizzazione delle
proposte derivanti da EXPLORARE 1.0
Obiettivi, percorso e risultati
Claudio Jommi
- 12:00** **Workstream 1** - discussione
Claudio Jommi, Pier Luigi Canonico
Annalisa Adani, Mauro Biffoni, Antonella Brunello,
Marialuisa 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, Fulvio Luccini

Angela Adduce, 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

Pier Luigi Canonico, Fulvio Luccini

**invited*

FACULTY

Annalisa Adani

Vice President & General Manager Sobi Italy, Greece, Cyprus & Malta Swedish Orphan Biovitrum

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

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

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

Marialuisa 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 Saverio 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

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 Alti 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-Protetica-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

Corso Europa, 13
20122 Milano - Italy
www.pharmalex.com