



14 Luglio 2022

Webinar

7° Simposio sul Ruolo della Real World Evidence a supporto delle politiche del farmaco:

Il ruolo della Real-World Evidence nella valutazione delle malattie rare e dei farmaci orfani

Razionale

Una malattia viene definita "rara" quando ha una prevalenza inferiore allo 0,05% nella popolazione generale, ossia quando colpisce meno di 5 persone su 10.000. Il numero di malattie rare ad oggi conosciute e diagnosticate è compreso tra 7.000 e 8.000, ma questa cifra è destinata a crescere con il progredire della ricerca clinica. Spesso non esistono specifiche terapie farmacologiche per queste patologie e, laddove disponibili, queste rientrano frequentemente nella categoria dei farmaci orfani, ossia medicinali utilizzati per la diagnosi, la prevenzione e il trattamento delle malattie rare.

La conduzione di studi clinici controllati randomizzati (RCT) nell'ambito delle terapie per le malattie rare non è sempre possibile a causa di una serie di criticità legate a tali malattie. Per questo motivo, ed alla luce di *unmet clinical need* nel trattamento delle malattie rare, spesso i farmaci orfani sono introdotti in commercio sulla base di schemi di *accelerated approval*, che si basano sulla produzione parziale di evidenze sul loro profilo beneficio-rischio nel *setting pre-marketing* e che devono essere integrate con evidenze derivate dal loro uso nella reale pratica clinica. Negli ultimi anni, le banche dati sanitarie sono diventate sempre più importanti per la loro capacità di condurre rapidamente analisi volte a valutare il modello di utilizzo e il profilo rischio-beneficio dei farmaci tramite i dati provenienti dalla pratica clinica. L'evidenza scientifica sui potenziali benefici e rischi dei farmaci, derivata dall'analisi di *real-world data* e quindi relativa all'uso di in real world setting, è nota come *real-world evidence* ed è fondamentale per integrare l'evidenza pre-marketing su farmaci generati da studi clinici. La generazione di *real-world evidence* risulta particolarmente importante per supportare i processi regolatori e comprendere meglio il profilo beneficio-rischio dei farmaci orfani. Nello specifico, i *real-world data* hanno un notevole potenziale scientifico per valutare la sicurezza e l'efficacia dei farmaci orfani, ma anche per approfondire la conoscenza su epidemiologia e decorso delle malattie rare che a volte permette di utilizzare controlli storici come comparatori. Se la *real-world evidence* si fonda sull'analisi di dati di buona qualità e sulla corretta interpretazione dei risultati, essa costituisce un valido supporto al processo decisionale normativo.

Il numero crescente di fonti di *real-world data* offre una grande opportunità nel contesto dello sviluppo clinico di terapie farmacologiche per le malattie rare. La creazione di *network* distribuiti di database a livello nazionale è fondamentale per rispondere sia alle necessità della ricerca che ai requisiti normativi e per fornire informazioni clinicamente utili anche sul profilo beneficio-rischio dei farmaci orfani. Inoltre, l'analisi del percorso dei pazienti affetti da malattie rare per arrivare alla diagnosi, anche tramite metodologie di intelligenza artificiale, è importante per sviluppare algoritmi predittivi di diagnosi e ridurre quindi il ritardo diagnostico delle malattie rare.

Programma:

14 Luglio 2022

09:30-09:45 - Welcome e saluti istituzionali

Prof. Giorgio Racagni – *Presidente della Società Italiana di Farmacologia*

Prof.ssa Annamaria De Luca – *Professore Ordinario di Farmacologia – Università degli Studi di Bari – Coordinatore GdL Malattie Rare e Farmaci orfani della Società Italiana di Farmacologia*

Dott.ssa Matilde Carlucci – *Direttore Sanitario - Azienda Ospedaliera Universitaria Integrata di Verona*

Prof. Gianluca Trifirò – *Professore Ordinario di Farmacologia - Università degli Studi di Verona – Coordinatore Gruppo di Lavoro in Farmacovigilanza, Farmacoepidemiologia, Farmacoeconomia & Real World Evidence (3F&RWE) della Società Italiana di Farmacologia*

09.45-10.00 Razionale del webinar

Gianluca Trifirò – *Università degli Studi di Verona*

10.00-10.30 Lettura magistrale “Dal drug discovery allo sviluppo clinico dei farmaci per le malattie rare: possibili strategie per il de-risking della ricerca traslazionale”

Annamaria De Luca – *Università degli Studi di Bari*

10:30-12:15 Sessione “Quale ruolo della RWE nella valutazione delle malattie rare e nell’accesso dei farmaci orfani? Esperienze a confronto”

Moderatori: Nello Martini - *Fondazione ReS*

Antonio Addis - *Dipartimento di Epidemiologia del Servizio Sanitario Regionale, Regione Lazio*

➤ **10:30-10:50 – 5° Rapporto Annuale di Osservatorio Farmaci Orfani-Ossfor: malattie rare e farmaci orfani alla prova del PNRR**

Francesco Macchia – *Osservatorio Farmaci Orfani*

➤ **10:50–11:10 – Orphan Drug Prices and Epidemiology of Rare Diseases: A Cross-Sectional Study in Italy in the Years 2014-2019**

Agnese Cangini – *Settore HTA ed economia del farmaco (AIFA)*

➤ **11.10-11:30 – Access and pricing of medicines for patients with rare diseases in the European Union: an industry perspective**

Giovanni Tafuri - *Value, Access & Policy, Apellis Switzerland GmbH, Zug, Switzerland*

➤ **11:30–11.50 – Approcci innovativi per l'analisi di grandi banche dati sanitarie finalizzate a sviluppo di algoritmi predittivi su diagnosi e risposta terapeutica in malattie rare endocrinologiche: i progetti INSPIRE ed EPIX**

Salvatore Crisafulli – *Università degli Studi di Verona*

➤ **11.50-12.15 - Discussione**

12.15-12.30 – Break

12:30 – 13:30 – Tavola rotonda “Quali fonti dati e quali priorità di ricerca per i pazienti con malattia rara?”

Moderatori: Gianluca Trifirò - *Università degli Studi di Verona*

Annamaria De Luca - *Università degli Studi di Bari*

Francesca Caprari – *Alexion Pharmaceuticals*

Lara Pippo – *CSL Behring*

Giuseppe Limongelli - *Centro Coordinamento Malattie Rare della Regione Campania presso l'A.O.R.N. dei Colli*

Annalisa Scopinaro - *UNIAMO Federazione Italiana Malattie Rare Onlus*

Enrico Costa - *Settore Affari Internazionali dell'AIFA*

Domenico Santoro - *Dipartimento di Medicina Clinica e Sperimentale, Università di Messina*

13:30 - 13:45 – Discussione

Conclusioni

Gianluca Trifirò - *Università degli Studi di Verona*

Annamaria De Luca – *Università degli Studi di Bari*

Faculty

Addis Antonio – *Dipartimento di Epidemiologia del Servizio Sanitario Regionale, Regione Lazio*

Cangini Agnese – *Settore HTA ed economia del farmaco (AIFA)*

Caprari Francesca - *Alexion Pharmaceuticals*

Crisafulli Salvatore – *Dipartimento di Medicina, Università degli Studi di Verona*

Costa Enrico - *Settore Affari Internazionali dell'AIFA*

De Luca Annamaria – *Dipartimento di Farmacia-Scienze del Farmaco, Università degli Studi di Bari*

Limongelli Giuseppe - *Centro Coordinamento Malattie Rare della Regione Campania presso l'A.O.R.N. dei Colli*

Macchia Francesco – *Osservatorio Farmaci Orfani*

Martini Nello – *Fondazione ReS*

Pippo Lara – *CSL Behring*

Santoro Domenico - *Dipartimento di Medicina Clinica e Sperimentale, Università degli Studi di Messina*

Scopinaro Annalisa - *UNIAMO Federazione Italiana Malattie Rare Onlus*

Tafari Giovanni - *Value, Access & Policy, Apellis Switzerland GmbH, Zug, Switzerland*

Trifirò Gianluca – *Dipartimento di Diagnostica e Sanità Pubblica, Università degli Studi di Verona*

Con il patrocinio di



Con il contributo non condizionato di



CSL Behring
Biotherapies for Life™

