

“L’accesso al mercato dei farmaci per le malattie rare: nuove sfide e priorità per il Sistema Sanitario Nazionale - III EDIZIONE”

Roma, 15 aprile 2019
Aula Pocchiari, Istituto Superiore di Sanità, Viale Regina Elena 299, 00161 Roma

Responsabile Scientifico

Prof. Pier Luigi Canonico, Direttore del Dipartimento di Scienze del Farmaco, Università del Piemonte Orientale “A. Avogadro” di Novara

RAZIONALE

Il settore delle malattie rare rappresenta una reale sfida per il Sistema Sanitario Nazionale italiano. Le principali preoccupazioni nel fornire l’accesso a questi farmaci sono i costi elevati. Tuttavia, hanno un importante valore sociale perché migliorano la qualità di vita dei pazienti e aumentano le opzioni di trattamento di una particolare malattia rara. Diversi processi di valutazione delle tecnologie sanitarie e diverse scelte politiche possono portare a importanti decisioni e riflessioni come ad esempio la scelta delle priorità da assegnare e la sostenibilità dei farmaci disponibili per le patologie rare.

PROGRAMMA SCIENTIFICO

***Non inclusi nell’accreditamento ECM*

- 8:30-9:00 *Registrazione dei partecipanti***
- 9:00-9:10 *Saluti delle autorità***
Silvio Brusaferrò, Commissario Istituto Superiore di Sanità
Alessandro Mugelli, Presidente SIF (Società Italiana di Farmacologia)
- 9:10-9:25 *Obiettivi dell’incontro, Pier Luigi Canonico*
- I sessione** **La gestione delle malattie rare in Italia e la sfida della sostenibilità**
Moderatori: Pier Luigi Canonico, Armando Genazzani
- 9:25-9:45 *L’impegno dell’Istituto Superiore di Sanità nelle malattie rare, Domenica Taruscio*
- 9:45-10:05 *Gli screening neonatali, Alberto Burlina*
- 10:05-10:30 *La diagnosi delle malattie rare in pediatria, Alberto Villani e Davide Vecchio*
- 10:30-10:45 *Coffee break***
- 10:45-11:05 *Innovatività e malattie rare, Patrizia Popoli*
- 11:05-11:25 *Analisi dei sistemi di rimborso dei farmaci per le malattie rare in Europa, Claudio Jommi*
- 11:25-11:45 *Le valutazioni di pricing & reimbursement in Italia: are we delivering?, Enrico Costa*
- 11:45-12:05 *Analisi sulla redditività degli investimenti nelle malattie rare, Massimo Riccaboni*

3P Solution S.r.l. a socio unico. Sede Legale: via Marradi 3, 20123 Milano.

Capitale sociale: 10.000,00€ iv. P.IVA/CF 06860060968 Iscrizione REA MI n.1919426. Provider Standard n. 327 dal 15 ottobre 2012
Sistema di gestione per la qualità secondo la Norma **UNI EN ISO 9001:2015** per progettazione ed erogazione dei servizi per la
Formazione Continua in Sanità. Certificazione CSQA n. 23887

- 12:05-12:15 Discussione sulla gestione delle malattie rare in Italia e la sfida della sostenibilità, *Pier Luigi Canonico e Armando Genazzani*
- Il sessione** **Horizon Scanning di nuove terapie per il trattamento delle malattie rare**
Moderatori: *Pier Luigi Canonico, Annamaria De Luca*
- 12:15-12:35 Le nuove frontiere terapeutiche nell'emofilia A, *Maria Elisa Mancuso*
- 12:35-12:55 Nuovi percorsi clinico-organizzativi nell'emofilia B, *Stefano Villa*
- 12:55-13:15 L'emoglobinuria parossistica notturna (EPN), *Antonio Maria Risitano*
- 13:15-14:00 *Lunch***
- 14:00-14:20 Le malattie neurometaboliche: problemi aperti nella fisiopatologia nella clinica e nella terapia, *Antonio Federico*
- 14:20-14:40 L'atrofia muscolare spinale (SMA), *Valeria Sansone*
- 14:40-15:00 La ceroidolipofusinosi neuronale di tipo 2 (CLN2), *Nicola Specchio*
- 15:00-15:20 La malattia di Duchenne, *Marika Pane*
- 15:20-16:00 La malattia di Fabry, di Gaucher, di Niemann-Pick, *Giancarlo La Marca e Manuela Vaccarotto*
- 16:00-16:10 *Coffee Break***
- 16:10-16:30 L'ipofosfatemia X-linked (XLH), *Francesco Emma*
- 16:30-16:50 Le lipodistrofie. *Ferruccio Santini*
- 16:50-17:10 La colangite biliare primitiva. *Domenico Alvaro*
- 17:10-17:30 La narcolessia. *Giuseppe Plazzi*
- 17:30-17:45 Discussione sull'Horizon Scanning di nuove terapie per il trattamento delle malattie rare, *Pier Luigi Canonico, Annamaria De Luca*
- 17:45-18:00 Conclusioni della giornata, *Pier Luigi Canonico*
- 18:00-18:15 *Questionario di Apprendimento ECM***

ANAGRAFICA DEI RELATORI

| Titolo | Nome | Cognome | Laurea | Specializzazione | Affiliazione | Città |
|----------|------------|-------------|--|--|---|---------|
| Prof. | Domenico | Alvaro | Medicina e Chirurgia | Gastroenterologia | Professore Ordinario di Gastroenterologia Università degli Studi di Roma La Sapienza | Roma |
| Dr. | Alberto | Burlina | Medicina e Chirurgia | Pediatria, Biochimica Clinica | Direttore dell'U.O.C. Malattie Metaboliche Ereditarie, Dipartimento di Pediatria; Direttore del Centro Regionale Malattie Metaboliche Ereditarie della Regione Veneto; Direttore del Programma Regionale Screening Neonatale Allargato per le malattie metaboliche ereditarie Azienda Ospedaliera di Padova; Università di Padova | Padova |
| Prof. | Pier Luigi | Canonico | Medicina e Chirurgia | Endocrinologia e Malattie del Ricambio | Direttore del Dipartimento di Scienze del Farmaco, Università del Piemonte Orientale "A. Avogadro" | Novara |
| Dr. | Enrico | Costa | Farmacia | Farmacia Ospedaliera | Farmacista Dirigente, Servizio di Farmacia, Azienda Ospedaliera Integrata Verona | Verona |
| Prof.ssa | Annamaria | De Luca | Farmacia | Farmacologia applicata | Professore Ordinario di Farmacologia Dipartimento di Farmacia - Scienze del Farmaco, Università degli Studi di Bari "Aldo Moro" | Bari |
| Prof. | Francesco | Emma | Medicina e Chirurgia | Nefrologia | Responsabile Dipartimento Nefrologia e Dialisi, Ospedale Pediatrico Bambino Gesù | Roma |
| Prof. | Antonio | Federico | Chimica Biologica, Medicina e Farmacia | Clinica delle Malattie Nervose e Mentali | Professore ordinario di Neurologia, Dipartimento di Scienze Mediche Chirurgiche e Neuroscienze, Università di Siena; Direttore UOC Clinica Neurologia e Malattie Neurometaboliche, Dipartimento di Neuroscienze, Azienda Ospedaliera Universitaria Senese | Siena |
| Prof. | Armando | Genazzani | Medicina e Chirurgia | Farmacologia | Professore Ordinario di Farmacologia Dipartimento di Scienze del Farmaco, Università del Piemonte Orientale "A. Avogadro" | Novara |
| Prof. | Claudio | Jommi | Economia | Economia | Professore Associato di Economia Università del Piemonte Orientale "A. Avogadro"; Responsabile Scientifico dell'Osservatorio Farmaci, Cergas, SDA Bocconi, Milano | Milano |
| Dr. | Giancarlo | La Marca | Chimica e tecnologia Farmaceutiche | Farmacia Ospedaliera | Responsabile UOS Diagnostica di Malattie del Sistema Nervoso e del Metabolismo: Screening Neonatale, Biochimica e Farmacologia, Azienda Ospedaliera Universitaria Meyer di Firenze | Firenze |
| Dr.ssa | Mancuso | Maria Elisa | Medicina e Chirurgia | Ematologia | Dirigente medico, Centro Emofilia e Trapianti Angelo Bianchi Bonomi, Fondazione IRCCS Cà Granda, Ospedale Maggiore Policlinico, Milano | Milano |
| Dr.ssa | Marika | Pane | Medicina e Chirurgia | Neurologia | Direttore Clinico presso Centro Nemo, Policlinico A. Gemelli | Roma |
| Prof. | Giuseppe | Plazzi | Medicina e Chirurgia | Neurologia | Professore Associato di Neurologia Dipartimento di Scienze Biomediche e Neuromotorie, Università di Bologna | Bologna |
| Dr.ssa | Patrizia | Popoli | Medicina e Chirurgia | Neurologia | Direttore del Reparto di Farmacologia del sistema nervoso centrale Dipartimento del Farmaco, Istituto Superiore di Sanità | Roma |

3P Solution S.r.l.a socio unico. Sede Legale: via Marradi 3, 20123 Milano.

Capitale sociale: 10.000,00€ iv. P.IVA/CF 06860060968 Iscrizione REA MI n.1919426. Provider Standard n. 327 dal 15 ottobre 2012

Sistema di gestione per la qualità secondo la Norma **UNI EN ISO 9001:2015** per progettazione ed erogazione dei servizi per la Formazione Continua in Sanità. Certificazione CSQA n. 23887

| | | | | | | |
|--------|---------------|------------|----------------------|--|--|---------|
| Prof. | Massimo | Riccaboni | Economia | Economia e Management | Professore Ordinario di Economia, IMT Alti Studi Lucca | Lucca |
| Prof. | Antonio Maria | Risitano | Medicina e Chirurgia | Ematologia | Direttore del Programma Trapianti di Midollo Osseo dell'Azienda Ospedaliera Universitaria Federico II, UOC Ematologia e Trapianto di Midollo, Università degli Studi di Napoli Federico II, Napoli | Napoli |
| Dr.ssa | Valeria | Sansone | Medicina e Chirurgia | Neurologia | Direttore Clinico presso Centro Clinico Nemo, Milano - UO Neuroriabilitazione Università degli Studi, Milano | Milano |
| Prof. | Ferruccio | Santini | Medicina e Chirurgia | Endocrinologia | Professore Associato di Endocrinologia Dirigente - Dipartimento di medicina clinica e sperimentale, Università di Pisa; Presidente SIO Società Italiana di Obesità | Pisa |
| Dr. | Nicola | Specchio | Medicina e Chirurgia | Neurologia | Responsabile Epilessie Rare e complesse, UO Neurologia, Ospedale Pediatrico Bambino Gesù | Roma |
| Dr.ssa | Domenica | Taruscio | Medicina e Chirurgia | Anatomia ed Istologia Patologica | Direttore del Centro Nazionale Malattie Rare dell'Istituto Superiore di Sanità | Roma |
| Sig.ra | Manuela | Vaccarotto | \\ | \\ | Vice Presidente AISMME (Associazione Italiana Sostegno Malattie Metaboliche) | Padova |
| Dr. | Davide | Vecchio | Medicina e Chirurgia | Pediatria | Pediatric Consultant - Project based contract on Autism Spectrum Disorder, Azienda Ospedaliera Ospedali Riuniti Villa Sofia Cervello | Palermo |
| Prof. | Stefano | Villa | Economia Politica | Economia delle Aziende e Amministrazioni Pubbliche | Professore Associato - Dipartimento di Scienze dell'economia e della gestione aziendale Direttore Corso di Perfezionamento in Operations Management nelle Aziende Sanitarie, ALTEMS Responsabile area Operations Management dell'ALTEMS e al CERISMAS | Roma |
| Dr. | Alberto | Villani | Medicina e Chirurgia | Pediatria | Responsabile UOC Pediatria Generale e Malattie Infettive, Ospedale Pediatrico Bambin Gesù, Roma e Presidente SIP (Società Italiana Pediatria) | Roma |

Destinatari dell'attività formativa:

Evento accreditato per: n. 100 professionisti sanitarie - ASSISTENTE SANITARIO; BIOLOGO; FARMACISTA (territoriale, ospedaliero); INFERMIERE; INFERMIERE PEDIATRICO; MEDICO CHIRURGO (tutte le discipline); PSICOLOGO (psicoterapia, psicologia); TERAPISTA DELLA NEURO E PSICOMOTRICITA' DELL'ETA' EVOLUTIVA

Numero dei crediti assegnati all'evento: 7

Provider ECM e Segreteria Organizzativa

3P Solution Srl

Provider Nazionale Standard ID 327

Via G. Marradi 3 – 20123 Milano – tel. 02/36631574 – www.3psolution.it – info@3psolution.it

3P Solution S.r.l. a socio unico. Sede Legale: via Marradi 3, 20123 Milano.

Capitale sociale: 10.000,00€ iv. P.IVA/CF 06860060968 Iscrizione REA MI n.1919426. Provider Standard n. 327 dal 15 ottobre 2012
Sistema di gestione per la qualità secondo la Norma **UNI EN ISO 9001:2015** per progettazione ed erogazione dei servizi per la Formazione Continua in Sanità. Certificazione CSQA n. 23887