



**E.C.M.**  
Commissione Nazionale Formazione Continua



#### ISCRIZIONI

È possibile iscriversi registrandosi al nostro sito [www.3psolution.it](http://www.3psolution.it), una volta effettuata la registrazione basterà accedere alla pagina eventi, selezionare l'evento ed iscriversi.

Si prega di segnalare eventuali esigenze alimentari (es. allergie, intolleranze, scelte alimentari vegetariane o vegane, etc.) all'atto dell'iscrizione.

#### ECM

La Commissione Nazionale per la Formazione Continua ha formulato parere positivo all'accreditamento di 3P Solution Srl come PROVIDER STANDARD (codice 327, autorizzato il 15 ottobre 2012). La responsabilità per i contenuti, la qualità e la correttezza etica di questa attività ECM è a carico di 3P Solution.

L'evento è stato accreditato per **100 partecipanti**, per le seguenti categorie professionali: **Farmacista** (ospedaliero e territoriale), **Biologo**, **Infermiere**, **Medico Chirurgo** (tutte le discipline) e ha ottenuto **6 crediti**.

Per ottenere l'attribuzione dei crediti E.C.M. è necessario:

1. partecipare all'intera durata dei lavori scientifici, per i quali è prevista la verifica delle presenze;
2. compilare il questionario di apprendimento e rispondere correttamente ad almeno il 75% delle domande;
3. compilare il questionario di valutazione dell'evento e consegnarlo al termine dei lavori.

Il numero dei discendenti in sala non potrà essere superiore al numero dei partecipanti accreditati. Qualora il numero di partecipanti iscritti in loco fosse superiore a **100** sarà tenuto in considerazione per l'ammissione in sala l'ordine cronologico di iscrizione.

Il certificato riportante i crediti E.C.M. sarà inviato successivamente al completamento della procedura di validazione.

#### SERVIZIO MYECM

Age.na.s ha attivato il servizio MyEcm (pagina personalizzata a disposizione di ogni professionista sanitario) tramite il quale è possibile:

1. consultare l'offerta formativa;
2. consultare il riepilogo eventi frequentati e i crediti conseguiti;
3. esprimere una valutazione su corsi frequentati organizzati dai Provider.

Per accedere ai servizi online deve registrarsi alla pagina <http://ape.agenas.it/professionisti/myecm>.

Se soddisfatto di questo corso può cliccare sull'icona  ed esprimere la propria valutazione.

SEGRETERIA ORGANIZZATIVA E PROVIDER ECM:



via Marradi 3  
20123 - Milano ITALY  
tel | +39 02 36631574  
fax | +39 02 36631640  
mail | [info@3psolution.it](mailto:info@3psolution.it)

web | [www.3psolution.it](http://www.3psolution.it)

Un evento organizzato da:



La realizzazione di questo evento è stata possibile grazie ad un *unrestricted grant* di:

PLATINUM SPONSOR



SILVER SPONSOR



SPONSOR



CORSO ECM

## L'ACCESSO ALLE TERAPIE PER MALATTIE RARE IN ITALIA: opportunità e prossime sfide

Responsabile scientifico: Pier Luigi Canonico

ROMA, 2 MARZO 2017

Istituto Superiore di Sanità  
Viale Regina Elena 299

CON IL PATROCINIO DI:



ISTITUTO  
SUPERIORE  
DI SANITÀ



#### RAZIONALE

Per l'Unione Europea una malattia è definita rara quando il numero di pazienti non è superiore a 5 ogni 10.000 abitanti. In Italia si stimano 20 casi di malattie rare ogni 10.000 abitanti e ogni anno sono circa 19.000 i nuovi casi. Rare, ma non per questo meno gravi e debilitanti di altre malattie più diffuse.

Obiettivo di questo incontro di esperti sul tema delle malattie rare è quello di capire:

1. lo stato dell'arte dell'ingresso e accesso al mercato di farmaci per malattie rare nel nostro Paese e le implicazioni legate allo sviluppo clinico di questi farmaci ed alla loro rimborsabilità;
2. come migliorare l'attuale gestione delle malattie rare, andando incontro alle esigenze di pazienti a numero ridotto per singola patologia, ma con esigenze comuni tra i diversi malati ed i centri di eccellenza, sia in termini di diagnosi che di trattamento.

## RESPONSABILE SCIENTIFICO

### Pier Luigi Canonico

Direttore del Dipartimento di Scienze del Farmaco, Università degli Studi del Piemonte Orientale, Novara

## FACULTY

### Alessandro Aiuti

Direttore UO di Pediatria Immunoematologica, Ospedale San Raffaele, Milano

### Anna Ambrosini

Responsabile dell'Area Programmi di Ricerca, Fondazione Telethon, Milano

### Laura Bianconi

Senatore della Repubblica Italiana, Roma

### Paola Binetti

Deputato della Repubblica Italiana e Presidente Intergruppo Parlamentare Malattie Rare, Roma

### Paolo Bruzzi

Direttore UO di Epidemiologia Clinica, IRCCS AOU San Martino - IST - Istituto Nazionale per la ricerca sul cancro, Genova

### Filippo Buccella

Presidente Parent Project Onlus, Roma

### Alberto Burlina

Direttore UO Complessa 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 e Università di Padova

### Pier Luigi Canonico

Direttore del Dipartimento di Scienze del Farmaco, Università degli Studi del Piemonte Orientale, Novara

### Giorgio Cantelli Forti

Presidente Società Italiana di Farmacologia (SIF)

### Valerio Carelli

Professore associato Dipartimento di Scienze Biomediche e Neuromotorie, Università degli Studi di Bologna

### Erica Daina

Responsabile Laboratorio Documentazione e Ricerca sulle Malattie Rare, IRCCS Istituto Mario Negri, Ranica (BG)

### Paola Facchin

Responsabile del Coordinamento Malattie Rare della Regione Veneto

### Maria Faggiano

Direttore Scientifico SIFO - Società Italiana di Farmacia Ospedaliera e dei Servizi Farmaceutici delle Aziende Sanitarie

## PROGRAMMA SCIENTIFICO

09:15 Apertura Iscrizioni e Registrazione Partecipanti\*\*

09:30 Saluti Istituzionali\*\*

**Laura Bianconi, Paola Binetti, Mario Melazzini\*  
Giorgio Cantelli Forti**

*Presenta:* **Pier Luigi Caninico**

**1** SESSIONE I | IL MODELLO DI GESTIONE DELLE MALATTIE RARE IN ITALIA

*Moderatori:* **Barbara Rebesco, Francesco Rossi**

09:45 L'impegno dell'Istituto Superiore di Sanità in tema di malattie rare

**Domenica Taruscio**

10:15 ERN (Reti di Riferimento Europee) e identificazione dei centri in Italia

**Paola Torreri**

10:45 L'esperienza delle Regioni nella gestione delle malattie rare,

**Erica Daina, Paola Facchin**

11:15 Discussione

11:30 Coffee Break\*\*

**2** SESSIONE II | LUCI ED OMBRE NELLO SVILUPPO DEI FARMACI PER MALATTIE RARE

*Moderatori:* **Maria Faggiano, Alessandro Mugelli\***

11:50 Come leggere gli studi clinici sulle malattie rare

**Paolo Bruzzi**

12:10 Focus sulle malattie rare e farmaci *repositioned*: un confronto europeo

**Paola Minghetti, Sonia Selletti**

12:40 Malattie rare e *start up*

Un nuovo modello di ricerca e sviluppo e casi di successo\*\*

**Andrea Paolillo**

13:10 Evoluzione della terapia genica nelle malattie rare

**Alessandro Aiuti**

13:30 Lunch\*\*

**3** SESSIONE III | L'ACCESSO AI FARMACI PER MALATTIE RARE IN ITALIA

*Moderatori:* **Pier Luigi Canonico, Armando Genazzani**

14:15 Il processo di valutazione dei farmaci orfani e per le malattie rare in Italia

**Patrizia Popoli**

14:45 Le valutazioni farmaco-economiche applicate ai farmaci orfani e per le malattie rare

**Claudio Jommi**

15:15 I costi indiretti e i costi sociali nelle malattie orfane

**Francesco Saverio Mennini**

15:45 TAVOLA ROTONDA

Medici e pazienti a confronto. Piccoli numeri, enormi esigenze  
Focus on: Malattia di Duchenne, LHON, malattie mitocondriali, malattie metaboliche e neurometaboliche, malattie ossee, malattie neuromuscolari

*Moderatori:* **Pier Luigi Canonico, Armando Genazzani**

*Discussant:* **Alberto Burlina (malattia di Fabry)**

**Valerio Carelli (LHON)**

**Maria Faggiano**

**Antonio Federico (malattie neurometaboliche)**

**Anna Ambrosini, Filippo Buccella,**

**Daniela Lauro, Piero Santantonio,**

**Stefania Tobaldini**

17:15 Conclusioni

**Pier Luigi Canonico, Armando Genazzani**

17:45 Questionario ECM\*\*

18:00 Termine Lavori

*\* in attesa di conferma*

*\*\* non incluso del programma accreditato ECM*

## Antonio Federico

Professore Ordinario di Neurologia, Dipartimento di Scienze Mediche Chirurgiche e Neuroscienze, Università di Siena

## Armando Genazzani

Professore Ordinario di Farmacologia Università degli Studi del Piemonte Orientale, Novara

## Claudio Jommi

Presidente AIES; Professore Associato di Economia, Dipartimento di Scienze del Farmaco, Università degli Studi del Piemonte Orientale, Novara. Responsabile Scientifico Osservatorio Farmaci, Cergas Bocconi

## Daniela Lauro

Presidente Nazionale di Famiglie SMA onlus, Roma

## Francesco Saverio Mennini

Professore di Economia Sanitaria, Presidente di ISPOR (International Society For Pharmacoeconomics and Outcomes Research) Italy-Rome Chapter, Research Director, Università Tor Vergata, Roma e Kingston University, Londra, UK

## Mario Melazzini

Direttore Generale AIFA

## Paola Minghetti

Professore Ordinario, Dipartimento di Scienze Farmaceutiche, Università degli Studi di Milano

## Alessandro Mugelli

Presidente Eletto Società Italiana di Farmacologia (SIF)

## Andrea Paolillo

Direttore Medico Biogen Italia srl, Milano

## Patrizia Popoli

Direttore del Centro Nazionale per la Ricerca e la Valutazione preclinica e clinica dei Farmaci, Istituto Superiore di Sanità, Roma

## Barbara Rebesco

Membro del Consiglio Direttivo SIFO (Società Italiana di Farmacia Ospedaliera e dei Servizi Farmaceutici delle Aziende Sanitarie)

## Francesco Rossi

Past President Società Italiana di Farmacologia (SIF)

## Piero Santantonio

Presidente Mitocon Onlus, Roma

## Sonia Selletti

Avvocato Studio Legale Astolfi e Associati, Milano

## Domenica Taruscio

Direttore Centro Nazionale Malattie Rare (CNMR), Istituto Superiore di Sanità, Roma

## Stefania Tobaldini

Presidente "A.I.A.F. Onlus - Associazione Italiana Anderson-Fabry Onlus", Roma

## Paola Torreri

Ricercatrice Centro Nazionale Malattie Rare (CNMR), Istituto Superiore di Sanità, Roma