



in collaborazione con



# EXPLORARE

Rare Disease  
Access Deepdive

**23 FEBBRAIO 2023 | ROMA**

Donna Camilla Savelli - VRetreats  
Via Garibaldi, 27

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

Con il patrocinio di

*Istituto Superiore  
di Sanità*



FARMINDUSTRIA



SOCIETÀ ITALIANA DI FARMACOLOGIA



SOCIETÀ ITALIANA DI HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT

**ÜNIAMO**

Federazione Italiana Malattie Rare

La valutazione e il rimborso dei farmaci per le malattie rare e orfane non sempre è un percorso facile. Spesso le Autorità regolatorie si trovano di fronte a significative incertezze sul valore terapeutico del farmaco proposto e sulla sua valorizzazione che inevitabilmente si ripercuotono sui tempi della valutazione. Queste incertezze possono dipendere dalla rarità e dalle caratteristiche della malattia e quindi dalla difficoltà nel produrre dati solidi e, soprattutto nel caso delle malattie orfane, dalla mancanza di un riferimento terapeutico già disponibile su cui ancorare il prezzo.

Da qui nasce il progetto EXPLORARE, Rare Disease Access Deepdive su proposta di ISPOR Italy-Rome Chapter, volto a comprendere come i diversi momenti del percorso valutativo gestiscono e vengono condizionati da queste incertezze, come ridurre le incertezze durante la fase di valutazione tecnico scientifica e di prezzo e rimborso anche riconsiderando il ruolo e l'adeguatezza delle valutazioni farmaco economiche.

Il progetto si avvale della collaborazione e indirizzo di un board di esperti che rappresentano gli stakeholder coinvolti ed interessati a rendere il percorso valutativo rigoroso ed efficiente, affinché i pazienti possano beneficiare in tempi adeguati dell'innovazione, in un quadro di riconoscimento del valore del farmaco e dell'equilibrio del sistema.

Durante l'evento finale a conclusione del percorso, verranno presentati in maniera dettagliata i risultati provenienti dai 3 diversi workstream e consolidati dal board con lo scopo finale di promuovere la «best practice» da utilizzare durante l'intero iter di approvazione dei farmaci per malattie rare nello scenario italiano in accordo con una **corretta definizione del valore del farmaco**.

# PROGRAMMA

- 10:00** Registrazione dei partecipanti
- 10:30** Apertura e obiettivi dell'incontro  
**Pier Luigi Canonico**
- 10:40** L'impegno del sistema salute per supportare il percorso di valutazione e l'accesso ai farmaci per malattie rare  
**Orfeo Mazzella\***  
**Silvio Brusaferrò\***  
**Annalisa Scopinaro**  
**Francesco Saverio Mennini**
- 11:20** Il progetto Esplorare  
**Fulvio Luccini**
- 11:30** **Workstream 1** – Analisi dei tempi del processo approvativo  
Obiettivi, percorso e risultati  
**Fulvio Luccini**
- 12:00** **Workstream 2** – Gestione dell'incertezza nella valutazione tecnico-scientifica  
Obiettivi, Percorso e risultati  
**Valeria Viola**

*\*invited faculty*

- 12:30**      **Workstream 3** – Gestione dell'incertezza nel percorso di individuazione del prezzo e rimborso  
**Obiettivi, Percorso e risultati**  
**Andrea Marcellusi**
- 13.00**      Q&A
- 13.20**      Lunch break
- 14.20**      Le aspettative della ricerca farmaceutica nel processo di accesso ai farmaci  
**Paolo Daniele Siviero**
- 14:40**      Tavola rotonda: dal framework di valutazione attuale all'applicabilità delle nuove proposte  
**Chairmen: Patrizia Berto e Andrea Marcellusi**  
**Discussant: Pier Luigi Canonico, Francesca Caprari, Francesco Damele, Annamaria De Luca, Giuseppe Limongelli, Francesco Saverio Mennini, Marcello Pani, Sandra Petraglia\*, Patrizia Popoli, Annalisa Scopinaro, Francesco Trotta\***
- 16:40**      Conclusioni e next steps  
**Pier Luigi Canonico, Andrea Marcellusi**

*\*invited faculty*

# FACULTY

## **Patrizia Berto**

Principal at AESARA Europe e membro del Comitato Direttivo ISPOR Italy-Rome Chapter

## **Pier Luigi Canonico**

Professore di Farmacologia presso Università del Piemonte Orientale e Presidente ISPOR Italy-Rome Chapter

## **Francesca Caprari**

Market Access Senior Director presso Alexion

## **Francesco Damele**

Value & Access Head presso Sanofi

## **Annamaria De Luca**

Professore Ordinario di Farmacologia, Dipartimento di Farmacia – Scienze del Farmaco presso Università degli Studi di Bari Aldo Moro

## **Giuseppe Limongelli**

Direttore Centro Coordinamento Malattie Rare (Regional Director) della Regione Campania e Direttore Master II livello e Corso Perfezionamento Malattie Rare presso Università degli Studi della Campania Luigi Vanvitelli

## **Fulvio Luccini**

Managing Director presso Pharmalex Italy formerly MA Provider e membro del Comitato Direttivo ISPOR Italy-Rome Chapter

## **Andrea Marcellusi**

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

## **Orfeo Mazzella**

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

## **Francesco S. Mennini**

Presidente SITHA e Professore di Economia Sanitaria presso Università di Roma "Tor Vergata"

### **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)

### **Sandra Petraglia**

Direttore Ufficio Ricerca e Sperimentazione Clinica AIFA/ Coordinatore Area Pre-Autorizzazione dell'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)

### **Patrizia Popoli**

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

### **Annalisa Scopinaro**

Presidente UNIAMO - Federazione Italiana Malattie Rare onlus

### **Paolo Daniele Siviero**

Capo Area Attività Regolatorie, Direzione Tecnico Scientifica di Farmindustria

### **Francesco Trotta**

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

### **Valeria Viola**

National Health Authority Affairs Consultant presso Pharma Value

Realizzato con il supporto non condizionante di

Gold Sponsor



Silver Sponsor



Sponsor



Evento organizzato da



via Vincenzo Monti, 3  
20123 Milano

e-mail | [Valentina.digennaro@pharmalex.com](mailto:Valentina.digennaro@pharmalex.com)

e-mail | [Cristina.conti@pharmalex.com](mailto:Cristina.conti@pharmalex.com)