

cencora

in collaborazione con



EXPLORARE

Rare Disease
Access Deepdive

4.0

30 GIUGNO 2026 | MILANO

Hotel Duo Milan Porta Nuova

Via Gerolamo Cardano, 1, Milano

web | www.explorare-rare.it

Con il patrocinio di:



RAZIONALE

Il progetto ExploRare è nato nel 2022 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 delle prime tre edizioni, attraverso raccolta di evidenze, confronti multidisciplinari e analisi dedicate:

- sono stati identificati i principali elementi di incertezza nella valutazione tecnico-scientifica e nei processi di prezzo e rimborso dei farmaci orfani;
- sono state approfondite le criticità emerse, mediante un'analisi della loro frequenza negli studi clinici dei farmaci in sviluppo e un'indagine sulle opinioni di *stakeholder* istituzionali, industriali e dei pazienti, con particolare attenzione agli strumenti utili alla loro gestione;
- è stato sviluppato e aggiornato un modello predittivo per stimare l'ingresso sul mercato italiano dei farmaci rari nei successivi tre anni, valutandone impatto economico e *trend* di spesa per il SSN;
- è stata analizzata la rilevanza dei PROMs nei trial clinici e il loro peso nelle valutazioni regolatorie e HTA, inclusa la potenziale influenza sull'innovatività e sui tempi di accesso;
- è stato esaminato l'effetto del *Blended Price* nelle estensioni di indicazione, al fine di comprenderne le ricadute su tempi negoziali e prezzo massimo di cessione al SSN).

Con la quarta edizione, ExploRare 4.0 amplia ulteriormente il proprio ambito di analisi, includendo elementi che possono influenzare non solo il processo nazionale di prezzo e rimborso dei farmaci per malattie rare, ma anche l'accessibilità e la governance a livello regionale.

In particolare, il focus si concentra su tre aree strategiche

- l'evoluzione delle strategie di *evidence generation* per superare i limiti degli RCT e ridurre l'incertezza regolatoria;
- l'analisi dei modelli di valutazione economica – dalle soglie ICER alla *willingness to pay* e al *value-based pricing* – per coniugare il valore clinico con la sostenibilità del sistema;
- l'approfondimento sui processi di governance regionale per migliorarne tempistiche e rendere l'accesso più efficiente ed omogeneo.

PROGRAMMA PRELIMINARE

Moderatore:

Chiara Lucchetti

Director, Patient Access Head di Cencora

10:00 - 10:30 Registrazione dei partecipanti

10:30 - 10:40 Apertura: il percorso di ExploRare e gli obiettivi della 4° edizione
Fulvio Luccini, Andrea Marcellusi

10:40 - 11:00 Saluti introduttivi
Mario Melazzini, Emanuele Monti, Annalisa Scopinaro, Andrea Zovi

11:00 - 11:20 **Workstream 1** - L'evoluzione delle strategie di Evidence Generation
Marzia Bonfanti

11:20 - 12:15 Discussione Collegiale
Facilitatori: **Pier Luigi Canonico, Carlotta Galeone**
Intervengono: **Valentina Acciai, Maria Domenica Cappellini, Patrizia Popoli**

12:15 - 12:35 **Workstream 2** - Valutazione economica dei farmaci per patologie rare: soglie ICER, willingness to pay e value-based pricing
Carolina Moreno

12:35 - 13:30 Discussione Collegiale
Facilitatori: **Andrea Marcellusi**
Intervengono: **Maria Adelaide Bottaro, Fabrizio Celia, Paolo Cortesi, Nicoletta Martone, Elisa Sangiorgi, Bruna Vinci**

13.30 - 14:30 *Lunch break*

14:30 - 14:50 **Workstream 3** – Centri prescrittori e governance regionale: analisi dei processi e delle tempistiche per un accesso più efficiente

Mattia Gatta

14:50 - 16:00 Discussione Collegiale

Facilitatori: **Claudio Jommi**

Intervengono: **Silvia Adami, Alberto Bortolami, Francesco Brunetti, Erica Daina, Maria Galdo, Vito Ladisa, Domenico Manna, Monica Mazzucato**

16:00 - 16:30 Conclusioni e Next Steps

Direttivo ExploRare

INVITED FACULTY

Valentina Acciai	Institutional Affairs e Market Access Director, Ipsen Italy
Silvia Adami	Direzione Farmaceutico-Protesica Dispositivi medici, Regione Veneto
Marzia Bonfanti	Senior Manager Market Access, Cencora
Alberto Bortolami	Area Qualità delle Cure, Reti e PDTA, Settore Assistenza Ospedaliera, Regione Emilia Romagna
Maria Adelaide Bottaro	Direzione Accesso e Strategie Regolatorie di Farindustria
Francesco Brunetti	Sezione Farmaci, Dispositivi Medici e Assistenza Integrativa, Regione Puglia
Pier Luigi Canonico	Professore emerito di Farmacologia presso l'Università del Piemonte Orientale "Amedeo Avogadro", Dipartimento di Scienze del Farmaco; Past President di ISPOR Italy-Rome Chapter
Maria Domenica Cappellini	Professore emerito di medicina interna, Università degli Studi di Milano – Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico
Fabrizio Celia	General Manager, Argenx
Paolo Cortesi	Assistant Professor (RTDb), Università degli Studi di Milano-Bicocca, Milano
Erica Daina	Referente per il Centro di Coordinamento della Rete regionale malattie rare Istituto di Ricerche Farmacologiche Mario Negri IRCCS, Bergamo
Mattia Gatta	Senior Manager Market Access, Pharmalex Italy
Maria Galdo	Farmacista Responsabile UOSD Gestione Clinica del Farmaco, AORN Ospedali dei Colli, Napoli; Coordinamento Malattie Rare Campania
Carlotta Galeone	Ricercatore presso il Bicocca-Applied Statistics Center (B-ASC) dell'Università degli Studi di Milano Bicocca
Claudio Jommi	Professore di Economia Aziendale presso l'Università del Piemonte Orientale "Amedeo Avogadro", Dipartimento di Scienze del Farmaco
Vito Ladisa	S.C. Farmacia Ospedaliera, Fondazione IRCCS Istituto Nazionale dei Tumori, Milano

Fulvio Luccini	Senior Director PAR Regional Lead Italy & Market Access Managing Director Cencora
Domenico Manna	Regional Access Manager Lead, CSL
Andrea Marcellusi	Ricercatore a tempo determinato in tenure track (RTT) presso Università degli Studi di Milano, Dipartimento di Scienze Farmaceutiche e Presidente Ispor Italy-Rome Chapter
Nicoletta Martone	Governmental Affairs & Patient Access Director Swedish Orphan Biovitrum AB
Monica Mazzucato	Responsabile del Coordinamento Regionale Malattie Rare Regione Veneto
Mario Melazzini	Direttore della Direzione generale Welfare Regione Lombardia
Emanuele Monti	Presidente Commissione Welfare Regione Lombardia e Executive Board Member Agenzia italiana del farmaco (AIFA)
Carolina Moreno	Senior Manager Market Access, Cencora
Patrizia Popoli	Già Direttore del Centro Nazionale per la ricerca e valutazione dei farmaci dell'Istituto Superiore di Sanità, già Presidente della Commissione Tecnico Scientifica dell'AIFA
Elisa Sangiorgi	Direttore dell'area Governo del Farmaco e dei dispositivi medici Regione Emilia Romagna, componente Commissione Scientifico Economica di AIFA
Annalisa Scopinaro	Presidente Federazione Italiana Malattie Rare (UNIAMO)
Andrea Zovi	Segretario Regionale SIFO Lombardia
Bruna Vinci	Dirigente Sanitario della DGDMF per le attività farmaceutiche, membro della CSE di AIFA

Il progetto ExploRare 4.0 è realizzato
con il supporto non condizionante di:

Gold Sponsor



Silver Sponsor



Per approfondire gli obiettivi e le fasi del progetto,
visita il sito **www.explorare-rare.it**

Evento organizzato da

cencora

Corso Europa, 13 - 20122 Milano - Italy
info.explorare@pharmalex.com

web | www.explorare-rare.it