



**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 discenti 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.

SEGRETARIA 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)

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

AULA BOVET  
Istituto Superiore di Sanità  
Viale Regina Elena 299

**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.

CON IL PATROCINIO DI:



ISTITUTO  
SUPERIORE  
DI SANITÀ



## PROGRAMMA SCIENTIFICO

- 09:15 Apertura Iscrizioni e Registrazione Partecipanti\*\*
- 09:30 Saluti Istituzionali\*\*  
**Laura Bianconi, Paola Binetti, Mario Melazzini, Giorgio Cantelli Forti**
- 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 Torrieri**
- 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

\*\* non incluso del programma accreditato ECM

## 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)

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