

Fino a pochi anni fa le terapie geniche e cellulari e l'ingegneria dei tessuti per fini terapeutici rappresentavano il futuro. Oggi occorre parlare di presente e per questo, al di là della disponibilità di queste nuove terapie sul mercato, è tempo di affrontare e risolvere alcune sfide che inevitabilmente le terapie avanzate porranno alla sanità, in particolare in relazione all'impatto che queste hanno sull'organizzazione del Sistema Sanitario e, ancor più, sulla gestione dei pazienti.

La Lombardia, per il gran numero di poli ospedalieri e di ricerca ad alta specializzazione, è certamente una delle Regioni che saranno maggiormente toccate da queste sfide. La Regione dovrà rispondere ai bisogni di salute dei propri residenti ma anche far fronte ad una forte mobilità di pazienti dal resto del Paese.

Il sistema sanitario lombardo già in passato ha affrontato e superato situazioni simili attraverso best practice che meritano di essere approfondite e declinate in funzione delle ulteriori sfide poste oggi dallo studio di nuovi modelli di gestione.

Con il patrocinio di



OMAR
OSSERVATORIO MALATTIE RARE



LE TERAPIE AVANZATE NELL'AMBITO DELLE MALATTIE RARE: LOMBARDIA REGIONE-PILOTA NELLA GESTIONE "VALUE BASED"

Giovedì 5 luglio 2018 - ore 9,00

Sala Napoleonica - Università degli Studi di Milano
Via S. Antonio, 12

Con il supporto non condizionato di



LE TERAPIE AVANZATE NELL'AMBITO DELLE MALATTIE RARE: LOMBARDIA REGIONE-PILOTA NELLA GESTIONE "VALUE BASED"

PROGRAMMA

09.00 Registrazione dei partecipanti e della stampa

09.30 Introduzione ai lavori

a cura di **Ilaria Ciancaleoni Bartoli**, Direttore Osservatorio Malattie Rare

09.45 Saluti istituzionali

- **Giulio Gallera**, Assessore al Welfare Regione Lombardia *

10.00 Le nuove frontiere delle terapie avanzate

- **Alessandra Biffi**, Farber/Boston Children's Cancer and Blood Disorders Center Stem Cell Transplant Center, Boston

10.20 - 10.50 I TAVOLA ROTONDA:

Malattie rare: progetti della Regione Lombardia sulle terapie avanzate. La sostenibilità è davvero un problema per le malattie rare?

Modera **Ilaria Ciancaleoni Bartoli**, direttore Osservatorio Malattie Rare

- **Erica Daina**, Referente Centro di Coordinamento Rete Malattie Rare Lombardia, IRCCS Mario Negri
- **Aldo Bellini**, Unità Organizzativa Programmazione Polo Ospedaliero Regione Lombardia

10.50 Malattie metaboliche rare, esperienza e prospettive

- **Isabella Moroni**, Neuropsichiatria Infantile, Istituto Besta Milano
- **Attilio Rovelli**, Direttore Clinico del Centro Trapianto Midollo Osseo, Clinica Pediatrica dell'Università di Milano Bicocca, Fondazione MBBM c/o A.O San Gerardo Monza
- **Valentina Fasano**, Presidente Associazione Italiana Adrenoleucodistrofia

11.20 Emoglobinopatie, esperienza e prospettive

- **Marco Zecca**, Direttore Ematologia-Oncoematologia Pediatrica Fondazione IRCCS Policlinico San Matteo di Pavia
- **Maria Domenica Cappellini**, Direttore Dipartimento di Scienze Cliniche e di Comunità Università degli Studi di Milano - Direttore Unità Operativa di Medicina Interna Fondazione IRCCS Cà' Granda Ospedale Maggiore Policlinico
- **Tommasina Iorno**, Presidente ATDL - Associazione Talassemici e Drepanocitici Lombardi ONLUS
- **Matteo Della Porta**, Humanitas Cancer Center Rozzano, Ematologia, Responsabile di sezione leucemie e mielodisplasie

11.50 - 12.30 II TAVOLA ROTONDA:

Terapie avanzate e mobilità interregionale dei pazienti: gestione e sostenibilità. Necessità di un modello di pagamento centralizzato?

Modera **Francesco Macchia**, Coordinatore di OSSFOR - Osservatorio Farmaci Orfani

- **Paolo Saccà**, Senior Consultant HTA AGENAS
- **Lorenzo Mantovani**, Professore Associato di Salute Pubblica, Università degli studi di Milano Bicocca
- **Alessandro Aiuti**, Direttore dell'U.O di Pediatria Immunoematologica, Ospedale San Raffaele - Vice-Direttore SR-Tiget
- **Enrica Morra**, Presidente REL - Rete Ematologica Lombarda

12.30-13.00 Discussioni e conclusioni

*In attesa di conferma