

cencora
PharmaLex

in collaborazione con



EXPLORARE

Rare Disease
Access Deepdive

3.0

28 MAGGIO 2025 | MILANO

Hotel Duo Milan Porta Nuova
Via Gerolamo Cardano, 1, Milano
streaming online su Vincent On Air

web | www.explorare-rare.it

Con il patrocinio di:



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.

Tra la prima e la seconda edizione, attraverso la raccolta di evidenze ed esperienze, lo sviluppo di analisi specifiche ed il confronto all'interno di gruppi di lavoro e con un board di esperti:

- sono stati individuati alcuni aspetti critici della gestione dell'incertezza nella valutazione tecnico-scientifica e della definizione del prezzo e delle condizioni di rimborsabilità dei farmaci per malattie rare.
- sono state esplorate le priorità sulle criticità emerse nella prima edizione attraverso un'analisi della frequenza delle criticità negli studi per i farmaci per malattie rare in sviluppo e prossime ad arrivare sul mercato e un'indagine sull'opinione degli stakeholder (istituzioni nazionali e regionali, referenti di imprese e di associazioni dei pazienti) su tali criticità e, soprattutto, sugli strumenti necessari alla loro gestione.
- è stato costruito e aggiornato un modello predittivo al fine di stimare l'entrata sul mercato italiano nei prossimi tre anni dei farmaci per le malattie rare, valorizzandone l'impatto economico e il trend di spesa per il Servizio Sanitario Nazionale (SSN).

Con la terza edizione, ExploRare 3.0, si è voluto dare continuità agli approfondimenti generati nel corso delle prime edizioni aggiornando l'*horizon scanning* per il triennio 2025-2027, e generare nuove riflessioni attraverso:

- la valorizzazione dei *Patient Reported Outcome Measures (PROMs)* attraverso l'analisi nel tempo dell'uso, della tipologia e qualità dei PROMS negli studi clinici, ed il loro utilizzo nelle valutazioni;
- l'analisi dei tempi negoziali nel caso di estensione di indicazione da raro a raro, raro a non raro e da non raro a raro nonché l'effetto dell'applicazione del blended price;
- l'aggiornamento del modello predittivo di spesa dei farmaci in arrivo per il trattamento delle malattie rare nel triennio 2025-2027.

L'evento si propone di presentare i risultati dei lavori dei tre *workstream*, raccolti in un nuovo Report, e discuterne significato, implicazioni e limiti.

PROGRAMMA

Moderatore:
Roberto Sommella

- 10:00** Registrazione dei partecipanti
- 10:30** Il percorso di ExploRare e gli obiettivi della 3° edizione
Fulvio Luccini, Andrea Marcellusi
- 10:45** Saluti Introduttivi
Mario Melazzini
Emanuele Monti
Enrico Piccinini
Annalisa Scopinaro
- 11:15** **Workstream 1** - Valorizzazione dei Patient Reported Outcome Measures (PROMs) per i farmaci per malattie rare
Claudio Jommi
- 12:00** **Workstream 2** - Tempi negoziali in caso di estensione di indicazione ed effetto dell'applicazione del blended price
Fulvio Luccini

12:45 **Workstream 3** - Aggiornamento del modello predittivo di spesa dei farmaci in arrivo nel trattamento delle malattie rare nel triennio 2025-2027

Andrea Marcellusi

13:30 Lunch break

14:30 Tavola rotonda

Moderatore: **Roberto Sommella**

Facilitatori: **Pier Luigi Canonico, Patrizia Popoli**

Intervengono: **Mauro Biffoni, Alberto Bortolami, Massimo Di Maio, Ida Fortino*, Carlotta Galeone, Lara Gitto, Patrizia Marconi*, Patrizia Olivari, Enrico Piccinini, Maurizio Scarpa, Annalisa Scopinaro, Giovanna Scroccaro**

16:30 Conclusioni e next steps
Direttivo ExploRare

**invited/to be invited faculty*

FACULTY

Mauro Biffoni

Direttore Dipartimento Oncologia e Medicina Molecolare ISS

Alberto Bortolami

Responsabile Area Qualità delle cure, Reti e Percorsi Settore Assistenza Ospedaliera
Direzione Generale cura della persona, Salute e Welfare Emilia-Romagna

Pierluigi Canonico

Professore Emerito di Farmacologia presso Università degli Studi del Piemonte Orientale "Amedeo Avogadro", Dipartimento di Scienze del Farmaco e Past President ISPOR Italy-Rome Chapter

Massimo Di Maio

Direttore dell'Oncologia Medica Universitaria dell'Ospedale Molinette, AOU Città della Salute e della Scienza di Torino e Presidente Eletto dell'Associazione Italiana di Oncologia Medica (AIOM)

Ida Fortino

Responsabile del Servizio Farmaceutico di Regione Lombardia e componente della Commissione Scientifica ed Economica (CSE) del Farmaco, Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)

Carlotta Galeone

Ricercatore presso il Bicocca-Applied Statistics Center (B-ASC) dell'Università degli Studi di Milano Bicocca

Lara Gitto

Presidente Commissione Scientifica ed Economica (CSE) del Farmaco, Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)

Claudio Jommi

Professore di Economia Sanitaria presso Università degli Studi del Piemonte Orientale "Amedeo Avogadro", Dipartimento di Scienze del Farmaco e Presidente Eletto Ispor Italy-Rome Chapter

Fulvio Luccini

Market Access Italy Managing Director presso Cencora Pharmalex

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

Patrizia Marconi

Dirigente Ufficio Attività di Analisi e Previsione e Ufficio Ricerca Indipendente Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)

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)

Patrizia Olivari

Presidente Amministratore Delegato IPSEN Italia

Enrico Piccinini

Coordinatore Focus Group Malattie Rare Farindustria

Patrizia Popoli

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

Maurizio Scarpa

Direttore del Centro di Coordinamento Malattie Rare, Azienda Sanitaria Universitaria Friuli Centrale, Udine e coordinatore di MetabERN (European Reference Network for Hereditary Metabolic Diseases)

Annalisa Scopinaro

Presidente Federazione Italiana Malattie Rare (UNIAMO)

Giovanna Scroccaro

Direttore della Direzione Farmaceutico-Protesica-Dispositivi medici, Area Sanità e Sociale della Regione Veneto

Roberto Sommella

Direttore Milano Finanza, Class CNBC

Il progetto ExploRare 3.0 è realizzato con
il supporto non condizionante di:

Platinum Sponsor



Gold Sponsor



Silver Sponsor



CSL Behring



sanofi

Evento organizzato da

cencora

PharmaLex

Corso Europa, 13
20122 Milano - Italy
www.pharmalex.com