

INFORMAZIONI GENERALI

A chi è rivolto:

- *Direttori Scientifici di ASL,*
- *Personale delle Direzioni Mediche/Ricerca di Aziende Farmaceutiche,*
- *Associazioni di Pazienti,*
- *Personale di Ricerca di IRCCS,*
- *Responsabili del Centro Studi di Società Scientifiche.*

ISCRIZIONE

Per i Soci SIFEIT: € 50,00 + IVA

Per i soci AIOM: € 100,00 + IVA

Per i non Soci: € 200,00 + IVA

Per Under 35: Gratuita

Importi da versare a DIDACTIKA srl

IBAN: IT36E0623003251000063543177

Per iscriversi, inviare la scheda compilata alla Segreteria Organizzativa Didactika S.r.l.



SEGRETERIA ORGANIZZATIVA: DIDACTIKA S.r.l.
Piazza della Trasfigurazione, 8/A 00151 ROMA
Tel. 06-9437.8432 - e-mail: info@didactika.it
www.didactika.it

Sede del Convegno:

CASA DELL'AVIATORE Sala Baracca
Viale dell'Università 20 – 00185 - Roma

Questo convegno è stato reso possibile da un
contributo non condizionante di



MODERATORI – RELATORI – DISCUSSANT

Mariangela Amoroso: Country Medical Lead Sanofi Italia

Giuseppe Assogna: Presidente SIFEIT

Antonella Brunello: Responsabile UOS Sarcomi e tumori dell'osso, UOC Oncologia 1 IOV IRCCS Padova e Coordinatrice Rete Tumori Rari Regione Veneto

Ilaria Ciancaleoni Bartoli: Direttore OMAR

Luciano Ciocchetti: Vicepresidente Commissione Affari Sociali Camera dei Deputati

Stefano Collatina: Rappresentante Egualia

Antonietta Martelli: Professore ordinario di Farmacologia Dipartimento di medicina interna e specialità mediche - DIMI Genova - Consigliere SIFEIT

Elena Murelli: 10ª Commissione permanente (Affari sociali, sanità, lavoro pubblico e privato, previdenza sociale), Senato della Repubblica

Pierluigi Navarra: Professore ordinario di Farmacologia, Fondazione Policlinico Universitario Agostino Gemelli IRCCS, Univ.à Cattolica del Sacro Cuore Roma – Vice Presidente SIFEIT

Tiziana Nicoletti: Resp. del Coordinamento nazionale delle Associazioni di Malati Cronici e Rari (CnAMC), Cittadinanza Attiva

Robert Nisticò: Presidente AIFA

Claudio Pisanelli: Referente Nazionale S.I.F.O., Roma

Barbara Polistena: Direttore area farmaco-economia e statistica medica – C.R.E.A. Sanità

Roberto Poscia: Responsabile del Centro Interdipartimentale Malattie Rare (CIMR) del Policlinico Umberto I, Roma

Concetta Quintarelli: Responsabile del Laboratorio di Terapia Genica dei Tumori dell'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù di Roma e Professore presso Università Federico II di Napoli

Pierluigi Russo: Direttore Tecnico Scientifico AIFA

Federico Spandonaro: Presidente Comitato Scientifico di C.R.E.A. Sanità – Consigliere SIFEIT

Antonella Taglia: Medical Franchise Head Rare Disease - Sanofi Italia

Marco Vignetti: Presidente Fondazione GIMEMA



**MALATTIE RARE: EVIDENZA
SCIENTIFICA, COSTI, PRESA IN
CARICO, PROGRAMMI DI
ACCESSO E SOSTENIBILITÀ ALLA
LUCE DEI NUOVI CRITERI PER LA
VALUTAZIONE
DELL'INNOVATIVITÀ**

Roma, 13 ottobre 2026
Casa dell'Aviatore, sala Baracca.
Viale dell'Università 20 Roma

Con il patrocinio di



PRESENTAZIONE

Il settore dei farmaci orfani e delle malattie rare è stato ed è tuttora oggetto di numerose iniziative volte a definire una sempre migliore organizzazione e gestione di tutti gli aspetti ad esso legati.

Se si vuole affrontare il problema nella sua intera complessità, è necessario però considerare che fra i farmaci destinati al trattamento delle malattie rare vengono inclusi ormai anche molecole destinate a patologie oncologiche definite rare sulla base di caratteristiche genetiche particolari (che non in tutti i contesti ospedalieri sono valutabili), e questo accanto a farmaci invece realmente destinati al trattamento di ben pochi pazienti, spesso pediatrici.

Sarebbe quindi opportuno, anche se non di facile soluzione, ridefinire alcuni criteri “di sistema”, ad esempio scorporando, in generale, i farmaci oncologici dalle malattie rare, attraverso test genetici specifici.

D'altra parte le valutazioni sui farmaci dedicati a patologie “rare o ultrarare”, proprio perché tali, mal si adattano ad un processo valutativo standardizzato, infatti dovrebbero essere oggetto di attente e accurate analisi dello “spessore scientifico” dei dati disponibili, come pure degli outcomes attesi, anche alla luce della ridefinizione dei criteri di innovatività (Determina AIFA 966/2025), dove la qualità delle prove scientifiche può essere giudicata “bassa” o “molto bassa” in casi di malattie rare, in deroga ai criteri più stringenti applicati ad altre patologie. Questo è un riconoscimento delle difficoltà nel condurre studi rigorosi in queste aree.

Un meccanismo di verifica rigorosa e obiettiva, dell'efficacia e sicurezza del farmaco oggetto di valutazione potrebbe avvenire attraverso l'applicazione di un Registro e dall'analisi dei dati da questo raccolti. Tale Registro inoltre consentirebbe di applicare adeguati MEAs (ad esempio payment by result).

Infine, una considerazione particolare, andrebbe fatta per i tumori rari, che come previsto dal Documento Programmatico dell'Intergruppo Parlamentare sulle Malattie Rare e Onco-ematologiche, costituiscono “l'anello di congiunzione” tra malattie rare e tumori.

Per questi motivi SIFEIT, intende promuovere un momento di incontro e di confronto fra tutti gli interlocutori interessati, con l'auspicio di condividere possibili soluzioni operative e di processo, nell'interesse primario dei pazienti, dei ricercatori e di tutti gli interlocutori interessati.

PROGRAMMA

08:30 - Registrazione partecipanti

09:30 - Introduzione

Giuseppe Assogna, Luciano Ciocchetti (*), Elena Murelli(*)

Saluti istituzionali: **Robert Nisticò (*)**

Moderatori: **Antonietta Martelli, Federico Spandonaro**

10:00 **Concetta Quintarelli**

Terapie geniche e prospettive di vita

10:15 **Antonella Brunello**

Sfide, barriere ed opportunità nei tumori rari
dalla ricerca all'accesso al farmaco

10:30 **Barbara Polistena**

L'accesso dei farmaci orfani in Italia: trend e
prospettive di evoluzione della governance

10:45 **Mariangela Amoroso – Antonella Taglia**

Ricerca e sviluppo nelle malattie rare:
prospettive innovative

11:00 **Stefano Collatina**

Biosimilari: un valore per sostenibilità e accesso

11:15 Coffee break

11:40 Tavola Rotonda:

Accesso e sostenibilità nelle malattie rare: opinioni
a confronto.

Moderatori: **Giuseppe Assogna, Pierluigi Navarra**

**Partecipano: M. Amoroso, A. Brunello, I. Ciancaleoni
Bartoli, S. Collatina, A. Martelli, T. Nicoletti, C. Pisanelli, R.
Poscia, C. Quintarelli, P. Russo(*), F. Spandonaro, M.
Vignetti.**

13:30-13:45 Test ECM

13:45 Chiusura Lavori

* In attesa di conferma