

FORUM DELLA LEOPOLDA

Venerdì 29 settembre 2017, ore 11-13.30

Le MALATTIE RARE, un modello per l'innovazione

Dalla ricerca ai rapporti con i pazienti

In una medicina che è inevitabilmente indirizzata verso la personalizzazione della cura, le terapie per le malattie rare rappresentano un avamposto che permette di testare modelli diversi e politiche nuove mirate ad accogliere gestire questo progresso. In questa sezione si intende ripercorrere gli aspetti di fortissima innovazione che caratterizzano questo settore. Dalla ricerca dove la focalizzazione su patologie ultrarare anticipa i modelli di personalizzazione, alla valutazione dove i modelli tradizionali di HTA falliscono e devono essere trovate strade adatte ai piccoli numeri, all'accesso dove i programmi di accesso anticipato tracciano rotte utili per tutti i farmaci, all'advocacy dove si sperimentano modelli di coinvolgimento diverso nei quali i pazienti convivono con le istituzioni.

Introduce **Ilaria Ciancaleoni Bartoli**, giornalista e direttore Osservatorio Malattie Rare

- 11,00 Ricerca & Sviluppo sui farmaci orfani come modello verso la terapia personalizzata.**
- *Ilaria Ciancaleoni Bartoli*, Osservatorio Malattie Rare – OSSFOR
intervista
 - *Baroukh M. Assael*, Autore di “Il gene del Diavolo”
- 11,30 HTA dei piccoli numeri**
- *Federico Spandonaro*, Direttore CREA Sanità - OSSFOR
 - *Ida Fortino*, Area Strategia ed Economia del Farmaco AIFA
 - *Lara Pippo*, Head of Market Access CSL Behring
- 12,00 Early Access Programmes: un modello italiano per l'Europa?**
- *Roberta Venturi*, Ricercatore OSSFOR
 - *Lorella Lombardozi*, Direttore Area Risorse farmaceutiche, Regione Lazio
 - *Laura Crippa*, Director External Affairs Shire
- 12,30 Alleanza Malattie Rare: modelli innovativi di dialogo tra gli stakeholder**
- *Francesco Macchia*, coordinatore OSSFOR
 - *On. Paola Binetti*, Camera dei Deputati
 - *Simona Bellagambi*, Consiglio Direttivo EURORDIS
 - *Giuseppe Secchi*, Market Access Lead Sanofi-Genzyme
- 13,00 Malattie Rare: cosa cambia con i nuovi LEA**
- *Ilaria Vacca*, capo redattore OMAR
 - *Silvia Arcà*, Direttore Ufficio V Ministero della Salute
- 13.30 Conclusioni**