



PROVIDER ECM N.2224

Corso

Pharma-HUB VALUE

Focus su Sviluppo di un farmaco

9-18 marzo 2026

organizzato da

ISTITUTO SUPERIORE DI SANITÀ
Centro Nazionale Malattie Rare
Servizio Formazione

in collaborazione con
Centro Nazionale per la ricerca e la valutazione preclinica e clinica dei farmaci

nell'ambito di

Piano di Sviluppo e Coesione del Ministero della Salute 2014-2020
Piano operativo salute - Traiettorie 4 "Biotecnologia, bioinformatica e sviluppo farmaceutico"
Progetto Pharma-HUB
Hub per il riposizionamento di farmaci nelle malattie rare del sistema nervoso in età pediatrica
CUP I83C22001610001 - ID T4-AN-04



Pharma
HUB



N° ID: 063B26_B

Rilevanza

In Italia l'Istituto Superiore di Sanità (ISS) ha svolto un ruolo pionieristico nel garantire che i farmaci fossero sottoposti a valutazioni rigorose prima della somministrazione all'uomo. Ciò ha permesso di gettare le basi di un sistema strutturato per la valutazione della documentazione presentata a supporto dell'ammissibilità delle sperimentazioni cliniche di fase I, il primo e fondamentale passo per verificare la sicurezza di nuovi farmaci e terapie e segnare la transizione dalla ricerca preclinica agli studi sull'uomo. Con l'istituzione dell'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA), la collaborazione tra Autorità regolatoria e organo tecnico-scientifico (ISS) si è ulteriormente rafforzata, divenendo essenziale per affrontare le nuove sfide poste dallo sviluppo di farmaci innovativi, tra cui prodotti biotecnologici, terapie avanzate e medicinali associati a dispositivi medici. Il corso è svolto nell'ambito delle attività finanziate nel progetto 'Pharma-HUB – Hub per il riposizionamento di



PROVIDER ECM N.2224

farmaci nelle malattie rare del sistema nervoso in età pediatrica’, che ha, tra gli obiettivi fondamentali, la realizzazione di un percorso multi-strategico e interdisciplinare tale da promuovere l’avanzamento di conoscenze che hanno rilevanza applicativa in ambito farmaceutico e sostenere il progresso scientifico e societario legato alla identificazione di nuove possibilità di cura per malattie dell’età evolutiva complesse ed altamente disabilitanti. Tra gli obiettivi di *Pharma-HUB* rientrano anche la realizzazione di un registro di patologia per le forme pediatriche di Atassia nonché lo sviluppo di modelli di formazione e comunicazione sulle azioni intraprese nell’ambito delle suddette attività.

Scopo e obiettivi

L’obiettivo generale del corso è fornire una visione integrata sulla normativa sottesa allo sviluppo dei farmaci, approfondendo gli aspetti tecnico-scientifici che caratterizzano i test preclinici e le sperimentazioni cliniche, alla luce della normativa internazionale, delle linee guida regolatorie e dei requisiti di qualità richiesti a garanzia della sicurezza di potenziali farmaci per uso umano.

Obiettivo formativo ECM

18. Contenuti tecnico-professionali (conoscenze e competenze) specifici di ciascuna professione, di ciascuna specializzazione e di ciascuna attività ultraspecialistica, ivi incluse le malattie rare e la medicina di genere.

Metodo didattico

Il metodo didattico sarà basato sullo studio di problemi in piccoli gruppi (PBL), esercitazioni pratiche, presentazioni dei docenti e dei discenti in plenaria, seguiti da discussione e valutazione formativa dei lavori di gruppo da parte del docente.

Descrizione del corso

Il corso è erogato in modalità *Blended Learning*.

È composto, infatti, da tre tipologie formative: un corso FAD (modalità sincrona), un corso FAD (modalità asincrona) e un corso residenziale.

La prima sessione si svolgerà, dopo aver effettuato la registrazione e il pre-test on-line sulla piattaforma EDUISS, sulla piattaforma Microsoft Teams, con la connessione sincrona di tutti i partecipanti, suddivisi in stanze per i lavori di gruppo.

La seconda sessione prevede la selezione individuale dei materiali di studio e lo studio individuale sulla piattaforma EDUISS.

La terza sessione prevede la partecipazione obbligatoria del/della discente alle due giornate di formazione residenziale, e sarà dedicata alle presentazioni dei/delle docenti e dei/delle discenti della soluzione del problema, seguite da discussione e valutazione formativa dei lavori di gruppo da parte del/della docente.

PROGRAMMA

PRIMA SESSIONE (Attività da remoto sincrona)

Lunedì 9 marzo

14.00 Registrazione dei/delle partecipanti e pre-test (su piattaforma EDUISS)

14.30 Planning Meeting - Presentazione del Problema



PROVIDER ECM N.2224

Lavoro in piccoli gruppi con facilitatore/trice

S. Bocci, L.L. Cellai, G. Cerqueti, E. Desogus, A. Mazzaccara, S. Stacchini

I/Le partecipanti si dividono in 3 aule virtuali e lavorano ciascuno/a sulla discussione del problema

Le/I tutor danno le consegne, lavorando come facilitatrici/facilitatori nei rispettivi gruppi

17.00 Presentazione dei partecipanti in plenaria

17.30 Chiusura della sessione

SECONDA SESSIONE (Attività da remoto asincrona)

Martedì 10 marzo

9.00 Lavoro individuale

Selezione dei materiali e presentazione dei materiali selezionati in piattaforma

11.00 Lavoro individuale

Lettura dei materiali presentati dai membri del gruppo e votazione

13.00 Pausa

14.00 Lavoro individuale

Studio dei materiali più votati dal gruppo

15.30 Lavoro individuale

Elaborazione soluzione del problema individuale

17.00 Chiusura della sessione

TERZA SESSIONE (Attività in presenza)

Martedì 17 marzo

8.30 Registrazione dei/delle partecipanti

9.00 *Bisogni clinici e terapeutici nelle malattie rare*

M. Salvatore, Paola Torreri

9.30 *Contesto regolatorio nazionale ed europeo*

A. Magrelli

10.10 Pausa

10.25 *Sviluppo preclinico e clinico del farmaco*

A. La Salvia



PROVIDER ECM N.2224

- 11.05 *Aspetti metodologici: focus sugli studi oncologici di fase I*
A. La Salvia
- 11.45 *Accesso precoce alle terapie*
A. Magrelli
- 12.30 Pausa
- 13.30 *Virtual screening in the identification of potential repurposing candidates*
S. Guccione
- 14.10 *Nanomedicina e Via Naso-cervello: combinazione strategica per il superamento delle barriere biologiche*
T. Musumeci
- 14.50 Rielaborazione personale della soluzione
- 15.30 Presentazione della soluzione individuale e preparazione della soluzione di gruppo del problema (solving meeting)
Lavoro in piccoli gruppi con facilitatore/trice
S. Bocci, L.L. Cellai, G. Cerquetti, E. Desogus, A. Mazzaccara, S. Stacchini
- 17.00 Chiusura della giornata

Mercoledì 18 marzo

- 8.30 Registrazione dei/delle partecipanti
- 9.00 Presentazione in plenaria delle soluzioni del problema elaborate dai gruppi
- 10.30 Pausa
- 11.00 Feedback degli/delle esperti/e sugli elaborati di gruppo e discussione
M. Salvatore, A. Magrelli, A. La Salvia
- 12.15 Conclusioni
M. Salvatore, A. Mazzaccara
- 12.30 Test di verifica dell'apprendimento e questionari di gradimento
- 13.00 Chiusura del corso

DOCENTI e TUTOR

Stefania Bocci - PRE-Servizio Formazione, Istituto Superiore di Sanità
Laura Lee Cellai - PRE-Servizio Formazione, Istituto Superiore di Sanità
Gabriele Cerquetti - PRE-Servizio Formazione, Istituto Superiore di Sanità
Eleonora Desogus - PRE-Servizio Formazione, Istituto Superiore di Sanità



PROVIDER ECM N.2224

Salvatore Guccione - Dipartimento Scienze del Farmaco e della Salute, Università di Catania
Anna La Salvia - Centro Nazionale per la ricerca e la valutazione preclinica e clinica dei farmaci, Istituto Superiore di Sanità
Armando Magrelli - Ufficio relazioni internazionali, Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)
Alfonso Mazzaccara - PRE-Servizio Formazione, Istituto Superiore di Sanità
Teresa Musumeci - Dipartimento Scienze del Farmaco e della Salute, Università di Catania
Marco Salvatore - Centro Nazionale Malattie Rare, Istituto Superiore di Sanità
Silvia Stacchini - PRE-Servizio Formazione, Istituto Superiore di Sanità
Paola Torreri - Centro Nazionale Malattie Rare, Istituto Superiore di Sanità

Responsabili Scientifici

MARCO SALVATORE
Centro Nazionale Malattie Rare
Istituto Superiore di Sanità, Roma
e-mail: marco.salvatore@iss.it

ALFONSO MAZZACCARA
PRE-Servizio Formazione
Istituto Superiore di Sanità, Roma
e-mail: alfonso.mazzaccara@iss.it

Segreteria Scientifica

FRANCESCA COMETA
Centro Nazionale per la ricerca e la valutazione preclinica e clinica dei farmaci
Istituto Superiore di Sanità, Roma

ARMANDO MAGRELLI
Ufficio relazioni internazionali
Agenzia Italiana Farmaco (AIFA), Roma

ELEONORA DESOGUS
PRE-Servizio Formazione
Istituto Superiore di Sanità, Roma
e-mail: formazione.pharmahub@iss.it

Segreteria Organizzativa

GABRIELE CERQUETI
PRE-Servizio Formazione
Istituto Superiore di Sanità, Roma

SILVIA STACCHINI
PRE-Servizio Formazione
Istituto Superiore di Sanità, Roma

STEFANIA BOCCI
PRE-Servizio Formazione
Istituto Superiore di Sanità, Roma
e-mail: formazione@iss.it

DANIELA FERRUCCI
PRE-Servizio Formazione
Istituto Superiore di Sanità, Roma

INFORMAZIONI GENERALI

Svolgimento

Prima Sessione: da remoto, in modalità sincrona, su piattaforma Microsoft Teams (9 marzo 2026)

Seconda Sessione: da remoto, in modalità asincrona, su piattaforma EDUISS (10 marzo 2026)

Terza Sessione: in presenza, in aula Marotta, Istituto Superiore di Sanità, Via del Castro Laurenziano, 10 - Roma (17 e 18 marzo 2026)

Destinatari e numero massimo di partecipanti

L'evento è destinato a tutti i professionisti sanitari, in particolar modo (ma non esclusivamente) a chi si occupa di procedure di sviluppo e validazione di farmaci e farmaci orfani: medici di medicina generale, pediatri di libera scelta, specialisti in genetica medica, infermieri specializzati in malattie rare e patologie pediatriche, farmacologi clinici e farmacisti ospedalieri e, in generale, ricercatori e ricercatrici coinvolti/e:

- i) nello studio di malattie rare e farmaci ad esse destinati;
- ii) nella ricerca clinica e patologie genetiche rare;
- iii) in studi epidemiologici comprendenti la gestione di registri di patologia e la raccolta di dati.

Saranno ammessi un massimo di 25 partecipanti.

Modalità di iscrizione, selezione e partecipazione

Per iscriversi, compilare online e inviare **entro il 19 febbraio 2026** il modulo disponibile al seguente link: <https://forms.office.com/e/uGrAaS109q?origin=lprLink>.

La partecipazione all'evento è gratuita. Le spese di viaggio e soggiorno sono a carico del partecipante.

Ai fini dell'accREDITamento ECM, all'atto dell'iscrizione è indispensabile fornire il codice fiscale ed indicare professione e disciplina sanitaria.

I partecipanti saranno selezionati tenendo conto della rappresentatività territoriale e dell'esperienza professionale; in subordine, sarà considerato anche l'ordine di arrivo delle domande di iscrizione.

Ai/alle partecipanti selezionati/e sarà inviata, entro il 21 febbraio 2026, un'e-mail contenente le istruzioni per poter accedere alle giornate da remoto.

Modalità di verifica dell'apprendimento

Al termine del corso è prevista una prova di verifica dell'apprendimento, obbligatoria per tutti i partecipanti, che consisterà in un questionario a risposta multipla in cui saranno richiesti elementi di pratica.

Inoltre, saranno somministrati un questionario di gradimento dell'evento e la scheda ECM di valutazione dell'evento.

Crediti formativi ECM

È previsto l'accREDITamento per tutte le figure professionali.

Come prescritto dalla normativa ECM, per ricevere i crediti i partecipanti dovranno garantire la presenza all'intero percorso formativo nelle sessioni da remoto, mentre, nella sessione in presenza, la stessa dovrà essere garantita per almeno il 90% della sua durata; dovranno, altresì, completare con un successo minimo del 75% la prova di verifica dell'apprendimento e compilare la scheda di valutazione evento ECM.



PROVIDER ECM N.2224

L'effettiva partecipazione alle sessioni da remoto del percorso formativo verrà rilevata mediante la verifica dei log di connessione. Si raccomanda, pertanto, di indicare correttamente il proprio cognome e nome al momento del collegamento online. L'assenza di questi dati non consente la registrazione della presenza all'evento.

L'effettiva partecipazione alla sessione finale del percorso formativo verrà, invece, rilevata mediante firma in ingresso e in uscita dell'apposito registro presenze.

Attestati

Su richiesta, ai partecipanti che avranno frequentato il corso per almeno l'80% della sua durata complessiva e conseguito con un successo minimo del 75% la prova di verifica dell'apprendimento, sarà inviato l'attestato di partecipazione, comprensivo delle ore di formazione.

L'attestato ECM sarà recapitato agli aventi diritto solo a procedure di accreditamento ECM espletate.

Per ogni informazione si prega di contattare la Segreteria Organizzativa/Scientifica ai recapiti sopra indicati.