



PROVIDER ECM N.2224

Corso

Pharma-HUB VALUE

Focus su analisi *in silico*, *vitro* e *vivo*

28 maggio - 11 giugno 2026

organizzato da

ISTITUTO SUPERIORE DI SANITÀ
Centro Nazionale Malattie Rare,
Centro Nazionale per la ricerca e la valutazione preclinica e clinica dei farmaci
Servizio Formazione

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



N° ID: 062B26_B

Rilevanza

Il corso si inserisce nell'ambito del progetto 'Pharma-HUB. Hub per il riposizionamento di farmaci nelle malattie rare del sistema nervoso in età pediatrica', volto a promuovere l'avanzamento di conoscenze con rilevanza applicativa e a sostenere lo sviluppo di nuove opzioni terapeutiche per patologie complesse dell'età evolutiva. La componente formativa del progetto è finalizzata alla costruzione di un ecosistema collaborativo che integri ricerca di base, preclinica e clinica, favorendo la diffusione di approcci innovativi lungo l'intero continuum della ricerca traslazionale e anche valorizzando le conoscenze e competenze delle partnership di progetto.

L'Istituto Superiore di Sanità, partner del progetto e promotore dei percorsi formativi, contribuisce storicamente allo sviluppo di un sistema rigoroso di valutazione dei farmaci, supportando il passaggio dalla fase preclinica alla sperimentazione clinica di fase I, momento cruciale per la verifica della sicurezza.

Organizzazione con sistema di gestione per la qualità certificato da Dasa-Rägister S.p.A. in conformità alla
UNI EN ISO 9001



PROVIDER ECM N.2224

Nel contesto dell'evoluzione delle metodologie e della crescente complessità dello sviluppo farmacologico, il presente corso, terzo del percorso formativo, fornisce una visione integrata della fase preclinica quale snodo tra scoperta e prima somministrazione nell'uomo. Saranno approfonditi il ruolo dei modelli *in vivo* nella caratterizzazione farmacocinetica, farmacodinamica e tossicologica, i principi etici delle 3R e le strategie di riduzione dell'uso animale.

Particolare attenzione sarà dedicata ai modelli alternativi (NAMs), inclusi sistemi *in vitro* avanzati, modelli *in silico* e approcci basati su intelligenza artificiale, evidenziandone il contributo al miglioramento della capacità predittiva. Il corso affronterà, infine, il quadro regolatorio di riferimento, con focus su opportunità e limiti nell'integrazione dei NAMs nei processi di sviluppo dei farmaci.

Scopo e obiettivi

Il corso intende fornire una visione integrata dello sviluppo dei farmaci nella fase preclinica, analizzando il ruolo dei modelli *in vivo*, *in vitro* e *in silico* nella valutazione di sicurezza, efficacia e rilevanza predittiva e le potenzialità dei NAMs, alla luce dei principi etici delle 3R e delle linee guida regolatorie.

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)

Giovedì 28 maggio

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



PROVIDER ECM N.2224

- 14.30 Planning Meeting - *Presentazione del Problema*
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)

Venerdì 29 maggio

- 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)

Mercoledì 10 giugno

- 8.30 Registrazione dei/delle partecipanti
- 9.00 *Il ruolo della ricerca preclinica per lo sviluppo di un farmaco e introduzione alle nuove tecnologie alternative all'utilizzo dell'animale (NAMs)*
M.F. Cometa
- 9.40 *Modelli di ricerca preclinica e traslazionale nello sviluppo di un farmaco*
C. Butteroni



PROVIDER ECM N.2224

- 10.20 *I modelli sperimentali alternativi di preclinica per lo sviluppo dei medicinali di terapia avanzata (ATMP) nelle malattie rare: l'esempio degli organ-on-chip*
L. Gabriele
- 11.00 Pausa
- 11.20 *Bisogni clinici e terapeutici nelle malattie rare*
M. Salvatore, P. Torreri
- 11.45 *Human iPSC-derived astrocytes as a powerful tool to study primary astrocyte defects: focus on the pathogenesis of MLC Leukodystrophy*
E. Ambrosini, A. Lanciotti
- 12.30 Pausa
- 13.30 *Uso delle cellule dei pazienti per l'identificazione e la validazione di nuovi target farmacologici*
P. Torreri (da confermare)
- 14.10 *Imaging ottico*
M. Salvatore (da confermare)
- 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. Cerqueti, E. Desogus, A. Mazzaccara, S. Stacchini
- 17.00 Chiusura della giornata

Giovedì 11 giugno

- 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
E. Ambrosini, C. Butteroni, M.F. Cometa, L. Gabriele, A. Lanciotti, M. Salvatore, P. Torreri
- 12.15 Conclusioni
M. Salvatore, P. Torreri, M.F. Cometa, A. Mazzaccara
- 12.30 Test di verifica dell'apprendimento e questionari di gradimento
- 13.00 Chiusura del corso



PROVIDER ECM N.2224

DOCENTI e TUTOR

Elena Ambrosini - Dipartimento Neuroscienze, Istituto Superiore di Sanità

Stefania Bocci - PRE-Servizio Formazione, Istituto Superiore di Sanità

Cinzia Butteroni - Centro Nazionale per la ricerca e la valutazione preclinica e clinica dei farmaci, Istituto Superiore di Sanità

Maria Francesca Cometa - Centro Nazionale per la ricerca e la valutazione preclinica e clinica dei farmaci, Istituto Superiore di Sanità

Laura Lee Cellai - PRE-Servizio Formazione, Istituto Superiore di Sanità

Gabriele Cerqueti - PRE-Servizio Formazione, Istituto Superiore di Sanità

Eleonora Desogus - PRE-Servizio Formazione, Istituto Superiore di Sanità

Lucia Gabriele - Dipartimento Oncologia e medicina molecolare, Istituto Superiore di Sanità

Angela Lanciotti - Dipartimento Neuroscienze, Istituto Superiore di Sanità

Alfonso Mazzaccara - PRE-Servizio Formazione, Istituto Superiore di Sanità

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 e PAOLA TORRERI

Centro Nazionale Malattie Rare

Istituto Superiore di Sanità, Roma

MARIA FRANCESCA COMETA

Centro Nazionale per la ricerca e la valutazione preclinica e clinica dei farmaci

Istituto Superiore di Sanità, Roma

ALFONSO MAZZACCARA

PRE-Servizio Formazione

Istituto Superiore di Sanità, Roma

Segreteria Scientifica

BENEDETTA SALVUCCI

Centro Nazionale Malattie Rare

Istituto Superiore di Sanità, Roma

ALESSANDRA AMBROSONE

Centro Nazionale per la ricerca e la valutazione preclinica e clinica dei farmaci

Istituto Superiore di Sanità, 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

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

INFORMAZIONI GENERALI

Svolgimento

Prima Sessione: da remoto, in modalità sincrona, su piattaforma Microsoft Teams (28 maggio 2026)

Seconda Sessione: da remoto, in modalità asincrona, su piattaforma EDUISS (29 maggio 2026)

Terza Sessione: in presenza, in aula Rossi, Istituto Superiore di Sanità, Via Giano della Bella 34 - Roma (10 e 11 giugno 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 ricerca e sviluppo di farmaci con particolare riferimento a quelli orfani: al corso possono, pertanto, partecipare 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 coinvolti i) nello studio di malattie rare e farmaci ad esse destinati, ii) in ricerca preclinica e clinica con particolare riferimento alle patologie genetiche rare; iii) in studi epidemiologici comprendenti la gestione di registri di patologia e la raccolta di dati.

Saranno ammessi un massimo di 30 partecipanti.

Modalità di iscrizione, selezione e partecipazione

Il corso è disponibile sulla piattaforma della formazione dell'Istituto Superiore di Sanità, EDUISS: <https://www.eduiss.it> e la scadenza per l'iscrizione è fissata al 15 maggio 2026.

Per iscriversi, è necessario seguire i seguenti passaggi:

1. Creazione di un account personale sulla piattaforma EDUISS

Attenzione: la registrazione alla piattaforma non equivale all'iscrizione al corso.

2. Iscrizione al corso, cercando nel catalogo formativo il titolo: 'Pharma-HUB_VALUE – Focus su analisi in silico, in vitro e in vivo' oppure accedendo direttamente tramite il seguente link: <https://www.eduiss.it/course/view.php?id=710>

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



PROVIDER ECM N.2224

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 degli anni di esperienza professionale; in subordine, sarà considerato anche l'ordine di arrivo delle domande di iscrizione.

Inoltre, al fine di garantire continuità al percorso formativo, sarà data priorità a chi ha già preso parte alle scorse edizioni.

Ai/alle partecipanti selezionati/e sarà inviata, entro il 15 maggio 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 aperta 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.

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.