



FILE UNICO

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

13 OTTOBRE 2026

CASA DELL'AVIATORE – Viale dell'Università 20 – Roma

PROGRAMMA

08:30 - Registrazione partecipanti

08:45 – 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

11:30 Tavola Rotonda - 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 Test ECM

14:00 Chiusura Lavori

Didactika srl

Piazza della Trasfigurazione 8/A - 00151 Roma

Tel: 06 94378432 e-mail: info@didactika.it

CF e P.IVA 12320201002 – REA RM-1365405



RAZIONALE

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



FACULTY

NOME E COGNOME	LAUREA	SPECIALIZZAZIONE	AFFILIAZIONE
MARIANGELA AMOROSO	MEDICINA E CHIRURGIA	Ginecologia Ostetricia	COUNTRY MEDICAL LEAD SANOFI ITALIA
GIUSEPPE ASSOGBA	MEDICINA E CHIRURGIA	Malattie del Fegato e del Ricambio	PRESIDENTE SIFEIT
ANTONELLA BRUNELLO	MEDICINA E CHIRURGIA	Oncologia	RESPONSABILE UOS SARCOMI E TUMORI DELL'OSSO, UOC ONCOLOGIA 1 IOV IRCCS PADOVA E COORDINATRICE RETE TUMORI RARI REGIONE VENETO
ILARIA CIANCALEONI BARTOLI	Giornalista	non sanitaria	DIRETTORE OMAR
LUCIANO CIOCCHETTI	Laurea in scienze politiche e delle relazioni internazionali;	non sanitaria	VICEPRESIDENTE COMMISSIONE AFFARI SOCIALI CAMERA DEI DEPUTATI
STEFANO COLLATINA	MEDICINA E CHIRURGIA		PRESIDENTE EGUALIA
ANTONIETTA MARTELLI	MEDICINA E CHIRURGIA	FARMACOLOGIA	PROFESSORE ORDINARIO DI FARMACOLOGIA DIPARTIMENTO DI MEDICINA INTERNA E SPECIALITÀ MEDICHE - DIMI GENOVA - CONSIGLIERE SIFEIT
PIERLUIGI NAVARRA	MEDICINA E CHIRURGIA	FARMACOLOGIA	PROFESSORE ORDINARIO DI FARMACOLOGIA, FONDAZIONE POLICLINICO UNIVERSITARIO AGOSTINO GEMELLI IRCCS, UNIVERSITÀ CATTOLICA DEL SACRO CUORE ROMA – VICE PRESIDENTE SIFEIT
TIZIANA NICOLETTI			RESPONSABILE DEL COORDINAMENTO NAZIONALE DELLE ASSOCIAZIONI DI MALATI CRONICI E RARI (CNAMC), CITTADINANZA ATTIVA
ROBERT NISTICÒ	MEDICINA E CHIRURGIA	Psichiatria	PRESIDENTE AIFA

Didactika srl

Piazza della Trasfigurazione 8/A - 00151 Roma

Tel: 06 94378432 e-mail: info@didactika.it

CF e P.IVA 12320201002 – REA RM-1365405



CLAUDIO PISANELLI	FARMACISTA	FARMACIA OSPEDALIERA	REFERENTE NAZIONALE S.I.F.O., ROMA
BARBARA POLISTENA	ECONOMIA	Economia	DIRETTORE AREA FARMACO-ECONOMIA E STATISTICA MEDICA – C.R.E.A. SANITÀ
ROBERTO POSCIA	MEDICINA E CHIRURGIA	CARDIOLOGIA	RESPONSABILE DEL CENTRO INTERDIPARTIMENTALE MALATTIE RARE (CIMR) DEL POLICLINICO UMBERTO I, ROMA
CONCETTA QUINTARELLI	Biotechnologie Mediche		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	MEDICINA CHIRURGIA	FARMACOLOGIA	DIRETTORE TECNICO SCIENTIFICO AIFA
FEDERICO SPANDONARO	Laurea in Economia e Commercio		PRESIDENTE COMITATO SCIENTIFICO DI C.R.E.A. SANITÀ – CONSIGLIERE SIFEIT
ANTONELLA TAGLIA	MEDICINA E CHIRURGIA	GENETICA MEDICA	MEDICAL FRANCHISE HEAD RARE DISEASE -SANOFI ITALIA
MARCO VIGNETTI	MEDICINA E CHIRURGIA	EMATOLOGO	PRESIDENTE FONDAZIONE GIMEMA

Responsabile scientifico: Giuseppe Assogna

Sede di svolgimento: Casa dell'Aviatore – Viale dell'Università 20 - Roma

Obiettivo formativo: n. 25 Farmacoepidemiologia, farmaco economia , farmacovigilanza

Ore formative: 5

Destinatari: Medico Chirurgo; Biologo, Farmacisti

Discipline di riferimento: tutte le discipline mediche, biologia

Dimensione territoriale: Nazionale

Provider ECM: Didactika S.r.l. – rif. Albo Nazionale n. 4795