Dephaforum

in partnership con

ÜNIAMO
Federazione Italiana Malattie Rare

NUOVE PROSPETTIVE NEL TRATTAMENTO DELLE MALATTIE RARE: FRA HORIZON SCANNING E RIORGANIZZAZIONE DEL SISTEMA

Forum Farmaci Malattie Rare

17-18 novembre 2026

Bologna
Royal Hotel Carlton

Coordinamento Scientifico:

Massimo Medaglia
Annalisa Scopinaro

Con il patrocinio di

AIFA AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

SIFO
Società Italiana di Farmacia Ospedaliera e dei servizi farmaceutici delle aziende sanitarie

RAZIONALE

Nuove prospettive nel trattamento delle Malattie Rare: fra Horizon Scanning e riorganizzazione del sistema

I farmaci per malattie rare presentano complessità specifiche e richiedono un'attenzione particolare rispetto ai farmaci tradizionali.
Dal confronto tra diversi professionisti del settore sanitario è emersa la necessità di momenti strutturati di dialogo tra i principali attori del sistema sanitario, come clinici, farmacisti ospedalieri, esperti regionali, coordinatori delle reti regionali, direzioni strategiche e aziende farmaceutiche.
Attualmente l'accesso a questa tipologia di farmaci segue un percorso articolato che, dopo l'approvazione AIFA e la valutazione HTA, dipende in modo decisivo dalle Regioni.
Il Piano Nazionale Malattie Rare (PNMR) ha riorganizzato la rete delle malattie rare, invitando le Regioni a individuare centri di competenza e prescrittori, allo scopo di ridurre i tempi burocratici. Persistono tuttavia diverse criticità: i budget regionali sono ancora spesso definiti sulla base della popolazione e non dei reali bisogni assistenziali, mentre permane una conoscenza limitata dell'impatto economico delle nuove terapie e uno sviluppo non ancora pienamente strutturato dell'Horizon Scanning. Proprio su quest'ultimo aspetto sarà centrale il confronto su come potenziarlo a livello regionale, al fine di migliorare la programmazione e la definizione dei budget delle Aziende Sanitarie.

Parallelamente, si evidenziano criticità anche sul piano organizzativo e gestionale, dove sarà fondamentale interrogarsi sull'adeguatezza dei modelli tradizionali di procurement e logistica dei farmaci per malattie rare rispetto alle nuove esigenze di gestione e distribuzione delle terapie.
A queste si aggiunge il tema della crescente mobilità sanitaria dei pazienti, fenomeno spesso fisiologico nel caso delle malattie rare, che pone interrogativi rilevanti su come garantire equità di accesso ai trattamenti, in particolare per i farmaci extra-LEA per malattie rare e su come ridurre le disuguaglianze territoriali.
Inoltre, bisogna tener conto dell'impatto economico dei farmaci che perdono l'innovatività e richiedono un finanziamento regionale, di terapie ad alto impatto organizzativo e delle nuove modalità di somministrazione, anche fuori dall'ospedale.
Dephaforum, in partnership con la Federazione Italiana Malattie Rare UNIAMO, propone un incontro mirato a favorire il dialogo tra i diversi attori, allo scopo di condividere buone pratiche regionali e individuare soluzioni che garantiscano sostenibilità del sistema e accesso tempestivo alle terapie per i pazienti con malattie rare.

PROGRAMMA
Martedì, 17 novembre

13.00 Registrazione dei partecipanti e light lunch

MALATTIE RARE: TRIGGER POINT

14.30 **Introduzione e obiettivi del Forum**
M. Medaglia, A. Scopinaro

14.45 **Opportunità e criticità dell'istituzione di un eventuale Fondo Unico Nazionale**
Moderatori: *M. Medaglia, A. Scopinaro*
A. Cicchetti, A. Marcellusi, F. Spandonaro

INTRODUZIONE AI TEMI: RUNNING SPEECH DEI GRUPPI DI LAVORO

Moderatori: *G. Buzzetti, M.E. Soffientini*

15.20 **GdL1**
Come potenziare l'Horizon Scanning dei Farmaci MR a livello regionale per facilitare la programmazione/budget delle Aziende Sanitarie
Relatore: *M. Galdo*

15.30 **GdL2**
Procurement e Logistica dei farmaci MR: i modelli tradizionali di acquisto e distribuzione sono ancora adeguati?
Relatore: *E. Giordani*

15.40 **GdL3**
Farmaci MR Extra-LEA e mobilità dei pazienti: come gestire le disuguaglianze di accesso?
Relatore: *E. Sangiorgi*

PROGRAMMA
Martedì, 17 novembre

WORKING GROUP SESSION: RACCOLTA E ANALISI DELLE PROBLEMATICHE

16.00 Gruppi di Lavoro paralleli

GdL1
Coordinatori: *Maria Galdo, Francesco Perrone*
Facilitatore: *Maria Cristina Carena*

GdL2
Coordinatori: *Emma Giordani, Filippo Bresciani*
Facilitatore: *Marzia Colani*

GdL3
Coordinatori: *Elisa Sangiorgi, Federica Basso*
Facilitatore: *Rosy Amodeo*

19.00 Conclusione lavori prima giornata

Forum Farmaci Malattie Rare

PROGRAMMA
Mercoledì, 18 novembre

WORKING GROUP SESSION: FINALIZZAZIONE DELLE PROPOSTE

09.00 Gruppi di Lavoro paralleli

11.00 *Coffee break*

PRESENTAZIONE DEGLI OUTPUT

Moderatori: *A. Bortolami, B. Polistena*

11.20 **GdL1**

12.00 **GdL2**

12.40 **GdL3**

Ogni GdL sarà seguito da una sessione di discussione generale

13.30 *Lunch*

14.30 **Tavola rotonda Malattie Rare: POINT OF VIEW DELLA DIREZIONE GENERALE DI AZIENDA SANITARIA**

Moderatori: *A. Marcellusi, M. Pani*

M. Altini, A. Cavaliere, M.T. Montella

15.30 **Accesso alle prestazioni per Malattie Rare**

A. Scopinaro

16.00 **Take home message e Next steps**

M. Medaglia, A. Scopinaro

16.30 Chiusura lavori

FACULTY

- **Mattia Altini,** *AUSL di Modena, SIMM*
- **Federica Basso,** *Ascendis Pharma*
- **Francesco Berardo,** *Jazz Pharmaceuticals*
- **Mascia Bertocchi,** *AUSL Bologna*
- **Daniel Bonfanti,** *UNIAMO*
- **Alberto Bortolami,** *Regione Emilia-Romagna*
- **Fiorenzo Bove,** *Neuraxpharm*
- **Filippo Bresciani,** *Ipsen*
- **Francesco Brunetti,** *Regione Puglia*
- **Giuliano Buzzetti,** *Consulta delle Società Scientifiche per la Riduzione del Rischio Cardiovascolare, Dephaforum S.r.l.*
- **Beatrice Cantini,** *Otsuka*
- **Francesca Caprari,** *argenx*
- **Arturo Cavaliere,** *ASL Frosinone, SIFO*
- **Michele Cecchi,** *AOU Careggi, Firenze*
- **Americo Cicchetti,** *ALTEMS*
- **Riccardo Colantoni,** *Sobi*
- **Marco Colnaghi,** *Krystal Biotech*
- **Elia Colombo,** *Orphalan*
- **Tiziana Corsetti,** *Ospedale Bambin Gesù IRCCS, Roma*
- **Adriano Cristinziano,** *Ospedali dei Colli, Napoli*
- **Paola Crosasso,** *ASL Città di Torino*
- **Erica Daina,** *Centro di Ricerche Cliniche per le Malattie Rare "Aldo e Cele Daccò" dell'Istituto di Ricerche Farmacologiche Mario Negri IRCCS, Centro Coordinamento Malattie Rare Regione Lombardia*
- **Fabio Fiorentini,** *Chiesi*
- **Maria Foti,** *Merck*

FACULTY

- **Salvatore Funiciello,** *Orphalan*
- **Maria Galdo,** *U.O.S.D. Gestione Clinica del Farmaco Ospedale dei Colli, Napoli e Centro Coordinamento Malattie Rare Regione Campania*
- **Lorenzo Ghirardi,** *FEDEMO, UNIAMO*
- **Emma Giordani,** *ASL Rieti*
- **Maria Eloisa Giordano,** *Recordati Rare Disease*
- **Marco Guazzini,** *Jazz Pharmaceuticals*
- **Massimo Liuzzo,** *Sobi*
- **Andrea Marcellusi,** *Università degli Studi di Milano*
- **Monica Mazzucato,** *Centro Coordinamento Malattie Rare Regione Veneto*
- **Massimo Medaglia,** *Dephaforum S.r.l.*
- **Maria Teresa Montella,** *IRCCS Istituto Nazionale dei Tumori di Milano*
- **Alessandro Monti,** *Chiesi*
- **Marcello Pani,** *Policlinico Universitario A. Gemelli IRCCS, Roma*
- **Edoardo Paolini,** *Krystal Biotech*
- **Francesco Perrone,** *Alexion*
- **Gabriele Perrone,** *Merck*
- **Barbara Polistena,** *CREA Sanità, Università degli Studi di Roma Tor Vergata*
- **Dario Punzi,** *Vertex Pharmaceuticals*
- **Elisa Rozzi,** *Centro di Coordinamento Malattie Rare Emilia-Romagna*
- **Calogero Russo,** *SIFO Sicilia*
- **Marco Sala,** *argenx*
- **Vincenzo Salvatore,** *Università dell'Insubria*
- **Riccardo Samele,** *Regeneron*

FACULTY

- **Elisa Sangiorgi,** *Regione Emilia-Romagna, CSE AIFA*
- **Cristina Scaletti,** *Responsabile Clinico della Rete Regionale Malattie Rare in Regione Toscana*
- **Andrea Scarlatti,** *AOP Health*
- **Annalisa Scopinaro,** *Presidente UNIAMO*
- **Giovanna Scroccaro,** *Regione Veneto, CSE AIFA*
- **Maria Elena Soffientini,** *Pierre Fabre*
- **Federico Spandonaro,** *Crea Sanità, Università degli Studi di Roma Tor Vergata*
- **Marcello Sottocorno,** *IRCCS Policlinico di Milano*
- **Thomas Carlo Maria Topini,** *Ascendis Pharma*
- **Claudia Veccia,** *Alexion*
- **Giuseppe Zizzi,** *Regeneron*



NOTE

SPONSOR GOLD



















SPONSOR SILVER



















INFORMAZIONI GENERALI

SEDE DEL SEMINARIO

Carlton Royal Palace
Via Montebello, 8 - 40121 Bologna

PARTNERSHIP

ÜNIAMO
Federazione Italiana Malattie Rare

UNIAMO - Federazione Italiana Malattie Rare
Via Nomentana 133 - 00161 Roma
www.uniamo.org

Durante l'evento saranno effettuate riprese fotografiche/video, per finalità di report interno, nonchè per fini didattici/formativi/informativi, che potranno essere diffusi anche a mezzo web. Per maggiori informazioni sul trattamento di tali dati, si prega di prendere visione dell'informativa privacy al seguente link:
www.dephaforum.it/wp-content/uploads/2025/03/Informativa-Professionisti-e-Relatori_06.03.25.pdf

COORDINAMENTO ORGANIZZATIVO

Dephaforum

Dephaforum S.r.l.
Via Giosuè Carducci, 26 - 20123 Milano
Tel. +39 02 58301356 Ref. Rosy Amodeo
r.amodeo@dephaforum.it - www.dephaforum.it

SEGRETERIA CONGRESSUALE

PLANNING

PLANNING Congressi S.r.l.
Via Guelfa, 9 - 40138 Bologna
Tel .+39 338 6371243 Ref. Matilde Rinaudo
m.rinaudo@planning.it - www.planning.it

Il patrocinio da parte dell'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) è concesso esclusivamente quale riconoscimento istituzionale dell'iniziativa. L'AIFA non è responsabile dell'organizzazione e della gestione dell'evento, né dei contenuti scientifici, formativi o informativi dell'evento e delle opinioni espresse dai partecipanti a qualunque titolo.