

**cencora**  
PharmaLex

in collaborazione con



# EXPLORARE

Rare Disease  
Access Deepdive

**3.0**

**28 MAGGIO 2025 | MILANO**

Hotel Duo Milan Porta Nuova  
Via Gerolamo Cardano, 1, Milano  
streaming online su Vincent On Air

web | [www.explorare-rare.it](http://www.explorare-rare.it)

Con il patrocinio di:



Il progetto **ExploRare** è nato nel 2022 da una collaborazione tra *Pharmalex* e *ISPOR Italy - Rome Chapter* con l'obiettivo di rivedere in senso critico e propositivo il percorso e la valutazione che portano al rimborso dei **farmaci per malattie rare**, per contribuire ad un accesso lineare e ad una migliore definizione del valore.

Tra la prima e la seconda edizione, attraverso la raccolta di evidenze ed esperienze, lo sviluppo di analisi specifiche ed il confronto all'interno di gruppi di lavoro e con un board di esperti:

- sono stati individuati alcuni aspetti critici della gestione dell'incertezza nella valutazione tecnico-scientifica e della definizione del prezzo e delle condizioni di rimborsabilità dei farmaci per malattie rare.
- sono state esplorate le priorità sulle criticità emerse nella prima edizione attraverso un'analisi della frequenza delle criticità negli studi per i farmaci per malattie rare in sviluppo e prossime ad arrivare sul mercato e un'indagine sull'opinione degli stakeholder (istituzioni nazionali e regionali, referenti di imprese e di associazioni dei pazienti) su tali criticità e, soprattutto, sugli strumenti necessari alla loro gestione.
- è stato costruito e aggiornato un modello predittivo al fine di stimare l'entrata sul mercato italiano nei prossimi tre anni dei farmaci per le malattie rare, valorizzandone l'impatto economico e il trend di spesa per il Servizio Sanitario Nazionale (SSN).

Con la terza edizione, ExploRare 3.0, si è voluto dare continuità agli approfondimenti generati nel corso delle prime edizioni aggiornando l'*horizon scanning* per il triennio 2025-2027, e generare nuove riflessioni attraverso:

- la valorizzazione dei *Patient Reported Outcome Measures (PROMs)* attraverso l'analisi nel tempo dell'uso, della tipologia e qualità dei PROMS negli studi clinici, ed il loro utilizzo nelle valutazioni;
- l'analisi dei tempi negoziali nel caso di estensione di indicazione da raro a raro, raro a non raro e da non raro a raro nonché l'effetto dell'applicazione del blended price;
- l'aggiornamento del modello predittivo di spesa dei farmaci in arrivo per il trattamento delle malattie rare nel triennio 2025-2027.

L'evento si propone di presentare i risultati dei lavori dei tre *workstream*, raccolti in un nuovo Report, e discuterne significato, implicazioni e limiti.

# PROGRAMMA

*Moderatore:*  
**Roberto Sommella**

- 10:00** Registrazione dei partecipanti
- 10:30** Il percorso di ExploRare e gli obiettivi della 3° edizione  
**Fulvio Luccini, Andrea Marcellusi**
- 10:45** Saluti Introduttivi  
**Mario Melazzini**  
**Emanuele Monti**  
**Enrico Piccinini**  
**Annalisa Scopinaro**
- 11:15** **Workstream 1** - Valorizzazione dei Patient Reported Outcome Measures (PROMs) per i farmaci per malattie rare  
**Claudio Jommi**
- 12:00** **Workstream 2** - Tempi negoziali in caso di estensione di indicazione ed effetto dell'applicazione del blended price  
**Fulvio Luccini**

**12:45**      **Workstream 3** - Aggiornamento del modello predittivo di spesa dei farmaci in arrivo nel trattamento delle malattie rare nel triennio 2025-2027

**Andrea Marcellusi**

**13:30**      Lunch break

**14:30**      Tavola rotonda

*Moderatore:* **Roberto Sommella**

*Facilitatori:* **Pier Luigi Canonico, Patrizia Popoli**

*Intervengono:* **Mauro Biffoni, Alberto Bortolami, Massimo Di Maio, Ida Fortino\*, Carlotta Galeone, Lara Gitto, Jelena Ivanovic\*, Patrizia Olivari, Enrico Piccinini, Maurizio Scarpa, Annalisa Scopinaro, Giovanna Scroccaro**

**16:30**      Conclusioni e next steps  
**Direttivo ExploRare**

*\*invited/to be invited faculty*

# FACULTY

## **Mauro Biffoni**

Direttore Dipartimento Oncologia e Medicina Molecolare ISS

## **Alberto Bortolami**

Responsabile Area Qualità delle cure, Reti e Percorsi Settore Assistenza Ospedaliera  
Direzione Generale cura della persona, Salute e Welfare Emilia-Romagna

## **Pierluigi Canonico**

Professore Emerito di Farmacologia presso Università degli Studi del Piemonte Orientale "Amedeo Avogadro", Dipartimento di Scienze del Farmaco e Past President ISPOR Italy-Rome Chapter

## **Massimo Di Maio**

Direttore dell'Oncologia Medica Universitaria dell'Ospedale Molinette, AOU Città della Salute e della Scienza di Torino e Presidente Eletto dell'Associazione Italiana di Oncologia Medica (AIOM)

## **Ida Fortino**

Responsabile del Servizio Farmaceutico di Regione Lombardia e componente della Commissione Scientifica ed Economica (CSE) del Farmaco, Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)

## **Carlotta Galeone**

Ricercatore presso il Bicocca-Applied Statistics Center (B-ASC) dell'Università degli Studi di Milano Bicocca

## **Lara Gitto**

Presidente Commissione Scientifica ed Economica (CSE) del Farmaco, Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)

## **Jelena Ivanovic**

Ufficio Attività di Analisi e Previsione, Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)

## **Claudio Jommi**

Professore di Economia Sanitaria presso Università degli Studi del Piemonte Orientale "Amedeo Avogadro", Dipartimento di Scienze del Farmaco e Presidente Eletto Ispor Italy-Rome Chapter

## **Fulvio Luccini**

Market Access Italy Managing Director presso Cencora Pharmalex

## **Andrea Marcellusi**

Ricercatore a tempo determinato in tenure track (RTT) presso Università degli Studi di Milano, Dipartimento di Scienze Farmaceutiche e Presidente Ispor Italy-Rome Chapter

**Mario Melazzini**

Direttore della Direzione generale Welfare Regione Lombardia

**Emanuele Monti**

Presidente Commissione Welfare Regione Lombardia e Executive Board Member Agenzia italiana del farmaco (AIFA)

**Patrizia Olivari**

Presidente Amministratore Delegato IPSEN Italia

**Enrico Piccinini**

Coordinatore Focus Group Malattie Rare Farindustria

**Patrizia Popoli**

Già Direttrice del Centro Nazionale per la ricerca e la valutazione dei farmaci dell'Istituto Superiore di Sanità (ISS), già Presidente della Commissione Tecnico Scientifica dell'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)

**Maurizio Scarpa**

Direttore del Centro di Coordinamento Malattie Rare, Azienda Sanitaria Universitaria Friuli Centrale, Udine e coordinatore di MetabERN (European Reference Network for Hereditary Metabolic Diseases)

**Annalisa Scopinaro**

Presidente Federazione Italiana Malattie Rare (UNIAMO)

**Giovanna Scroccaro**

Direttore della Direzione Farmaceutico-Protesica-Dispositivi medici, Area Sanità e Sociale della Regione Veneto

**Roberto Sommella**

Direttore Milano Finanza, Class CNBC

Il progetto ExploRare 3.0 è realizzato con  
il supporto non condizionante di:

**Platinum Sponsor**



**Gold Sponsor**



**Silver Sponsor**



**CSL Behring**



**sanofi**

Evento organizzato da

**cencora**

PharmaLex

Corso Europa, 13  
20122 Milano - Italy  
[www.pharmalex.com](http://www.pharmalex.com)