

WEBINAR 14 LUGLIO 2022



INSPIRE
Innovative Solutions for medical Prediction
and big data integration in REal world setting

7° Simposio sul Ruolo della Real World Evidence a supporto delle politiche del farmaco:

*Il ruolo della Real-World Evidence nella valutazione delle
malattie rare e dei farmaci orfani*

Con il patrocinio di



Con il contributo non condizionato di



Inspired by patients.
Driven by science.



AGENDA



INSPIRE
Innovative Solutions for medical Prediction
and big data integration in REal world setting

09:30-09:45 - Welcome e saluti istituzionali

Prof. Giorgio Racagni – Presidente della *Società Italiana di Farmacologia*

Prof.ssa Annamaria De Luca – Professore Ordinario di Farmacologia – *Università degli Studi di Bari* – Coordinatore GdL Malattie Rare e Farmaci orfani della *Società Italiana di Farmacologia*

Prof. Gianluca Trifirò – Professore Ordinario di Farmacologia - *Università degli Studi di Verona* – Coordinatore Gruppo di Lavoro in Farmacovigilanza, Farmacoepidemiologia, Farmacoeconomia & Real World Evidence (3F&RWE) della *Società Italiana di Farmacologia*

09:45-10:00 Razionale del webinar ed esperienza dell'AOU di Verona

Dott.ssa Matilde Carlucci – Direzione Sanitaria Azienda Ospedaliera Universitaria Integrata di Verona

Prof. Gianluca Trifirò – *Università degli Studi di Verona*

10:00-10:30 Lettura magistrale “Dal drug discovery allo sviluppo clinico dei farmaci per le malattie rare: possibili strategie per il de-risking della ricerca traslazionale”
Annamaria De Luca – *Università degli Studi di Bari*

10:30-12:15 Sessione “Quale ruolo della RWE nella valutazione delle malattie rare e nell’accesso dei farmaci orfani? Esperienze a confronto”

Moderatori: **Nello Martini** - *Fondazione ReS*
Antonio Addis - *Dipartimento di Epidemiologia del Servizio Sanitario Regionale, Regione Lazio*

10:30-10:50 – 5° Rapporto Annuale di Osservatorio Farmaci Orfani-Ossfor: malattie rare e farmaci orfani alla prova del PNRR

Francesco Macchia – *Osservatorio Farmaci Orfani*

10:50–11:10 – Orphan Drug Prices and Epidemiology of Rare Diseases: A Cross-Sectional Study in Italy in the Years 2014-2019

Agnese Cangini – *Settore HTA ed economia del farmaco (AIFA)*

11:10-11:30 – Access and pricing of medicines for patients with rare diseases in the European Union: an industry perspective

Giovanni Tafuri - *Value, Access & Policy, Apellis Switzerland GmbH, Zug, Switzerland*

11:30–11:50 – Approcci innovativi per l’analisi di grandi banche dati sanitarie finalizzate a sviluppo di algoritmi predittivi su diagnosi e risposta terapeutica in malattie rare endocrinologiche: i progetti INSPIRE ed EPIX
Salvatore Crisafulli – *Università degli Studi di Verona*

11:50-12:15 – Discussione

12:15-12:30 – Break

12:30 – 13:30 – Tavola rotonda “Quali fonti dati e quali priorità di ricerca per i pazienti con malattia rara?”
Moderatori: **Gianluca Trifirò** - *Università degli Studi di Verona*
Annamaria De Luca - *Università degli Studi di Bari*

Francesca Caprari – *Alexion Pharmaceuticals*
Giuseppe Limongelli - *Centro Coordinamento Malattie Rare della Regione Campania presso l'A.O.R.N. dei Colli*

Annalisa Scopinaro - *UNIAMO Federazione Italiana Malattie Rare Onlus*

Enrico Costa - *Settore Affari Internazionali dell'AIFA*
Domenico Santoro - *Dipartimento di Medicina Clinica e Sperimentale, Università di Messina*

13:30 - 13:45 – Discussione

Conclusioni

Gianluca Trifirò - *Università degli Studi di Verona*
Annamaria De Luca – *Università degli Studi di Bari*