

## Seminario

### Europa nuovo hub per lo studio delle malattie rare

Profili regolatori, aspetti economici, programmi di Early Access

Milano 6 novembre 2018 - C/O BonelliErede via Barozzi 1

#### Programma preliminare

- 9.00 **Registrazione partecipanti e welcome coffee**
- 9.30 **Saluti introduttivi**  
Andrea Carta Mantiglia, *Partner*, BonelliErede
- 9.45 **Un contesto normativo e regolatorio in evoluzione: le novità più significative**  
- Gli orientamenti in USA e in UE  
- La collaborazione tra EMA e FDA sulle malattie rare  
- Decreto Ministeriale 7 settembre 2017: adozione delle procedure che garantiscono l'accesso rapido alle terapie farmacologiche  
- Il Regolamento UE N. 781/2018 sulla definizione del concetto di medicinale "simile"  
Vincenzo Salvatore, *Of Counsel*, *membro del Focus Team Healthcare & Life sciences*, BonelliErede
- 10.15 **Il panorama delle malattie rare e l'accesso ai farmaci orfani: la situazione italiana**  
Francesco Macchia, *Coordinatore*, OSSFOR – Osservatorio Farmaci Orfani ([intervento in video conferenza](#))
- 10.40 **Q&A**
- 11.00 **Coffee break**
- 11.15 **Tavola rotonda**  
**L'impatto economico delle terapie per le malattie rare sul sistema sanitario, profili di sostenibilità, appropriatezza e governance sanitaria; la profittabilità e il ritorno sugli investimenti dell'industria**  
- Profili di farmacoeconomia e HTA per il farmaci orfani  
- Pricing e sostenibilità  
- Il ruolo delle reti regionali per le malattie rare: l'esperienza della Lombardia  
- L'impegno dell'industria per le malattie rare: costi, investimenti, profittabilità  
- I programmi di early access per l'immissione sul mercato dei farmaci sperimentali: punti di forza e criticità del modello attuale  
Moderatori:  
**Giovanni Guglielmetti**, *Partner*, *membro del Focus Team Healthcare & Life sciences*, BonelliEredeLuca Perfetti, *Partner*, BonelliErede  
Tavola Rotonda  
**Patrizio Armeni**, *Associate Professor of Practice of GHNP division*, SDA Bocconi School of Management; *Coordinator of Health Economics and HTA area*, CERGAS - SDA Bocconi  
**Giacomo Baruchello**, *Country Manager e Amministratore Delegato*, Vertex  
**Erica Daina**, *Referente*, Centro di Coordinamento Rete Regionale Malattie Rare, IRCCS - Istituto di Ricerche Farmacologiche "Mario Negri"  
**Roberta Venturi**, *Avvocato e Ricercatore*, OSSFOR - Osservatorio Farmaci Orfani
- 12.30 **Q&A**
- 13.00 **Chiusura dei lavori e lunch**