

**LE TERAPIE AVANZATE NELL'AMBITO DELLE MALATTIE RARE:  
LOMBARDIA REGIONE-PILOTA NELLA GESTIONE "VALUE BASED"**

Milano, 05 luglio 2018 - Sala Napoleonica, Università di Milano

Fino a pochi anni fa le terapie geniche e cellulari e l'ingegneria dei tessuti per fini terapeutici rappresentavano il futuro. Oggi occorre parlare di presente e per questo, al di là della disponibilità di queste nuove terapie sul mercato, è tempo di affrontare e risolvere alcune sfide che inevitabilmente le terapie avanzate porranno alla sanità, in particolare in relazione all'impatto che queste hanno sull'organizzazione del Sistema Sanitario e, ancor più, sulla gestione dei pazienti.

La Lombardia, per il gran numero di poli ospedalieri e di ricerca ad alta specializzazione, è certamente una delle Regioni che saranno maggiormente toccate da queste sfide. La Regione dovrà rispondere ai bisogni di salute dei propri residenti ma anche far fronte ad una forte mobilità di pazienti dal resto del Paese.

Il sistema sanitario lombardo già in passato ha affrontato e superato situazioni simili *attraverso best practice* che meritano di essere approfondite e declinate in funzione delle ulteriori sfide poste oggi dallo studio di nuovi modelli di gestione.

Osservatorio Malattie Rare, al fine di fare il punto sulle modalità fino ad ora adottate e sulle possibili soluzioni per il futuro, promuove un primo tavolo pubblico di discussione che si terrà giovedì 5 luglio a Milano (sede da stabilire), con il supporto non condizionato di bluebirdbio.

Per l'evento sono stati richiesti i seguenti patrocini:

- Regione Lombardia
- Agenas
- Fondazione IRCCS Carlo Besta
- IRCCS Mario Negri
- Rete Ematologica Lombardia
- AIOP – Associazione Italiana per l'Ospedalità Privata
- UNIAMO FIMR onlus
- Associazione italiana adrenoleucodistrofia
- Comitato Maria Letizia Verga onlus, per lo studio e la cura della leucemia del bambino
- UNITED – Unione delle associazioni per le anemie rare, la talassemia e la drepanocitosi
- ATDL - Associazione Talassemici e Drepanocitici Lombardi ONLUS
- AISMME – Associazione Italiana Screening Malattie Metaboliche Ereditarie
- AIEOP - Associazione Italiana di Ematologia e Oncologia Pediatrica

**AGENDA PROVVISORIA**

09:00 Registrazione dei partecipanti e della stampa

09:30 Introduzione a cura di Ilaria Ciancaleoni Bartoli, Direttore Osservatorio Malattie Rare

Con il contributo non condizionato di

#### 09.45 Saluti istituzionali

- Giulio Gallera, Assessore al Welfare Regione Lombardia\*

#### 10.00 Le nuove frontiere delle terapie avanzate

- Alessandra Biffi, Farber/Boston Children's Cancer and Blood Disorders Center Stem Cell Transplant Center, Boston

#### 10.20 - 11.10 I TAVOLA ROTONDA: Malattie rare: progetti della Regione Lombardia sulle terapie

avanzate. La sostenibilità è davvero un problema per le malattie rare?

Moderata Iliaria Ciancaleoni Bartoli, direttore dell'Osservatorio Malattie Rare

- Luigi Cajazzo, Direttore Generale Assessorato al Welfare Regione Lombardia\*
- Erica Daina, referente centro di coordinamento Rete Malattie Rare Lombardia, IRCCS Mario Negri
- Aldo Bellini, Unità Organizzativa Programmazione Polo Ospedaliero Regione Lombardia

#### 11.10 Malattie metaboliche rare, esperienza e prospettive

- Isabella Moroni, Neuropsichiatria Infantile, Istituto Besta Milano
- Attilio Rovelli, Direttore Clinico del Centro Trapianto Midollo Osseo, Clinica Pediatrica dell'Università di Milano Bicocca, Fondazione MBBM c/o A.O San Gerardo Monza
- Valentina Fasano, presidente Associazione italiana adrenoleucodistrofia

#### 11.40 Malattie ematologiche rare, esperienza e prospettive

- Marco Zecca – Direttore Ematologia-Oncoematologia Pediatrica Fondazione IRCCS Policlinico San Matteo di Pavia
- Maria Domenica Cappellini - Direttore Dipartimento di Scienze Cliniche e di Comunità Università degli Studi di Milano - Direttore Unità Operativa di Medicina Interna Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico
- Tommasina Iorno, presidente ATDL - Associazione Talassemici e Drepanocitici Lombardi ONLUS
- Matteo Della Porta, Humanitas Cancer Center Rozzano, Ematologia, Responsabile di Mielodisplasie e Leucemie

#### 12.10 – 13.00 II TAVOLA ROTONDA: Terapie avanzate e mobilità interregionale dei pazienti: gestione e sostenibilità. Necessità di un modello di pagamento centralizzato?

Moderata Francesco Macchia, Coordinatore di OSSFOR – Osservatorio Farmaci Orfani

- Paolo Saccà – Senior Consultant HTA Agenas
- Lorenzo Mantovani - Professore Associato di Salute Pubblica, Università degli studi di Milano Bicocca
- Alessandro Aiuti, Direttore dell'U.O di Pediatria Immunoematologica, Ospedale San Raffaele - Vice-Direttore SR-Tiget
- Enrica Morra, Coordinatore Scientifico REL - Rete Ematologica Lombarda

#### 13.00-13.30 Discussioni e conclusioni

\*In attesa di conferma

Con il contributo non condizionato di