

**cencora**

in collaborazione con



# **EXPLORARE**

Rare Disease  
Access Deepdive

## **4.0**

**30 GIUGNO 2026 | MILANO**

**Hotel Duo Milan Porta Nuova**

Via Gerolamo Cardano, 1, Milano

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

Con il patrocinio di:



## RAZIONALE

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.

Nel corso delle prime tre edizioni, attraverso raccolta di evidenze, confronti multidisciplinari e analisi dedicate:

- sono stati identificati i principali elementi di incertezza nella valutazione tecnico-scientifica e nei processi di prezzo e rimborso dei farmaci orfani;
- sono state approfondite le criticità emerse, mediante un'analisi della loro frequenza negli studi clinici dei farmaci in sviluppo e un'indagine sulle opinioni di *stakeholder* istituzionali, industriali e dei pazienti, con particolare attenzione agli strumenti utili alla loro gestione;
- è stato sviluppato e aggiornato un modello predittivo per stimare l'ingresso sul mercato italiano dei farmaci rari nei successivi tre anni, valutandone impatto economico e *trend* di spesa per il SSN;
- è stata analizzata la rilevanza dei PROMs nei trial clinici e il loro peso nelle valutazioni regolatorie e HTA, inclusa la potenziale influenza sull'innovatività e sui tempi di accesso;
- è stato esaminato l'effetto del *Blended Price* nelle estensioni di indicazione, al fine di comprenderne le ricadute su tempi negoziali e prezzo massimo di cessione al SSN).

Con la quarta edizione, ExploRare 4.0 amplia ulteriormente il proprio ambito di analisi, includendo elementi che possono influenzare non solo il processo nazionale di prezzo e rimborso dei farmaci per malattie rare, ma anche l'accessibilità e la governance a livello regionale.

In particolare, il focus si concentra su tre aree strategiche

- l'evoluzione delle strategie di *evidence generation* per superare i limiti degli RCT e ridurre l'incertezza regolatoria;
- l'analisi dei modelli di valutazione economica – dalle soglie ICER alla *willingness to pay* e al *value-based pricing* – per coniugare il valore clinico con la sostenibilità del sistema;
- l'approfondimento sui processi di governance regionale per migliorarne tempistiche e rendere l'accesso più efficiente ed omogeneo.

# PROGRAMMA PRELIMINARE

*Moderatore:*

**Chiara Lucchetti**

*Director, Patient Access Head di Cencora*

- 10:00 - 10:30** Registrazione dei partecipanti
- 10:30 - 10:40** Apertura: il percorso di ExploRare e gli obiettivi della 4° edizione  
**Fulvio Luccini, Andrea Marcellusi**
- 10:40 - 11:00** Saluti introduttivi  
**Mario Melazzini, Emanuele Monti, Annalisa Scopinaro, Andrea Zovi**
- 11:00 - 11:20** **Workstream 1** - L'evoluzione delle strategie di Evidence Generation  
**Marzia Bonfanti**
- 11:20 - 12:15** Discussione Collegiale  
*Facilitatori:* **Pier Luigi Canonico, Carlotta Galeone**  
*Intervengono:* **Valentina Acciai, Maria Domenica Cappellini, Patrizia Popoli**
- 12:15 - 12:35** **Workstream 2** - Valutazione economica dei farmaci per patologie rare: soglie ICER, willingness to pay e value-based pricing  
**Carolina Moreno**
- 12:35 - 13:30** Discussione Collegiale  
*Facilitatori:* **Andrea Marcellusi**  
*Intervengono:* **Maria Adelaide Bottaro, Fabrizio Celia, Paolo Cortesi, Nicoletta Martone, Elisa Sangiorgi, Bruna Vinci**
- 13.30 - 14:30** *Lunch break*

**14:30 - 14:50** **Workstream 3** - Centri prescrittori e governance regionale: analisi dei processi e delle tempistiche per un accesso più efficiente

**Mattia Gatta**

**14:50 - 16:00** Discussione Collegiale

*Facilitatori:* **Claudio Jommi**

*Intervengono:* **Silvia Adami, Alberto Bortolami, Francesco Brunetti, Erica Daina, Maria Galdo, Vito Ladisa, Domenico Manna, Monica Mazzucato**

**16:00 - 16:30** Conclusioni e Next Steps

**Direttivo ExploRare**

# INVITED FACULTY

- Valentina Acciai** Institutional Affairs e Market Access Director, Ipsen Italy
- Silvia Adami** Direzione Farmaceutico-Protesica Dispositivi medici, Regione Veneto
- Marzia Bonfanti** Senior Manager Market Access, Cencora
- Alberto Bortolami** Area Qualità delle Cure, Reti e PDTA, Settore Assistenza Ospedaliera, Regione Emilia Romagna
- Maria Adelaide Bottaro** Direzione Accesso e Strategie Regolatorie di Farindustria
- Francesco Brunetti** Sezione Farmaci, Dispositivi Medici e Assistenza Integrativa, Regione Puglia
- Pier Luigi Canonico** Professore emerito di Farmacologia presso l'Università del Piemonte Orientale "Amedeo Avogadro", Dipartimento di Scienze del Farmaco; Past President di ISPOR Italy-Rome Chapter
- Maria Domenica Cappellini** Professore emerito di medicina interna, Università degli Studi di Milano – Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico
- Fabrizio Celia** General Manager, Argenx
- Paolo Cortesi** Assistant Professor (RTDb), Università degli Studi di Milano-Bicocca, Milano
- Erica Daina** Referente per il Centro di Coordinamento della Rete regionale malattie rare Istituto di Ricerche Farmacologiche Mario Negri IRCCS, Bergamo
- Mattia Gatta** Senior Manager Market Access, Pharmalex Italy
- Maria Galdo** Farmacista Responsabile UOSD Gestione Clinica del Farmaco, AORN Ospedali dei Colli, Napoli; Coordinamento Malattie Rare Campania
- Carlotta Galeone** Ricercatore presso il Bicocca-Applied Statistics Center (B-ASC) dell'Università degli Studi di Milano Bicocca
- Claudio Jommi** Professore di Economia Aziendale presso l'Università del Piemonte Orientale "Amedeo Avogadro", Dipartimento di Scienze del Farmaco
- Vito Ladisa** S.C. Farmacia Ospedaliera, Fondazione IRCCS Istituto Nazionale dei Tumori, Milano

- Fulvio Luccini** Senior Director PAR Regional Lead Italy & Market Access Managing Director Cencora
- Domenico Manna** Regional Access Manager Lead, CSL
- 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
- Nicoletta Martone** Governmental Affairs & Patient Access Director Swedish Orphan Biovitrum AB
- Monica Mazzucato** Responsabile del Coordinamento Regionale Malattie Rare Regione Veneto
- 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)
- Carolina Moreno** Senior Manager Market Access, Cencora
- Patrizia Popoli** Già Direttore del Centro Nazionale per la ricerca e valutazione dei farmaci dell'Istituto Superiore di Sanità, già Presidente della Commissione Tecnico Scientifica dell'AIFA
- Elisa Sangiorgi** Direttore dell'area Governo del Farmaco e dei dispositivi medici Regione Emilia Romagna, componente Commissione Scientifico Economica di AIFA
- Annalisa Scopinaro** Presidente Federazione Italiana Malattie Rare (UNIAMO)
- Andrea Zovi** Segretario Regionale SIFO Lombardia
- Bruna Vinci** Dirigente Sanitario della DGDMF per le attività farmaceutiche, membro della CSE di AIFA

Il progetto ExploRare 4.0 è realizzato  
con il supporto non condizionante di:

**Gold Sponsor**



**Silver Sponsor**



Per approfondire gli obiettivi e le fasi del progetto,  
visita il sito [www.explorare-rare.it](http://www.explorare-rare.it)

Evento organizzato da

**cencora**

Corso Europa, 13 - 20122 Milano - Italy  
[info.explorare@pharmalex.com](mailto:info.explorare@pharmalex.com)

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