

Promosso da
charta
FONDAZIONE



Terapie Genetiche e Cellulari

**Terapie Geniche
e Cellulari: ricerca,
sostenibilità ed impatto
organizzativo**

Milano, 5 Novembre 2018
9.00 - 17.00

Con il Patrocinio di



e di

ISS - Istituto Superiore di Sanità

Fondazione Charta

Center for Health-Associated Research & Technology Assessment

RAZIONALE

Dopo che per anni la terapia genica è stata il simbolo della medicina del futuro, la “rivoluzione” delle terapie genetiche e cellulari è già oggi una realtà nell’offrire una cura per molte malattie rare o ultra rare accumulate dall’elevato bisogno terapeutico.

I primi esempi al mondo sono stati ottenuti dai ricercatori del Tiget presso l’ospedale san Raffaele di Milano per la cura di due malattie ultra rare; della leucodistrofia metacromatica (una rara malattia genetica neurodegenerativa) e dalla sindrome di Wiskott-Aldrich, che colpisce le cellule del sangue.

Ciò mostra come alla base di questi successi c’è molta ricerca “made in Italy”, oggi attiva nei 15 centri (tra Istituti e Fondazioni) spesso sostenuti da virtuosi esempi di partnership “pubblico-privato”, già autorizzati da AIFA per la produzione di medicinali per le terapie geniche cellulari.

In questo contesto, la Regione Lombardia è protagonista, distinguendosi per gli elevati standard scientifici, l’innovatività ed efficienza propria di un sistema fondato su “centri di eccellenza” e reti sul territorio.

Nate per curare malattie rare, oggi le terapie genetiche e cellulari rivelano potenzialità anche per malattie più frequenti, quali alcune forme di tumori e leucemie acute, infarto, morbo di Parkinson, Alzheimer.

Recentemente è stato approvato dalle agenzie regolatorie di tutto il mondo il primo farmaco “CART” per la cura di pazienti pediatrici o giovani adulti con diagnosi di leucemia acuta linfoblastica non trattabili con terapie standard. La terapia con CART consiste nel maneggiare con tecniche di ingegneria genetica i linfociti T del paziente legando un “vettore virale” e, trasformandoli in “munizioni” che potenziano il sistema immunitario, in grado di riconoscere e uccidere specificamente le cellule cancerose.

Pur essendo ancora inquadrabile tra le “malattie rare” la leucemia acuta linfoblastica rappresenta 3/4 di tutti i casi di leucemia infantile essendo diagnosticata ogni anno in circa 5.000 bambini in Europa. Anche il sistema sanitario italiano dovrà quindi prepararsi all’avvento di terapie geniche e cellulari non più rivolte a pochi, ma destinate a centinaia di pazienti a grave rischio e senza alcuna altra alternativa terapeutica.

Tutto questo comporta l’apertura di nuovi scenari di terapeutici e di ulteriore ricerca, ponendo contestualmente nuove sfide relative alle infrastrutture, ai percorsi di cura, alla formazione e organizzazione del personale sanitario, all’accesso e sostenibilità, ai modelli di finanziamento etc.

Di questi temi, si occuperà il Convegno: “Terapie Genetiche e Cellulari: ricerca, sostenibilità ed impatto sull’organizzazione socio sanitaria”, in programma il 5 novembre pv dalle ore 10,00 alle ore 17,00 a Milano, promosso da Fondazione Charta e dal Centro di Sanità Pubblica dell’Università Milano Bicocca.

Fondazione Charta

Center for Health-Associated Research & Technology Assessment

C.F. 97388330157 - P. IVA 04605810961 - Via Visconti di Modrone, 18 - 20122 Milano

www.fondazionecharta.org

Direzione Scientifica

Andrea Biondi; Lorenzo Mantovani

Chairmen del Convegno

Mario Melazzini; Andrea Biondi

Bozza di Programma

9,00- 9,30

Caffè di Benvenuto e Registrazione dei partecipanti

9,30- 10,00

Saluti delle Autorità:

Sono invitati a partecipare:

Giulia Grillo
Ministro della Salute

Fabrizio Sala
Vicepresidente di Regione Lombardia; Assessore alla Ricerca, Innovazione, Università, Export e internazionalizzazione – Regione Lombardia

Giulio Gallera
Assessore Regionale al Welfare – Regione Lombardia

Mauro Piazza
Presidente Commissione Autonomie – Regione Lombardia

Andrea Monti
Vice Presidente V Commissione permanente - Territorio e infrastrutture - Regione Lombardia; Componente IV Commissione permanente - Attività produttive, istruzione, formazione e occupazione - Regione Lombardia; Componente Commissione speciale - Autonomia e riordino autonomie locali - Regione Lombardia; Componente supplente - Giunta per il regolamento – Regione Lombardia

Fondazione Charta

Center for Health-Associated Research & Technology Assessment

10,00 -10,30

Introduzione ed obiettivi del convegno

Intervengono:

Mario Melazzini

Direttore Scientifico Generale di ICS Maugeri S.p.A. – SB; già Direttore Generale e Presidente, Agenzia Italiana del Farmaco – AIFA

Andrea Biondi

Direttore Centro Ricerche Tettamanti. Primario della Clinica Pediatrica – Fondazione MBBM dell’Ospedale San Gerardo di Monza; Professore Ordinario Pediatria dell’Università di Milano-Bicocca

10,30 - 12,00

Parte 1:

Tavola Rotonda

“Curare con l’innovazione”

(Interventi di 20’ ciascuno; 10’ Q&A)

Conducono la Tavola Rotonda:

Andrea Cabrini

Direttore di Class CNBC (Sky 507) e Class Life; condirettore di MF Milano Finanza

Mario Melazzini

Direttore Scientifico Generale di ICS Maugeri S.p.A. – SB; già Direttore Generale e Presidente, Agenzia Italiana del Farmaco – AIFA

Partecipano:

Andrea Biondi

Direttore Centro Ricerche Tettamanti. Primario della Clinica Pediatrica – Fondazione MBBM dell’Ospedale San Gerardo di Monza; Professore Ordinario Pediatria dell’Università di Milano-Bicocca

Maria Pia Cicalese

Istituto San Raffaele per la Terapia Genica (SR-TIGET); Immunoematologia Pediatrica e Trapianto di Midollo Osseo, IRCCS San Raffaele, Milano

Fondazione Charta

Center for Health-Associated Research & Technology Assessment

C.F. 97388330157 - P. IVA 04605810961 - Via Visconti di Modrone, 18 - 20122 Milano

www.fondazionecharta.org

Fulvio Luccini

Direttore Patient Access Novartis Pharma

Alessandro Rambaldi

Professore Ordinario di Ematologia Università degli studi di Milano

Direttore dell'Unità di Ematologia e del Dipartimento di oncologia ed ematologia Ospedale Papa Giovanni XXIII Bergamo

Maria Domenica Cappellini

Professore Ordinario di Medicina Interna, Università degli Studi di Milano. Direttore dell'Unità di Medicina Generale e Responsabile Centro delle Malattie Rare presso la Fondazione IRCCS "Ca Granda" Ospedale Maggiore Policlinico di Milano

Massimo Giupponi

Direttore ATS Brianza; Presidente di Federsanità ANCI Lombardia

Q&A

12,00 - 13,15

Parte 2:

Sessione

"Valore e sostenibilità delle Terapie Geniche e Cellulari"
(interventi su temi programmati della durata di circa 15' ciascuno)

Moderano:

Andrea Cabrini

Direttore di Class CNBC (Sky 507) e Class Life; condirettore di MF Milano Finanza

Giancarlo Cesana

Professore Ordinario di Igiene Generale e Applicata; Direttore del Centro studi Sanità Pubblica (CeSP), Villa Serena, Osp. San Gerardo, Monza

Fondazione Charta

Center for Health-Associated Research & Technology Assessment

C.F. 97388330157 - P. IVA 04605810961 - Via Visconti di Modrone, 18 - 20122 Milano

www.fondazionecharta.org

Intervengono:

Maria Grazia Valsecchi

Direttore di Dipartimento Scienze della Salute Professore Ordinario Statistica Medica, Università degli studi di Milano Bicocca

o Metodologie e tecniche di valutazione statistica degli studi nelle terapie geniche e cellulari

Lorenzo Giovanni Mantovani

Direttore Centro di Studio e ricerca sulla Sanità Pubblica (CESP); Professore Associato di Igiene generale e applicata Università degli studi di Milano Bicocca

o Metodologie e tecniche di valutazione economica e di “coverage” delle terapie geniche e cellulari

Marino Nonis

Referente Progetto It.DRG, Istituto Superiore di Sanità & Azienda Osp. San Camillo, Roma

o Modelli di Finanziamento

Angelo Capelli

Studio Legale Capelli & Baranca; Esperto Agenas

o Impatto delle terapie geniche e cellulari sull'organizzazione socio sanitaria

Q&A

13,15 – 14,00

Pausa Pranzo

Parte 3:

14,00 – 16,30

Tavola Rotonda

“Differenti bisogni e prospettive nelle terapie geniche e cellulari: stakeholders a confronto”

(Interventi di 15' ciascuno; 15' Q&A)

Conducono la Tavola Rotonda:

Andrea Cabrini

Direttore di Class CNBC (Sky 507) e Class Life; condirettore di MF Milano Finanza

Fondazione Charta

Center for Health-Associated Research & Technology Assessment

C.F. 97388330157 - P. IVA 04605810961 - Via Visconti di Modrone, 18 - 20122 Milano

www.fondazionecharta.org



Francesco Macchia
Coordinatore Osservatorio Farmaci Orfani

Sono invitati a partecipare:

Luigi Cajazzo

Direttore Generale Assessorato al Welfare Regione Lombardia

Marina Gerini

Direttore Generale Fondazione Regionale per la Ricerca Biomedica – Regione Lombardia

Fulvio Mavilio

Professore Ordinario di Biologia Molecolare Dipartimento Scienza e Vita Università degli Studi di Modena e Reggio Emilia. Vicepresidente affari scientifici Europa – Audentes Therapeutics

Francesca Pasinelli

Direttore Generale Fondazione Telethon

Livio Tornconi

Gabriella Pasciullo

Direttore Medico Italia - BlueBird Bio Inc.

Q&A (15')

Fondazione Charta

Center for Health-Associated Research & Technology Assessment

C.F. 97388330157 - P. IVA 04605810961 - Via Visconti di Modrone, 18 - 20122 Milano

www.fondazionecharta.org

16,30 – 17,00

Conclusioni

Intervengono

Andrea Cabrini

Direttore di Class CNBC (Sky 507) e Class Life; condirettore di MF Milano Finanza

Andrea Biondi

Direttore dell'U.O. di Pediatria Immunologica, Ospedale San Raffaele – Vice Direttore SR- Tiget

Lorenzo Giovanni Mantovani

Professore Associato di Igiene generale e applicata Università degli studi di Milano Bicocca

Le iscrizioni sono a numero chiuso (100) e le schede di registrazione verranno accettate in ordine di arrivo

Fondazione Charta

Center for Health-Associated Research & Technology Assessment

C.F. 97388330157 - P. IVA 04605810961 - Via Visconti di Modrone, 18 - 20122 Milano

www.fondazionecharta.org