

Milano, 27 maggio 2025

Hilton Hotel - Via Luigi Galvani, 12

workshop

I PROGRAMMI DI USO COMPASSIONEVOLLE: EVIDENZE ESISTENTI E PROSPETTIVE FUTURE

Responsabile Scientifico:
Prof. Claudio Jommi

con il patrocinio di



BPSOLUTION

Razionale

L'uso compassionevole (CU) di farmaci rappresenta un'opportunità di accesso anticipato a farmaci, sottoposti a sperimentazione clinica, non ancora autorizzati o autorizzati in un'indicazione differente da quella approvata o autorizzati ma non ancora disponibili sul territorio nazionale, per malattie rare o che pongono i pazienti in pericolo di vita, per le quali non sono disponibili valide alternative terapeutiche approvate. I pazienti potenzialmente interessati non sono stati inclusi in una sperimentazione clinica o sono stati già trattati con beneficio clinico nell'ambito di una sperimentazione clinica conclusa e possono proseguire in CU il trattamento. IL CU prevede la fornitura a titolo gratuito, da parte dell'azienda farmaceutica, del farmaco (DM 7/9/2017).

Per quanto l'accesso dei pazienti, in situazione di forte necessità, sia il principale obiettivo dei programmi di CU, la riflessione scientifica e degli operatori si è focalizzata negli ultimi anni su ulteriori elementi di interesse. Tra questi, (i) la possibilità di utilizzare i CU come fonte di dati per la valutazione dei farmaci che di fatto sono forniti in condizioni non sperimentali ma di pratica clinica, (ii) l'impatto sull'equità di accesso delle decisioni di attivare o non attivare e, nel caso di attivazione, di attivare solo in alcune realtà un programma di CU (iii) l'impatto economico di tali programmi.

Il presente workshop, promosso da Ispor Italy Rome Chapter, con il coordinamento di Claudio Jommi, Presidente eletto, ed il supporto di 3P Solution, in collaborazione con FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e FISM (Federazione società Medico-Scientifiche Italiane), intende illustrare le evidenze esistenti su questi aspetti e discutere le prospettive future del CU in Italia.

Dopo un'apertura sullo stato dell'arte in Italia e nei principali paesi europei, sono invitati a discutere del tema istituzioni, referenti dei comitati etici e direzioni sanitarie delle aziende sanitarie, clinici, farmacisti, farmacologi, imprese ed economisti sanitari. Tali organizzazioni sono anche il principale target dell'iniziativa come audience.

Programma Scientifico

- 09:30** Saluti istituzionali
Andrea Marcellusi (ISPOR Italy Rome Chapter)
- 09:40** Presentazione del Workshop
Claudio Jommi
- 09:50** Lo stato dell'arte nei principali Paesi europei
Entela Xoxi
- 10:10** Lo stato dell'arte dell'uso compassionevole in Italia
Cristiano Niccolini*

Studi su uso compassionevole

- 10:30** Analisi della distribuzione geografica dei CUP in Italia e alle modalità di approvazione dalla prospettiva dei CE
Pierluigi Navarra
- 10:50** Il progetto Compass-O: i dati delle UFA per lo studio dei farmaci onco-ematologici ad uso compassionevole
Carlo Piccini
- 11:10** La valutazione dell'impatto economico dei CUP
Claudio Jommi
- 11:20** L'impegno delle società medico-scientifiche italiane per l'attivazione dei programmi di CU
Loreto Gesualdo

12

9

8

11

11:40 Il need e la gestione in oncologia dei programmi di uso compassionevole
Evaristo Maiello

12:00 La pubblicazione dei dati da parte di terze parti
Marco Vignetti

Esempi di programmi di uso compassionevole in Italia

Moderata: **Pier Luigi Canonico**

12:20 Programma ad uso compassionevole di blinatumomab in pazienti pediatrici
LLA ricaduti
Giorgia Rocca

12:40 Programma ad uso compassionevole di tazemetostat in pazienti pediatrici affetti da tumori solidi
Celeste Cagnazzo

13:00 Discussione

13:20 *Lunch*

14:20 Discussione collegiale
Claudia Arosio, Celeste Cagnazzo, Pier Luigi Canonico, Romano Danesi*, Roberta Di Turi, Claudio Jommi, Vito Ladisa, Andrea Marcellusi, Mario G. Melazzini, Patrizia Popoli, Nicoletta Re*, Giorgia Rocca, Giuseppe M. Sechi*

15:20 Conclusioni
Pier Luigi Canonico, Claudio Jommi

15:30 Fine dei lavori

* in attesa di conferma

Responsabile Scientifico

Claudio Jommi

Claudio Jommi, Professore Ordinario di Economia Aziendale. Dipartimento di Scienze del Farmaco, Università del Piemonte Orientale, Novara

Faculty

Claudia Arosio

Evidence Generation Enabler, Roche S.p.A.

Celeste Cagnazzo

Unità di Ricerca e Sviluppo Clinico S.C. Oncoematologia Presidio Ospedaliero Infantile Regina Margherita - Dipartimento di Scienze della Sanità pubblica e pediatriche – Università degli studi di Torino

Pier Luigi Canonico

Professore Emerito di Farmacologia, Università del Piemonte Orientale, Novara

Romano Danesi*

Dipartimento di Oncologia ed Emato-Oncologia, Università degli Studi di Milano “La Statale”- Direttore UO Analisi Chimico-cliniche, ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano

Roberta Di Turi

Direttore Dipartimento dei Servizi, UOC Farmacia Ospedaliera, ASL Roma

12

9

8

11

Loreto Gesualdo

Professore Ordinario di Nefrologia, Università degli Studi di Bari "Aldo Moro" - Presidente FISM (Federazione delle Società-Medico Scientifiche Italiane)

Vito Ladisa

Direttore SC Farmacia, Fondazione IRCCS Istituto Nazionale Tumori, Milano

Evaristo Maiello

Presidente, FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups)

Andrea Marcellusi

Presidente ISPOR ITALY ROME CHAPTER - Assistant Professor (RTT), Università degli Studi di Milano, Dipartimento di Scienze Farmaceutiche - DISFARM

Mario G. Melazzini

Direttore Welfare, Regione Lombardia

Pierluigi Navarra

Professore Ordinario, Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma

Cristiano Niccolini*

Dirigente, AIFA (Agenzia Italiana del Farmaco)

Carlo Piccinni

Direttore della Ricerca, Fondazione ReS

Patrizia Popoli

già Direttrice del Centro Nazionale di Ricerca e Valutazione dei Farmaci dell'Istituto Superiore di Sanità, Roma

Nicoletta Re*

Vice Presidente, AIP (Associazione Italiana Pazienti Leucemia Mieloide Cronica), Milano

Giorgia Rocca

Clinical Study Coordinator, Citta' della Salute e della Scienza di Torino - Sede Molinette, Torino

Giuseppe M. Sechi*

Direttore Sanitario, ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano

Marco Vignetti

Presidente, Fondazione GIMEMA Franco Mandelli ONLUS

Entela Xoxi

Independent Scientific Advisor

12

9

8

11

Con il contributo non condizionante di

PREMIUM SPONSOR



SEGRETERIA ORGANIZZATIVA



Sede legale:
via Borgogna, 2 - 20122 Milano
Sede operativa:
corso Europa, 13 - 20122 Milano
mail | info@3psolution.it



web | www.3psolution.it

RINNOVO ACCREDITAMENTO STANDARD notifica del 26 luglio 2019