

con il patrocinio di:



*Istituto  
Superiore  
di Sanità*

patrocinio richiesto di:

AICE, Camera dei Deputati, CittadinanzAttiva,  
Ministero della Salute, SIFO

# EMOFILIA B IL RUOLO DELL'INNOVAZIONE PER IL MIGLIORAMENTO DEGLI UNMET NEEDS

SEGRETERIA ORGANIZZATIVA E UFFICIO STAMPA



via Carducci 24  
20123 Milano  
tel +39 02 89096682  
fax +39 02 89098927  
e-mail | [info@maprovider.com](mailto:info@maprovider.com)

piazza San Salvatore in Lauro 10  
00186 Roma  
tel | fax +39 06 68806614  
e-mail | [agozzino@maprovider.com](mailto:agozzino@maprovider.com)

web | [www.maprovider.com](http://www.maprovider.com)

Le richieste di accredito stampa devono essere inviate a  
[sermonti@maprovider.com](mailto:sermonti@maprovider.com)

Con il supporto non condizionato di

**CSL Behring**  
Biotherapies for Life™

# EMOFILIA B IL RUOLO DELL'INNOVAZIONE PER IL MIGLIORAMENTO DEGLI UNMET NEEDS



**ROMA, 11 OTTOBRE 2016**

Aula Bovet  
Istituto Superiore di Sanità  
Viale Regina Elena 299

RAZIONALE

L'emofilia B è un disordine ereditario recessivo della coagulazione legato al cromosoma X, causato da deficit di attività del fattore IX della coagulazione.

Patologia rara, secondo i dati raccolti nel Registro Nazionale Coagulopatie Congenite dell'ISS nel 2013 la prevalenza nella popolazione italiana totale risultava 1,3/100.000 abitanti, l'emofilia B ha un notevole impatto sulla vita dei pazienti e sul servizio sanitario nazionale.

Il Convegno, grazie ad un panel multidisciplinare di relatori, istituzioni, clinici, economisti sanitari e farmacologi, sarà l'occasione per stimolare il dibattito sulle nuove frontiere terapeutiche per il trattamento di tale rara patologia, spesso sottovalutata ma altamente invalidante, al fine di individuare il miglior percorso gestionale, con uno sguardo sempre rivolto agli *unmet needs* del paziente e al potenziale saving per il SSN.



PROGRAMMA DELLA GIORNATA

|       |                                                                                                                                                                                                                                                                 |
|-------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 09.30 | Registrazioni e welcome coffee                                                                                                                                                                                                                                  |
| 09.45 | Introduzione<br><i>Moderatore:</i> <b>Maria Emilia Bonaccorso</b><br>Capo Servizio Ansa Salute                                                                                                                                                                  |
| 09.50 | Saluti Istituzionali<br><b>Laura Bianconi</b><br>12ª Commissione permanente Igiene e Sanità, Senato della Repubblica<br><b>Paola Binetti*</b><br>XII Commissione Affari Sociali, Camera dei Deputati - Presidente Gruppo interparlamentare per le malattie rare |
| 10.10 | La situazione italiana:<br>Epidemiologia dell'emofilia B<br><b>Adele Giampaolo</b><br>Dipartimento Ematologia, Oncologia e Medicina Molecolare Istituto Superiore di Sanità                                                                                     |
| 10.30 | L'attuale standard of care<br><b>Giovanni Di Minno</b><br>Presidente AICE                                                                                                                                                                                       |
| 10.50 | Gli unmet needs ed il ruolo dei pazienti<br><b>Cristina Cassone</b><br>Presidente Fedemo                                                                                                                                                                        |
| 11.10 | I costi della terapia dell'emofilia B<br><b>Francesco Saverio Mennini</b><br>Research Director, CEIS - Centre for Economic Evaluation and HTA, Università di Roma "Tor Vergata"                                                                                 |
| 11.30 | L'Emofilia: l'approccio della Regione Lazio alla patologia<br><b>Alessandra Mecozzi</b><br>Dirigente dell'Ufficio Assistenza Protesica dell'Area Politica del Farmaco della Direzione Regionale Salute e Integrazione Socioassistenziale, Regione Lazio         |

|       |                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                              |
|-------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 11.50 | Emofilia B: presente e futuro della terapia<br><b>Elena Santagostino</b><br>Vicepresidente e Consigliere AICE                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                |
| 12.10 | Il commitment di CSL nell'emofilia<br><b>Oliver Schmitt</b><br>General Manager, Italy & Greece, CSL Behring                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                  |
| 12.30 | Tavola rotonda<br>L'accesso alle nuove terapie ed i benefici per i pazienti ed il Sistema Sanitario<br><b>Cecilia Berni*</b><br>Responsabile Posizione Organizzativa Sviluppo Assistenza Materno-infantile e Malattie Rare e Genetiche, Regione Toscana<br><b>Cristina Cassone</b><br>Presidente Fedemo<br><b>Giovanni Di Minno</b><br>Presidente AICE<br><b>Adele Giampaolo</b><br>Dipartimento Ematologia, Oncologia e Medicina Molecolare Istituto Superiore di Sanità<br><b>Maria Gabriella Mazzucconi*</b><br>Dipartimento di Biotecnologie Cellulari ed Ematologia della Facoltà di Medicina e Odontoiatria, Università di Roma "La Sapienza"<br><b>Elena Santagostino</b><br>Vicepresidente e Consigliere AICE<br><b>Domenica Taruscio*</b><br>Direttore Centro Nazionale Malattie Rare, Istituto Superiore di Sanità |
| 13.15 | Conclusioni<br><i>Moderatore:</i> <b>Maria Emilia Bonaccorso</b><br>Capo Servizio Ansa Salute                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                |

\* invitato a partecipare