



Le grandi sfide della medicina e della governance farmaceutica del futuro

11 ottobre 9.30 - 17.30

Responsabile Scientifico - **Nello Martini** *Presidente Fondazione Ricerca e Salute, ReS*

Tre sono le grandi sfide della medicina del futuro che esigono la definizione di una nuova governante farmaceutica che sappia cogliere in advance i processi di cambiamento e trovare soluzioni strategiche di governacene. In particolare le sfide fanno riferimento a:

- la Medicina di Precisione e il Modello Mutazionale in oncologia
- la Medicina Rigenerativa - Gene Therapy e Terapie CAR-T: i principi e il modello organizzativo
- la Medicina della Cronicità e delle Multi-Morbidità

La medicina rigenerativa propone un nuovo paradigma passando da un trattamento di sintomi alla possibile cura delle malattie su base genetica: terapie Car-T (re-ingegnerizzazione delle cellule), terapie geniche (es. SMA, Beta Talassemia), terapie cellulari avanzate.

Una nuova governance nell'ambito della Medicina Rigenerativa può essere basata sul rilancio strategico e innovativo della procedura AIFA (Registri di monitoraggio e PbR – Payment by Results): tra le procedure di governance, il sistema Registri + PbR si applica in modo ideale alle terapie one-shot della medicina rigenerativa.

In oncologia sta emergendo il modello mutazionale che, se pur con dati preliminari e non consolidati, si basa sulla mutazione genetica e quindi su un modello diverso dal modello istologico che fino ad ora ha governato la ricerca clinica, le decisioni regolatorie e la pratica oncologica.

I nuovi farmaci oncologici del modello mutazionale possono avere un valore terapeutico aggiuntivo con particolare riferimento ai tumori rari e nei pazienti che hanno esaurito le linee di trattamento attuali.

La estrema complessità della gestione del modello mutazionale in oncologia richiede in maniera imprescindibile una governance strutturata attraverso i Molecular Tumor Board (MTB) accreditati centralmente da AIFA.

Una delle principali sfide che il Sistema Sanitario Nazionale (SSN) è quella della cronicità e delle multimorbidità, che richiede il passaggio da una concezione a silos, in cui ogni comparto (farmaceutica, ospedalizzazioni e specialistica ambulatoriale) viene considerato separatamente, a una concezione trasversale, in cui viene preso in esame l'intero percorso del paziente (PDTA).

LA MEDICINA DI PRECISIONE E IL MODELLO MUTAZIONALE IN ONCOLOGIA

Coordinatori

Introduzione

Nello Martini

Genetica, medicina predittiva e medicina di precisione

La profilazione genomica con NGS e gli orientamenti terapeutici nel paziente oncologico: cosa cambia?

Implicazioni regolatorie e per la pratica clinica dell'accesso ai test NGS e ai farmaci

Gli strumenti istituzionali per garantire la governance e la piattaforma genomica. Il MTB e la VCS: un esempio (ReS - Cineca)

LA MEDICINA RIGENERATIVA - GENE THERAPY E TERAPIE CAR-T: i principi e il modello organizzativo

Coordinatori

Introduzione

Nello Martini

Le terapie CAR-T

Le terapie geniche

Scenari regolatori e di accessibilità

La popolazione candidabile a CAR-T: è possibile una previsione con i Real World Data?

Talkshow

LA MEDICINA DELLA CRONICITA' E DELLE MULTIMORBIDITA'

Coordinatori

Introduzione

Il piano nazionale e i piani regionali della cronicità e i PAI

Le iniziative della programmazione del Ministero della Salute

I mattoni per la costruzione dei PDTA

Multimorbilità, carichi assistenziali e pianificazione assistenziale: le esperienze del DEP Lazio e dell'ARS Toscana

Talkshow