

PRIMO ANNUNCIO Pharma-HUB_VALUE – Focus su Sviluppo di un farmaco

9-18 marzo 2026

organizzato da

ISTITUTO SUPERIORE DI SANITÀ
Centro Nazionale Malattie Rare
e
Servizio Formazione

nell'ambito di

Piano di Sviluppo e Coesione del Ministero della Salute 2014-2020

Piano operativo salute - Traiettoria 4 “Biotecnologia, bioinformatica e sviluppo farmaceutico”

Progetto Pharma-HUB

Hub per il riposizionamento di farmaci nelle malattie rare del sistema nervoso in età pediatrica

CUP I83C22001610001 - ID T4-AN-04



Rilevanza

In Italia l'Istituto Superiore di Sanità (ISS) ha svolto un ruolo pionieristico nel garantire che i farmaci fossero sottoposti a valutazioni rigorose prima della somministrazione all'uomo. Ciò ha permesso di gettare le basi di un sistema strutturato per la valutazione della documentazione presentata a supporto dell'ammissibilità delle sperimentazioni cliniche di fase I, il primo e fondamentale passo per verificare la sicurezza di nuovi farmaci e terapie e segnare la transizione dalla ricerca preclinica agli studi sull'uomo. Con l'istituzione dell'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA), la collaborazione tra Autorità regolatoria e organo tecnico-scientifico (ISS) si è ulteriormente rafforzata, divenendo essenziale per affrontare le nuove sfide poste dallo sviluppo di farmaci innovativi, tra cui prodotti biotecnologici, terapie avanzate e medicinali associati a dispositivi medici. Il corso, è svolto nell'ambito delle attività finanziate nel progetto “Pharma-HUB - HUB per il riposizionamento di farmaci nelle malattie rare del sistema nervoso in età pediatrica” che ha tra gli obiettivi fondamentali la realizzazione di un percorso multi-strategico e interdisciplinare tale da promuovere l'avanzamento di conoscenze che hanno rilevanza applicativa in ambito farmaceutico e sostenere il progresso scientifico e societario legato alla identificazione di nuove possibilità di cura per malattie dell'età evolutiva complesse ed altamente disabili. Tra gli obiettivi di Pharma-HUB rientrano anche la realizzazione di un registro di patologia per le forme pediatriche di Atassia nonché lo sviluppo di modelli di formazione e comunicazione sulle azioni intraprese nell'ambito delle suddette attività.

Scopo e obiettivi

L'obiettivo generale del corso è fornire una visione integrata sulla normativa sottesa allo sviluppo dei farmaci, approfondendo gli aspetti tecnico-scientifici che caratterizzano i test preclinici e le sperimentazioni cliniche alla

luce della normativa internazionale, delle linee guida regolatorie e dei requisiti di qualità richiesti a garanzia della sicurezza di potenziali farmaci per uso umano.

Obiettivi specifici Al termine del corso, i partecipanti saranno in grado di:

1. Approfondire il quadro normativo nazionale e internazionale che disciplina le sperimentazioni cliniche, con particolare riferimento al Regolamento (UE) n. 536/2014 e al ruolo delle Autorità competenti (AIFA, ISS, EMA).
2. Acquisire conoscenze sui principi e le procedure regolatorie che guidano la transizione dalla fase preclinica alla sperimentazione clinica, comprendendo i requisiti di sicurezza e qualità richiesti per l'autorizzazione.
3. Analizzare le procedure tecnico-scientifiche e documentali necessarie per la valutazione dell'ammissibilità di un nuovo farmaco, inclusi gli aspetti legati ai prodotti biotecnologici, alle terapie avanzate e ai medicinali combinati con dispositivi.
4. Promuovere la collaborazione interdisciplinare tra organi tecnico-scientifici, autorità regolatorie e comitati etici per garantire la tutela del soggetto coinvolto e la qualità delle evidenze scientifiche prodotte.
5. Individuare le criticità associate alla conduzione di studi clinici con piccoli numeri di pazienti, con particolare riferimento ai contesti oncologici e alle malattie rare.
6. Identificare i principali strumenti normativi e regolatori che disciplinano l'accesso precoce ai farmaci, confrontandoli con il percorso clinico tradizionale e comprendendo le implicazioni per pazienti e decisori.

Metodo didattico o di lavoro

Il metodo didattico sarà basato sullo studio di problemi in piccoli gruppi (PBL), esercitazioni pratiche, presentazioni dei docenti e dei discenti in plenaria, seguiti da discussione e valutazione formativa dei lavori di gruppo da parte del docente.

Responsabili Scientifici dell'evento

MARCO SALVATORE

Centro Nazionale Malattie Rare

Istituto Superiore di Sanità, Roma

ALFONSO MAZZACCARA

PRE-Servizio Formazione

Istituto Superiore di Sanità, Roma

Segreteria Scientifica

FRANCESCA COMETA

Centro Nazionale per la ricerca e la valutazione preclinica e clinica dei farmaci

Istituto Superiore di Sanità, Roma

ARMANDO MAGRELLI

Ufficio relazioni internazionali

Agenzia Italiana Farmaco (AIFA), Roma

ELEONORA DESOGUS

PRE-Servizio Formazione

Istituto Superiore di Sanità, Roma

e-mail: formazione.pharmahub@iss.it

GABRIELE CERQUETI

PRE-Servizio Formazione

Istituto Superiore di Sanità, Roma



PROVIDER N.2224

Segreteria Organizzativa

SILVIA STACCHINI
PRE-Servizio Formazione
Istituto Superiore di Sanità, Roma

STEFANIA BOCCI
PRE-Servizio Formazione
Istituto Superiore di Sanità, Roma

INFORMAZIONI GENERALI

Sede di svolgimento

Prima Sessione: da remoto, in modalità sincrona, su piattaforma Microsoft Teams (9 marzo 2026)

Seconda Sessione: da remoto, in modalità asincrona, su piattaforma EDUISS (10 marzo 2026)

Terza Sessione: in presenza, in aula Rossi, Istituto Superiore di Sanità, Via del Castro Laurenziano, 10 - Roma (17 e 18 marzo 2026)

Destinatari dell'evento e numero massimo di partecipanti

L'evento è destinato a tutti i professionisti sanitari, in particolar modo (ma non esclusivamente) a chi si occupa di procedure di sviluppo e validazione di farmaci e farmaci orfani: al corso possono pertanto partecipare medici di medicina generali, pediatri di libera scelta, specialisti in genetica medica, infermieri specializzati in malattie rare e patologie pediatriche; farmacologi clinici e farmacisti ospedalieri e, in generale, ricercatori coinvolti i) nello studio di malattie rare e farmaci ad esse destinati, ii) in ricerca clinica e patologie genetiche rare; iii) in studi epidemiologi comprendenti la gestione di registri di patologia e la raccolta di dati.

Saranno ammessi un massimo di 25 partecipanti.

Crediti formativi ECM

È previsto l'accreditamento per tutte le figure professionali di **26,1** crediti ECM.

PER TUTTE LE ALTRE INFORMAZIONI, SI RIMANDA AL PROGRAMMA DELL'EVENTO.



L'ISS ADOTTA UN SISTEMA DI GESTIONE QUALITÀ DELLA FORMAZIONE CERTIFICATO DA DNV **ISO 9001**
Mod. B2 Scheda informativa evento Rev.1 del 08/08/2022 Pag. 3 di 3