

## EXPLORARE – Rare Disease Access Deepdive

Spesso il processo di valutazione e rimborso dei farmaci per le malattie rare e orfane comportano percorsi complessi e non lineari. In questo contesto, le Autorità regolatorie si trovano di fronte ad un significativo livello di incertezza nella definizione del valore terapeutico del farmaco proposto e della sua valorizzazione. Questo, inevitabilmente, si può ripercuotere negativamente sui tempi di assesment e valutazione da parte degli enti regolatori.

Il livello di incertezza e la difficoltà di definizione del valore può dipendere da una serie di fattori tra cui: la rarità e le caratteristiche della malattia (che ne determina la difficoltà nel produrre dati solidi), la mancanza di un riferimento terapeutico già disponibile su cui ancorare il prezzo di partenza dei farmaci, la mancanza di dati real world attendibili per lo sviluppo di accurate analisi epidemiologiche ed economiche.

Da queste criticità nasce il progetto **EXPLORARE, Rare Disease Access Deepdive** sviluppato in collaborazione con **Ma Provider**. Il progetto ha come obiettivo quello di provare a comprendere come i diversi momenti del percorso valutativo vengono gestiti da parte del decisore ed i fattori che possono condizionarne le tempistiche. Inoltre, l'analisi ha l'obiettivo proattivo di individuare i fattori che generano incertezza analizzando le criticità di ciascuna fase negoziale sia nella parte tecnico scientifica che di prezzo e rimborso.

Il progetto si avvale della collaborazione di un board composto da esponenti delle istituzioni e del mondo accademico e con il coinvolgimento di Uniamo. Il Board indirizza gli approfondimenti che verranno effettuati da workstream specifici, nei quali saranno coinvolti giovani rappresentanti dell'Accademia, dell'industria e delle Istituzioni.

Il progetto EXPLORARE si sviluppa in tre fasi: identificazione delle tematiche da approfondire da parte del board di esperti, sviluppo e approfondimenti dei temi e delle proposte di risoluzione delle tematiche e di condivisione dei risultati, elaborati in un documento finale, che si basi sull'interazione di tutti gli stakeholders che hanno partecipato al progetto.

[www.explorare-rare.it](http://www.explorare-rare.it)

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

