

## **BELIEVE**

### Generating value in haemophilia

8 maggio 2026

Milano

Milano Verticale | UNA Experience

#### **Razionale**

L'introduzione della **terapia genica** nel panorama terapeutico rappresenta una rivoluzione che sposta l'obiettivo clinico dal controllo dei sintomi alla potenziale guarigione funzionale.

Believe nasce pertanto dalla consapevolezza che la terapia genica non rappresenta solo un'innovazione tecnologica, ma un vero cambio di paradigma capace di generare valore multidimensionale per l'intero sistema, richiedendo ai diversi professionisti coinvolti nuove competenze cliniche, organizzative e di gestione delle risorse.

L'obiettivo del corso è approfondire il **percorso d'innovazione** della terapia genica attraverso diverse prospettive:

- **Innovazione e Sostenibilità:** la prima sessione affronta lo stato dell'arte e il futuro del trattamento in Italia, con un focus critico sulla sostenibilità dei farmaci innovativi per il Sistema Sanitario Nazionale (SSN).
- **Il Percorso Clinico del Paziente:** viene esaminata l'intera filiera operativa, dalla rigorosa selezione e preparazione del candidato ideale, alla gestione clinica durante l'infusione, fino al monitoraggio e ai risultati di sicurezza nel lungo termine.
- **Real Life e Prospettiva del Paziente:** l'ultima parte del corso è dedicata alle prime esperienze concrete di vita reale e all'impatto che la terapia genica ha sulla quotidianità dei pazienti affetti da emofilia

Il corso offre così allo specialista gli strumenti per governare questa transizione, trasformando l'innovazione scientifica in un beneficio tangibile e sostenibile per il paziente e per il sistema salute.

#### **Programma**

**08.30-09.00** Registrazione partecipanti

**09.00-09.10** Benvenuto e introduzione ai lavori – *G. Castaman, F. Peyvandi, P. Simioni*

**09.10-10.40** **I SESSIONE: terapia genica oggi e domani: innovazione, prospettive e sostenibilità del Sistema Sanitario**

*Moderatori: G. Castaman, F. Peyvandi, P. Simioni*

**09.10-09.30** Lo stato della terapia genica – *F. Peyvandi*

**09.30-09.50** Futuro nel trattamento – *M. Pinotti*

**09.50-10.10** Temi di approfondimento – *P. Simioni*

**10.10-10.40** I farmaci innovativi e sostenibilità del SSN – *C. Jommi*

**10.40-11.00** *Coffee Break*

**11.00-13.30** **II SESSIONE: Il percorso clinico del paziente in terapia genica: preparazione, infusione e follow-up**

*Moderatore: G. Castaman*

**11.00-12.00** Dalla selezione alla preparazione: il candidato alla terapia genica

*C. Cassone, A. Ciavarella, V. La Mura, M. F. Mansueto, S.F.M. Bigi*

*Moderatore: F. Peyvandi*

**12.00-12.45** Il momento della terapia: gestione clinica e monitoraggio durante l'infusione

*M.N. Di Minno, M. Sottocorno*

*Moderatore: S. Simioni*

**12.45-13.30** Oltre l'infusione: follow-up, sicurezza e risultati nel lungo termine

*M. Bovara, L. Fabris, L. Valdrè*

**13.30-14.30** *Lunch*

**14.30-15.00** **III SESSIONE: Modello organizzativo per la gestione del paziente con la terapia genica**

*Moderatore: S. Simioni*

Modello organizzativo per la gestione del paziente con la terapia genica – *G. Turchetti*

**15.00-16.45** **IV SESSIONE: Dalla pratica clinica alla prospettiva del paziente: le prime esperienze con la terapia genica**

*Moderatori: G. Castaman, F. Peyvandi*

**15.00-16.00** Prima esperienza multidisciplinare di *real life* nella Regione Lombardia

*F. Peyvandi, V. La Mura, C. Novembrino, M. Moro*

**16.00-16.30** Beyond Haemophilia: La vita dopo la terapia genica paziente –

*Testimonianze da parte di pazienti*

**16.30-16.45** Beyond Haemophilia: conclusioni – *A. Buzzi, C. Cassone*

**16.45-17.00** Take home messages - *G. Castaman, F. Peyvandi, P. Simioni*

## Responsabili Scientifici

Giancarlo Castaman

Flora Peyvandi

Paolo Simioni

## Faculty:

NOME COGNOME	PROFESSIONE	DISCIPLINA	ENTE DI APPARTENENZA/LIBERA PROFESSIONE	DESCRIZIONE ATTIVITÀ PROFESSIONALE/FORMATIVA
Sarah Francesca Maria Bigi	Ricercatore Tenure Track (RTT) in	Scienze linguistiche, filologiche e letterarie	Università Cattolica del Sacro Cuore, Milano	<b>Dal 2024 ad oggi:</b> Ricercatore Tenure Track (RTT) in Linguistica Generale, Dipartimento di Scienze Linguistiche e Letterature

	Linguistica Generale			Straniere, Università Cattolica del Sacro Cuore, Milano <b>Dal 2017 al 2024:</b> Ricercatore a tempo determinato (RTdA) in Linguistica Generale presso il Dipartimento di Scienze Linguistiche e Letterature Straniere, Università Cattolica del Sacro Cuore, Milano
Monica Bovara	Dirigente Biologo	Biologia - Tossicologia	AUSL di Bologna	<b>Dal 2022 ad oggi:</b> Dirigente Biologo, AUSL di Bologna, Bologna <b>Dal 2007 al 2022:</b> Sales Specialist Coordinator, Werfen, Milano
Andrea Buzzi	Presidente Fondazione Paracelso	nd	nd	<b>Dal 2004 ad oggi</b> Presidente Fondazione Paracelso
Cristina Cassone	Presidente dell'Associazione FEDEMO	nd	nd	<b>Oggi</b> Presidente dell'Associazione FEDEMO
Castaman Giancarlo	Direttore SOD Malattie Emorragiche e della Coagulazione	Ematologia Generale	Azienda Ospedaliero-Universitaria Careggi, Firenze	<b>Dal 2014 ad oggi:</b> Direttore SOD Malattie Emorragiche e della Coagulazione, Dipartimento di Oncologia e Chirurgia ad indirizzo Robotico, Azienda Ospedaliero-Universitaria Careggi, Firenze <b>Dal 1986 al 2014:</b> Dirigente Medico, Ospedale San Bortolo, Vicenza
Alessandro Ciavarella	Medico Internista	Medicina Interna	Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico, Milano	<b>Dal 2018 ad oggi:</b> Medico Internista, Centro Emofilia e Trombosi, Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico, Milano
Matteo Nicola Dario Di Minno	Professore Associato di Medicina Interna	Medicina Interna	Università Federico II, Napoli	<b>Dal 2007 ad oggi:</b> Professore Associato di Medicina Interna, Dipartimento di Scienze Mediche Traslazionali dell'Università "Federico II", Napoli <b>Dal 2010 al 2012:</b> Ricercatore, Centro Cardiologo Monzino IRCCS, Milano

Luca Fabris	Medico Internista, Professore Associato	Medicina Interna	Università di Padova; Yale University School of Medicine, USA	<p><b>Oggi:</b> Medico Internista, Medicina Molecolare, Università di Padova</p> <p><b>Dal 2012 ad oggi:</b> Associate Professor, Digestive Disease Section, Liver Center, Yale University School of Medicine, USA</p> <p>Dal 2011 al 2015: Docente Universitario in convenzione collaborativa, Ospedale San Gerardo di Monza Brianza</p>
Maria Francesca Mansueto	Psicologa e Psicoterapeuta	Psicologia, Terapia della Famiglia ad Indirizzo Sistemico-Relazionale	Policlinico di Palermo	<p><b>Oggi:</b> Psicologa e Psicoterapeuta presso il Dipartimento di Oncologia, U.O di Ematologia, Policlinico di Palermo</p>
Vincenzo La Mura	Dirigente Medico, Professore Associato	Medicina Interna	IRCCS Ca' Grande, Ospedale Maggiore Policlinico Università degli Studi di Milano	<p><b>Dal 2017 ad oggi:</b> Dirigente Medico, U.O.C. Medicina Generale, Emostasi e Trombosi, Fondazione IRCCS Ca'Granda, Ospedale Maggiore, Policlinico, Milano;</p> <p><b>Dal 2020 ad oggi:</b> Professore Associato, Dipartimento di Fisiopatologia Medico-Chirurgica e dei Trapianti, Università degli Studi di Milano</p> <p><b>Dal 2014 ad oggi:</b> Dirigente Medico, U.O Medicina Interna, IRCCS San Donato</p>
Cristina Novembrino	Biologo specialista	Biochimica e Chimica Clinica	Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico, Milano	<p><b>Dal 2018 ad oggi</b> Biologo, laboratorio di emostasi, Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico, Milano</p>
Claudio Jommi	Professore di Economia Aziendale e di Health Policy	Scienze Economiche	Università del Piemonte Orientale, Università Commerciale L. Bocconi	<p><b>Dal 2022 ad oggi:</b> Professore di Economia Aziendale, Dipartimento di Scienze del Farmaco, Università del Piemonte Orientale</p> <p><b>Dal 2019 ad oggi:</b> Professor of Practice di Health Policy, SDA Bocconi School of Management, Università</p>

				Commerciale L. Bocconi <b>Dal 2007 al 2019:</b> Professore Associato in Economia Aziendale, Dipartimento di Scienze del Farmaco, Università del Piemonte Orientale
Flora Peyvandi	Professoressa Ordinaria di Medicina Interna; Direttore di Dipartimento Ematologia	Medicina Interna	Università degli Studi di Milano; Policlinico di Milano	<b>Dal 2025 ad oggi:</b> Professoressa Ordinaria di Medicina Interna, Dipartimento di Fisiopatologia Medico-Chirurgica e dei Trapianti, Università degli Studi di Milano; Direttore di Dipartimento Ematologia, Policlinico di Milano, Milano <b>Dal 2022 al 2025:</b> Dirigente Dipartimento Malattie Rare, Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico
Mirko Pinotti	Professore Ordinario di Biologia Molecolare	Biochimica	Università degli Studi di Ferrara	<b>Dal 2016 ad oggi:</b> Professore Ordinario di Biologia Molecolare, Dipartimento di Scienze della Vita e Biotecnologie, Università degli Studi di Ferrara <b>Dal 2018 al 2024:</b> Direttore del Dipartimento di Scienze della Vita e Biotecnologie, Università degli Studi di Ferrara
Marcello Sottocorno	Direttore Unità di Struttura Complessa Farmacia	Farmacia Ospedaliera	Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico, Milano	<b>Dal 2019 ad oggi:</b> Direttore, Unità di Struttura Complessa Farmacia, Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico, Milano <b>Dal 2016 al 2018:</b> Direttore, ASST Papa Giovanni XXII, Bergamo
Paolo Simioni	Dirigente Medico	Medicina Interna	AOU Padova	<b>Dal 2019 ad oggi:</b> Dirigente Medico di Medicina Generale ad indirizzo trombotico-emorragico dell'Azienda Ospedale Università Padova <b>Dal 1992 al 1998:</b> Medico presso il Dipartimento di

				Scienze Mediche Chirurgiche dell'Università di Padova
Giuseppe Turchetti	Professore di Economia e Management	Economia e Management	Scuola Superiore Sant'Anna (SSSA), Pisa	<b>Dal 2002 ad oggi</b> Professore di Economia e Management, Scuola Superiore Sant'Anna (SSSA), Pisa
Lelia Valdrè	Dirigente Medico	Ematologia	AOU Policlinico Sant'Orsola Malpighi, Bologna	<b>Dal 2010 ad oggi:</b> Dirigente Medico Ematologo, AOU Policlinico Sant'Orsola Malpighi, Bologna <b>Dal 2005 al 2009:</b> Dirigente Medico, AOU di Bologna
Marica Moro	Infermiera di ricerca	Infermieristica	Fondazione IRCCS Cà Granda, Ospedale Maggiore Policlinico, Milano	<b>Oggi</b> Infermiera di ricerca, Fondazione IRCCS Cà Granda, Ospedale Maggiore Policlinico, Milano