

SETTIMA EDIZIONE

L'ACCESSO alle TERAPIE per le MALATTIE RARE



*Responsabili scientifici:
Pier Luigi Canonico, Anna Maria De Luca*

ROMA / 21 NOVEMBRE 2023

*Roma Eventi Fontana di Trevi
Piazza della Pilotta, 4 - Roma*

CON IL PATROCINIO DI



ENTE MORALE D.P.R. n° 1035 DEL 21-11-84
ASSOCIAZIONE
"CENTRO DINO FERRARI"
Fondazione IRCCS Cà Granda Ospedale Maggiore Policlinico di Milano



Duchenne Parent Project
a p s



Federazione delle Associazioni
EMOFILICI



RAZIONALE SCIENTIFICO

Al mondo si stimano oltre 300 milioni di persone affette da malattie rare, di cui 30 milioni in Europa e oltre 2 milioni in Italia: il Registro Nazionale Malattie Rare dell'Istituto Superiore di Sanità stima 20 casi ogni 10.000 abitanti con circa 19.000 nuovi casi segnalati ogni anno.

Queste patologie rare, che oscillano tra le 6000 e le 8000, hanno un andamento cronico e spesso invalidante e i tempi di diagnosi sono lunghi: si va dai 4 fino ai 7 anni. Solo per il 5% dei malati esiste una cura, mentre il 20% dei pazienti è attualmente orfano di diagnosi.

Il convegno, giunto alla sua settima edizione, presenterà degli approfondimenti sulla diagnosi e cura di alcune patologie rare e si soffermerà anche sugli aspetti di accesso al mercato del farmaco e sulle problematiche legate al mondo dei malati rari.

PROGRAMMA SCIENTIFICO

09:15 *Registrazione e welcome coffee***

SESSIONE 1 **LA GESTIONE DELLE MALATTIE RARE IN ITALIA:
DALLA RICERCA ALLA SFIDA DELLA SOSTENIBILITÀ**

Moderatori: Pier Luigi Canonico, Annamaria De Luca

09:45 **Obiettivi del convegno**

Pier Luigi Canonico, Annamaria De Luca

09:50 **Valutazione economica per farmaci rari e problemi
di sostenibilità**

Francesca Pasinelli

10:10 **Il punto di vista delle associazioni pazienti**

Annalisa Scopinaro

10:30 **Discussione**

SESSIONE 2 **MALATTIE EMATOLOGICHE E ONCOLOGICHE RARE**

Moderatori: Annamaria De Luca, Andrea Marcellusi

10:40 **Emofilia**

Cristina Santoro

11:00 **Linfoma diffuso a grandi cellule B**

Emanuele Angelucci

11:20 **Sindrome emolitico-uremica atipica**

Gaetano La Manna

11:40 **Trombocitopenie**

Sergio Siragusa

- 12:00 **Emoglobinuria parossistica notturna (PNH)**
Simona Sica
- 12:20 **Neoplasia a cellule dendritiche plasmacitoidi blastiche (BPDCN)**
Cristina Papayannidis
- 12:40 **Tumori delle vie biliari**
Serena Mancarella
- 13:00 **Discussione**
- 13:20 *Lunch***
- SESSIONE 3 **MALATTIE NEUROLOGICHE e NEURODEGENERATIVE RARE**
Moderatori: Pier Luigi Canonico, Mariagrazia Grilli, Fernando Nicoletti*
- 14:00 **Myastenia gravis**
Francesco Saccà
- 14:20 **Spettro dei Disordini della Neuromielite Ottica (NMOSD)**
Marco Capobianco
- 14:40 **Distrofia muscolare di Duchenne**
Daniela Leone
- 15:00 **Epilessie rare**
Renzo Guerrini
- 15:20 **Discussione**

SESSIONE 4 MALATTIE RARE VARIE

Moderatrici: Annamaria De Luca, Roberta Di Turi

15:40 Ipofosfatasia (HPP)

Maria Luisa Brandi

16:00 Nefropatia da IgA

Loreto Gesualdo

16:20 Granulomatosi eosinofila con poliangerite EGPA

Angelo Coppola

16:40 Nefrite lupica

Chiara Tani

17:00 Discussione

17:20 Conclusioni

Pier Luigi Canonico, Annamaria De Luca

17:25 Questionario ECM **

** attività non incluse nell'accREDITAMENTO ECM

* in attesa di conferma

RESPONSABILI SCIENTIFICI

Pier Luigi Canonico

Professore Ordinario di Farmacologia, Università del Piemonte Orientale, Novara

Annamaria De Luca

Professore Ordinario di Farmacologia, Dipartimento di Farmacia - Scienze del Farmaco
Università degli Studi di Bari "Aldo Moro", Bari

FACULTY

Emanuele Angelucci

Direttore U.O. Ematologia e Terapie cellulari - I.R.C.C.S. Ospedale Policlinico San Martino
Genova

Maria Luisa Brandi

Ospedale Vita-Salute San Raffaele, Milano

Marco Capobianco

Direttore SC Neurologia, Ospedale Santa Croce e Carle, Cuneo

Angelo Coppola

Dirigente medico di I livello - UOC Pneumologia ed UTIR, ASL Roma 1, PO San Filippo Neri, Roma

Roberta Di Turi

Direttore Dipartimento dei Servizi, UOC Farmacia Ospedaliera, ASL Roma



Loreto Gesualdo

Professore Ordinario di Nefrologia, Università di Bari - Presidente FISM Federazione delle Società Medico Scientifiche Italiane

Mariagrazia Grilli

Professore Ordinario di Farmacologia, Dipartimento di Scienze del Farmaco (DSF), Università del Piemonte Orientale, Novara

Renzo Guerrini

Professore ordinario di Neuropsichiatria infantile, Università degli Studi di Firenze Direttore del Centro di eccellenze di Neuroscienze, AOU Meyer e Scuola di Specializzazione in Neuropsichiatria infantile

Gaetano La Manna

Professore ordinario, Dipartimento di Scienze Mediche e Chirurgiche, Alma Mater Studiorum, Università di Bologna

Daniela Leone

Dirigente medico, Centro Clinico Nemo Pediatrico di Roma, IRCSS Policlinico A. Gemelli, Roma

Serena Mancarella

Dirigente medico - IRCCS Saverio De Bellis, Castellana Grotte (TA)

Ferdinando Nicoletti

Professore Ordinario di Farmacologia, Sapienza Università di Roma

Cristina Papayannidis

IRCCS Azienda Ospedaliero-Universitaria di Bologna, Istituto di Ematologia "Seràgnoli"
Bologna

Francesca Pasinelli

Direttore Generale Fondazione Telethon

Francesco Saccà

Professore associato di Neurologia, Università di Napoli Federico II, Napoli

Cristina Santoro

U.O.S. Diagnosi Speciale e Terapia dell'Emostasi e della Trombosi - U.O.C Ematologia - Sezione Ematologia, Dipartimento di Biotecnologie Cellulari ed Ematologia, Sapienza Università di Roma
Clinica Ematologica

Annalisa Scopinaro

Presidente UNIAMO

Simona Sica

Professore associato Ematologia, UOC Ematologia e DH, Università Cattolica del Sacro Cuore - Policlinico Agostino Gemelli, Roma

Sergio Siragusa

Professore Ordinario di Ematologia, UniPa - Direttore Scuola di Specializzazione in Ematologia, UniPa - Direttore U.O.C. di Ematologia, AOU Policlinico di Palermo

Chiara Tani

UO Reumatologia - Azienda Ospedaliero-Universitaria Pisana



ID Evento: 327-397288

Destinatari dell'attività formativa:

Assistente Sanitario; Biologo; Farmacista (Farmacista pubblico del SSN; farmacista territoriale; farmacista di altro settore); **Medico Chirurgo** (tutte le discipline: allergologia ed immunologia clinica; angiologia; cardiologia; dermatologia e venereologia; ematologia; endocrinologia; gastroenterologia; genetica medica; geriatria; malattie metaboliche e diabetologia; malattie dell'apparato respiratorio; malattie infettive; medicina e chirurgia di accettazione e di urgenza; medicina fisica e riabilitazione; medicina interna; medicina termale; medicina aeronautica e spaziale; medicina dello sport; nefrologia; neonatologia; neurologia; neuropsichiatria infantile; oncologia; pediatria; psichiatria; radioterapia; reumatologia; cardiocirurgia; chirurgia generale; chirurgia maxillo-facciale; chirurgia pediatrica; chirurgia plastica e ricostruttiva; chirurgia toracica; chirurgia vascolare; ginecologia e ostetricia; neurochirurgia; oftalmologia; ortopedia e traumatologia; otorinolaringoiatria; urologia; anatomia patologica; anestesia e rianimazione; biochimica clinica; farmacologia e tossicologia clinica; laboratorio di genetica medica; medicina trasfusionale; medicina legale; medicina nucleare; microbiologia e virologia; neurofisiopatologia; neuroradiologia; patologia clinica (laboratorio di analisi chimico-cliniche e microbiologia); radiodiagnostica; igiene, epidemiologia e sanità pubblica; igiene degli alimenti e della nutrizione; medicina del lavoro e sicurezza degli ambienti di lavoro; medicina generale (medici di famiglia); continuità assistenziale; pediatria (pediatri di libera scelta); scienza dell'alimentazione e dietetica; direzione medica di presidio ospedaliero; organizzazione dei servizi sanitari di base; audiologia e foniatria; psicoterapia; cure palliative; epidemiologia; medicina di comunità; medicina subacquea e iperbarica); **Infermiere; Infermiere Pediatrico; Ortottista/Assistente Di Oftalmologia; Psicologo** (psicologia, psicoterapia); **Terapista della neuro e psicomotricità dell'età evolutiva; Tecnico di neurofisiopatologia**

Evento accreditato per: n. 80 partecipanti

Obiettivi formativi e Aree formative: 3. Documentazione clinica. Percorsi clinico-assistenziali diagnostici e riabilitativi, profili di assistenza - profili di cura (Processo)

Numero dei crediti assegnati all'evento: 6

PROVIDER ECM E SEGRETERIA ORGANIZZATIVA



Corso Magenta 81
20123 - Milano ITALY
tel | +39 02 36631574
mail | info@3psolution.it



web | www.3psolution.it

RINNOVO ACCREDITAMENTO STANDARD notifica del 26 luglio 2019

CON LA SPONSORIZZAZIONE NON CONDIZIONANTE DI

SILVER SPONSOR

CSL Behring



SPONSOR



CSL Vifor

