

## Razionale

Il convegno si propone di delineare una panoramica sullo stato dell'arte e sulla gestione delle malattie rare in Italia.

Attraverso un confronto tra tutti i principali stakeholder coinvolti - associazioni di pazienti, istituzioni, payer, clinici, amministrazioni sanitarie, opinion leader e industria - saranno analizzati gli aspetti chiave della presa in carico del paziente con malattia rara in tutte le fasi del PDTA, dalla diagnosi all'assistenza sul territorio. Particolare attenzione sarà inoltre dedicata all'epidemiologia, agli aspetti regolatori, ai costi sanitari e ai relativi problemi di sostenibilità, alle nuove frontiere dell'innovazione.

## Obiettivi del corso ECM

- Trasferire ai discenti informazioni chiave sullo stato e sulla gestione delle malattie rare in Italia con particolare riferimento ai seguenti aspetti:
  - epidemiologia e diagnosi
  - sistema e meccanismi di esenzione nell'ambito dei nuovi LEA
  - mappatura e modalità di funzionamento dei registri
  - nuove frontiere di ricerca e innovazione, aspettative per i pazienti
  - costi e sostenibilità per il SSN
  - gestione e presa in carico dei malati rari sul territorio.
- Individuare, attraverso il confronto e il dibattito tra le parti, possibili soluzioni e spunti di collaborazione che consentano di migliorare le condizioni di vita dei pazienti con malattie rare e aumentare la sostenibilità e l'accesso alle terapie.

## Obiettivo formativo

Epidemiologia - prevenzione e promozione della salute con acquisizione di nozioni tecnico-professionali.

## Responsabile scientifico

**Francesco Macchia** *Coordinatore*, **OSSFOR - Osservatorio Farmaci Orfani**

## Iscrizioni

[https://registration.aboutevents.eu/cmsweb/Login.asp?IDc\\_ommessa=HPS008-18\\_ECM&Lang=IT](https://registration.aboutevents.eu/cmsweb/Login.asp?IDc_ommessa=HPS008-18_ECM&Lang=IT)



**HPS**

Health Publishing  
and Services

### Segreteria Scientifica e Organizzativa

#### HPS - Health Publishing & Services Srl

Piazza Duca d'Aosta, 12  
20124 Milano  
Tel. +39 02 2772 991  
Fax +39 02 2952 6823  
www.aboutpharma.com

**OMAR**

OSSERVATORIO MALATTIE RARE

Via Amedeo Cencelli, 59  
00177 Roma  
www.osservatoriomalattierare.it

### NUMERO PARTECIPANTI

100

### CREDITI ECM

6

### CODICE EVENTO ECM

224755

## ABOUT EVENTS

### Provider ECM (ID 5482)

#### ABOUTEVENTS Srl - Gruppo HPS

Via Domenico Scarlatti, 26  
20124 Milano  
Tel. +39 02 8963 4650  
Fax +39 02 2952 6823  
E-mail: info@aboutevents.eu  
www.aboutevents.eu

### ACCREDITAMENTO PROFESSIONI


- Farmacista ospedaliero
- Medico chirurgo:

#### Discipline

- endocrinologia
- neurologia
- cardiologia
- ematologia
- medicina generale  
(medici di famiglia e internisti)
- pediatria
- direzioni mediche di presidio  
ospedaliero

# LE MALATTIE RARE IN ITALIA

Epidemiologia, spesa sanitaria, assistenza, accesso all'innovazione



Roma  
19 aprile 2018  
**Ministero della Salute**  
Via G. Ribotta, 5

Evento formativo realizzato con il contributo non condizionato di



**HPS**  
Health Publishing  
and Services

**ABOUT  
EVENTS**

**OMAR**  
OSSERVATORIO MALATTIE RARE

## PROGRAMMA

Moderatrice del Convegno: **Ilaria Ciancaleoni Bartoli**, *Direttore*, **OMAR - Osservatorio Malattie Rare**

9:30 **Registrazione partecipanti e welcome coffee**

10:00 **Benvenuto e apertura lavori**

**Silvia Arcà**, *Direttore*, *Ufficio 5 - Livelli Essenziali di Assistenza, Assistenza Territoriale e Sociosanitaria*, **Ministero della Salute**

**Prima sessione: diagnosi, epidemiologia e registri. Gli impatti sull'assistenza e sulla pianificazione degli interventi**

Moderatrice: **Ilaria Ciancaleoni Bartoli**, *Direttore*, **OMAR - Osservatorio Malattie Rare**

10:10 **Tavola Rotonda**

**Giovanni Di Minno**, *Professore Ordinario*, *Dipartimento di Medicina Clinica e Chirurgia*, **Azienda Universitaria Policlinico Federico II - Napoli**

**Paola Facchin**, *Coordinatrice del Tavolo Tecnico Permanente Interregionale per le Malattie Rare*, **Conferenza delle Regioni e delle Province Autonome**; *Responsabile del Registro Malattie Rare*, **Regione Veneto**

**Tommasina Iorno**, *Presidente*, **UNIAMO**

**Giovanni Murri**, *Dirigente Responsabile Registri di Monitoraggio*, **AIFA**

**Rosario Pivonello**, *Dipartimento di Medicina Clinica e Chirurgia*, **Università degli Studi di Napoli Federico II**

**Domenica Taruscio**, *Direttore del Centro Nazionale Malattie Rare*, **Istituto Superiore di Sanità (ISS)**

**Giuseppe Vita**, *Direttore UOC di Neurologia e Malattie Neuromuscolari*, **AOU Policlinico G. Martino - Messina**

11:25 **Q&A**

**Seconda sessione: prospettive di innovazione e aspettative dei pazienti nel campo delle malattie rare**

Moderatore: **Bruno Dallapiccola**, *Scientific Director*, **Ospedale Pediatrico Bambino Gesù - Roma**

11:40 **Tavola Rotonda**

**Alessandro Aiuti**, *Vice Direttore e Capo Unità*, **Istituto San Raffaele Telethon per la Terapia Genica (SR-Tiget) - Milano**

**Filippo Belardelli**, *Vice Presidente*, **ALISEI - Advanced Life Science in Italy**

**Filippo Buccella**, *Referente Area Scienza e Area Comunicazione*, **Parent Project Onlus**

**Giovanni Leonardi**, *Direzione Generale della Ricerca e dell'Innovazione in Sanità*, **Ministero della Salute**

**Lucia Faccio**, *Direttore Ricerca & Sviluppo*, **Telethon**

**Mirko Pinotti**, *Dipartimento di Scienze della Vita e Biotecnologie*, **Università di Ferrara**

**Massimo Visentin**, *Country Manager*, **Pfizer Italia**

13:00 **Q&A**

13:15 **Light lunch**

**Terza sessione: costi e sostenibilità delle malattie rare per il SSN**

Moderatore: **Francesco Macchia**, *Coordinatore*, **OSSFOR - Osservatorio Farmaci Orfani**

14:15 **Tavola Rotonda**

**Patrizio Armeni**, *Coordinator of Health Economics and HTA area*, **CERGAS - SDA Bocconi**

**Lorenzo Cammelli**, *Direttore Sanitario*, **ATS Val Padana - Mantova**

**Giovanni Carlo Maria Finocchiaro**, *Coordinatore Nazionale dell'Area scientifico-culturale*, **SIFO Malattie Rare**

**Pierluigi Russo**, *Università degli Studi G. D'Annunzio - Chieti-Pescara*

**Francesco Scaglione**, *Professore Associato di Farmacologia*, **Università degli Studi di Milano**

**Carmelo Scarcella**, *Direttore Generale*, **ATS - Brescia**

**Federico Spandonaro**, *Direttore*, *CREA - Consorzio per la Ricerca Economica Applicata in Sanità*; **Università di Tor Vergata, Roma**

15:30 **Q&A**

**Quarta sessione: la presa in carico del paziente con malattia rara sul territorio**

Moderatrice: **Simona Bellagambi**, *Membro Consiglio Direttivo*, **EURORDIS**

15:45 **Tavola Rotonda**

**Giuseppina Annicchiarico**, *Coordinamento Malattie Rare*, **Ares Puglia**

**Silvia Arcà**, *Direttore*, *Ufficio 5 - Livelli Essenziali di Assistenza, Assistenza Territoriale e Sociosanitaria*, **Ministero della Salute**

**Andrea Bartuli**, *Responsabile UOC Malattie Rare*, **Ospedale Pediatrico Bambino Gesù - Roma**

**Daria Bettoni**, *Dirigente Farmacista*, **ASST Spedali Civili di Brescia**; *Componente per la Regione Lombardia del Tavolo Nazionale delle Malattie Rare, Commissione Salute*;

*Componente del Gruppo Regionale Farmaci Orfani e Malattie Rare*

**Ovidio Brignoli**, *Vice Presidente*, **SIMG - Società Italiana di Medicina Generale e delle Cure Primarie**

**Stefania Chiavarini**, *Vice Presidente*, **fAMY**

**Vincenzo Panella**, *Direttore Generale*, **Policlinico Umberto I - Roma**

**Gennaro Volpe**, *Presidente*, **CARD - Confederazione Associazioni Regionali di Distretto**

17:00 **Q&A**

17:15 **TEST ECM**

17:30 **Conclusioni**

A cura dei moderatori