

SETTIMA EDIZIONE

L'ACCESSO alle TERAPIE per le MALATTIE RARE



*Responsabili scientifici:
Pier Luigi Canonico, Annamaria De Luca*

ROMA / 21 NOVEMBRE 2023

Roma Eventi Fontana di Trevi

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**

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**

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**
Gianluigi Giannelli
- 13:00 **Discussione**
- 13:20 *Lunch***
- SESSIONE 3 **MALATTIE NEUROLOGICHE e NEURODEGENERATIVE RARE**
- 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**

15:40 **Ipofosfatasia (HPP)**

Maria Luisa Brandi

16:00 **Nefropatia da IgA**

Loreto Gesualdo

16:20 **Granulomatosi eosinofila con poliangiote 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 "A. Avogadro", 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

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

Maria Luisa Brandi

Primario SOD malattie del Metabolismo Minerale e Osseo P.O. di Endocrinologia, Ospedale
Careggi, Firenze

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

Loreto Gesualdo

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



Gianluigi Giannelli

Professore Associato, Azienda Ospedaliero Universitaria Ospedale Policlinico Consorziale, Bari

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

Unità di Malattie Neuromuscolari e Neurodegenerative - Laboratorio di Medicina Molecolare Dipartimento di Neuroscienze e Neuroriabilitazione - IRCCS Ospedale Pediatrico Bambino Gesù - Sede San Paolo, 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

Marco Silano

Direttore Centro nazionale malattie rare, Istituto Superiore di Sanità (ISS)

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