



CORSO ECM

L'ACCESSO alle TERAPIE per le MALATTIE RARE

QUARTA EDIZIONE

Responsabile scientifico: Pier Luigi Canonico

ROMA, 27 MARZO 2020

Aula Pocchiari, Istituto Superiore di Sanità
Viale Regina Elena 299

con il patrocinio di:

FONDAZIONE



PROGRAMMA PRELIMINARE

08:30 Registrazione dei partecipanti**

08:45 Obiettivi dell'incontro**
Pier Luigi Canonico

08:55 Il supporto del legislatore alle malattie rare**
Maria Rizzotti*, Pierpaolo Sileri*



I SESSIONE **HORIZON SCANNING DELLE TERAPIE DEDICATE ALLE MALATTIE RARE** *Moderatori: Pier Luigi Canonico, Annamaria De Luca*

09:15 **MALATTIE EMATOLOGICHE**
Betatalassemia
Giovanna Graziadei

09:30 Emofilia
Giovanni Di Minno

09:45 Emoglobinuria parossistica notturna (PNH)
Rosario Notaro

10:00 **MALATTIE METABOLICHE**
Nuovi approcci terapeutici nella malattia di Fabry
Antonio Pisani

10:15 Malattia di Gaucher
Maria Domenica Cappellini

10:30 Alfa-mannosidosi
Maurizio Scarpa*

10:45 Discussione sull'horizon scanning delle terapie dedicate alle malattie rare:
malattie ematologiche e metaboliche
Pier Luigi Canonico, Annamaria De Luca

10:55 Coffee break**

11:10 **MALATTIE NEURODEGENERATIVE**
Distrofia Muscolare di Duchenne
Marika Pane

11:25 Atrofia Muscolare Spinale (SMA)
Eugenio Maria Mercuri*

- 11:40 **MALATTIE NEUROLOGICHE**
Narcolessia
Giuseppe Plazzi*
- 11:55 **ALTRE MALATTIE RARE**
Malattia di Batten
Nicola Specchio*
- 12:10 Fibrodisplasia ossificante progressiva (FOP)
Maya Di Rocco
- 12:25 Colangite biliare primitiva
Domenico Alvaro
- 12:40 **TUMORI RARI**
Linfoma cutaneo a cellule T
Francesco Onida
- 12:55 **LE ATMP NELLE MALATTIE RARE**
Distrofie retiniche ereditarie
Francesca Simonelli
- 13:10 Discussione sull'horizon scanning delle terapie dedicate alle malattie rare:
malattie neurodegenerative, neurologiche, altre malattie rare, tumori rari e ATMP nelle malattie rare
Pier Luigi Canonico, Annamaria De Luca
- 13:20 Lunch**
-  **II SESSIONE**
LA GESTIONE DELLE MALATTIE RARE IN ITALIA DALLA RICERCA ALLA DIAGNOSI
Moderatori: Pier Luigi Canonico, Armando Genazzani
- 14:00 L'impegno dell'ISS nelle malattie rare
Domenica Taruscio*
- 14:20 Le malattie rare e le terapie geniche e cellulari: attualità tra collaborazione pubblico/privato
Michela Gabaldo
- 14:40 Lo screening neonatale esteso: dove siamo e come fare per come implementarlo
Giancarlo La Marca, Manuela Vaccarotto*
- 15:10 Discussione sulla gestione delle malattie rare in Italia dalla ricerca alla diagnosi
Pier Luigi Canonico, Armando Genazzani



III SESSIONE

LA RIMBORSABILITÀ DEI FARMACI PER MALATTIE RARE. L'ESPERIENZA ITALIANA

Moderatori: Pier Luigi Canonico, Roberta Di Turi

- 15:20 Analisi dei tempi di approvazione dei farmaci per le malattie rare
Elena Paola Lanati
- 15:40 Elementi di criticità nella valutazione dei farmaci orfani
Patrizia Popoli
- 16:00 Il ruolo delle valutazioni economiche nelle malattie rare
Claudio Jommi
- 16:20 Coffee break**
- 16:35 Tavola rotonda
La rimborsabilità dei farmaci per malattie rare. L'esperienza italiana'
Michela Gabaldo, Claudio Jommi, Giancarlo La Marca, Elena Lanati, Patrizia Popoli, Domenica Taruscio*, Manuela Vaccarotto*
- 17:35 Discussione sulla rimborsabilità dei farmaci per malattie rare nell'esperienza italiana
Pier Luigi Canonico, Roberta Di Turi
- 17:45 Conclusioni della giornata
Pier Luigi Canonico
- 17:55 Questionario ECM**

** invitato a partecipare*

***Non inclusi nell'accREDITAMENTO ECM*

RESPONSABILE SCIENTIFICO

Pier Luigi Canonico | Professore ordinario di Farmacologia, Università del Piemonte Orientale "A. Avogadro" di Novara

FACULTY

Domenico Alvaro | Professore ordinario di gastroenterologia, Università degli Studi di Roma La Sapienza, Roma

Pier Luigi Canonico | Professore ordinario di Farmacologia, Università del Piemonte Orientale "A. Avogadro" di Novara

Maria Domenica Cappellini | Professore Ordinario di Medicina Interna, Università degli Studi di Milano - Direttore dell'Unità Operativa Complessa di Medicina Generale e Responsabile "Malattie Rare Center", Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico, Milano

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

Giovanni Di Minno | Direttore Dipartimento Medicina Clinica e Sperimentale, AOU Federico II, Napoli

Maja Di Rocco | Responsabile Struttura semplice malattie rare, Istituto Gianna Gaslini, Genova

Roberta Di Turi | Direttore Area Politiche del Farmaco, ASL ROMA D, Roma

Michela Gabaldo | Head Alliance Management & Regulatory Affairs, Telethon, Milano

Giovanna Graziadei | Centro Anemie Congenite, Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico, Milano

Claudio Jommi | Professor of Practice Government, Health and Not for profit Division, SDA Bocconi School of Management, Milano

Giancarlo La Marca | Responsabile UOS Diagnostica di Malattie del Sistema Nervoso e del Metabolismo: Screening Neonatale, Biochimica e Farmacologia, Azienda Ospedaliero Universitaria Meyer, Firenze

Elena Paola Lanati | Direttore ATMP Forum - Founder & Managing Director, MA Provider, Milano

Eugenio Maria Mercuri | Direttore UOC Neuropsichiatria infantile, Policlinico Gemelli, Roma

Rosario Notaro | Cancer Genetics and Gene Transfer Core Research Laboratory - ISPRO

Francesco Onida | Professore Associato di Ematologia, Università degli Studi di Milano

Marika Pane | Direttore Clinico Centro Clinico Nemo, Policlinico Gemelli, Roma

Antonio Pisani | Dipartimento Clinico-Assistenziale di Patologia Sistemica dell'Azienda Ospedaliera Universitaria Federico II di Napoli

Giuseppe Piazzi | Professore Associato Dipartimento di Scienze Biomediche e Neuromotorie, Bologna

Patrizia Popoli | Direttore del Centro Nazionale Ricerca e Valutazione Preclinica e Clinica dei Farmaci, Istituto Superiore di Sanità, Roma

Maria Rizzotti | Senatrice, Componente XII Commissione Igiene e sanità, Roma

Maurizio Scarpa | Direttore del Centro di riferimento regionale per le malattie rare, Azienda Sanitaria Universitaria Integrata di Udine

Pierpaolo Sileri | Viceministro alla Salute

Francesca Simonelli | Responsabile della sperimentazione clinica, U.O.C. di Oculistica, AOU Università degli Studi della Campania "Luigi Vanvitelli", Napoli

Nicola Specchio | Responsabile UOS Dipartimento di Neuroscienze, UO Neurologia, Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Roma

Domenica Taruscio | Direttore Centro Nazionale Malattie Rare (CNMR), Istituto Superiore di Sanità, Roma

Manuela Vaccarotto | Vicepresidente Associazione Italiana Sostegno Malattie Metaboliche Ereditarie (AISMM), Padova



E.C.M.

Commissione Nazionale Formazione Continua



ISCRIZIONI

È possibile iscriversi registrandosi al nostro sito www.3psolution.it, una volta effettuata la registrazione basterà accedere alla pagina eventi, selezionare l'evento ed iscriversi.

Si prega di segnalare eventuali esigenze alimentari (es. allergie, intolleranze, scelte alimentari vegetariane o vegane, etc.) all'atto dell'iscrizione.

ECM

La Commissione Nazionale per la Formazione Continua ha formulato parere positivo all'accreditamento di 3P Solution Srl come PROVIDER STANDARD (codice 327, autorizzato il 15 ottobre 2012). La responsabilità per i contenuti, la qualità e la correttezza etica di questa attività ECM è a carico di 3P Solution.

L'evento è stato accreditato (ID-ECM 327-288317) con obiettivo formativo "Documentazione clinica. Percorsi clinico-assistenziali diagnostici e riabilitativi, profili di assistenza - profili di cura (area formativa: Obiettivo di processo)" per **100 partecipanti**, per le seguenti categorie professionali: assistente sanitario; biologo; farmacista (territoriale, ospedaliero); infermiere; infermiere pediatrico; medico chirurgo (tutte le discipline); psicologo (psicoterapia, psicologia); terapeuta della neuropsicomotricità dell'età evolutiva, tecnico di neurofisiopatologia, ed ha ottenuto **7 crediti**.

Per ottenere l'attribuzione dei crediti E.C.M. è necessario:

1. partecipare ad almeno il 90% dei lavori scientifici, per i quali è prevista la verifica delle presenze;
2. compilare il questionario di apprendimento e rispondere correttamente ad almeno il 75% delle domande;
3. compilare il questionario di valutazione dell'evento e consegnarlo al termine dei lavori.

Il numero dei discenti in sala non potrà essere superiore al numero dei partecipanti accreditati. Qualora il numero di partecipanti iscritti in loco fosse superiore a 100 sarà tenuto in considerazione per l'ammissione in sala l'ordine cronologico di iscrizione.

Il certificato riportante i crediti E.C.M. sarà inviato successivamente al completamento della procedura di validazione.

SERVIZIO MYECM

Age.na.s ha attivato il servizio MyEcm (pagina personalizzata a disposizione di ogni professionista sanitario) tramite il quale è possibile:

1. consultare l'offerta formativa;
2. consultare il riepilogo eventi frequentati e i crediti conseguiti;
3. esprimere una valutazione su corsi frequentati organizzati dai Provider.

Per accedere ai servizi online deve registrarsi alla pagina <http://ape.agenas.it/professionisti/myecm>.

Se soddisfatto di questo corso può cliccare  sull'icona ed esprimere la propria valutazione

PROVIDER ECM E SEGRETERIA ORGANIZZATIVA



via Marradi 3
20123 - Milano ITALY
tel | +39 02 36631574
fax | +39 02 36631640
mail | info@3psolution.it

web | www.3psolution.it

L'ACCESSO alle TERAPIE per le MALATTIE RARE

QUARTA EDIZIONE

Con la sponsorizzazione non condizionante di:

GOLD SPONSOR



SILVER SPONSOR



SPONSOR

