

PROGRAMMA

GRANDANGOLO MULTIDISCIPLINARE SULLE MALATTIE RARE

con il Patrocinio di:

Famiglie SMA
Genitori per la Ricerca sull'Atrofia Muscolare Spinale

Associazione Italiana
Niemann Pick
ONLUS

con il coinvolgimento di:

ÜNIAMO
Federazione Italiana Malattie Rare

Milano, 01 DICEMBRE 2023

HOTEL NH MILANO MACHIAVELLI, VIA LAZZARETTO, 5, 20124 MILANO

PROGRAMMA

08:45 **Registrazione dei partecipanti**

09:00 **Introduzione e Saluti istituzionali**

Marcello Gemmato, Annalisa Scopinaro*

MODERATORI: SARAH CATTANEO, MARIA TERESA CHIARELLI

DISCUSSANT: MARTA RIVELLI, CLAUDIA CIMARUSTI

09:10 **La sostenibilità economica delle terapie innovative nell'ambito delle malattie rare.**

Giorgio Lorenzo Colombo

09:30 **Sperimentazioni cliniche e iter regolatorio dei Farmaci Orfani**

Paola Minghetti

09:50 **Il Testo Unico e Piano nazionale Malattie Rare: la prospettiva del Farmacista Ospedaliero**

Angela Pasquariello

10:10 **Counselling, empowerment del paziente e monitoraggio dell'aderenza terapeutica**

Marcello Sottocorno

10:30 **Modelli organizzativi nell'assistenza farmaceutica territoriale delle ASST nel contesto delle Malattie Rare**

Maria Guizzetti

10:50 **Q&A**

11:00 **COFFEE BREAK**

MODERATORI: MARCO RUOCCO, ROBERTO LANGELLA

11:10 **Tavola rotonda: Nodi e prospettive del percorso di Regione Lombardia per la prescrizione e la fornitura dei trattamenti farmacologici e non farmacologici**

SONO INVITATI A PARTECIPARE:

Erica Daina

Silvia Mandarino

Andrea Machiavelli

Marita Sironi

Silvia Vecchio

12:10 **BUFFET LUNCH**

PROGRAMMA

MODERATORI: GIUSEPPE CARAVELLA, STEFANO STOPPA

DISCUSSANT: ROBERTA CHITTOLINA, CHIARA DONDI

- 13:10 **Screening neonatale esteso e Atrofia muscolare spinale (SMA). Il punto di vista del Medico e dei pazienti.**
Riccardo Masson, Simone Pastorini
- 13:30 **Q&A**
- 13:40 **Impatto economico del ritardo diagnostico in assenza di percorsi diagnostici terapeutici assistenziali: focus on PFI-LD.**
Luca Degli Esposti
- 14:00 **Q&A**
- 14:10 **Emofilia e patologie rare in ambito ematologico: Terapie e sostenibilità nell'era della Digital Health**
Flora Peyvandi
- 14:30 **Q&A**
- 14:40 **Traguardi nella cura e nuove prospettive terapeutiche nel deficit di sfingomielinasi acida (ASMD)**
Irene Motta
- 15:00 **Q&A**
- 15:10 **Valutazione economico-organizzativa delle ricadute degli approcci terapeutici per la gestione delle malattie ad accumulo lisosomiale (Malattia di Fabry, Gaucher, Hunter e alfa-mannosidosi).**
Davide Croce
- 15:30 **Q&A**
- 15:40 **Le malattie mediate dal Complemento: Quali strategie terapeutiche? Disturbi dello spettro della neuromielite ottica (NMOSD) e Miastenia gravis generalizzata**
Laura Brambilla
- 16:00 **Q&A**
- 16:10 **COFFEE BREAK**

PROGRAMMA

MODERATORI: FABRIZIO FESTINESE, ROBERTO LANGELLA

DISCUSSANT: ANNA CHIARA ALOISI, PIETRO GAZZOLA

16:20 **Malattie rare neurodegenerative e SLA: quali prospettive in ambito terapeutico?**

Nicola Ticozzi

16:40 **Q&A**

16:50 **Management delle malattie rare in ambito oncologico: Colangiocarcinoma.**

Andrea Sartore Bianchi

17:10 **Q&A**

17:20 **Tavola rotonda: Patient Advocacy e corretta informazione sulle malattie rare.
La parola al mondo delle Associazioni.**

Annalisa Scopinaro, Simone Pastorini

18:10 **Conclusioni**

18:30 **Chiusura dei lavori e Compilazione del questionario Ecm on line**

FACULTY

ANNA CHIARA ALOISI

Dirigente Farmacista Fondazione IRCCS San Gerardo dei Tintori di Monza

LAURA BRAMBILLA

Dirigente Medico U.O. di Neurologia IV IRCCS Istituto Neurologico Carlo Besta, Milano

GIUSEPPE CARAVELLA

Direttore Farmacia Ospedaliera IRCCS Policlinico San Donato

SARAH CATTANEO

Direttore Dipartimento Farmaceutico ATS Città Metropolitana Milano

MARIA TERESA CHIARELLI

Dirigente Farmacista IRCCS Policlinico di Milano

ROBERTA CHITTOLINA

Dirigente Farmacista ASST Mantova

CLAUDIA CIMARUSTI

Specializzanda in Farmacia Ospedaliera Università degli Studi di Milano

GIORGIO LORENZO COLOMBO

Direttore scientifico CEFAT - Università degli Studi di Pavia e Centro di Ricerca SAVE Studi, Milano

DAVIDE CROCE

Direttore Centro sull'economia ed il Management in Sanità e nel sociale LIUC Business School
Università Cattaneo. LIUC

ERICA DAINA

Referente Centro Coordinamento Rete Malattie Rare Lombardia Istituto di Ricerche Farmacologiche
IRCCS Mario Negri Milano

LUCA DEGLI ESPOSTI

Chief Executive Officer CliCon.

CHIARA DONDI

Specializzanda in Farmacia Ospedaliera Università degli Studi di Milano

FABRIZIO FESTINESE

Farmacista Ospedaliero ASST Lodi - Azienda Socio Sanitaria Territoriale di Lodi

PIETRO GAZZOLA

Specializzando in Farmacia Ospedaliera Università degli Studi di Milano

MARCELLO GEMMATO

Sottosegretario alla Salute con delega per il servizio farmaceutico, malattie rare e sicurezza alimentare.

MARIA GUIZZETTI

Dirigente Farmacista ASST Brianza

ROBERTO LANGELLA

Dirigente Farmacista Agenzia di Tutela Salute , Città Metropolitana di Milano

FACULTY

ANDREA MACHIAVELLI

Direttore Servizio di Farmacia Ospedaliera, ASST di Cremona

SILVIA MANDARINO

Dirigente Farmacista ASST Valle Olona

RICCARDO MASSON

Neurologo IRCCS Istituto Neurologico "Carlo Besta".

PAOLA MINGHETTI

Professore Ordinario Università degli Studi di Milano.

IRENE MOTTA

Professore Associato Università degli Studi di Milano - Dirigente Medico
Medicina Indirizzo Metabolico IRCCS Policlinico di Milano

ANGELA PASQUARIELLO

Direttore Farmacia Ospedaliera IRCCS Besta

SIMONE PASTORINI

Vicepresidente Famiglie SMA APS ETS.

FLORA PEYVANDI

Direttore Centro Emofilia e Trombosi Angelo Bianchi Bonomi, Primario U.O.C. Medicina Generale
Emostasi e Trombosi presso la Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico di Milano

MARTA RIVELLI

Dirigente Farmacista IRCCS Istituto Neurologico "C.Besta"

MARCO RUOCCO

Direttore UOC Farmacia Ospedaliera ASST Brianza

ANDREA SARTORE BIANCHI

Responsabile SS Oncologia Clinica Molecolare ASST Niguarda di Milano

ANNALISA SCOPINARO

Presidente UNIAMO

MARITA SIRONI

Dirigente Farmacista Ospedaliera ASST Lecco

MARCELLO SOTTOCORNO

Direttore Farmacia Ospedaliera IRCCS Policlinico di Milano

STEFANO STOPPA

Dirigente Farmacista ASST Ovest Milanese

NICOLA TICOZZI

Direttore U.O. di Neurologia, Istituto Auxologico Italiano, Milano

SILVIA VECCHIO

Direttore Servizio Farmaceutico ATS Pavia

INFORMAZIONI GENERALI

RESPONSABILE SCIENTIFICO

Dott. Roberto LANGELLA

Dirigente Farmacista UOC Pianificazione e Controllo Appropriattezza farmaceutica
ATS Città Metropolitana di Milano

RAZIONALE SCIENTIFICO

Secondo i dati riportati dal Registro Nazionale Malattie Rare dell'Istituto Superiore di Sanità (ISS), in Italia si stimano 20 casi di malattie rare (MR) ogni 10.000 abitanti e ogni anno sono circa 19.000 i nuovi casi segnalati dalle oltre 200 strutture sanitarie diffuse in tutta la penisola. Il 20% delle patologie coinvolge persone in età pediatrica. In questa popolazione di pazienti, le malattie rare che si manifestano con maggiore frequenza sono le malformazioni congenite (45%), le malattie delle ghiandole endocrine, della nutrizione o del metabolismo ed i disturbi immunitari (20%). Per i pazienti in età adulta, invece, le malattie rare più frequenti appartengono al gruppo delle patologie del sistema nervoso e degli organi di senso (29%) o del sangue e degli organi ematopoietici (18%). Una delle maggiori criticità connesse alla gestione delle MR è la parcellizzazione dei percorsi assistenziali generata dalla difficile comunicazione tra i servizi ed i Professionisti coinvolti nel processo di cura. Sulla base di tali premesse appare l'immediata evidenza che la condivisione delle informazioni rappresenta un innegabile punto di forza ed una leva per il superamento della frammentazione delle informazioni e, dunque, del percorso assistenziale. I pazienti affetti malattia rara sono portatori di una domanda articolata che richiede attenzione non solo ai bisogni assistenziali, ma all'individuo nel suo complesso. È pertanto importante far emergere i punti di vista delle Associazioni dei Pazienti, delle Istituzioni e degli stakeholders impegnati nei percorsi di cura. Il convegno andrà ad approfondire diversi aspetti centrali e sarà il primo di una serie di seminari dedicati alle malattie rare durante il 2024, al fine di poter creare un percorso formativo omogeneo, ampio ed inclusivo, per tracciare lo stato dell'arte sui modelli organizzativi e gestionali delle Reti di Assistenza ai Malati Rari in ambito regionale, sulle innovazioni tecnologiche e l'accesso ai farmaci per le diverse categorie di pazienti, dedicando ampio spazio alle novità in tema normativo e alla necessità di strutturare un servizio accessibile e all'avanguardia dal punto di vista organizzativo.

OBBIETTIVO FORMATIVO (di processo)

DOCUMENTAZIONE CLINICA. PERCORSI CLINICO-ASSISTENZIALI DIAGNOSTICI E RIABILITATIVI, PROFILI DI ASSISTENZA – PROFILI DI CURA

ID ECM 331– 395695 Crediti ECM previsti: 8

È stata effettuata la richiesta di accreditamento per num. 30 partecipanti appartenenti alle seguenti figure professionali: FARMACISTI, MEDICI CHIRURGHI, INFERMIERI, BIOLOGI

CRITERI PER L'ATTRIBUZIONE DEI CREDITI ECM:

Si ricorda che per l'assegnazione dei crediti ECM è condizione indispensabile che ogni discente:

1. Provveda a firmare i registri di presenza in entrata e in uscita
2. Partecipi al 90% delle sessioni accreditate
3. Compili il questionario sulla qualità percepita (on line)
4. Risponda correttamente almeno al 75% delle domande del questionario d'apprendimento (on line)

Il Questionario ECM sarà disponibile on line alla fine della giornata e dovrà essere eseguito entro tre giorni, quindi entro il 04/12/2023. La partecipazione è gratuita.

CON LA SPONSORIZZAZIONE NON CONDIZIONANTE



MODALITA' DI ISCRIZIONE

PER ISCRIVERTI ALL'EVENTO:



OPPURE
SCANSIONA IL QR CODE



SEGRETERIA ORGANIZZATIVA e PROVIDER ECM (331)



Fenix Srl Via Ugo Foscolo, 25 - 27100 Pavia
Tel 0382 1752851 - Fax 0382 1752852 e-mail: katia.suella@fenix-srl.it