

THINK TANK

ROMA

ore 14.00-18.30

25 Novembre 2024

LaSalutechevorrei

Stato attuale della ricerca e
moderni approcci terapeutici in tema di

Malattie Rare



Palazzo Baldassini

Via delle Coppelle, 35 - 00186 ROMA

THINK TANK

LaSalutechevorrei

L'Italia ha fatto un grosso passo avanti sul tema delle malattie rare: più di 2 milioni di persone nel nostro paese soffrono di malattie rare e moltissimi sono bambini, quindi una straordinaria emergenza del sistema sanitario del nostro Paese". Da qualche tempo questo mondo ha a disposizione una legge importante.

I malati rari devono avere una possibilità e una disponibilità di farmaci orfani più efficace, veloce e corrispondente ai bisogni.

Il Piano Nazionale Malattie Rare 2023-2026 rappresenta un passo fondamentale verso il riconoscimento dei bisogni di cura e assistenza del malato raro e delle loro famiglie, principale strumento di pianificazione centrale e cornice comune degli obiettivi istituzionali da implementare in questo triennio, in linea con le iniziative dell'Unione Europea.

Il PNMR definisce gli obiettivi di programmazione nell'ambito della diagnosi, prevenzione primaria, trattamenti farmacologici e non, percorsi assistenziali, ricerca, formazione e informazione delle malattie rare, e fornisce indicazioni per l'attuazione e implementazione dei Livelli Essenziali di Assistenza e per il monitoraggio attraverso i Registri.

Questo evento istituzionale si pone l'obiettivo di creare un momento di confronto culturale, programmatico e clinico/diagnostico sul tema delle Malattie Rare in pazienti anziani e bambini, incluse le malattie metaboliche da accumulo lisosomiale e patologie oncoematologiche, alla luce del G20 che si svolgerà in Brasile a novembre 2024, in un contesto in cui l'Italia ha assunto la Presidenza del G7.

Stato attuale della ricerca e
moderni approcci terapeutici in tema di

Malattie Rare

ROMA ore 14.00-18.30

25 Novembre 2024

Palazzo Baldassini

Via delle Coppelle, 35

Con il Patrocinio di



F.A.V.O.

Federazione Italiana delle
Associazioni di Volontariato
in Oncologia

13.30 Apertura segreteria e accredito partecipanti

14.00 Apertura dei lavori

MODERATRICE: Annalisa Manduca (Giornalista e Divulgatrice Scientifica)

14.15 **Letture iniziali**

Orazio Schillaci - Ministro della Salute

14.30 **Primo Workshop**

La gestione delle malattie rare in Europa e l'impatto sul Sistema Sanitario Italiano

Intervengono:

Francesco Saverio Mennini - Capo Dipartimento della programmazione, dei dispositivi medici, del farmaco e delle politiche in favore del SSN del Ministero della Salute

Maurizio Scarpa - Direttore Centro Regionale Malattie Rare, Regione Autonoma Friuli-Venezia Giulia e Coordinatore MetabERN (European Reference Network for Rare Hereditary Metabolic Disorders)

Domenico Mantoan - Direttore Generale AGENAS (Agenzia Nazionale per i servizi sanitari Regionali)

Giuseppe Quintavalle* - Direttore Generale ASL Roma 1

Paola Facchin - Coordinatrice Tavolo Tecnico Interregionale Malattie Rare

Luca Sangiorgi - Coordinatore Europeo ERN BOND (European Reference Network for Rare Bone Disorders)

Raffaele Migliorini* - Responsabile Coordinamento Generale Medico Legale INPS (Istituto Nazionale della Previdenza Sociale)

Marcello Cattani - Presidente Farminindustria

Enrico Piccinini - Coordinatore Gruppo Tecnico Malattie Rare, Farminindustria

15.45 **Secondo Workshop**

La gestione delle Malattie Rare: cooperazione con il Brasile alla luce del G20 2024

MODERATORI: Silvio Ferrari (Multicare Pharmaceuticals - San Paolo, Brasile),

Giovanni Leonardi (Capo del Dipartimento della salute umana, della salute animale e dell'ecosistema (One Health) e dei rapporti internazionali - Ministero della Salute)

Intervengono:

Sergio Iavicoli - Ministero della Salute

Natan Monsores* - General Coordination of Rare Diseases, Ministry of Health of Brazil

João Batista Da Silva Junior* - Regulatory Expert in Blood, Tissues, Cells, Organs, and Advanced Therapy Medicinal Products - ANVISA (Agência Nacional de Vigilância Sanitária, Brasile)

Ambasciatore del Brasile in Italia

Robert Giovanni Nisticò* - Presidente Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)

Eduardo Krueger Cota - Direttore Operativo Multicare Pharmaceuticals - San Paolo, Brasile

Antoine Daher - Presidente "Casa Hunter, Febrararas e Casa dos Raros" (Associazioni pazienti brasiliana)

Annalisa Scopinaro* - Presidente UNIAMO (Federazione Italiana Malattie Rare)

Francesco Macchia - Vicepresidente Osservatorio Malattie Rare (O.Ma.R)

2 case history:

- Centro specializzato Cas Dos Raros
- Associazione Casa Hunter
- Case Italiani

17.00 **Terzo Workshop**

La gestione delle Malattie Rare: dalla diagnosi, alla clinica, alla ricerca ai moderni approcci terapeutici. Confronto tra Professionisti Sanitari, Istituzioni e Ordini Professionali

MODERATORI: **Antonio Giordano*** (Presidente Sbarro Health Research Organization -SHRO),
Giovanni Esposito (Presidente Scuola di Medicina e Chirurgia dell'Università Federico II di Napoli)

Intervengono:

- **Paziente con patologie cardiovascolari**
Giuseppe Limongelli - Responsabile Centro di Coordinamento Malattie Rare Regione Campania
- **Paziente con patologie emato-oncologiche**
Stefano Cinti - Professore Associato in Chimica Analitica - Università di Napoli Federico II, Dipartimento di Farmacia
- **Paziente con patologie metaboliche**
Andrea Pession* - Presidente Società Italiana per lo Studio delle Malattie Metaboliche Ereditarie e lo Screening Neonatale
- **Paziente con patologie neuromuscolari**
Andrea Martinuzzi* - Professore di Neuropsichiatria infantile, Università di Torino, U.C Neuropsichiatria infantile AOU Città della salute e della scienza Torino
- **Paziente con patologie inerenti alla salute mentale**
Andrea Fiorillo - Presidente EPA_European Psychiatric Association
- **Il parere degli Ordini Professionali e delle Associazioni:**
Filippo Anelli* - Presidente Federazione Nazionale degli Ordini dei Medici Chirurghi e degli Odontoiatri (FNOMCEO)
Andrea Mandelli - Presidente Federazione Ordine Farmacisti Italiani (FOFI)
Barbara Mangiacavalli - Presidente Federazione Nazionale Ordini Professioni Infermieristiche (FNOPI)
Francesco De Lorenzo - Presidente Federazione italiana delle Associazioni di Volontariato in Oncologia (FAVO)
Fabrizio D'Alba* - Presidente Federsanità

18.00 **Tavola Rotonda finale**

MODERATORE: **On. Vito De Filippo**

Intervengono **Senatori e Onorevoli dell'Intergruppo Parlamentare Malattie Rare** (invitati)

Ugo Cappellacci - Presidente XII Commissione Affari Sociali Camera Deputati
Luciano Ciochetti - Vicepresidente XII Commissione Affari Sociali Camera Deputati
Paolo Ciani - Segretario XII Commissione Affari Sociali Camera Deputati
Gian Antonio Girelli - Membro Camera Deputati XII Commissione Affari Sociali
Ylenia Lucaselli - Membro Camera Deputati e componente V Commissione Bilancio
Orfeo Mazzella - Membro Senato e componente X Commissione Affari Sociali
Guido Quintino Liris - Membro Senato e componente X Commissione Affari Sociali
Marta Schifone - Membro Camera Deputati e componente XII Commissione Lavoro Pubblico e privato
Francesco Silvestro - Membro Senato e componente X Commissione Affari Sociali
Ylenia Zambito - Membro Senato e componente X Commissione Affari Sociali

Intervento di chiusura

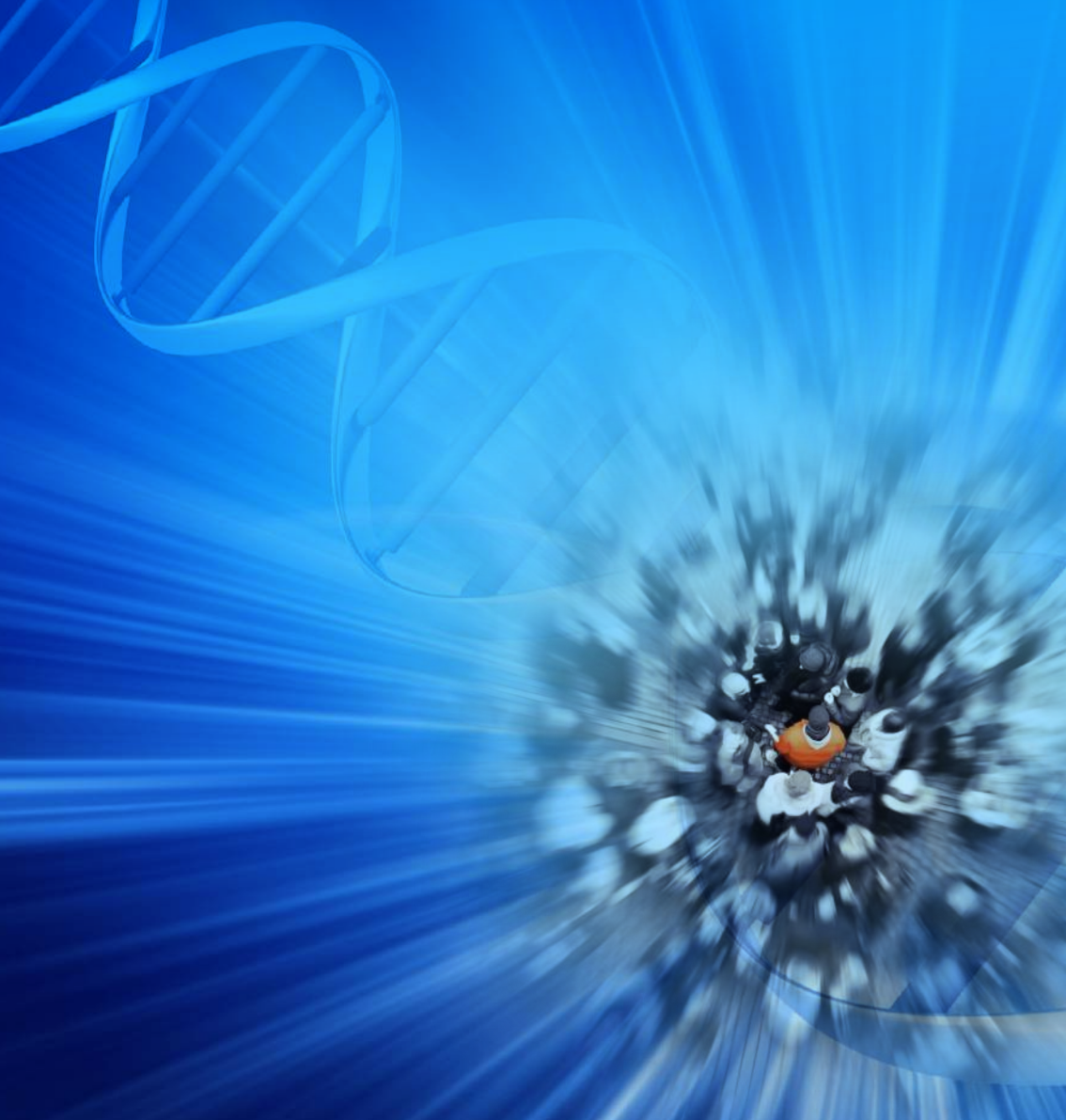
On. Marcello Gemmato* - Sottosegretario di Stato alla Salute

18.30 Chiusura evento

* In attesa di cortese conferma

ROMA ore 13.30-18.30

25 Novembre 2024
Palazzo Baldassini



Segreteria Organizzativa

SUMMEET
INSTITUTIONAL & ADVICE

Via Paolo Maspero, 5 | 21100 Varese | Tel. +39 0332 231416 | www.summeet.it