

PROGRAMMA

# GRANDANGOLO MULTIDISCIPLINARE SULLE MALATTIE RARE

con il Patrocinio di:



con il coinvolgimento di:



**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**

IRCCS Istituto clinico Humanitas Rozzano

**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 Appropriatazza 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](mailto:katia.suella@fenix-srl.it)