



PROGETTO
OSSERVATORIO
MALATTIE RARE

L'esperto risponde: Il punto di vista dei pazienti



Catanzaro, 9 giugno 2015

Renza Barbon Galluppi
Presidente UNIAMO F.I.M.R. onlus



Missione

**Migliorare la qualità della vita delle
persone colpite da malattia rara,
attraverso l'attivazione,
la promozione
e la tutela dei diritti vitali dei malati rari
nella ricerca,
nella bioetica,
nella salute,
nelle politiche sanitarie
e socio-sanitarie**

Gli obiettivi comuni

Costruire una **strategia europea unica globale integrata a lungo termine** rispondente ai bisogni delle persone affette da patologie rare in tutta l'Europa **capace di mettere a sistema la complessità degli interventi**

UNIAMO F.I.M.R. onlus le 4 maggiori dimensioni

Advocacy
Tutela dei diritti
Empowerment

Informazione
formazione
& rete

**La presa in
carico**

Politiche sanitarie,
Politiche
socio-sanitarie e
sociali &
Servizi Sociali
inclusivi

Ricerca,
Farmaci &
Terapie

Una strategia in linea con le raccomandazioni europee

Alcuni esempi di azioni realizzate e/o in corso di realizzazione:

I. PIANI E STRATEGIE NEL SETTORE DELLE MALATTIE RARE

I. Europlan I e Europlan II

II. DEFINIZIONE, CODIFICAZIONE E INVENTARIAZIONE ADEGUATI DELLE MALATTIE RARE (informazione e formazione)

1. Conoscere per assistere

III. RICERCA SULLE MALATTIE RARE

1. Il Codice di Atlantide

2. Attivamente insieme per la ricerca

3. Determinazione rara

4. Carosello

IV. CENTRI DI COMPETENZE E RETI EUROPEE DI RIFERIMENTO PER LE MALATTIE RARE

1. Una community per le malattie rare I e Una community per le malattie rare II

V. RIUNIRE A LIVELLO EUROPEO LE COMPETENZE SULLE MALATTIE RARE

VI. RESPONSABILIZZAZIONE DELLE ORGANIZZAZIONI

1. Momo, Dumbo, Determinazione rara, ...

VII. SOSTENIBILITÀ

1. Carosello

Accordo Stato – regioni 2007

- che le Regioni alimentino il registro nazionale con il seguente set minimo di dati, riferiti al paziente al momento del riconoscimento dell'esenzione per malattia rara:

- identificativo univoco dell'utente, corredato dalle restanti informazioni dell'anagrafica standard dei flussi informativi sanitari;
- condizione: vivo – morto (specificare la data del decesso);
- diagnosi della patologia (definita in base al codice di esenzione del DM n. 279/2001);
- Regione, ente, struttura (codici nazionali standard) che ha effettuato la diagnosi;
- data di esordio della malattia;
- data della diagnosi;
- farmaco orfano erogato;

- sull'attivazione di un Tavolo, cui partecipa il Ministero della salute, l'AIFA e le Regioni, volto a definire le problematiche connesse all'erogazione dei farmaci orfani ai pazienti in trattamento e segnalati al Registro nazionale con le modalità sopra descritte;

- sulla necessità di sviluppare protocolli o algoritmi diagnostico-terapeutici che definiscano i percorsi assistenziali del paziente affetto da malattia rara e documentino l'adozione di procedure organizzative che prevedano l'approccio interdisciplinare al paziente, l'integrazione con i servizi territoriali ed il medico di medicina generale/pediatra di libera scelta per l'erogazione dell'assistenza in ambito domiciliare o nel luogo più vicino all'abitazione del paziente e l'attività di follow up a distanza.

Assistenza territoriale

<i>Prestazione usufruite negli ultimi 12 mesi</i>	<i>% di chi ne ha usufruito</i>	<i>Parzialmente o totalmente a carico?</i>	<i>Costo medio annuale</i>
Esami clinici	80,5%	26,0%	642 €
Interventi riabilitativi	66,8%	33,6%	1.350 €
Farmaci	63,2%	42,7%	400 €
Protesi/ausili/presidi sanitari	42,1%	32,5%	550 €
Assistenza psicologica ai familiari	24,7%	44,4%	1.000 €
Integratori alimentari / alimenti particolari	23,7%	82,2%	400 €
Terapia occupazionale	21,1%	44,2%	1.800 €

Fonte UNIAMO FIMR onlus – progetto Diaspro Rosso” 2012

Determinazione Rara: la struttura dell'iniziativa

Da novembre 2013 a aprile 2014

Organizzate in 6 moduli: 2 moduli per ciascuna sessione formativa

3 SESSIONI

Sessione A: Proattività del paziente e aggiornamento sugli studi clinici di ricerca

Sessione B: La cura: non solo farmaci

Sessione C: Registri di malattia rara:
un circolo vizioso tra dati informativi e conoscenze scientifiche



Sessione b: la cura

Non solo farmaci

Indagine conoscitiva sull'utilizzo off-label

Obiettivi dell'indagine: raccogliere informazioni non solo su quali farmaci siano utilizzati «off-label» ma anche sul processo di assunzione (informazione, consapevolezza, consenso informato, rischi, supporti, ...)

Metodologia di rilevazione: indagine on-line, con questionario rivolto ai presidenti delle associazioni

- ✓ Mailing alle associazioni con link alla compilazione del questionario elaborato per l'iniziativa «Determinazione Rara»
- ✓ Periodo di rilevazione: 14 novembre 2013 - 20 dicembre 2013

Sessione b: 1)

Indagine conoscitiva sull'utilizzo off-label

Farmaco	Patologia	Età pediatrica	Età adulta
Anakinra	Malattie auto-infiammatorie (FMF, TRAPS, CAPS, HIDS, PFAPA, CRMO...)	si	si
Benzilpenicillina benzatinica	PANDAS: Pediatric Acute Neuropsychiatric Disorders Associated with A Streptococci	si	si
Broncovaleas	Atrofia muscolare spinale (SMA); Sindrome di Aicardi-Goutieres; Epidermolisi Bollosa Distrofica; Associazione Charge	si	si
Canakinumab	Malattie auto-infiammatorie (FMF, TRAPS, CAPS, HIDS, PFAPA, CRMO...)		si
Ciclosporina	Patologie demielinizzanti di origine autoimmunitaria		si
Cymbalta	Malformazione di Chiari e Siringomielia		si
Dasatinib	Tumore Stromale Gastrointestinale (GIST)	si	si
Fibrase	Cistite interstiziale		si
Idebenone	Malattie mitocondriali	si	si
Laroxyl	Cistite interstiziale		si
Lyrca	Sindrome da Cisti di Tarlov		si
Methotrexate	Malattie reumatiche infantili	si	si



Sessione b: 2)

Indagine conoscitiva sull'utilizzo off-label

Farmaco	Patologia	Età pediatrica	Età adulta
Naltrexone (Ldn a basso dosaggio galenico orale)	M.E./CFS Encefalomielite mialgica/ sindrome da fatica cronica / Fibromialgia (FM)	si (gel)	si
Nilotinib	Tumore Stromale Gastrointestinale (GIST)	si	si
Normast	Sindrome da Cisti di Tarlov		si
Olanzapina	Malattia di Huntington, Demenze correlate alla malattia di Huntington, Atassie Dominanti		si
Pantetina	NBIA (Neurodegenerazione da Accumulo di Ferro)	si	si
Riluzolo	Malattia di Huntington, Demenze correlate alla malattia di Huntington, Atassie Dominanti		si
Sorafenib	Tumore Stromale Gastrointestinale (GIST)	si	si
TAD 600 (glutazione)	Sensibilità chimica multipla, Encefalomielite mialgica, Sindrome da fatica cronica, Fibromialgia ed altre patologie correlate alla presenza di fattori tossico-ambientali		si



Sessione b: 3)

Indagine conoscitiva sull'utilizzo off-label

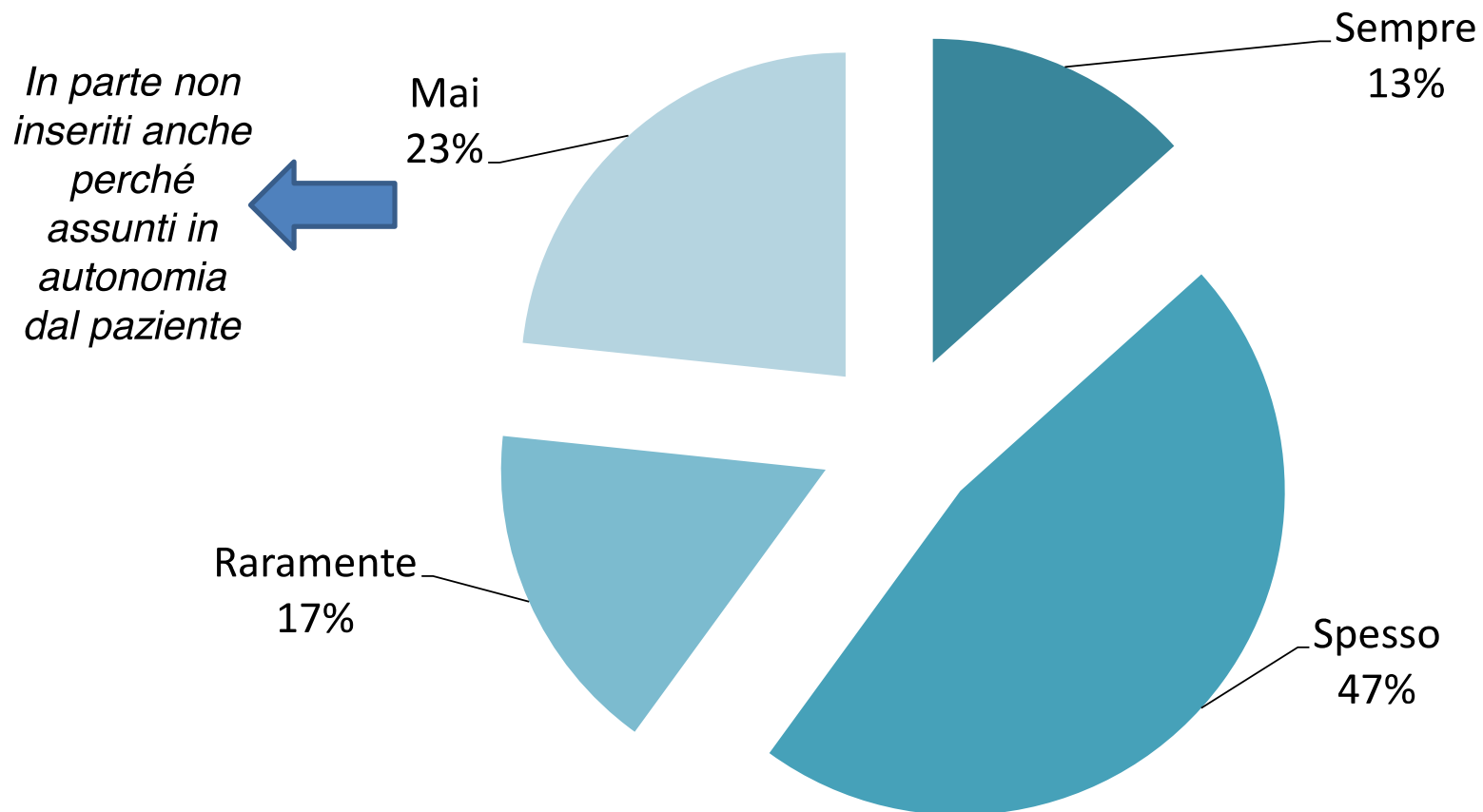
Farmaco	Patologia	Età pediatrica	Età adulta
Ig endovena	Patologie demielinizzanti di origine autoimmunitaria	si	si
Ig endovena	PANDAS: Pediatric Acute Neuropsychiatric Disorders Associated with A Streptococci	si	si
Ig sottocute	Patologie demielinizzanti di origine autoimmunitaria	si	si
Coenzima Q10	Malattie mitocondriali	si	si
Coenzima Q10 mg.100	Sensibilità chimica multipla, Encefalomielite mialgica, Sindrome da fatica cronica, Fibromialgia ed altre patologie correlate alla presenza di fattori tossico-ambientali		si
Creatina	Malattia di Huntington, Demenze correlate alla malattia di Huntington, Atassie Dominanti	si	si
Pelvilen	Cistite interstiziale	si	si
Riboflavina	Malattie mitocondriali	si	
Vitamina C gr.1	Sensibilità chimica multipla, Encefalomielite mialgica, Sindrome da fatica cronica, Fibromialgia ed altre patologie correlate alla presenza di fattori tossico-ambientali		si
Medicinali omeopatici	PANDAS: Pediatric Acute Neuropsychiatric Disorders Associated with A Streptococci	si	si

Sessione b: 4)

Indagine conoscitiva sull'utilizzo off-label

Quanto spesso l'utilizzo di questo farmaco viene inserito nel Piano Terapeutico Assistenziale della persona con malattia rara?

(n=30)



Sessione b: 5)

Indagine conoscitiva sull'utilizzo off-label

- Quanto spesso l'utilizzo di questo farmaco viene inserito nel Piano Terapeutico Assistenziale della persona con malattia rara?

Raramente

- Anakinra
- Benzilpenicillina benzatinica
- Canakinumab
- Ciclosporina
- Cymbalta

Mai

- Dasatinib
- Nilotinib
- Pantetina
- Sorafenib
- Ig endovena
- Medicinali omeopatici

Anche se spesso prescritti dal medico del Centro di competenza

Sessione b: 6)

Indagine conoscitiva sull'utilizzo off-label

- Indipendentemente da chi ne ha consigliato l'utilizzo "off-label", quanto spesso la persona con malattia rara ne ha parlato con il proprio medico di riferimento (medico di famiglia e/o medico del centro di competenza?)

Raramente

- Anakinra
- Cymbalta
- Fibrase
- Datasinib
- Olanzapina
- Nilotinib
- Sorafenib
- Creatina
- Coenzima Q10 mg.100

Mai

- Broncovaleas



Sessione b: 7)

Indagine conoscitiva sull'utilizzo off-label

Dato che il farmaco non è approvato per questa indicazione specifica, Le sono stati segnalati dei problemi per ottenerlo nel corso degli ultimi 12 mesi?

- Sì, in più di un caso su due (56,7%)
 - Soprattutto di complessità delle procedure e di lunghezza dei tempi di erogazione
 - Soprattutto differenze regionali e/o fra ASL all'interno della stessa regione (in 8 casi su 10 dei casi che hanno segnalato problemi)

La partnership del progetto

CMID - Centro di Coordinamento Rete Interregionale per le Malattie Rare del Piemonte e della Valle d'Aosta c/o ASL TO 2 Torino Ospedale S. Giovanni Bosco

SOC Centro di Coordinamento Regionale Malattie Rare c/o Azienda Ospedaliera Universitaria "Santa Maria della Misericordia"

Regione Veneto - Coordinamento Regionale MR
Comune di Venezia - Direzione Politiche Sociali, Partecipative e dell'Accoglienza

Coordinamento Malattie Rare Emilia Romagna

F.I.R.M.O. Fondazione Raffaella Becagli onlus
Comune di Firenze - Direzione Servizi Sociali
Comune di Scandicci - Assessorato alle Attività Produttive e al Commercio
Società della Salute di Firenze
Società della Salute di Nord Ovest

Provincia di Perugia

Centro Malattie Rare - U.O.C. Pediatria - P.O. A. Cardarelli – Campobasso

Regione Lazio - Direzione Regionale Salute ed Integrazione Socio Sanitaria
Ospedale Pediatrico Bambino Gesù

Regione Campania - Centro Coord.MR c/o Az. Ospedaliero Universitaria Federico II – NA
Azienda Ospedaliera di rilievo Nazionale Santobono-Pausillipon

Coordinamento Regionale Malattie Rare c/o Ares Puglia

Regione Sicilia - Assessorato alla Salute - Dip.to Regionale per la Pianificazione Strategica

Regione Basilicata - Dip.to Salute, Servizio Sanitario Regionale Sanità, Igiene Pubblica, Politiche Sociali e Socio Assistenziali



Regioni partner di progetto (dirette)



Regioni partner di progetto (indirette)

Indagine conoscitiva – regioni rispondenti



***Tutti** i Centri di Coordinamento regionali (o i referenti regionali per le malattie rare) hanno partecipato*

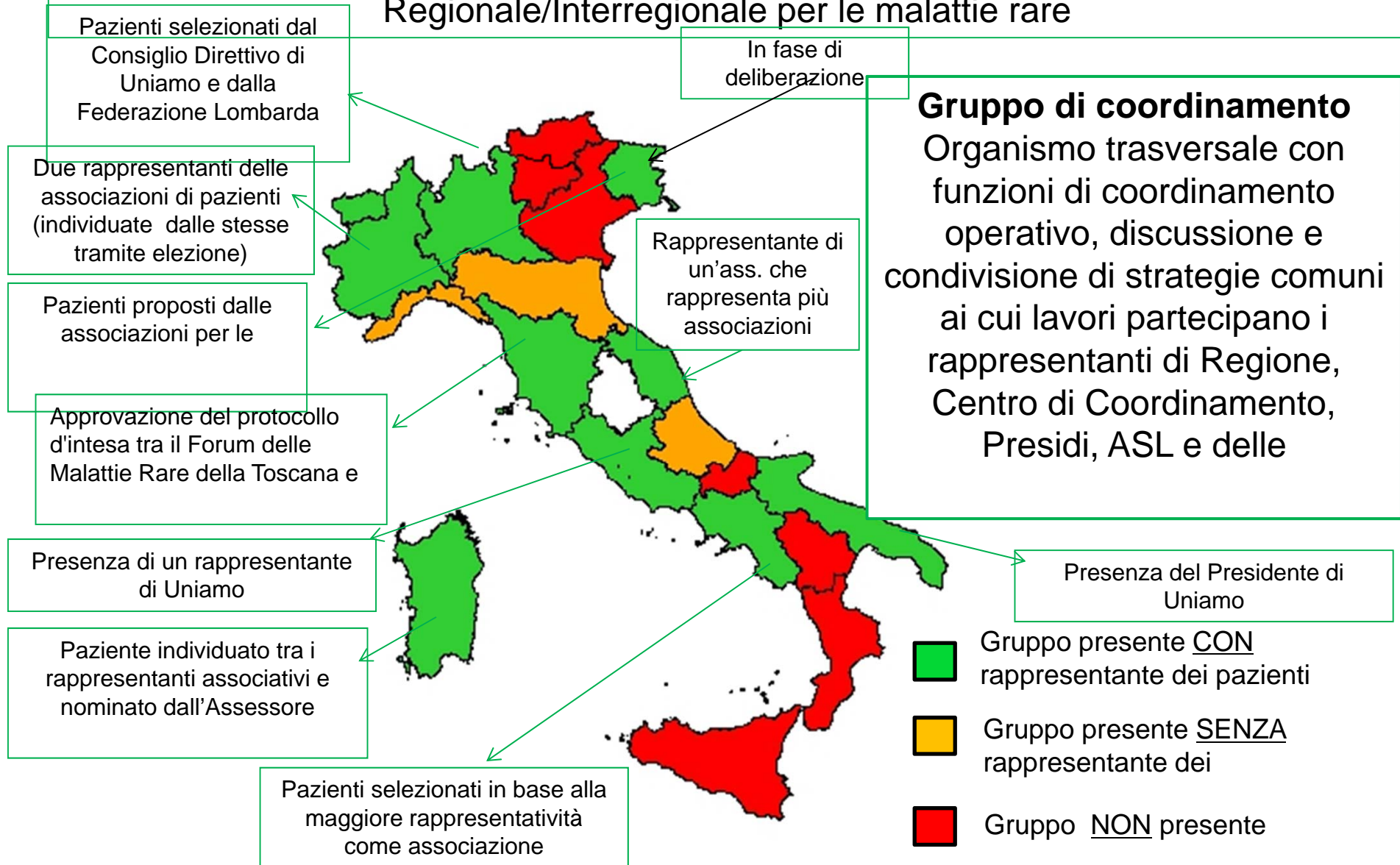
Periodo di rilevazione: 12 settembre 2014 – 18 maggio

*Periodo di riferimento dei dati: **anno 2014***

Regioni in piano di rientro
Molise, Campania, Lazio,
Calabria, Sicilia, Piemonte,
Puglia, Abruzzo

Governance Regionale delle Malattie Rare

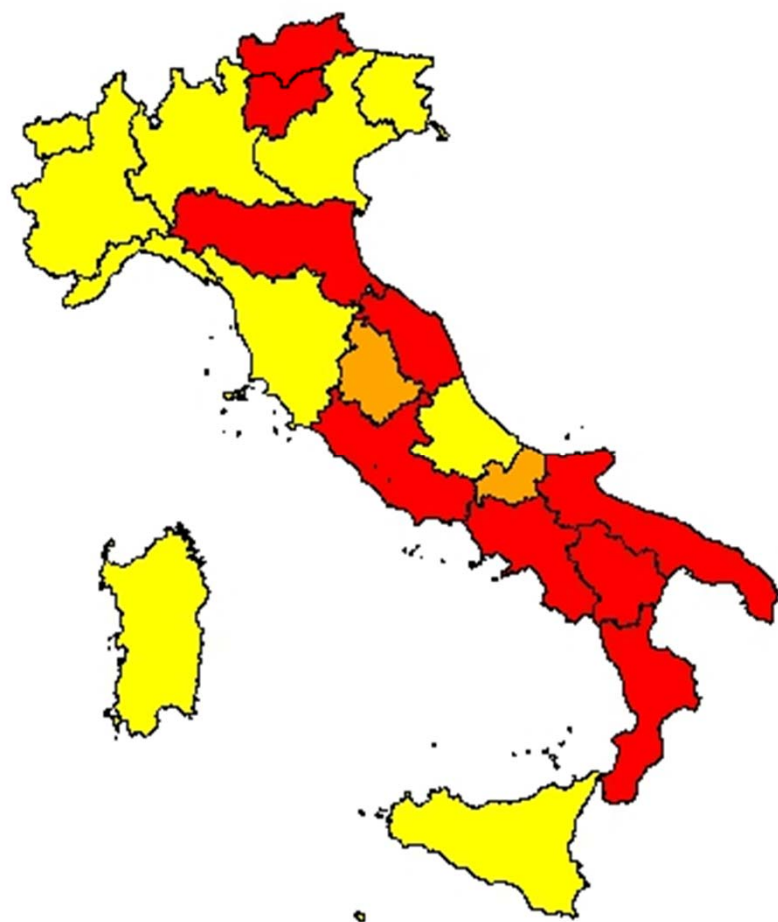
Definizione di un **Gruppo di Coordinamento** Regionale/Interregionale per le malattie rare







Programmazione Regionale delle Malattie Rare



Presenza di un **Piano Regionale per le Malattie Rare** o di un capitolo dedicato alle malattie rare nel Piano Sanitario/Socio – Sanitario Regionale Programmazione Regionale delle Malattie Rare



-  Presenza di un PRMR
-  Presenza di un capitolo dedicato alle MR nel Piano Sanitario
-  Presenza di un capitolo dedicato alle MR nel Piano Sanitario (in via di approvazione)
-  NON è presente né un PRMR né un capitolo dedicato alle MR nel Piano Sanitario

Gli obiettivi comuni

Accordo Stato – regioni dell'8 luglio 2010

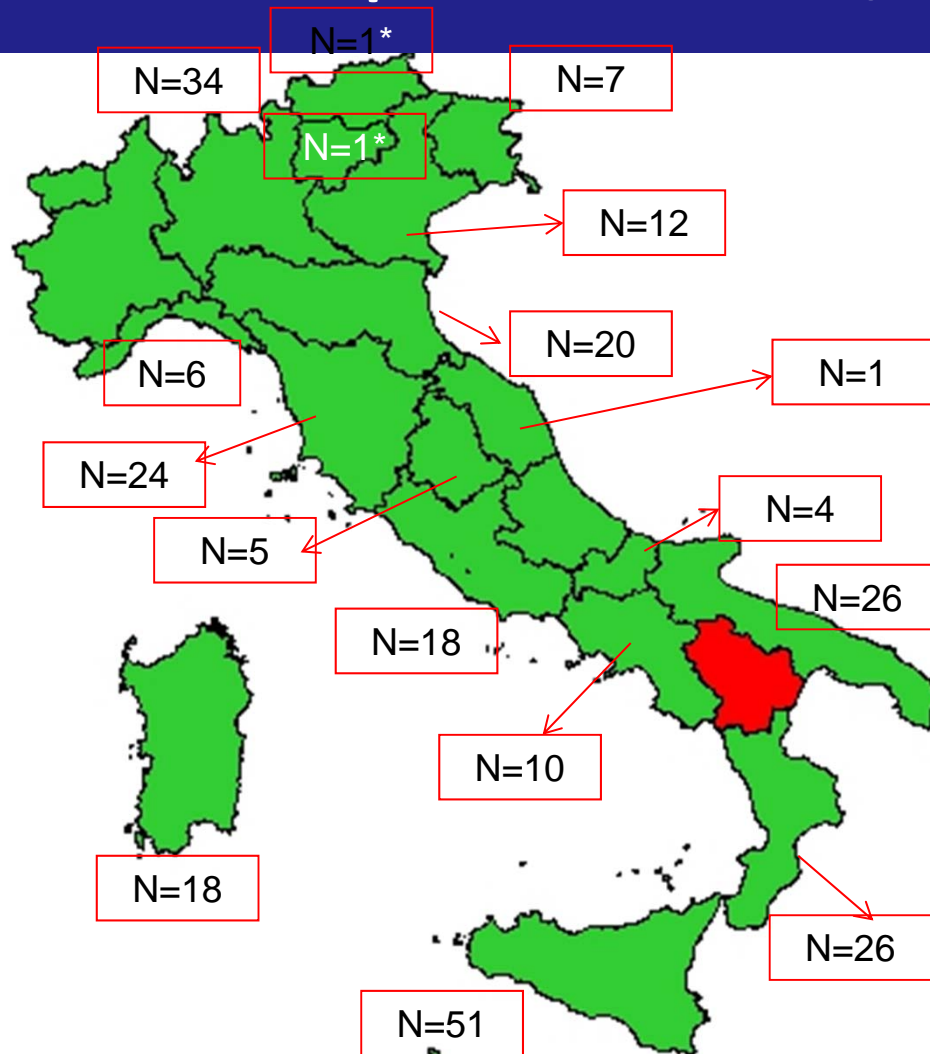
Utilizzo delle risorse vincolate, ai sensi dell'articolo 1, commi 34 e 34bis, della legge 23 dicembre 1996, n. 662, per la realizzazione degli obiettivi di **carattere prioritario e di rilievo nazionale per l'anno 2010**
Quota vincolata per progetti per le Malattie Rare € 20.000.000,00 ripartita in base alla popolazione di riferimento


L'accresciuta attenzione al problema ha portato a numerosi interventi utili :
il livello centrale è stato sensibile alle necessità dei malati e si è adoperato per migliorare il livello di tutela garantito nell'ambito della proposta di revisione dei LEA, **le Regioni si sono mostrate attive nel migliorare l'offerta assistenziale individuando i presidi della rete per le MR .**


Tuttavia, resta ancora da costruire un assetto organizzativo organico a livello nazionale che sia in grado di assicurare a ciascun paziente un percorso di diagnosi e, quando possibile, di cura, con la garanzia che ciò avvenga secondo i protocolli o le indicazioni delle specifiche strutture che dispongono di esperienze consolidate per quella specifica MR o, addirittura, presso di esse.

Troppo spesso il MMG, il PLS o lo specialista privi, per la rarità della malattia, della esperienza necessaria a cogliere ed interpretare una sintomatologia complessa, hanno difficoltà a formulare un sospetto diagnostico, con conseguenti ritardi nella diagnosi e nell'approccio terapeutico, **così come troppo spesso le persone affette da MR sono assistite in maniera inappropriata perché gli specialisti che le seguono hanno difficoltà a stabilire rapporti di collaborazione con le strutture dotate di effettive e specifiche competenze verso cui indirizzare il paziente per la formulazione del piano di trattamento e ad avvalersi della consulenza degli esperti per la gestione quotidiana della malattia .**

I presidi della rete/i Centri di Competenza



 Definizione dei requisiti per i Centri di Competenza

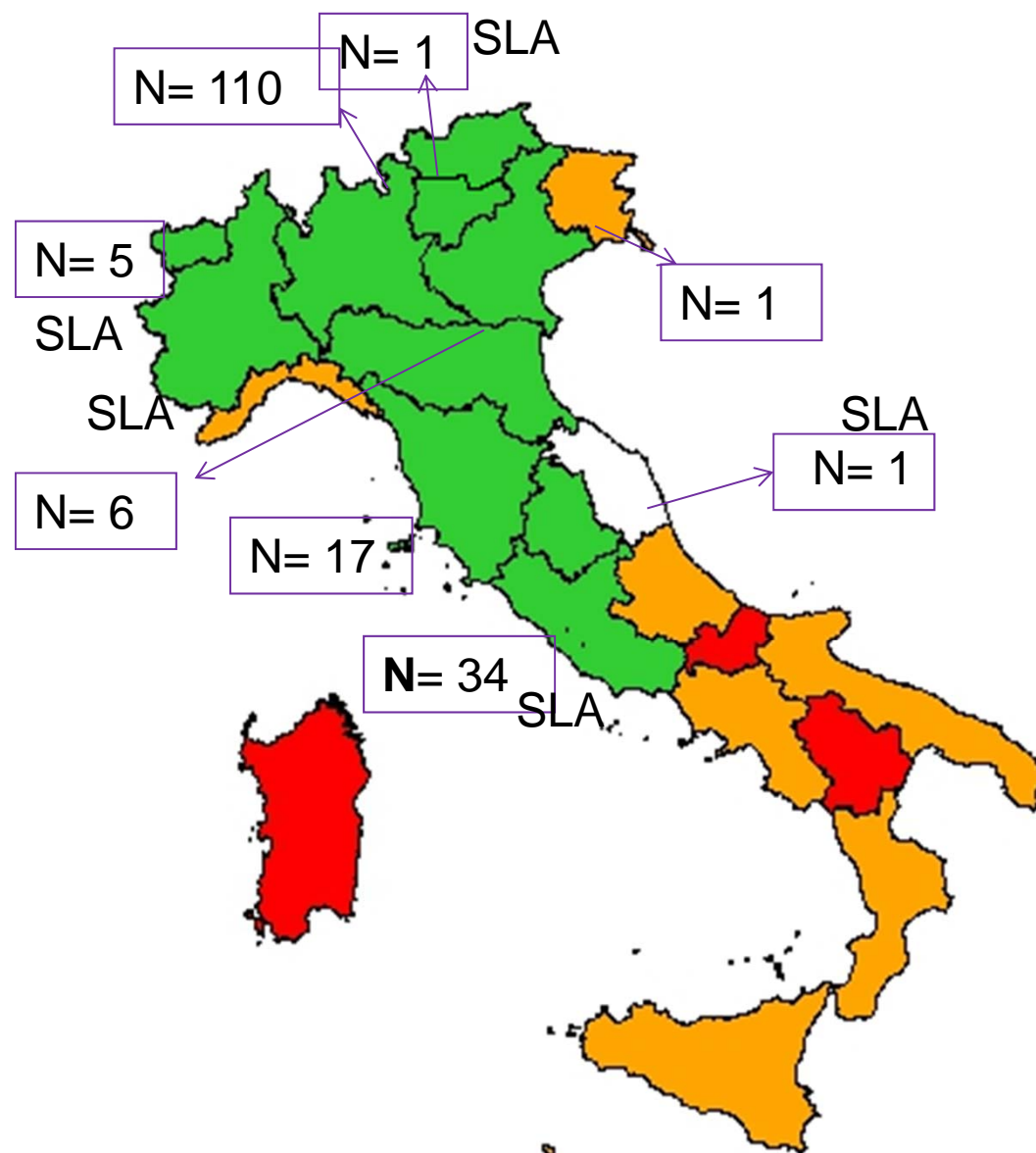
 Nessuna definizione dei requisiti per i Centri di Competenza

*“I **Centri di Competenza** sono unità funzionali, costituiti da una o più unità organizzative/operative, dove si gestisce il percorso diagnostico per giungere il più precocemente possibile all'individuazione della patologia e dove si definisce il percorso socio-sanitario globale individuale della persona con malattia rara.*

Tali Centri devono garantire competenze specialistiche multidisciplinari diagnostiche, terapeutiche e assistenziali, finalizzate al mantenimento delle funzioni e dell'autonomia, alla qualità della vita, alla dignità della persona e all'inserimento nei diversi contesti familiari e sociali. Devono quindi necessariamente avere un ampio bacino d'utenza e sviluppare ricerca clinica. I Centri di Competenza devono mantenere i legami tra le azioni poste in atto dai diversi attori coinvolti nell'assistenza comprese le reti ospedaliere e quelle territoriali per l'assistenza primaria e riabilitativa, mantenere la storia clinica e l'evoluzione sanitaria del malato anche nel passaggio tra età pediatrica ed età adulta.”

*Fonte: Progetto «Una community per le **malattie rare**» (Agenas)*

Percorsi Diagnostico Terapeutico Assistenziale (PDTA)



Percorsi Diagnostici Terapeutici Assistenziali (PDTA) sono uno strumento di gestione clinica usato per definire il migliore processo assistenziale finalizzato a rispondere a specifici bisogni di salute, sulla base di raccomandazioni riconosciute (linee guida) adattate al contesto locale. Scopo dei PDTA è di favorire l'integrazione fra gli operatori, ridurre la variabilità clinica, contribuire a diffondere la medicina basata sulle evidenze, utilizzare in modo congruo le risorse e permettere di valutare le prestazioni erogate mediante indicatori.
Fonte: Rapporto Finale Europlan 2012-2015

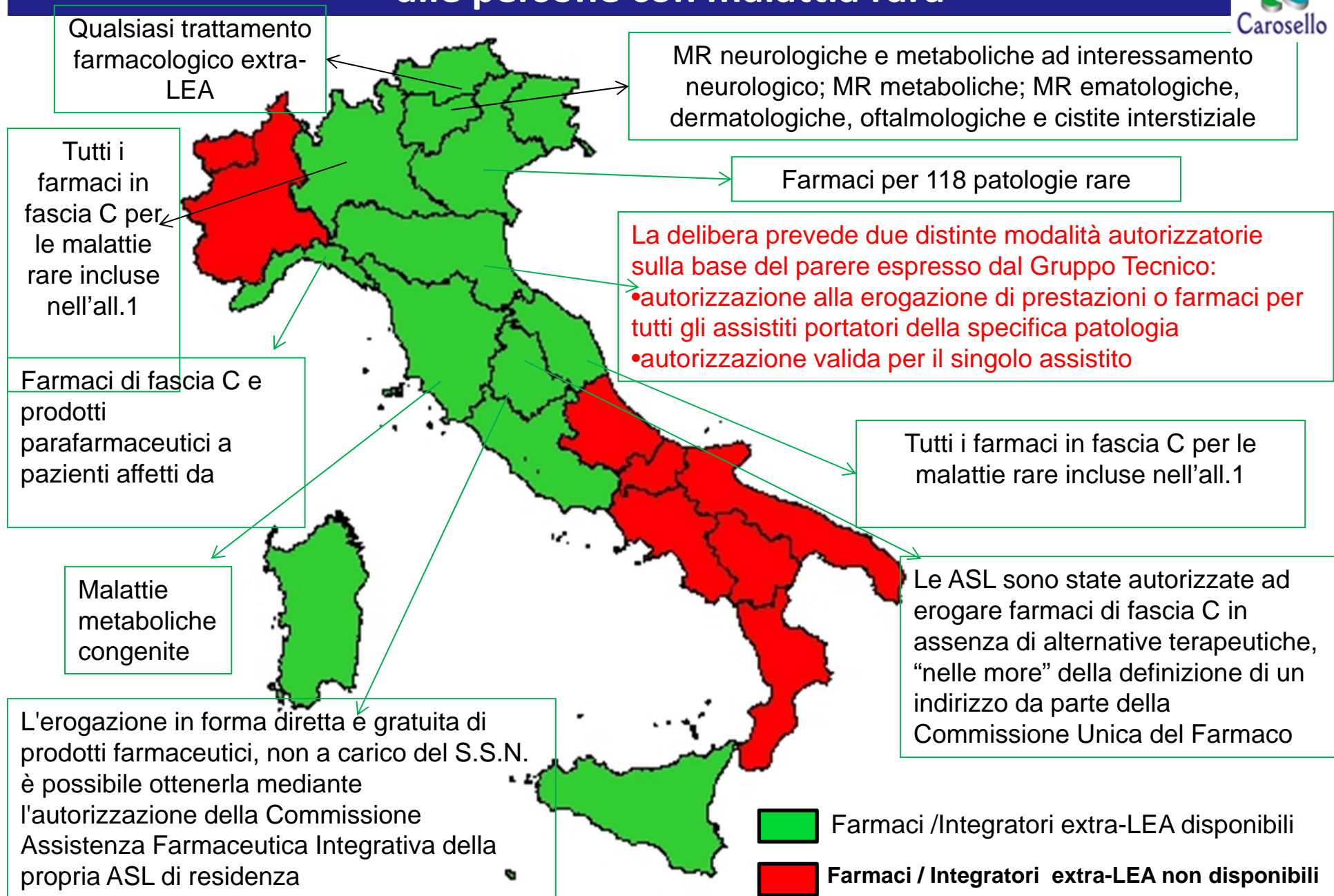
- PDTA definiti
- PDTA in via di definizione
- PDTA non definiti

La agevolazioni di cui al DM 279/2001 sono state estese ad altre patologie rare oltre a quelle di cui all'Allegato A?



REGIONE	PER QUALI PATOLOGIE?
Basilicata	(12) Sensibilità chimica multipla , Sindrome di Sjogren, Sarcoidosi polmonare, Cistinuria, Siringomielia e Siringobulbia , Sindrome di Gorham Stout; Malattia di Bechet, Cheratoderma Palmo Plantare di Unna Thost, Sindrome Gilles de la Tourette, Sindrome Sistemica da allergie al nichel, Cisti di Tarlov, Elettrosensibilità
Lazio	(1) Sensibilità chimica multipla
Toscana	(86) Siringomielia e Siringobulbia + altre 85 patologie
Marche	(30) Siringomielia + altre 29 patologie
Piemonte/ Valle d'Aosta	Siringomielia e Siringobulbia + 50 patologie

Prescrizione, impiego ed erogazione di farmaci e integratori extra-LEA alle persone con malattia rara



Prescrizione, impiego ed erogazione di farmaci e integratori extra- LEA alle persone con malattia rara

Forte differenziazione fra le Regioni per:

Tipologia di farmaci disponibili: tutti i farmaci in fascia C vs. solo alcuni farmaci

Patologie per le quali sono rese disponibili: tutte le patologie di cui al DM 279/2001 vs. solo alcune patologie

Eventuale verifica dei requisiti:

tutte le persone con una MR vs. solo le persone con una MR e determinate caratteristiche (su base individuale)

assenza di alternative terapeutiche

Modalità di autorizzazione

Prescrizione, impiego ed erogazione di farmaci OFF-LABEL alle persone con malattia rara

MR neurologiche e metaboliche ad interessamento neurologico; MR metaboliche; MR ematologiche, dermatologiche, oftalmologiche e cistite interstiziale

La delibera prevede due distinte modalità autorizzatorie sulla base del parere espresso dal Gruppo Tecnico :

- autorizzazione alla erogazione di prestazioni o farmaci per tutti gli assistiti portatori della specifica patologia
- autorizzazione valida per il singolo assistito


Erogati gratuitamente se indicati nel piano terapeutico

Lo specialista del Presidio può prescrivere un farmaco *off-label*, inserendolo nel Piano Terapeutico

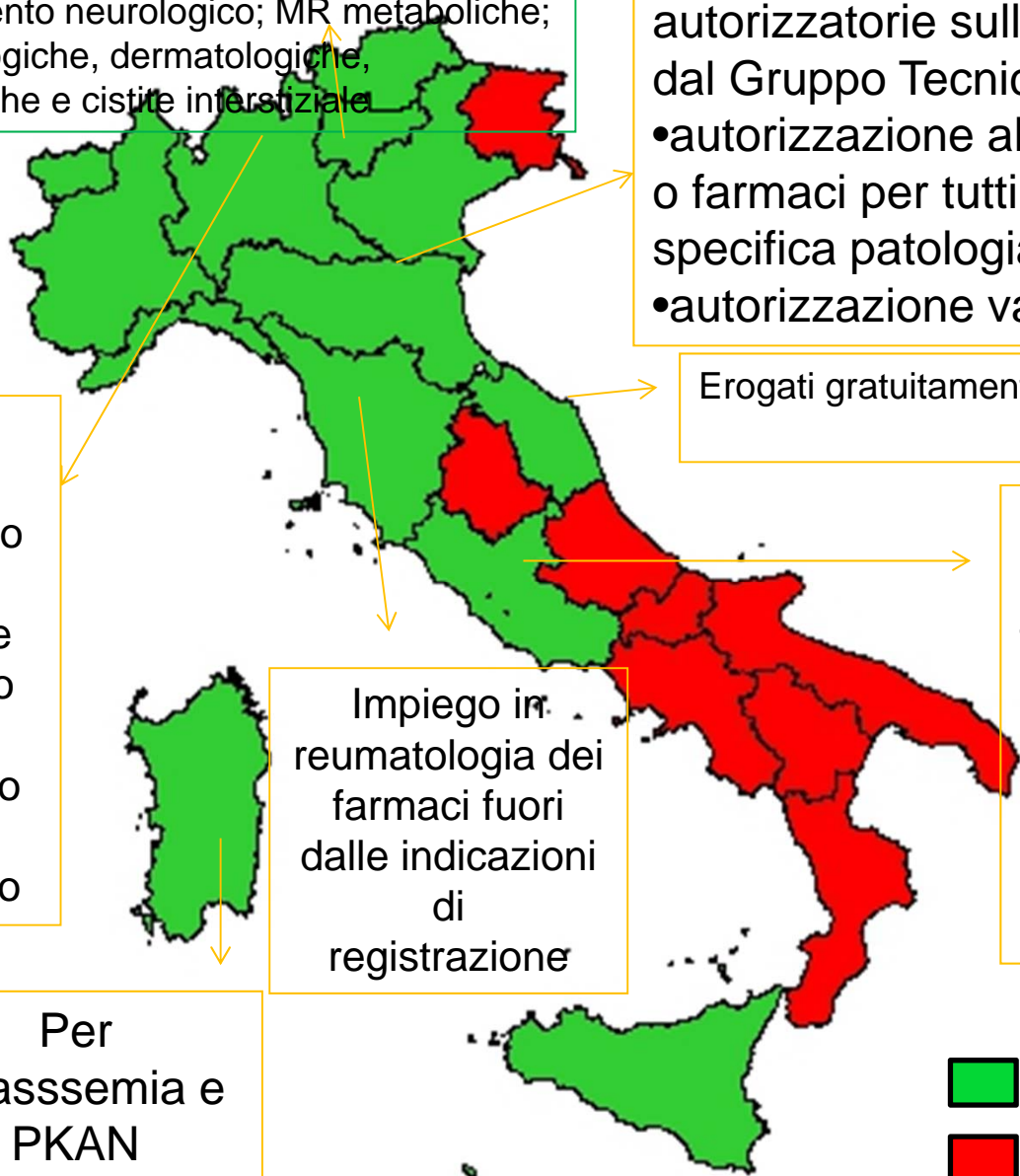
Impiego in reumatologia dei farmaci fuori dalle indicazioni di registrazione

L'erogazione in forma diretta e gratuita di prodotti farmaceutici, non a carico del S.S.N. e OFF-LABEL è possibile ottenerla mediante l'autorizzazione della Commissione Assistenza Farmaceutica Integrativa della propria ASL di residenza

Per Talassemia e PKAN

 Farmaci OFF _ LABEL disponibili

 Farmaci OFF _ LABEL non disponibili



Provvedimenti per rendere disponibili ausili e protesi extra-LEA alle persone con malattia rara



Per le malattie rare esenti incluse nell'all.1

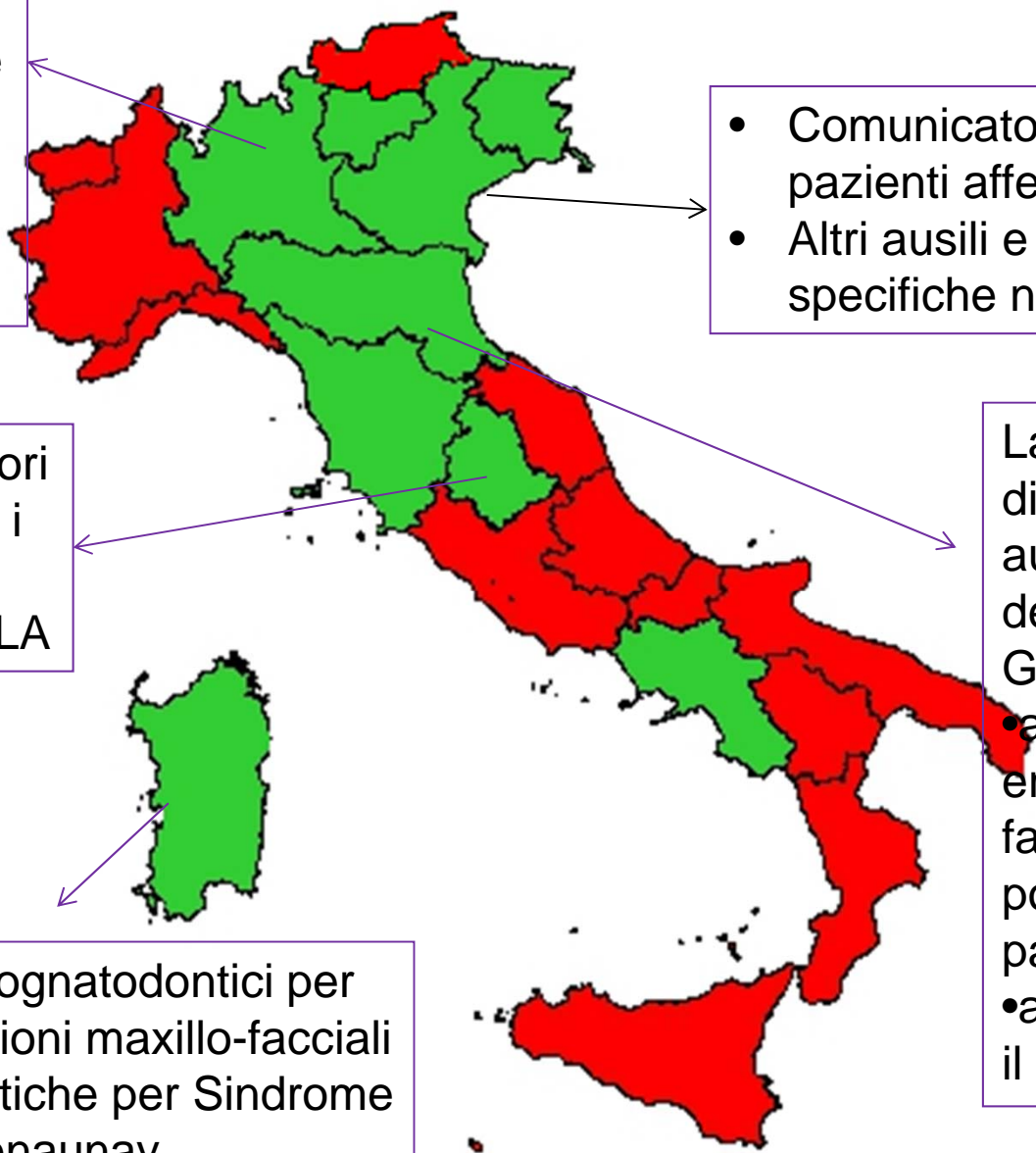
- Comunicatori vocali per i pazienti affetti da SLA
- Altri ausili e protesi secondo specifiche necessità individuali

Comunicatori vocali per i pazienti affetti da SLA

La delibera prevede due distinte modalità autorizzatorie sulla base del parere espresso dal Gruppo Tecnico :

- autorizzazione alla erogazione di prestazioni o farmaci per tutti gli assistiti portatori della specifica patologia
- autorizzazione valida per il singolo assistito

- Protesi ortognatodontici per Malformazioni maxillo-facciali
- Calze elastiche per Sindrome Klippel-Trenaunay

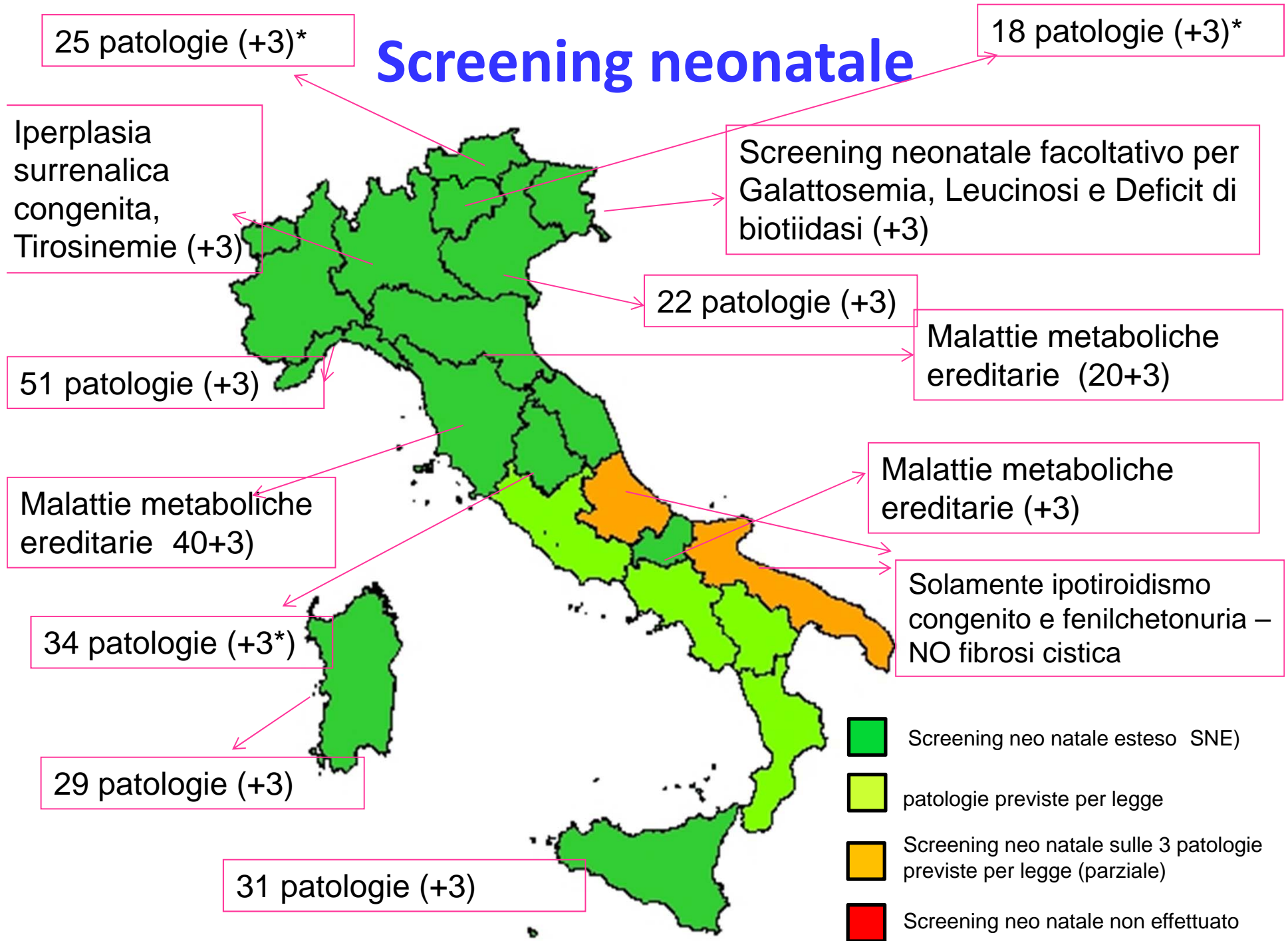


Contributi economici specifici da parte della Regione alle persone con malattia rara



Regione		Patologia	Anno
Lombardia	SI	Buono per persone con disabilità gravissime, erogato dalle ASL	2013
Umbria	SI	SLA	2011
Puglia	SI	SLA	2009
		malattie rare codificate (IV priorità con Barthel >90)	2014
Lazio	SI	SLA	2013
Toscana	SI	SLA	2013
Marche	SI	SLA	2011
Veneto	SI	Mucopolisaccaridosi e malattie lisosomiali affini	2007
		SLA	2012
Sardegna	SI	Rimborsi spese viaggio per recarsi al centro. Solo entro il territorio regionale. Su base reddituale	1983
PA TRENTO	SI	Assistenza a domicilio per Malattie rare a interessamento neurologico altamente invalidanti	2012
		FKT a domicilio per Malattie rare a interessamento neurologico altamente invalidanti	2012
		FKT pediatrica	2012
Liguria	SI	SLA – malattia Motoneurone	2012

Screening neonatale



Conclusioni

UNIAMO F.I.M.R onlus
i 3 ambiti di intervento:

1.Assistenza

2.Ricerca

3.Responsabilità sociale

Malattie rare: una sfida di sanità pubblica

1. Assistenza: alta complessità assistenziale
/ multidisciplinare

Dal presidio della rete alle ERN

Accessibilità alla cura

2. Ricerca: di base / clinica / transazionale

L'importanza del dato: Registri di malattia /
biobanche / trials clinici

3. Responsabilità sociale: Empowermen
organizzativo

Grazie per l'attenzione

A.L.T. - Ferrara Associazione Lotta alla Talassemia di Ferrara A.T.D.L. - Ass. Talassemici Lombardi A.MA.PO. - Ass. Malati di Porfiria Onlus A.I.S.A.C. - Ass. perm l'informazione e lo studio dell'Acondroplasia A.F.A.D.O.C. - Ass. Famiglie di Soggetti co Deficit dell'Ormone della Crescita e altre Patologie A.I.C.I. - Ass. It. Cistite Interstiziale A.P.M.M.C. - Ass. Prevenzione Malattie Metaboliche Congenite P.X.E. ITALIA - Ass.PseudoXantoma Elastico A.I.P. - BRESCIA Ass. Immunodeficienze Primitive Onlus A.I.L.U. - Ass. It. Leucodistrofie Unite A.S.T. - Ass. Sclerosi Tuberosa AIMEN 1 e 2 Ass.Neopl.End.Mult.T. 1 e 2 A.M.R.I. - Ass. per le Mal.Reum.Infantili Ass. Naz. ALFA 1 AT I.A.G.S.A. - International Aicardi Goutières Syndrome Association Onlus I.A.L.C.A.. UN.IT.I - Unione It. ITTIOSI A.I.S.W. - Ass. It. Sindrome di WILLIAMS AT Ass. Naz. Davide De Marini I.R.I.S. Ass. Siciliana Malattie Ereditarie Metaboliche A.I.S.M.E. Ass. It. Studio Malformazioni Epilessia - Onlus Aldel 22 - Ass. It. Delezione del Cromosoma 22 A.I.M.A.R. - Ass. It. per le Malformazioni Anorettali A.I.R. - Ass. It. Rett A.I.F. Ass. It. FAVISMO Ass. RETE MALATTIE RARE Onlus A.I.S.P. - Ass. It. Sindrome di Poland A.I.N.P. - Ass. It. Niemann Pick F.O.P. - Ass. Italia Fibrodiplosia Ossificante progressiva A.I.S.N.A.F. - Ass. It. Sindromi Neurodegenerative da Accumulo di Ferro A.I.F.P. - Ass. It.Febri Periodiche A.I.S.M.M.E. - Ass. It. Studio Malattie Metaboliche Ereditarie H.H.T. Fondazione It. HHT Onilde Carini A.C.A.R. - Associazione conto alla rovescia DEBRA Italia onlus A.S.C.E. - Ass. Sarda Coagulopatici Emorragici Angeli Noonan - Ass. Ita. Sindrome di Noonan onlus Associazione IL CIGNO A.N.A.A. - Ass. Nazionale Alopecia Areata Ass. LA VITA E' UN DONO A.M.E.I. Ass. per le Malattie Epatiche Infantili A.E.L. - Associazione Emofilici del Lazio SOD Italia - Ass. It. Displasia Setto Ottica e Ipoplasia del Nervo Ottico Ass. Amici dell'Emofilia Ass. It. Sindrome X Fragile Onlus A.C. - Ass.CISTINOSI L'A.P.E. onlus - Associazione PKU e... Comitato Italiano Progetto Mielina BA.CO.DI.RA.ME - Ass. del Bambino con disordini rari del metabolismo Costello- Ass. It. Sindromi Costello e Cardiofaciocutanea onlus LA GEMMA RARA onlus A.Ma.HHD onlus - Ass. malati di Hailey Hailey Disease LA NUOVA SPERANZA onlus AID Onlus - Ass. It. Discinisia Ciliare Primaria Sindrome di Kartagener AS.MA.RA. Onlus A.I.M.W. Ass. It. Mowat Wilson A.I.S.M.A.C. Onlus - Ass. Ita. Siringomielia e Arnold Chiari Ass. It. Sindrome EEC A.I.V.I.P.S. - Ass. It. Vivere la Paraparesi Spastica Ereditaria A.S.M. 17 - Ass. Smith Magenis Italia onlus LAM Italia- Ass. It. Linfangioleiomiomatosi A.I.P.Ad. - Ass. It. Pazienti Addison C.D.L.S. - Ass. Naz. di Volontariato Cornelia De Lange A.S.A.A. - Ass. Sostegno Alopecia Areata Onlus LIRH -Lega Italiana Ricerca Huntington e malattie correlate onlus MITOCON Onlus - Insieme per lo studio e la cura delle malattie mitocondriali A.I.S.S. - Ass. It. Sindrome di Shwachman A.I.P.I.T. Onlus - Ass. It. Porpora Immune Trombocitopenica Onlus HHT Onlus -. PANDAS Italia A.S.R.O.O. - Ass. Scientifica Retinoblastoma ed Oncologia Oculare A.S.B.B.I. - Ass. Sindrome Bardet Biedl Italia A.I.P.I. - Associazione Iperensione Polmonare Italiana onlus A.I.Si.W.H. Ass.It. Sulla Sindrome di Wolf Hirschhorn onlus NON SOLO 15 onlus FIORI DI VERNAL onlus A.N.I.Ma.S.S. onlus Ass. Nazionale Italiana Malati Sindrome di Sjogren GLI ALTRI SIAMO NOI A.B.C. ASSOCIAZIONE BAMBINI CRI DU CHAT AICRA Associazione Craniostenosi AFSW Onlus Associazione Famiglie Sindrome di Williams Onlus A.D.A.S. Associazione per la difesa dell'ambiente e della salute FedEmo Federazione delle Associazioni Emofilici Onlus ACMRC -Associazione Cardiomiopatie e Malattie Rare Connesse ILA Associazione Italiana Angiodisplasie ed Emangiomi Infantili Onlus G.R.I.S.E. Gruppo Ricerca Emoglobinopatie e Malattie Rare A.SP.RA. Associazione Sostegno e Ricerca Patologie Rare I.P.ASS.I. Associazione Italiana Incontinentia Pigmenti Onlus PKS Kids Italia Associazione Italiana Sindrome di Pallister Killian Onlus Acondroplasia Insieme per Crescere Ass. Amici della Porfiria " San Pio da Pietralcina" Onlus Ass. per la Fondazione Porpora Ass. Italiana Malati di Alcaptonuria Ass. Italiana dei Pazienti di Polineuropatia Cronica Infiammatoria Demielinizante Ass. I Colori del Vento Onlus Ass. Italiana Sindrome di PHELAN - McDERMID Ass. Pro Immuno Deficienze Primitive Italiane Ass. Italiana Malattie Neurologiche Rare-Puglia Fondazione Alessandra Bisceglia W ALE Onlus Associazione M.A.R.A. Malattie Ambientali Reciproco Aiuto Progetto Grazia - Associazione Italiana Onlus per la ricerca sulla leucodistrofia di Krabbe Associazione Sindrome di Marinesco-Sjogren : Gli Amici di Matteo Associazione Clinici Ehlers - Danlos Italia Ass. Gocce di Vita per la Talassemia Onlus Ass. Il Viaggio di Carmine Ass. ARCOIRIS ACMT - Rete

Sede Legale e Amministrativa:

Via Nomentana, 133 - 00161 Roma
Tel. +39 06 4404773 / +39 370 1323015
segreteria@uniamo.org
C.F. 92067090495 - P. IVA 08844231004
Iscr. n. 102 al Reg. Naz. di Promozione Sociale

Centro Studi e Progettualità:

San Marco, 1737 - 30124 Venezia (VE)
Tel. +39 041 2410886
presidente@uniamo.org
CCP 12203527
www.uniamo.org