

*Il Forum Associazioni Toscane Malattie Rare e la Regione Toscana-Dipartimento alla Salute e Politiche di Solidarietà, in collaborazione con l'Istituto di Fisiologia Clinica del CNR di Pisa, hanno promosso l'organizzazione di questo convegno sul tema dei Farmaci Orfani con lo scopo di informare e mettere a confronto gli interventi internazionali e le azioni necessarie per migliorare lo sviluppo di nuove terapie per le malattie rare. Il Forum Associazioni Toscane Malattie Rare è un' alleanza tra varie e diverse associazioni di pazienti fondato nel 2001 presso la Regione Toscana con la finalità di migliorare la qualità di vita delle persone colpite dalle malattie rare.*

*Il Parlamento Europeo nel Dicembre 1999 ha approvato un Regolamento sui prodotti medicinali orfani che offre incentivi alle industrie farmaceutiche che si impegneranno nella ricerca e sviluppo di farmaci orfani. Per la prima volta ai rappresentanti delle associazioni di pazienti viene riconosciuto ufficialmente il ruolo istituzionale di far parte del COMP/EMEA (Comitato Prodotti Medicinali Orfani/Agenzia Europea Valutazione Medicinali) formato da rappresentanti di ogni Stato Membro dell'Unione Europea.*

*Con il termine Medicinali orfani si definiscono quei prodotti destinati alla diagnosi, prevenzione e trattamento delle malattie rare così chiamate perché la loro incidenza è molto bassa: meno di 5 casi su 10.000 persone nell'Unione Europea.*

*Da Aprile 2000 a Luglio 2004, grazie al succitato Regolamento n.141/2000, 198 prodotti medicinali hanno ricevuto la designazione di farmaco orfano dalla Commissione Europea e di 15 è stata già autorizzata la commercializzazione.*

*Nonostante questi risultati è necessario aumentare la sensibilizzazione dell'opinione pubblica a livello europeo ma soprattutto a livello dei singoli Stati Membri verso quest'area della sanità pubblica che ha bisogno di un sostegno urgente a causa della scarsità di incentivi.*

*Il principale obiettivo del convegno è quello di promuovere risorse e incentivi per la ricerca, sviluppo e disponibilità di medicinali orfani per consentirne un rapido, uniforme e continuo accesso da parte delle persone affette da malattie rare. L'incontro di rappresentanti di istituzioni nazionali e internazionali, dell'industria, di ricercatori e clinici con le associazioni di pazienti rappresenta una modalità di confronto indispensabile per proporre azioni concrete di intervento finalizzate alla disponibilità di nuove terapie essenziali per il futuro delle malattie rare.*

## PROGRAMMA DEL CONVEGNO

Sabato 23 ottobre 2004

- 9,00 Saluti del Presidente dell'Area di Ricerca del CNR, Luigi Donato
- 9,15 Introduzione ai lavori: Presidente del Forum (FATMR) Francesca Arusa
- 9,30 Intervento dell'Assessore alla Salute della Regione Toscana, Enrico Rossi
- 9,45 Presentazione di esperienze da parte di pazienti e familiari
- I SESSIONE : Attività internazionale e nazionale sui farmaci orfani**  
presiede: Michele Lipucci Di Paola
- 10,10 Attività dell'Agenzia Europea Valutazione Farmaci (EMEA), Josep Torrent Farnell
- 10,30 Esperienza USA del Food and Drug Administration (FDA), Marlene Haffner
- 10,50 Attività e iniziative del Ministero della Salute, Nello Martini
- 11,10 *Coffee break*
- II SESSIONE : Sorveglianza e prevenzione, diagnosi e assistenza**  
presiede: Enrico Desideri
- 11,30 Attività del Registro delle Malattie Rare dell'ISS, Domenica Taruscio, Fabrizio Bianchi
- 12,00 LEA per le malattie rare, Filippo Palumbo
- 12,20 Esperienze sulle malattie rare metaboliche in Toscana, Enrico Zammarchi
- 12,40 Esperienze su percorsi diagnostico-terapeutici in Emilia Romagna, Elisa Calzolari
- 13,00 Centri e reti per la diagnosi e l'assistenza nella Regione Toscana, Nadia Garuglieri

- 13,15 Esperienze e proposte delle Associazioni

13,30 *Colazione di lavoro*

**III SESSIONE : Programmazione della formazione universitaria e post-universitaria**  
presiede: Bruno Cravedi

- 14,30 Le Facoltà di Medicina della Toscana, Luigi Murri (Pisa)  
Gian Franco Gensini (Firenze)  
Alberto Auteri (Siena)

15,15 *Coffee break*

15,30 **TAVOLA ROTONDA: Politiche per la ricerca, lo sviluppo e la disponibilità dei farmaci orfani**  
coordina: Luca Carra

Nello Martini, Ministro della Salute  
Loredano Giorni, Regione Toscana  
Domenica Taruscio, COMP/EMEA  
Federico Nazzari, Farmindustria  
Michele Lipucci Di Paola, Eurordis  
Francesca Arusa, Forum Associazioni Toscane Malattie Rare  
Federico Gelli, Consiglio Regionale Toscana  
Antonio Tomassini, Commissione Sanità del Senato

17,00 **Discussione**

17,30 **Conclusioni**  
Enrico Rossi, Assessore alla Salute della Regione Toscana

## COME RAGGIUNGERE LA SEDE DEL CONVEGNO

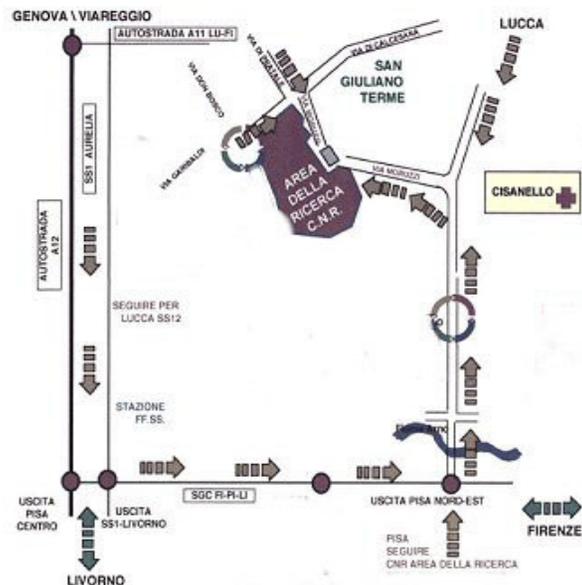
### Chi utilizza il treno:

Alla stazione di Pisa prendere l'autobus n° 7 (circa 20 min), scendere alla 1ª fermata in via di Pratale; a 100 metri dall'area CNR.

### Chi utilizza l'auto:

Per chi proviene dalla Superstrada FI-PI-LI: uscita Pisa nord-est seguire prima le indicazioni Cisanello poi quelle CNR.

Per chi proviene dall'Autostrada: uscita Pisa Centro, proseguire in direzione Firenze immettendosi sulla Superstrada FI-PI-LI; uscire a Pisa nord-est seguire le indicazioni Cisanello poi quelle CNR.



## Segreteria scientifica

### Av. Francesca Arusa

Presidente Forum Associazioni Toscane Malattie Rare

### Dott. Loredano Giorni

Regione Toscana-Dipartimento Diritto alla Salute

### Dott. Fabrizio Bianchi

Istituto Fisiologia Clinica, CNR di Pisa:

## Segreteria Organizzativa

### Dott.ssa Maria Cristina Imiotti

tel 050-3152110, fax 050-3152095

### Dott.ssa Rosanna Panini

tel 050-3153460

e-mail: convegno\_farmaci\_orfani@ifc.cnr.it

**FORUM** ASSOCIAZIONI  
TOSCANE  
MALATTIE RARE



in collaborazione con



# CONVEGNO

FARMACI ORFANI:  
ATTUALITA' E PROSPETTIVE  
PER LE MALATTIE RARE



23 Ottobre 2004

Auditorium Area della Ricerca del CNR,  
via Moruzzi, 1 - Pisa