



## **"Farmaci orfani e accessibilità al trattamento delle malattie rare"**

Programma educativo-informativo rivolto alle Associazioni di pazienti con malattie rare e loro familiari sull'uso dei farmaci orfani

Ia Sessione residenziale 15-17 aprile 2010

Lavoro sul campo (Project Work)

II Sessione residenziale 25 giugno 2010

organizzato da

Centro Nazionale Malattie Rare ISTITUTO

SUPERIORE DI SANITA' (ISS)

in collaborazione con Ufficio Relazioni Esterne (ISS), Dipartimento di Sanità Pubblica e Microbiologia, Centro Multidisciplinare di Ricerche Immunopatologia e Documentazione su Malattie Rare Università di Torino

Edizione per l'Area territoriale: Nord-Ovest Italia

Sede: Dipartimento di Sanità Pubblica e Microbiologia dell'Università di Torino - Torino

**N° ID Corso:** 068CI0

### **Origine del corso**

In Italia, iniziative o corsi di formazione rivolti a pazienti, e specificamente a pazienti con malattia rara, sono limitate. Organizzare un corso di formazione sui farmaci orfani sulle problematiche relative all'accessibilità al trattamento nelle malattie rare consente, quindi, di colmare un ritardo dell'Italia nei confronti di altri Paesi.

La scelta di un corso di formazione per formatori garantisce, grazie all'effetto moltiplicativo sul territorio, un innalzamento del livello di conoscenze a disposizione dei soggetti interessati. Risulta in questo modo stimolato e agevolato il processo di condivisione/partecipazione delle Associazioni e dei pazienti nei processi decisionali di sanità pubblica, inerenti la definizione di obiettivi e priorità della ricerca e dell'assistenza nelle malattie rare con una ricaduta sul nostro sistema sanitario indubbiamente positiva.

I pazienti, infatti, quando adeguatamente formati, diventano interlocutori consapevoli e capaci di svolgere un ruolo attivo nelle politiche che li riguardano. Valorizzare l'esperienza di vita di associazioni e pazienti, tramite interventi formativi mirati, consente di creare una sinergia strumentale sia al supporto dei policy maker nelle scelte di sanità pubblica, sia alla diffusione delle informazioni sul territorio.

Ulteriori punti di forza di questo percorso formativo sono: il rafforzamento delle competenze di formazione/informazione delle Associazioni applicabili alle tematiche rilevanti delle malattie rare e il rafforzamento di sinergie/reti/collaborazioni a livello interregionale e tra le Associazioni e il CNMR.

### **Scopo**

Lo scopo generale del corso è, attraverso la formazione di formatori, di incrementare le conoscenze dei pazienti, delle Associazioni dei pazienti con malattie rare e dei loro familiari sui farmaci orfani: dalle fasi dello sviluppo a quelle della commercializzazione. Verrà inoltre promossa la creazione di reti di interazione tra le Associazioni e tra Associazioni e strutture del SSN, rafforzando così l'interazione con il CNMR.



## Obiettivi formativi generali

1. incrementare le conoscenze dei pazienti/associazioni di pazienti con malattia rara sui farmaci orfani, dalle fasi dello sviluppo alla commercializzazione, e sulle problematiche relative all'accessibilità al trattamento nelle malattie rare, al fine di promuovere la partecipazione attiva e consapevole ai processi scientifici e regolatori relativi alle malattie rare;
2. sviluppare competenze formative delle associazioni, per metterle in grado di organizzare percorsi formativi e attivare strategie di informazione, appropriati per i loro soci.

## Obiettivi specifici

Al termine del corso i partecipanti saranno in grado di:

- a) descrivere il processo e le principali fasi di sviluppo di Linee Guida per specifiche patologie;
- b) descrivere il ruolo delle Associazioni nello sviluppo delle linee guida;
- c) descrivere i principali strumenti utilizzati per lo sviluppo delle linee guida;
- d) elencare le principali fonti di ricerca delle linee guida esistenti;
- e) descrivere il processo di sviluppo di nuovi farmaci (dalla fase pre-clinica alla messa in commercio);
- f) descrivere le caratteristiche di un *clinical trial*;
- g) identificare le fonti di informazione su sperimentazioni in atto per le malattie rare;
- h) descrivere le procedure per l'accessibilità e la rimborsabilità dei farmaci orfani;
- i) descrivere i principali problemi etici nello sviluppo di farmaci orfani;
- j) descrivere le principali fonti di informazione sui farmaci orfani;
- k) descrivere le strategie di informazione sui farmaci orfani;
- l) descrivere le caratteristiche di qualità di un percorso formativo;
- m) descrivere i principali metodi didattici per la formazione dell'adulto.

## Sessioni formative e metodi didattici:

**I sessione residenziale:** Problem Based Learning (PBL): analisi del problema in piccoli gruppi (max 8 partecipanti e un facilitatore per ogni gruppo), lezioni ed esercitazioni con docenti, soluzione del problema in piccoli gruppi e feed-back del docente e tra pari.

**Sessione di lavoro sul campo** (Project Work): produzione di un percorso formativo ad uso delle Associazioni con assistenza remota del tutor e consultazione di materiali didattici e documenti dedicati sul sito del CNMR.

**II sessione residenziale:** Confronto esperienze attuate sul campo (PW) e feed-back formativo dell'esperto e tra pari.

## I Sessione Residenziale (durata 2 giornate e mezzo)

### Giovedì 15 aprile

10.30 Registrazione dei partecipanti

10.45 Introduzione al corso e al metodo di lavoro

Domenica Taruscio, Daniela Pierannunzio, Giovanni De Virgilio,



11.00 Analisi del problema

Lavoro in piccoli gruppi con facilitatore

13.00 Intervallo

14.00 Sviluppo e analisi delle linee guida per specifiche patologie

Cosa sono e perché servono delle linee guida

Simone Baldovino

L'esempio delle linee guida per le malattie da accumulo lisosomiale

Maja Di Rocco

15.00 L'accesso ai farmaci off-label

Vittorio Modena

15.30 Aspetti etici nella ricerca scientifica

Roberto Lala

17.00 Chiusura della giornata

Venerdì 16 aprile

09.30 La ricerca per lo sviluppo di nuovi farmaci: pre-clinica in laboratorio, sperimentazione clinica e post marketing  
Arrigo Schieppati

10:30 Database registri e coorti di pazienti

L'esempio del registro lombardo per le malattie rare

Erica Daina

Il sistema informativo piemontese e la valutazione dell'uso dei farmaci per le malattie per le malattie rare

Emilia Chiò

11.30 Modalità di accesso alle informazioni e strumenti di ricerca in rete

La rete per l'accesso alle informazioni e per i contatti con altri pazienti

Simone Baldovino

L'uso delle banche dati biomediche

Mirella Alpa



### 12.30 Procedure amministrative per l'accessibilità e la rimborsabilità dei farmaci orfani

La situazione della Lombardia  
Erica Daina

La situazione della Liguria  
Maria Susanna Rivetti

La situazione del Piemonte e della Valle D'Aosta  
Dario Roccatello, Maria Maspoli, Salvatore Bongiorno

### 13.30 Intervallo

14.00 Soluzione del problema  
Lavoro in piccoli gruppi con facilitatore

16.00 Presentazione degli elaborati di gruppo e feed-back del docente Giovanni De  
Virgilio, Daniela Pierannunzio

17.00 Chiusura della giornata

Sabato 17 aprile

09.00 Elementi di base per sviluppo di un percorso formativo Giovanni De Virgilio,  
Franco Cavallo

10.00 Esercitazione pratica

11.30 Formazione dei gruppi e presentazione del lavoro sul campo (modalità e prodotto atteso,  
supporto tutoriale)  
Giovanni De Virgilio, Franco Cavallo

13.00 Chiusura della sessione I residenziale

### Sessione di lavoro sul campo (Project Work) (Tempo disponibile 2 mesi e mezzo)

I partecipanti suddivisi in gruppi disegneranno un percorso di formazione per i membri delle Associazioni sul tema dei Farmaci Orfani per promuoverne le capacità di ricerca di informazione, consultazione degli esperti e supporto ai propri membri. I gruppi saranno formati per aree geografiche omogenee per rafforzare le sinergie locali. Ogni gruppo sarà seguito da un Tutor del CNMR/ISS *con supporto a distanza tramite posta elettronica.*



## II sessione residenziale (Durata 1 giornata)

Venerdì 25 giugno

- 09.00 Presentazione dei Project Work Feed-back dei partecipanti e dei docenti Giovanni De Virgilio, Franco Cavallo
- 12.00 Sviluppo di un percorso formativo di qualità  
Giovanni De Virgilio, Franco Cavallo
- 13.00 Intervallo
- 14.00 Strategie di collaborazione tra associazioni e tra CNMR e associazione Per la formazione continua in tema di Farmaci orfani  
Domenica Taruscio, Claudio Frank
- 16.00 Valutazione del corso
- 17.00 Chiusura del corso

## DOCENTI E FACILITATORI

**Mirella Alpa** - Centro Multidisciplinare di Ricerche Immunopatologia e Documentazione su Malattie Rare (CMID) Università di Torino, Torino

**Simone Baldovino** - Centro Multidisciplinare di Ricerche Immunopatologia e Documentazione su Malattie Rare (CMID) Università di Torino, Torino

**Salvatore Bongiorno** - AUSL Aosta, Aosta

**Franco Cavallo** - Dipartimento di Sanità Pubblica e Microbiologia, Università di Torino;

**Emilia Chiò** - Assessorato alla Sanità Regione Piemonte, Torino

**Erica Daina** - Istituto Mario Negri - Laboratorio Ricerca e Documentazione sulle malattie rare - Ranica

**Marta De Santis** - Centro Nazionale Malattie Rare, Istituto Superiore di Sanità, Roma

**Giovanni De Virgilio** - Ufficio Relazioni Esterne, Istituto Superiore di Sanità, Roma

**Maja Di Rocco** - U.O. di Malattie Rare, Istituto "G. Gaslini", Genova

**Claudio Frank** - CNMR - Centro Nazionale Malattie Rare, Istituto Superiore di Sanità, Roma

**Roberto Lala** - Divisione di Endocrinologia Azienda Ospedaliera OIRM S.Anna Ospedale Infantile Regina Margherita, Torino

**Tania Lopez** - Centro Nazionale Malattie Rare, Istituto Superiore di Sanità, Roma

**Ilaria Luzi** - Centro Nazionale Malattie Rare, Istituto Superiore di Sanità, Roma

**Maria Maspoli** - Assessorato alla Sanità Regione Piemonte, Torino

**Vittorio Modena** - Tavolo Tecnico-Specialistico per le malattie rare del Piemonte e della Valle d'Aosta, Torino

**Daniela Pierannunzio** - Centro Nazionale di Epidemiologia, Sorveglianza, e Promozione della Salute, Istituto Superiore di Sanità, Roma

**Maria Susanna Rivetti** - Assessorato alla Sanità Regione Liguria

**Dario Roccatello** - Direttore del Centro Multidisciplinare di Ricerche Immunopatologia e Documentazione su Malattie Rare (CMID) Università di Torino

**Arrigo Schieppati** - Azienda Ospedaliera Ospedali Riuniti di Bergamo, Bergamo

**Domenica Taruscio** - Centro Nazionale Malattie Rare, Istituto Superiore di Sanità, Roma

## DIRETTORI DEL CORSO

**D. Taruscio**, [domenica.taruscio@iss.it](mailto:domenica.taruscio@iss.it), 0649904017

Centro Nazionale Malattie Rare, Istituto Superiore di Sanità, Roma

**D. Pierannunzio**, [daniela.pierannunzio@iss.it](mailto:daniela.pierannunzio@iss.it), Centro Nazionale di Epidemiologia, Sorveglianza, e Promozione della Salute, Istituto Superiore di Sanità, Roma



#### COORDINATORE DIDATTICO

**G. De Virgilio**

Ufficio relazioni Esterne, Istituto Superiore di Sanità, Roma

#### SEGRETERIA TECNICO-SCIENTIFICA

**M. De Santis**, [martadesantis@libero.it](mailto:martadesantis@libero.it), tel. 0649904410

T. **Lopez**, [tania\\_lopez1@gmail.com](mailto:tania_lopez1@gmail.com), tel. 0649904371

**I. Luzi**, [ilaria.luzi@iss.it](mailto:ilaria.luzi@iss.it), tel. 0649904410

**A. Pinter**, [alessandro.pinter@iss.it](mailto:alessandro.pinter@iss.it), tel. 0649904366 - 4017

Centro Nazionale Malattie Rare, Istituto Superiore di Sanità, Roma

Viale Regina Elena, 299 - 00161 Roma

Fax 0649904370

Website: [www.iss.it/cnrmr](http://www.iss.it/cnrmr)

#### INFORMAZIONI GENERALI

Sede: Dipartimento di Sanità Pubblica e Microbiologia dell'Università di Torino

Via Santena, 5-bis - 10126 Torino

#### Destinatari

Membri delle Associazioni di pazienti con malattie rare e loro familiari con incarico di formazione all'interno dell'Associazione di appartenenza.

#### Modalità di partecipazione

I partecipanti sono individuati dalle Associazioni operanti nell'area del Nord-Ovest Italia (Regioni: Liguria, Lombardia, Piemonte, Valle d'Aosta).

#### Viaggio e soggiorno

Il corso (finanziato dall'Agenzia Italiana del Farmaco) prevede per i partecipanti un rimborso delle spese di viaggio e soggiorno fino a un massimo di 250,00 euro a persona.

#### Attestato di frequenza

Ai partecipanti che avranno frequentato regolarmente il corso verrà rilasciato un attestato di frequenza dal CNMR.

Non sono previsti crediti ECM.

Per ogni informazione inerente al Corso si prega di contattare la Segreteria Tecnico-Scientifica:

Alessandro Pinter

Segreteria Tecnico Scientifica

tel.+39 - 06.49904366 Fax+39-

06.49904370

e-mail: [alessandro.pinter@iss.it](mailto:alessandro.pinter@iss.it)

CNMR Istituto Superiore di Sanità, Roma