



CORSO ECM

**L'ACCESSO AL MERCATO  
DEI FARMACI  
PER LE MALATTIE RARE:**

*nuove sfide e priorità per il  
Sistema Sanitario Nazionale*

TERZA EDIZIONE

*Responsabile scientifico: Pier Luigi Canonico*

---

**ROMA, 15 APRILE 2019**

AULA POCCHIARI

Istituto Superiore di Sanità  
Viale Regina Elena 299

# PROGRAMMA PRELIMINARE

08:30 *Registrazione dei partecipanti\*\**

09:00 *Saluti delle Autorità\*\**

**Silvio Brusaferrò** | Commissario Istituto Superiore di Sanità  
**Alessandro Mugelli** | Presidente Società Italiana di Farmacologia (SIF)

09:10 Obiettivi dell'incontro

**Pier Luigi Canonico**



## I SESSIONE

### LA GESTIONE DELLE MALATTIE RARE IN ITALIA E LA SFIDA DELLA SOSTENIBILITÀ

*Moderatori: **Pier Luigi Canonico, Armando Genazzani***

09:25 L'impegno dell'Istituto Superiore di Sanità nelle malattie rare

**Domenica Taruscio**

09:45 Gli screening neonatali

**Alberto Burlina**

10:05 La diagnosi delle malattie rare in pediatria

**Alberto Villani, Davide Vecchio**

10:30 *Coffee break\*\**

10:45 Innovatività e malattie rare

**Patrizia Popoli**

11:05 Analisi dei sistemi di rimborso dei farmaci per le malattie rare in Europa

**Claudio Jommi**

11:25 Le valutazioni di pricing & reimbursement in Italia: are we delivering?

**Enrico Costa**

11:45 Analisi sulla redditività degli investimenti nelle malattie rare

**Massimo Riccaboni**

12:05 Discussione sulla gestione delle malattie rare in Italia e la sfida della sostenibilità

**Pier Luigi Canonico, Armando Genazzani**



## II SESSIONE

### HORIZON SCANNING DI NUOVE TERAPIE PER IL TRATTAMENTO DELLE MALATTIE RARE

*Moderatori: **Pier Luigi Canonico, Annamaria De Luca***

12:15 Le nuove frontiere terapeutiche nell'emofilia A

**Elena Santagostino**

- 12:35 Nuovi percorsi clinico-organizzativi nell'emofilia B  
**Stefano Villa**
- 12:55 L'emoglobinuria parossistica notturna (EPN)  
**Antonio Maria Risitano**
- 13:15 *Lunch\*\**
- 14:00 Le malattie neurometaboliche: problemi aperti nella fisiopatologia, nella clinica e nella terapia  
**Antonio Federico**
- 14:20 L'atrofia muscolare spinale (SMA)  
**Valeria Sansone**
- 14:40 La ceroidolipofusinosi neuronale di tipo 2 (CLN2)  
**Nicola Specchio**
- 15:00 La malattia di Duchenne  
**Marika Pane**
- 15:20 La malattia di Fabry, di Gaucher, di Niemann-Pick  
**Giancarlo La Marca, Manuela Vaccarotto**
- 16:00 *Coffee break\*\**
- 16:10 L'ipofosfatemia X-linked (XLH)  
**Francesco Emma**
- 16:30 Le lipodistrofie  
**Ferruccio Santini**
- 16:50 La colangite biliare primitiva  
**Domenico Alvaro**
- 17:10 La narcolessia  
**Giuseppe Plazzi**
- 17:30 Discussione sull'Horizon Scanning di nuove terapie per il trattamento delle malattie rare  
**Pier Luigi Canonico, Annamaria De Luca**
- 17:45 Conclusioni della giornata  
**Pier Luigi Canonico**
- 18:00 *Questionario di Apprendimento ECM\*\**

*\*\*Non inclusi nell'accREDITAMENTO ECM*

## RESPONSABILE SCIENTIFICO

**Pier Luigi Canonico**

Direttore del Dipartimento di Scienze del Farmaco, Università del Piemonte Orientale "A. Avogadro" Novara

## FACULTY

**Domenico Alvaro**

Professore Ordinario di Gastroenterologia Università degli Studi di Roma La Sapienza, Roma

**Alberto Burlina**

Direttore dell'UOC Malattie Metaboliche Ereditarie, Dipartimento di Pediatria; Direttore del Centro Regionale Malattie Metaboliche Ereditarie della Regione Veneto; Direttore del Programma Regionale Screening Neonatale Allargato per le malattie metaboliche ereditarie, Azienda Ospedaliera di Padova; Università di Padova, Padova

**Pier Luigi Canonico**

Direttore del Dipartimento di Scienze del Farmaco, Università del Piemonte Orientale "A. Avogadro", Novara

**Enrico Costa**

Farmacista Dirigente, Servizio di Farmacia, Azienda Ospedaliera Integrata Verona, Verona

**Annamaria De Luca**

Professore Ordinario di Farmacologia, Dipartimento di Farmacia - Scienze del Farmaco, Università degli Studi di Bari "Aldo Moro", Bari

**Francesco Emma**

Responsabile Dipartimento Nefrologia e Dialisi, Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Roma

**Antonio Federico**

Professore ordinario di Neurologia, Dipartimento di Scienze Mediche Chirurgiche e Neuroscienze, Università di Siena; Direttore UOC Clinica Neurologia e Malattie Neurometaboliche, Dipartimento di Neuroscienze, Azienda Ospedaliera Universitaria Senese, Siena

**Armando Genazzani**

Professore Ordinario di Farmacologia Dipartimento di Scienze del Farmaco, Università del Piemonte Orientale "A. Avogadro", Novara

**Claudio Jommi**

Professor of Practice Government, Health and Not for profit Division, SDA Bocconi School of Management, Milano

**Giancarlo La Marca**

Responsabile UOS Diagnostica di Malattie del Sistema Nervoso e del Metabolismo: Screening Neonatale, Biochimica e Farmacologia, Azienda Ospedaliero Universitaria Meyer, Firenze

**Marika Pane**

Direttore Clinico presso Centro Nemo, Policlinico A. Gemelli, Roma

**Giuseppe Plazzi**

Professore Associato di Neurologia, Dipartimento di Scienze Biomediche e Neuromotorie, Università di Bologna, Bologna

**Patrizia Popoli**

Direttore del Reparto di Farmacologia del sistema nervoso centrale Dipartimento del Farmaco, Istituto Superiore di Sanità, Roma

**Massimo Riccaboni**

Professore Ordinario di Economia, IMT Alti Studi Lucca, Lucca

**Antonio Maria Risitano**

Direttore del Programma Trapianti di Midollo Osseo dell'Azienda Ospedaliera Universitaria Federico II, UOC Ematologia e Trapianto di Midollo, Università degli Studi di Napoli Federico II, Napoli

---

**Valeria Sansone**

Direttore Clinico presso Centro Clinico Nemo, Milano - UO Neuroriabilitazione Università degli Studi, Milano

**Elena Santagostino**

Responsabile di Unità Operativa Semplice, Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico di Milano, Milano

**Ferruccio Santini**

Professore Associato di Endocrinologia, Dirigente Dipartimento di medicina clinica e sperimentale, Università di Pisa; Presidente SIO Società Italiana di Obesità, Pisa

**Nicola Specchio**

Responsabile epilessie rare e complesse, UO Neurologia, Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Roma

**Domenica Taruscio**

Direttore del Centro Nazionale Malattie Rare dell'Istituto Superiore di Sanità, Roma

**Manuela Vaccarotto**

Vice Presidente Associazione Italiana Sostegno Malattie Metaboliche (AISMME), Padova

**Davide Vecchio**

Pediatric Consultant, Project based contract on Autism Spectrum Disorder, Azienda Ospedaliera Ospedali Riuniti Villa Sofia Cervello, Palermo

**Stefano Villa**

Professore Associato - Dipartimento di Scienze dell'economia e della gestione aziendale, Direttore Corso di Perfezionamento in Operations Management nelle Aziende Sanitarie, Responsabile area Operations Management dell'ALTEMS e del CERISMAS, Roma

**Alberto Villani**

Responsabile UOC Pediatria Generale e Malattie Infettive, Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Roma e Presidente SIP (Società Italiana Pediatria), Roma



# E.C.M.

Commissione Nazionale Formazione Continua



## ISCRIZIONI

È possibile iscriversi registrandosi al nostro sito [www.3psolution.it](http://www.3psolution.it), una volta effettuata la registrazione basterà accedere alla pagina eventi, selezionare l'evento ed iscriversi.

Si prega di segnalare eventuali esigenze alimentari (es. allergie, intolleranze, scelte alimentari vegetariane o vegane, etc.) all'atto dell'iscrizione.

## ECM

La Commissione Nazionale per la Formazione Continua ha formulato parere positivo all'accreditamento di 3P Solution Srl come PROVIDER STANDARD (codice 327, autorizzato il 15 ottobre 2012). La responsabilità per i contenuti, la qualità e la correttezza etica di questa attività ECM è a carico di 3P Solution.

L'evento è stato accreditato con obiettivo formativo "Documentazione Clinica. Percorsi Clinico-Assistenziali Diagnostici e Riabilitativi, Profili Di Assistenza - Profili di Cura" per 100 partecipanti, per le seguenti categorie professionali: assistente sanitario; biologo; farmacista (territoriale, ospedaliero); infermiere; infermiere pediatrico; medico chirurgo (tutte le discipline); psicologo (psicoterapia, psicologia); terapeuta della neuro psicomotricità dell'età evolutiva, ed ha ottenuto 7 crediti.

Per ottenere l'attribuzione dei crediti E.C.M. è necessario:

1. partecipare ad almeno il 90% dei lavori scientifici, per i quali è prevista la verifica delle presenze;
2. compilare il questionario di apprendimento e rispondere correttamente ad almeno il 75% delle domande;
3. compilare il questionario di valutazione dell'evento e consegnarlo al termine dei lavori.

Il numero dei discenti in sala non potrà essere superiore al numero dei partecipanti accreditati. Qualora il numero di partecipanti iscritti in loco fosse superiore a 100 sarà tenuto in considerazione per l'ammissione in sala l'ordine cronologico di iscrizione.

Il certificato riportante i crediti E.C.M. sarà inviato successivamente al completamento della procedura di validazione.

## SERVIZIO MYECM

Age.na.s ha attivato il servizio MyEcm (pagina personalizzata a disposizione di ogni professionista sanitario) tramite il quale è possibile:

1. consultare l'offerta formativa;
2. consultare il riepilogo eventi frequentati e i crediti conseguiti;
3. esprimere una valutazione su corsi frequentati organizzati dai Provider.

Per accedere ai servizi online deve registrarsi alla pagina <http://ape.agenas.it/professionisti/myecm>.

Se soddisfatto di questo corso può cliccare  sull'icona ed esprimere la propria valutazione

---

## PROVIDER ECM E SEGRETERIA ORGANIZZATIVA



via Marradi 3 | 20123 Milano  
tel | 02 36631574  
fax | 02 36631640  
mail | [info@3psolution.it](mailto:info@3psolution.it)  
web | [www.3psolution.it](http://www.3psolution.it)