

**Le Malattie Rare:
organizzazione e gestione alla luce del nuovo Piano Nazionale
Università degli Studi "Magna Graecia" di Catanzaro
10 Ottobre 2024**

Programma

- Ore 08.00 Registrazione partecipanti
- Ore 08.10 Apertura dei lavori e presentazione degli obiettivi del corso
G. De Sarro
- Ore 08.20 Saluti istituzionali
- I SESSIONE MR: Il Contesto Normativo**
- Ore 08.30 Malattie Rare: Legge e nuovo piano nazionale MR.
Cosa cambia per i sistemi regionali
Ruolo e rete regionale MR in Calabria
L. Rizzo
- Ore 09.00 L'esperienza della Regione Sicilia
F. Geraci
- Ore 09.30 Le Malattie Rare del punto di vista del paziente
A. Vigoroso
- II SESSIONE Accesso alle Cure e Governance Farmaceutica nelle Malattie Rare**
- Ore 10.00 Accesso ai farmaci nelle MR in Calabria
R. Scarpelli
- Ore 10.30 L'esperienza della Regione Sicilia
P. Cananzi
- Ore 11.00 Malattie rare e prontuario terapeutico regionale
M. Veraldi
- Ore 11.30 Organizzazione delle gare per farmaci per malati rari (raccolta fabbisogni)
V. Borzumati
- Ore 12.00 Farmaci Orfani e Galenica: quali dati in real world
E. De Francesco



Ore 12.30 Tavola Rotonda: Condividiamo le esperienze e rinforziamo la rete
*L. Rizzo- R. Scarpelli – P. Cananzi– V. Borzumati – E. De Francesco - M. Rossi- A. Aversa-
D. Concolino- C. Pelaia – V. Barbieri- C. Mammì- L. Arcuri- V. Di Stefano- A. Vigoroso
(Rappresentante Regionale associazione UNIAMO)*

Ore 13.30 Light Lunch

III SESSIONE MR: Focus su..

Ore 14.30 ...le Malattie Rare in Endocrinologia
A. Aversa

Ore 15.00 ...le Malattie Rare in Ematologia
M. Rossi

Ore 15.30 ...le Malattie Rare in Pediatria: gestione multidisciplinare del rachitismo ipofosfatemico
nella rete MR
D. Concolino

Ore 16.00 ...le Malattie Rare in Pneumologia
C. Pelaia

Ore 16.30 ...le Malattie Rare in Genetica Medica
C. Mammì

Ore 17.00 ...le Malattie Rare in Neurologia: la gestione multidisciplinare del paziente con ATTRv-PN
L. Arcuri

Ore 17.30 Approcci terapeutici alle forme di Miastenia gravis
V. Di Stefano

Ore 18.00 Conclusioni e fine lavori

RESPONSABILE SCIENTIFICO

Prof. Giovambattista De Sarro

Università degli Studi “Magna Graecia” di Catanzaro



DESTINATARI: 100

FARMACISTA

MEDICO CHIRURGO: DIREZIONE MEDICA DI PRESIDIO OSPEDALIERO, ORGANIZZAZIONE DEI SERVIZI SANITARI DI BASE, MEDICI DI MEDICINA GENERALE (MMG), MEDICINA INTERNA, EMATOLOGIA, ENDOCRINOLOGIA, PEDIATRIA, PNEUMOLOGIA, NEUROLOGIA, OTORINOLARINGOIATRIA, ONCOLOGIA, REUMATOLOGIA, GERIATRIA, CARDIOLOGIA, PRIVO DI SPECIALIZZAZIONE

Razionale

Secondo una definizione adottata in ambito comunitario, le malattie rare (MR) hanno una prevalenza nella popolazione inferiore a 5 casi ogni 10.000 abitanti.

Si tratta di patologie eterogenee, accomunate da problematiche assistenziali simili, che necessitano di essere affrontate globalmente e che richiedono una particolare e specifica tutela.

Le MR sono state identificate dalla Unione Europea come uno dei settori della sanità pubblica per i quali è fondamentale la collaborazione tra gli Stati Membri; per questa ragione la Commissione Europea ha costituito una rete di riferimento europea per le MR, l'European Reference Networks (ERNs), nell'ambito della quale privilegiare il trasferimento e lo scambio delle esperienze, lo scambio di informazioni e di dati, di campioni biologici, di immagini radiologiche e altri elementi diagnostici.

I precedenti interventi normativi, che hanno individuato nelle MR un'area di priorità nella sanità pubblica, hanno confermato l'interesse per questo settore anche in Italia già a partire dagli anni '90, in un'ottica di crescente consapevolezza verso politiche mirate di programmazione di assistenza per le MR.

Con il Decreto Ministeriale n. 279 del 18 maggio 2001 è stata istituita la Rete Nazionale per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare ed introdotta l'esenzione per un primo gruppo di malattie rare.

Il D.M. 279/2001, inoltre, ha dato mandato alle Regioni d'individuare i Centri per la diagnosi e la cura.

La Regione Calabria, recependo le indicazioni contenute nel D.M. 279/2001, con alcuni provvedimenti deliberativi della Giunta Regionale, già a partire dal 2003 ha dato avvio al processo di riconoscimento delle strutture sanitarie idonee alla diagnosi e cura delle malattie rare, istituendo la Rete regionale per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare.

Con successivo DCA n. 70/2022 sono state aggiornate le Linee Guida e le modalità operative della "Commissione Regionale del Farmaco e dei Dispositivi Medici" e della "Commissione Aziendale del Farmaco e dei Dispositivi

DAFNE SRL

Via Caldara, snc
89048 Siderno (RC)

T. +39 0964 342229
E. info@dafne.it

P.IVA 02551120807
Provider ECM N°2647

www.dafne.it



Medici”, definendo le nuove procedure di inserimento di un nuovo prodotto farmaceutico o di una nuova indicazione terapeutica nel Prontuario Terapeutico Regionale (PTR).

Con il DDG n.11711 del 10/08/2023 è stato costituito il “Centro di Coordinamento Regionale delle Malattie Rare”, ai sensi della Legge 10 novembre 2021, n. 175 e dell’Accordo Stato Regioni Rep. atti n. 121/CSR del 24 maggio 2023, che ha un ruolo di supporto alla programmazione regionale, avendo la finalità di organizzare, monitorare e supportare il funzionamento della rete regionale di assistenza per malati rari.

È stata effettuata una revisione della rete regionale già esistente e sono stati così individuati i presidi ospedalieri e universitari delle tre Aziende ospedaliere della Regione, in possesso di maturata esperienza nella diagnosi e nella cura di specifiche MR o di gruppi di MR.

I suddetti presidi ospedalieri faranno parte della Rete nazionale per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare, costituita al fine di assicurare specifiche forme di tutela agli assistiti affetti dalle malattie stesse e, come tali, dovranno rispettare i nuovi requisiti previsti dalle raccomandazioni dell’Unione Europea, in modo tale da poter svolgere l’azione di “Centri di expertise” e candidarsi a partecipare alle reti di riferimento europee (ERN).

L’evento vuole quindi fornire una panoramica sugli ultimi aggiornamenti in ambito normativo e dell’attuale organizzazione della Rete delle Malattie Rare in Calabria e in Sicilia, oltre ad offrire approfondimenti su altre tematiche riguardanti le Malattie Rare (PDTA, gare e farmaci orfani e Galenici).

L’evento è a carattere nazionale ed è rivolto alle figure professionali del farmacista e del medico chirurgo operanti sul tutto il territorio nazionale.

