

L'Ospedale Bambino Gesù Centro di Riferimento per le Malattie Rare Pediatriche

Bruno Dallapiccola & Andrea Bartuli
Screening neonale, malattie rare e centri di riferimento
 Padova, 5 maggio 2017



OPBG: un po' di storia

- ❑ 1869 Fondato dalla famiglia Salviati come primo Ospedale Pediatrico italiano.
- ❑ 1887 Apertura della nuova sede presso il convento di Sant'Onofrio al Gianicolo.
- ❑ 1917 Nuova sede a Santa Marinella, donate dalla Regina Elena di Savoia.
- ❑ 1924 Donazione dell'Ospedale alla Santa Sede.
- ❑ 1978 Apertura della nuova sede di Palidoro.
- ❑ 1985 Classificazione ad Istituto di Ricovero e Cura a Carattere Scientifico.
- ❑ 1994 Avvio delle attività internazionali.
- ❑ 2003 Centro per le malattie rare.
- ❑ 2006 Primo accreditamento della *Joint Commission International*.
- ❑ 2010 Sede dell'OPBG a Taormina. Centro Direzionale a San Paolo fuori le Mura.
- ❑ 2012 Poliambulatorio a San Paolo fuori le Mura.
- ❑ 2014 Laboratori di Ricerca a San Paolo fuori le Mura.
- ❑ 2016 Certificazione dell'Officina Farmaceutica.

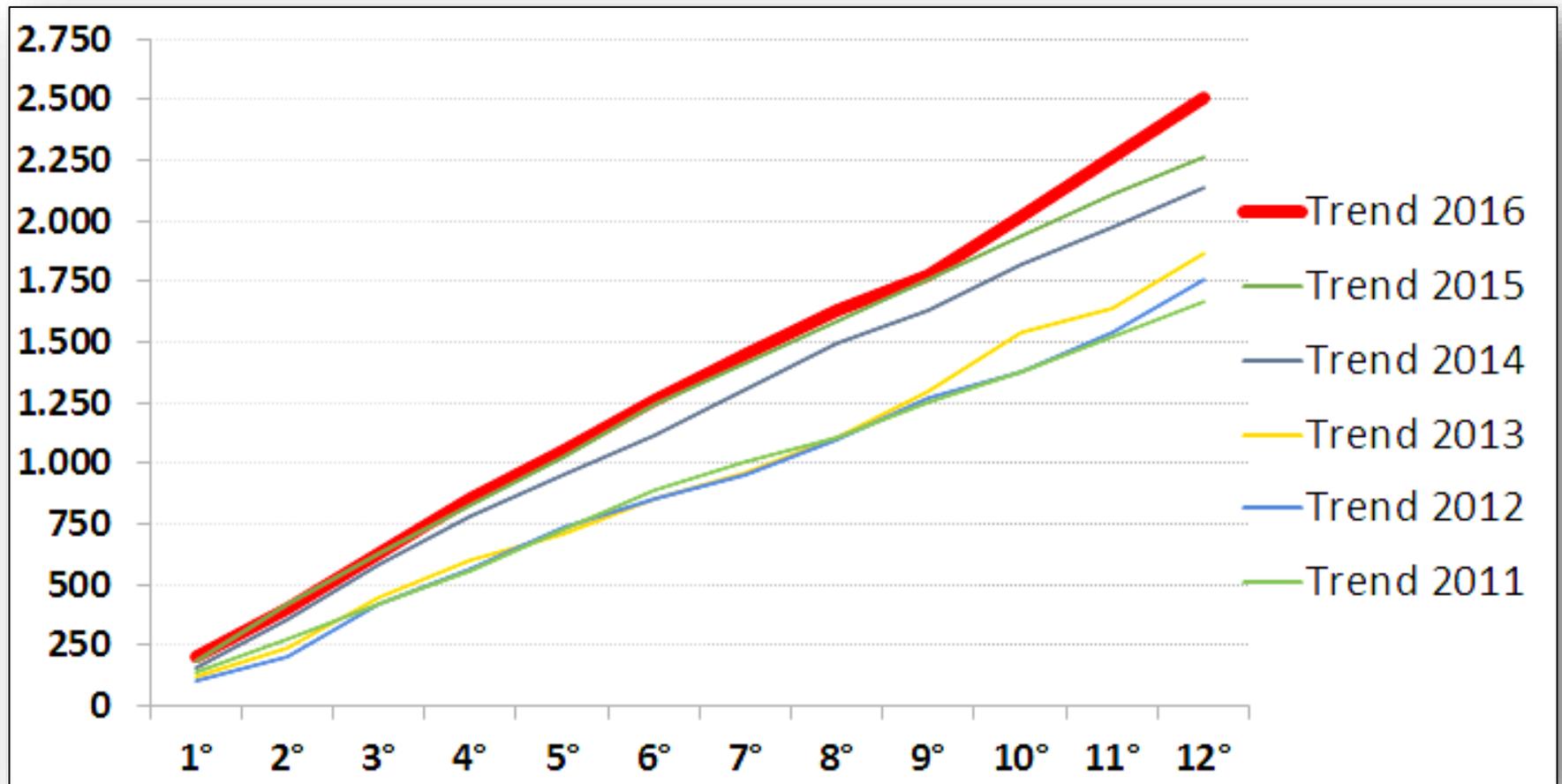


OPBG: i numeri del 2016

N. posti letto	607
N. Ricoveri	26.947
<i>Day Hospital</i>	69.536
<i>Day Surgery</i>	5.066
Pronto soccorso	80.015
Prestazioni ambulatoriali	1.696.279
Trapianti	339

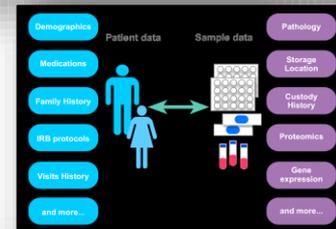


OPBG: *Impact Factor* corretto – Trend storico 2011-2016



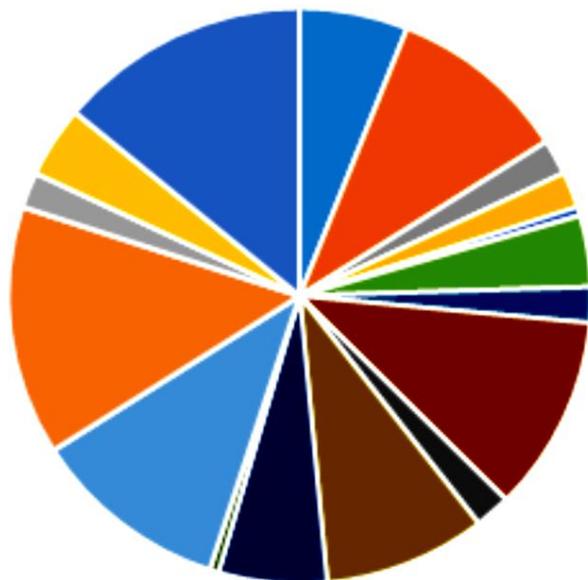
L'OPBG e le malattie rare

- Approccio clinico integrato (40 specialisti)
- interazione clinica-strumentale-laboratoristica
- ambulatori multispecialistici per malattie/gruppi di malattie e per i pazienti senza diagnosi
- integrazione tra attività clinica e ricerca (IRCCS)
- collaborazione con le associazioni dei pazienti e con la federazione delle associazioni UNIAMO

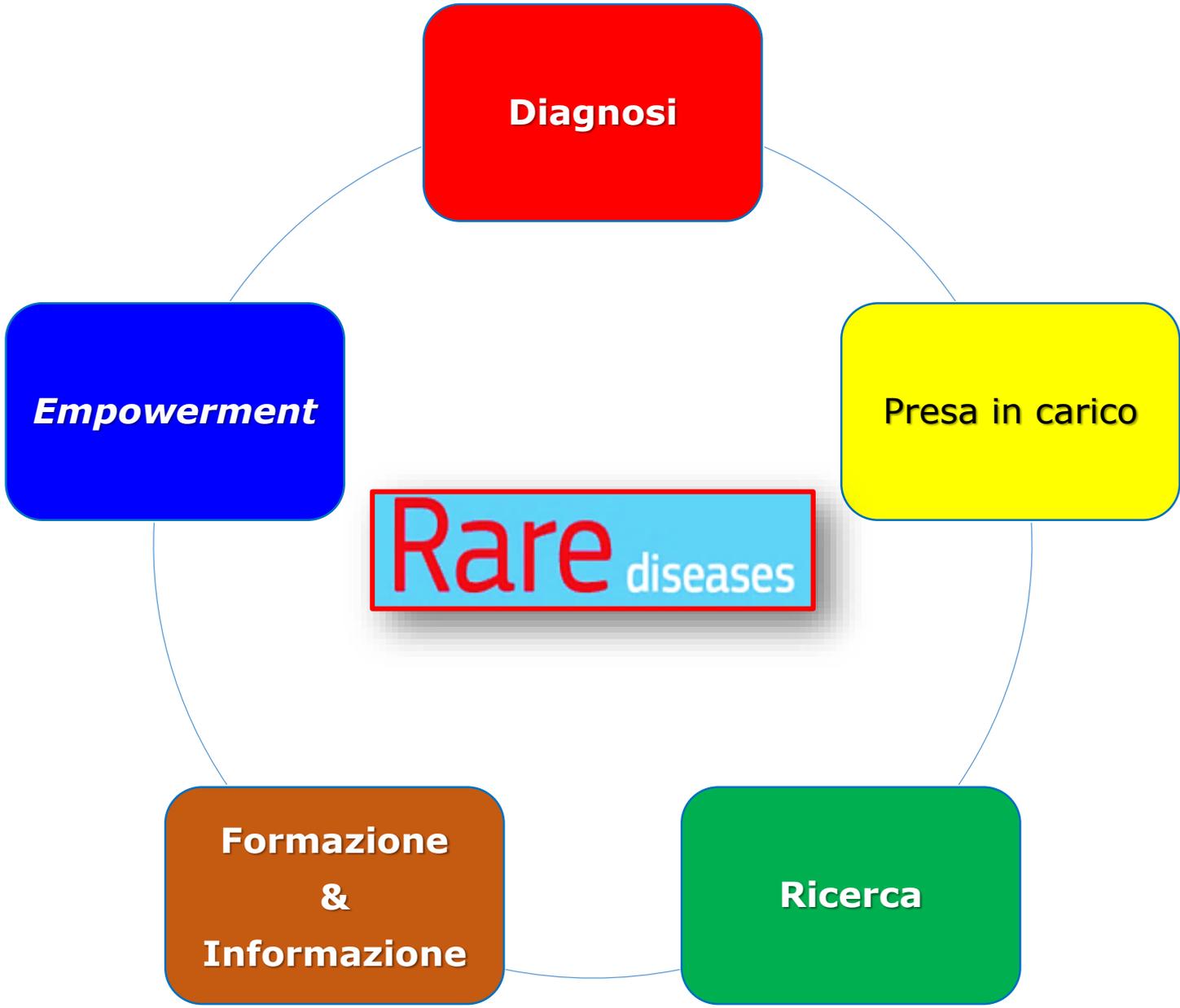


OPBG: i numeri delle malattie rare nel 2016

N. malati rari	9.507
N. centri malattie rare	19

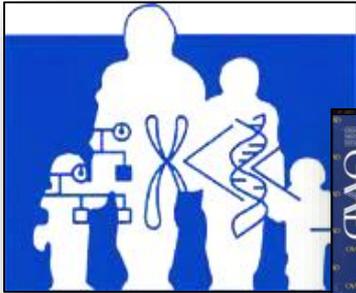


- | | | |
|---------------------|---------------------|----------------------|
| ■ Reumatologia | ■ Ped Generale | ■ Oftalmologia |
| ■ Ortopedia | ■ Maxillo-Fac | ■ Dermatologia |
| ■ Gastroenterologia | ■ Genetica Med | ■ Pat End Autoimmune |
| ■ Neurologia | ■ Mal Musc Neurodeg | ■ Pneumologia |
| ■ Pat Metabolica | ■ End Diabet | ■ Nefrologia |
| ■ Immunoinfett | ■ Oncoematologia | |

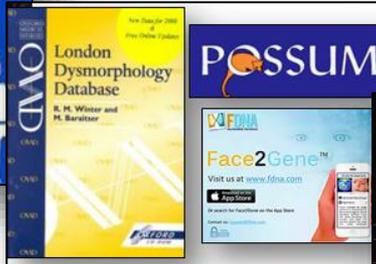


Diagnosi & Presa in carico

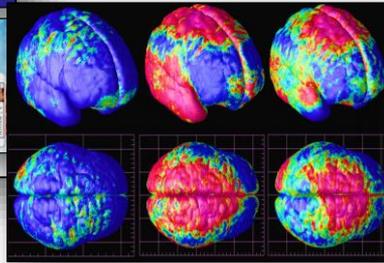
Esame clinico



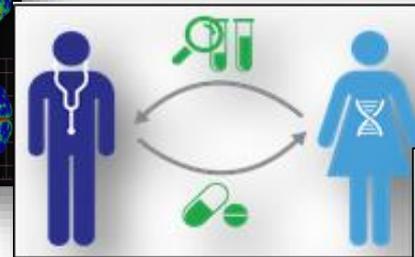
Database dedicati



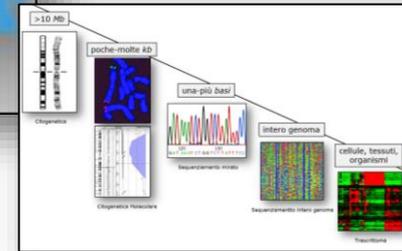
Indagini strumentali



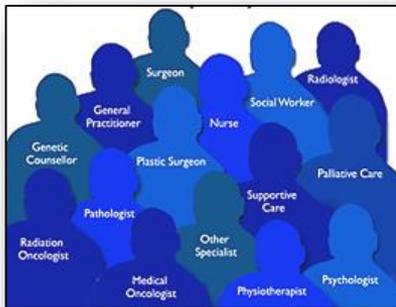
Analisi di laboratorio



Test genetici



Approccio multidisciplinare



Linee-guida di presa in carico



Integrazione territoriale



Transizione dall'età pediatrica all'età adulta



Out-patients: modello multidisciplinare per singola MR o gruppo di MR

- ❑ Individuazione del *case manager*
- ❑ Individuazione degli specialisti e dell'infermiera
- ❑ Costituzione del gruppo multidisciplinare
- ❑ Definizione del percorso
- ❑ Progressivo inserimento del paziente nel percorso
- ❑ (Sperimentazioni cliniche)
- ❑ Verifica degli esiti e della qualità della vita
- ❑ (Identificazione del Centro per adulti e avvio della transizione)



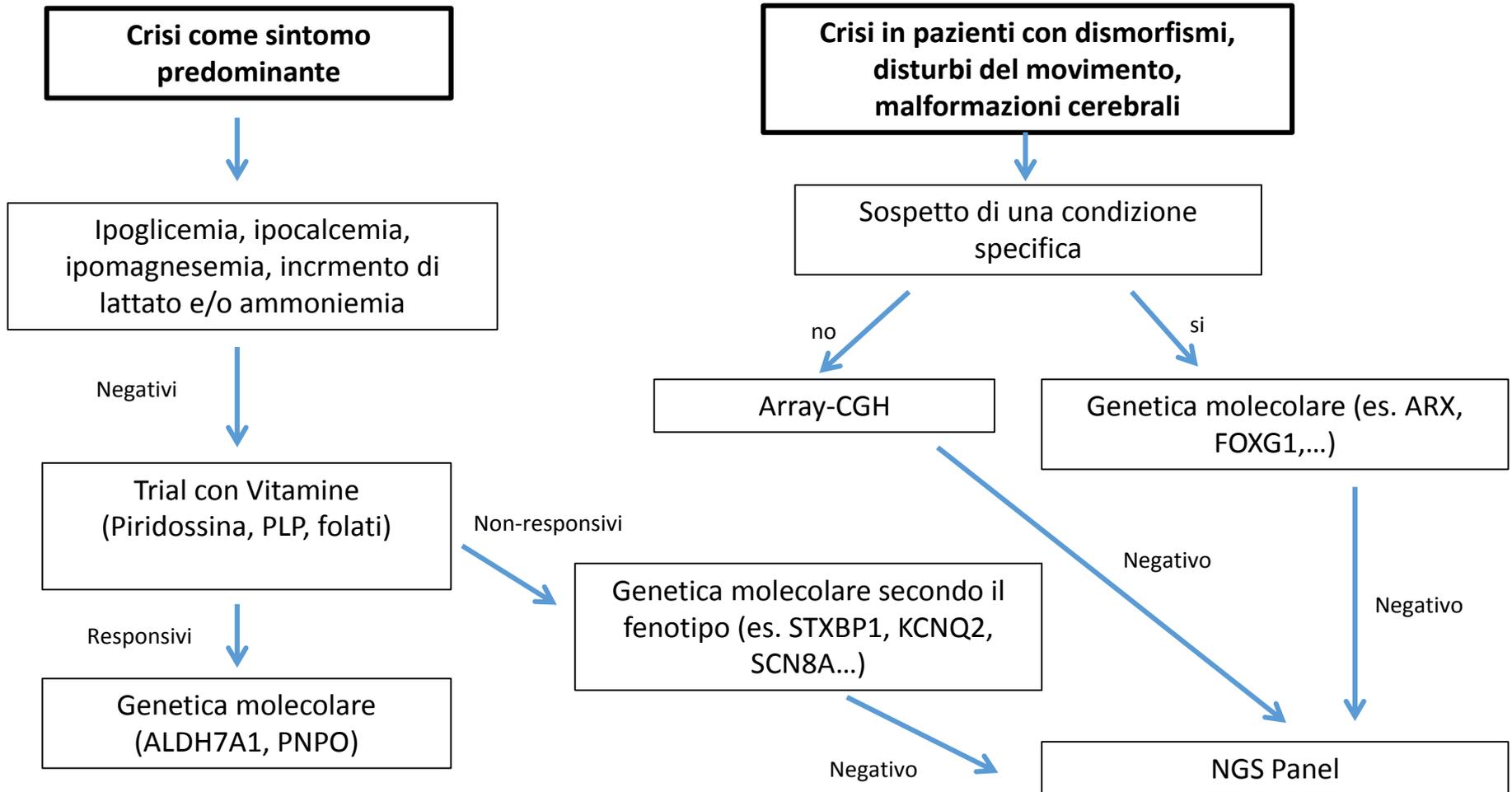
Ambulatori multispecialistici

	Neurologo	Broncopneumologo	Oculista	Immunologo	Endocrinologo	Fisioterapista	Chirurgo	Cardiologo	Neuropsichiatra	Psicologo	Dermatologo	Ortopedico	Genetista	Nutrizionista	Disfagista	Logopedista	Radiologo	Case Manager	
MALATTIE RARE SENZA DIAGNOSI	■				■								■						■
MALATTIE NEUROMUSCOLARI	■	■				■				■		■		■	■				■
MALFORMAZIONI CRANIO-FACCIALI	■		■				■			■									■
RASOPATIE								■	■		■		■						■
SINDROME di WILLIAMS	■							■	■	■							■		■
SINDROME di DiGeorge/Velocardiofaciale				■				■	■	■							■		■
MALATTIE RARE POLMONARI		■				■	■							■	■			■	■
GENODERMATOSI	■						■			■	■	■	■		■				■
ANOMALIE VASCOLARI										■	■	■	■	■	■			■	■
SINDROMI CON IPERACCRESIMENTO					■	■	■			■	■	■	■					■	■
SINDROME di KABUKI								■	■	■			■						■
MAC Microftalmo, Anoftalmo, Coloboma	■		■				■					■							■
NEUROFIBROMATOSI TIPO 1	■		■		■					■	■	■	■						■
DISTROFIE MUSCOLARI	■	■				■				■		■		■	■				■
ERRORI CONGENITI DEL METABOLISMO	■		■		■	■			■	■			■	■				■	■

Epilessie rare e complesse in rapporto all'età di esordio



Epilessie rare ad esordio precoce



Epilessie complesse farmacoresistenti

Diagnostica neurofisiologica (1 livello)
(epilettologo + neurofisiologo)

Diagnostica per immagini (1 livello)
(neuroradiologo)

Monitoraggio EEG di lunga durata

Risonanza magnetica cerebrale

Intervento

neurochirurgo
istopatologo

Correlazioni anatomo-
elettro-cliniche

SI

NO

SI

EEG high density

epilettologo
ingegnere biomedico

PET cerebrale

medico nucleare

Tecniche di post processing
neuroradiologico
neurofisiologico

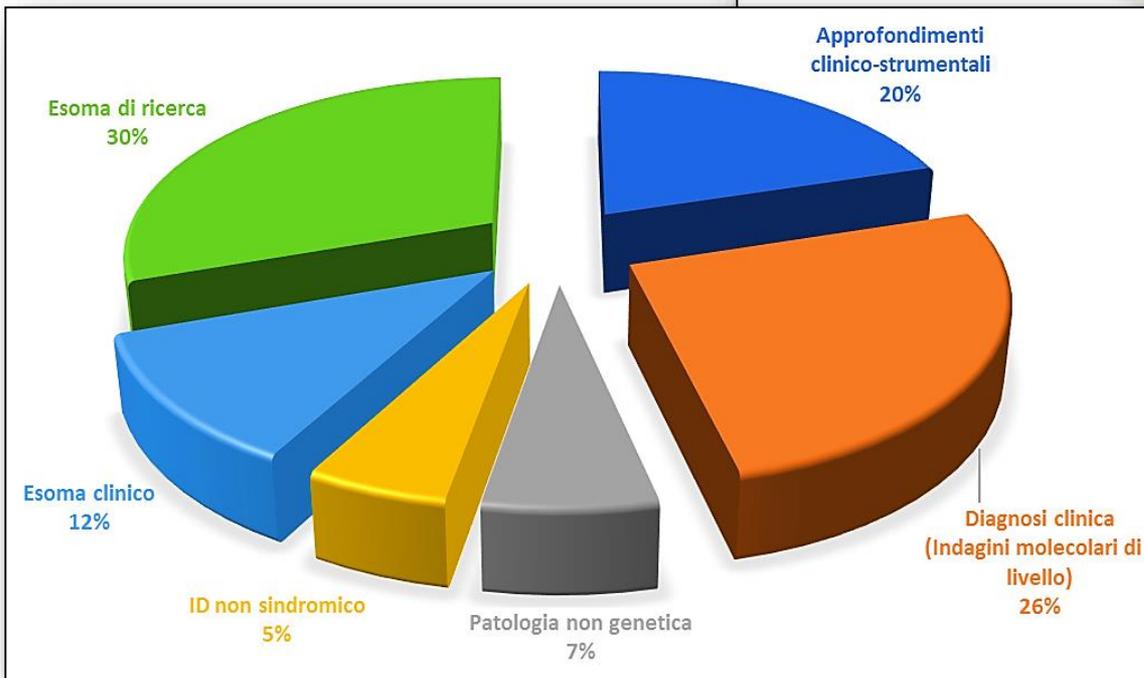
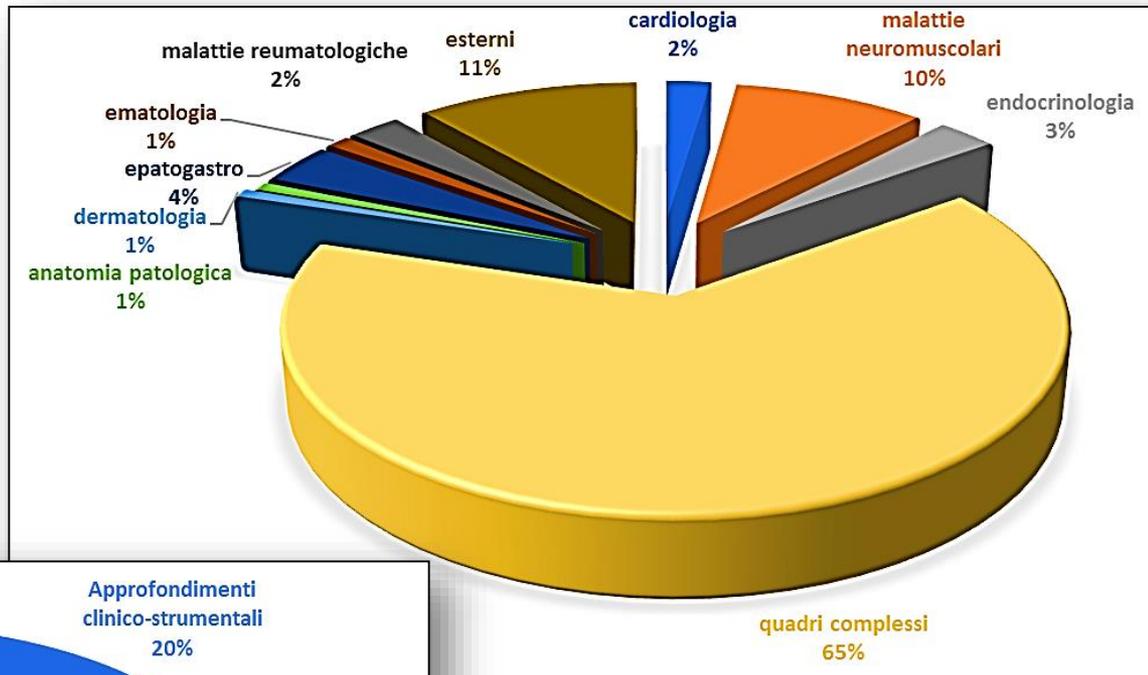
ingegnere biomedico

NO escluso dalla chirurgia

Ambulatorio casi non diagnosticati

Un anno di attività

- 34 sessioni multidisciplinari
- 267 pazienti



Successo esoma:

- geni-malattia noti 33%
- nuovi geni 6%
- geni-candidati 9% (in corso di validazione funzionale)

Articolazione dei trattamenti

Farmaci convenzionali



Farmaci orfani



Restrizioni dietetiche



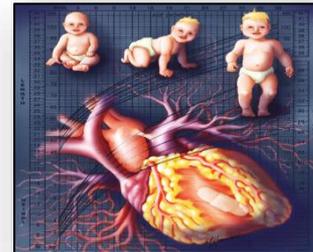
Vitamine/cofattori/substrati



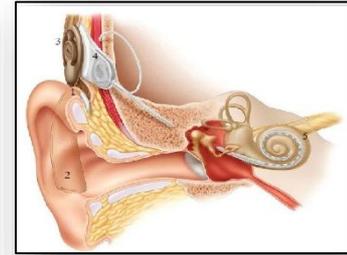
Trapianto di organi



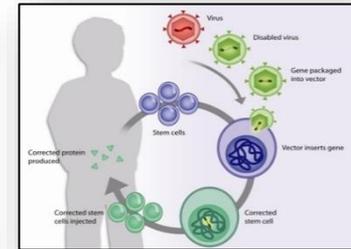
Chirurgia riparativa



Protesi



Terapia genica



Terapie cellulari



Riabilitazione robotica



Logopedia



Psicomotricità



Linee-guida

Management of Williams Syndrome

A Clinical Guideline

Williams Syndrome Guideline Development Group



Original Article

Molecular Syndromology

Mol Syndromol 2010;1:282-289

DOI: [10.1159/000331266](https://doi.org/10.1159/000331266)

Accepted: July 23, 2011

by A. Rauch

Published online: September 14, 2011

RASopathies: Clinical Diagnosis in the First Year of Life

M.C. Digilio^a F. Lepri^a A. Baban^a M.L. Dentici^a P. Versacci^b R. Capolino^a
R. Ferese^d A. De Luca^d M. Tartaglia^c B. Marino^b B. Dallapiccola^a

Management of Kabuki Syndrome

A Clinical Guideline

Kabuki Syndrome Guideline Development Group



Original article

Kabuki syndrome: clinical and molecular diagnosis in the first year of life

Maria Lisa Dentici^a
Mary Haywood L^a
Emanuele Bellac^a
Andrea Dotta,² M

GRAND ROUNDS

www.jpeds.com • THE JOURNAL OF PEDIATRICS

Practical Guidelines for Managing Patients with 22q11.2 Deletion Syndrome

Anne S. Bassett, MD,* Donna M. McDonald-McGinn, MS, CGC,* Koen Devriendt, MD, Maria Cristina Digillo, MD, Paula Goldenberg, MD, MSW, Alex Habel, MD, Bruno Marino, MD, Solveig Oskarsdottir, MD, PhD, Nicole Phillip, MD, Kathleen Sullivan, MD, PhD, Ann Swillen, PhD, Jacob Vorstman, MD, PhD, and The International 22q11.2 Deletion Syndrome Consortium**

Fecarotta et al. *Orphanet Journal of Rare Diseases* (2015) 10:22
DOI 10.1186/s13023-015-0240-y



RESEARCH

Open Access

Long term follow-up to evaluate the efficacy of miglustat treatment in Italian patients with Niemann-Pick disease type C

Simona Fecarotta¹, Alfonso Romano¹, Roberto Della Casa¹, Ennio Del Giudice¹, Diana Bruschini¹, Giuseppina Ma Bruno Bembì², Andrea Dardis², Agata Fiumara³, Maja Di Rocco⁴, Graziella Uziel⁵, Anna Ardissoni⁵, Dario Roccatè Mirella Alpa⁶, Enrico Bertini⁷, Adele D'Amico⁸, Carlo Dionisi-Vici⁹, Federica Deodato⁹, Stefania Caviglia⁹, Antonio Federico¹⁰, Silvia Palmeri¹⁰, Orazio Gabrielli¹¹, Lucia Santoro¹¹, Alessandro Filla¹², Cinzia Russo¹², Giancarlo Parenti¹ and Generoso Andria¹

J Inher Metab Dis (2017) 40:21-48
DOI 10.1007/s10545-016-9991-4

GUIDELINES

Guidelines for diagnosis and management of the cobalamin-related remethylation disorders cblC, cblD, cblE, cblF, cblG, cblJ and MTHFR deficiency

Martina Huemer^{1,2,3} • Daria Diodato⁴ • Bernd Schwahn⁵ • Manuel Schiff^{6,7,8} • Anabela Bandeira⁹ • Jean-Francois Benoit^{6,7,10} • Alberto Burlina¹¹ • Roberto Cerone¹² • Maria L. Couce¹³ • Angeles Garcia-Cazorla¹⁴ • Giancarlo la Marca¹⁵ • Elisabetta Pasquini¹⁶ • Laura Vilarinho¹⁷ • James D. Weisfeld-Adams^{18,19} • Viktor Kožich²⁰ • Henk Blom²¹ • Matthias R. Baumgartner^{1,2} • Carlo Dionisi-Vici⁴

Mayorandan et al. *Orphanet Journal of Rare Diseases* 2014, 9:107
<http://www.ajrd.com/content/9/1/107>



RESEARCH

Open Access

Cross-sectional study of 168 patients with hepatorenal tyrosinaemia and implications for clinical practice

Sebene Mayorandan¹, Uta Meyer¹, Gulden Gokcay², Nuria Garcia Segarra³, Hélène Ogier de Baulny³, Francjan van Spronsen⁴, Jiri Zeman⁵, Corinne de Laet⁶, Ute Spielkerkoetter⁷, Eva Thimm⁸, Arianna Maiorana⁹, Carlo Dionisi-Vici⁹, Dorothea Moeslinger¹⁰, Michaela Brunner-Krainz¹¹, Amelle Sophia Lotz-Havla¹², José Angel Cocho de Juan¹³, Maria Luz Couce Pico¹³, René Santer¹⁴, Sabine Scholl-Bürgi¹⁵, Hanna Mandel¹⁶, Yngve Thomas Bliksrud¹⁷, Peter Freisinger¹⁸, Luis Jose Aldamiz-Echevarria¹⁹, Michel Hochuli²⁰, Matthias Gautschi²¹, Jessica Endig²², Jens Jordan²³, Patrick McKernan²⁴, Stefanie Ernst²⁵, Susanne Morlot²⁶, Arndt Vogel²⁷, Johannes Sander²⁷ and Anibh Martin Das¹

BOND - European Reference Network on Rare Bone Disorders

CRANIO - European Reference Network on Rare craniofacial anomalies and ENT disorders

Endo-ERN - European Reference Network on Rare Endocrine Conditions

EpiCARE - European Reference Network on Rare and Complex **Epilepsies**

ERKNet - European Rare **Kidney Diseases** Reference Network

ERN-RND - European Reference Network on Rare **Neurological Diseases**

ERNICA - European Reference Network on Rare inherited and congenital anomalies

ERN-LUNG - European Reference Network on Rare **Respiratory Diseases**

ERN-Skin - European Reference Network on Rare and Undiagnosed **Skin Disorders**

EURACAN - European Reference Network on Rare Adult Cancers (solid tumors)

EuroBloodNet - European Reference Network on Rare Hematological Diseases

EURO-NMD - European Reference Network for Rare **Neuromuscular Diseases**

ERN-EYE - European Reference Network on Rare **Eye Diseases**

ERN GENTURIS - European Reference Network on GENetic TUMour Risk Syndromes

GUARD-HEART - Gateway to Uncommon And Rare Diseases of the **Heart**

ITHACA - European Reference Network on Rare **Congenital Malformations and Rare Intellectual Disability**

MetabERN - European Reference Network for Rare Hereditary **Metabolic Disorders**

PaedCan-ERN - European Reference Network for **Paediatric Cancer** (haemato-oncology)

RARE-LIVER - European Reference Network on Rare Hepatological Diseases

ReCONNET - Rare Connective Tissue and Musculoskeletal Diseases Network

RITA - Rare **Immunodeficiency, Autoinflammatory and Autoimmune Diseases** Network

TRANSCHILD - European Reference Network on **Transplantation in Children**

VASCern - European Reference Network on Rare **Multisystemic Vascular Diseases**

ERN eUROGEN - European Reference Network on Rare and Complex **Urogenital Diseases** and Conditions



Ricerca

Finanziamenti europei per la ricerca sulle malattie rare



47 progetti
64 milioni



59 progetti
230 milioni



120 progetti
620 milioni



40 progetti
220 milioni



98 progetti
78 milioni



>10 milioni

Oltre 20 anni di investimenti

Oltre 900 milioni investiti

Oltre 350 grandi progetti finanziati

Un impegno significativamente
aumentato a partire da FP7

Ricerca sulle malattie rare in Italia e in OPBG, anno 2016

Italia

- ❑ 850 progetti di ricerca sulle MR (*fonte Orphanet*);
- ❑ 24% delle sperimentazioni cliniche Europee (*fonte Farmindustria*);
- ❑ 30% dei prodotti Biotech sviluppati in Europa (*fonte Farmindustria*);
- ❑ *Strimvelis* il primo farmaco autorizzato di terapia genica.

OPBG

- ❑ 93 progetti attivi sulle MR (36% dei 258 progetti di di OPBG);
- ❑ 259 pubblicazioni dedicate alle MR (41% delle 630 pubblicazioni internazionali di OPBG);
- ❑ 1093 punti di *Impact Factor* per studi sulle MR (44% dei 2.505 punti di *IF* di OPBG)



Aree e Unità di ricerca

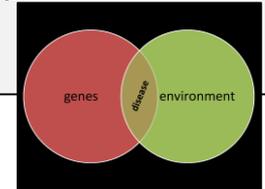
Genetica e Malattie Rare

- Genetica molecolare e genomica funzionale
- Genetica clinica e dismorfologia
- Malattie metaboliche
- Malattie neuromuscolari
- Malattie neurologiche e neurochirurgiche
- Malattie renali
- Microbioma umano
- Orphanet-Italia



Malattie Multifattoriali e Malattie Complesse

- Cardiopatie
- Medicina predittiva e preventiva
- Neuropsichiatria
- Patologie epatiche



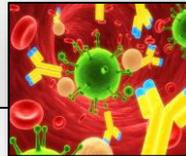
Infettivologia e Sviluppo di Farmaci Pediatrici

- Immunodeficienze primitive
- Fisiopatologia dell'accrescimento
- Sperimentazioni cliniche



Immunologia

- Fisiopatologia dei linfociti B
- Immunologia dei tumori
- Immuno-reumatologia



Oncoematologia

- Genetica ed epigenetica dei tumori pediatrici
- Terapia cellulare e genica delle emopatie
- Terapia genica dei tumori



Innovazioni clinico gestionali e tecnologiche

- Esiti clinici e percorsi medico-chirurgici
- *Health Technology Assessment and Safety*
- Innovazioni assistenziali
- *Imaging*
- Neuroriabilitazione Robotica



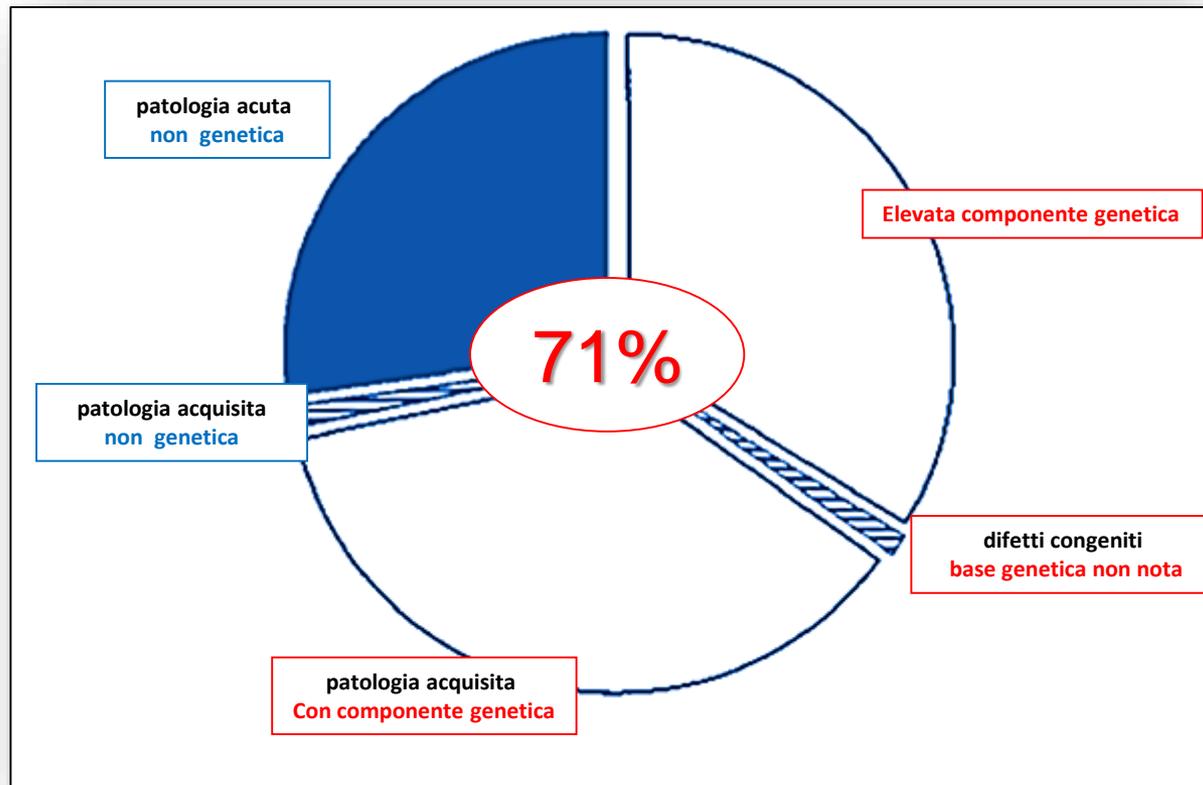
Impatto della genetica nelle malattie pediatriche

Am. J. Hum. Genet. 74:121-127, 2004

The Burden of Genetic Disease on Inpatient Care in a Children's Hospital

Shawn E. McCandless,^{1,2} Jeanne W. Brunger,³ and Suzanne B. Cassidy⁴

¹Department of Genetics, Case Western Reserve University, Cleveland; ²Center for Human Genetics and Department of Pediatrics, University Hospitals of Cleveland, Cleveland; ³Clinical Genetics Service, Department of Cancer Genetics, Roswell Park Cancer Institute, Buffalo, NY; and ⁴Department of Pediatrics, Division of Human Genetics, University of California, Irvine, School of Medicine, Irvine, CA



Ricerca genomica

Sequenziamento di seconda generazione (*Next Generation Sequencing - NGS*)

Sequenziamento mirato

Sequenziamento dell'esoma (WES)

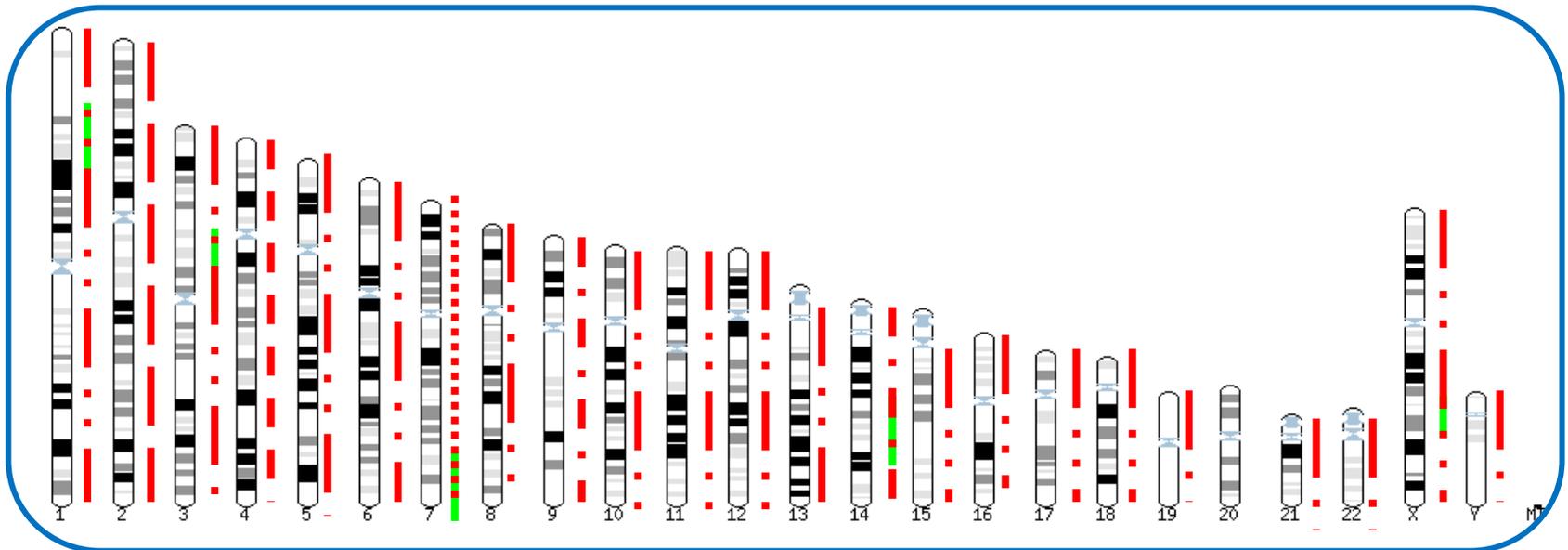
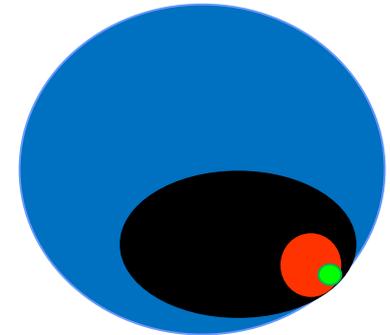
~1-2% del genoma (>20.000 geni, 30-64 Mb)

Sequenziamento del genoma (WGS)

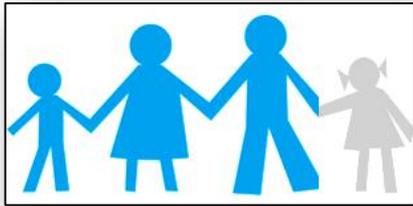
~3.2 Gb (corredo aploide)

Sequenziamento del trascrittoma (WTA)

~10.000 geni per popolazione cellulare



Definire le basi biologiche delle malattie ultrarare con in approccio -omico



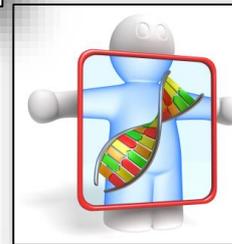
Next Generation Sequencing



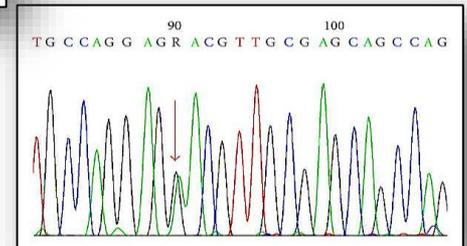
Analisi Bioinformatica



Identificazione del gene-malattia

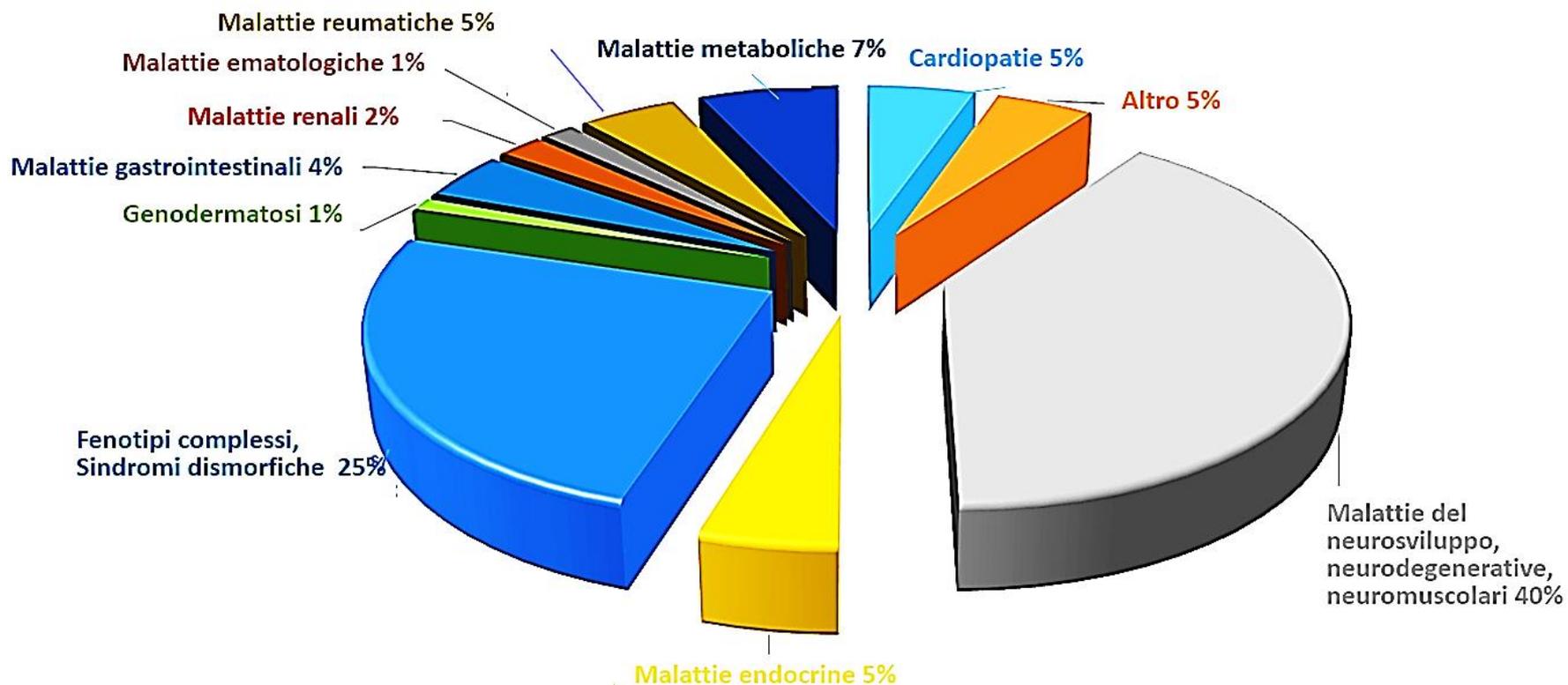


Validazione



Progetto pilota OPBG «pazienti senza diagnosi»

- 200 probandi/trios
- malattie senza diagnosi/fenotipi complessi
- negativi all'array-CGH e a specifici test genetici



Progetto pilota OPBG «pazienti senza diagnosi»



Successo diagnostico: 40%

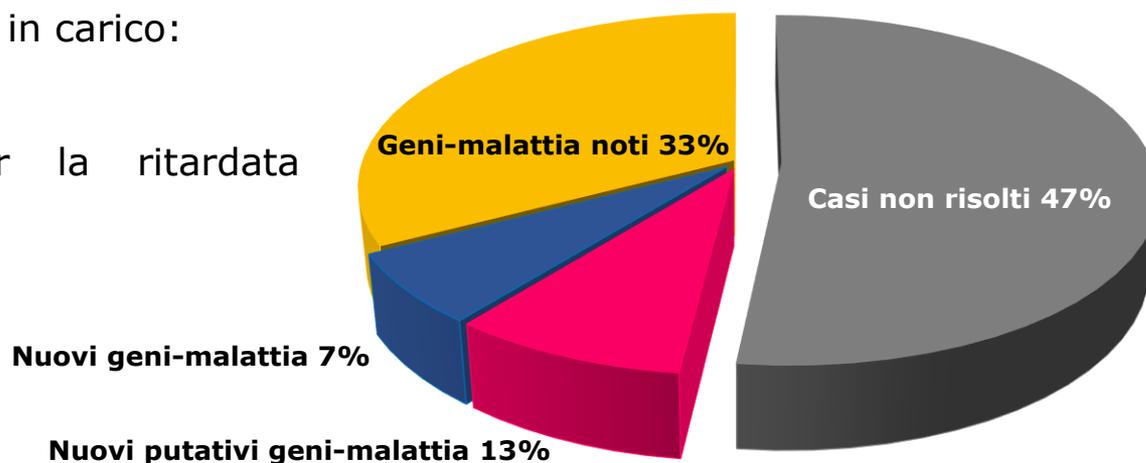
- ❑ Geni-malattia già noti: 33%
 - **Attesa media di 7-9 anni prima della diagnosi**
 - Circa il 40% dei casi presentava mutazioni in geni-malattia identificati negli ultimi 5 anni

Identificazione di nuovi candidati geni-malattia: 13%

- ❑ Validazione genetica/funzionale in corso

Costo-efficacia

- ❑ Costo medio per l'analisi del trio **2.500 €**
- ❑ Costo medio per la presa in carico: **14.188 €**
- ❑ Costo medio/anno per la ritardata diagnosi: **2.366 €**



Un nuovo paradigma per le malattie rare/orfane: prima il genotipo

The image shows the cover of a report from the Italian Ministry of Health. The central text reads: **Ministero della Salute**, **Consiglio Superiore di Sanità**, **Sessione L (2014-2017)**. The President is Prof.ssa Roberta Siliquini, and the General Secretary is Dott.ssa Daniela Rodorigo. **Sezione I** is headed by Prof. Rocco Bellantone, with technical secretary Dr. Stefano Moriconi. The **Gruppo di Lavoro** (Working Group) is titled *“Impatto socio-economico sul sistema sanitario delle tecniche di sequenziamento di seconda generazione (NGS) nell’inquadramento dei pazienti senza diagnosi”* and coordinated by Prof. Bruno Dallapiccola. The report includes **Raccomandazioni** (Recommendations).

On the left, a vertical bar chart titled **Costo dell’Informazione Genetica (scala logaritmica)** (Genetic Information Cost, logarithmic scale) shows a sharp decline in costs over time. A red line indicates the period 1980-1990, and a blue line indicates the period 2010-2017. The chart also lists **Analisi di**, **Analisi de**, **Correlazi**, and **fenotipo**.

On the right, a diagram shows two boxes: **Prima il fenotipo** (Phenotype first) in a blue box at the top and **Prima il genotipo** (Genotype first) in a red box at the bottom. A blue arrow points down from the top box to the bottom box, and a red arrow points up from the bottom box to the top box, indicating a shift in the diagnostic paradigm.

Progetto pilota OPBG «pazienti senza diagnosi»

Nuove malattie causate da mutazioni in nuovi geni (6+17)

Validate: *ATP6V1C1, FN1, KIF5B, NKX6-2, TBCD, TBCK*

Candidate: *ARAF, CC2D2A, CCDC120, CCT4, CLCN6, DGKD, DSCAM, MCM5, NPC1L1, NUMA1, RNF220, SCUBE3, SPEN, STAB2, TET1, WDR44, WNT6*

Espansione del fenotipo da mutazioni in geni-malattia noti (18)

ACO2, ADSL, ALG14, DYNC2LI1, GABRA1, GFPT1, GTPBP2, LHL24, IBA57, LYRM7, MAF, MORC2, NLRC4, OPA1, SH2B3, SMS, TBCE, UBB2A

Manifestazioni precoci di malattie note (ad es. assenza di appigli diagnostici) o fenotipi non caratteristici (4)

AHDC1, DYM, EFTUD2, FTO

Associazione di due malattie (2)

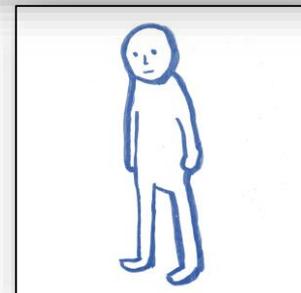
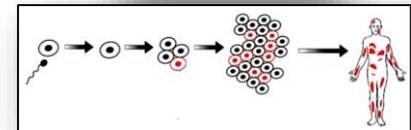
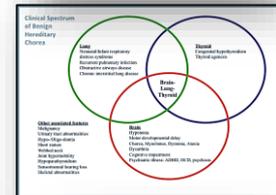
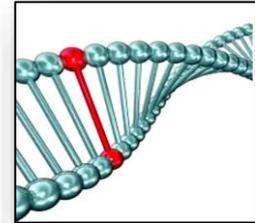
COLEC11/ZBTB40, PMRT7/CDH23

Malattia nota da mutazioni somatiche (2)

COL6A3, COL6A2

Malattia genetica già nota molto rara o di recente inquadramento e ancora poco caratterizzata o con fenotipo clinico poco caratteristico (30)

BCS1L, BRAF, CHD7, EHMT, EIF2B5, ELAC2, FA2H, FOXRED1, GDF5, GPD1, HNF4A, HNRNPK, HSPA9, ITPR1, KAT6B, KIF7, KIF11, KLHL24, LZTR1, PCSK1, POGZ, PTRH2, RMND1, SCN2A, SLC2A1, SPTBN2, STAT1, SZT2, TUBB4A, TSEN54



Unità di malattie metaboliche

Nuove malattie metaboliche

- Sindrome MEDNIK – *AP1S1*
- Sindrome Vici – *EPG5*
- Sindrome CDG 1b - *MPI*
- Encefalopatia etilmalonica – *ETHE1*
- Encefalopatia metilmalonica - *SUCLA2*

Linee-guida *Consensus conference*

- Difetti del ciclo dell'urea
- Acidemia propionica e metilmalonica
- Deficit rimetilazione (cbIC, MTHFR, ecc.)
- Tirosinemia
- Malattia Niemann Pick C
- Iperinsulinismo

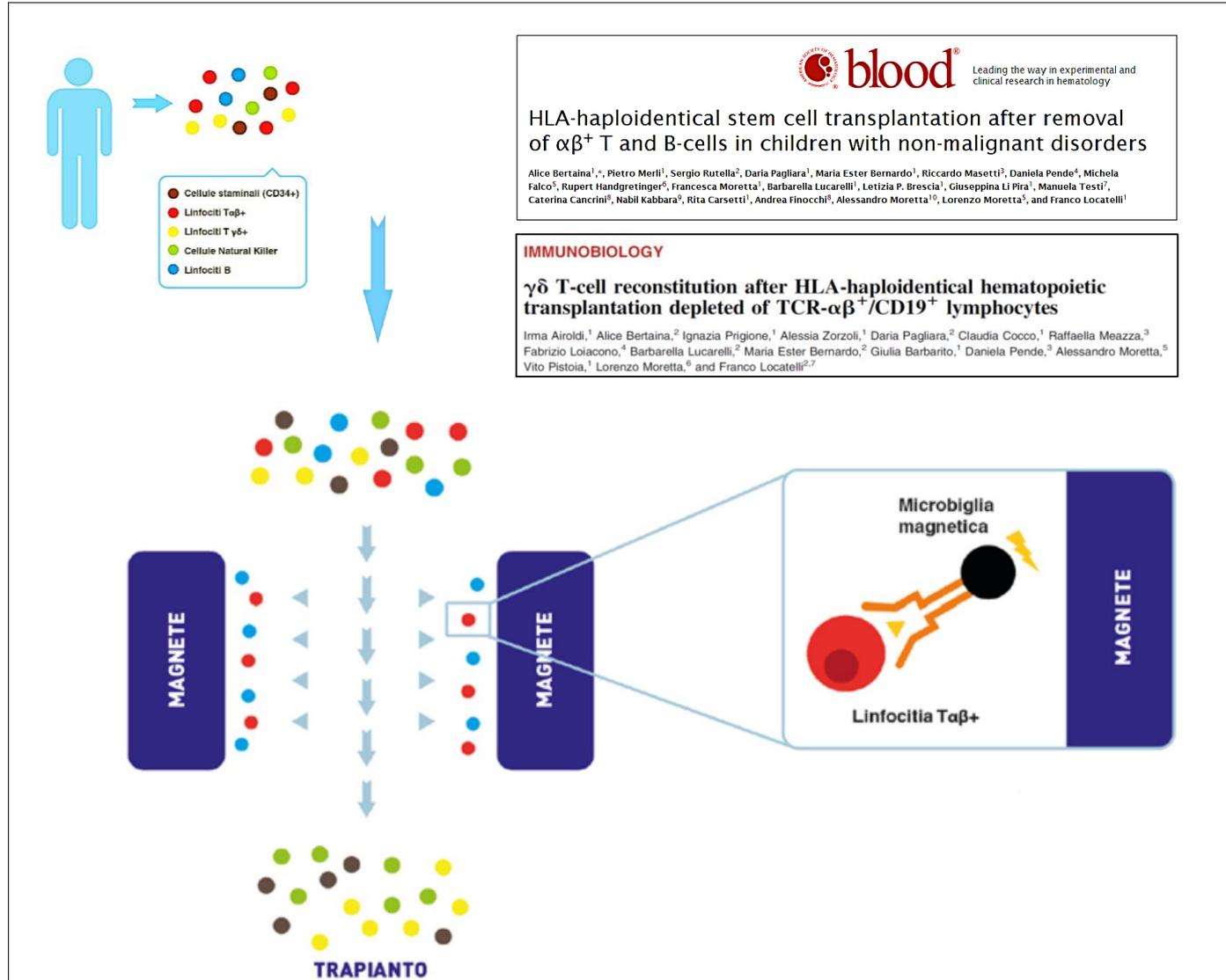
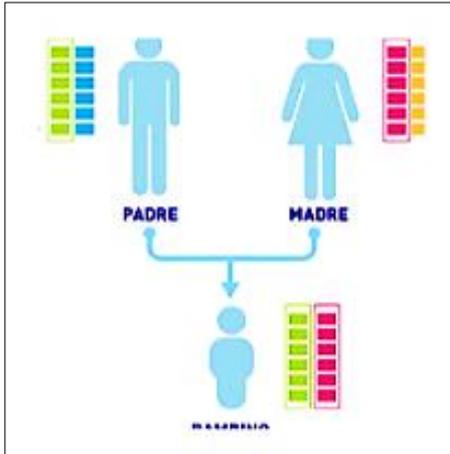
Terapie innovative

- Trattamento dell'emergenza metabolica
- Trapianto epatico, renale e terapie cellulari nelle malattie metaboliche
- Terapie farmacologiche nelle malattie mitocondriali
- Dieta chetogena nelle malattie metaboliche

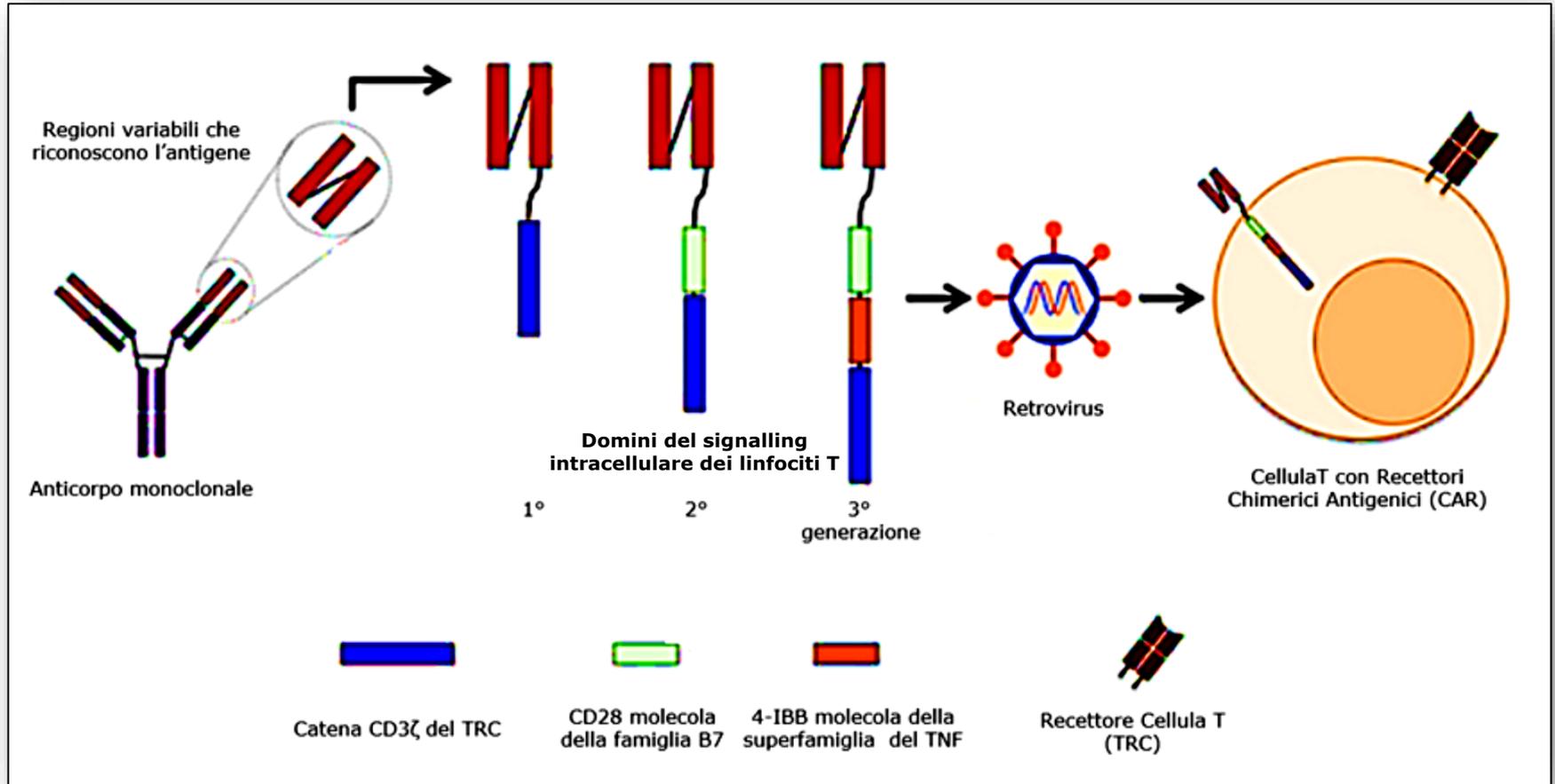
Metabolomica & biomarcatori

- Nuovi biomarcatori e nuovi protocolli MSMS per la diagnosi e il monitoraggio delle malattie metaboliche

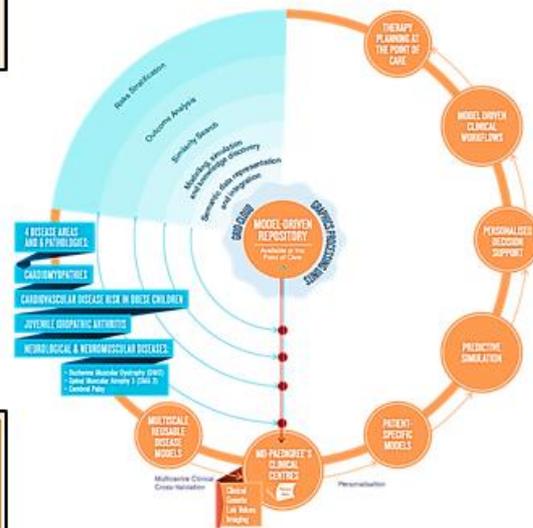
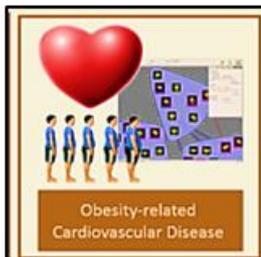
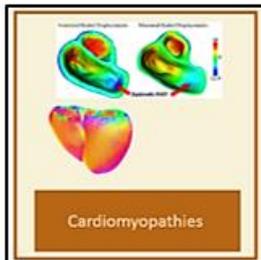
Area di Onco-ematologia trapianto aploidentico



Area di Onco-ematologia: immunoterapia del cancro con Recettori Chimerici Antigenici (CAR)



Virtual Physiological Human, Big Data, Medicina dei Sistemi





Informazione

Informazione istituzionale/Fondazioni ricerca/Help-lines, ecc.



Media/Eventi dedicati

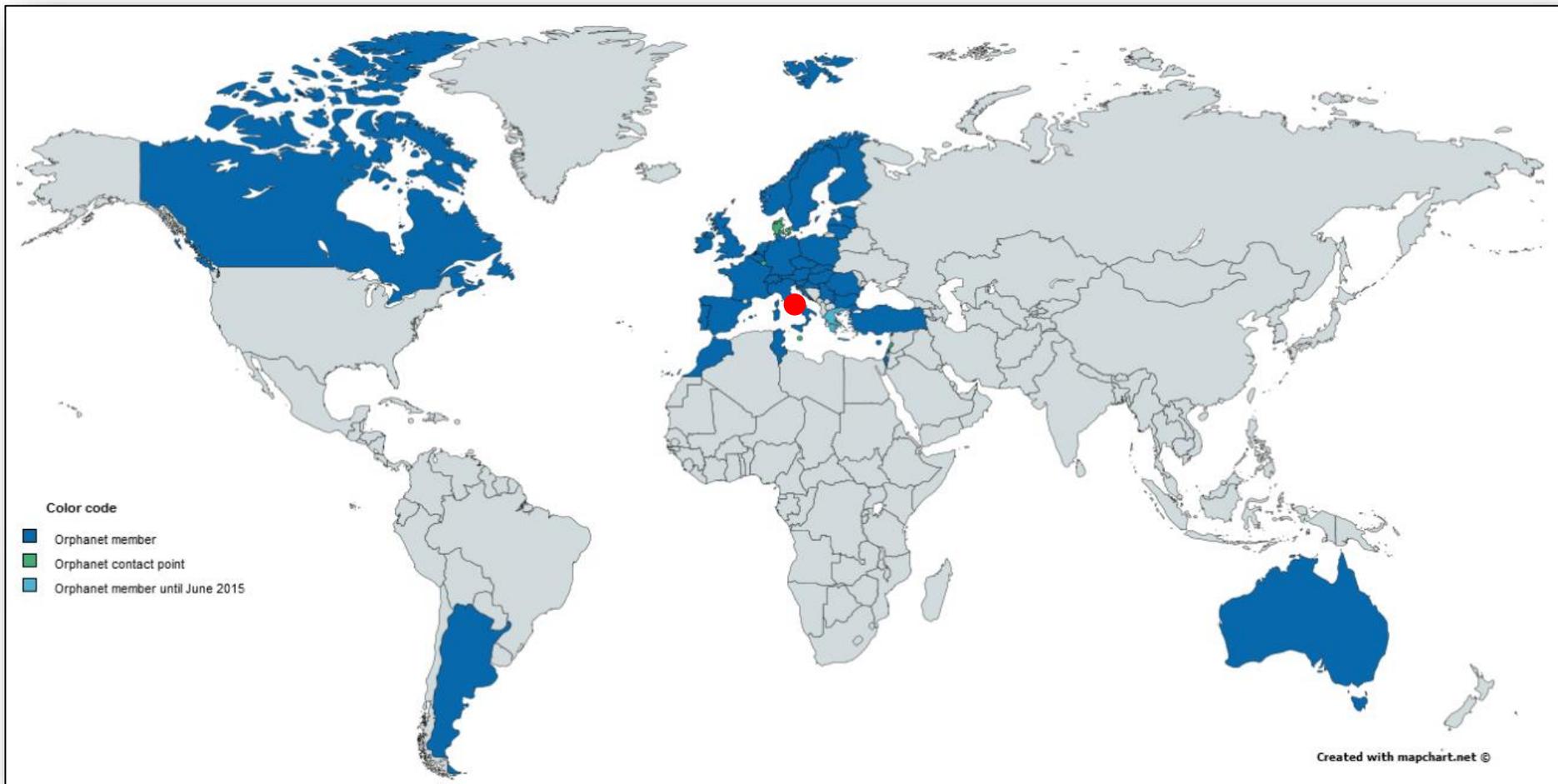


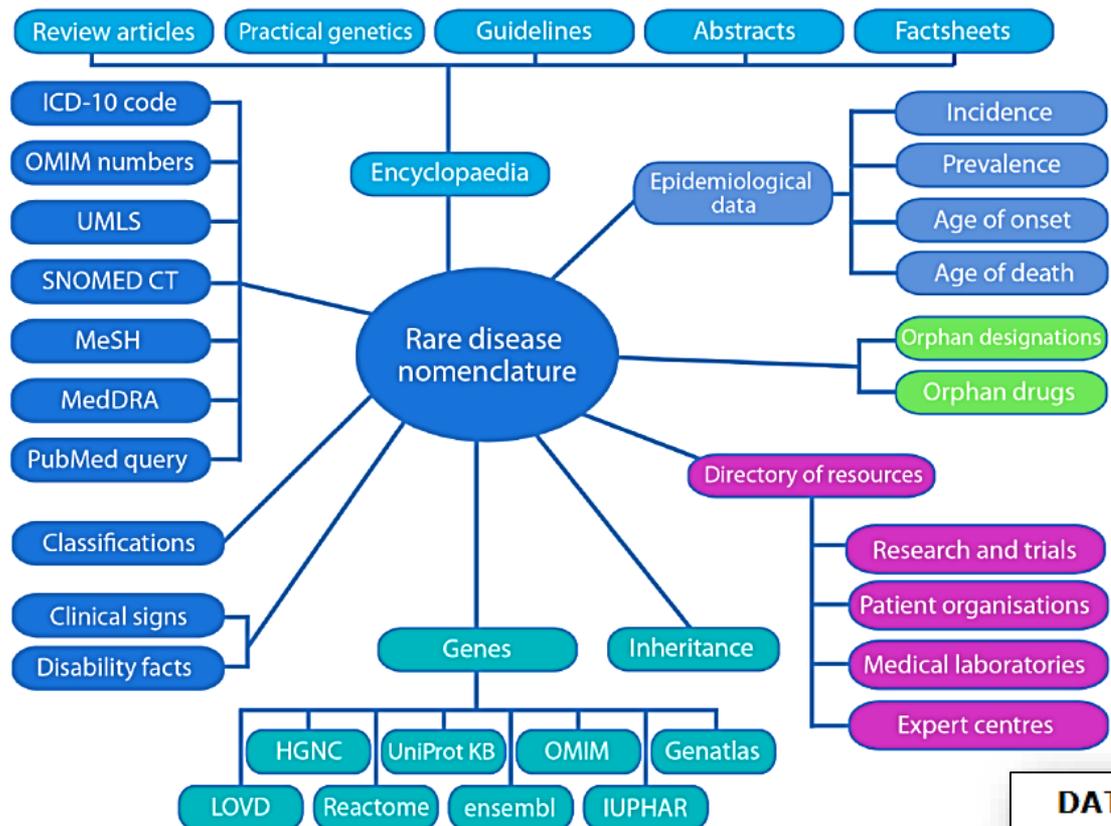
Associazioni/Federazioni dei pazienti



Informazione sulle malattie rare

orphanet





DATI ORPHANET-Italia AL 31 DICEMBRE 2016

Professionisti:	2958
Centri/consulenze e network:	1032
Associazioni e network di pazienti:	322
Laboratori di diagnosi:	279
Test genetici:	4550
Progetti:	803
Sperimentazioni cliniche e network:	262
Network di ricerca:	51
Urgenze:	43
OrphaNews Italia:	95
Utenti registrati a OrphaNews:	6402
Biobanche e network:	22
Registri di pazienti e network:	71
Registri di mutazioni:	25

Formazione

Formazione universitaria e istituzionale



Eventi dedicati



Associazioni dei pazienti



Formazione a distanza (FAD)



Formazione a distanza OPBG sulle malattie rare 2014-2016



Numero di riferimento evento: 784-86741
11 crediti ECM
Data inizio: 27/02/2014
Data fine: 26/02/2015
Utenti iscritti al Corso 11.236
Iscritti che hanno completato il Corso 8.050
Iscritti che hanno acquisito i crediti 7.729



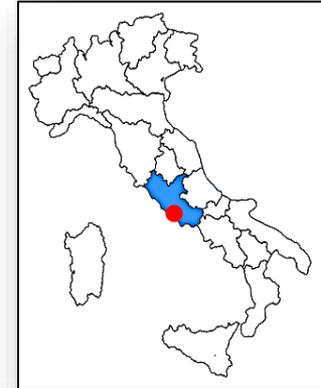
Numero di riferimento evento: 784-106282
23 crediti ECM
Data inizio: 01/10/2014
Data fine: 30/09/2015
Utenti iscritti al Corso 16.062
Iscritti che hanno completato il Corso 11.359
Iscritti che hanno acquisito i crediti 10.853



Numero di riferimento evento: 784-164664
8 crediti ECM
Data inizio: 01/08/2016
Data fine: 31/12/2016
Utenti iscritti al Corso 27.801
Iscritti che hanno completato il Corso 21.332
Iscritti che hanno acquisito i crediti 21.280

Empowerment

- ❑ Sportello delle Associazioni (URP)
 - associazione riconosciuta (JCI)
 - volontari in forza da almeno due anni
 - inserimento nell'elenco dei volontari autorizzati (DRU)
 - partecipazione obbligatoria ai corsi annuali di formazione per volontari
- ❑ Progetto *Deutsche Bank/OPBG*



Progetto Metabeat

Offre ai bambini affetti da malattie metaboliche rare strumenti educativi in grado di migliorare la qualità della loro alimentazione e della loro vita.



Progetti Nave Italia

- ❑ Ragazzi all'arrembaggio (malattie metaboliche);
- ❑ Epilessia fuori dall'ombra;
- ❑ A gonfie vele contro il cancro.



Una attività nel rispetto dei nostri valori fondanti

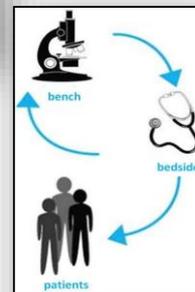
❑ Eccellenza



❑ Centralità della persona



❑ Ricerca scientifica e traslazionale



❑ Competenza, disponibilità, attenzione ai bisogni dei bambini e delle famiglie

