

MALATTIE RARE STATI GENERALI

SUD ITALIA

Iscriviti su www.motoresanita.it



21 e 22 Giugno 2023



Napoli

Holiday Inn - Centro Direzionale, Isola E6 - Via Domenico Aulisio



MOTORE
SANITÀ

MALATTIE RARE
STATI GENERALI 
SUD

21 - 22
Giugno 2023

Con il patrocinio di



RAZIONALE

Sul tema Malattie Rare (MR), dato il rapido evolvere dello scenario legislativo, organizzativo-gestionale e tecnico-scientifico, vi è il bisogno a livello di comunità medico-scientifica, di singolo operatore ed anche delle realtà associative, di promuovere un aggiornamento culturale e un processo di sensibilizzazione continui.

Una malattia si definisce rara quando la sua prevalenza, non supera una soglia stabilita, che in UE è fissata in 5 casi su 100.000 persone. Ma il numero di malattie rare conosciute e diagnosticate oggi oscilla tra le 7.000 e le 8.000, cifra che cresce appunto con i progressi della ricerca genetica, per cui si può parlare di un interessamento di milioni di persone. In base ai dati coordinati dal registro nazionale malattie rare dell'ISS, in Italia si stimano oltre 90 casi di malattie rare ogni 10.000 abitanti, con una incidenza di oltre 19.000 nuovi casi segnalati dalle oltre 200 strutture sanitarie che li seguono. Ma secondo la rete Orphanet il sommerso potrebbe essere molto elevato con stime in Italia di **1,5-2 milioni di cittadini**.

Il 2021, in Italia, è stato segnato da importanti novità legislative, mentre, in Europa, il 2022 è iniziato con una nuova fase della storia degli European Reference Networks (ERN). Sarà pertanto importante, per il Governo Centrale e le Regioni Italiane, farsi trovare pronti ad interpretare i nuovi dettami di legge, sfruttando appieno le nuove opportunità che essa offre per il perseguimento del bene dei pazienti con MR e soprattutto a confermare il proprio ruolo in Europa nel campo delle MR. Per far questo si dovrà passare alla fase realizzativa attraverso opportuni decreti attuativi, che seguano una **tabella di marcia condivisa con precise priorità, giuste risorse allocate**, coerenti con gli obiettivi ambiziosi descritti.

Non tutto sarà attuabile da subito, contemporaneamente ed uniformemente poiché la **presa in carico dei pazienti affetti da MR è differente nelle varie Regioni**, con centri di riferimento nazionali ed internazionali in alcune, ma con carenze di offerta assistenziale e di comunicazione in altre. A questo si aggiunga che non tutte le regioni lavorano in rete e non tutte sono in grado di offrire una continuità delle cure trasversale con percorsi facilitati dei pazienti MR, che per definizione sono pazienti cronici necessitanti di un'assistenza integrata spesso, ma non sempre, dall'infanzia all'età adulta.

Per tale motivo Motore Sanità intende organizzare delle giornate di analisi e proposte per macroregioni, nord ovest- nord est-centro-sud ed isole, per implementarne azioni concrete, rappresentando le MR il paradigma del futuro SSN in termini organizzativi e di innovazione diagnostico/terapeutica. Partendo dal presupposto che tutto ciò dovrà richiedere un grande cambio di preparazione culturale professionale ma anche un nuovo umanesimo.

14.00 **Saluti Istituzionali**

Antonio Postiglione, Direttore Generale per la Tutela della Salute e il Coordinamento del Sistema Sanitario Regionale, Regione Campania

14.15 **Le malattie rare come paradigma di una futura sanità nazionale ed europea, dalla nuova Legge sulle Malattie Rare ai protocolli attuativi**

Introduzione:

Fabiola Bologna, già Segretario XII Commissione (Affari Sociali), Camera dei Deputati

Discussant

Paola Facchin, Responsabile del Coordinamento Malattie Rare Regione del Veneto

Giuseppe Limongelli, Professore Dipartimento di Scienze Mediche Traslazionali Università della Campania Luigi Vanvitelli - U.O. Malattie Rare Cardiovascolari Monaldi - AORN Ospedali dei Colli Responsabile Centro di Coordinamento malattie Rare Regione Campania

Barbara Morgillo, Direzione Generale per la Tutela della Salute e il Coordinamento del Sistema Sanitario Regionale, Regione Campania

Sonia Storelli, Dirigente Medico, Coordinamento Malattie Rare, AReSS Puglia

Annalisa Scopinaro, Presidente Uniamo, Federazione Italiana Malattie Rare

Domenica Taruscio, Past Director Centro Nazionale Malattie Rare, Istituto Superiore di Sanità

Ciro Verdoliva, Direttore Generale Asl Napoli 1 Centro

Il modello degli ERN come sistema europeo di governance sanitaria applicato agli stati membri: quali opportunità da cogliere, come renderlo sostenibile

Introduzione:

Ettore Mautone, Giornalista Scientifico

Discussant

Rodolfo Conenna, Direttore Generale AORN Santobono Pausilipon, Napoli

Vincenzo D'Amato, Direttore Generale AOU San Giovanni di Dio e Ruggi d'Aragona, Salerno

Antonio D'Amore, Direttore Generale AO di Rilievo Nazionale Antonio Cardarelli, Napoli

Anna Iervolino, Direttore Generale AORN Ospedale dei Colli, Napoli

Giuseppe Longo, Direttore Generale AOU Federico II, Napoli

Vito Montanaro, Direttore Dipartimento Regionale Promozione della Salute, del Benessere Sociale e dello Sport per Tutti, Regione Puglia

Ferdinando Russo, Direttore Generale AOU Università degli Studi della Campania Luigi Vanvitelli, Napoli

Luca Sangiorgi, Incaricato dal Ministero per la Joint Action sull'integrazione degli Ern nel sistema sanitario nazionale

15.45 Gli screening neonatali: l'importanza del newborn screening nelle malattie rare e focus su AACcd

Moderazione:

Placido Bramanti, Presidente del Coordinamento Malattie Rare Regione Sicilia

Annamaria Parente, Presidente Commissione Sanità Diciottesima Legislatura

Gioacchino Scarano Referente tavolo tecnico Regionale Permanente di Governance delle attività di genetica

Discussant

Pietro Buono, Dirigente UOD Attività consultoriale e materno infantile Regione Campania

Alberto Burlina, Direttore Uoc Malattie Metaboliche ed Ereditarie AOU Padova

Achille Iolascon, Professore Ordinario Genetica Medica Federico II, Napoli

Giuseppe Limongelli, Professore Dipartimento di Scienze Mediche Traslazionali Università della Campania Luigi Vanvitelli - U.O. Malattie Rare Cardiovascolari Monaldi - AORN Ospedali dei Colli Responsabile Centro di Coordinamento malattie Rare Regione Campania

Giancarlo Parenti, Professore Ordinario di Pediatria presso l'Università Federico II di Napoli e Responsabile dell'Unità di Malattie Metaboliche Pediatriche presso il Policlinico Universitario Federico II, Napoli

Margherita Ruoppolo, Responsabile screening neonatale per le Malattie Rare del CEINGE Biotecnologie Avanzate

Simona Simonetti, Direttore Patologia Clinica Ospedale Pediatrico Giovanni XXIII, Bari

Ugo Trama, Responsabile Farmaceutica e Protesica della Regione Campania

17.00 Farmaci Innovativi, Terapie Avanzate ATMP HTA come strumento di misura del valore delle malattie rare

Introduzione:

Ugo Trama, Responsabile Farmaceutica e Protesica della Regione Campania

Discussant

Maria Galdo, Responsabile Area Farmaci UOC Farmacia Monaldi "Ospedale dei Colli", Napoli Centro Coordinamento Malattie Rare Regione Campania

Francesco Testa, UOC Oculistica Università della Campania Vanvitelli

Filippo Urso, Dirigente Farmacista Azienda Ospedaliera Cosenza

17.30 TAVOLA ROTONDA: Malattie rare, Next Generation Europe – Azienda – Università

Moderazione **Alberto Pagliafora**, Direttore Amministrativo AORN Colli

- Digitalizzazione della medicina: quale impatto sulle malattie rare
- Ricerca e Innovazione quali motori essenziali per la cura delle MR

Sabrina Bassolino, Referente Telemedicina, AORN Colli

Letizia Capasso, Ricamatore di Pediatria generale e specialistica Federico II, Napoli

Francesco Gabbrielli, Direttore Centro Nazionale per la Telemedicina e le nuove Tecnologie assistenziali, ISS

Alberto Pagliafora, Direttore Amministrativo AORN Colli

TAVOLA ROTONDA: La Ricerca nelle Malattie Rare

Introduzione:

Nicola Brunetti Pierri, Professore di Genetica Medica, Università degli Studi Federico II Napoli & Telethon Institute of Genetics and Medicine

Vincenzo Nigro, Coordinator of the Telethon Undiagnosed Program, Tigem, Professore Ordinario di Genetica Medica Università della Campania Luigi Vanvitelli

Discussant

Giancarlo Logroscino, Professore Centro per le Malattie Neurodegenerative e l'Invecchiamento Cerebrale, Università degli Studi di Bari

Francesco Macri, Consiglio Direttivo FISM

Antonio Toscano, Coordinatore UOC Neurologia e Malattie Neuromuscolari, Dipartimento di Neuroscienza AOU Policlinico "G. Martino" Messina

18.30 Chiusura dei lavori

9.00 Introduzione ai lavori

TAVOLA ROTONDA: La formazione nelle Malattie Rare

Introduzione e moderazione:

Giuseppina Annicchiarico, Referente Malattie Rare CO.RE.MAR

Giuseppe Limongelli, Professore Dipartimento di Scienze Mediche Traslazionali Università della Campania Luigi Vanvitelli - U.O. Malattie Rare Cardiovascolari Monaldi - AORN Ospedali dei Colli Responsabile Centro di Coordinamento malattie Rare Regione Campania

Raffaele Scarpa, Professore Universitario Facoltà di Medicina presso Università Federico II, Napoli

Discussant

Ciro Campana, UOD Personale del SSR, Regione Campania

Simone Baldovino, Referente Regione Piemonte presso il Tavolo Interregionale Malattie Rare - Centro Coordinamento Rete Interregionale Malattie Rare del Piemonte e della Valle d'Aosta, Dipartimento di Scienze Cliniche e Biologiche Università di Torino

10.00 TAVOLA ROTONDA: Tecnologia ed Innovazione. Telemedicina ed AI (intelligenza artificiale), strumenti a servizio dei pazienti e dei percorsi (PDTA).

Modelli regionali e nazionali, innovazione per una presa in carico ottimale del paziente con malattia rara Benchmark regionali e aziendali: DG aziende del Sud Italia

Moderazione:

Placido Bramanti, Presidente del Coordinamento Malattie Rare Regione Sicilia

Raffaele Scarpa, Professore Universitario Facoltà di Medicina presso Università Federico II, Napoli

Massimo Triggiani, Professore Ordinario, Dipartimento di Medicina, Chirurgia ed Odontoiatri "Scuola Medica Salernitana", Università di Salerno.

Discussant

Antonio D'Amore, Direttore Generale Azienda Ospedaliera di Rilievo Nazionale Antonio Cardarelli, Napoli

Francesco Gabbriellini, Direttore Centro Nazionale per la Telemedicina e le Nuove Tecnologie Assistenziali, Istituto Superiore di Sanità

Giuseppe Longo, Direttore Generale Azienda Ospedaliera Universitaria Federico II, Napoli

Leandro Pecchia, Professore di Ingegneria Biomedica, Università Campus Bio-Medico, Roma

Proposte per efficientare l'accesso ai farmaci per Malattie Rare

Francesca Caprari, Market Access Senior Director Alexion Pharma Italy srl

11.00 Percorsi nelle malattie rare: criticità, prospettive cliniche, empowerment del paziente e prospettive future

Massimo Triggiani, Professore Ordinario, Dipartimento di Medicina, Chirurgia ed Odontoiatri "Scuola Medica Salernitana", Università di Salerno.

Discussant

Lorenzo Latella, Segretario Regionale Cittadinanzattiva Campania

Walter Locatelli, Presidente Io Raro

Annalisa Scopinaro, Presidente Uniamo, Federazione Italiana Malattie Rare

Giuseppe Silvano Presidente del Forum Campano Associazioni Malattie Rare

11.30 TAVOLA ROTONDA: Dai grandi Trial al real world. Cosa cambia e cosa dobbiamo cambiare?

Introduzione:

Annalisa Capuano, Professore Ordinario di Farmacologia, Università della Campania L. Vanvitelli, Napoli

Ugo Trama, Responsabile Farmaceutica e Protesica della Regione Campania

Discussant

Annalisa Capuano, Professore Ordinario di Farmacologia, Università della Campania L. Vanvitelli, Napoli

Valentina Orlando, Direttore Scientifico Laboratorio HealthCare, Università degli Studi di Napoli Federico II

Ugo Trama, Responsabile Farmaceutica e Protesica della Regione Campania

12.00 TAVOLA ROTONDA: Voce ai pazienti. Gli "Unmet needs", quello che manca, quello che dobbiamo cercare. Pazienti e ricercatori a confronto

Introduzione:

Orfeo Mazzella Membro X Commissione permanente (Affari sociali, sanità, lavoro pubblico e privato, previdenza sociale), Senato della Repubblica
Giuseppe Limongelli, Professore Dipartimento di Scienze Mediche Traslazionali Università della Campania Luigi Vanvitelli - U.O. Malattie Rare Cardiovascolari Monaldi - AORN Ospedali dei Colli Responsabile Centro di Coordinamento malattie Rare Regione Campania

Discussant

Francesca Futura Bernardi, Referente Farmacosorveglianza Regionale, Regione Campania

Lorenzo Latella, Segretario regionale Cittadinanzattiva Campania

Barbara Morgillo, Direzione Generale per la Tutela della Salute e il Coordinamento del Sistema Sanitario Regionale, Campania

Giancarlo Parenti, Professore Ordinario di Pediatria presso l'Università Federico II di Napoli e Responsabile dell'Unità di Malattie Metaboliche Pediatriche presso il Policlinico Universitario Federico II, Napoli

Ore 14.00

Rete nazionale e reti regionali dei tumori rari

Discussant

Michele Guida, Responsabile U.O.S.D. Tumori rari e Melanoma, IRCCS, Istituto oncologico, Bari

Evoluzione delle conoscenze e tumori rari: attualità e futuro

Marina Melone, Professore Neurologia, Direttore Centro interuniversitario di Ricerca in Neuroscienza CIRN

La sostenibilità del sistema Malattie Rare

Giuseppe Limongelli, Professore Dipartimento di Scienze Mediche Traslazionali Università della Campania Luigi Vanvitelli - U.O. Malattie Rare Cardiovascolari Monaldi - AORN Ospedali dei Colli Responsabile Centro di Coordinamento malattie Rare Regione Campania

Gennaro Sosto, Direttore Generale Asl Salerno

Anna Maria Ferriero, Dirigente UOD Attuazione del Piano Regionale di assistenza sanitaria territoriale, Regione Campania

MOTORE
SANITÀ

MALATTIE RARE
STATI GENERALI SUD

21 - 22
Giugno 2023

Con il contributo incondizionato di



MOTORE
SANITA'

panacea

Comunicazione e redazione stampa
a cura di **www.mondosanita.it**

Registrati e ottieni le nostre **rassegne stampa** in esclusiva

[Clicca qui](#) ←



f

ORGANIZZAZIONE

Barbara Pogliano

b.pogliano@panaceascscs.com

f.romanin@panaceascscs.com

@

▣

SEGRETERIA

c.arione@panaceascscs.com

328 8443678

in