

# THINK TANK

ROMA

ore 14.00-18.30

25 Novembre 2024

LaSalutechevorrei

Stato attuale della ricerca e  
moderni approcci terapeutici in tema di

**Malattie Rare**



Palazzo Baldassini

Via delle Coppelle, 35 - 00186 ROMA

# THINK TANK

LaSalutechevorrei

L'Italia ha fatto un grosso passo avanti sul tema delle malattie rare: più di 2 milioni di persone nel nostro paese soffrono di malattie rare e moltissimi sono bambini, quindi una straordinaria emergenza del sistema sanitario del nostro Paese". Da qualche tempo questo mondo ha a disposizione una legge importante.

I malati rari devono avere una possibilità e una disponibilità di farmaci orfani più efficace, veloce e corrispondente ai bisogni.

Il Piano Nazionale Malattie Rare 2023-2026 rappresenta un passo fondamentale verso il riconoscimento dei bisogni di cura e assistenza del malato raro e delle loro famiglie, principale strumento di pianificazione centrale e cornice comune degli obiettivi istituzionali da implementare in questo triennio, in linea con le iniziative dell'Unione Europea.

Il PNMR definisce gli obiettivi di programmazione nell'ambito della diagnosi, prevenzione primaria, trattamenti farmacologici e non, percorsi assistenziali, ricerca, formazione e informazione delle malattie rare, e fornisce indicazioni per l'attuazione e implementazione dei Livelli Essenziali di Assistenza e per il monitoraggio attraverso i Registri.

Questo evento istituzionale si pone l'obiettivo di creare un momento di confronto culturale, programmatico e clinico/diagnostico sul tema delle Malattie Rare in pazienti anziani e bambini, incluse le malattie metaboliche da accumulo lisosomiale e patologie oncoematologiche, alla luce del G20 che si sta svolgendo in Brasile, in un contesto in cui l'Italia ha assunto la Presidenza del G7.

Stato attuale della ricerca e  
moderni approcci terapeutici in tema di

## Malattie Rare

**ROMA** ore 14.00-18.30

**25 Novembre 2024**

Palazzo Baldassini

Via delle Coppelle, 35

Con il Patrocinio di



**F.A.V.O.**

Federazione Italiana delle  
Associazioni di Volontariato  
in Oncologia

13.30 Apertura segreteria e accredito partecipanti

14.00 Apertura dei lavori

**MODERATRICE: Annalisa Manduca** (Giornalista e Divulgatrice Scientifica)

---

14.15 **Letture iniziale**

**Orazio Schillaci** - Ministro della Salute

---

14.30 **Primo Workshop**

### **La gestione delle malattie rare in Europa e l'impatto sul Sistema Sanitario Italiano**

**Intervengono:**

**Francesco Saverio Mennini** - Capo Dipartimento della programmazione, dei dispositivi medici, del farmaco e delle politiche in favore del SSN del Ministero della Salute

**Maurizio Scarpa** - Direttore Centro Regionale Malattie Rare, Regione Autonoma Friuli-Venezia Giulia e Coordinatore MetabERN (European Reference Network for Rare Hereditary Metabolic Disorders)

**Domenico Mantoan** - Direttore Generale AGENAS (Agenzia Nazionale per i servizi sanitari Regionali)

**Paola Facchin** - Coordinatrice Tavolo Tecnico Interregionale Malattie Rare

**Luca Sangiorgi** - Coordinatore Europeo ERN BOND (European Reference Network for Rare Bone Disorders)

**Raffaele Migliorini\*** - Responsabile Coordinamento Generale Medico Legale INPS (Istituto Nazionale della Previdenza Sociale)

**Marcello Cattani** - Presidente Farmindustria

---

15.45 **Secondo Workshop**

### **La gestione delle Malattie Rare: cooperazione con il Brasile alla luce del G20 2024**

**MODERATORI: Silvio Ferrari** (Multicare Pharmaceuticals - San Paolo, Brasile),

**Giovanni Leonardi** (Capo del Dipartimento della salute umana, della salute animale e dell'ecosistema (One Health) e dei rapporti internazionali - Ministero della Salute)

**Intervengono:**

**Eduardo Krueger Cota** - Direttore Operativo Multicare Pharmaceuticals - San Paolo, Brasile

**Antoine Daher** - Presidente "Casa Hunter, Febrararas e Casa dos Raros" (Associazioni pazienti brasiliana) - San Paolo, Brasile

**Natan Monsoro\*** - Coordinamento Generale delle Malattie Rare, Ministero della Salute del Brasile

**Sergio Iavicoli** - Ministero della Salute

**Enrico Costa\*** - Capo del Dipartimento Affari Internazionali - Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)

**Annalisa Scopinaro** - Presidente UNIAMO (Federazione Italiana Malattie Rare)

**Francesco Macchia** - Vicepresidente Osservatorio Malattie Rare (O.Ma.R)

**Ambasciatore del Brasile in Italia**

## 17.00 **Terzo Workshop**

### **La gestione delle Malattie Rare: dalla diagnosi, alla clinica, alla ricerca ai moderni approcci terapeutici. Confronto tra Professionisti Sanitari, Istituzioni e Ordini Professionali**

**MODERATORI:** **Antonio Giordano** (Presidente Sbarro Health Research Organization -SHRO),  
**Giovanni Esposito** (Presidente Scuola di Medicina e Chirurgia dell'Università Federico II di Napoli)

#### *Intervengono:*

- **Paziente con patologie cardiovascolari**  
**Giuseppe Limongelli** - Responsabile Centro di Coordinamento Malattie Rare Regione Campania
- **Paziente con patologie emato-oncologiche**  
**Stefano Cinti** - Professore Associato in Chimica Analitica - Università di Napoli Federico II, Dipartimento di Farmacia
- **Paziente con patologie metaboliche**  
**Alberto Burlina** - Direttore dell'UOC Malattie Metaboliche Ereditarie, Dipartimento di Pediatria AO di Padova - Università di Padova
- **Paziente con patologie neuromuscolari**  
**Andrea Martinuzzi** - Professore di Neuropsichiatria infantile, Università di Torino, U.C Neuropsichiatria infantile AOU Città della salute e della scienza Torino
- **Paziente con patologie inerenti alla salute mentale**  
**Andrea Fiorillo** - Presidente EPA\_European Psychiatric Association
- **Il parere degli Ordini Professionali e delle Associazioni:**  
**Filippo Anelli\*** - Presidente Federazione Nazionale degli Ordini dei Medici Chirurghi e degli Odontoiatri (FNOMCEO)  
**Andrea Mandelli** - Presidente Federazione Ordine Farmacisti Italiani (FOFI)  
**Barbara Mangiacavalli** - Presidente Federazione Nazionale Ordini Professioni Infermieristiche (FNOPI)  
**Francesco De Lorenzo** - Presidente Federazione italiana delle Associazioni di Volontariati in Oncologia (FAVO)

## 18.00 **Tavola Rotonda finale**

**MODERATORE:** **On. Vito De Filippo, Annalisa Manduca**

*Intervengono:* **Senatori e Onorevoli dell'Intergruppo Parlamentare Malattie Rare**

**Gian Antonio Girelli** - Membro Camera Deputati XII Commissione Affari Sociali

**Orfeo Mazzella** - Membro Senato e componente X Commissione Affari Sociali

**Guido Quintino Liris** - Membro Senato e componente X Commissione Affari Sociali

### **Intervento di chiusura**

**On. Marcello Gemmato\*** - Sottosegretario di Stato alla Salute

18.30 Chiusura evento

**ROMA** ore 13.30-18.30

**25 Novembre 2024**  
Palazzo Baldassini

\* In attesa di cortese conferma

Con il contributo non condizionante di

AstraZeneca 

 BeiGene

 Biogen.

 **Chiesi**  
global rare diseases 

 Pfizer

 sanofi

Per accreditarsi all'evento inviare una mail a:  
**[institutional@summeet.it](mailto:institutional@summeet.it)**

Segreteria Organizzativa

**SUMMEET**  
INSTITUTIONAL & ADVICE

Via Paolo Maspero, 5 | 21100 Varese | Tel. +39 0332 231416 | [www.summeet.it](http://www.summeet.it)