



# Primo Corso di Aggiornamento

Evento n° 223351 - Edizione 1 - Crediti formativi: 7 ECM.

# Malattie Rare e Farmaci Orfani

## Delegazione Pontificia Loreto Aula Paolo VI

# 27 Aprile 2018

Con il Patrocinio di:



FNOMCeO  
Federazione Nazionale  
degli Ordini dei Medici Chirurghi  
e degli Odontoiatri.



UNITALSI  
UNIONE NAZIONALE ITALIANA  
TRASPORTO AMMALATI A LOURDES  
E SANTUARI INTERNAZIONALI  
TRENII BIANCHI E NON SOLO...



Ordine  
dei Medici Chirurghi  
e degli Odontoiatri  
della Provincia di Fermo



Ordine dei Medici  
Chirurghi e Odontoiatri  
di Ascoli Piceno



ORDINE DEI MEDICI  
CHIRURGHI E ODONTOIATRI  
PROVINCIA DI ANCONA



ORDINE  
DEI MEDICI CHIRURGHI  
E DEGLI ODONTOIATRI  
PROVINCIA DI MACERATA



federfarma - marche  
FEDERAZIONE REGIONALE  
DEI TITOLARI DI FARMACIA



ASSOCIAZIONE  
MEDICI  
CATTOLICI  
ITALIANI



IICRA  
International Institute  
for Clinical Research  
and Analysis s.r.l.

L'obiettivo scientifico ed etico del corso è quello di riunire ricercatori, associazioni, pazienti, familiari, per un aggiornamento adeguato sulle malattie rare e i farmaci orfani. Con questo primo incontro si vuole dar vita ad un progetto stabile di collaborazione tra le entità coinvolte per favorire il coordinamento delle forze, lo scambio delle esperienze e delle competenze, il confronto sui bisogni e la soluzione dei problemi.

In prima istanza si tratterà anche di offrire canali di diffusione dell'informazione e di ascolto di tutti gli interessati, per capirne meglio le specifiche necessità e formulare le soluzioni migliori per ciascuno. Entro questo quadro entra anzitutto l'attenzione al problema delle disuguaglianze e dell'accesso alle cure e ai farmaci; due questioni cruciali che richiedono uno stretto coordinamento tra gli attori in gioco per azioni politiche forti a beneficio dei malati.

## Programma

<p>09.00 Registrazione dei partecipanti</p> <p>09.30 Saluto delle Autorità S.E. Mons. Fabio Dal Cin Arcivescovo Delegato Pontificio Prof. Claudio Pettinari Magnifico Rettore dell'Università di Camerino Prof. Filippo Maria Boscia Presidente Nazionale AMCI Dr. Pasquale D'Avella Presidente Federfarma Marche</p> <p>10.00 <b>I SESSIONE LE MALATTIE RARE</b> Moderatori Fiorenzo Mignini (Camerino) Domenico Criscuolo (Milano) Introduzione a cura dei moderatori</p> <p>10.10 <b>Lettura Magistrale: Malattie Rare e Farmaci Orfani</b> Domenica Taruscio Direttore Centro Nazionale Malattie Rare Istituto Superiore di Sanità - Roma</p> <p>10.40 <b>Il Centro di Riferimento Regionale per le Malattie Rare (CRMR): attualità e prospettive</b> Anna Ficcadenti CRMR Regione Marche</p> <p>11.10 <b>Sindrome di Sjogren: Malattia sistemica e degenerativa</b> Claudio Lunardi Università di Verona</p>	<p>11.40 <b>Le epilessie rare</b> Giulia Monti IRCCS - Istituto delle Scienze Neurologiche di Bologna</p> <p>12.10 Discussione</p> <p>12.45 Pausa</p> <p>14.00 <b>II SESSIONE I FARMACI ORFANI</b> Moderatori Mario Ascolese (Salerno) Maria Rita Peciarolo (Viterbo) Introduzione a cura dei moderatori</p> <p>14.10 <b>I farmaci Orfani: Aspetti regolatori</b> Domenico Criscuolo Società di Scienze Farmacologiche Applicate (Milano)</p> <p>14.40 <b>Lo sviluppo di un farmaco orfano</b> Loredana Guidolin Amicus Therapeutic (Milano)</p> <p>15.10 <b>I trials clinici per le malattie rare</b> Fiorenzo Mignini Università di Camerino</p> <p>15.40 Pausa</p>	<p>16.00 <b>TAVOLA ROTONDA</b> <b>Criticità e bisogni inevasi delle persone con malattie rare</b> Moderatori Piero Chinellato (Macerata) Andrea Corsalini (Macerata) Introduzione a cura dei moderatori</p> <p>Interventi Monica Bertoletti Associazione Italiana Sindrome di Beckwith-Wiedemann Massimo Chiamonte Associazione Nazionale Porpora Trombotica Trombocitopenica Giulia Fedele Associazione Nazionale Displasia Ectodermica Lucia Marotta Associazione Nazionale Italiana Malati Sindrome di Sjogreen Stella Rosi Associazione Malati Reumatici delle Marche Katia Santoro Associazione Famiglie LGS (Sindrome di Lennox Gstaux) Italia Rita Treglia Associazione Nazionale Angioma Cavernoso Cerebrale</p> <p>18.00 Discussione e Conclusioni</p> <p>18.30 Verifica ECM e gradimento del corso</p>
---	---	--

### Professioni Sanitarie:

Medico, Farmacista, Odontoiatra, Infermiere, Infermiere pediatrico, Psicologo, Biologo, Chimico, Ostetrica, Tecnico Radiologia, Tecnico Laboratorio, Assistente Sanitario, Dietista, Igienista, Logopedista, Ortottista, Tecnico Fisiopatologia, Audiometrista, Audioprotesista, TNPEE.

### Responsabile del Corso

Prof. Fiorenzo Mignini  
Osservatorio Medico Loreto  
fiorenzo.mignini@unicam.it

### Comitato Scientifico

Prof. Massimo Nabissi  
Dr. Andrea Corsalini  
Dr. Andrea Orteni  
Dr.ssa Silvia Piccinini  
Dr. Giancarlo Piccinini  
Dr. Vincenzo Nicoletti

### Segreteria Scientifica

Monica Cosenza  
info@iicra.it  
haneke66@gmail.com  
345 422 7687  
334 294 4370

Modulo d'iscrizione scaricabile su: [www.iicra.it/formazione/](http://www.iicra.it/formazione/)

**La S.V. è invitata a partecipare**

CNMR