

Malattie Rare in Sicilia: dalla Clinical governance ai Farmaci orfani

CORSO RES – 19 novembre 2021
Palermo, NH hotel (Foro Italico)

Razionale

“Oggi si stima che esistano circa 6000/8000 malattie rare, molte diverse tra loro ma spesso con comuni problemi di ritardo nella diagnosi, mancanza di cura e carico assistenziale” (Ministero della Salute).

Una malattia è definita rara in Europa quando colpisce meno di un individuo su 2.000. Le malattie rare interessano un ambito molto importante della salute e del socio-sanitario a partire dalla ricerca scientifica fino all’assistenza personale e sociale dei pazienti coinvolti. Per curarsi, purtroppo molto spesso, pazienti e famigliari devono lottare contro assurdi sistemi burocratici.

I “farmaci orfani”: come si sviluppano e come entrano nel mercato? Quale rapporto tra indice di cura e sostenibilità economica?. Anche se passi in avanti ne sono stati fatti: negli ultimi anni in media sono stati approvati circa 25 farmaci orfani ogni anno. L’Europa, con una serie di leggi e normative, ha stabilito dei criteri per la designazione di questi farmaci. Anche in Italia, per certi aspetti più sensibile alle MR rispetto ad altre nazioni, è presente un set legislativo molto positivo anche se tanto ancora c’è da fare. AIFA ha intrapreso tante iniziative fra cui quella della istituzione di un fondo a disposizione per le cure di pazienti e per le aziende farmaceutiche. I fondi messi a disposizione per i farmaci possono essere una buona risorsa per incrementare processi di cura più veloci e stabili e donare serenità di vita a quei pazienti che spesso non vedono speranza terapeutica. Come rapportare le terapie innovative con i problemi legislativi e organizzativo-sanitari che spesso impediscono un equo accesso nelle regioni d’Italia: l’uso di Car-T come si pone nelle regioni del Sud? È possibile usufruire di validi aiuti finanziari?

In Italia, un paziente affetto da malattia rara può avere accesso al farmaco orfano attraverso diversi strumenti legislativi, al di là del canonico percorso autorizzativo che lo rende acquistabile.

Nella regione Sicilia è costituito il Coordinamento regionale per le MR a supporto dell’Assessorato della Salute nel flusso di gestione delle MR. Inoltre, la Rete di riferimento per le malattie rare in Sicilia mette in comunicazione circa settanta centri presenti nella regione.

Come “dialogano” i Centri di riferimento con le varie realtà sanitarie del territorio? I centri di riferimento e, quindi, gli specialisti, riescono a “fare rete” con gli altri ospedali e le Aziende sanitarie della regione? Quale assistenza territoriale è garantita ai pazienti? Quale percorso coinvolge pazienti e famigliari dalla prima ipotesi diagnostica alla cura farmacologica?

In Italia, le persone con almeno un’esenzione per patologia rara sono oltre 400mila e la spesa complessiva per i farmaci orfani (lista AIFA 2019) è di circa 1,6 mld di euro. Altro elemento importante da affrontare: i tempi che intercorrono tra la designazione di una molecola e la sua effettiva disponibilità per i pazienti. Infatti l’ultimo PNMR al par. 3.10, per l’area di intervento relativa ai “Farmaci” riporta quanto segue: “obiettivi del Piano sono la riduzione dei tempi d’attesa per la disponibilità e l’effettivo utilizzo dei farmaci destinati alla cura delle patologie rare”.

Le politiche sanitarie che riguardano le malattie rare (MR) dovrebbero favorire una governance efficiente ed efficace, finalizzata a garantire soprattutto il congruo accesso dei pazienti alle terapie innovative e appropriate e, quindi, la sostenibilità del SSN/SSR.

Nelle regioni del Sud, nel 2018 si rileva un maggior consumo di farmaci orfani, e conseguentemente anche una maggiore spesa. Quale il rapporto tra appropriatezza e sostenibilità? I clinici e i farmacisti di riferimento si confronteranno, insieme ai rappresentanti dell’Assessorato della salute, su questo tema molto attuale che deve tenere al centro il paziente.

Alcuni dati indicativi per un affronto organico durante l’evento: nel 2019 hanno usufruito del fondo AIFA 991 persone (nel 2015 erano 7); nel 2019 le persone con MR che hanno chiesto l’uso compassionevole di un farmaco sono state 975 (nel 2014 erano 159).

L’evento vede la partecipazione di esperti del settore, che evidenzieranno gli aspetti fondamentali di governance e dell’utilizzo dei farmaci MR e orfani nella regione Sicilia.

Programma

09,00 – 09,15	Registrazione
09,15 – 09,35	Letture Magistrale “Malattie Rare: pazienti e cure” <i>Prof. G. De Sarro Magnifico Rettore UMG</i>
09,35 – 09,50	Sistema regolatorio dei farmaci MR e orfani <i>Dott.ssa C. La Seta</i>
09,50 – 10,05	Lo sviluppo di un farmaco orfano: dalla designazione alla disponibilità per il paziente <i>Dott. C. Russo</i>
10,05 – 10,20	Il percorso del paziente con MR: da dove si parte e dove si arriva? <i>Dott. Claudio Ales</i>
10,20 – 10,35	Applicazione delle CAR-T in oncematologia tra innovatività e sostenibilità <i>Dott. M. Musso</i>
10,35 – 11,00	Dibattito interattivo Relatori e partecipanti
11,00 – 11,15	Coffeé break
11,15 – 11,45	<i>La presa in carico di un paziente con MR: come si gestisce il percorso di cura</i> <i>Dott. P.A. Accardo</i>
11,45 – 12,15	L’esperienza di un centro di riferimento regionale MR tra clinical governance e rete sanitaria: quale opportunità? <i>Prof. M. Averna</i>
12,15 – 12,45	La rete dei centri di diagnosi e cura delle MR: il ruolo della regione Sicilia <i>Dott. S. Campo</i>
12,45 – 13,30	Dibattito interattivo Relatori e partecipanti
13,30 – 14,15	Lunch
14,15 – 14,40	L’accessibilità dei farmaci MR/orfani: EMA/AIFA, esenzioni e normative regionali <i>Dott. M. Pastorello</i>
14,40 – 15,05	Consumo e spesa dei farmaci orfani: quale sostenibilità per il SSR <i>Dott. P. Cananzi</i>
15,05 – 16,05	Tavola rotonda interattiva – Modera: <i>Dott.ssa V. Di Giovanni</i> L’esperienza dei Farmacisti delle Aziende Sanitarie siciliane nel processo terapeutico delle MR: solo questione di farmaci orfani? O di “sistema orfano”? Partecipano: <i>A. D’Agata – C. La Seta – P. Marrone – P. Terzo – M. Pastorello – C. Russo.</i>
	Dibattito interattivo Relatori e partecipanti.
16,05 – 16,20	Elementi di sintesi - Prof. M. Averna
16,20	Test ECM

Direzione Scientifica

Prof. Maurizio AVERNA

Professore Ordinario di Medicina Interna, Dir. UOC Astanteria/Medicina d'Urgenza
Responsabile Centro di riferimento regionale siciliano delle Malattie Rare del metabolismo
AOUP *Giaccone* – Palermo

Faculty

1. Prof. Maurizio AVERNA

Professore Ordinario di Medicina Interna, Dir. UOC Astanteria/Medicina d'Urgenza
Responsabile Centro di riferimento regionale siciliano delle Malattie Rare del metabolismo
AOUP *Giaccone* – Palermo

2. Prof. Giovanni DE SARRO

Magnifico Rettore Università Magna Graecia - Catanzaro

3. Dott. Calogero RUSSO

Direttore UOC Farmacia – ASP Enna
Coordinatore Area Malattie Rare – SIFO Sicilia

4. Dott. Pasquale CANANZI

Direttore Servizio Farmaceutico – Assessorato della Salute regione Sicilia

5. Dott.ssa Vincenza DI GIOVANNI

Direttore UOC Assistenza Farmaceutica Ospedaliera - ASP Trapani
Segretaria SIFO Sicilia

6. Dott. Maurizio PASTORELLO

Direttore Dipartimento Farmaceutico - ASP Palermo

7. Dott. Stefano CAMPO

Funzionario Servizio Programmazione Ospedaliera - Assessorato della salute regione Sicilia

8. Dott. Claudio ALES

Membro del *Coordinamento regionale siciliano e rete Malattie Rare*
Referente UNIAMO-FIMR Sicilia

9. Dott. Maurizio MUSSO

Responsabile UO Oncoematologia e TMO – Osp. La Maddalena SpA Palermo

10. Dott.ssa Maria Anna D'AGATA

Direttore UOC Farmacia - ASP Catania

11. Dott.ssa Concetta LA SETA

Direttore UOC Farmacia - A.O.U.P. "P. Giaccone" Palermo

12. Dott.ssa Patrizia MARRONE

Direttore UOC Farmacia – ARNAS Civico Palermo

13. Dott.ssa Paola TERZO

Direttore UOC Farmacia - ASP Siracusa

14. Dott. Pietro Andrea ACCARDO

*Dirigente Medico UOC di PATOLOGIA CLINICA CRR Malattie Rare del Sistema Immunitario e Angioedema
Centro FCSA - Emostasi e Trombosi AOR VILLA SOFIA-CERVELLO - Palermo*

Evento N° 334213 ed n 1

Obiettivo Formativo: Principi, procedure e strumenti per il governo clinico delle attività sanitarie (5)

Numero di crediti assegnato: 8,4

Destinatari:

Professioni: Farmacista: Ospedalieri e Territoriali;

Medico Chirurgo: Medicina Interna, Pediatri, Pediatri di Libera Scelta, Ematologi.

Dal momento che il file comprensivo di tutti i curricula dei docenti e moderatori supera i 4 MB si riportano nella griglia sottostante le affiliazioni dei responsabili scientifici/relatori /moderatori/tutor che prenderanno parte all'evento. Si certifica che i CV degli stessi sono archiviati presso i ns. uffici e verranno messi a disposizione della Commissione per eventuali audit in sede congressuale e/o presso la ns. sede.

Curricula Docenti, Moderatori, Sostituti

Titolo	Nome	Cognome	Laurea	Specializzazione	Affiliazione (luogodi lavoro)	Città
Prof.	Maurizio	Averna	Medicina e Chirurgia	Medicina Interna, Diabetologia e Malattie del Ricambio	Professore Ordinario di Medicina Interna, Dir. UOC Astanteria/Medicina d'Urgenza Responsabile Centro di riferimento regionale siciliano delle Malattie Rare del metabolismo AOUP <i>Giaccone</i> –	Palermo
Prof.	Giovanni	De Sarro	Medicina e Chirurgia	Farmacologia	Magnifico Rettore Università Magna Graecia -	Catanzaro
Dott	Calogero	Russo	Farmacia	Farmacia Territoriale	Direttore UOC Farmacia – ASP Enna Coordinatore Area Malattie Rare – SIFO Sicilia	Enna
Dott.	Pietro Andrea	Accardo	Medicina e Chirurgia	Ematologia	Dirigente Medico UOC di PATOLOGIA CLINICA CRR Malattie Rare del Sistema Immunitario e Angioedema Centro FCSA - Emostasi e Trombosi AOOR VILLA SOFIA-CERVELLO -	Palermo
Dott.	Maurizio	Musso	Medicina e Chirurgia	Malattie dell'apparato cardiovascolare	Responsabile UO Oncoematologia e TMO – Osp. La Maddalena SpA	Palermo
Sig.	Stefano	Campo	Diploma Istituto Tecnico Superiore	Dipl. Geometra	Funzionario Servizio Programmazione Ospedaliera - Assessorato della salute regione Sicilia	Palermo
Sig.	Claudio	Ales	Diploma	Maturità Scientifica	Membro del Coordinamento regionale siciliano e rete Malattie Rare-Referente UNIAMO-FIMR Sicilia	Palermo
Dott.	Maurizio	Pastorello	Farmacia	Farmacista	Direttore Dipartimento Farmaceutico - ASP	Palermo
Dott	Pasquale	Cananzi	CTF	Farmacologia	Direttore Servizio Farmaceutico – Assessorato della Salute regione Sicilia	Palermo
Dott.ssa	Vincenza	Di Giovanni	Farmacia	Farmacia Ospedaliera	Direttore UOC Assistenza Farmaceutica Ospedaliera - ASP Trapani Segretaria SIFO Sicilia	Trapani
Dott.ssa	Maria Anna	D'Agata	Farmacia	Farmacia Ospedaliera	Direttore UOC Farmacia - ASP Catania	Catania

Dott.ssa	Concetta	La Seta	Farmacia	Dipl. In Farmacia Clinica	Direttore UOC Farmacia - A.O.U.P. "P. Giaccone"	Palermo
Dott.ssa	Patrizia	Marrone	Farmacia	Farmacista	Direttore UOC Farmacia - ARNAS Civico	Palermo
Dott.ssa	Paola	Terzo	Farmacia	Farmacia Ospedaliera	Direttore UOC Farmacia - ASP	Siracusa

RESPONSABILE SCIENTIFICO

Prof.	Maurizio	Aversa	Medicina e Chirurgia	Medicina Interna, Diabetologia e Malattie del Ricambio	Professore Ordinario di Medicina Interna, Dir. UOC Astanteria/Medicina d'Urgenza Responsabile Centro di riferimento regionale siciliano delle Malattie Rare del metabolismo AOUP <i>Giaccone</i> -	Palermo
-------	----------	--------	----------------------	--	--	---------

SOSTITUTI

I Docenti/Relatori che, per problematiche sopraggiunte, non potranno relazionare saranno sostituiti dal Responsabile Scientifico o dai Docenti/Relatori, da questo individuati, in grado di illustrare le tematiche attinenti alle relazioni.