

ÜNIAMO
Federazione Italiana Malattie Rare

Convention MonitoRare

Centro Congressi Roma Eventi Fontana di Trevi - Piazza della Pilotta, 4

Mercoledì 6 luglio 2022

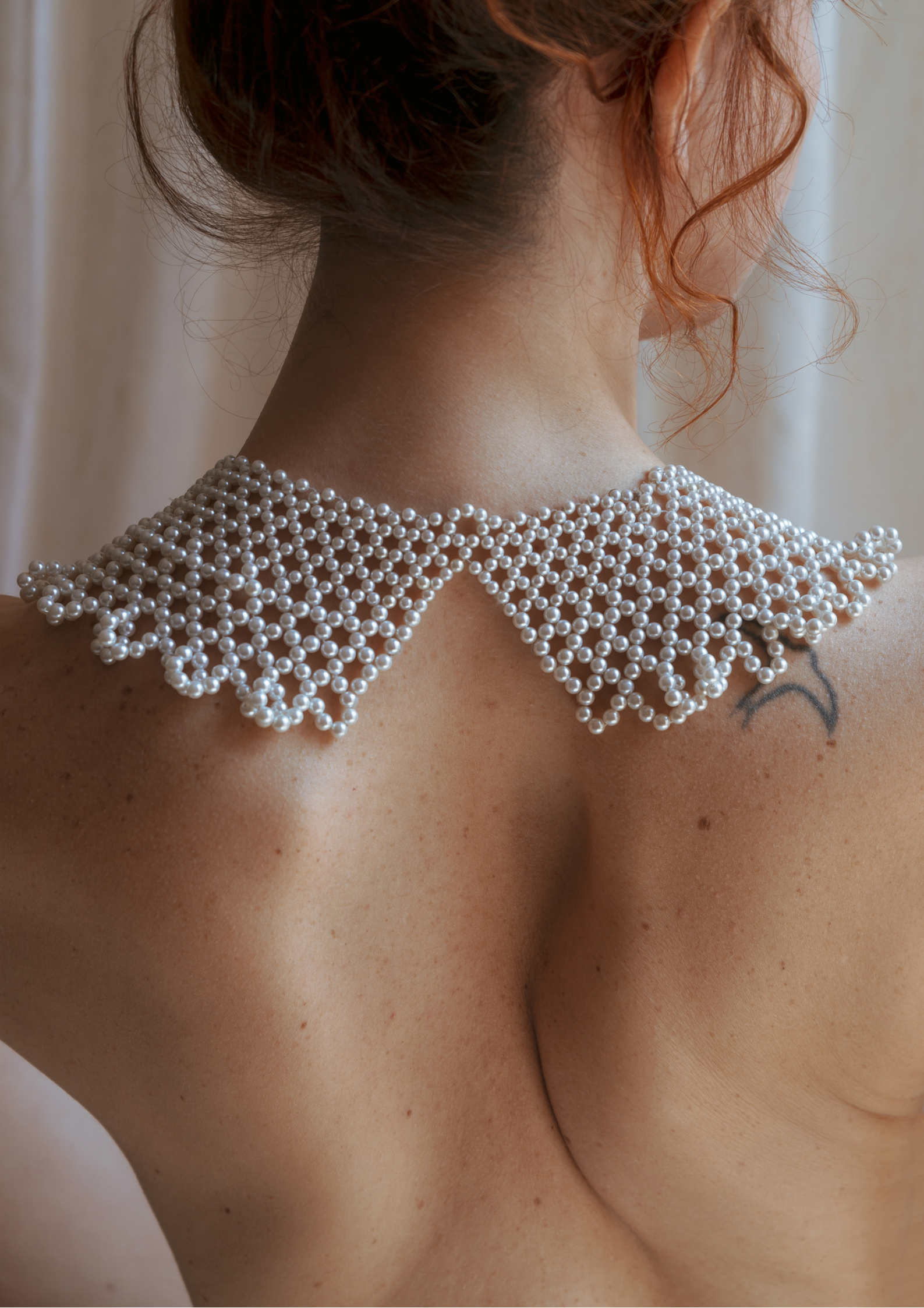
10.00 - 13.00

Presentazione del Rapporto

14:00-18:00

Le malattie rare in Italia. Stato dell'arte e prospettive future





PROGRAMMA

Ore 10:00 RegISTRAZIONI

Sala Manzoni
ore 10:30 - 13:00

Convention Monitorare

Moderatore: Maria Antonietta Spadorcia, giornalista Rai
ore 10:30-11:30

**Presentazione dell'Ottavo Rapporto Monitorare
sulla condizione delle persone con malattia rara in Italia**

Ore 11:30-13:00

**Politiche e riforme a favore delle persone con malattie rare e le loro famiglie: dal
Piano Nazionale Malattie Rare alla Risoluzione ONU**

Light Lunch

Moderatore: Sabrina Turco, giornalista Rai
Le malattie rare in Italia: Stato dell'arte e prospettive future

Sala Manzoni - ore 14:30-16:00

**Politiche e servizi per promuovere la ricerca, l'assistenza sanitaria e sociale a favore delle
persone con malattia rara – la prospettiva delle istituzioni**

ore 16:00-18:00
Sessioni parallele

Sala Montale	Sala Alfieri	Sala Belli	Sala Alighieri	Sala Manzoni
Percorso diagnostico	PresA in carico olistica	Ricerca	Terapie disponibili, accessibili e sostenibili	Speciale Focus Regioni



Convention Monitorare Presentazione dell'Ottavo Rapporto MonitoRare sulla condizione delle persone con malattia rara in Italia

Ore 10:00 RegISTRAZIONI

Sala Manzoni
ore 10.30-11.30

Moderatore: **Maria Antonietta Spadorcia**, giornalista Rai

Saluti istituzionali

Sen. Pierpaolo Sileri, Sottosegretario Ministero della Salute

Le Malattie Rare nel contesto Europeo

Brando Benifei, Membro del Parlamento Europeo, Vicepresidente dell'Intergruppo parlamentare sulle disabilità

Il Piano Europeo per le Malattie Rare

Yann Le Cam, Chief Executive Officer Eurordis

Le priorità dei pazienti

Annalisa Scopinaro, Presidente UNIAMO

I dati dall'VIII Rapporto MonitoRare

Romano Astolfo, UNIAMO

ore 11.30-13.00

Politiche e riforme a favore delle persone con malattie rare e le loro famiglie: dal Piano Nazionale Malattie Rare alla Risoluzione ONU

Sen. Paola Binetti, Presidente Intergruppo Parlamentare per le malattie rare

Sen. Annamaria Parente, Presidente XII Commissione Igiene e Sanità

On. Paolo Tiramani, Membro della Commissione Affari Sociali

On. Marcello Gemmato, Segretario della Commissione Affari Sociali

Sen. Maria Domenica Castellone, Membro della Commissione permanente Affari Esteri, emigrazione

On. Rossana Boldi*, Vicepresidente Commissione Affari sociali e sanità della Camera dei Deputati

Sen. Licia Ronzulli*, Bicamerale per l'infanzia e adolescenza

Sen. Maria Assunta Matrisciano*, Presidente 11 Commissione Lavoro pubblico e privato, previdenza sociale

On. Romina Mura*, Presidente XI Commissione Lavoro pubblico e privato

La presentazione del Rapporto ha il patrocinio di



Istituto Superiore di Sanità



*invitati a partecipare

Convention Monitorare

Le malattie rare in Italia: stato dell'arte e prospettive future

Ore 14:00 RegISTRAZIONI

Sala Manzoni

Ore 14:30 - 16:00

Politiche e servizi per promuovere la ricerca, l'assistenza sanitaria e sociale a favore delle persone con malattia rara – la prospettiva delle istituzioni

Moderatore: **Annalisa Scopinaro**, Presidente Uniamo

Dati e registri sulle malattie rare

Silvio Brusaferrò*, Presidente Istituto Superiore di Sanità

Le malattie rare paradigma di sanità

Giovanni Leonardi, Segretario Generale Ministero della Salute

Il Piano Nazionale Malattie Rare

Andrea Urbani, Direttore Generale Programmazione Sanitaria, Ministero della Salute

Terapie avanzate e innovative per le malattie rare: dalla sperimentazione alla rimborsabilità

Nicola Magrini*, Direttore Generale, AIFA

Sanità e integrazione socio-sanitaria: politiche e buone prassi nelle Regioni

Alessio D'Amato, Assessore alla Sanità e all'integrazione socio-sanitaria, Regione Lazio

Paola Facchin, Coordinatrice Tavolo tecnico interregionale per le malattie rare

L'inclusione scolastica dei bambini e dei ragazzi con malattia rara

Clelia Caiazza, Direttore Ufficio IV Disabilità, scuola in ospedale e istruzione domiciliare, Ministero dell'Istruzione

Sala Montale
Ore 16:00 - 18:30

Obiettivo percorso diagnostico

Conduce **Simona Bellagambi**, Rappresentante estero UNIAMO, consigliere EURORDIS
Partecipano: **Fabrizio Farnetani**, MITOCON, **Gabriele Bona**, AMRI

Commento politico di: **on. Lisa Noja**, membro della XII Commissione Affari Sociali

Screening neonatale e ampliamento del panel

Cristiano Rizzo, Vicepresidente Società italiana per lo studio delle Malattie Metaboliche Ereditarie e lo Screening Neonatale

L'importanza dello SNE al momento in cui ci sono le terapie

Barbara Capaccetti, Medical & Regulatory Director Takeda Italia

Uniformità degli screening sul territorio nazionale e il ruolo del Centro di coordinamento nazionale per gli screening neonatali

Domenica Taruscio, Direttrice Centro Nazionale Malattie Rare, Istituto Superiore di Sanità

L'importanza del percorso post diagnosi nella L. 167/2016

Luigi Orfeo, Presidente Società Italiana Neonatologia

Le tecniche omiche per la diagnosi dei casi complessi

Bruno Dallapiccola, Direttore scientifico Ospedale Pediatrico Bambino Gesù

Malattie rare, pediatri di libera scelta e medici di medicina generale: chi "sospetta" trova

Luigi Memo, delegato della Presidente della Società Italiana Pediatria

Gaetano Piccinocchi, Tesoriere Società Italiana di Medicina Generale e delle Cure Primarie

Malattie rare non diagnosticate: il ruolo delle Reti di riferimento europee

Giuseppe Zampino, ERN Ithaca, Presidente Società Italiana Malattie Genetiche Pediatriche e Disabilità Congenite

L'importanza del corretto indirizzo alla rete delle Malattie Rare

Giuseppina Annichiarico, CoreMaR Puglia

Sala Alfieri

Ore 16:00 - 18:30

Obiettivo presa in carico olistica

Conduce **Margherita Gregori**, Segretario Un Filo per la Vita onlus

Partecipano: **Marcello Bettuzzi**, Uniamo, Consigliere HHT Onilde Carini, **Raffaella Cungi**, Presidente Aidel22

Commento politico di: on. **Fabiola Bologna**, segretaria della XII Commissione Affari Sociali

Le case di comunità nella nuova sanità del territorio

Gaetano Piccinocchi, Tesoriere Società Italiana di Medicina Generale e delle Cure Primarie

Percorso del paziente: il ruolo dell'infermiere

Luigi Pais dei Mori, Consigliere Federazione Nazionale Ordini Professioni Infermieristiche e presidente dell'Ordine delle Professioni Infermieristiche di Belluno

Oltre la salute: i riconoscimenti di invalidità e handicap

Alfredo Petrone, Segretario Nazionale Settore INPS, Federazione Italiana Medici di Medicina Generale

Il ruolo delle Regioni nella presa in carico

Elisa Rozzi, Centro di Coordinamento Regione Emilia Romagna

Inclusione lavorativa delle persone con disabilità: dalla responsabilità sociale delle imprese alla promozione del diversity management

Alessandro Lombardi*, Direttore Generale del Terzo Settore e della responsabilità sociale delle imprese, Ministero del lavoro e delle politiche sociali

Aderenza alle terapie: il ruolo del farmacista ospedaliero

Marcello Pani, Vicepresidente Società Italiana di Farmacia Ospedaliera e dei Servizi Farmaceutici delle Aziende Sanitarie

L'importanza dell'integrazione scolastica

Maria Cinque, Direttrice Scuola di Alta Formazione Educare all'Incontro e alla Solidarietà - Università LUMSA

Il lavoro integrato

Giovanna Perricone, Presidente Società Italiana Psicologia Pediatrica

I risultati della survey sulle malattie rare

Salvatore Ruggiero, CEO Mercurio Group

*invitati a partecipare

Sala Belli

Ore 16:00 - 18:30

Obiettivo ricerca

Conduce **Eva Pesaro**, UNIAMO, Presidente AISP

Partecipano: **Barbara D'Alessio**, Presidente Fondazione LIRH

Commento politico di: **on. Beatrice Lorenzin***, coordinatrice Forum tematico Politica Sanitaria del Partito Democratico, membro V Commissione Bilancio, Tesoro e Programmazione

Il nodo delle sperimentazioni cliniche

Carlo Maria Petrini, Presidente Centro di coordinamento nazionale dei comitati etici territoriali per le sperimentazioni cliniche sui medicinali per uso umano e sui dispositivi medici

Il contributo delle fondazioni dedicate alla ricerca

Stefano Benvenuti, Referente Relazioni Istituzionali Fondazione Telethon

Il ruolo attuale e gli sviluppi futuri del biobancaggio

Marialuisa Lavitrano, Direttore BBMRI Italia e European Open Science Cloud Association

Le potenzialità dell'integrazione tra biobanche e registri di patologia

Luca Sangiorgi, Coordinatore ERN BOND

I finanziamenti regionali per la ricerca: l'esperienza della Regione Toscana

Cristina Scaletti, Responsabile clinico Rete Malattie rare Toscana

L'importanza dell'Università per la ricerca sulle Malattie Rare

Andrea Lenzi, Coordinamento Malattie Rare Lazio, Università La Sapienza

Il ruolo delle ERN nella ricerca

Maurizio Scarpa, Coordinatore europeo METABERN

*In dipendenza dal voto in Aula

Sala Alighieri
Ore 16:00 - 18:30

Obiettivo terapie disponibili, accessibili e sostenibili

Conduce **Filippo Cristoferi**, Chief of Staff & External Affair AIP

Partecipano: **Francesco De Lorenzo**, Presidente F.A.V.O.; **Massimo Marra**, Presidente CIDP Italia

Commento politico di: on. **Angela Ianaro**, membro della XII Commissione Affari Sociali

Il ruolo di AIFA

Sandra Petraglia, Dirigente Area Pre Autorizzazione AIFA

L. 175/2021 e l'inserimento nei prontuari regionali

Arturo Cavaliere, Presidente Società Italiana di Farmacia Ospedaliera e dei Servizi Farmaceutici

Early Engagement e Horizon Scanning: una buona prassi dalla Regione Veneto

Roberta Joppi, Commissione Tecnica Regionale sui Farmaci, Direzione Farmaceutico-Protesica-Dispositivi Medici, Regione Veneto

L'innovatività e la sostenibilità delle terapie

Giovanna Scroccaro, Presidente Comitato Prezzi e Rimborso, AIFA

Il costo delle terapie e le valutazioni HTA

Francesco Saverio Mennini, Presidente Società Italiana Health Technology Assessment

Cosa succede se i farmaci escono dalla produzione: il ruolo dello Stabilimento Chimico Farmaceutico Militare - Agenzia Industria Difesa

Col. Antonio Medica, Direttore Stabilimento Chimico Farmaceutico Militare

Il monitoraggio sulle terapie avanzate

Elena Paola Lanati, Direttore ATMP Forum

L'esperienza di Regione Lombardia

Erica Daina, Coordinamento Malattie Rare Regione Lombardia

L'importanza della tempestività nelle terapie avanzate e innovative

Francesca Caprari, Alexion, AstraZeneca Rare Disease

Una valutazione economica delle terapie ad alto costo

Americo Cicchetti, Direttore dell'Alta Scuola di Economia e Management dei Sistemi Sanitari

Sala Manzoni
Special Focus REGIONI
Ore 16:00 - 18:30

Gli sforzi della rete per la presa in carico sanitaria e socio sanitaria e la partecipazione dei rappresentanti dei pazienti ai tavoli regionali

Conduce **Rita Treglia**, UNIAMO, Associazione ANACC

Partecipano: **Claudio Ales**, Sicilia, **Sylvia Sestini**, Forum Malattie Rare Toscana, **Orfeo Mazzella**, Forum Malattie Rare Campania, **Giorgio Dal Maso**, gruppo Associazioni Veneto, **Paola Riso**, Gruppo Associazioni Liguria, **Gianluca Ciccia**, gruppo Associazioni Lazio, **Pietro Marinelli**, Gruppo Associazioni Umbria, **Daniela Baseggio**, Gruppo Associazioni Friuli-Venezia Giulia, **Angelo Lupi**, gruppo Associazioni Abruzzo, **Riccarda Scaringella**, Rete Amare Puglia, **Nicola Spinelli Casacchia**, CoReSar Coordinamento Associazioni Malattie Rare della Regione Sardegna.

Commento politico di: on. **Roberto Novelli**, membro della XII Commissione Affari Sociali

Silvia Di Michele, Regione Abruzzo

Giulia Motola, Regione Basilicata

Giuseppe Limongelli, Regione Campania

Matteo Volta, Regione Emilia Romagna

Rosalia Da Riol, Regione Friuli Venezia Giulia

Paola Grammatico, Regione Lazio

Rappresentante Regione Lombardia

Dario Roccatello, Regione Piemonte e Valle d'Aosta

Simone Baldovino, Regione Piemonte e Valle d'Aosta

Antonella Putzu, Regione Sardegna

Cecilia Berni, Regione Toscana

Monica Mazzucato, Regione Veneto

Faculty

Le malattie rare in Italia: stato dell'arte e prospettive future

Claudio Ales, Rappresentante pazienti Sicilia

Giuseppina Annichiarico, CoreMaR Puglia

Simone Baldovino, Regione Piemonte e Valle d'Aosta

Daniela Baseggio, Gruppo Associazioni Friuli-Venezia Giulia

Simona Bellagambi, Rappresentante estero UNIAMO, consigliere EURORDIS

Stefano Benvenuti, Referente Relazioni Istituzionali Fondazione Telethon

Cecilia Berni, Coordinamento Malattie Rare Regione Toscana

Marcello Bettuzzi, Uniamo, Consigliere HHT Onilde Carini

Fabiola Bologna, Segretaria della XII Commissione Affari Sociali

Gabriele Bona, Presidente AMRI Associazione Malattie Reumatiche Infantili

Silvio Brusaferrò, Presidente Istituto Superiore di Sanità

Clelia Caiazza, Direttore Ufficio IV Disabilità, scuola in ospedale e istruzione domiciliare, Ministero dell'Istruzione

Barbara Capaccetti Medical & Regulatory Director Takeda Italia

Francesca Caprari, Alexion, AstraZeneca Rare Disease

Arturo Cavaliere, Presidente Società Italiana di Farmacia Ospedaliera e dei Servizi Farmaceutici

Americo Cicchetti, Direttore dell'Alta Scuola di Economia e Management dei Sistemi Sanitari

Gianluca Ciccia, gruppo Associazioni Lazio

Maria Cinque, Direttrice Scuola di Alta Formazione Educare all'Incontro e alla Solidarietà - Università LUMSA

Filippo Cristoferi, Chief of Staff & External Affairs AIP Associazione Immunodeficienze Primitive

Raffaella Cungi, Presidente Aidel22- Associazione Delezione del 22

Barbara D'Alessio, Presidente Fondazione LIRH

Alessio D'Amato, Assessore alla Sanità e all'integrazione socio-sanitaria, Regione Lazio

Rosalia Da Rioli, Coordinamento Malattie Rare Regione Friuli Venezia Giulia

Erica Daina, Coordinamento Malattie Rare Regione Lombardia

Giorgio Dal Maso, gruppo Associazioni Veneto

Bruno Dallapiccola, Direttore scientifico Ospedale Pediatrico Bambino Gesù

Francesco De Lorenzo, Presidente F.A.V.O.

Silvia Di Michele, Coordinamento Malattie Rare Regione Abruzzo

Paola Facchin, Coordinatrice Tavolo tecnico interregionale per le malattie rare, Coordinamento Malattie Rare Veneto

Fabrizio Farnetani, MITOCON, Insieme per lo studio e la cura delle malattie mitocondriali Odv

Paola Grammatico, Coordinamento Malattie Rare Regione Lazio

Margherita Gregori, Segretario Un Filo per la Vita onlus

Angela Ianaro, membro della XII Commissione Affari Sociali

Luciana Indinnimeo, Direttore Scientifico Area Pediatrica - Società Italiana Pediatria

Roberta Joppi, Commissione Tecnica Regionale sui Farmaci, Direzione Farmaceutico Protesica-Dispositivi Medici, Regione Veneto

Elena Paola Lanati, Direttore ATMP Forum, CEO MaProvider e Mapcom Consulting

Marialuisa Lavitrano, Direttore BBMRI Italia e European Open Science Cloud Association

Andrea Lenzi, Coordinamento Malattie Rare Lazio, Università La Sapienza

Giovanni Leonardi, Segretario Generale Ministero della Salute

Giuseppe Limongelli, Regione Campania

Alessandro Lombardi, Direttore Generale del Terzo Settore e della responsabilità sociale delle imprese, Ministero del lavoro e delle politiche sociali

Beatrice Lorenzin, coordinatrice Forum tematico Politica Sanitaria del Partito Democratico, membro V Commissione Bilancio, Tesoro e Programmazione

Angelo Lupi, gruppo Associazioni Abruzzo

Nicola Magrini, Direttore Generale, AIFA

Pietro Marinelli, Gruppo Associazioni Umbria

Massimo Marra, Presidente CIDP Italia onlus - Associazione italiana dei pazienti di neuropatie disimmuni

Orfeo Mazzella, Forum Malattie Rare Campania

Monica Mazzucato, Coordinamento Malattie Rare Regione Veneto
Antonio Medica, Direttore Stabilimento Chimico Farmaceutico Militare
Luigi Memo, delegato della Presidente della SIP - Società Italiana Pediatria
Francesco Saverio Mennini, Presidente Società Italiana Health Technology Assessment
Giulia Motola, Coordinamento Malattie Rare Regione Basilicata
Lisa Noja, membro della XII Commissione Affari Sociali
Roberto Novelli, membro della XII Commissione Affari Sociali
Luigi Orfeo, Presidente Società Italiana Neonatologia
Luigi Pais dei Mori, Consigliere Federazione Nazionale Ordini Professioni Infermieristiche e presidente dell'Ordine delle Professioni Infermieristiche di Belluno
Marcello Pani, Vicepresidente Società Italiana di Farmacia Ospedaliera e dei Servizi Farmaceutici delle Aziende Sanitarie
Giovanna Perricone, Presidente Società Italiana Psicologia Pediatrica
Eva Pesaro, UNIAMO, Presidente AISP - Associazione Italiana Sindrome di Poland
Andrea Pession, Presidente Società italiana per lo studio delle Malattie Metaboliche Ereditarie e lo Screening Neonatale
Sandra Petraglia, Dirigente Area Pre Autorizzazione AIFA
Carlo Maria Petrini, Presidente Centro di coordinamento nazionale dei comitati etici territoriali per le sperimentazioni cliniche sui medicinali per uso umano e sui dispositivi medici
Alfredo Petrone, Segretario Nazionale Settore INPS, Federazione Italiana Medici di Medicina Generale
Gaetano Piccinocchi, Tesoriere Società Italiana di Medicina Generale e delle Cure Primarie
Antonella Putzu, Coordinamento Malattie Rare Regione Sardegna
Paola Risso, Gruppo Associazioni Liguria
Dario Roccatello, Coordinamento Malattie Rare Regione Piemonte e Valle d'Aosta
Elisa Rozzi, Coordinamento Malattie Rare Regione Emilia Romagna
Salvatore Ruggiero, CEO Mercurio Group
Luca Sangiorgi, Coordinatore europeo ERN BOND
Cristina Scaletti, Responsabile clinico Rete Malattie rare Toscana
Riccarda Scaringella, Rete Amare Puglia
Maurizio Scarpa, Coordinatore europeo METABERN
Annalisa M. Scopinaro, Presidente UNIAMO
Giovanna Scroccaro, Presidente Comitato Prezzi e Rimborso, AIFA
Sylvia Sestini, Forum Malattie Rare Toscana
Nicola Spinelli Casacchia, CoReSar Coordinamento Associazioni Malattie Rare della Regione Sardegna
Domenica Taruscio, Direttrice Centro Nazionale Malattie Rare, Istituto Superiore di Sanità
Rita Treglia, UNIAMO, ANACC Associazione Nazionale Angioma Caveroso Cerebrale
Andrea Urbani, Direttore Generale Programmazione Sanitaria, Ministero della Salute
Matteo Volta, Coordinamento Malattie Rare Regione Emilia Romagna
Giuseppe Zampino, ERN Ithaca, Presidente Società Italiana Malattie Genetiche Pediatriche e Disabilità Congenite

Il Rapporto MonitoRare è realizzato con il contributo di:

Coordinamenti regionali per le malattie rare

(Abruzzo, Basilicata, Campania, Emilia-Romagna, Friuli-Venezia Giulia, Lazio, Liguria, Lombardia, Marche, Molise, Piemonte, Puglia, Sardegna, Sicilia, Toscana, Trentino-Alto Adige, Valle d'Aosta, Veneto)

Agenzia Italiana del Farmaco - Area pre-autorizzazione

ATMP Forum

BBMRI.it - Biobanking and BioMolecular resources Research Infrastructure Italy

Fondazione Telethon

Istituto Superiore di Sanità - Centro Nazionale Malattie Rare

Ministero dell'Istruzione - Ufficio IV Disabilità. Scuola in ospedale e istruzione domiciliare. Integrazione alunni stranieri - Direzione generale per lo studente, l'integrazione e la partecipazione

Ministero della Salute - Ufficio 2 Riconoscimento e conferma IRCCS - Direzione Generale della ricerca e dell'innovazione in sanità

Stabilimento Chimico Farmaceutico Militare - Unità Produttiva Agenzia Industrie Difesa AID

che hanno fornito alcuni dei dati

Analisi, elaborazione dei dati e stesura del Rapporto

sono a cura di **Sinodè Srl** ed in particolare di: **Romano Astolfo** (A1, A2, A3, B1, B2, B3, B4, B5; B6,B7), **Paola Bragagnolo** (B1, B2, B3, B4, B5; B6,B7), **Stefania Porchia** (A3), **Marco Stocco** (A2,A3, B2), **Valeria Zampieri** (B2,B3)

Progetto grafico e impaginazione a cura di **MAPCOM Consulting**

Progetto fotografico "Lunghezza d'ombra" a cura di **Alma Beccarelli**

Annalisa Scopinaro, Presidente di UNIAMO, ha contribuito personalmente alla stesura dei paragrafi più attinenti all'attività della Federazione e alla revisione dell'intero Rapporto, con il supporto del Consiglio Direttivo.

Simona Bellagambi, Referente estero di UNIAMO, ha curato i paragrafi relativi alla dimensione europea delle malattie rare e ha rappresentato un prezioso anello di congiunzione con Eurordis, Rare Disease Europe.

Media Partner

asknews

Rai Pubblica
Utilità

MERCURIO
the multichannel company

START
MAGAZINE

RadioAide122

La sessione: Le malattie rare in Italia: stato dell'arte e prospettive future
ha ottenuto il contributo incondizionato di

Platinum Sponsor

ALEXION®
AstraZeneca Rare Disease

Takeda

Gold Sponsor

Celgene | Bristol Myers Squibb™
Company

Silver Sponsor

blueprint™
MEDICINES

Chiesi
global rare diseases

CSL Behring
Biotherapies for Life™

Janssen | PHARMACEUTICAL COMPANIES OF
Johnson & Johnson

Roche

sobi
rare strength

Bronze Sponsor

Alnylam
PHARMACEUTICALS

BeiGene

PTC
THERAPEUTICS

Orchard
therapeutics

Uniamo ringrazia per il sostegno alle proprie attività, che comprendono anche la realizzazione del Rapporto MonitoRare 2022:

Pfizer

sanofi

MONITORARE



ÜNIAMO
Federazione Italiana Malattie Rare

Via Nomentana, 133
00161 Roma
www.uniamo.org
segreteria@uniamo.org

Dona il 5x1000:
C.F. 92067090495
IT53M0306909606100000010339