



# FONDAZIONE PER LA RICERCA FARMACOLOGICA 'GIANNI BENZI'

## **Giornata del diritto costituzionale per la tutela della salute MALATTIE RARE E DISABILITÀ**

Roma 29 febbraio 2008  
venerdì, 29 febbraio 2008  
ore 08.15 – 14.00

CAMERA DEI DEPUTATI  
Palazzo Marini – Sala delle Conferenze



**Le attività programmate della  
'Fondazione per la Ricerca Farmacologica Gianni Benzi'  
per l'accesso e la sicurezza delle terapie orfane**

**Prof. Vittorio Silano  
PRESIDENTE COMITATO SCIENTIFICO  
Fondazione 'G. Benzi'**

# FONDAZIONE PER LA RICERCA FARMACOLOGICA 'GIANNI BENZI

## Motivazioni

La Fondazione Gianni Benzi ha lo scopo di preservare e valorizzare il grande patrimonio di idee e contributi che hanno caratterizzato la poliedrica attività scientifica e professionale del **Prof. Gianmartino Benzi** nel campo della ricerca biologica e farmacologica, ed il conseguente impegno profuso per trasferire tali competenze e trasformarle in applicazioni pratiche ed in particolare

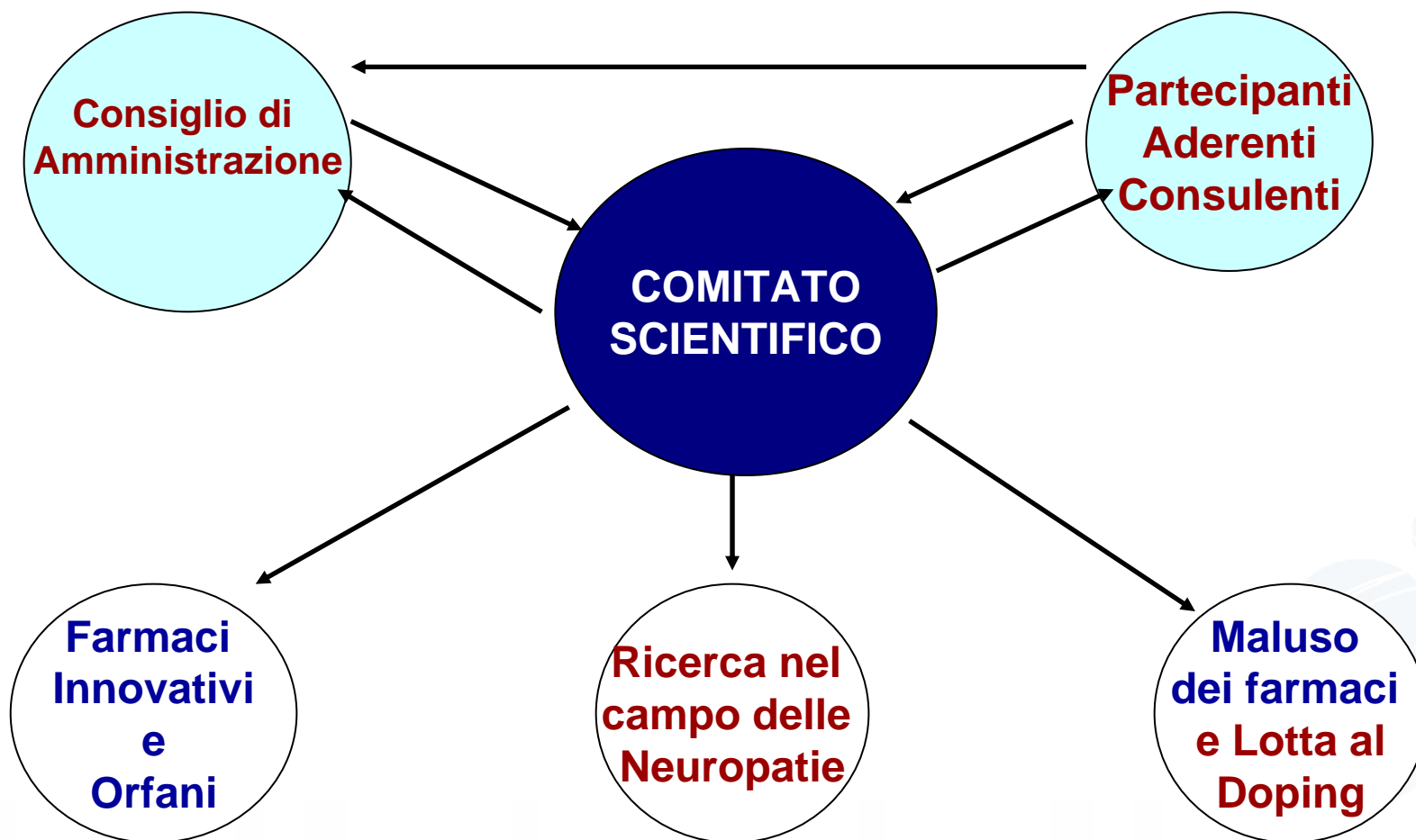
- 1) L'attività Istituzionale come componente 'Fondatore' del **BOARD** dell'Agenzia Europea dei Medicamenti (EMA) e del Comitato dei Farmaci Orfani (COMP)
- 2) L'attività di ricerca Scientifica nei settori della **bioenergetica cerebrale e muscolare** e della neurobiologia e neuropatologia dell'invecchiamento cerebrale
- 3) Gli studi sistematici sul cattivo **uso e abuso di farmaci nello sport** (ed in generale) e le loro possibili conseguenze compresa la **sclerosi amiotrofica laterale** o morbo di Lou Gehrig

# FONDAZIONE PER LA RICERCA FARMACOLOGICA 'GIANNI BENZI

## Attività Programmate

- il finanziamento di attività di ricerche svolte direttamente dai propri affiliati o affidate all'università, centri di ricerca o altri enti pubblici o privati;
- l'organizzazione di seminari, convegni, congressi, tavole rotonde, corsi di formazione o di perfezionamento,
- l'organizzazione di eventi, comprese inchieste e sondaggi presso il grande pubblico e nell'ambito scolastico, per sensibilizzare i giovani ai problemi inerenti l'uso e la sicurezza dei farmaci incluso il doping;
- l'istituzione di borse di studio e l'assegnazione di premi di ricerca;
- la diffusione dell'attività di ricerca, di educazione sanitaria e di divulgazione anche attraverso iniziative di carattere editoriale;

# FONDAZIONE PER LA RICERCA FARMACOLOGICA 'GIANNI BENZI



# FONDAZIONE PER LA RICERCA FARMACOLOGICA 'GIANNI BENZI

## *Iniziative programmate nei settori di interesse delle Malattie Rare*

- 1- Organizzazione di un **catalogo**, aggiornato e fruibile **on-line**, di pubblicazioni scientifiche relative alle malattie rare
- 2- Mantenimento e aggiornamento della **Banca Dati Eu-Orphan** comprensiva di Farmaci Orfani designati e autorizzati in Europa e USA
- 3- **Registro delle Neuropatie** indotte dall'uso di farmaci antitumorali (anche come modello per future ricerche in altri settori)

# FONDAZIONE PER LA RICERCA FARMACOLOGICA 'GIANNI BENZI

## **1- Costituire un catalogo, aggiornato e fruibile on-line, di pubblicazioni scientifiche relative alle *Malattie Rare e ai Farmaci Orfani***

**Obiettivo.** Considerando la dispersione geografica e la rarità delle patologie (più di 6.000 conosciute alcune interessanti poche decine di pazienti al mondo) sarebbe utile disporre di appositi strumenti che consentano la rapida diffusione di informazioni, la condivisione da parte della comunità scientifica interessata da parte dei pazienti e delle loro Associazioni.

### **Strumenti**

- Creare un sistema di raccolta delle informazioni che utilizzi diverse fonti  
1-Autori (ove noti), 2-Motori di ricerca (PubMed), EPARs, 3-Riviste, 4- Altri testi
- Fruire delle informazioni raccolte come consentito dalle vigenti norme relative al free access on-line ove esistenti per trasferirle ai soggetti interessati.

**PRODOTTI:** Abstracts completi, dettaglio della indicazione bibliografica, sintesi scientifica destinata sia ai medici che ai pazienti

# Catalogo Pubblicazioni su Malattie Rare

**CONTENUTI**

**Applicazione Pilota**

**BETA-THALASSEMIA**

**Altre Applicazioni Programmate**

**1- DUCHENNE MUSCULAR DYSTROPHY**

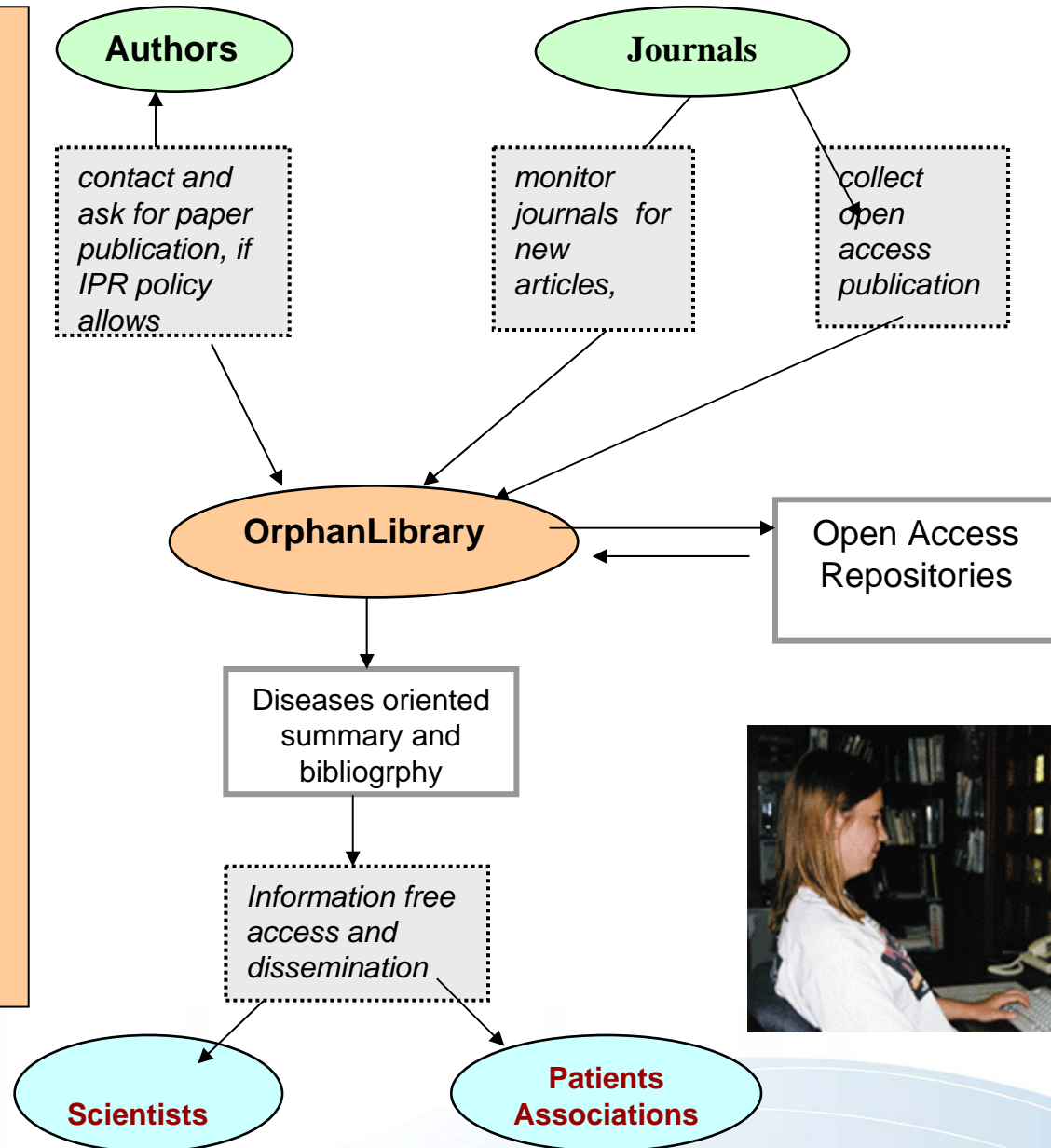
**2- RETT SYNDROME**

**3- LIGNEOUS CONJUNCTIVITIS**

**Lingua**

**1- Inglese (1° anno)**

**2- Italiano (dal 2° anno)**



# FONDAZIONE PER LA RICERCA FARMACOLOGICA 'GIANNI BENZI

## *2- Mantenimento e aggiornamento della Banca Dati Eu-Orphan comprensiva di Farmaci Orfani designati e autorizzati in Europa e USA*



EuOrphan è un portale di servizi - [www.euorphan.com](http://www.euorphan.com) – creato per la distribuzione di informazioni sui farmaci orfani designati e/o commercializzati nel mondo realizzato al fine di supportare lo sviluppo e la effettiva distribuzione di questi farmaci in Europa in modo da facilitarne l'accesso da parte dei pazienti affetti da malattie rare.

Il portale è frutto di un progetto promosso dal **CVBF** durante la Presidenza del **Prof. Benzi** e inizialmente finanziato dalla Comunità Europea nell'ambito del programma eTEN, DG Information Society. La Fondazione 'Gianni Benzi' intende **sostenere e proseguire l'attività di Eu-Orphan** per i prossimi anni per non disperderne il potenziale informativo a favore delle persone con Malattie Rare.



## Obiettivi del progetto

**ETICI**: la disponibilità dell'informazione contribuisce a migliorare la salute degli individui

**DI SALUTE PUBBLICA**: favorire e supportare la legislazione Europea incoraggiando le Industrie Farmaceutiche alla produzione e gli Stati Membri alla fornitura dei medicinali orfani

## REG. N.141/2000/CE

*“..i pazienti colpiti da affezioni rare devono aver accesso ad un trattamento qualitativamente uguale a quello riservato agli altri pazienti..”*

*“..occorre quindi promuovere la ricerca, lo sviluppo e la commercializzazione di adeguati medicinali da parte dell'industria farmaceutica..”*

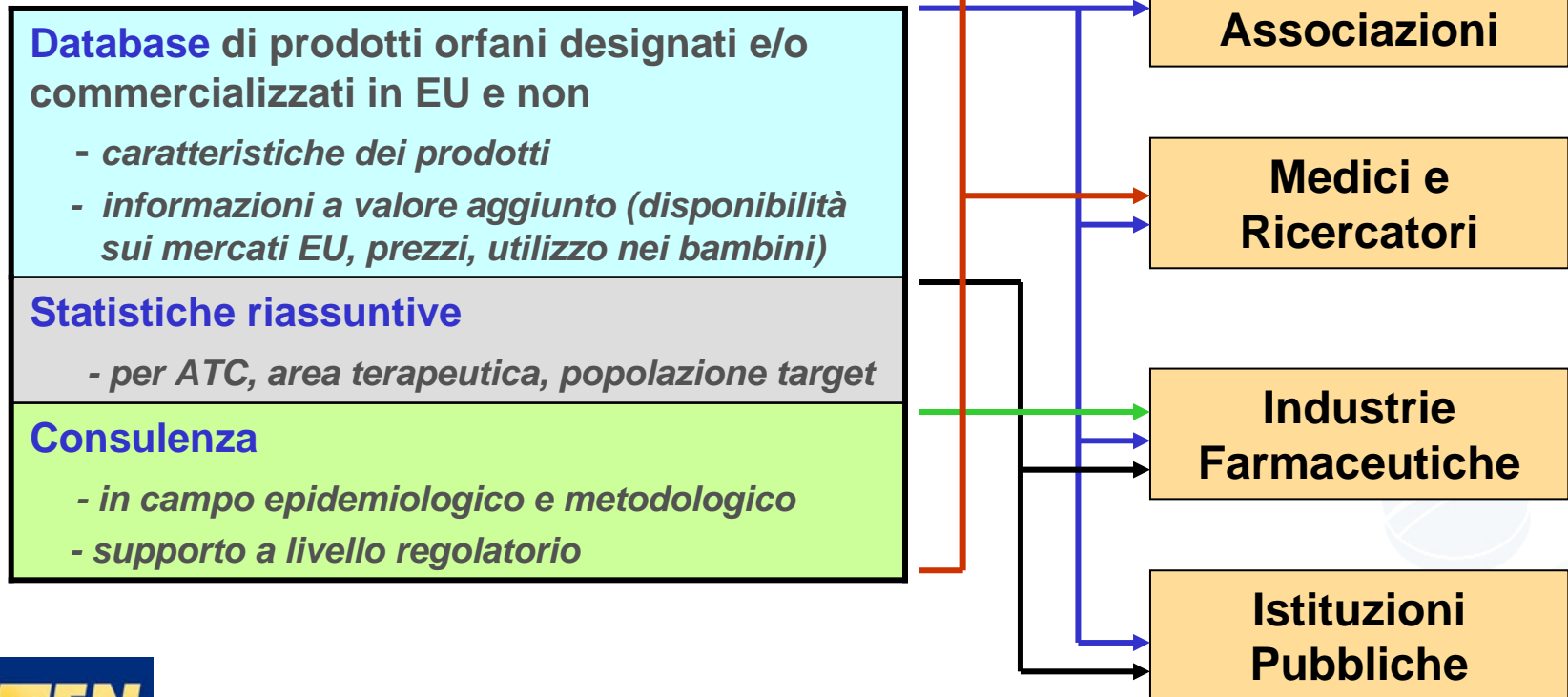


realizzazione di una banca dati di informazioni sui farmaci orfani



## Il Servizio

## Gli Utenti





# FONDAZIONE PER LA RICERCA FARMACOLOGICA 'GIANNI BENZI'

## *3- Iniziative nel settore delle 'Neuropatie sensitivo-motorie in corso di terapia antitumorale'.*

**Obiettivo.** Contribuire alla prevenzione o alla riparazione dei danni neurologici indotti dalla terapia e alla maggiore diffusione delle conoscenze nello specifico settore.

**Strumenti** (da definire):

- Creazione di un sito/pagina web relativo alle neuropatie sensitivo-motorie in corso di terapia antitumorale
- Istituzione di un Registro per le neuropatie sensitivo-motorie in corso di terapia antitumorale



# FONDAZIONE PER LA RICERCA FARMACOLOGICA 'GIANNI BENZI

## *Scopi del registro “prospettico”*

- a) definire la reale **entità ed incidenza** della Neuropatia da chemioterapia (CIPN)
- b) costituire un database utilizzabile per programmare **futuri studi di trattamento**
- c) offrire ai **soggetti** affetti da CIPN uno strumento per entrare in contatto con esperti nella identificazione e nel trattamento della CIPN.

**In collaborazione con Neurologi (Rete Informale NETox),  
Oncologi, Farmacologi, Associazioni di Pazienti,**



# FONDAZIONE PER LA RICERCA FARMACOLOGICA 'GIANNI BENZI'

**Contributo alle proposte presentato in occasione della**  
*1° Giornata Europea delle Malattie Rare*

**-Sintesi Scientifica e Bibliografia relativa a singole patologie rare**

**-Accesso ai contenuti del database Eu-Orphan relativo a 1089 Farmaci  
per la cura delle Malattie Rare**

**-Expertise Regolatoria a livello Nazionale ed Europeo**

**-Contatti e collaborazioni con medici, ricercatori, associazioni  
in ambito nazionale ed europeo**