

Screening neonatale e accesso alla terapia

Riccardo Palmisano, MD

Direttore Generale e Amministratore Delegato
Genzyme Srl

Roma, 5 Dicembre 2007

© 2007 Genzyme Corporation

Genzyme e le Malattie Rare



- Orphan Drugs Act 1983
- La prima terapia enzimatica sostitutiva
- Una realtà biotecnologica in continuo sviluppo



© 2007 Genzyme Corporation

Genzyme e le Malattie Rare

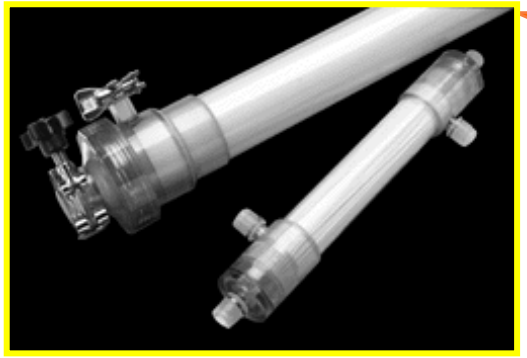


Coltura
di partenza





Bioreattori di produzione





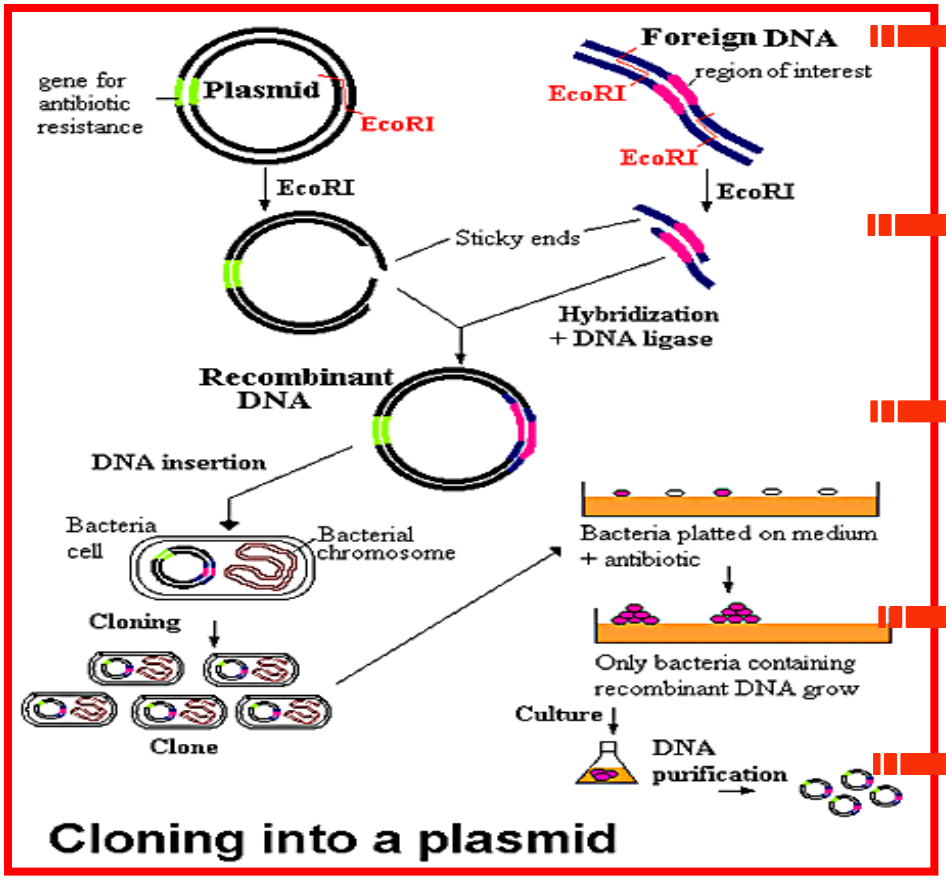


Prodotto finale

© 2007 Genzyme Corporation

Genzyme e le Malattie Rare

- Grazie alla ricerca biotecnologica, oggi diverse Malattie Rare hanno una terapia di provata efficacia



M. Gaucher

M. Fabry

MPS I

M. Pompe

…

© 2007 Genzyme Corporation

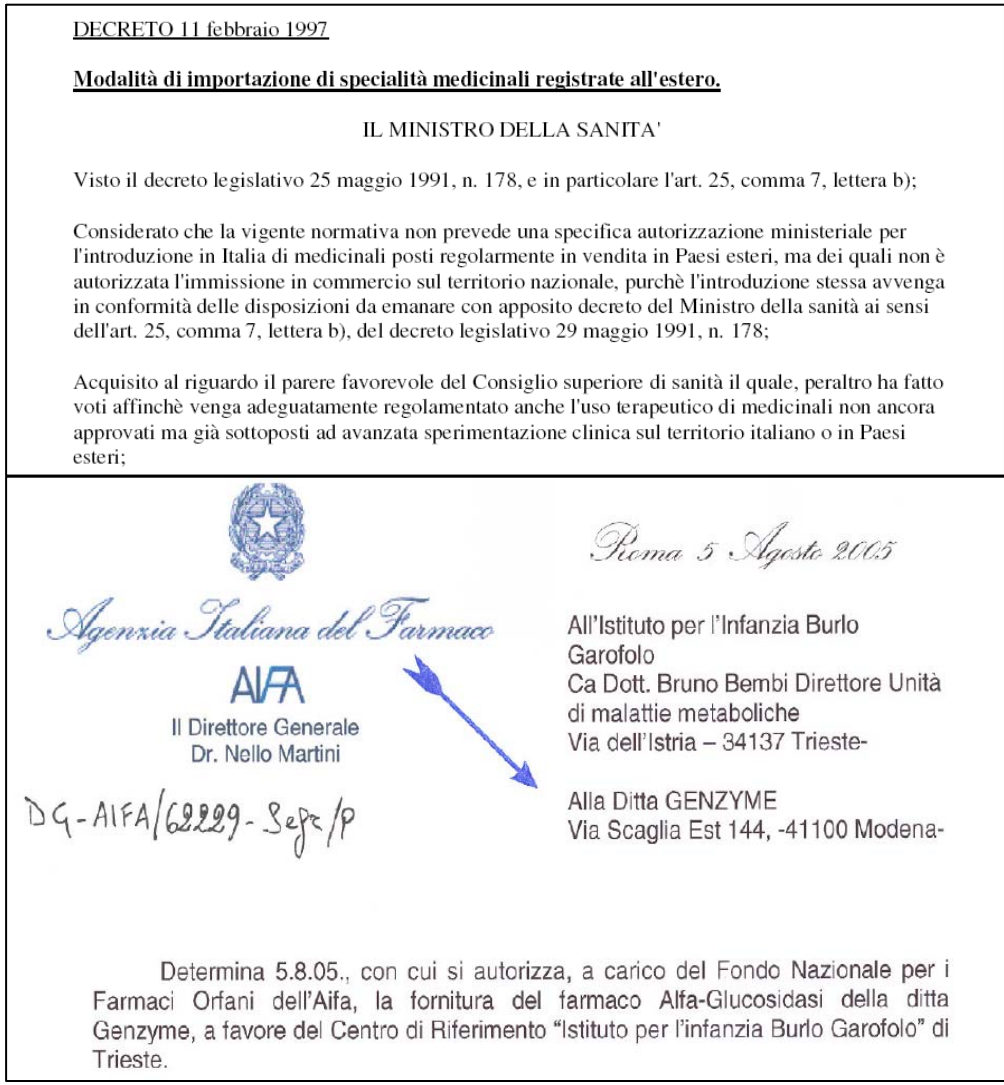
Genzyme e le Malattie Rare



© 2007 Genzyme Corporation

Orphan Drugs: molto è stato fatto

- Name patients program (Legge Bindi)
- Fondo per le Malattie Rare
- Studi clinici sponsorizzati Aifa
- Fast track autorizzativo



DECRETO 11 febbraio 1997

Modalità di importazione di specialità medicinali registrate all'estero.

IL MINISTRO DELLA SANITA'

Visto il decreto legislativo 25 maggio 1991, n. 178, e in particolare l'art. 25, comma 7, lettera b);

Considerato che la vigente normativa non prevede una specifica autorizzazione ministeriale per l'introduzione in Italia di medicinali posti regolarmente in vendita in Paesi esteri, ma dei quali non è autorizzata l'immissione in commercio sul territorio nazionale, purchè l'introduzione stessa avvenga in conformità delle disposizioni da emanare con apposito decreto del Ministro della sanità ai sensi dell'art. 25, comma 7, lettera b), del decreto legislativo 29 maggio 1991, n. 178;

Acquisito al riguardo il parere favorevole del Consiglio superiore di sanità il quale, peraltro ha fatto voti affinchè venga adeguatamente regolamentato anche l'uso terapeutico di medicinali non ancora approvati ma già sottoposti ad avanzata sperimentazione clinica sul territorio italiano o in Paesi esteri;

Agenzia Italiana del Farmaco

AIFA

Il Direttore Generale
Dr. Nello Martini

DG-AIFA/62229-Sep2/P

Roma 5 Agosto 2005

All'Istituto per l'Infanzia Burlo Garofolo
Ca Dott. Bruno Bembi Direttore Unità di malattie metaboliche
Via dell'Istria – 34137 Trieste-

Alla Ditta GENZYME
Via Scaglia Est 144, -41100 Modena-

Determina 5.8.05., con cui si autorizza, a carico del Fondo Nazionale per i Farmaci Orfani dell'Aifa, la fornitura del farmaco Alfa-Glucosidasi della ditta Genzyme, a favore del Centro di Riferimento "Istituto per l'infanzia Burlo Garofolo" di Trieste.

© 2007 Genzyme Corporation

Difficoltà di accesso al farmaco ancora persistenti

- Diagnosi
- Omogeneità di accesso sul territorio nazionale



© 2007 Genzyme Corporation

Diagnosi

- La rarità delle malattie
- La multidisciplinarietà della diagnosi (il punto di partenza dell'iter diagnostico è disomogeneo)

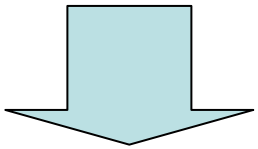


rendono estremamente difficile la diagnosi

© 2007 Genzyme Corporation

Diagnosi

- La rarità delle malattie
- La multidisciplinarietà della diagnosi (il punto di partenza dell'iter diagnostico è disomogeneo)

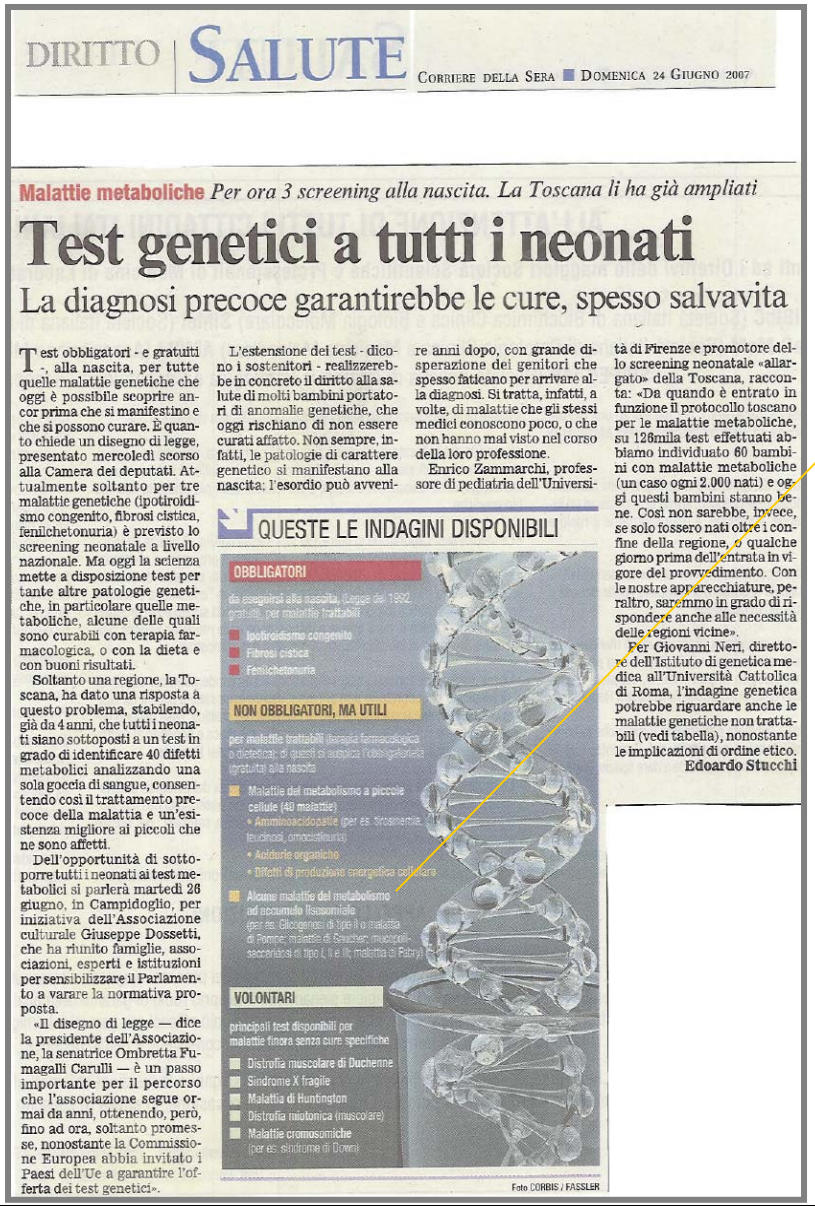


rendono estremamente difficile la diagnosi

- Iter lungo e penoso per i Malati Rari e le loro famiglie
- Costi ingenti di esami, diagnostica e ricoveri
- Soprattutto progressione del danno d'organo

© 2007 Genzyme Corporation

Screening neonatale: una soluzione possibile



DIRITTO | SALUTE — CORRIERE DELLA SERA ■ DOMENICA 24 GIUGNO 2007

Malattie metaboliche *Per ora 3 screening alla nascita. La Toscana li ha già ampliati*

Test genetici a tutti i neonati

La diagnosi precoce garantirebbe le cure, spesso salvavita

Test obbligatori - e gratuiti -, alla nascita, per tutte quelle malattie genetiche che oggi è possibile scoprire ancor prima che si manifestino e che si possono curare. È quanto chiede un disegno di legge, presentato mercoledì scorso alla Camera dei deputati. Attualmente soltanto per tre malattie genetiche (ipotiroidismo congenito, fibrosi cistica, fenilchetonuria) è previsto lo screening neonatale a livello nazionale. Ma oggi la scienza mette a disposizione test per tante altre patologie genetiche, in particolare quelle metaboliche, alcune delle quali sono curabili con terapia farmacologica, o con la dieta e con buoni risultati.

Soltanto una regione, la Toscana, ha dato una risposta a questo problema, stabilendo, già da 4 anni, che tutti i neonati siano sottoposti a un test in grado di identificare 40 difetti metabolici analizzando una sola goccia di sangue, consentendo così il trattamento precoce della malattia e un'esistenza migliore ai piccoli che ne sono affetti.

Dell'opportunità di sottoporre tutti i neonati ai test metabolici si parlerà martedì 26 giugno, in Campidoglio, per iniziativa dell'Associazione culturale Giuseppe Dossetti, che ha riunito famiglie, associazioni, esperti e istituzioni per sensibilizzare il Parlamento a varare la normativa proposta.

«Il disegno di legge — dice la presidente dell'Associazione, la senatrice Ombretta Fumagalli Carulli — è un passo importante per il percorso che l'associazione segue ormai da anni, ottenendo, però, fino ad ora, soltanto promesse, nonostante la Commissione Europea abbia invitato i Paesi dell'Ue a garantire l'offerta dei test genetici».

L'estensione dei test - dicono i sostenitori - realizzerebbe in concreto il diritto alla salute di molti bambini portatori di anomalie genetiche, che oggi rischiano di non essere curati affatto. Non sempre, infatti, le patologie di carattere genetico si manifestano alla nascita; l'esordio può avvenire anni dopo, con grande disperazione dei genitori che spesso faticano per arrivare alla diagnosi. Si tratta, infatti, a volte, di malattie che gli stessi medici conoscono poco, o che non hanno mai visto nel corso della loro professione.

Enrico Zammarchi, professore di pediatria dell'Università di Firenze e promotore dello screening neonatale «allargato» della Toscana, racconta: «Da quando è entrato in funzione il protocollo toscano per le malattie metaboliche, su 126mila test effettuati abbiamo individuato 60 bambini con malattie metaboliche (un caso ogni 2.000 nati) e oggi questi bambini stanno bene. Così non sarebbe, invece, se solo fossero nati oltre i confine della regione, o qualche giorno prima dell'entrata in vigore del provvedimento. Con le nostre apparecchiature, peraltro, saremmo in grado di rispondere anche alle necessità delle regioni vicine».

Per Giovanni Neri, direttore dell'Istituto di genetica medica all'Università Cattolica di Roma, l'indagine genetica potrebbe riguardare anche le malattie genetiche non trattabili (vedi tabella), nonostante le implicazioni di ordine etico.

Edoardo Stucchi

QUESTE LE INDAGINI DISPONIBILI

OBBLIGATORI

da eseguirsi alla nascita, (legge del 1992, gratuità, per malattie trattabili)

- Ipotiroidismo congenito
- Fibrosi cistica
- Fenilchetonuria

NON OBBLIGATORI, MA UTILI

per malattie trattabili (terapia farmacologica o dietetica; di questi si auspica l'obbligatorietà (gratuità) alla nascita

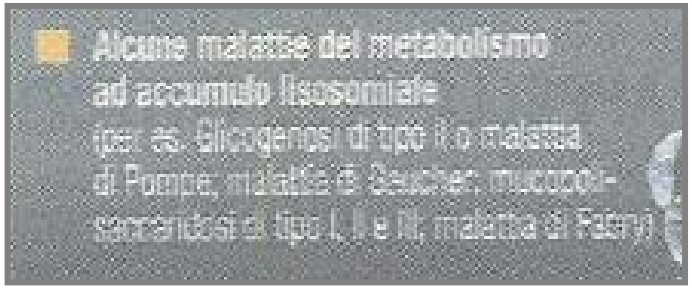
- Malattie del metabolismo a piccole cellule (40 malattie)
  - Aminoacidopatie (per es. tirosinemia, leucinosi, omocistinuria)
  - Acidurie organiche
  - Difetti di produzione energetica cellulare
- Alcune malattie del metabolismo ad accumulo lisosomiale (per es. Glicogenosi di tipo II o malattia di Pompe, malattia di Gaucher, mucopolisaccaridosi di tipo I, II e III, malattia di Fabry)

VOLONTARI

principali test disponibili per malattie finora senza cure specifiche

- Distrofia muscolare di Duchenne
- Sindrome X fragile
- Malattia di Huntington
- Distrofia miotonica (muscolare)
- Malattie cromosomiche (per es. sindrome di Down)

Foto CORBIS / FASSLER



Screening neonatale obbligatorio per le Malattie Rare per le quali esistono una terapia di provata efficacia e un metodo diagnostico validato

© 2007 Genzyme Corporation

Screening neonatale: una cornice normativa favorevole

- La Finanziaria 2008 già prevede il finanziamento per l'acquisto delle idonee apparecchiature

Seduta del 21.XI.07 della XII commissione Affari Sociali della Camera: nel corso dell'esame congiunto di Bilancio e Finanziaria:
"Dorina BIANCHI, presidente, rileva con soddisfazione che la lettera c) del comma 6 dell'articolo 67 assegna 3 milioni di euro all'acquisto di nuove metodiche analitiche per effettuare screening neonatali allargati per patologie metaboliche ereditarie, per la cui terapia esistano evidenze scientifiche efficaci. Segnala, in particolare, che tale finanziamento costituisce uno strumento importante per aiutare molte famiglie che si trovano in gravi difficoltà nel dover affrontare le malattie in questione, malattie che creano disagi e costi notevoli per le famiglie stesse. "

- In Parlamento esistono disegni di legge ad hoc

© 2007 Genzyme Corporation

Screening neonatale: la Consulta per le Malattie Rare

- Anche i lavori della Consulta hanno evidenziato con forza questo elemento

- L'Istituto Superiore di Sanità si è espresso favorevolmente



mar 19/06/2007 — il DENARO

MALATTIE RARE

Insediata la consulta

Il ministro della Salute, Livia Turco, ha insediato la Consulta per le malattie rare, all'interno della quale siedono 34 rappresentanti di realtà associative. La Consulta è collegata al Centro Nazionale Malattie Rare dell'Iss. Semplificazione delle procedure di accertamento dell'invalidità, presa in carico e continuità dell'assistenza, rafforzamento della rete dei centri per le malattie rare su tutto il territorio nazionale, investimenti nella ricerca, formazione dei medici di medicina generale e riduzione dei tempi di accesso alla prima diagnosi sono i temi maggiormente sottolineati dai rappresentanti delle diverse Associazioni. Su questi e altri temi la Consulta, articolata in sottogruppi, elaborerà analisi e valutazioni sullo stato dell'arte e proposte per soluzioni concrete.



Istituto Superiore di Sanità

La voce delle Associazioni

CONSULTA NAZIONALE DELLE MALATTIE RARE

IN BRIEF

***The Patients' Associations*. National "Consulta" of rare diseases**

The Italian Minister of Health has formally established (July 5, 2007) a "Consulta" (Council) of rare diseases affected patients' organisations. The Consulta is formed by 34 representatives of the patients' associations. It collaborates with the Rare Diseases National Centre and other competent authorities with the following objectives: advise on rare diseases issues; strengthen collaboration and improve the rare diseases network operations; contribute to identify rare diseases challenges and priority needs. Upon request of the Minister of Health, the Consulta is currently working with the scientific-technical support of the Rare Diseases National Centre in the definition of priority needs and gaps that need to be communicated to the Ministry of Health. Different working groups have been established to identify future activities to handle the following priority areas: provision of care (social and health), professional training, scientific research, development and distribution of information about rare diseases.

Le associazioni composte da pazienti e familiari sono centinaia in tutta Italia e svolgono un fondamentale ruolo di sostegno. Il principio base delle associazioni è, infatti, l'aiuto reciproco che si esplica favorendo l'informazione e la formazione per un miglior accesso alla diagnosi, alle cure, ai diritti e all'integrazione dei pazienti. Le iniziative lanciate e portate avanti con impegno e determinazione dalle diverse associazioni sono tantissime, come tantissimi sono gli eventi e gli incontri promossi ogni anno dai vari gruppi per far sì che le persone colpite da una malattia rara (MR) non si sentano sole.

La Consulta delle MR

Costituita dai 34 rappresentanti eletti dalle associazioni di pazienti, la Consulta delle MR realizza le proprie attività presso l'Istituto Superiore di Sanità (ISS) e collabora attivamente con il Centro Nazionale Malattie Rare (che fornisce supporto tecnico-scientifico alle diverse attività) e con altre istituzioni coinvolte nella gestione sanitaria delle MR e farmaci orfani.

Istituita il 5 luglio 2007 presso il Ministero della Salute dal Ministro Livia Turco, la Consulta ha come obiettivo quello di rafforzare i legami tra le organizzazioni di tutela della rete delle patologie rare presenti in Italia e di contribuire a individuare le priorità di settore per far sì che i percorsi diagnostico-terapeutici dei pazienti siano sempre più efficienti. In questo senso la Consulta punta in particolare alla riduzione dei tempi d'accesso alla prima diagnosi, alla semplificazione delle procedure di accertamento dell'invalidità, al rafforzamento della rete dei centri per le MR.

Per proporre possibili soluzioni a queste problematiche la Consulta è articolata in gruppi di lavoro, che sono stati attivati in tempi diversi.

I primi tre gruppi sono stati attivati il 3 luglio 2007 e comprendono le seguenti aree tematiche:

- accertamento dell'invalidità, certificazione esenzione;
- presa in carico e continuità assistenziale;
- integrazione socio-sanitaria.

I seguenti gruppi di lavoro sono stati attivati l'8 settembre 2007:

- formazione dei medici di medicina generale e dei pediatri di libera scelta;
- uniformità dell'assistenza sanitaria sul territorio nazionale;
- ricerca scientifica;
- comunicazione.

I risultati dei vari gruppi di lavoro saranno presentati all'attenzione del Ministro della Salute il 5 novembre 2007, durante la Conferenza internazionale "Malattie rare e i farmaci orfani" presso l'ISS.

Not Ist Super Sanità 2007;20(9 Suppl. 1):17 17

© 2007 Genzyme Corporation

Disomogeneità di accesso al farmaco per i Malati Rari

- Dopo la diagnosi di certezza ed il piano terapeutico
  impostato dal Centro di Riferimento,
  possono trascorrere
  anche 9-12 mesi per
  il riconoscimento
  della terapia



la Repubblica

12 | Attualità

4 GIUGNO 2007 | AFFARI & FINANZA

Una speranza per le disfunzioni metaboliche ereditarie

Scoperta una molecola che combatte le malattie da 'accumulo lisosomiale', dovute ad un deficit di enzimi preposti al degrado di una serie di sostanze dannose. Patologie rare ma il più delle volte mortali, sulle quali non è semplice concentrare risorse per la ricerca per la difficoltà di ritorni economici

AGNESE ANANASSO

Cresce la speranza di vita per i pazienti con le patologie da disfunzioni metaboliche ereditarie. In particolare per quelli affetti da malattie da accumulo lisosomiale, un vasto gruppo di patologie dovute ad un deficit di enzimi preposti al degrado di specifiche sostanze che va a bloccare tutta la catena metabolica. Il risultato è l'accumulo dei composti non degradati in tutto l'organismo, visto che sono presenti in tutte le cellule del corpo, tranne che nei globuli rossi. L'esordio della malattia nei primi anni di vita ma i sintomi si manifestano in età giovanile o adulta, e sono sintomi non riconducibili ad una patologia identificabile. Mucopolisaccaridosi (Mps), mucolipidosi, glicoproteinosi, lipidosi, glicogenosi: sono tutte malattie rare, un gruppo di 5000 patologie, che colpiscono 5 persone su 10mila.

In Europa sono 20-30 milioni i malati affetti da patologie rare, in Italia un milione circa, in tutto un parto in età pediatrica. Per l'80% si tratta di malattie ereditarie. Le Mps (se esistono di 3 tipi, nelle forme lieve, moderata e grave) affliggono nel mondo alcune migliaia di persone e sono malattie che causano danni irreparabili sull'organismo se non vengono diagnosticate precocemente, provocando forti danni sia al corpo, con un notevole arretramento degli organi colpiti, sia al sistema nervoso centrale. «La diagnosi dovrebbe essere fatta entro i primi due anni di vita», spiega Stefano Bruni, direttore medico scientifico di Genzyme Italia, una delle poche aziende che produce i farmaci per le terapie. «Per intervenire prima che sia stato danneggiato il sistema nervoso centrale. Oggi riusciamo a fare qualcosa per 6 delle 40 patologie legate all'accumulo lisosomiale. Fino a 5 anni fa alcune braccia quando diagnosticavamo la malattia». Oggi la terapia più efficace è quella dell'infusione settimanale dell'enzima mancante, la cosiddetta terapia sostitutiva. I risultati sono buoni solo se la diagnosi è precoce e in genere non è efficace per i danni neurologici. In questo caso si può ricorrere al trapianto di midollo osseo. In pratica si sostituiscono le cellule difettose del paziente con quelle sane del donatore che producono regolarmente l'enzima carente. «Dovremo verificare determinate condizioni per cui non sempre è efficace tale terapia», dice Bruni. «Tuttavia nelle forme meno gravi si sono avuti buoni risultati. Ora stiamo lavorando sulla terapia genica, dove siamo ancora a livello di sperimentazione: nel dna dei malati si inserisce il gene che deve produrre l'enzima. Lo si fa legando il gene a un virus inattivo che, una volta entrato nell'organismo del paziente, si riproduce e diffonde in tutte le cellule rapidamente».

Colpiscono spesso in tenera età e sono anche ardue da diagnosticare

Nelle forme più lievi, dice l'azienda è carente ma non assente, si sta sperimentando l'associazione di micromolecole (dette *chaperones*) da assumere per bocca in grado di stabilizzare l'attività degli enzimi presenti, con effetti sul sistema nervoso centrale. «Sono sostanze che potrebbero essere associate alla terapia sostitutiva. Come da associare è l'altra terapia in fase di studio, quella degli inibitori del substrato, che vanno a deprimere l'accumulo lisosomiale. Anche qui siamo ancora in fase di studio, ma c'è una certa efficacia nelle forme lievi». Si tratta di cure estremamente costose, una cifra inaccettabile se non fosse pagata dal Ssn. Il problema è che le case farmaceutiche non hanno interesse a investire in questo settore perché il ritorno economico è quasi nullo. «Stiamo acquisendo visibilità con le settimane dedicate all'Mps», dice Flavio Bertoglio, presidente dell'Associazione Italiana Mps Onlus. «Quest'anno la giornata mondiale è stata in Italia, durante la settimana dedicata all'Mps: che si è appena conclusa. Oggi contiamo 600 soci e il nostro obiettivo è far sentire meno soli le famiglie con un bambino con Mps: siamo passati da uno sperduto a 12 anni a 12 anni fa c'è bisogno di continuare a investire. Noi viviamo dei contributi dell'Associazione Italiana del Farmaco e delle donazioni che destiniamo a borse di studio per ricercatori. E' una corsa contro il tempo».

Bioreattori sul fronte più duro

A fianco Stefano Bruni (Genzyme); sotto Flavio Bertoglio (Associazione Mps Onlus)

RARE MA TANTE

20-30
milioni di pazienti in Europa affetti da malattie classificate come 'rare'

40
le malattie legate all'accumulo lisosomiale, una patologia legata al sistema metabolico

600
i soci dell'Associazione italiana Mps, una onlus impegnata nella ricerca sulle malattie rare

500
mila euro l'anno, il costo medio del trattamento di una di queste patologie

© 2007 Genzyme Corporation

Disomogeneità di accesso al farmaco per i Malati Rari

- Situazioni quali:
  - un fratello trattato e l'altro no
  - dimezzamento del dosaggio terapeutico o della frequenza di somministrazione
  - viaggi da una regione all'altra ma anche da una provincia /asl all'altra per avere il farmaco
  - fino alla morte del Paziente Raro in attesa del farmaco



Regione Sicilia

Difficoltà nell'ambito dell'erogazione delle prestazioni sanitarie per effetto del dispositivo legislativo emanato dalla Regione Sicilia, ovvero la Legge n.12 del 2 maggio 2007 "*Misure per il risanamento del sistema sanitario regionale. Interventi in materia di assistenza farmaceutica convenzionata*" (all. 6). Tale legge impone per l'anno corrente una riduzione della spesa farmaceutica rispetto ai valori degli anni precedenti. In caso di mancato raggiungimento dell'equilibrio economico in bilancio, vi sarà la decadenza automatica dell'incarico per i Direttori Generali delle Aziende USL interessate. Queste forme di contenimento della spesa farmaceutica si riflettono negativamente sull'erogazione finale delle terapie farmacologiche, determinando particolari difficoltà e

© 2007 Genzyme Corporation

Disomogeneità di accesso al farmaco per i Malati Rari

- Per singola Asl/AO è:
  - un costo difficile da pianificare (rarità)
  - un costo singolarmente molto rilevante
- A livello nazionale è invece un costo marginale:
  poche centinaia di milioni di euro
  su 17 miliardi di spesa

SIFO
Società Italiana di Farmacia Ospedaliera
e dei Servizi Farmaceutici delle Aziende Sanitarie



PROGRAMMA dei LAVORI

Mercoledì 10 Ottobre

ORE 9.00-10.30
Sessione Plenaria
LA RICERCA DELLA SIFO

ORE 11.00-12.30
Sessione Plenaria
LE AGENZIE NAZIONALI SI CONFRONTANO SULL'EFFICACIA, EQUITA', ETICA ED ECONOMIA

ORE 12.30 - 14.00
Minisimposi delle Aziende

ORE 14.30 - 16.00
Sessioni parallele di approfondimento
- Dispositivi medici in cardiologia e cardiochirurgia
- Stent-stentaggi
- Le malattie rare
- Comunicazioni selezionate
- Workshop: La nuova stagione dei Prontuari regionali ed aziendali

ORE 16.30 - 18.30
Sessioni parallele di approfondimento
- I Dispositivi medici in Chirurgia generale e specialistica
- Accesso ai farmaci nei Paesi in via di sviluppo
- Innovazione e informazione
- Radiofarmacia
- Poster Discussion

INFORMAZIONI GENE

Va sottolineato in modo particolare che:
- l'accentuazione della ormai acquisita pari importanza di farmaci, dispositivi, tecnologie, strategie assistenziali per le competenze ed il ruolo del farmacista, che obbligano a trasformazioni importanti nella formazione, nella collocazione istituzionale, nel dialogo ed integrazione con le altre, e più diverse, competenze professionali;
- l'assunzione come griglia obbligatoria di riferimento dei termini del sottotitolo: garantire coerenza e compatibilità tra Efficacia, Equità, Economia, Etica non può rimanere un auspicio; a tutti i contributi al Congresso è richiesto di confrontarsi con le quattro E, per farne non una declamazione troppo facile, ma una ricerca, ben radicata nelle diversità delle pratiche e dei contesti, al fine di contribuire a produrre una cultura, sempre più diffusa, che possa essere all'altezza delle nuove sfide che Ci attendono, dandoCi la possibilità di essere tra gli importanti Protagonisti del Sistema Sanità, con l'obiettivo di contribuire in maniera condivisa ed incisiva nella definizione delle strategie e dei percorsi più adeguati al Cambiamento anche e non solo nella nostra realtà ma anche con uno sguardo costruttivo verso i Paesi in via di sviluppo.

Il Presidente del Congresso
Mauro De Rosa

SEDE DEL CONGRESSO
Palazzo dei Congressi di Rimini
Via Della Fiera 52 - 47900 Rimini

ISCRIZIONI
E' possibile iscriversi al Congresso tramite la funzione ON-LINE collegandosi a www.mzcongressi.com e cliccando sulla sezione
Quote d'iscrizione:

	entro il 15 Luglio	dopo
Socio SIFO	450 Euro	
Non Socio SIFO	500 Euro	
Medico	500 Euro	
TSLB, Infermiere	220 Euro	
Ridotta*	220 Euro	

Importi
*riservata a specializzandi e borsisti non strutturati accettata solo dietro presentazione di idonea documentazione che attesti l'appartenza a una delle suddette categorie

PRENOTAZIONI ALBERGHIERE
Le prenotazioni dovranno essere inoltrate mediante la scheda disponibile sul sito www.mzcongressi.com
Per informazioni rivolgersi a:
PA INCENTIVE SRL
via Sassonia 30 Rimini
tel.0541 305884 fax 0541 305879
email bookingsifo@paincentive.it

ESPOSIZIONE TECNICO-SCIENTIFICA
Presso il Centro Congressi sarà allestita una esposizione tecnico-scientifica di prodotti e attrezzature farmaceutiche.

PROGRAMMA SOCIALE
Sessione Inaugurale - Palazzo dei Congressi
Lunedì 8 Ottobre, ore 17.30
segue Cocktail di Benvenuto - sede da definire

Cena Sociale
Mercoledì 10 Ottobre, ore 20.30
sede da definire

Il Grand Hotel visto da Fellini

Rimini 8 • 11 Ottobre 2007
Palazzo dei Congressi

configura come un laboratorio ricerca che intende:
- focalizzare nelle sessioni plenarie i confronti interdisciplinari ed istituzionali sulle strategie complessive di riflessione, pianificazione e valutazione;
- dare spazio ad approfondimenti di metodo, di contenuti, di formazione nelle sessioni parallele e workshop tecnici, che vorrebbero da un lato, stimolare la partecipazione delle nuove generazioni favorendone la visibilità, dall'altro rendere confrontabili, le soluzioni innovative sviluppate a livello locale come esperienze professionali che possono essere di riferimento.

ANNUNCIO

© 2007 Genzyme Corporation

Disomogeneità di accesso al farmaco per i Malati Rari: una soluzione possibile

- Fondo Nazionale per i Farmaci Orfani per le Malattie Rare:

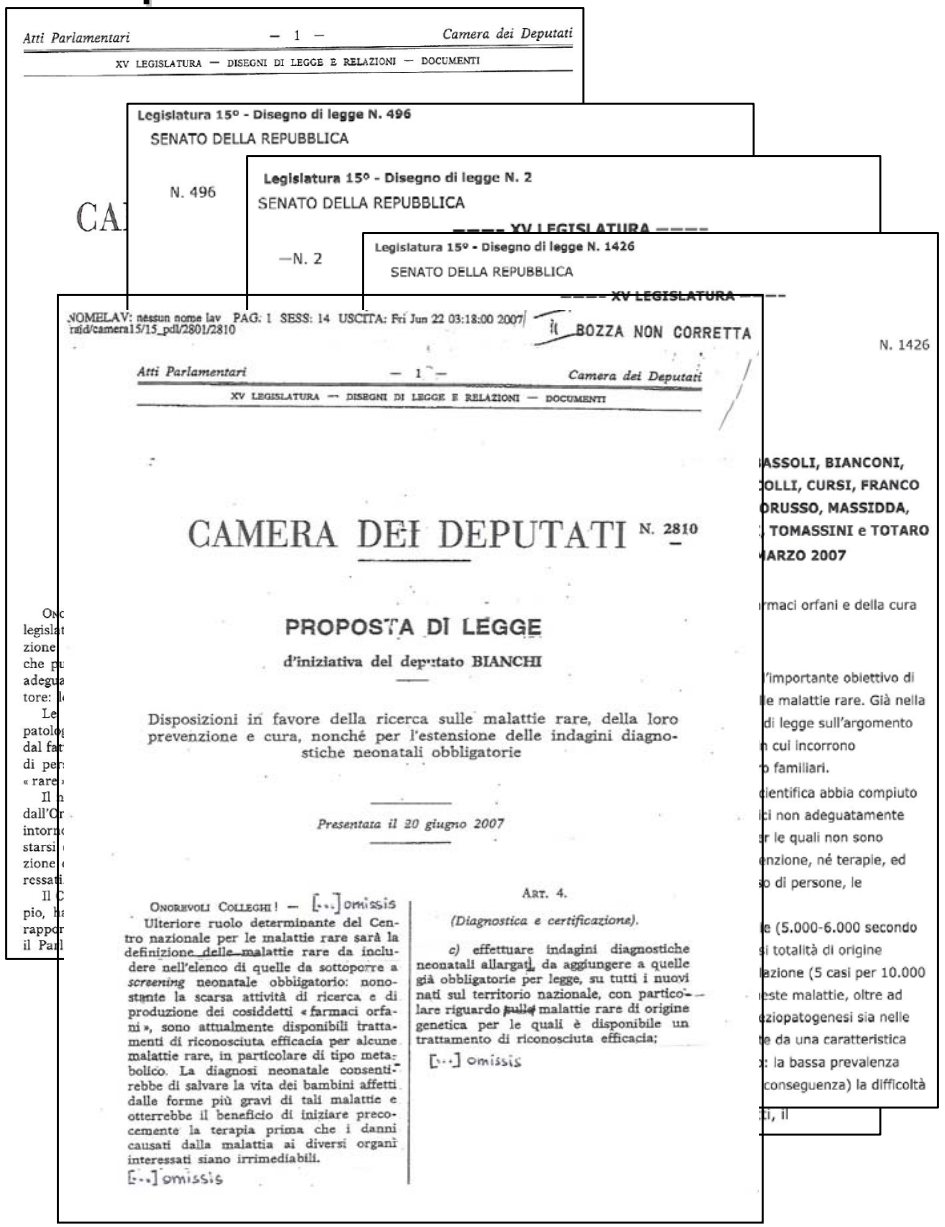
  - trasferimento dei costi, più che costi aggiuntivi
  - maggiore possibilità di valutare i trend e quindi pianificare
  - maggiori dati epidemiologici (che uniti allo screening darebbero un quadro senza precedenti)
  - accesso omogeneo e rapido alle terapie per i Malati Rari

⇒ REGISTRI

© 2007 Genzyme Corporation

Disomogeneità di accesso al farmaco per i Malati Rari: è tempo di agire

- Emendamento presentato in Senato e trasformato in Ordine del Giorno (fondo 250 mioEuro)
- 9 ddl (riordino settore Malattie Rare) attualmente giacenti in Senato e alla Camera in attesa di definizione ed approvazione ormai da anni



© 2007 Genzyme Corporation