

Convegno

Malattie Rare: tra scienza, etica, società e sostenibilità

17 Dicembre 2014

SANIT, Palazzo dei Congressi, Piazzale Kennedy 1, Roma

Il [Centro Nazionale Malattie Rare – Istituto Superiore di Sanità](#) e [UNIAMO – Federazione Italiana Malattie Rare Onlus](#) promuovono una giornata di studio e di confronto tra diversi *stakeholders* su scienza, etica, società e sostenibilità nell'ambito delle malattie rare, con un particolare focus sui temi della ricerca e della responsabilità sociale. La condivisione di esperienze e di buone pratiche, contribuisce ad accrescere la consapevolezza sul tema complesso delle malattie rare, quale sfida di un sistema capace di mettere al centro la persona.

Le malattie rare hanno una prevalenza nella popolazione non superiore a 5 casi ogni 10.000 abitanti. Si tratta di patologie eterogenee, accomunate da problematiche assistenziali simili, che necessitano di essere affrontate globalmente e che richiedono una particolare e specifica tutela, per le difficoltà diagnostiche, la gravità clinica, il decorso cronico, gli esiti invalidanti e l'onerosità del trattamento. Costituiscono un problema di sanità pubblica per l'impatto sulla popolazione. Secondo una stima dell'OMS, rappresentano il 10% delle patologie umane note: un gruppo eterogeneo di 6.000/8.000 patologie, che interessano, solo in Italia, 1/2 milioni di persone.

Grazie alla metodologia di "empowerment organizzativo" attivamente promossa da UNIAMO F.I.M.R. onlus e attuata con il progetto [EUROPLAN – European Project for Rare Diseases National Plans Development](#), coordinato dal Centro Nazionale Malattie Rare – Istituto Superiore di Sanità, in questi ultimi anni è stato possibile arrivare alla formulazione di piani o di insiemi di strategie unitarie finalizzate al miglioramento della qualità della vita delle persone con patologie rare in tutta Europa.

La **mattina** è dedicata alle **Politiche europee per la coesione e ai fondi strutturali** in sanità, con particolare rilievo alle modalità di accesso, utili agli **Obiettivi, Azioni e Monitoraggio del Piano Nazionale Malattie Rare (PNMR) 2013-2016**, recentemente approvato. Attraverso la tavola rotonda aperta e partecipata, la comunità dei malati rari discuterà sui percorsi indispensabili per definire azioni di sistema, coerenti con la strategia del PNMR, sia a livello nazionale che regionale.

Nel **pomeriggio** prevede un laboratorio interattivo. A partire da un'esperienza in corso tra Associazione di pazienti, registro di patologia e biobanca, con metodi deliberativi, sarà analizzata con tutti i principali attori coinvolti, la sfida aperta che un modello di ricerca e cura dedicate, innovative e sostenibili, pone: la creazione di infrastrutture interconnesse per **la raccolta, la validazione e la fruizione di un dato globale (clinico, biologico, genomico) secondo criteri di qualità ed etici**. Si rivela determinante una configurazione del dato globale che superi una concezione separata di registro per la ricerca e di biobanca e che determini una governance rinnovata, non evasiva delle questioni etiche e sociali implicate.

Obiettivi

- ✓ Individuare risorse per la sostenibilità di azioni di sistema, coerenti con il PNMR 2013-2016
- ✓ Trasferire esperienze significative in una buona pratica del dato globale
- ✓ Riconoscere il ruolo attivo delle Associazioni di Pazienti
- ✓ Favorire l'*empowerment* di sistema per una *governance* innovativa, che integri assistenza, ricerca e responsabilità sociale

Destinatari

- ✓ Associazioni di pazienti
- ✓ Professionisti della salute
- ✓ Responsabili istituzionali e professionisti della governance della ricerca
- ✓ Responsabili registri di patologia e/o biobanche
- ✓ Regioni
- ✓ Rappresentanti dell'industria farmaceutica
- ✓ Esperti di bioetica, biodiritto, economia sanitaria

Responsabili scientifici

Domenica TARUSCIO, Direttore, Centro Nazionale Malattie Rare, Istituto Superiore di Sanità, Roma
Renza BARBON GALLUPPI, Presidente, UNIAMO Federazione Italiana Malattie Rare ONLUS, Venezia

PROGRAMMA PROVVISORIO

08:30 – 09:00 *Registrazione partecipanti*

SESSIONE I: WORKSHOP – Dalle politiche europee di coesione agli European Reference Networks

09:00 – 09:10 **Introduzione ai lavori**

09:10 – 09:30 **Politiche europee per la coesione: attori, documenti, priorità e obiettivi dell'Accordo di Partenariato 2014-2020**

09:30 – 09:50 **OpenCoesione: dove e come informarsi sulle risorse**

09:50 – 11:00 **Focus**

- **Governance**
- **Ricerca e Innovazione**
- **Inclusione sociale**

11:00 – 11:20 *Pausa*

- 11:20 – 11:40 **Fondi strutturali in sanità: strumenti, esperienze e prospettive a livello regionale**
- 11:40 – 12:00 **Dalla direttiva sull'assistenza transfrontaliera agli European Reference Networks: fondi strutturali come possibile risorsa?**
- 12:00 – 13:00 **Tavola rotonda. Fondi strutturali e malattie rare: come procedere?**
- 13:00 – 13:20 **Domande e risposte**
- 13:20 – 13:30 **Conclusioni**

SESSIONE II: LABORATORIO – “Dati globali di qualità per una ricerca e una cura dedicate: una scommessa tra Associazioni e Istituzioni”

Facilita: Sara Casati

- 14:00 – 14:15 **Da un'esperienza in corso ad una buona pratica. Introduzione al laboratorio.**
Renza Barbon Galluppi, Sara Casati
- 14.15 – 15.15 **UN DATO GLOBALE IN COSTRUZIONE.**
Il “context-study”: un'associazione di pazienti come volano per un registro per la ricerca, in dialogo con la biobanca di riferimento.
Presentano:
Luisa Testa e Maria Roncaccia, per l'Associazione
Marina Mordente, per il Registro di patologia
Manuela Locatelli, per la Biobanca
Luca Sangiorgi, per il Centro di Expertise
- 15.15 – 15.45 **Dato in connessione e requisiti di qualità**
Contestualizzano:
Paola Facchin, per il Registro di Area Vasta Interregionale
Domenica Taruscio, per il Registro Nazionale
- 15.45 – 16.30 **Per una ricerca e una cura dedicate**
Discutono:
Rappresentante dei pazienti
Anna Ambrosini, per la Fondazione Telethon onlus
Riccardo Palmisano, per Assobiotec
- 16.30 – 16.45 *Pausa*
- 16.45 – 17.45 **La sfida del dato globale. Un laboratorio tra scienza, etica e società.**

Dibattito

Parole chiave: empowerment, diritti, partecipazione, responsabilità, accessibilità, tracciabilità, qualità, sostenibilità, governance

17:45 – 18:00 Conclusioni

Verso una buona pratica del dato globale. Una scommessa tra associazioni ed istituzioni

Domenica Taruscio, Renza Barbon Galluppi

INFORMAZIONI GENERALI

La partecipazione all'evento è gratuita, ma i posti sono limitati: è necessario registrarsi entro il giorno 8 dicembre 2014 al seguente link: <https://www.surveymonkey.com/s/VSPKYLK>

Nella scheda di iscrizione è possibile indicare se si intende partecipare a una delle sessioni (mattina e pomeriggio) oppure ad entrambe.

L'evento è a numero chiuso (70 partecipanti per ciascuna sessione). **Le persone selezionate, tra coloro che si saranno registrati entro il giorno 8 dicembre 2014 - coerentemente con criteri di rappresentatività degli stakeholders coinvolti nell'ambito delle malattie rare - riceveranno un'e-mail di conferma entro il 10 dicembre 2014.**

Per raggiungere la sede del Convegno (Palazzo dei Congressi, Piazzale Kennedy 1, Roma):
<http://www.sanit.org/come-raggiungerci/>

Per maggiori informazioni:

- Centro Nazionale Malattie Rare, Istituto Superiore di Sanità
☎ www.iss.it/cnmr ✉ giorgio.vincenti@iss.it ☎ 06 4990 4418
- UNIAMO Federazione Italiana Malattie Rare ONLUS
☎ www.uniamo.org ✉ mariapia.cardani@uniamo.org ☎ 041 2410886