

Le opinioni e i contenuti espressi nell'ambito dell'iniziativa sono nell'esclusiva responsabilità dei proponenti e dei relatori e non sono riconducibili in alcun modo al Senato della Repubblica o ad organi del Senato medesimo

L'accesso alla sala – con abbigliamento consono e, per gli uomini, obbligo di giacca e cravatta – è consentito fino al raggiungimento della capienza massima

Su iniziativa di: **MAProvider**
MARKET ACCESS PROVIDER

Con il patrocinio di:

Ministero della Salute

Istituto Superiore di Sanità



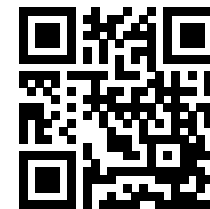
SEGRETERIA ORGANIZZATIVA E UFFICIO STAMPA



via Carducci 24
20123 Milano
tel +39 02 89096682
fax +39 02 89098927
e-mail | info@maprovider.com

piazza San Salvatore in Lauro 10
00186 Roma
tel | fax +39 06 68806614
e-mail | info.roma@maprovider.com

web | www.maprovider.com



Le richieste di accredito stampa devono essere inviate a
sermonti@maprovider.com

Con il contributo non condizionato di:



ROMA | 20 SETTEMBRE 2017

Sala degli Atti Parlamentari,
Biblioteca del Senato "Giovanni Spadolini"
Piazza della Minerva, 38
Roma



RAZIONALE

Il Convegno intende essere sede di dibattito multidisciplinare, per approfondire ed analizzare lo stato dell'arte di alcune malattie gravi, rare ed invalidanti, alla luce degli ultimi traguardi raggiunti dalla terapia genica.

Nello specifico, l'evento intende fare un focus su due patologie rare, ovvero l' Adrenoleucodistrofia (ALD) e la beta-talassemia (βThal) e sull'impatto che queste hanno sull'organizzazione del Sistema Sanitario, ma ancor di più sulla vita dei pazienti, nonchè i relativi sviluppi della terapia genica, ribadendo e legittimando l'importanza di una adeguata organizzazione dei servizi dedicati e dello screening neonatale specifico, anche in ottica di cost saving.

L'ALD provoca un accumulo diffuso di acidi grassi a lunga catena prevalentemente nelle ghiandole surrenali e nel cervello. La forma cerebrale infantile dell'ALD (denominata CALD) è la variante più grave della malattia e colpisce il 30%-40% dei ragazzi affetti da ALD. La beta-talassemia è invece una malattia ematica che comporta una marcata riduzione nella produzione di emoglobina, che a sua volta si accompagna alla mancanza di ossigeno in numerosi organi inducendo gravi e croniche complicanze sistemiche.

PROGRAMMA DELLA GIORNATA

09:30	Registrazione	12:10	β Talassemia e ALD: il peso della malattia sulla vita dei pazienti Valentino Orlandi <i>Presidente UNITED Onlus</i> Valentina Fasano <i>Presidente AIALD – Associazione Italiana Adrenoleucodistrofia Onlus</i>
09:45	Introduzione <i>Moderatrice:</i> Maria Emilia Bonaccorso <i>Capo Servizio Ansa Salute</i>	12:40	La ricerca con terapia genica nell'ALD e βThal Gabriella Pasciullo <i>Direttore, Responsabile scientifico per l'Italia, bluebird bio</i>
09:50	Saluti istituzionali Laura Bianconi* <i>12° Commissione Igiene e Salute, Senato della Repubblica</i> Paola Taverna* <i>Segretario 12° Commissione Igiene e Salute, Senato della Repubblica</i> Nando Minnella* <i>Capo Segreteria Tecnica Ministro della Salute</i>	13:00	Discussione
10:10	Malattie rare e screening neonatali: quali i nuovi obiettivi del Ministero della Salute Andrea Urbani* <i>Direttore Generale della Programmazione Sanitaria, Ministero della Salute</i>	13:30	Conclusioni <i>Moderatrice:</i> Maria Emilia Bonaccorso <i>Capo Servizio Ansa Salute</i>
10:30	Le attività dell'Istituto Superiore di Sanità per le malattie rare e la terapia genica Domenica Taruscio* <i>Direttrice Centro Nazionale Malattie Rare (CNMR), Istituto Superiore di Sanità</i>	* invitato a partecipare	
10:50	Malattie rare e screening neonatali: potenziali costi evitati per il Servizio Sanitario Nazionale Francesco Saverio Mennini <i>Professore di Economia sanitaria, Reasearch Director, EEHTA CEIS, Università di Roma "Tor Vergata"</i>		
11:10	Esperienze e progetti della Regione Lazio sugli screening neonatali Lorella Lombardozi* <i>Dirigente dell'Area Risorse farmaceutiche della D.R. Salute e Politiche Sociali, Regione Lazio</i>		
11:30	ALD, l'impatto della malattia in Italia Marco Cappa <i>Capo U.O. Endocrinologia, Dipartimento Pediatrico Ospedale Universitario "Bambin Gesù", Roma</i>		
11:50	β Talassemia, l'impatto della malattia in Italia Gian Luca Forni <i>Presidente di SITE, Responsabile Centro della Microcitemia e delle Anemie Congenite, E.O. Ospedali Galliera, Genova</i>		