

Corso di formazione sul campo a cura dell'Osservatorio Nazionale SIFO
Progetto Osservatorio Malattie Rare

Napoli, 8 giugno 2015. Sede Ordine dei Farmacisti

“L'esperto risponde: il punto di vista dei pazienti”

Nicola Spinelli, UNIAMO FIMR onlus
nicola.spinelli@uniamo.org

1. Da dove veniamo
2. Chi siamo
3. Dove andiamo



Un viaggio intorno a noi...

Un fatto nuovo...

... nasce il movimento europeo dei malati rari e familiari



Il movimento dei pazienti si organizza

1997: nasce EURORDIS



1999: nasce UNIAMO FIMR onlus



Dal 2008...

L'appuntamento a cui nessun malato
raro vuol mancare



Rare Disease Day[®]

Una Priorità di Sanità pubblica

L'Unione Europea ha tracciato una "via" politica e legislativa per le malattie rare con il contributo determinante del movimento dei pazienti



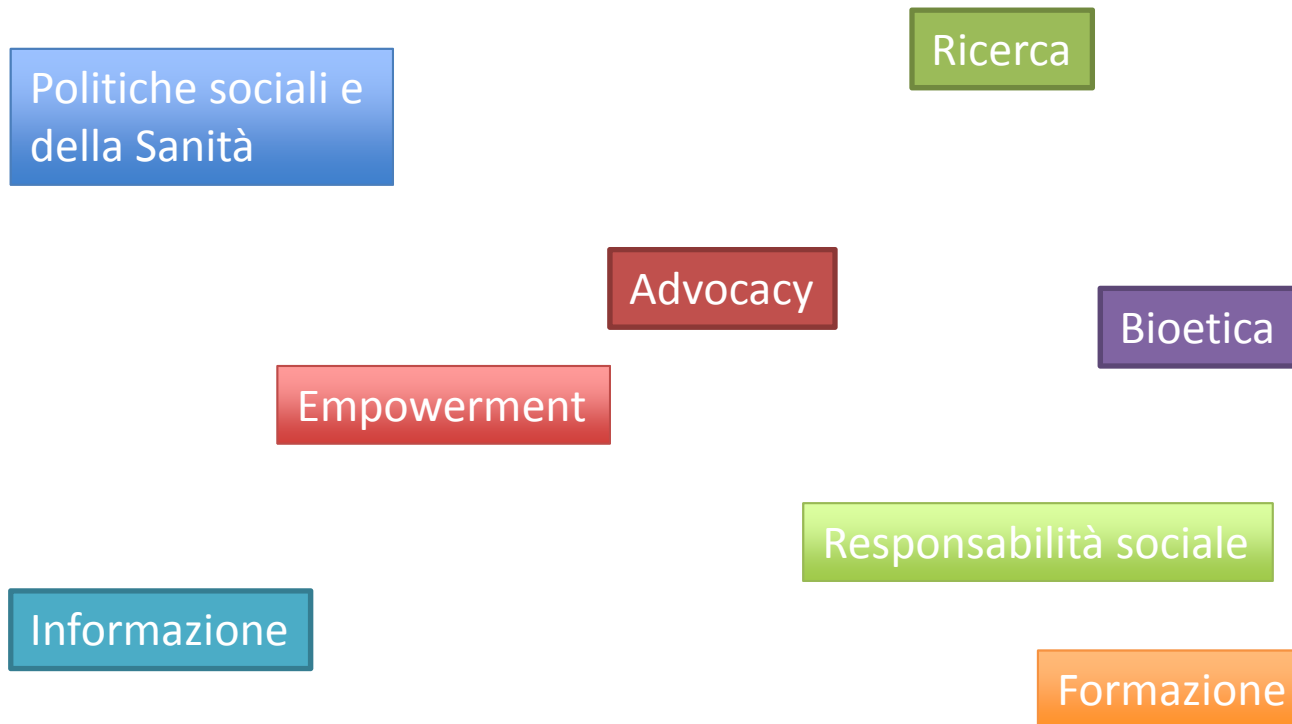
Cos'è UNIAMO FIMR onlus?

- Una APS giuridicamente riconosciuta
- Alleanza nazionale italiana di EURORDIS
- Unica federazione di 2° livello in Italia
- Nata dalle associazioni di pazienti rari e familiari
- Nata con 20 associazioni, oggi ne conta quasi 100
- Si occupa di malati rari e loro familiari

La missione di UNIAMO FIMR onlus

“Migliorare la qualità della vita delle persone colpite da malattia rara, attraverso l’attivazione, la promozione e la tutela dei **diritti vitali dei malati rari** nella ricerca, nella bioetica, nella salute, nelle politiche sanitarie e socio-sanitarie”

Le nostre macro aree d'azione



Come agiamo

- Utilizzo nostra infrastruttura: sede operativa, amministrativa, centro studi, office progettualità, consulenti, community, ecc.
- Dialogando e collaborando con tutti gli attori
- Patti d'intesa
- Progetti con finanziamento pubblico o privato
- Coordinamento associazioni
- Relazioni con i media
- Public affairs management e lobbying

Progetti = maggior conoscenza problemi e soluzioni per i malati rari



Finanziato dal Ministero Lavoro e Politiche Sociali. Partecipazione di associazioni federate, non federate ed istituzioni

Esempio di risultati avuti con “Determinazione Rara”: Utilizzo Off Label

Farmaco	Patologia	Età pediatrica	Età adulta
Anakinra	Malattie auto-infiammatorie (FMF, TRAPS, CAPS, HIDS, PFAPA, CRMO...)	si	si
Benzilpenicillina benzatinica	PANDAS: Pediatric Acute Neuropsychiatric Disorders Associated with A Streptococci	si	si
Broncovaleas	Atrofia muscolare spinale (SMA); Sindrome di Aicardi-Goutieres; Epidermolisi Bollosa Distrofica; Associazione Charge	si	si
Canakinumab	Malattie auto-infiammatorie (FMF, TRAPS, CAPS, HIDS, PFAPA, CRMO...)		si
Ciclosporina	Patologie demielinizzanti di origine autoimmune		si
Cymbalta	Malformazione di Chiari e Siringomielia		si
Dasatinib	Tumore Stromale Gastrointestinale (GIST)	si	si
Fibrase	Cistite interstiziale		si
Idebenone	Malattie mitocondriali	si	si
Laroxyl	Cistite interstiziale		si
Lyrica	Sindrome da Cisti di Tarlov		si
Methotrexate	Malattie reumatiche infantili	si	si

Esempio di risultati avuti con “Determinazione Rara”: Utilizzo Off Label

Farmaco	Patologia	Età pediatrica	Età adulta
Ig endovena	Patologie demielinizzanti di origine autoimmune	si	si
Ig endovena	PANDAS: Pediatric Acute Neuropsychiatric Disorders Associated with A Streptococci	si	si
Ig sottocute	Patologie demielinizzanti di origine autoimmune	si	si
Coenzima Q10	Malattie mitocondriali	si	si
Coenzima Q10 mg.100	Sensibilità chimica multipla, Encefalomielite mialgica, Sindrome da fatica cronica, Fibromialgia ed altre patologie correlate alla presenza di fattori tossico-ambientali		si
Creatina	Malattia di Huntington, Demenze correlate alla malattia di Huntington, Atassie Dominanti	si	si
Pelvilen	Cistite interstiziale	si	si
Riboflavina	Malattie mitocondriali	si	
Vitamina C gr.1	Sensibilità chimica multipla, Encefalomielite mialgica, Sindrome da fatica cronica, Fibromialgia ed altre patologie correlate alla presenza di fattori tossico-ambientali		si
Medicinali omeopatici	PANDAS: Pediatric Acute Neuropsychiatric Disorders Associated with A Streptococci	si	si

Esempio di risultati avuti con “Determinazione Rara”: Utilizzo Off Label

Farmaco	Patologia	Età pediatrica	Età adulta
Naltrexone (Ldn a basso dosaggio galenico orale)	M.E./CFS Encefalomielite mialgica/ sindrome da fatica cronica / Fibromialgia (FM)	si (gel)	si
Nilotinib	Tumore Stromale Gastrointestinale (GIST)	si	si
Normast	Sindrome da Cisti di Tarlov		si
Olanzapina	Malattia di Huntington, Demenze correlate alla malattia di Huntington, Atassie Dominanti		si
Pantetina	NBIA (Neurodegenerazione da Accumulo di Ferro)	si	si
Riluzolo	Malattia di Huntington, Demenze correlate alla malattia di Huntington, Atassie Dominanti		si
Sorafenib	Tumore Stromale Gastrointestinale (GIST)	si	si
TAD 600 (glutazione)	Sensibilità chimica multipla, Encefalomielite mialgica, Sindrome da fatica cronica, Fibromialgia ed altre patologie correlate alla presenza di fattori tossico-ambientali		Si

La strategia d'elezione

Costruire una strategia europea **unica globale integrata a lungo termine** rispondente ai **bisogni** delle persone affette da **patologie rare** in tutta l'Europa capace di **mettere a sistema** la **complessità** degli interventi

GRAZIE!

www.uniampo.org

www.malattirari.it

www.eurordis.org