



Corso Residenziale di aggiornamento  
a cura della Sezione Regionale SIFO – Lazio  
in collaborazione con ASC SIFO “Malattie Rare”

# **EVIDENZE NELL'UTILIZZO DEI NUOVI FARMACI NEL MIGLIORAMENTO DELLA QUALITÀ DI VITA DEI PAZIENTI AFFETTI DA MALATTIE RARE**

**Roma, 18 dicembre 2023**

**c/o Auditorium**

**San Paolo Ospedale Bambino Gesù Roma**

**ID ECM: 313-399630**

**RESPONSABILI SCIENTIFICI**

**Dott.ssa Tiziana Corsetti**

**Dott. Luigi Bellante**

## RAZIONALE

In tempi recenti, fortunatamente, la ricerca e lo sviluppo di farmaci per le malattie rare, ha avuto incentivi di natura regolatoria, prima e finanziaria, poi. Per di più, il mondo delle politiche di sanità pubblica, ha sempre più indirizzato la sua considerazione verso le necessità di chi è affetto da una malattia rara. All'interno di questo rinnovato interesse per questo tipo di patologie, è possibile considerare tutti i tentativi portati avanti dalla ricerca scientifica, per avere la disponibilità di farmaci maggiormente sicuri, maggiormente efficaci e in grado di assicurare una posologia più confortevole per i pazienti, rispetto alle terapie precedentemente utilizzate. In particolare, per patologie che necessitavano di somministrazioni di farmaci relativamente molto vicine nel tempo, il fatto di poter considerevolmente aumentare queste tempistiche, mantenendo una efficacia significativa, aspetti garantiti dai nuovi farmaci entrati in terapia, ha rappresentato una rivoluzione benefica, ottimizzando anche, al contempo, gli spostamenti dei pazienti verso i centri di cura, con benefici sui costi sociali e sanitari.

## FACULTY

### **BELLANTE Luigi**

Farmacista Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Roma  
Componente CURE e Componente della ASC Farmacovigilanza e Dispositivovigilanza SIFO

### **CORSETTI Tiziana**

Direttore UOC FARMACIA Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Roma Coordinatore ASC SIFO  
Malattie rare

### **CUTRERA Renato**

Responsabile dell'Unità Operativa Complessa di Pneumologia e Fibrosi cistica, Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Roma

### **DEL BALDO Giada**

Dirigente medico Area oncoematologia, terapia cellulare, terapie geniche e trapianto emopoietico Ospedale Pediatrico Bambino Gesù

### **MACCHIAIOLO Marina**

Dirigente Medico Unità Operativa di Malattie Rare e Genetica Medica, Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Roma  
Responsabile di Alta specializzazione in Malattie rare non diagnosticate

### **NOVELLI Antonio**

Responsabile dell'Unità Operativa Complessa Laboratorio di Genetica Medica, Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Roma

### **RAPONI Massimiliano**

Direttore Sanitario Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Roma

### **TANGARI Federica**

Farmacista Dirigente Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Roma

### **ULLMANN Nicola**

Dirigente Medico Pneumologia e fibrosi cistica, Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Roma

### **VALLESI Leonardo**

Farmacista Dirigente Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Roma

## PROGRAMMA SCIENTIFICO

Moderatori: **L. Bellante, T. Corsetti**

- 14.15-14.30 Registrazione partecipanti
- 14.30-15.10 Saluti e Introduzione generale al corso  
(panoramica e obiettivi)  
**L. Bellante, T. Corsetti, M. Raponi**

### I SESSIONE - Clinica

- 15.10-15.40 Modelli genetici predittivi delle malattie rare infantili  
per l'impostazione di percorsi clinici diagnostici e assistenziali  
**M. Macchiaiolo**
- 15.40-16.10 Le malattie rare respiratorie pediatriche  
**R. Cutrera, N. Ullmann**
- 16.10-16.40 Utilizzo dei pannelli genomici per la caratterizzazione di  
sindromi rare pediatriche  
**A. Novelli**
- 16.40-17.10 I tumori rari ematologici infantili  
**G. Del Baldo**
- 17.10-17.40 Discussione sui temi emersi e chiusura della prima sessione  
**L. Bellante, T. Corsetti**

*Coffee Break 17.40-18.00*

### II SESSIONE - Farmaceutica

- 18.00-18.30 Il farmacista ospedaliero nella gestione delle malattie rare  
pediatriche: normativa, distribuzione diretta, galenica,  
controllo dei costi, gare regionali, monitoraggio delle  
prescrizioni e dei piani terapeutici  
**L. Vallesi, F. Tangari**
- 18.30-18.50 Take home message e conclusione dei lavori  
**L. Bellante, T. Corsetti**
- 18.50-19.15 Prova di apprendimento ECM

## INFORMAZIONI GENERALI

**Obiettivo di riferimento nazionale: n. 18** - Contenuti tecnico-professionali (conoscenze e competenze) specifici di ciascuna professione, di ciascuna specializzazione e di ciascuna attività ultraspecialistica, ivi incluse le malattie rare e la medicina di genere

**Destinatari:** Il corso è rivolto a n. **50 Operatori Sanitari** provenienti dalla regione Lazio.

Nello specifico:

- n. **25 Farmacisti** soci SIFO (tutte le discipline) in regola con quota associativa 2023;
- n. **25 Medici Chirurghi** (tutte le discipline)

La partecipazione all'attività formativa proposta è da intendersi gratuita per i destinatari sopra elencati. Non è previsto reclutamento dei discenti da parte dello sponsor

**Sede:** Auditorium San Paolo Ospedale Bambino Gesù Roma - Viale F. Baldelli, 38 - 00146 Roma

**Data di svolgimento:** 18 dicembre 2023

**CREDITI ECM:** 4,00 per la professione di FARMACISTA e MEDICO CHIRURGO

**Durata formativa:** 4 ore 10 minuti

**Segreteria Organizzativa:** FONDAZIONE SIFO srl - Via Carlo Farini, 81 - Milano - 20159

**Provider\*:** SIFO (Provider Standard Nazionale ID n. 313) - Via C. Farini, 81

20159 Milano - tel. 026071934 - fax 0269002476 - segreteria.ecm@sifo.it - www.sifoweb.it

\* Sistema di Gestione certificato UNI EN ISO 9001:2015 certificato n. 2884

Con il contributo non condizionato di:



# Jazz Pharmaceuticals®



**SOCIETÀ ITALIANA DI FARMACIA OSPEDALIERA  
E DEI SERVIZI FARMACEUTICI DELLE AZIENDE SANITARIE**

Via C. Farini, 81 – 20159 Milano – Tel. 02/6071934 – Fax 02/69002476  
e-mail: info@sifo.it - Sito internet: www.sifoweb.it