



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

*fondata nel 1952*

---

**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**

**ID ECM: 313-399630**

**Roma, 18 dicembre 2023**  
c/o Auditorium San Paolo Ospedale Bambino Gesù Roma

**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.

**OBIETTIVI DEL CORSO**

---

Il corso è strutturato in modo da illustrare ai partecipanti il percorso del paziente affetto da malattia rara all'interno del sistema sanitario e del sistema socio assistenziale grazie a una approfondita conoscenza degli ambiti legislativi relativi, diffondendo la conoscenza sulle malattie rare e i farmaci orfani, nel tentativo di collaborare all'estensione di un percorso diagnostico-terapeutico assistenziale (PDTA).

**RESPONSABILE SCIENTIFICO**

---

**Dott.ssa Tiziana Corsetti**

Direttore U.O.C. Farmacia Ospedale Pediatrico Bambino Gesù IRSSC – Roma  
Coordinatore ASC SIFO Malattie rare

**Dott. Luigi Bellante**

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

---



# SOCIETA' ITALIANA DI FARMACIA OSPEDALIERA E DEI SERVIZI FARMACEUTICI DELLE AZIENDE SANITARIE

*fondata nel 1952*

## **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  
**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

### **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

#### **DEL BALDO Giada**

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

---



# SOCIETA' ITALIANA DI FARMACIA OSPEDALIERA E DEI SERVIZI FARMACEUTICI DELLE AZIENDE SANITARIE

*fondata nel 1952*

## **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

## **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**

**Modalità d'Iscrizione:** pubblicate sul sito [www.sifoweb.it](http://www.sifoweb.it) nella pagina dedicata al corso (sez. Eventi ed ECM/Formazione Residenziale / Corsi regionali)

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

**Data di svolgimento:** 18 dicembre 2023

**ECM:** L'attività formativa proposta è stata inserita nel piano formativo di SIFO per l'anno 2023 per la professione di FARMACISTA e MEDICO CHIRURGO

SIFO ha assegnato all'evento **n. 4,00 crediti ECM**

Si ricorda che il rilascio della certificazione dei crediti è subordinato alla partecipazione di almeno il 90% della durata dei lavori, al superamento della prova di apprendimento e alla compilazione della scheda di valutazione dell'evento.

**Durata formativa:** 4 ore e 10 minuti

Sistema di Gestione certificato  
UNI EN ISO 9001:2015  
certificato n°2884  
per progettazione ed erogazione di formazione professionale e specialistica  
universitaria. Progettazione, organizzazione e sviluppo di progetti di ricerca in  
ambito farmaceutico e organizzativo.

### **Provider e Segreteria Iscrizioni:**

SIFO (Provider Standard Nazionale ID n. 313)  
Via C. Farini, 81 - 20159 Milano  
tel. 026071934 fax 0269002476  
segreteria.ecm@sifo.it - [www.sifoweb.it](http://www.sifoweb.it)



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

*fondata nel 1952*

**Segreteria Organizzativa:**

FONDAZIONE SIFO srl  
Via Carlo Farini, 81  
Milano - 20159

**Con il contributo non condizionato di**



**Jazz Pharmaceuticals®**

