

# Malattie rare e accesso alle cure

## Come assicurare il diritto al trattamento?

Roma, 2 febbraio 2010

Sala Capitolare della Biblioteca del Senato

Per definizione, sono caratterizzate da bassa incidenza epidemiologica, ma il numero dei pazienti che ne sono affetti è in costante crescita: in Italia, **oltre 20mila nuovi casi ogni anno**. È questa la prima, essenziale ragione per cui le *malattie rare* stanno assumendo un **rilievo prioritario nella tutela della salute**. Le altre ragioni, strettamente connesse, fanno riferimento alla complessità dell'accesso alle cure e dei percorsi terapeutici.

La specificità di queste malattie, le esigenze che ne derivano e l'espansione stessa del fenomeno pongono i sistemi sanitari, i clinici e le aziende farmaceutiche di fronte a responsabilità e compiti nuovi, allo scopo di garantire, a tutti coloro che ne hanno bisogno, il diritto al trattamento.

Le esperienze fin qui maturate nella diagnosi e nella cura delle malattie rare suggeriscono **l'opportunità di un collegamento tra tutti gli attori coinvolti**, in grado di sostenere azioni legislative che favoriscano la ricerca clinica, lo sviluppo di nuove opzioni terapeutiche e un'efficace gestione degli aspetti socio-sanitari.

Questo simposio si propone di offrire alle istituzioni, al settore farmaceutico e alle associazioni dei pazienti **spunti per una comune riflessione sull'attuale scenario delle malattie rare in Italia**. Con l'auspicio che il confronto possa contribuire a **delimitare meglio necessità e opportunità in termini di costi, innovazione terapeutica e qualità della cura**.

Associazione Parlamentare  
per la tutela e la promozione  
del diritto alla prevenzione



Con il supporto non condizionato di:



# Malattie rare e accesso alle cure

Come assicurare il diritto al trattamento?

Roma, 2 febbraio 2010

Sala Capitolare della Biblioteca del Senato

- 9.30 Welcome coffee
- 9.45 **Bruno Vespa** – Introduzione  
**Fabrizio Spoleti** – La testimonianza di un padre
- 10.00 **Accesso alle terapie, nuovi strumenti normativi per garantirlo**  
**Antonio Tomassini** – *Presidente Commissione Igiene e Sanità, Senato, Presidente Associazione Parlamentare per la tutela e la promozione del diritto alla prevenzione*  
**Daniele Bosone** – *Vicepresidente Commissione Igiene e Sanità, Senato*
- Malattie rare, diritti del paziente e priorità del sistema sanitaria**  
**Maria Teresa Petrangolini** – *Segretario Generale di Cittadinanzattiva*
- 10.30 **Panel**  
“Ricerca per le malattie rare. Perché? Non è meglio dedicarsi a malattie cardiovascolari o tumori?”  
**Giuseppe Remuzzi** – *Coordinatore ricerche Laboratori Negri di Bergamo e Centro Daccò, Ranica*
- Un modello omogeneo di assistenza**  
**Renza Barbon Galluppi** – *Presidente UNIAMO, Federazione Italiana Malattie Rare*
- Ricerca e sanità pubblica nelle malattie rare e farmaci orfani**  
**Enrico Garaci\*** – *Presidente Istituto Superiore di Sanità*
- 11.15 Coffee break
- 11.45 **Tavola rotonda**  
**Sviluppo e accesso alle terapie**  
**Laura Bianconi** – *Membro Commissione Igiene e Sanità, Senato*  
**Luciano Bresciani\*** – *Assessore alla Sanità, Regione Lombardia*  
**Paola Castellani** – *Chief Scientific Officer, Novartis Farma, Italia*  
**Claudio Cavazza** – *Vice Presidente di Farmindustria*  
**Michele Lipucci Di Paola** – *Eurordis - Comitato per le terapie avanzate – EMA*  
**Sergio Pecorelli\*** – *Presidente, Agenzia Italiana del Farmaco*
- 13.00 **Conclusioni**  
**Intervista di Bruno Vespa a**  
**Ferruccio Fazio** – *Ministro della Salute*
- 13.30 Buffet lunch
- \* *in attesa di conferma*