



Appropriatezza Terapeutica nelle Malattie Rare: Focus su Miastenia Grave e Neuromielite Ottica

Roma, Starhotels Metropole
24/25 novembre 2022



Evento ECM per farmacisti ospedalieri • 13 crediti ECM

con il patrocinio di



SIFO

Società Italiana di Farmacia Ospedaliera
e dei Servizi Farmaceutici delle Aziende Sanitarie

RAZIONALE SCIENTIFICO



La Miastenia Grave e la Neuromielite Ottica sono due patologie rare. La miastenia grave (MG) è una malattia autoimmune rara delle giunzioni neuromuscolari, clinicamente eterogenea, che colpisce entrambi i sessi, le femmine prevalentemente prima dei 40 anni e i maschi dopo i 60 anni; è caratterizzata da grave debolezza con affaticamento dei muscoli volontari, con prevalenza stimata in 1/5.000 e incidenza in 1/250.000-1/33.000 in Europa e una stima di circa 12.000 pazienti in Italia. I sintomi più comuni sono la visione doppia, ptosi palpebrale, problemi alla masticazione e deglutizione, difficoltà ad articolare il linguaggio, affaticamento muscolare cronico e disturbi respiratori. La neuromielite ottica (disturbo dello spettro della neuromielite ottica; NMOSD) è una malattia infiammatoria demielinizzante del sistema nervoso centrale, caratterizzata da neurite ottica monolaterale e bilaterale e da mielite acuta, con una prevalenza di 1-2/100.000, con episodi di cecità acuta, dolore intenso, perdita delle funzioni vescica/intestino, sensazioni cutanee anomale e problemi di coordinazione e/o movimento. Colpisce più comunemente il sesso femminile e si presenta intorno ai 30 anni, portando talvolta a morte prematura. Per entrambe le patologie ad oggi sono utilizzati principalmente trattamenti farmacologici off-label oppure, quando on-label, datati e di efficacia insoddisfacente (in generale corticosteroidi, immunomodulatori ed anticorpi

monoclonali). Dopo anni di attesa, i pazienti possono finalmente usufruire di una nuova opportunità terapeutica per entrambe le patologie. Questo nuovo scenario offre l'importante vantaggio di disporre di un trattamento innovativo on-label, riservato comunque a un numero estremamente limitato di pazienti sull'intero territorio nazionale. Il recente Testo Unico sulle malattie rare prevede che i farmaci orfani siano resi immediatamente disponibili ai pazienti da tutte le Regioni; risulta quindi importante supportare le conoscenze in tale ambito presso le strutture ospedaliere, tramite un percorso di informazione e formazione dei professionisti coinvolti.

Obiettivo specifico del progetto formativo è di aggiornare il farmacista ospedaliero, quale figura chiave nella gestione delle terapie, sul tema delle malattie rare, con un focus specifico su Miastenia Grave e Neuromielite Ottica. Tramite l'apprendimento di nuove conoscenze cliniche sulle patologie, l'ascolto dei bisogni dei pazienti, la consapevolezza del valore aggiunto dei nuovi farmaci e una opportuna valutazione economica, si intende fornire a questo professionista sanitario tutti gli strumenti necessari per aumentare le competenze nella gestione del budget farmaceutico, contribuendo a consentire un accesso appropriato e tempestivo alle nuove terapie per i pazienti rari.



SESSIONE MATTUTINA

Moderatori: *Massimo Medaglia, Erica Daina*

- 10.15** Presentazione dell'evento, *Massimo Medaglia*
- 10.30** Malattie rare: tra sostenibilità e diritto all'innovazione, *Annalisa Scopinaro*
- 11.00** La gestione delle malattie rare in Italia: stato dell'arte, *Erica Daina*
- 11.30** L'organizzazione regionale delle malattie rare, *Giuseppe Limongelli*
- 12.00** Il budgeting della spesa farmaceutica nelle strutture sanitarie, *Mattia Altini*
- 12.30** Percorso di introduzione nella pratica ospedaliera di un nuovo farmaco ad alto costo, *Marcello Pani*
- 13.00** Miastenia grave: epidemiologia, diagnosi e opzioni terapeutiche, *Maria Pia Giannoccaro*
- 13.30** *Lunch*

SESSIONE POMERIDIANA

Moderatori: *Massimo Medaglia, Enrica Proli*

- 14.30** Neuromielite ottica: epidemiologia, diagnosi e opzioni terapeutiche, *Marco Puthenparampil*
- 15.00** Cosa significa essere un paziente affetto da Miastenia Grave, *video da Associazione Pazienti*
- 15.15** Cosa significa essere un paziente affetto da Neuromielite Ottica, *Federica Balzani*
- 15.30** Focus sugli inibitori del C5 nel trattamento delle patologie neurologiche, *Roberto Furlan*
- 16.00** Il ruolo dei farmaci innovativi nel trattamento delle patologie rare nel contesto della spesa farmaceutica, *Paolo Sciattella*
- 16.30** Appropriatezza nella gestione del farmaco raro: off-label vs on-label, *Enrica Proli*
- 17.00** *Coffee Break*
- 17.30** Tavola Rotonda: "Come affrontare le barriere all'accesso di farmaci ad alto costo nelle strutture sanitarie?"

Moderatori: *Massimo Medaglia, Vincenzo Panella*

Partecipanti: *F. Balzani, R. Furlan, M. Puthenparampil, V. Panella, E. Proli, P. Sciattella*

- 18.30** Termine dei lavori





SESSIONE MATTUTINA

Moderatori: *Massimo Medaglia, Irene Marzona*

- 09.00** Presentazione dei Gruppi di Lavoro e loro obiettivi, *Massimo Medaglia, Irene Marzona*
- 09.15** Realizzazione di quattro gruppi di lavoro, coordinati da uno specialista di riferimento, per la discussione di casi pratici inerenti i seguenti temi:
- ▶ **GDL 1** Caso Clinico dalla diagnosi alla terapia appropriata: **Miastenia grave**
Laura Fionda
 - ▶ **GDL 2** Caso Clinico dalla diagnosi alla terapia appropriata: **Neuromielite ottica**
Girolama Marfia
 - ▶ **GDL 3** Programmazione di spesa e fabbisogno per il trattamento di pazienti con **Miastenia grave e Neuromielite ottica**
Barbara Polistena
 - ▶ **GDL 4** Inserimento di un farmaco innovativo per **Miastenia grave e Neuromielite ottica nella pratica ospedaliera (allocazione del fabbisogno vs disponibilità finanziaria; gestione della continuità terapeutica, accesso fondo innovativi)**
Marcello Pani

- 12.15** Presentazione e discussione plenaria dei risultati dei gruppi di lavoro

Moderatori: *Massimo Medaglia, Irene Marzona*

- ▶ **GDL 1** Caso Clinico dalla diagnosi alla terapia appropriata: **Miastenia grave**
- ▶ **GDL 2** Caso Clinico dalla diagnosi alla terapia appropriata: **Neuromielite ottica**

- 13.30** *Lunch*

SESSIONE POMERIDIANA

- 14.30** Presentazione e discussione plenaria dei risultati dei gruppi di lavoro (*segue*)

Moderatori: *Massimo Medaglia, Irene Marzona*

- ▶ **GDL 3** Programmazione di spesa e fabbisogno per il trattamento di pazienti con **Miastenia grave e Neuromielite ottica**
- ▶ **GDL 4** Inserimento di un farmaco innovativo per **Miastenia grave e Neuromielite ottica nella pratica ospedaliera (allocazione del fabbisogno vs disponibilità finanziaria; gestione della continuità terapeutica, accesso fondo innovativi)**

- 15.30** Conclusioni - Take home message, *Marcello Pani*

- 16.00** Compilazione questionario ECM

- 16.30** Termine dei lavori

FACULTY



Mattia Altini

Direttore Sanitario AUSL Romagna
Presidente della Società Italiana di Leadership e
Management in Medicina

Federica Balzani

Coordinatore Pharma and Healthcare Corporate Relations
presso AISM Onlus

Erica Daina

Referente Centro Coordinamento Rete Malattie Rare Lombardia
Istituto di Ricerche Farmacologiche IRCCS Mario Negri Milano

Laura Fionda

Neurologo dottorando Università Sapienza Roma

Roberto Furlan

Group Leader dell'Unità di Neuroimmunologia Clinica
e Direttore dell'Istituto di Neurologia Sperimentale
IRCCS Ospedale San Raffaele Milano

Maria Pia Giannoccaro

Neurologa Ricercatrice
Alma Mater Studiorum - Università di Bologna

Giuseppe Limongelli

Direttore Responsabile del Centro Coordinamento
Malattie Rare Regione Campania
Università Vanvitelli di Napoli

Girolama Alessandra Marfia

UOSD Sclerosi Multipla
Centro di riferimento per le Malattie Neurologiche,
Neuromuscolari e Distrofie Miotoniche Rare Policlinico
Tor Vergata Roma

Irene Marzona

Dephaforum s.r.l. Milano

Massimo L.A. Medaglia

Dephaforum s.r.l. Milano

Vincenzo Panella

Responsabile Rete Ambulatoriale Ordine di Malta,
Esperto in management sanitario

Marcello Pani

Direttore UOC Farmacia Policlinico Universitario Agostino
Gemelli IRCCS Roma

Barbara Polistena

Responsabile area farmaco economia e statistica medica
di C.R.E.A. Sanità (Centro per la Ricerca Economica Applicata
in Sanità)

Enrica Proli

Direttore U.O.C. Farmacia Policlinico Umberto I Roma

Marco Puthenparampil

Neurologo Ricercatore
Dipartimento di Neuroscienze - Università degli Studi
di Padova

Paolo Sciattella

Dottorando in Scienze Statistiche, CEIS-EEHTA,
Facoltà di Economia Università di Roma "Tor Vergata"

Annalisa Scopinaro

Presidente UNIAMO Federazione Italiana
Malattie Rare

INFORMAZIONI



RESPONSABILE SCIENTIFICO

Massimo L.A. Medaglia - Dephaforum s.r.l., Milano

SEDE

Hotel Starhotels Metropole - Via Principe Amedeo 3, Roma

SEGRETERIA ORGANIZZATIVA



Delphi International srl

Via Zucchini 79 - 44122 Ferrara
Tel. Area Congressi +39 0532 1934216
congressi@delphiinternational.it
www.delphiformazione.it

SEGRETERIA SCIENTIFICA

Massimo L.A. Medaglia - Dephaforum s.r.l., Milano

Irene Marzona - Dephaforum s.r.l., Milano



Dephaforum

Dephaforum S.r.l.
Via Cosimo del Fante, 8
20122 Milano - Tel. +39 02 58301356
dephaforum@dephaforum.it
www.dephaforum.

ECM

ID provider: 1540

ID ECM: 364940

Periodo svolgimento: 24-25 novembre 2022

Ore formative: Tredici (13)

Obiettivo formativo: Linee Guida - protocolli - procedure

Discipline accreditate: Farmacisti specialisti in farmacia ospedaliera

SPONSOR

ALEXION[®]
AstraZeneca Rare Disease