



Il Farmacista Ospedaliero nella Gestione delle Malattie Rare: Focus su PNH e SEUa

Bologna, Aemilia Hotel
20/21 aprile 2023



Evento ECM per Farmacisti Ospedalieri: 13 crediti ECM

Con il patrocinio di



RAZIONALE SCIENTIFICO



La Emoglobinuria parossistica notturna e la Sindrome emolitica uremica atipica sono due patologie rare. La emoglobinuria parossistica notturna (PNH) è una malattia del sangue ultrarara, cronica, progressiva, debilitante e pericolosa per la vita, caratterizzata da emolisi intravascolare mediata dal complemento, ed emoglobinuria. Sono frequenti leucopenia, trombocitopenia, trombosi arteriosa-venosa e crisi emolitiche episodiche, che si verificano sia durante il giorno che nella notte: la conseguenza più devastante dell'emolisi è la trombosi, che può danneggiare gli organi e causare morte prematura. La PNH può colpire uomini e donne di ogni razza, provenienza ed età, sebbene sia più frequente nei maschi dai 20 ai 30 anni; è una patologia che riduce sensibilmente la qualità della vita dei pazienti. La sindrome emolitico uremica atipica (SEUa) è una malattia grave che insorge solitamente nei bambini e prosegue nell'adulto, comporta la formazione di piccoli coaguli di sangue in tutto il corpo, che bloccano l'apporto di sangue a organi vitali come il cervello, il cuore e i reni. Tale patologia è causata da anomalie genetiche che provocano un'attivazione cronica incontrollata del complemento, che porta alla microangiopatia trombotica mediata dal complemento (TMA), la formazione di coaguli di sangue nei piccoli vasi sanguigni in tutto il corpo. Il trattamento della SEUa prevede supporto delle funzioni vitali essenziali e il frequente ricorso alla dialisi renale. Per entrambe le patologie (nei pazienti sintomatici, per la PNH)

ad oggi sono utilizzati principalmente trattamenti farmacologici con anticorpi monoclonali che si legano al C5 e agiscono come inibitori del complemento terminale, che hanno cambiato il decorso della malattia.

Il recente Testo Unico sulle malattie rare prevede che i farmaci orfani siano resi immediatamente disponibili ai pazienti da tutte le Regioni. Pur coinvolgendo un numero limitato di pazienti su tutto il territorio nazionale permane il rischio di rallentare la presa in carico dei pazienti, anche a causa di disomogeneità regionali.

Risulta quindi importante supportare le conoscenze in tale ambito presso le strutture ospedaliere, tramite un percorso di informazione e formazione dei professionisti coinvolti. Sulla base di tali presupposti, questo progetto di formazione ECM è dedicato ai farmacisti ospedalieri del territorio nazionale, con le finalità di aggiornare questo professionista della salute sul tema delle malattie rare, quale figura assai rilevante nella gestione delle terapie, con un focus specifico su Emoglobinuria parossistica notturna e Sindrome emolitica uremica atipica. 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, questo professionista sanitario potrà disporre di tutti gli strumenti necessari per aumentare le proprie competenze nella gestione del budget farmaceutico, contribuendo a promuovere un accesso appropriato e tempestivo alle nuove terapie per i pazienti rari.



SESSIONE MATTUTINA

Moderatori: *Massimo Medaglia, Erica Daina*

11.00 Presentazione dell'evento, *Massimo Medaglia*

11.15 **Malattie rare: tra sostenibilità e diritto all'innovazione**, *Annalisa Scopinaro*

11.45 **La gestione delle malattie rare in Italia: stato dell'arte**, *Erica Daina*

12.15 **L'organizzazione regionale delle malattie rare**, *Giuseppe Limongelli, Elisa Rozzi*

12.45 **Il budgeting della spesa farmaceutica nelle strutture sanitarie**, *Mattia Altini*

13.30 *Lunch*

SESSIONE POMERIDIANA

Moderatori: *Massimo Medaglia, Vincenzo Panella*

14.30 **Le malattie rare: un'opportunità strategica per l'azienda sanitaria**, *Vincenzo Panella*

15.00 **Emoglobinuria parossistica notturna: epidemiologia, diagnosi e opzioni terapeutiche**, *Antonio De Vivo*

15.30 **Sindrome emolitica uremica atipica: epidemiologia, diagnosi e opzioni terapeutiche**, *Lino Cirami*

16.00 **La storia degli inibitori del C5 nel trattamento delle patologie emato-nefrologiche**, *Federico Pea*

16.30 **Il ruolo dei farmaci innovativi nel trattamento delle patologie rare nel contesto della spesa farmaceutica**, *Barbara Polistena*

17.00 *Coffee Break*

17.30 **Percorso di introduzione nella pratica ospedaliera di un nuovo farmaco ad alto costo**, *Marcello Pani*

18.00 **Appropriatezza nella gestione del farmaco raro: off-label vs on-label**, *Enrica Proli*

19.00 Termine dei lavori





SESSIONE MATTUTINA

Moderatori: *Massimo Medaglia, Marcello Pani*

- 09.00** Presentazione dei Gruppi di Lavoro e loro obiettivi, *Massimo Medaglia, Marcello Pani*
- 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: Emoglobinuria parossistica notturna, *Antonio De Vivo*
 - ▶ **GDL 2** Caso Clinico dalla diagnosi alla terapia appropriata: Sindrome emolitica uremica atipica, *Leonardo Caroti*
 - ▶ **GDL 3** Programmazione di spesa e fabbisogno per il trattamento di pazienti con Emoglobinuria parossistica notturna e Sindrome emolitica uremica atipica, *Barbara Polistena*
 - ▶ **GDL 4** Inserimento di un farmaco innovativo per PNH/SEUa 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, Marcello Pani*

- ▶ **GDL 1** Caso Clinico dalla diagnosi alla terapia appropriata: Emoglobinuria parossistica notturna
- ▶ **GDL 2** Caso Clinico dalla diagnosi alla terapia appropriata: Sindrome emolitica uremica atipica

- 13.30** *Lunch*

SESSIONE POMERIDIANA

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

Moderatori: *Massimo Medaglia, Marcello Pani*

- ▶ **GDL 3** Programmazione di spesa e fabbisogno per il trattamento di pazienti con Emoglobinuria parossistica notturna e Sindrome emolitica uremica atipica
- ▶ **GDL 4** Inserimento di un farmaco innovativo per PNH/SEUa 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



RESPONSABILE SCIENTIFICO

Massimo L.A. Medaglia

Dephaforum s.r.l., Milano

FACULTY

Mattia Altini

Direttore Assistenza ospedaliera Regione Emilia Romagna
Presidente della Società Italiana di Leadership
e Management in Medicina

Leonardo Caroti

UOC Nefrologia Dialisi Trapianto AOU Careggi Firenze

Lino Cirami

UOC Nefrologia Dialisi Trapianto AOU Careggi Firenze

Erica Daina

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

Antonio De Vivo

UOC Ematologia IRCCS S. Orsola-Malpighi
Alma Mater Studiorum Università di Bologna

Giuseppe Limongelli

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

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

Federico Pea

Direttore Farmacologia Clinica IRCCS Policlinico
S. Orsola-Malpighi
Alma Mater Studiorum Università di Bologna

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

Elisa Rozzi

Referente Centro Coordinamento Malattie Rare
Regione Emilia Romagna

Annalisa Scopinaro

Presidente UNIAMO Federazione Italiana Malattie Rare

INFORMAZIONI



SEDE

Aemilia Hotel

Via Zaccherini Alvisi Giovanna, 12
40138 Bologna
Tel. +39 051 3940311

ECM

ID provider: 1540

ID ECM: 377316

Periodo svolgimento: 20-21 aprile 2023

Ore formative: Tredici (13)

Obiettivo formativo: Linee Guida - protocolli - procedure

Discipline accreditate: Farmacisti specialisti in:

Farmacista Pubblico del SSN; Farmacista Territoriale;

Farmacista di altro settore

SPONSOR

SEGRETERIA ORGANIZZATIVA



Delphi International srl

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

SEGRETERIA SCIENTIFICA



Dephaforum

Massimo L.A. Medaglia Irene Marzona

Dephaforum S.r.l.

Via Cosimo del Fante, 8

20122 Milano - Tel. +39 02 58301356

dephaforum@dephaforum.it

www.dephaforum.it