



RARE DISEASE DAY.ORG



## Corso di Aggiornamento

Evento n° 271085 - Edizione 1 - Crediti formativi ECM: 9

# Malattie Rare e Farmaci Orfani

Università di Milano-Bicocca

Aula Magna, U8

Via Cadore 48, Monza

# 1 Febbraio 2020

Con il Patrocinio di:



## Programma

- 08.30 Registrazione dei partecipanti
- 09.00 Saluto delle Autorità  
 Prof.ssa Giovanna Iannantuoni  
 Magnifico Rettore dell'Università di Milano-Bicocca  
 S.E. Mons. Fabio Dal Cin  
 Arcivescovo Delegato Pontificio di Loreto  
 Prof.ssa Mariagrazia Valsecchi  
 Direttore Dipartimento di Medicina e Chirurgia
- 09.20 **LETTURA**  
 La malattia di Giacomo Leopardi: verso una nuova interpretazione diagnostica  
 Erik Sganzerla  
 Dipartimento di Medicina e Chirurgia  
 Università di Milano-Bicocca
- 09.50 **ISESSIONE - LA RETE DELLE MALATTIE RARE**  
 Moderatore  
 Domenico Criscuolo  
 SIMeF - Milano
- 10.00 **Malattie rare: da priorità a modello per la ricerca e la sanità pubblica**  
 Domenica Taruscio  
 Direttore Centro Nazionale Malattie Rare Istituto Superiore di Sanità - Roma
- 10.20 **La rete regionale delle malattie rare**  
 Erica Daina  
 Centro Coordinamento Rete Malattie Rare Lombardia
- 10.40 **L'assistenza farmaceutica nella malattia rara: il ruolo del farmacista nella Regione Lombardia**  
 Marco Gambera  
 Direttore Servizio Farmaceutico Territoriale, ATS Bergamo
- 11.00 Pausa

11.20 **II SESSIONE - MALATTIE RARE  
NEURO-MUSCOLO-SCHELETRICHE**

Moderatore

**Fiorenzo Mignini** (Dipartimento Sanitario - Loreto)

11.30 **Le malattie rare  
neuro-muscolo-scheletriche in Italia**

**Paolo Salerno**

Centro Nazionale Malattie Rare  
Istituto Superiore di Sanità - Roma

11.50 **La sindrome di Moebius  
e le principali sindromi  
da disinnervazione craniale congenita.**

**Bernardo Bianchi**

Azienda Ospedaliera Universitaria di Parma

12.10 **Sindrome di Moebius: Studio di Imaging**

**Silvia Piccinini**

Azienda Ospedaliero-Universitaria di Modena

12.30 **SLA ed altre malattie del motoneurone**

**Christian Lunetta**

Centro Clinico Nemo, Milano

12.50 **Menischi discoidi  
nei pazienti acondroplasici**

**Marco Bigoni**

Dipartimento di Medicina e Chirurgia  
Università di Milano-Bicocca

13.10 Dibattito guidato con gli esperti

13.30 Pausa

14.20 **III SESSIONE - PROSPETTIVE TERAPEUTICHE**

Moderatore

**Antonio Torsello** (Università Milano-Bicocca)

14.30 **La procedura per ottenere  
la designazione di farmaco orfano**

**Domenico Criscuolo**

Società Italiana di Medicina Farmaceutica - Milano

14.50 **Sviluppo di trattamenti epigenetici  
per la distrofia di Duchenne**

**Christian Steinkuhler**

Italfarmaco - Milano

15.10 **La tossina botulinica  
nella terapia delle distonie**

**Anna Castagna**

IRCCS Fondazione Don Gnocchi Santa Maria Nascente,  
Milano

15.30 **Riconoscere le Malattie Rare  
durante la gravidanza**

**Giulia Alabiso**

P.O. Macedonio Melloni, Università degli Studi di Milano

15.50 **La Ricerca Indipendente sui Farmaci**

**Fiorenzo Mignini**

Dipartimento Sanitario - Loreto

16.10 Dibattito guidato con gli esperti

16.30 Pausa

16.50 **TAVOLAROTONDA  
Criticità e bisogni delle persone  
con malattie rare**

Moderatori

**Sara Casati** (Università Milano-Bicocca)

**Antonio Torsello** (Università Milano-Bicocca)

Interventi

**Serena Gasperini** - Centro "Fondazione  
Mariani" per le Malattie Metaboliche Monza

**Annalisa Scopinaro**

UNIAMO - Federazione Italiana Malattie Rare

**Luisa De Stefano**

Head of Patient Advocacy, Roche

**Marco Rasconi** - Fondazione Serena e  
Unione Italiana Lotta alla Distrofia Muscolare

17.50 Dibattito guidato con gli esperti  
e conclusioni del corso

18.15 Verifica ECM

18.45 Questionario di gradimento del Corso

19.00 Conclusione del corso

**Professioni Sanitarie:**

Medico, Farmacista, Odontoiatra, Infermiere,  
Infermiere pediatrico, Psicologo, Biologo, Chimico,  
Ostetrica, Tecnico Radiologia, Tecnico Laboratorio,  
Assistente Sanitario, Dietista, Igienista, Logopedista,  
Ortottista, Tecnico Fisiopatologia, Audiometrista,  
Audioprotesista, TNPEE.

**Responsabile del Corso**

Prof. Antonio Torsello

Dipartimento di Medicina e Chirurgia  
Università degli Studi di Milano-Bicocca  
antonio.torsello@unimib.it

**Comitato Scientifico e Organizzativo**

Prof. Fiorenzo Mignini

Dipartimento Sanitario Delegazione Pontificia Loreto

Dr. Domenico Criscuolo

Società Italiana di Medicina Farmaceutica

Prof. Marco Bigoni

Università degli Studi di Milano-Bicocca

**Segreteria Organizzativa**

LINE CONGRESS S.r.l.

Via Matteotti 68a - 20832 Desio (MB)

Tel. 0362 638740

Email: info@linecongress.com

Per partecipare è necessaria l'iscrizione su:  
[www.malattierare.unimib.it](http://www.malattierare.unimib.it)

L'iscrizione al Convegno è gratuita per studenti,  
dottorandi, specializzandi e assegnisti.  
Per le altre figure professionali è previsto un  
contributo di Euro 49,95.

**La S.V. è invitata a partecipare**