



Convegno

## **Emofilia e Malattie Emorragiche Congenite: trattamenti disponibili e prospettive future**

10 ottobre 2024

organizzato da

ISTITUTO SUPERIORE DI SANITÀ

Centro Nazionale per la Ricerca e la Valutazione preclinica e clinica dei Farmaci  
*Reparto Farmacoepidemiologia e Farmacosorveglianza*

N° ID: 009D24-I

### **Rilevanza**

Le Malattie Emorragiche Congenite, tra le quali rientrano l'Emofilia A e B e la malattia di von Willebrand, pur essendo considerate patologie rare rappresentano un'importante voce di spesa farmaceutica a carico del SSN. Attualmente in Italia sono disponibili diversi fattori della coagulazione ricombinanti e una quota sempre più rilevante di pazienti viene trattato con molecole a più lunga emivita, che hanno vantaggi da un punto di vista clinico e di gestione del paziente, con un costo più elevato rispetto a quelle ad emivita standard e ai plasmaderivati.

Queste innovazioni terapeutiche hanno determinato la necessità di modificare i Percorsi Diagnostico Terapeutici Assistenziali (PDTA), di aggiornare le raccomandazioni cliniche e le linee guida. Negli ultimi anni sono state approvate terapie con agenti bypassanti e geniche, con un potenziale importante impatto sugli outcome clinici, sulla qualità della vita dei pazienti nonché sui costi sanitari.

### **Scopo e obiettivi**

L'evento intende approfondire le conoscenze sull'epidemiologia, sui trattamenti disponibili rimborsati dal Servizio Sanitario Nazionale e sui farmaci attualmente in sperimentazione.

### **Metodo di lavoro**

Relazioni orali e presentazioni.

## **PROGRAMMA**

9.00 Registrazione dei/delle partecipanti

9.20 Indirizzo di benvenuto

**Patrizia Popoli**, Direttrice del Centro Nazionale per la Ricerca e la Valutazione preclinica e clinica dei Farmaci dell'Istituto Superiore di Sanità





- 9.30 Presentazione del Convegno  
**Francesca Menniti Ippolito**
- 9.40 Introduzione ai lavori  
**Roberto Da Cas**
- Moderatrici: **Agnese Cangini, Ilaria Ippoliti**
- 10.00 *Malattie Emorragiche Congenite inquadramento ed opzioni terapeutiche*  
**Giuseppe Marano**
- 10.20 *Inquadramento dei consumi a livello nazionale*  
**Roberto Da Cas**
- 10.40 *Le attività ed il ruolo dell'AICE*  
**Enrico Ferri Grazzi**
- 11.00 *Terapia delle emofilie: i più recenti progressi*  
**Pier Mannuccio Mannucci**
- 11.30 Intervallo (coffee break)
- 12.10 *Il punto di vista dei pazienti*  
**Enrico Ferri Grazzi**
- 12.30 *Gestione clinica del paziente emofilico*  
**Massimo Franchini**
- 12.50 *La governance dei percorsi clinico-assistenziali nell'emofilia*  
**Romano Arcieri**
- 13.10 Conclusioni  
**Giuseppe Marano**
- 13.30 Chiusura dei lavori

## **RELATORI, RELATRICI e MODERATRICI**

**Romano Arcieri** - Centro della Clinical Governance, Istituto Superiore di Sanità, Roma

**Agnese Cangini** - Agenzia Italiana del Farmaco, Roma

**Roberto Da Cas** - Centro Nazionale per la Ricerca e la Valutazione preclinica e clinica dei Farmaci, Istituto Superiore di Sanità

**Massimo Franchini** - Dipartimento di Ematologia e Medicina Trasfusionale, Ospedale Carlo Poma, Mantova

**Enrico Ferri Grazzi** - Federazione delle Associazioni Emofilici, Roma

**Ilaria Ippoliti** - Centro Nazionale per la Ricerca e la Valutazione preclinica e clinica dei Farmaci, Istituto Superiore di Sanità

**Pier Mannuccio Mannucci** - Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico, Milano

**Giuseppe Marano** - Centro Nazionale per la Ricerca e la Valutazione preclinica e clinica dei Farmaci, Istituto Superiore di Sanità





**Francesca Menniti Ippolito** - Centro Nazionale per la Ricerca e la Valutazione preclinica e clinica dei Farmaci, Istituto Superiore di Sanità

**Cristina Santoro** - Azienda Ospedaliera Policlinico Umberto I, Sapienza Università di Roma

### **Responsabili Scientifici**

ROBERTO DA CAS, GIUSEPPE MARANO

Centro Nazionale Ricerca e la Valutazione preclinica e clinica dei Farmaci

Istituto Superiore di Sanità

tel. 06 4990.4254/4251

e-mail: [roberto.dacas@iss.it](mailto:roberto.dacas@iss.it) – [g81.marano@iss.it](mailto:g81.marano@iss.it)

### **Segreteria Scientifica**

ILARIA IPPOLITI

Centro Nazionale Ricerca e la Valutazione preclinica e clinica dei Farmaci

Istituto Superiore di Sanità

tel. 06 4990.4247

e-mail: [ilaria.ippoliti@iss.it](mailto:ilaria.ippoliti@iss.it)

### **Segreteria Organizzativa**

PAOLA RUGGERI, EMANUELA SALVI

Centro Nazionale Ricerca e la Valutazione preclinica e clinica dei Farmaci

Istituto Superiore di Sanità

tel. 06 4990.4250/4241

e-mail: [paola.ruggeri@iss.it](mailto:paola.ruggeri@iss.it) – [emanuela.salvi@iss.it](mailto:emanuela.salvi@iss.it)

### **Moderatrice Tecnica**

EMANUELA SALVI

Centro Nazionale Ricerca e la Valutazione preclinica e clinica dei Farmaci

Istituto Superiore di Sanità

tel. 06 4990.4241

e-mail: [emanuela.salvi@iss.it](mailto:emanuela.salvi@iss.it)

## **INFORMAZIONI GENERALI**

L'evento si terrà presso la sede dell'Istituto Superiore di Sanità e online su Microsoft Teams.

**Sede:** Aula Nitti-Bovet, Istituto Superiore di Sanità

Via del Castro Laurenziano, 10 - Roma

**Online:** Piattaforma Microsoft Teams

### **Destinatari dell'evento e numero massimo di partecipanti**

Il convegno è destinato a medici, infermieri e operatori sanitari appartenenti ad enti ed istituzioni sanitarie e di ricerca pubbliche e private, e a farmacisti ospedalieri e territoriali interessati ad approfondire le tematiche cliniche e di ricerca relative alle malattie emorragiche congenite.

Saranno ammessi:

- un massimo di 70 partecipanti in aula

- fino ad un massimo di 1000 utenti da remoto





### **Modalità di iscrizione e partecipazione**

La partecipazione all'evento è gratuita.

Per iscriversi, compilare ed inviare **entro il 7 ottobre 2024** il modulo disponibile al seguente link:

**[domanda iscrizione convegno EMOFILIA 2024.](#)**

Nella domanda di iscrizione i/le candidati/e dovranno esprimere la loro preferenza alla partecipazione in presenza o da remoto.

I partecipanti che avranno optato per la partecipazione in presenza saranno accettati fino all'esaurimento dei posti disponibili, in base alla priorità di iscrizione.

Saranno ammessi in aula solo coloro che ne riceveranno comunicazione.

L'effettiva presenza all'evento verrà rilevata mediante registrazione dell'ingresso e dell'uscita sull'apposito registro presenze.

I/Le partecipanti che avranno espresso preferenza per seguire l'evento da remoto riceveranno per e-mail il collegamento al meeting e le relative istruzioni.

La rilevazione della presenza dei/delle partecipanti online verrà effettuata mediante la verifica dei log di connessione.

Si raccomanda, pertanto, di specificare nome e cognome per esteso al momento del collegamento alla piattaforma di videoconferenza. La mancanza di questi dati identificativi non consentirà il rilevamento della presenza all'evento e il conseguente rilascio dell'attestato.

Verrà inoltre somministrato un questionario di gradimento, cartaceo per i partecipanti in presenza, online per i collegati da remoto.

### **Crediti ECM**

Non è prevista l'attribuzione di crediti formativi ECM.

### **Attestati**

L'attestato di partecipazione verrà inviato per e-mail nei giorni successivi ai partecipanti che avranno presenziato per almeno il 75% della durata dell'evento e avranno compilato il questionario di gradimento.

**Per ogni informazione si prega di contattare la Segreteria Scientifica/Organizzativa ai recapiti sopra indicati.**