



Determinazione rara

Evento pubblico conclusivo

Roma, 20 giugno 2014

*Auditorium Ministero della Salute
Lungotevere ripa 1,*

ATTIVAMENTE INSIEME NELLA RICERCA E NELLA SPERIMENTAZIONE

UNA GIORNATA SUDDIVISA IN 3 TAPPE

A.

10.00 - 13.00

Laboratorio per una cura e una ricerca avanzate: IL BIOBANKING come contesto esemplare

Le frontiere della ricerca e della cura avanzate, con i nuovi scenari etici-normativi e di validazione scientifica cui ci richiamano, sono frontiere in cui per la loro stessa complessità si ritrovano i malati rari.

La ricerca biomolecolare, le terapie cellulari, l'accesso anticipato a farmaci ancora in sperimentazione evidenziano l'alto impatto sociale e individuale delle scelte implicate e pongono con chiarezza ineludibile la necessità di un coinvolgimento diretto e attivo dei pazienti, e di chi li rappresenta nelle azioni cruciali, quali orientare, valutare, decidere, monitorare, in cui si snodano la ricerca e l'implementazione dei suoi esiti.

Si apre una sfida sulle frontiere della ricerca di cui tutti gli attori in gioco, pazienti, ricercatori, clinici, agenzie regolatorie, sono sempre più consapevoli e che ci interroga sull'opportunità di un nuovo patto di ricerca, di un dialogo anticipato e anticipatore, affinché la ricerca stessa sia etica, sostenibile e centrata sul cittadino.

Alla luce del lavoro condiviso in Determinazione rara, dei laboratori sulla qualità dell'informazione come trampolino per i pazienti e per le associazioni per essere parte attiva e/o soggetti attivatori della ricerca, del nuovo modello di consenso informato elaborato insieme e delle proposte di coinvolgimento delle associazioni nei processi di valutazione, oltre che di monitoraggio, delle richieste di ricerca con i materiali biologici biobancati, si è con le Associazioni individuato il **biobanking quale contesto esemplare** per confrontarsi sul lavoro fatto e da farsi nella prospettiva di questo **nuovo patto per la ricerca che veda i malati rari, e le rispettive associazioni, coinvolti come interlocutori non solo validi ma necessari.**

10.00 -10.15

Apertura della giornata

10.15 - 13.00

Il biobanking come contesto esemplare, frontiera tra ricerca e cura.

Laboratorio e discussione aperta con tutti gli attori in gioco intorno a:

- qualità dell'informazione quale indicatore di partecipazione e di buona pratica di ricerca,
- come fare squadra nel percorso del biobanking, tra pazienti-associazioni, clinici-ricercatori e "biobancari"
- come includere le associazioni negli snodi decisionali,

in vista della modellizzazione di una buona pratica della ricerca innovativa.

La partecipazione alle attività della mattinata è a numero limitato.

Soggetto legittimato ad agire per la tutela giudiziaria delle persone con disabilità, vittime di discriminazioni, in riferimento al Decreto 21 giugno 2007, art. 4, comma 2

Associazione riconosciuta – iscritta al Registro della Prefettura di Roma con il n. 726/2010
Associazione con il riconoscimento di "alta funzione sociale", in riferimento al decreto n. 278/II/2012 del 23/10/2012



B.

13.00 - 13.45

**Determinazione Rara: un modello di *empowerment* innovativo,
un laboratorio di buona pratica per la ricerca**

Conferenza stampa e presentazione degli esiti, anche attraverso le testimonianze di alcune associazioni, che alla luce di Determinazione Rara hanno modificato pratiche o attivato percorsi.

Presentazione e distribuzione della cassetta degli attrezzi.

13.45 - 14.45

Pausa

C.

14.45 - 18.30

Workshop scientifico/tavola rotonda

**Per un nuovo patto di ricerca:
early dialogue con le associazioni**

14.45 - 15.00 Introduzione

15.00 -15.30 **Per un nuovo patto di partecipazione allo sviluppo della ricerca:**

Determinazione Rara un laboratorio di confronto.

Renza Barbon e Sara Casati

15.30 – 16.30 : sessione I

ORIENTARE LA RICERCA

CHI ORIENTA CHI

Case study: i.e. coinvolgimento delle associazioni nella costruzione di un bando di ricerca

Discutono, a partire dal caso:

- Per un nuovo patto per la ricerca: **il punto di vista del Ministero della Salute.**
- Per un nuovo patto di ricerca: **il punto di vista di una Charity per la Ricerca.**
- Per un nuovo patto di ricerca: **il punto di vista dell'industria.**

Dibattano le Associazioni con gli esperti e i rappresentanti delle istituzioni.



16.30 – 17.30: sessione II

VALUTARE LA RICERCA E I SUOI ESITI

Case Study: i.e. coinvolgimento delle associazioni nella designazione farmaco orfano/riciesta di utilizzo dati-materiali biologici per ricerca/negoiazione di un farmaco

Discutono, a partire dal caso:

- Per un nuovo patto di ricerca: il punto di vista di un'agenzia regolatoria
- Per un nuovo patto per la ricerca: il punto di vista di un'infrastruttura per la ricerca.

Dibattano le Associazioni con gli esperti e i rappresentanti delle istituzioni.

17.30 – 18.30: sessione III

MONITORARE LA RICERCA

Case study: coinvolgimento delle associazioni in un advisory board/ uso dei farmaci, incluso il cosiddetto uso off-label

Discutono, a partire dal caso:

- Per un nuovo patto di ricerca: il punto di vista di un'agenzia regolatoria
- Per un nuovo patto per la ricerca: il punto di vista del Centro nazionale per le malattie rare

Dibattano le Associazioni con gli esperti e i rappresentanti delle istituzioni.

18.30 Conclusioni

Partecipano e discutono:

*rappresentante di Farindustria**

Massimo Casciello, Ministero della Salute

Franca Dagna, Chiara Baldo e direttori biobanche TNGB

Bruno Dallapiccola, rappresentante per l'Italia presso EUCERD

Marialuca Lavitrano, Barbara Parodi, BBMRI ERIC-IT

Francesca Pasinelli, Anna Ambrosini, Marco Crimi Fondazione Telethon*

Paolo Daniele Siviero, Daniela Settesoldi, Luisa Muscolo, AIFA

Domenica Taruscio, Centro Nazionale Malattie Rare

Rappresentante Assobiotec

Giovanni Caracci, Agenas

(in attesa di conferma)*

Partecipazione alle attività del pomeriggio aperta al pubblico.



E le Associazioni partner dell'iniziativa Determinazione rara

- 1 *A.C.A.R.onlus Associazione Conto Alla Rovescia*
- 2 *A.I.C.I. Ass.ne It.na Cistite Interstiziale*
- 3 *A.I.M.A.R. - Ass. It. per le Malformazioni Anorettali*
- 4 *A.I.S.M.M.E. - Ass. It. Studio Malattie Metaboliche Ereditarie*
- 5 *A.M.R.I. - Ass. per le Mal. Reumatiche Infantili onlus*
- 6 *A.P.M.M.C. - Ass. Prevenzione Malattie Metaboliche Congenite*
- 7 *A.S.C.E. Associazione Sarda Coagulopatici Emorragici*
- 8 *A.S.T. - Ass. Sclerosi Tuberosa*
- 9 *ABC Associazione Bambini Cri Du Chat*
- 10 *Acondroplasia Insieme per Crescere onlus*
- 11 *AIDEL22 onlus*
- 12 *AIFP Ass.ne It.na Febbri Periodiche*
- 13 *AISAC onlus - Ass.ne per l'informazione e lo studio dell'Acondroplasia*
- 14 *AISPHEM Associazione It.na per la sindrome di Phelan-Mc Dermid*
- 15 *Angeli Noonan Ass.ne It.na Sindrome Noonan onlus*
- 16 *Associazione A.N.D.E. (Displasia Ectodermica) onlus*
- 17 *Associazione It.na Sindrome di Poland*
- 18 *Associazione Smith-Magenis ASM17 Italia onlus*
- 19 *ATDL Talassemici e drepanocitici Lombardi onlus*
- 20 *CIDP Italia onlus - Ass. Italiana dei Pazienti di Polineuropatia Cronica Infiammatoria
Demielinizzante*
- 21 *Costello - Ass. It. Sindromi Costello e Cardiofaciocutanea onlus*
- 22 *F.O.P. - Ass. Italia Fibrodiplosia Ossificante progressiva*
- 23 *I Colori del Vento*
- 24 *I.A.G.S.A. - International Aicardi Goutières Syndrome Association Onlus*
- 25 *ILA Associazione Italiana Angiodiplosie ed Emangiomi Infantili Onlus*
- 26 *LIRH -Lega Italiana Ricerca Huntington e malattie correlate onlus*
- 27 *MITOCON Onlus - Insieme per lo studio e la cura delle malattie mitocondriali*
- 28 *UNITI Unione Italiana Ittiosi*