

- 9.00 Registrazione dei partecipanti
- 9.30 **Saluti inaugurali**
- 9.45 **Introduzione**
Guido Fumagalli, Comitato Scientifico PG&GH

SESSIONE I

Moderatori: Enrico Costa, Domenico Girelli

- 10.00 **Malattie rare e farmaci orfani: un problema di salute globale?**
Giuseppe Remuzzi
- 10.30 **Malattie genetiche rare**
Bruno Dallapiccola
- 11.00 **Malattie onco-ematologiche rare**
Lucio Luzzatto
- 11.30 **Approcci terapeutici nelle malattie neurologiche rare**
Franco Taroni
- 12.00 Coffee break
- 12.15 **LETTURA**
Introduce: Armando Genazzani
- Malattie rare e sanità pubblica**
Nerina Dirindin
- 12.45 Tavola rotonda con tutti i relatori della mattinata
- 13.30 Lunch

SESSIONE II

Moderatori: Marina Bentivoglio, Alberto Turco

- 14.15 **Nuove frontiere terapeutiche nel controllo dell'espressione genica nella Distrofia Muscolare di Duchenne**
Irene Bozzoni
- 14.45 **Il modello Fibrosi Cistica**
Carlo Castellani
- 15.15 **Sindrome di Ondine: meccanismi patogenetici e nuove opportunità terapeutiche**
Diego Fornasari
- 15.45 Discussione
- 16.00 Coffee break

SESSIONE III

Moderatori: Roberto Leone, Giovanna Scroccaro

- 16.15 **Aspetti regolatori ed economici dei farmaci orfani**
Claudio Jommi
- 16.45 **Ricerca e sviluppo di farmaci per malattie rare**
Giuseppe Recchia
- 17.15 **Malattie rare e malattie dimenticate: un approccio di salute globale**
Gavino Maciocco
- 17.45 Discussione
- 18.00 **Conclusioni**
Pier Franco Pignatti, Comitato Scientifico PG&GH
- 18.15 Compilazione modulistica ECM

Marina Bentivoglio
Istologa, Università degli Studi di Verona

Irene Bozzoni
Biologa, Università La Sapienza, Roma

Carlo Castellani
Presidente della Società Italiana Fibrosi Cistica, Centro Fibrosi Cistica, Azienda Ospedaliera Universitaria Integrata - Verona

Enrico Costa
Farmacista Ospedaliero, Azienda Ospedaliera Universitaria Integrata - Verona

Bruno Dallapiccola
Genetista, Direttore Scientifico, Ospedale Pediatrico Bambino Gesù di Roma; Coordinatore di Orphanet Italia

Nerina Dirindin
Economista, Università degli Studi di Torino; Senatrice della Repubblica, Membro della Commissione Igiene Sanità del Senato

Diego Fornasari
Farmacologo, Università degli Studi di Milano

Guido Fumagalli
Farmacologo, Università degli Studi di Verona

Armando Genazzani
Farmacologo, Università degli Studi del Piemonte Orientale, Novara

Domenico Girelli
Internista, Università degli Studi di Verona

Claudio Jommi
Economista, Università degli Studi del Piemonte Orientale, Novara

Roberto Leone
Farmacologo, Università degli Studi di Verona

Lucio Luzzatto
Ematologo, Università degli Studi di Firenze; Direttore Scientifico dell'Istituto Toscano Tumori

Gavino Maciocco
Direttore del Blog Saluteinternazionale.info; Università degli Studi di Firenze

Pier Franco Pignatti
Genetista, Università degli Studi di Verona

Giuseppe Recchia
Direttore medico e scientifico di GSK Italia

Giuseppe Remuzzi
Nefrologo, Azienda Ospedaliera Papa Giovanni XXIII di Bergamo, Centro di ricerche cliniche per le malattie rare "Aldo e Cele Daccò", Istituto di Ricerche Farmacologiche "Mario Negri", Ranica, Bergamo

Giovanna Scroccaro
Responsabile del Servizio Farmaceutico, Regione Veneto

Franco Taroni
Neurologo, Fondazione IRCCS Istituto Neurologico "Carlo Besta", Milano

Alberto Turco
Genetista, Università degli Studi di Verona