



International Meeting

RARE DISEASES AND ORPHAN DRUGS

MALATTIE RARE E FARMACI ORFANI

November 18, 2005
18 Novembre 2005

International Meeting

RARE DISEASES AND ORPHAN DRUGS

MALATTIE RARE E FARMACI ORFANI

November 18, 2005
18 Novembre 2005

organised by/organizzato da
NATIONAL INSTITUTE OF HEALTH
ISTITUTO SUPERIORE DI SANITÀ

November 18/ 18 Novembre

9.15 Welcome address
Saluti di benvenuto
E. Garaci

I Session/I Sessione

RESEARCH AND PUBLIC HEALTH IN RARE DISEASES AND ORPHAN DRUGS
RICERCA E SANITÀ PUBBLICA NELLE MALATTIE RARE E NEI FARMACI ORFANI

Chairperson/Moderatore:
G. D'Agnolo

9.30 Tackling the problem of rare diseases and orphan drugs
Affrontare il problema delle malattie rare e farmaci orfani
D. Taruscio

9.50 Rare diseases and orphan drugs: unmet needs for Patients
Malattie rare e farmaci orfani: bisogni inascoltati per i Pazienti
A. Terkel

10.15 Essential drugs and fundamental rights
Farmaci essenziali e diritti fondamentali
L. Ferrajoli

10.40 The experience of the Office for Rare Diseases - NIH
L'esperienza dell'Office for Rare Diseases - NIH
S. Groft

11.05 Break/Intervallo

11.30 The experience of the orphan drug USA Regulation
L'esperienza del regolamento USA sui farmaci orfani
S. Linde-Feucht

11.55 Orphan Drugs: after 5 years of activity of the COMP-EMA
Farmaci Orfani: dopo 5 anni di attività del COMP-EMA
J. Torrent Farnell

12.20 Independent research on orphan drugs: initiatives of the Italian Drug Agency
Ricerca indipendente sui Farmaci Orfani: iniziative dell'Agenzia Italiana del Farmaco
A. Addis

12.45 Discussion/Discussione

13.30 Break/Intervallo

II session/II sessione

MEETING BETWEEN INSTITUTIONS AND PATIENTS' ASSOCIATIONS
INCONTRO FRA LE ISTITUZIONI E LE ASSOCIAZIONI DEI PAZIENTI
Chairpersons/Moderatori:
G. Tarsitani, D. Taruscio

14.30 ROUND TABLE / TAVOLA ROTONDA
Italian Network for Rare Diseases: where are we?
Rete Nazionale Malattie Rare: dove siamo?
Participants / Partecipanti
Representatives of Ministry of Health, Regions (Calabria, Piemonte, Toscana), Istituto Superiore di Sanità, Patients' Associations
Esponenti del Ministero della Salute, delle Regioni (Calabria, Piemonte, Toscana), dell'Istituto Superiore di Sanità e delle Associazioni dei Pazienti

16.00 Break/Intervallo

16.30 Discussion and proposals for future actions
Discussione e proposte per azioni future

18.00 Conclusioni/Conclusioni

SPEAKERS AND CHAIRSPERSONS **MODERATORI E RELATORI**

Antonio Addis
Italian Drug Agency, Rome

Brancati Giacomino
Regione Calabria

Giuliano D'Agnolo
Department of Cellular Biology and Neuroscience, National Institute of Health, Rome

Luigi Ferrajoli
Istituto di Filosofia del Diritto, Università RomaTre, Rome

Enrico Garaci
President of the National Institute of Health, Rome

Nadia Garuglieri
Regione Toscana

Steven Groft
Director of the Office for Rare Diseases, National Institute of Health, Bethesda, Maryland, USA

Sarah Linde-Feucht
Food and Drug Administration, Office of Orphan Products Development, Rockville, Maryland, USA

Maria Maspoli
Regione Piemonte

Filippo Palumbo, Silvia Arcà
Italian Ministry of Health, Rome

Gianfranco Tarsitani
Department of Sciences of Public Health, University "La Sapienza", Rome

Domenica Taruscio
National Centre Rare Diseases, National Institute of Health, Rome; Italian Member at the COMP-EMA

Andersen Terkel
President of the European Organization for Rare Diseases (EURORDIS)

Joseph Torrent Farnell
Chairperson of the COMP-EMA

GENERAL INFORMATION **INFORMAZIONI GENERALI**

Scope

The scope of the Meeting is to give an overview and to illustrate specific aspects of rare diseases and orphan drugs.

In particular, topics concerning experiences on rare diseases and orphan drug regulations both at USA and European level will be presented.

Moreover, recent initiatives of the Italian Drug Agency will be illustrated. Specific attention will be given to Italian institutional activities undertaken to implement the National Network for Rare Diseases, therefore participants from the Ministry of Health, Regions, Istituto Superiore di Sanità and Patients' Associations will be actively involved in the Round Table .

The scope of the Meeting is to tackle the problem of rare diseases and orphan drugs from health, sociological aspects to economics.

Therefore, the meeting is addressed to policy makers, administrators, health operators, and in particular to people affected by rare diseases and their families.

Obiettivi

Il Meeting si pone gli obiettivi di fornire un quadro generale ed aspetti specifici propri delle malattie rare e dei farmaci orfani.

In particolare, verranno illustrate esperienze maturate nei settori delle malattie rare e farmaci orfani in USA ed in Europa. Inoltre, saranno illustrate le recenti iniziative intraprese dall'Agenzia Italiana del Farmaco; particolare attenzione sarà riservata alle attività della Rete Nazionale Malattie Rare. A tale scopo parteciperanno al dibattito nella Tavola Rotonda rappresentanti del Ministero della Salute, delle Regioni, dell'Istituto Superiore di Sanità e le Associazioni dei pazienti.

Il Meeting si pone l'obiettivo di affrontare temi riguardanti le malattie rare ed i farmaci orfani in un ambito che include aspetti sanitari, sociologici e socioeconomici.

Per queste sue caratteristiche, il Meeting è indirizzato ad amministratori, operatori sanitari, ma soprattutto ai cittadini con malattia rara, alle loro famiglie ed alle Associazioni di pazienti.

GENERAL INFORMATION
INFORMAZIONI GENERALI

Venue/ Sede

Auditorium Pochiari, National Institute of Health

Aula Pochiari, Istituto Superiore di Sanità

Viale Regina Elena, 299 – Roma

Registration/ Iscrizione

Participation is free of charge. Please notify your attendance by fax or e-mail to Technical Secretariat.

La partecipazione al Convegno è gratuita. Per motivi organizzativi si prega di comunicare la propria adesione, via fax o e-mail, alla Segreteria Tecnica.

Attendance certificate

Attestato di partecipazione

At the end of Meeting an attendance certificate will be issued upon request.

Al termine del Convegno sarà rilasciato un attestato di partecipazione a chi ne farà richiesta.

Simultaneous translation

Traduzione Simultanea

Simultaneous translation facilities available.

E' previsto un servizio di traduzione simultanea dall'italiano all'inglese e viceversa.

CME/ECM

No CMES credit will be given to participants

Non è previsto il rilascio di crediti ECM

For further information please contact to

Technical Secretariat

Per ulteriori informazioni si prega di contattare la Segreteria Tecnica

Scientific Director/Responsabile Scientifico

D. TARUSCIO
Dipartimento di Biologia Cellulare e
Neuroscienze
Centro Nazionale Malattie Rare
Istituto Superiore di Sanità
Viale Regina Elena, 299 - 00161 Roma
Tel. +39 06 49904016
Fax +39 06 49904370
E-mail: taruscio@iss.it

Technical Secretariat/Segreteria Tecnica

D. IZZO, G. VINCENTI
Dipartimento di Biologia Cellulare e
Neuroscienze
Centro Nazionale Malattie Rare
Istituto Superiore di Sanità
Viale Regina Elena, 299 - 00161 Roma
Tel. +39 06 49904017
Fax +39 06 49904370
E-mail: malattierare@iss.it

Organising Secretariat/Segreteria Organizzativa

UFFICIO RELAZIONI ESTERNE
P. Tacchi Venturi, P. Gozzi
Via Giano della Bella, 34 – 00162 Roma
Tel. +39 06 49904121
Tel. +39 06 49904124
E-mail: ure@iss.it
Sito web: www.iss.it