



“Farmaci orfani e accessibilità al trattamento delle malattie rare”

Programma educativo-informativo rivolto alle Associazioni di pazienti con malattie rare e loro familiari sull'uso dei farmaci orfani

organizzato da

Centro Nazionale Malattie Rare (CNMR)
in collaborazione con l'Ufficio Relazioni Esterne (URE)
ISTITUTO SUPERIORE DI SANITÀ (ISS)

1° Corso – Area territoriale: Centro Italia
Sede: Istituto Superiore di Sanità – Roma
Date: 28-30/01/2010 e 23/04/2010

2° Corso – Area territoriale: Nord-Est Italia
Sede: Azienda Ospedaliera Santa Maria degli Angeli – Pordenone
Date: 04-06/03/2010 e 14/05/2010

3° Corso – Area territoriale: Nord-Ovest Italia
Sede: Dipartimento di Sanità Pubblica e Microbiologia dell'Università di Torino –
Torino
Date: 15-17/04/2010 e 25/06/2010

4° Corso – Area territoriale: Sud Italia
Sede: Centro per la formazione permanente e l'Aggiornamento del Personale di Servizio Sanitario (CEFPAS) – Caltanissetta
Date: 20-22/05/2010 e 24/09/2010

Origine del corso

In Italia, iniziative o corsi di formazione rivolti a pazienti, e specificamente a pazienti con malattia rara, sono limitate. Organizzare un corso di formazione sui farmaci orfani sulle problematiche relative all'accessibilità al trattamento nelle malattie rare consente, quindi, di colmare un ritardo dell'Italia nei confronti di altri Paesi.

La scelta di un corso di formazione per formatori garantisce, grazie all'effetto moltiplicativo sul territorio, un innalzamento del livello di conoscenze a disposizione dei soggetti interessati. Risulta in questo modo stimolato e agevolato il processo di condivisione/partecipazione delle Associazioni e dei pazienti nei processi decisionali di sanità pubblica, inerenti la definizione di obiettivi e priorità della ricerca e dell'assistenza nelle malattie rare con una ricaduta sul nostro sistema sanitario indubbiamente positiva.

I pazienti, infatti, quando adeguatamente formati, diventano interlocutori consapevoli e capaci di svolgere un ruolo attivo nelle politiche che li riguardano. Valorizzare l'esperienza di vita di Associazioni e pazienti, tramite interventi formativi mirati,



consente di creare una sinergia strumentale sia al supporto dei policy maker nelle scelte di sanità pubblica, sia alla diffusione delle informazioni sul territorio.

Ulteriori punti di forza di questo percorso formativo sono: il rafforzamento delle competenze di formazione/informazione delle Associazioni applicabili alle tematiche rilevanti delle malattie rare e il rafforzamento di sinergie/reti/collaborazioni a livello interregionale e tra le Associazioni e il CNMR.

Scopo

Lo scopo generale del corso è, attraverso la formazione di formatori, di incrementare le conoscenze dei pazienti, delle Associazioni dei pazienti con malattie rare e dei loro familiari sui farmaci orfani: dalle fasi dello sviluppo a quelle della commercializzazione. Verrà inoltre promossa la creazione di reti di interazione tra le Associazioni e tra Associazioni e strutture del SSN, rafforzando così l'interazione con il CNMR.

Obiettivi formativi generali

1. incrementare le conoscenze dei pazienti/Associazioni di pazienti con malattia rara sui farmaci orfani, dalle fasi dello sviluppo alla commercializzazione, e sulle problematiche relative all'accessibilità al trattamento nelle malattie rare, al fine di promuovere la partecipazione attiva e consapevole ai processi scientifici e regolatori relativi alle malattie rare;
2. sviluppare competenze formative delle Associazioni, per metterle in grado di organizzare percorsi formativi e attivare strategie di informazione, appropriati per i loro soci.

Obiettivi specifici

Al termine del corso i partecipanti saranno in grado di:

- a) descrivere il processo e le principali fasi di sviluppo di Linee Guida per specifiche patologie;
- b) descrivere il ruolo delle Associazioni nello sviluppo delle linee guida;
- c) descrivere i principali strumenti utilizzati per lo sviluppo delle linee guida;
- d) elencare le principali fonti di ricerca delle linee guida esistenti;
- e) descrivere il processo di sviluppo di nuovi farmaci (dalla fase pre-clinica alla messa in commercio);
- f) descrivere le caratteristiche di un *clinical trial*;
- g) identificare le fonti di informazione su sperimentazioni in atto per le malattie rare;
- h) descrivere le procedure per l'accessibilità e la rimborsabilità dei farmaci orfani;
- i) descrivere i principali problemi etici nello sviluppo di farmaci orfani;
- j) descrivere le principali fonti di informazione sui farmaci orfani;
- k) descrivere le strategie di informazione sui farmaci orfani;
- l) descrivere le caratteristiche di qualità di un percorso formativo;
- m) descrivere i principali metodi didattici per la formazione dell'adulto.

Sessioni formative e metodi didattici:

I sessione residenziale: Problem Based Learning (PBL): analisi del problema in piccoli gruppi (max 8 partecipanti e un facilitatore per ogni gruppo), lezioni ed esercitazioni con docenti, soluzione del problema in piccoli gruppi e feed-back del docente e tra pari.

Sessione di lavoro sul campo (Project Work): produzione di un percorso formativo ad uso delle Associazioni con assistenza remota del tutor e consultazione di materiali didattici e documenti dedicati sul sito del CNMR.

II sessione residenziale: Confronto delle esperienze attuate sul campo (PW) e feed-back formativo dell'esperto e tra pari.

I Sessione Residenziale

Giovedì

10.30 Registrazione dei partecipanti

10.45 Introduzione al corso e al metodo di lavoro

11.00 Analisi del problema
Lavoro in piccoli gruppi con facilitatore

13.00 Intervallo

14.00 Sviluppo e analisi delle linee guida per specifiche patologie

15.00 La ricerca per lo sviluppo di nuovi farmaci: pre-clinica in laboratorio, sperimentazione clinica e post marketing

17.00 Chiusura della giornata

Venerdì

09.00 Ricerca Clinica e usi speciali dei farmaci

10.00 Database registri e coorti di pazienti

11.00 Aspetti etici nella ricerca scientifica

12.00 Modalità di accesso alle informazioni e strumenti di ricerca in rete

- 13.00 Intervallo
- 14.00 Soluzione del problema
Lavoro in piccoli gruppi con facilitatore
- 16.00 Presentazione degli elaborati di gruppo e feed-back del docente
- 17.00 Chiusura della giornata

Sabato

- 09.00 Elementi di base per sviluppo di un percorso formativo
- 10.00 Esercitazione pratica
- 12.00 Formazione dei gruppi e presentazione del lavoro sul campo (modalità e prodotto atteso, supporto tutoriale)
- 13.00 Chiusura della I sessione residenziale

Sessione di lavoro sul campo (Project Work)

I partecipanti suddivisi in gruppi disegneranno un percorso di formazione per i membri delle Associazioni sul tema dei Farmaci Orfani per promuoverne le capacità di ricerca di informazione, consultazione degli esperti e supporto ai propri membri. I gruppi saranno formati per aree geografiche omogenee per rafforzare le sinergie locali. Ogni gruppo sarà seguito da un Tutor del CNMR/ISS.

II sessione residenziale

Venerdì

- 09.00 Presentazione dei Project Work
Feed-back dei partecipanti e dei docenti
- 12.00 Sviluppo di un percorso formativo di qualità
- 13.00 Intervallo
- 14.00 Strategie di collaborazione tra Associazioni e tra CNMR e associazione
Per la formazione continua in tema di Farmaci orfani



16.00 Valutazione del corso

17.00 Chiusura del corso

DIRETTORI DEL CORSO

D. Taruscio, domenica.taruscio@iss.it, tel. 06 49904017
Centro Nazionale Malattie Rare, Istituto Superiore di Sanità, Roma

D. Pierannunzio, daniela.pierannunzio@iss.it
Centro Nazionale di Epidemiologia, Sorveglianza e Promozione della Salute,
Istituto Superiore di Sanità, Roma

COORDINATORE DIDATTICO

G. De Virgilio
Ufficio Relazioni Esterne, Istituto Superiore di Sanità, Roma

SEGRETERIA TECNICO-SCIENTIFICA

M. De Santis, martadesantis@libero.it, tel. 06 49904410
L. De Vita, tel. 06 49904366
T. Lopez, tania.lopez1@gmail.com, tel. 06 49904371
I. Luzi, ilaria.luzi@iss.it, tel. 06 49904410
A. Pinter, alessandro.pinter@iss.it, tel. 06 49904366
Per informazioni, siapmr@iss.it
Centro Nazionale Malattie Rare, Istituto Superiore di Sanità
Viale Regina Elena, 299 - 00161 Roma
Fax: 06 49904370
Website: www.iss.it/cnmr

Destinatari

Membri delle Associazioni di pazienti con malattie rare e loro familiari con incarico di formazione all'interno dell'Associazione di appartenenza.

Modalità di partecipazione

I partecipanti sono individuati dalle Associazioni.

Viaggio e soggiorno

Il corso (finanziato dall'Agenzia Italiana del Farmaco) prevede per i partecipanti un rimborso delle spese di viaggio e soggiorno fino a un massimo di 250,00 euro per ciascuna delle due sessioni residenziali.

Attestato di frequenza

Ai partecipanti che avranno frequentato regolarmente il corso verrà rilasciato un attestato di frequenza dal CNMR.



I nominativi dei partecipanti dovranno essere trasmessi entro il 30 aprile 2010 compilando il Modulo di partecipazione allegato via fax 06 49904411 o via mail all'indirizzo siapmr@iss.it.

Per qualsiasi necessità di chiarimento è possibile contattare il numero 06 49904410 oppure siapmr@iss.it