



INTERNATIONAL MEETING

MEETING INTERNAZIONALE

RARE DISEASES AND ORPHAN DRUGS

MALATTIE E RARE FARMACI ORFANI

**18 – 19 September / Settembre
2006**

**Organized in the framework of the
NEPHIRD Project and by the ISTITUTO
SUPERIORE DI SANITA'**

**Aula Pocchiari
Viale Regina Elena, 299
Roma**

18 September / 18 Settembre 2006

08.30 Registration

09.30 **Enrico Garaci**, Welcome address / *Saluto di benvenuto*
President / *Presidente Istituto Superiore di Sanità*

Livia Turco, Italian Minister of Health / *Ministro della Salute*

I Session / I Sessione
**THE ITALIAN HEALTH SYSTEM AND RARE DISEASES / IL SISTEMA
SANITARIO NAZIONALE ITALIANO E LE MALATTIE RARE**

Chairperson / Moderatore: **E. Garaci**

10.00 I Part / I Parte

Introd. alla Tavola Rotonda: Il diritto costituzionale alla tutela della salute

O. Fumagalli Carulli

Participants:

**Representatives of the Health Ministry, Italian Medicinal Agency,
Regions, Interregional Co-ordination, Istituto Superiore di
Sanità, Patients' Associations**

Parteciperanno:

**Rappresentanti del Ministero della Salute, Agenzia Italiana del
Farmaco, Regioni, Coordinamento Interregionale, Istituto
Superiore di Sanità, Associazioni dei Pazienti**

11.00 Coffee Break

11.15 II Part / II Parte

12.15 Discussion / *Discussione*

13.00 Lunch / *Pausa pranzo*

II Session / II Sessione
Research and public health in rare diseases: bridges and gaps
Ricerca e sanità pubblica nelle malattie rare

Chairpersons / Moderatori: **G. D'Agnolo, D. Taruscio**

14.00 Tackling rare diseases as a global public health problem

*Affrontare le malattie rare come un problema globale della sanità
pubblica*

S. Groft

14.30 European Rare Diseases Task Force

La Task Force Europea sulle Malattie Rare

S. Aymé

15.00 Perspectives on research and rare diseases in the EU: the 7th FP

Prospettive sulla ricerca e sulle malattie rare nell'UE: il 7^o PF(Tbc)

15.30 Public health initiatives at EU level

Iniziative di sanità pubblica a livello UE (Tbc)

16.00 Coffe Break / *Intervallo*

16.15 Era-Net for research programmes on rare diseases (E-RARE)

Era-Net per la ricerca di programme sulle malattie rare (E-RARE)
P. Borensztein

**Tackling rare diseases and orphan drugs at national level in different
Countries**

Affrontare le malattie rare a livello nazionale in diversi Paesi

16.45 Initiatives on rare diseases and orphan drugs in different
Countries

Iniziative sulle malattie rare e farmaci orfani in diversi Paesi
Interventi preordinati

18.00 Conclusions / *Conclusioni*

19 September / Settembre 19, 2006

III Session / III sessione

ORPHAN DRUGS: Research and Public Health

FARMACI ORFANI: Ricerca e Sanità Pubblica

Chairpersons / Moderatori

S. Garattini, S. Vella

09.30 The USA experience on orphan drug research programmes
L'esperienza USA nei programmi di ricerca sui farmaci orfani
M. Haffner

09.50 What message to research ? Lessons learnt from COMP-EMEA
activities
*Quale messaggio alla ricerca? Lezioni apprese dalle attività
COMP-EMEA*
K. Westermark

10.10 National call on orphan drug research by the Italian Medicinal
Agency
*Bando nazionale dell'Agenzia Italiana del Farmaco per la ricerca
sui farmaci orfani*
N. Martini

10.30 Coffe break / *Intervallo*

10.50 Task Force in Europe for drug development for the Young
(Teddy NoE)
A. Ceci

11.10 The European Rare Disease Therapeutic Initiative (ERDITI)
L'iniziativa europea per la terapia sulle malattie rare
C. Roussel, P. Borensztein

11.30 Chemogenomic for orphan drugs
La chemogenomica per i farmaci orfani
L.M. Mayr (Tbc)

11.50 Cerebrotendinous xanthomatosis as a model of rare treatable
neurological disease: from bench to bed and care
Xantomatosi cerebrotendinea come modello di malattia rara trattabile
A. Federico

12.10 *From research on molecules to availability of drugs: the patient's
perspective*
*Dalla ricerca sulle molecole alla disponibilità di farmaci: la
prospettiva dei pazienti*
F. Bignami

12.30 Disabilities and familie's role
Disabilità e ruolo della famiglia
A. Comito

12.50 Discussion / *Discussione*

13.30 Lunch / *Pausa pranzo*

IV Session / IV Sessione

**14.30 A new deal of health: the Participation of Patient's
Associations**
**Un new deal della Salute: la Partecipazione delle
Associazioni dei Pazienti e familiari**

Chairpersons / Moderatori

A. Comito, D. Taruscio

Interventi preordinati

17.00 Conclusions / *Conclusioni*

SPEAKERS AND CHAIRPERSONS RELATORI E MODERATORI	SPEAKERS AND CHAIRPERSONS RELATORI E MODERATORI	GENERAL INFORMATION / INFORMAZIONI GENERALI
Ségolène Aymè Orphanet, Paris - France Fabrizia Bignami Therapeutic Developmente Officier, EURORDIS - France Pascale Borenzstein GIS, Institute des Maladies Rare, Paris - France Adriana Ceci TEDDY Network Coordinator, Consorzio per Valutazioni Biologiche e Farmacologiche, Pavia - Italy Anna Maria Comito Dipartimento per le Politiche Comunitarie, Presidenza del Consiglio, Roma - Italy Antonio Federico Centro di Ricerche per la diagnosi, terapia e prevenzione del Neurohandicap e delle malattie neurologiche rare, Policlinico Universitario, Siena - Italy Ombretta Fumagalli Carulli Presidente dell'Associazione "G. Dossetti: i Valori" Tutela e Sviluppo dei Diritti, Roma - Italy Enrico Garaci Presidente dell'Istituto Superiore di Sanità, Roma - Italy Silvio Garattini Istituto di Ricerche Farmacologiche "Mario Negri", Milano - Italy" Stephen Groft Director of the Office for Rare Diseases, National Institute of Health, Bethesda, Maryland – United States of America Marlene Haffner Director, Office of Orphan Products Development, FDA - USA Nello Martini Agenzia Italiana del Farmaco, Roma - Italy Claire Roussel GIS, Institute des Maladies Rare, Paris - France	Janos Sandor Faculty of Health Sciences, Department of Public Health, Institute of Applied Health Sciences - Hungary Domenica Taruscio Centro Nazionale Malattie Rare, Istituto Superiore di Sanità, Roma , Membro Italiano al COMP-EMA - Italy Livia Turco Ministro della Salute, Roma - Italy Stefano Vella Dipartimento del Farmaco, Istituto Superiore di Sanità, Roma - Italy Kerstin Westermark Läkemedelsverket, COMP-EMA Member - Sweden	Scientific Director/ Responsabile Scientifico D. TARUSCIO Scientific Committee/ Segreteria Scientifica D. TARUSCIO Istituto Superiore di Sanità Viale Regina Elena, 299 – 00161 Roma Tel. +39 06 4990 4016 – Fax +39 06 49904370 E-mail: domenica.taruscio@iss.it Technical Secretariat/ Segreteria Tecnica D. IZZO, F. SALVO, G. VINCENTI Istituto Superiore di Sanità Viale Regina Elena, 299 – 00161 Roma Tel. +39 06 4990 4017 - 4018 – Fax +39 06 49904370 E-mail: nephird@iss.it