



Lo scorso 7 giugno si è svolto il convegno finale del progetto "Valutazione comparativa di efficacia e sicurezza dei farmaci utilizzati nelle patologie rare neuromuscolari e neurodegenerative" (CAESAR).

Il progetto, realizzato con i fondi del Bando di Farmacovigilanza multiregionale AIFA 2012-2013-2014, è stato proposto dalla Regione Lazio e coordinato dal Dipartimento di Epidemiologia ASL Roma 1 del SSR Lazio. Oltre ai colleghi del Centro nazionale per la prevenzione delle malattie e la promozione della salute dell'ISS hanno aderito due regioni: il centro regionale di FV della Toscana con l'università di Firenze, l'Università di Pisa e ARS Toscana, e l'Umbria con il centro regionale di FV e le colleghe della Neurofisiopatologia dell'AO di Perugia. In occasione del convegno finale sono stati presentati i principali risultati del progetto, che sono poi stati discussi tra diversi stakeholder.

I principali messaggi emersi dalla giornata sono:

- Gli studi epidemiologici offrono informazioni utili per identificare le popolazioni affette da patologie rare, stimare i fabbisogni assistenziali, identificare popolazioni target per nuove terapie, ed informare le politiche sanitarie, per esempio relativamente ai PDTA.

- Lo studio CAESAR ha evidenziato una eterogeneità nei trattamenti farmacologici tra le regioni partecipanti. In particolare, nella regione Lazio il riluzolo viene prescritto meno ai pazienti con SLA rispetto alla Toscana e all'Umbria.

- Per quanto riguarda la Miastenia Gravis, in tutte e tre le regioni si osserva un numero importante di prescrizioni di farmaci controindicati in pazienti con MG e uso di piridostigmina in presenza di specifiche controindicazioni in termini di comorbidità.
- I risultati del progetto CAESAR possono essere utili per migliorare l'appropriatezza prescrittiva attraverso attività di audit clinico.
- La disponibilità dei dati amministrativi sanitari regionali offre delle potenzialità soprattutto se usati in collegamento tra regioni ed integrati con dati clinici (es. registri di patologia).
- I progetti di FV possono portare alla creazione di reti tematiche multiregionali e multidisciplinari, che offrono una base per rispondere a quesiti scientifici e regolatori.
- Il tema delle malattie neuromuscolari e neurodegenerative rare necessita di ulteriori approfondimenti.
- Serve un coordinamento dell'assistenza tra centri specialistici, ASL e servizi sociosanitari per dare risposte coordinate a pazienti e caregiver.
- Per l'assistenza a pazienti con malattie rare sono funzionali reti di tipo "Hub&Spoke" per agevolare i PDTA e un collegamento tra regioni per offrire uniformità del trattamento a livello nazionale.
- Serve una maggiore conoscenza sulle patologie rare a livello territoriale per garantire appropriatezza delle terapie sostenibili del sistema sanitario nazionale.
- Il management delle terapie farmacologiche può servire come traino per tutti gli aspetti che riguardano la presa in carico dei pazienti.

Questo il programma della giornata con i link alle presentazioni

09:00 **Saluti ed introduzione della giornata**
 Marina Davoli
 09:30 **Kirchmayer - Il Progetto CAESAR**
[Il progetto CAESAR](images/stories/files/CAESAR/postconvegnocaesar/Kirchmayer%20-%20Il%20Progetto%20CAESAR.pdf)
 Ursula Kirchmayer

SESSIONE: LA SCLEROSI AMIOTROFICA LATERALE
MODERATORI: ALFREDO VANNACCI, TERESANNA CANTISANI
10:00♦ La SLA, una malattia incurabile?
Adriano Chi♦
10:30♦ La gestione del paziente
Paola Brunori
10:45♦ Occorrenza della SLA - i risultati dello studio CAESAR
Anna Maria Bargagli</p><p>11:00
Pausa caff♦</p><p>11:30♦ L'uso dei farmaci indicati nella terapia
Olga Paoletti
11:45♦ Aderenza alla terapia con riluzolo
Sabrina Giometto
12:00♦ Uso del riluzolo fuori indicazione terapeutica
Giada Crescioli
12:15♦Efficacia e sicurezza del riluzolo
Silvia Cascini
12:30♦ Q&A</p><p>13:00
Pausa pranzo</p><p>Il SESSIONE: LA MIASTENIA GRAVIS
MODERATORI: ILARIA BACIGALUPO, MARCO TUCCORI
14:00♦ La patologia e le terapie disponibili
Maria Grazia Celani
La patologia e le terapie disponibili</p></div>

10pt;">14:15◆ <a title="Sciancalepore - Epidemiologia della patologia"
href="images/stories/files/CAESAR/postconvegnocaesar/Sciancalepore%20-%20Epidemiologia
%20della%20patologia.pdf" target="_blank"><span style="color: #1f3864; font-size:
10pt;">Epidemiologia della patologia
Francesco
Sciancalepore
14:30◆ <a title="Finocchietti -
L'uso dei farmaci indicati"
href="images/stories/files/CAESAR/postconvegnocaesar/Finocchietti%20-%20L'uso%20dei%20
farmaci%20indicati.pdf" target="_blank"><span
style="color: #1f3864;">L'uso dei farmaci indicati
<span
style="font-size: 10pt;">Marco Finocchietti
<span style="font-size:
10pt;">14:45◆ <a title="Lombardi - Uso dei farmaci in presenza di controindicazioni"
href="images/stories/files/CAESAR/postconvegnocaesar/Lombardi%20-%20Uso%20dei%20far
maci%20in%20presenza%20di%20controindicazioni.pdf" target="_blank"><span style="color:
#1f3864; font-size: 10pt;">L'uso dei farmaci in presenza di
controindicazioni
Niccol◆Lombardi
<span
style="font-size: 10pt;">15:00◆ <a title="Cascini - Efficacia e sicurezza della
piridostigmina"
href="images/stories/files/CAESAR/postconvegnocaesar/Cascini%20-%20Efficacia%20e%20si
curezza%20della%20piridostigmina.pdf" target="_blank"><span style="font-size:
10pt;">Efficacia e sicurezza della
piridostigmina
Silvia Cascini
<span
style="font-size: 10pt;">15:15◆ <span
style="color: #1f3864;">Q&A</p> <p><span style="font-size:
12pt;">III SESSIONE: TAVOLA ROTONDA "I
RISULTATI DELLO STUDIO E IL LORO POSSIBILE IMPATTO"<br
</>MODERATORI: ANTONIO ADDIS, NICOLA VANACORE
<span
style="font-size: 10pt;">15:45 Partecipano: Maurizio Inghilleri, Marina Davoli, Lorella
Lombardozi, Giampaolo Bucaneve, Lorian Tartaglia, Edmondo Lucantonio<br
</>17:00◆ <span style="font-size:
10pt;">Conclusioni e chiusura del convegno
Antonio
Addis, Ursula Kirchmayer</p>