



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 [Chio - La SLA una malattia incurabile](images/stories/files/CAESAR/postconvegnocaesar/Chio%20-%20La%20SLA%20una%20malattia%20incurabile.pdf)

La SLA, una malattia incurabile?

Adriano Chi

10:30 [Cantisani - La Sclerosi Laterale Amiotrofica](images/stories/files/CAESAR/postconvegnocaesar/Cantisani%20-%20La%20Sclerosi%20Laterale%20Amiotrofica.pdf)

La gestione del paziente

Paola Brunori

10:45 [Bargagli - Occorrenza della SLA](images/stories/files/CAESAR/postconvegnocaesar/Bargagli%20-%20Occorrenza%20dell%20SLA.pdf)

Occorrenza della SLA - i risultati dello studio CAESAR

Anna Maria Bargagli

11:00 Pausa caffè

11:30 [L'uso dei farmaci indicati nella terapia](images/stories/files/CAESAR/postconvegnocaesar/Paoletti%20-%20L%20uso%20dei%20farmaci%20indicati%20nella%20terapia.pdf)

L'uso dei farmaci indicati nella terapia

Olga Paoletti

11:45 [Aderenza alla terapia con riluzolo](images/stories/files/CAESAR/postconvegnocaesar/Giometto%20-%20Aderenza%20alla%20terapia%20con%20riluzolo.pdf)

Aderenza alla terapia con riluzolo

Sabrina Giometto

12:00 [Crescioli - Uso del riluzolo fuori indicazione terapeutica](images/stories/files/CAESAR/postconvegnocaesar/Crescioli%20-%20Uso%20del%20riluzolo%20fuori%20indicazione%20terapeutica.pdf)

Uso del riluzolo fuori indicazione terapeutica

Giada Crescioli

12:15 [Cascini - Efficacia e sicurezza del riluzolo](images/stories/files/CAESAR/postconvegnocaesar/Cascini%20-%20Efficacia%20e%20sicurezza%20del%20riluzolo.pdf)

Efficacia e sicurezza del riluzolo

Silvia Cascini

12:30 [Q&A](images/stories/files/CAESAR/postconvegnocaesar/Celani%20-%20La%20patologia%20e%20le%20terapie%20disponibili.pdf)

Q&A

13:00 Pausa pranzo

Il SESSIONE: LA MIASTENIA GRAVIS

MODERATORI: ILARIA BACIGALUPO, MARCO TUCCORI

14:00 [Celani - La patologia e le terapie disponibili](images/stories/files/CAESAR/postconvegnocaesar/Celani%20-%20La%20patologia%20e%20le%20terapie%20disponibili.pdf)

La patologia e le terapie disponibili

Maria Grazia Celani

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
Lombardozzi, Giampaolo Bucaneve, Lorian Tartaglia, Edmondo Lucantonio<br
</>17:00◆ <span style="font-size:
10pt;">Conclusioni e chiusura del convegno
Antonio
Addis, Ursula Kirchmayer</p>