
Malattie rare: IISMAS, la situazione del Lazio in un convegno il 14 marzo a Roma

“Malattie rare nella Regione Lazio - Dal nuovo piano nazionale delle malattie rare all'innovazione terapeutica”. È il titolo del convegno promosso da IISMAS (Istituto internazionale scienze mediche, antropologiche e sociali) e organizzato da DreamCom, con il patrocinio della Regione Lazio, in programma il 14 marzo (ore 11-13) presso la sede della Regione Lazio (Via Cristoforo Colombo 212). Obiettivi, riunire esperti del settore, clinici, rappresentanti istituzionali e delle associazioni dei pazienti, per discutere le ultime innovazioni scientifiche, i nuovi protocolli terapeutici e le strategie emergenti nel trattamento delle malattie rare. Molte malattie rare sono genetiche, rendendo la diagnosi spesso un intricato labirinto di test genetici e consultazioni specialistiche. La mancanza di conoscenze consolidate può ritardare la diagnosi, influenzando negativamente il percorso terapeutico. La ricerca scientifica svolge un ruolo centrale: la terapia genica e la medicina di precisione stanno aprendo nuove prospettive. Tuttavia, l'accesso a tali terapie rimane spesso limitato. Inoltre, l'intelligenza artificiale può rappresentare un ulteriore sviluppo per la diagnosi precoce e la ricerca di farmaci specifici. Molte di queste patologie colpiscono i bambini, creando sfide uniche per le famiglie e per il sistema sanitario. La promozione di una maggiore collaborazione, l'accesso equo alle terapie e un investimento sostenuto nella ricerca sono chiavi fondamentali per promuovere una migliore qualità di vita per coloro che convivono con una malattia rara. Solo attraverso un approccio integrato, che coinvolga ricerca, istituzioni sanitarie, organizzazioni dei pazienti e la società nel suo insieme, possiamo sperare di far emergere queste malattie dall'ombra e fornire soluzioni concrete per coloro che ne sono colpiti. L'incontro, moderato da Aldo Morrone (direttore scientifico IISMAS) prenderà il via dopo i saluti istituzionali. Tra gli invitati Francesco Rocca (presidente Regione Lazio), Alessio Nardini (direttore generale Unità missione per il Pnrr del ministero della Salute), Paola Binetti (già presidente Intergruppo parlamentare malattie rare nella XVIII Legislatura). Interverranno fra gli altri Claudio Liguori (referente clinico per malattia rara - Sindrome di Lennox-Gastaut, Policlinico Tor Vergata), Cristiano Caruso (allergologo e immunologo presso Policlinico Gemelli di Roma), Elio Rosati (segretario regionale Cittadinanzattiva Lazio), Fabrizio d'Alba (direttore generale Policlinico Umberto I), Fabrizio Farnetani (delegato regionale Uniamo Fimr Onlus - Federazione italiana malattie rare), Francesco Macchia (vicedirettore Omar – Osservatorio malattie rare), Marco Silano (direttore Centro nazionale malattie rare – Istituto superiore di sanità).

Giovanna Pasqualin Traversa