



**FORUM**  
LEOPOLDA



# Quando il tempo è vita

Il caso della SMA e lo screening neonatale

**SAVE THE DATE**

**11** ottobre **2018** - ore **14.00**

Stazione Leopolda, **Firenze**

Per informazioni:

**Forum della Sostenibilità e Opportunità nel Settore della Salute**

10 / 12 ottobre 2018 - Stazione Leopolda, Firenze

segreteria@forumdellaleopolda.it

t. 055/357223

m. 333/9922717

[www.forumdellaleopolda.it](http://www.forumdellaleopolda.it)

# Quando il tempo è vita: il caso della SMA e lo screening neonatale

*Forum della Sostenibilità e Opportunità nel Settore della Salute*

Giovedì 11 ottobre 2018 – ore 14:00

Firenze, Stazione Leopolda

*La SMA è la principale causa di morte negli infanti affetti da patologie di origine genetica per via dei gravi deficit motori e respiratori dovuti alla scarsa produzione della proteina SMN, fondamentale per lo sviluppo muscolare. Per la prima volta, è oggi disponibile una terapia capace di rallentare, o in alcuni casi arrestare, la progressione della malattia. Tali benefici, inoltre, risultano maggiormente efficaci quanto più tempestivo è l'avvio del trattamento.*

*Per questo motivo, e a fronte alla disponibilità di una terapia così innovativa, l'azienda che ha sviluppato il farmaco – Biogen –, l'associazione nazionale di riferimento – Famiglie SMA – e gli esperti del Policlinico Gemelli di Roma – centro di importanza internazionale per la patologia – hanno avviato un lavoro congiunto che ha portato alla strutturazione di un progetto pilota di screening neonatale in due Regioni, con l'obiettivo ambizioso di ridurre drasticamente i tempi di diagnosi e, dunque, incrementare esponenzialmente la risposta dei piccoli pazienti, instradati immediatamente alle cure.*

*Il convegno “Quando il tempo è vita: il caso della SMA e lo screening neonatale”, organizzato in occasione del forum Leopolda Sanità di Firenze, si pone quindi l'obiettivo di fornire un quadro delle attuali possibilità di trattamento della patologia, di presentare il progetto pilota dello screening neonatale e di riflettere sulle prospettive future in merito all'ipotesi di uno screening esteso a tutto il Paese per la SMA.*

*Il programma è suddiviso in tre sessioni. La prima sarà dedicata al racconto del percorso che ha portato all'autorizzazione di una terapia rivoluzionaria per i piccoli pazienti affetti da SMA mentre nella seconda verranno mostrati i dettagli del progetto pilota, alla presenza degli attori regionali coinvolti. Infine, nella terza sessione, i decisori pubblici in materia sanitaria si confronteranno in una tavola rotonda sulle prospettive del trattamento della patologia.*

## **Programma preliminare**

*Tutti i nominativi indicati sono da intendersi da invitare a partecipare*

*Moderà Nicoletta Carbone, Radio 24 – Il Sole 24 Ore*

### **Saluti iniziali**

*Daniela Lauro, Presidente Famiglie SMA*

### **SMA, il racconto di una storia rivoluzionaria: presentazione del “White Book della SMA”**

*Claudio Barnini, Caporedattore AGIR e autore del “White Book della SMA”*

## **Prima sessione – Innovazione e ricerca: da speranza a realtà**

Intervengono:

*Prof. Mario Melazzini, già Direttore Generale dell’Agenzia Italiana del Farmaco*

*Prof. Eugenio Mercuri, Direttore Unità Operativa Neuropsichiatria infantile, Policlinico Gemelli, Roma*

*Daniela Lauro, Presidente Famiglie SMA*

## **Seconda sessione – Quando il tempo è vita: l’esigenza di una diagnosi precoce e il Progetto pilota di screening per la SMA**

Intervengono:

*Alessio D’Amato, Assessore alla Sanità e all’Integrazione socio-sanitaria, Regione Lazio*

*Teresa Petrangolini, già Consigliere Regionale del Lazio*

*Stefania Saccardi, Assessore al Diritto alla Salute, al Welfare e all’Integrazione socio-sanitaria, Regione Toscana*

*Dott. Alberto Zanobini, Direttore Generale AOU Meyer, Firenze*

*Dott.ssa Alice Donati, Responsabile malattie metaboliche e muscolari ereditarie AOU Meyer, Firenze*

*Dott.ssa Monica Calamai, Responsabile Direzione Diritti di Cittadinanza e Coesione Sociale Regione Toscana*

*Prof. Francesco Danilo Tiziano, Istituto di Medicina Genomica, Università Cattolica del Sacro Cuore*

## **Terza sessione – SMA, il futuro è già qui**

*Sen. Paola Taverna, Vicepresidente del Senato della Repubblica*

*Sen. Paola Binetti, Commissione Igiene e Sanità, Senato della Repubblica*

*On. Rossana Boldi, Vicepresidente Commissione Affari Sociali, Camera dei Deputati*

*On. Elena Carnevali, Commissione Affari Sociali, Camera dei Deputati*

*Alessio D’Amato, Assessore alla Sanità e all’Integrazione socio-sanitaria, Regione Lazio*

*Stefania Saccardi, Assessore al Diritto alla Salute, al Welfare e all’Integrazione socio-sanitaria, Regione Toscana*

*Dott.ssa Monica Calamai, Responsabile Direzione Diritti di Cittadinanza e Coesione Sociale Regione Toscana*

*Dott. Claudio D’Amario, Direttore Generale della Prevenzione Sanitaria, Ministero della Salute*

*Dott. Giancarlo La Marca, Responsabile Laboratorio Screening Neonatale, Biochimica Clinica e Farmacologia, AOU Meyer, Firenze e Membro del Centro di coordinamento sugli screening neonatali*

*Dott.ssa Francesca Pasinelli, Direttore Generale, Fondazione Telethon*

## **Conclusioni**