

# RELATORI E MODERATORI

<b>Carlo Agostini</b>	Direttore Scuola di Specializzazione in Allergologia e Immunologia Clinica, Università degli Studi di Padova
<b>Francesco Bevere</b>	Direttore generale Agenas
<b>Laura Bianconi</b>	Componente 12 <sup>a</sup> Commissione Igiene e Sanità, Senato della Repubblica
<b>Achille Patrizio Caputi</b>	Professore Ordinario di Farmacologia, Università degli Studi di Messina
<b>Stefano Del Missier</b>	Direttore Responsabile Italian Health Policy Brief
<b>Emilia Grazia De Biasi</b>	Presidente 12 <sup>a</sup> Commissione Igiene e Sanità, Senato della Repubblica
<b>Andrea Maturci</b>	Dipartimento di Biomedicina, Unità di Immunoallergologia, Azienda Ospedaliero-Universitaria Careggi, Firenze
<b>Francesco Saverio Mennini</b>	Professore di Economia Sanitaria; Research Director EEHTA, CEIS, Università degli studi di Roma "Tor Vergata"
<b>Claudio Pignata</b>	Dipartimento di Scienze mediche traslazionali, Università degli studi di Napoli; Coordinatore Gruppo di lavoro Immunodeficienze Associazione Italiana Ematologia ed Oncologia Pediatrica (AIEOP)
<b>Isabella Quinti</b>	Responsabile Centro Regionale per le Immunodeficienze Primitive, Policlinico Umberto I; Dipartimento di Medicina Molecolare, La Sapienza-Università di Roma
<b>Carlo Riccardi</b>	Professore Ordinario di Farmacologia, Università degli Studi di Perugia
<b>Walter Ricciardi</b>	Presidente Istituto Superiore di Sanità
<b>Alessandro Segato</b>	Presidente Associazione Immunodeficienze Primitive (AIP) Onlus
<b>Domenica Taruscio</b>	Direttore Centro Nazionale Malattie Rare, Istituto Superiore di Sanità
<b>Angelo Vacca</b>	Professore Ordinario di Immunologia Clinica, Università degli Studi di Bari Aldo Moro; Presidente Società Italiana di Immunologia, Immunologia Clinica ed Allergologia (SIICA)
<b>Ketty Vaccaro</b>	Direttore Welfare, Fondazione Censis
<b>Stefano Vella</b>	Direttore Dipartimento del Farmaco, Istituto Superiore di Sanità

## DESTINATARI DELL'INIZIATIVA

L'incontro è rivolto a medici specialisti e farmacologi provenienti dal territorio nazionale.

Promosso da

**IHPB**  
ITALIAN HEALTH POLICY BRIEF

Media Partner & Segreteria Organizzativa

**ALFIS**  
Omnia Pharma Service  
Editore di IHPB | PH&HP | Rh+

Realizzato grazie al contributo non condizionato di

**Baxalta**

**IHPB**  
ITALIAN HEALTH POLICY BRIEF  
OPINIONI E CONFRONTI PER UNA SANITÀ SOSTENIBILE

## DIALOGUE MEETING

**18 maggio 2016**

Dalle ore **09,30** alle ore **16,30**

**ROMA, Istituto Superiore di Sanità**

Aula Pocchiari - Viale Regina Elena 299

## IMMUNODEFICIENZE PRIMARIE E SECONDARIE TRA COMPLESSITÀ TERAPEUTICHE, INNOVAZIONE E SOSTENIBILITÀ

### COMITATO SCIENTIFICO

**Achille Patrizio Caputi**

Professore Ordinario di Farmacologia,  
Università degli Studi di Messina

**Francesco Saverio Mennini**

Professore di Economia Sanitaria;  
Research Director EEHTA, CEIS,  
Università degli studi di Roma "Tor Vergata"

**Angelo Vacca**

Presidente Società di Immunologia, Immunologia Clinica e Allergologia  
Professore Ordinario di Immunologia Clinica,  
Università degli Studi di Bari Aldo Moro

Con il patrocinio di:  
Istituto Superiore di Sanità

## RAZIONALE

Le **immunodeficienze primitive** (in inglese, PID) sono **malattie rare** che stanno progressivamente acquisendo rilevanza in virtù dei notevoli e importanti **progressi scientifici**, generati sia dall'individuazione di difetti genetici alla base della patologia e alle possibili soluzioni dalla terapia genica risolutiva, sia dalla messa a punto di nuove indagini biomolecolari funzionali alla diagnosi. **Oggi abbiamo conoscenza di circa 200 PID a fronte delle 20 degli anni '80.**

In alcuni sottotipi di PID, la carenza dei sistemi di sorveglianza immunitaria è determinata da una grave compromissione della produzione di anticorpi, dovuta all'esposizione dei pazienti agli antigeni: si tratta delle **PID con deficit anticorpale**, per le quali si rendono necessarie **terapie croniche sostitutive** con immunoglobuline derivate dal plasma (IG), di modo da prevenire le infezioni che ricorrono nella vita di questi pazienti. Se si manifesta in età adulta, la PID alla base delle infezioni può rimanere misconosciuta e **il ritardo nell'avvio della terapia sostitutiva può generare effetti negativi fino a gravi danni agli organi** (polmone, intestino, ecc.).

Un approccio del tutto analogo può trovare indicazione nelle **immunodeficienze secondarie** (in inglese, SID), per le quali la produzione di anticorpi è stata compromessa da altre patologie o situazioni, quali l'insorgenza di tumori del sangue, radioterapia, malnutrizione. Anche in questi casi, **in mancanza di interventi con terapie sostitutive, si possono innescare complicanze** che assorbono notevoli risorse umane ed economiche, con impatti significativi sulla spesa sanitaria.

**La terapia con immunoglobuline può essere di tipo endovenoso (IGIV) o di tipo sottocutaneo convenzionale (SCIG).** La prima è tuttora la più diffusa in Italia, ma può essere praticata soltanto in ambiente ospedaliero e comporta in genere effetti collaterali di tipo sistemico. La SCIG consente, invece, la autosomministrazione domiciliare ripetuta e presenta una certa coerenza con le politiche in atto di deospedalizzazione dei pazienti. Inoltre, sempre grazie alla continua innovazione, si sono affacciati all'orizzonte nuove modalità di intervento terapeutico che, grazie a una minor frequenza delle somministrazioni, possono semplificare notevolmente l'attività degli operatori sanitari, agevolare l'adesione alle terapie da parte dei pazienti e – anche per queste ragioni – favorire un miglioramento dell'outcome clinico, oltre che della qualità di vita nel lungo termine.

Nonostante questi presupposti, però, **sul territorio sussistono ostacoli e disparità nell'accesso alle cure e complesse problematiche gestionali circa la rimborsabilità da parte del Servizio Sanitario Nazionale. Si pone, pertanto, la necessità di ridefinire i livelli essenziali di assistenza per il paziente affetto da immunodeficienza in chiave interdisciplinare.**

L'incontro di oggi si pone quindi **l'obiettivo di fare chiarezza sull'impatto epidemiologico e sociosanitario delle immunodeficienze sulle risorse del Servizio Sanitario Nazionale, promuovendo spunti di riflessione** sulla base di parametri di valutazione a tutt'oggi ancora sottostimati e in una prospettiva che tenga conto del punto di vista delle istituzioni assistenziali, del personale sanitario, del mondo della ricerca, dei decisori politici e delle associazioni dei pazienti.

## PROGRAMMA

Conduzione: **Stefano Del Missier**

09:30-09:45	<b>Intervento di apertura</b>	Emilia Grazia De Biasi
09:45-10:30	<b>Lettura magistrale</b> <b>“Le immunodeficienze in Italia: un problema di sanità pubblica”</b>	Walter Ricciardi
10:30-12:30	<b>1ª sessione “Immunodeficienze primarie e secondarie”</b> <i>Moderatori: Angelo Vacca, Achille Patrizio Caputi</i> <ul style="list-style-type: none"><li>• Malattie rare, ma non troppo <i>Domenica Taruscio</i></li><li>• Identificare e curare le immunodeficienze <i>Isabella Quinti</i></li><li>• Immunoglobuline sottocutanee: l'importanza dell'innovazione e deospedalizzazione <i>Carlo Agostini</i></li><li>• Il problema delle terapie tra scienza e innovazione <i>Carlo Ricciardi</i></li><li>• Il problema dell'aderenza terapeutica e sostenibilità <i>Francesco Saverio Mennini</i></li></ul>	
12:30-13:00	<b>Question time</b>	
<i>13,00-14,00</i>	<i>Pausa</i>	
14:00-16:00	<b>2ª sessione Tavola Rotonda</b> <b>“Livelli essenziali di assistenza e immunodeficienze primarie”</b> <i>Conduce: Stefano Del Missier</i> <i>Modera: Ketty Vaccaro</i>  Partecipano: <ul style="list-style-type: none"><li>• Francesco Bevere</li><li>• Laura Bianconi</li><li>• Andrea Matucci</li><li>• Claudio Pignata</li><li>• Alessandro Segato</li><li>• Angelo Vacca</li><li>• Stefano Vella</li></ul>	
16:00-16:30	<b>Conclusioni</b>	