Progetto Pharma-HUB

Hub per il riposizionamento di farmaci nelle malattie rare del sistema nervoso in età pediatrica

Obiettivo Specifico 6 (OS6). *Studio e sperimentazione di un modello di completamento e perfezionamento della rete regionale per le malattie rare del sistema nervoso in età pediatrica allo scopo di migliorarne la governance, l’appropriatezza degli interventi, la continuità e la qualità delle cure, contrastare la frammentazione territoriale e la limitata presenza di servizi ad alta specializzazione clinico-diagnostica dedicati alle MR in età pediatrica*

L’obiettivo si propone di elaborare documenti scientifici di riferimento riguardanti la complessità dell’organizzazione sanitaria per le malattie rare, vista la necessità di un suo adattamento ai cambiamenti attuali, tenendo anche conto di una sua integrazione con istituzioni come la Scuola, enti ed associazioni dedicate. Attraverso l’elaborazione di una survey nazionale rivolta ai portatori d’interesse saranno valutate lo stato dell’arte, i bisogni, le disuguaglianze e le aspettative dei portatori di interesse nell’ambito della rete malattie rare. La realizzazione di studio clinico prospettico-retrospettivo multicentrico focalizzato a malattie rare come le atassie, le atassie plus, le malformazioni cerebrali e le encefalopatie epilettiche consentirà di realizzare/verificare le migliori possibili strategie d'intervento dalla fase di reclutamento, al percorso diagnostico e terapeutico, alla valutazione delle misure di esito degli interventi, alla gestione e analisi dei dati, ivi inclusa la loro centralizzazione nazionale mediante la creazione di registri di patologie integrati con una piattaforma ad hoc web-based.

Tale OS verrà coordinata da UNICT (leader) con la partecipazione di IRCSS OASI di Troina e UNIME