



PROVIDER ECM N.2224

Corso

Pharma-HUB_VALUE

Focus sui registri di patologia per le malattie rare

23 giugno - 1°luglio 2025

organizzato da

ISTITUTO SUPERIORE DI SANITÀ
Centro Nazionale Malattie Rare
Servizio Formazione

nell'ambito di

Piano di Sviluppo e Coesione del Ministero della Salute 2014-2020
Piano operativo salute - Traiettorie 4 "Biotecnologia, bioinformatica e sviluppo farmaceutico"
Progetto Pharma-HUB
Hub per il riposizionamento di farmaci nelle malattie rare del sistema nervoso in età pediatrica
CUP I83C22001610001 - ID T4-AN-04



N° ID: 217B25_B

Rilevanza

I registri di patologia sono uno strumento fondamentale per monitorare la progressione delle malattie rare, favorire la ricerca clinica e preclinica, e supportare la diagnosi precoce e la gestione terapeutica.

Nel contesto delle atassie pediatriche, in particolare l'atassia teleangectasia, tali registri possono fornire informazioni essenziali per l'ottimizzazione dei trattamenti e lo sviluppo di nuove terapie, rendendo la formazione del personale un elemento cruciale per il successo del progetto *Pharma-HUB*.

Il fabbisogno formativo del corso nasce dalla necessità di garantire al personale coinvolto nel progetto *Pharma-HUB* conoscenze e competenze di base sul ruolo e sulla rilevanza dei registri di patologia per le malattie rare, anche nell'ambito del riposizionamento dei farmaci e sull'importanza di migliorare la raccolta di dati standardizzati e la gestione clinica, con particolare attenzione alle atassie pediatriche.



L'ISS ADOTTA UN SISTEMA DI GESTIONE QUALITÀ DEI PROCESSI FORMATIVI CERTIFICATO DA DNV ISO 9001

Mod. B5b Programma Formazione Mista Rev.3 del 10/10/2022, Pag. 1 di 7



PROVIDER ECM N.2224

Scopo e obiettivi

Il corso mira a fornire conoscenze e competenze di base sui registri di patologia per malattie rare, con un focus sull'atassia teleangectasia pediatrica, al fine di rafforzare la capacità del personale del progetto *Pharma-HUB* di comprendere la rilevanza di una corretta raccolta, analisi e utilizzo dei dati clinici per ottimizzare, in una prospettiva futura, la gestione dei pazienti e favorire la ricerca.

Obiettivi specifici

Al termine del corso, i partecipanti saranno in grado di:

- Applicare un approccio informato dalle evidenze per la raccolta e l'analisi dei dati clinici nei registri di patologia, migliorando la gestione e la qualità delle informazioni epidemiologiche sulle malattie rare;
- Promuovere l'equità nella salute tra i pazienti affetti da malattie rare, migliorando la capacità di personalizzare le cure attraverso l'uso di dati accurati e inclusivi;
- Collaborare efficacemente con team multidisciplinari, facilitando la condivisione delle informazioni tra operatori sanitari, ricercatori e istituzioni, per migliorare l'integrazione dei dati clinici e l'assistenza ai pazienti.

Obiettivo formativo ECM

18. Contenuti tecnico-professionali (conoscenze e competenze) specifici di ciascuna professione, di ciascuna specializzazione e di ciascuna attività ultraspecialistica, ivi incluse le malattie rare e la medicina di genere.

Metodo didattico

Il metodo didattico sarà basato sullo studio di problemi in piccoli gruppi (PBL), esercitazioni pratiche, presentazioni dei docenti e dei discenti in plenaria, seguiti da discussione e valutazione formativa dei lavori di gruppo da parte del docente.

Descrizione del corso

Il corso è erogato in modalità *Blended Learning*.

È composto, infatti, da tre tipologie formative: un corso FAD (modalità sincrona), un corso FAD (modalità asincrona) e un corso residenziale.

La prima sessione, detta *sessione plenaria*, si svolgerà (dopo aver effettuato la registrazione e il pre-test online sulla piattaforma EDUISS) sulla piattaforma Microsoft Teams, con la connessione sincrona di tutti i partecipanti, suddivisi in stanze per i lavori di gruppo.

La seconda sessione, detta *studio individuale*, prevede la selezione individuale dei materiali di studio e lo studio individuale sulla piattaforma EDUISS.

La terza sessione, detta *soluzione del problema*, prevede la partecipazione obbligatoria del discente alle due giornate di formazione residenziali, e sarà dedicata alle presentazioni dei docenti e dei discenti della soluzione del problema, seguite da discussione e valutazione formativa dei lavori di gruppo da parte del docente.



PROVIDER ECM N.2224

PRIMA SESSIONE (Attività da remoto sincrona)

PROGRAMMA

Lunedì 23 giugno

- 14.00 Registrazione dei partecipanti e pre-test (su piattaforma EDUISS)
- 14.30 Planning Meeting - Presentazione del Problema
Lavoro in piccoli gruppi con facilitatore/trice
S. Bocci, L.L. Cellai, G. Cerqueti, E. Desogus, A. Mazzaccara, S. Stacchini
I/Le partecipanti si dividono in 4 aule virtuali e lavorano ciascuno/a sulla discussione del problema
Le/i tutor danno le consegne, lavorando come facilitatrici/facilitatori nei rispettivi gruppi
- 17.00 Presentazione dei partecipanti in plenaria
- 17.30 Chiusura della sessione da remoto sincrona

SECONDA SESSIONE (Attività da remoto asincrona)

PROGRAMMA

Martedì 24 giugno

- 9.00 Lavoro individuale
Selezione dei materiali e presentazione dei materiali selezionati in piattaforma
- 11.00 Lavoro individuale
Lettura dei materiali presentati dei membri del gruppo e votazione
- 13.00 Pausa
- 14.00 Lavoro individuale
Studio dei materiali più votati dal gruppo
- 15.30 Lavoro individuale
Elaborazione soluzione del problema individuale
- 17.00 Chiusura della sessione da remoto asincrona



PROVIDER ECM N.2224

TERZA SESSIONE (Attività in presenza)

PROGRAMMA

Lunedì 30 giugno

- 8.30 Registrazione dei/delle partecipanti
- 9.00 Presentazioni seminariali di docenti ed esperti/e su contenuti tecnici inerenti gli obiettivi di apprendimento del corso
M. Salvatore, P. Torreri, N. Vanacore
- 10.30 Pausa
- 11.00 Presentazioni seminariali di docenti ed esperti/e su contenuti tecnici inerenti gli obiettivi di apprendimento del corso
M. Salvatore, P. Torreri, S. Gainotti, N. Vanacore
- 13.00 Pausa
- 14.00 Presentazioni seminariali di docenti ed esperti/e su contenuti tecnici inerenti gli obiettivi di apprendimento del corso
A. Polizzi, L. Chessa, M. Salvatore, P. Torreri, N. Vanacore
- 15.00 Rielaborazione personale della soluzione
- 15.30 Presentazione della soluzione individuale e preparazione della Soluzione di gruppo del problema (solving meeting)
Lavoro in piccoli gruppi con facilitatore/trice
S. Bocci, L.L. Cellai, G. Cerqueti, E. Desogus, A. Mazzaccara, S. Stacchini
- 17.00 Chiusura della giornata

Martedì 1° luglio

- 8.30 Registrazione dei/delle partecipanti
- 9.00 Presentazione in Plenaria delle soluzioni del Problema elaborate dai gruppi
- 10.30 Pausa
- 11.00 Feedback degli/delle esperti/e sugli elaborati di gruppo e discussione
A. Polizzi, L. Chessa, M. Salvatore, P. Torreri, S. Gainotti, N. Vanacore



PROVIDER ECM N.2224

12.15 Conclusioni

M. Salvatore, P. Torreri, A. Mazzaccara

12.30 Test di verifica dell'apprendimento e questionari di gradimento

13.00 Chiusura del corso

DOCENTI e TUTOR

Stefania Bocci - PRE-Servizio Formazione, Istituto Superiore di Sanità

Laura Lee Cellai - PRE-Servizio Formazione, Istituto Superiore di Sanità

Gabriele Cerqueti - PRE-Servizio Formazione, Istituto Superiore di Sanità

Luciana Chessa - Fondazione Sapienza di Roma

Eleonora Desogus - PRE-Servizio Formazione, Istituto Superiore di Sanità

Sabina Gainotti - PRE-Unità di Bioetica, Istituto Superiore di Sanità

Alfonso Mazzaccara - PRE-Servizio Formazione, Istituto Superiore di Sanità

Agata Polizzi - Dipartimento Medicina Clinica e Sperimentale, Università degli Studi di Catania

Marco Salvatore - Centro Nazionale Malattie Rare, Istituto Superiore di Sanità

Silvia Stacchini - PRE-Servizio Formazione, Istituto Superiore di Sanità

Paola Torreri - Centro Nazionale Malattie Rare, Istituto Superiore di Sanità

Nicola Vanacore - Centro Nazionale per la Prevenzione delle malattie e la promozione della salute, Istituto Superiore di Sanità

Responsabili Scientifici

MARCO SALVATORE

Centro Nazionale Malattie Rare

Istituto Superiore di Sanità, Roma

e-mail: marco.salvatore@iss.it

ALFONSO MAZZACCARA

PRE-Servizio Formazione

Istituto Superiore di Sanità, Roma

e-mail: alfonso.mazzaccara@iss.it

Segreteria Scientifica

GIORGIA BUONCUORE, PAOLA TORRERI

Centro Nazionale Malattie Rare

Istituto Superiore di Sanità, Roma

ELEONORA DESOGUS

PRE-Servizio Formazione

Istituto Superiore di Sanità, Roma

e-mail: leonora.desogus@iss.it



PROVIDER ECM N.2224

Segreteria Organizzativa

LINDA AGRESTA, PATRIZIA CRIALESE, STEFANO DIEMOZ
Centro Nazionale Malattie Rare
Istituto Superiore di Sanità, Roma

STEFANIA BOCCI, GABRIELE CERQUETI, SILVIA STACCHINI
PRE-Servizio Formazione
Istituto Superiore di Sanità, Roma
e-mail: formazione.pharmahub@iss.it

INFORMAZIONI GENERALI

Svolgimento

Prima Sessione: da remoto, in modalità sincrona, su piattaforma Microsoft Teams (23 giugno 2025)

Seconda Sessione: da remoto, in modalità asincrona, su piattaforma EDUISS (24 giugno 2025)

Terza Sessione: in presenza, in aula Rossi, Istituto Superiore di Sanità, Via Giano della Bella, 34 – Roma
(24 giugno e 1° luglio 2025)

Destinatari e numero massimo di partecipanti

L'evento è destinato al personale dei partners del progetto Pharma-HUB.

Nello specifico, tra i professionisti sanitari destinatari dell'evento formativo (ma non esclusivamente): medici specialisti in neurologia pediatrica, genetica medica, pediatria e malattie rare; biologi e biotecnologi con focus su ricerca clinica e patologie genetiche rare; epidemiologi coinvolti nella gestione dei registri di patologia e nella raccolta di dati; data manager e specialisti in informatica medica, con esperienza nella gestione di registri e database sanitari; infermieri specializzati in malattie rare e patologie pediatriche; farmacologi clinici e farmacisti ospedalieri, in particolare con competenze nel riposizionamento dei farmaci per malattie rare.

Saranno ammessi un massimo di 25 partecipanti (non sono ammessi uditori).

Modalità di iscrizione, selezione e partecipazione

Per iscriversi, compilare online e inviare **entro il 30 maggio 2025** il modulo disponibile al seguente link: <https://forms.office.com/e/H3akaA8dYg?origin=lprLink>.

La partecipazione all'evento è gratuita. Le spese di viaggio e soggiorno sono a carico del partecipante.

Ai fini dell'accreditamento ECM, all'atto dell'iscrizione è indispensabile fornire il codice fiscale ed indicare professione e disciplina sanitaria.

Le domande saranno accettate, in ordine cronologico, secondo criteri di rappresentatività delle organizzazioni partner del progetto Pharma-HUB, dando priorità ai professionisti che sono impegnati nella gestione, ricerca e trattamento delle malattie rare pediatriche, lavorano in team multidisciplinari e sono già coinvolti e/o potrebbero essere coinvolti nelle attività relative a registri di patologia.

Ai partecipanti selezionati sarà inviata dalla Segreteria Organizzativa entro il 10 giugno 2025, una e-mail contenente le istruzioni per poter accedere alle giornate da remoto.



PROVIDER ECM N.2224

Modalità di verifica dell'apprendimento

Al termine del corso è prevista una prova di verifica dell'apprendimento, obbligatoria per tutti i partecipanti, che consisterà in un questionario a risposta aperta in cui saranno richiesti elementi di pratica.

Inoltre, sarà somministrato un questionario di gradimento dell'evento e la scheda ECM di valutazione dell'evento.

Crediti formativi ECM

È previsto l'accreditamento per tutte le figure professionali.

Come prescritto dalla normativa ECM, per ricevere i crediti i partecipanti dovranno garantire la presenza all'intero percorso formativo nelle sessioni da remoto, mentre, nella sessione in presenza, la stessa dovrà essere garantita per almeno il 90% della sua durata; dovranno, altresì, completare con un successo minimo del 75% la prova di verifica dell'apprendimento e compilare il questionario ECM di valutazione dell'evento.

L'effettiva partecipazione alle sessioni da remoto del percorso formativo verrà rilevata mediante la verifica dei log di connessione. Si raccomanda, pertanto, di indicare correttamente il proprio cognome e nome al momento del collegamento online. L'assenza di questi dati non consente la registrazione della presenza all'evento.

L'effettiva partecipazione alla sessione finale del percorso formativo verrà, invece, rilevata mediante firma in ingresso e in uscita dell'apposito registro presenze.

Attestati

Su richiesta, ai partecipanti che avranno frequentato il corso per almeno l'80% della sua durata complessiva e conseguito con un successo minimo del 75% la prova di verifica dell'apprendimento sarà inviato l'attestato di partecipazione, comprensivo delle ore di formazione.

L'attestato ECM, invece, sarà recapitato agli aventi diritto solo a procedure di accreditamento ECM espletate.

Per ogni informazione si prega di contattare la Segreteria Organizzativa ai recapiti sopra indicati.

[Firma elettronica del Legale Rappresentante]