



14 dicembre 2023

IN PRIMO PIANO

[**Farmaci orfani: Italia seconda in Europa con 50 terapie disponibili e tempi di immissione in commercio al di sopra della media UE**](#)

[**Psoriasi pustolosa generalizzata, individuati i punti di intervento per migliorare la gestione della malattia**](#)

LE ULTIME

NEWS



PKU:

[per parlare di diversità ai più giovani nasce il gioco da tavolo FenilCity](#)

Ipercolesterolemia familiare omozigote:

[la storia di Mario, a cui la malattia è stata scoperta per caso](#)

Drepanocitosi:

[la comunità scientifica chiede screening universale, terapie per tutti i pazienti e sostegno alla ricerca](#)

Porfiria:

[un webinar per fare il punto sulla patologia](#)

Epilessia farmaco-resistente:

[al Gaslini realizzato il primo impianto di elettrodi intracerebrali in un bambino](#)

□

FARMACI ORFANI



Anemia falciforme:

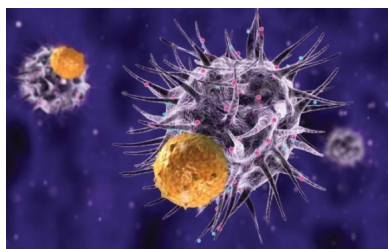
negli USA approvate due terapie geniche

Colestasi intraepatica familiare progressiva:

al “Liver Meeting” nuovi dati positivi su maralixibat

□

TUMORI RARI



Tumori ginecologici:

prevenzione e farmaci mirati possono sconfiggerli

Oblío oncologico:

approvata al Senato una legge dedicata



APPUNTAMENTI

15 Dicembre 2023.

EPN Tour Centro

15 Dicembre 2023, Roma. Presentazione progetto di gestione dei malati mitocondriali in area emergenza-urgenza nella Regione Lazio

19 Dicembre 2023, Modena.

[Evento di beneficenza di Un Respiro nel Futuro APS](#)



Per le altre notizie visita il sito www.osservatoriomalattieare.it

[Contatti](#)

[Comitato Scientifico](#)

[Sportello Legale](#)



