

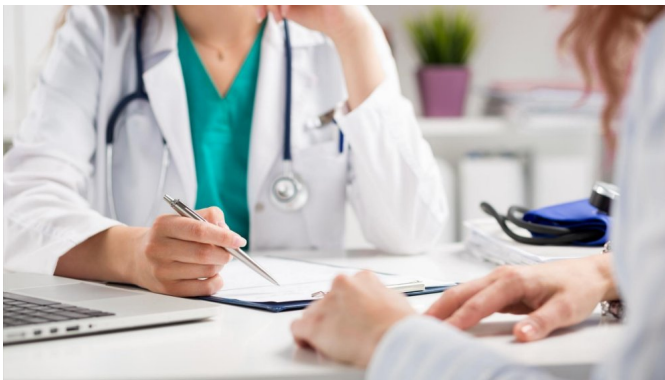


3 giugno 2021

IN PRIMO PIANO

[Malattie rare: in Italia si chiede di istituire un ‘Rare Sibling Day’](#)

LE ULTIME NEWS



[Malattie rare:](#)

[oltre il 50% dei casi resta senza diagnosi](#)

[Sindrome di Marfan:](#)

[conviverci significa non dover mai abbassare la guardia](#)

[Deficit di alfa-1-antitripsina:](#)

[prosegue il servizio di terapia domiciliare “GriCareAlfa1”](#)

[**Sclerosi sistemica:**](#)

[la terapia infusiva domiciliare ora è realtà in molte Regioni](#)

LA RICERCA SCIENTIFICA



[**Leucodistrofia metacromatica:**](#)

[i primi 150mila euro dall'associazione Voa Voa! al Meyer](#)

[**Porfiria acuta intermittente:**](#)

[sintomi cronici anche nelle forme sporadiche e latenti](#)

FARMACI ORFANI



Amiloidosi:

[parere positivo del CHMP per le nuove indicazioni d'uso di daratumumab](#)

APPUNTAMENTI

10 Giugno 2021.

[Presentazione del nuovo mag-book di ReWriters dedicato alla salute](#)

12 e 19 Giugno 2021.

[Transizione età evolutiva - adulto per la Sindrome di Rett e Sclerosi Tuberosa](#)

19 Giugno 2021.

[XIX Seminario di Primavera FFC](#)

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

[Contatti](#)

[Comitato Scientifico](#)

[Sportello Legale](#)

[L'Esperto Risponde](#)

© Osservatorio Malattie Rare 2015

info@osservatoriomalattierare.it

www.osservatoriomalattierare.it

Via Varese 46 - 00185 Roma P.IVA 0299137054

Testata registrata presso il Tribunale di Roma - 296/2011 - 4 Ottobre

Testata giornalistica iscritta al ROC, n°20188, ai sensi dell'art. 16/2001