

ORIZZONTI DELLA BIOLOGIA MOLECOLARE NELLA DIAGNOSI E TERAPIA DELLE MALATTIE EMORRAGICHE

4 OTTOBRE 2022

COMITATO SCIENTIFICO
Francesco Bernardi
Mirko Pinotti

FERRARA

CON IL CONTRIBUTO NON CONDIZIONANTE



RAZIONALE

Il progresso impetuoso nella diagnosi e terapia delle malattie emorragiche richiede un urgente aggiornamento delle conoscenze in diversi campi.

Accanto alla indispensabile conoscenza clinica e delle sue applicazioni, emerge la necessità di comprendere come la Biologia molecolare contribuisca ad una definizione diagnostica sempre più fine delle malattie, incluso il loro fenotipo clinico e la predisposizione agli inibitori. Parimenti, la disponibilità crescente di approcci di terapia sostitutiva con fattori ad emivita allungata e di terapia genica dell'Emofilia A e B possono essere considerati i successi più eclatanti della Biologia Molecolare, integrata da numerose competenze, con in evidenza lo sviluppo dei vettori e gli aspetti immunologici.

Il Corso "Orizzonti della Biologia molecolare nella diagnosi e terapia delle malattie emorragiche" è proposto in un'unica giornata di lavori a Ferrara, dove da quasi quarant'anni si svolge una ricerca di Biologia Molecolare delle malattie dell'emostasi particolarmente intensa e qualificata. L'iniziativa si propone di fornire la formazione indispensabile alla comprensione dei progressi diagnostici e terapeutici grazie al contributo di numerosi docenti con competenze di ricerca di livello internazionale nei temi proposti.

La prima sessione "Diagnosi molecolare dei difetti congeniti della coagulazione e dell'emostasi" presenterà, oltre all'Emofilia ed alla Malattia di Von Willebrand, le deficienze del FVII e del Fibrinogeno, con le loro specificità di fenotipo e genetiche autosomiche.

La seconda sessione "Innovazioni nella Terapia Sostitutiva" si propone di illustrare le caratteristiche molecolari, terapeutiche, farmacocinetiche e di saggi di laboratorio dei prodotti ad emivita allungata.

Una breve terza sessione "Orizzonti nella predisposizione genetica all'Inibitore" fornirà un aggiornamento sulle complesse componenti genetiche che predispongono o riducono il rischio di insorgenza dell'inibitore.

L'ultima sessione "Terapia Genica dell'Emofilia - Presente e prospettive" si propone di illustrare un presente in tumultuosa crescita, e di fornire elementi utili a comprendere limiti e prospettive future di sviluppo.

Francesco Bernardi - Mirko Pinotti

PROGRAMMA

- 8.30** Apertura Segreteria
9.00 Salute e presentazione del Congresso - **Francesco Bernardi** - **Mirko Pinotti**

I SESSIONE: DIAGNOSI MOLECOLARE DEI DIFETTI CONGENITI DELLA COAGULAZIONE E DELL'EMOSTASI

- 9.10** La malattia di von Willebrand: novità diagnostiche e terapeutiche
Giancarlo Castaman
- 9.30** Classificazione molecolare e funzionale del VWD di tipo 2 - **Caterina Casari**
- 9.50** ADAMTS13 e Fattore di Von Willebrand: il sottile confine tra emostasi e trombosi
Raimondo De Cristofaro
- 10.10** Discussione
- 10.20** Il difetto di fibrinogeno aspetti clinici e terapia - **Cristina Santoro**
- 10.40** Il difetto di fibrinogeno diagnosi molecolare - **Rosanna Asselta**
- 11.00** Discussione
- 11.10** Pausa caffè

II SESSIONE: INNOVAZIONI NELLA TERAPIA

- 11.40** Terapia sostitutiva dell'Emofilia: innovazioni e prospettive - **Maria Elisa Mancuso**
- 12.00** Le nuove frontiere terapeutiche dell'emofilia: la terapia non sostitutiva
Chiara Biasoli
- 12.20** Recettori del FVIII e del VWF - biologia e PK nella terapia dell'emofilia
Francesco Bernardi
- 12.40** Saggi coagulazione e nuovi farmaci - **Armando Tripodi**
- 12.10** Discussione
- 13.10** Pausa pranzo

PROGRAMMA

III SESSIONE: TERAPIA GENICA DELL'EMOFILIA - PRESENTE E PROSPETTIVE

- 14.10 Gene therapy for hemophilia - **Federico Mingozzi**
- 14.40 Terapia genica dell'emofilia mediante vettori lentivirali - **Alessio Cantore**
- 15.00 Orizzonti della terapia genica: La correzione in luogo della sostituzione:
"Base editing" - **Dario Balestra**
- 15.20 Terapia genica: dal laboratorio alla pratica clinica
discussione guidata: moderatore Mirko Pinotti
intervengono **G. Castaman, R. De Cristofaro, C.Santoro**

15.50 Pausa caffè

IV SESSIONE: ORIZZONTI NELLA PREDISPOSIZIONE GENETICA ALL'INIBITORE

- 16.20 Meccanismi immunitari ed inibitori - **Francesca Fallarino**
- 16.40 Mutazioni del FVIII e inibitore - **Alessio Branchini**
- 17.00 Componenti extrageniche ed inibitore - **Silvia Spena**
- 17.20 discussione
- 17.50 conclusioni e questionario ECM

INFORMAZIONI GENERALI

SEDE DEL CORSO

HOTEL ASTRA - via Cavour, 55 - Ferrara

E.C.M. - ID N° 352249

Il Corso è stato inserito nel Piano Formativo 2022 per l'Educazione Continua in Medicina (E.C.M.) e ha ottenuto n. **7 crediti** per le categorie di: Medici Chirurghi, Biologi, Tecnici di laboratorio biomedico, Infermieri, Infermieri Pediatrici, Assistente sanitario e Farmacista.

La legislazione in materia di E.C.M. non prevede l'assegnazione dei crediti formativi ad eventuali specializzandi e ad altre professioni afferenti alle discipline mediche.

Per conseguire i crediti è necessario:

- partecipare in misura del 90% ai lavori congressuali
- Riconsegnare al termine dell'evento in segreteria la modulistica debitamente compilata e firmata.

L'attestato ECM e l'attestato di partecipazione saranno consegnati previa verifica dei punti precedenti.

OBIETTIVO FORMATIVO

Linee guida, protocolli e procedure.

SEGRETARIA ORGANIZZATIVA

EEVENTI

Provider ECM ID 5467 - Via Maestro Gaetano Capocci, 11 - 00199 Roma
sito web www.elleventi.it - tel. 3420680078

ISCRIZIONI ON LINE

<https://www.elleventi.it/eventi/2022/ferrara/>