Dipartimento
di Scienze della Vita
e Biotecnologie

ORIZZONTI
DELLA BIOLOGIA MOLECOLARE

nella terapia dell'emofilia

FERRARA - 19 GIUGNO 2026

RAZIONALE SCIENTIFICO

Il progresso impetuoso nella 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 terapia dell'Emofilia" 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 terapeutici grazie al contributo di numerosi docenti con competenze di ricerca di livello internazionale nei temi proposti.

La prima parte della giornata "Innovazione nella terapia sostitutiva e non sostitutiva" presenterà approcci particolarmente innovativi sia per l'emofilia che per il difetto di fattore VII e la malattia di von Willebrand.

La seconda parte "Complicazioni della terapia sostitutiva" si propone di fornire una visione aggiornata degli inibitori dell'Emofilia A e degli aspetti immunologici ad essi sottesi.

La terza parte "Terapia Genica" si propone di illustrare un presente in tumultuosa crescita, e di fornire elementi utili a comprendere limiti e prospettive future di sviluppo.

I lavori si concluderanno con la tavola rotonda sul tema "DALLA RICERCA ALLA SPERIMENTAZIONE CLINICA" che si propone di fornire una visione integrata del percorso che ci ha portati ai risultati attuali.

Francesco Bernardi e Mirko Pinotti

PROGRAMMA
MATTINA

09.00 INTRODUZIONE AI LAVORI - **Mirko Pinotti, Francesco Bernardi**

INNOVATION IN NON SUBSTITUTIVE THERAPIES

Moderatori: **Antonio Coppola, Giancarlo Castaman**

09.30 Inhibitors of anticoagulant pathways - **Antonio Coppola**

10.00 Bispecific antibodies: FVIII mimetics - **Giancarlo Castaman**

10.30 Bispecific antibodies: HMB-001 for FVII deficiency
Prafull S. Gandhi (Hemab Therapeutics, Copenhagen, Denmark)

11.00 Bispecific nanobodies: KB-V13A12 for von Willebrand disease
Caterina Casari (INSERM, Université Paris-Saclay, Le Kremlin-Bicêtre, France)

11.30 Coffee break

INNOVAZIONE NELLA TERAPIA SOSTITUTIVA

Moderatori: **Raimondo De Cristofaro, Mario Schiavoni**

12.00 Emofilia A - **Raimondo De Cristofaro**

12.30 Emofilia B - **Alessio Branchini**

13.15 Lunch

PROGRAMMA
POMERIGGIO

COMPLICAZIONI DELLA TERAPIA SOSTITUTIVA

Moderatori: **Francesco Bernardi, Francesca Fallarino**

14.00 Inhibitori - **Ezio Zanon**

14.30 Meccanismi immunologici - **Francesca Fallarino**

TERAPIA GENICA

Moderazione: **Antonia Follenzi, Mirko Pinotti**

15.00 Terapia genica con vettori adeno-associati - **Lelia Valdrè**

15.30 Terapia genica con vettori lentivirali - **Antonia Follenzi**

16.00 Gene editing - **Dario Balestra**

16.30 **ROUND TABLE:**
DALLA RICERCA ALLA SPERIMENTAZIONE CLINICA

Conduzione: **Chiara Biasoli**

Giancarlo Castaman, Francesco Bernardi, Chiara Biasioli, Antonio Coppola, Mirko Pinotti

17.15 Conclusioni - **Mirko Pinotti**, **Francesco Bernardi**

17.30 Consegna questionario ECM

18.00 Chiusura lavori

RESPONSABILI SCIENTIFICI

Francesco Bernardi - Ferrara
Mirko Pinotti - Ferrara

SEDE CONGRESSUALE

Palazzo Giordani - Aula 10
Corso Ercole I d'Este, 44 - Ferrara

FACULTY

Dario Balestra - Ferrara
Francesco Bernardi - Ferrara
Chiara Biasoli - Cesena
Alessio Branchini - Ferrara
Caterina Casari - Parigi
Giancarlo Castaman - Firenze
Antonio Coppola - Parma
Raimondo De Cristofaro - Roma
Prafull S. Gandhi - Copenhagen
Francesca Fallarino - Torino
Antonia Follenzi - Novara
Mirko Pinotti - Ferrara
Mario Schiavoni - Otranto
Lelia Valdrè - Bologna
Ezio Zanon - Padova

ACCREDITAMENTO ECM

Il Corso è stato inserito nel Piano Formativo 2026 per l'Educazione Continua in Medicina (E.C.M.) e ha ottenuto **n. 7** crediti per le categorie Medici chirurghi (tutte le discipline).

La legislazione in materia di E.C.M. non prevede l'assegnazione dei crediti formativi a eventuali specializzandi e ad altre professioni afferenti alle discipline mediche.
Per ottenere i crediti formativi è necessario:

- Partecipare nella misura del 90% ai lavori congressuali.
- Riconsegnare in segreteria, al termine del Corso, l'anagrafica ECM, la scheda di valutazione evento e il questionario ECM che dovrà essere superato con almeno il 75% di risposte esatte.

A tutti i partecipanti verrà rilasciato un attestato di partecipazione

SEGRETERIA ORGANIZZATIVA

ELLEVENTI
Via Maestro G. Capocci, 11
00199 Roma
www.elleventi.it
segreteria@elleventi.it
Tel. +39 342 0680078

CON IL CONTRIBUTO NON CONDIZIONANTE DI

Pfizer
CSL
Roche
BAYER
BIOVIIIx
Il valore della conoscenza
sobi