FACULTY

Alessandro Aiuti, Milano
Generoso Andria, Napoli
Antonio Balsamo, Bologna
Andrea Bartuli, Roma
Renza Barbon Galluppi, Venezia
Mara Cananzi, Padova
Giovanni Battista Capasso, Napoli
Ugo Capolino Perlingieri, Milano
Marco Cappa, Roma
Franco Cerutti, Torino
Francesco Chiarelli, Chieti
Giovanni Cioni, Pisa
Daniela Concolino, Catanzaro
Giovanni Corsello, Palermo
Bruno Dallapiccola, Roma
Salvatore De Masi, Napoli
Carlo Dionisi Vici, Roma
Francesco Emma, Roma
Franca Fagioli, Torino
Marco Gattorno, Genova
Graziano Grugni, Oggebbio (VB)
Vincenzo Leuzzi, Roma
Giuseppe Limongelli, Napoli
Daniela Melis, Napoli
Carlo Minetti, Genova
Francesca Minoia, Genova
Lucia Monaco, Roma
Luisa Murer, Padova
Gabriella Nebbia, Milano
Carmine Pecoraro, Napoli
Silverio Perrotta, Napoli
Claudio Pignata, Napoli
Alessandro Plebani, Brescia
Francesco Porta, Torino
Valeria Raia, Napoli
Giusy Ranucci, Napoli
Carmelo Rizzari, Monza
Francesca Rocchi, Roma
Anna Rosati, Firenze
M.Giovanna Russo, Napoli
Maurizio Scarpa, Padova
Domenica Taruscio, Roma
Alberto Tommasini, Trieste
Giuseppe Zampino, Roma
Marco Zecca, Pavia

SEDE • Aula Magna - Area Didattica di Biotecnologie
Università degli Studi di Napoli Federico II - Via T. De Amicis, 95 • 80131 Napoli

ECM • A questo evento formativo, accreditato nel programma Nazionale di Educazione Continua in Medicina (ECM), **sono stati assegnati 10,5 crediti**. Per le seguenti professioni: MEDICO CHIRURGO (Allergologia ed Immunologia clinica; Cardiologia; Ematologia; Endocrinologia; Gastroenterologia; Genetica medica; Malattie Metaboliche e diabetologia; Malattie dell'apparato respiratorio; Nefrologia; Neurologia; Neuropsichiatria infantile; Oncologia; Pediatria; Psichiatria; Reumatologia; Neurofisiopatologia; Medicina Generale (medici di famiglia); Pediatria (pediatri di libera scelta); Scienza dell'alimentazione e dietetica). Ai fini dell'attribuzione dei crediti sarà rilevata la presenza dei partecipanti con il registro delle firme giornaliere in ingresso e in uscita.
Otterranno i crediti, ai sensi della normativa vigente, coloro che avranno risposto correttamente al 75% delle domande del test a risposta multipla sottoposto. I partecipanti dovranno compilare e restituire alla Segreteria Organizzativa il questionario di verifica dell'apprendimento all'atto del ritiro dell'attestato di partecipazione.
N.B. il certificato di attribuzione dei crediti sarà inviato ai partecipanti entro 90 giorni dalla fine dell'evento.

Patrocini

Università Federico II di Napoli
Società Italiana di Nefrologia Pediatrica
SIFC Società Italiana di Fibrosi Cistica
S.I.N.P. Società Italiana di Neurologia Pediatrica
SIMGePed
ipinet
SIMMESN
Società Italiana di Cardiologia Pediatrica e delle Cardiopatie Congenite
SINPIA
SIGENP
SIMRI società italiana per le malattie respiratorie infantili
AIEOP Associazione Italiana Ematologia Oncologia Pediatrica
SIEDP

Con il contributo incondizionato:

ALEXION PHARMA ITALY *AMICUS THERAPEUTICS*
BIOMARIN EUROPE Ltd *GENZYME*
GSK *SOBI Swedish Orphan Biovitrum*

Segreteria organizzativa e Provider ECM

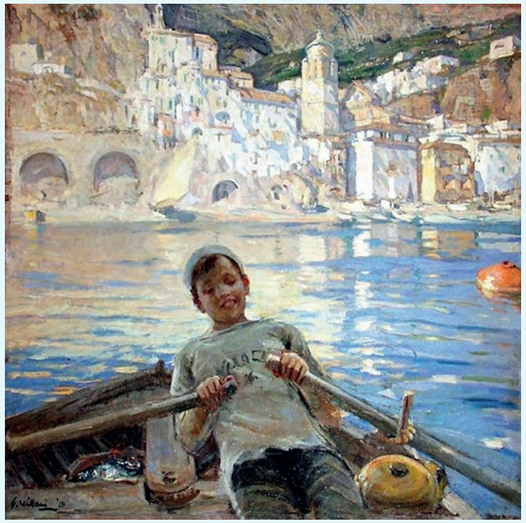
center comunicazione & congressi
ALBO NAZIONALE AGENAS • n.726

Via G. Quagliariello, 27 • 80131 Napoli • ph 081.19578490 • fax 081.19578071
info@centercongressi.com • www.centercongressi.it

SIRP ONLUS
Società Italiana di Ricerca Pediatrica

FORUM

Malattie rare in età pediatrica: ricerca, farmaci orfani e reti europee di riferimento



Napoli, 29-30 giugno 2017

In collaborazione con
FIARPED
Società Italiana di Pediatria

Aula Magna
Area Didattica di Biotecnologie
Università Federico II

Programma

SIRP ONLUS Società Italiana di Ricerca Pediatrica

Consiglio Direttivo SIRP Onlus

Presidente Generoso Andria
Past President Francesco Chiarelli
Vice Presidente Angelika Anna Mohn
Segretario Raffaele Badolato
Tesoriere Luigi Maiuri

Consiglieri
Alessandro Aiuti
Silvano Bertelloni
Loredana Maria Marcovecchio
Claudio Pignata
Giusy Ranucci
Angelo Ravelli
Martino Ruggieri

Comitato Scientifico
Generoso Andria *(Coordinatore)*
Carlo Agostoni
Andrea Bartuli
Franco Cerutti
Giovanni Cioni
Giovanni Corsello
Antonella Costantino
Renato Cutrera
Carlo Dionisi Vici
Franca Fagioli
Raffaele Falsaperla
Luisa Murer
Claudio Pignata
Valeria Raia
Angelo Ravelli
Alberto Villani

Segreteria Scientifica
Roberto Della Casa
Claudio Pignata
Giusy Ranucci

SIRP ONLUS
Società Italiana di Ricerca Pediatrica

Cari Colleghi,

a distanza di un anno dal Forum sul futuro della ricerca clinica (non solo pediatrica), la SIRP, in collaborazione con la FIARPED e la SIP, propone una nuova riflessione, focalizzata sulla ricerca nel campo delle malattie rare in età evolutiva.
Le malattie rare rappresentano un settore della medicina non solo di crescente interesse per il sistema sanitario, ma anche molto fertile per l'attività scientifica, sia con lo studio delle loro basi fisiopatologiche, sia con lo sviluppo di approcci terapeutici innovativi attraverso sperimentazioni cliniche di farmaci orfani.
In coerenza col servizio che la SIRP intende svolgere attraverso il suo Osservatorio della ricerca pediatrica italiana, questo Forum di Napoli rappresenta l'avvio di un monitoraggio dell'attività scientifica dei centri italiani e della loro partecipazione a trial clinici nel settore delle malattie rare in età evolutiva. È stato quindi organizzato un catalogo sullo stato della ricerca pediatrica per le patologie rare, coinvolgendo numerose società scientifiche e gruppi di studio per le aree specialistiche di competenza, che monitorerà i progressi delle attività rivolte alle patologie rare.
È quasi pleonastico sottolineare che anche per questo gruppo di malattie la qualità dell'assistenza dipende dalla qualità della ricerca scientifica e clinica. Da pochi mesi si è arrivati alla istituzione di reti europee di riferimento (ERN) per oltre 20 gruppi di malattie rare e ci è sembrato utile fare anche il punto sulla partecipazione alle ERN dei centri pediatrici italiani, di fatto cooptati come membri, tra l'altro, per l'eccellenza della loro produttività scientifica. L'auspicio è che analoghe reti per le varie specialità si possano costituire, o rafforzare se già esistenti, anche in Italia.
Concludo con un richiamo al quadro scelto come logo di questo Forum. Il ragazzo che, da solo, rema con foga e con un sorriso verso la spiaggia inondata dal sole illustra efficacemente quanto, come medici, auguriamo ai nostri piccoli pazienti: che assumano sempre maggiore responsabilità, in prima persona e insieme alle famiglie, nella gestione della loro malattia, per raggiungere l'approdo di migliori condizioni di salute e qualità di vita.
Mi auguro che l'immagine della nostra bella costiera sia anche un incentivo per tutti voi a partecipare numerosi al Forum.

Benvenuti a Napoli

• In copertina:
Gennaro Villani (Napoli, 1885-1948) - Amalfi, 1938 - Collezione privata

GIOVEDÌ, 29 GIUGNO 2017

10.30 Inaugurazione del congresso

11.00 TAVOLA ROTONDA
La ricerca italiana per le malattie rare in età pediatrica
In collaborazione con Prospettive in Pediatria

Moderatori:
Generoso Andria *Presidente SIRP*
Giovanni Corsello *Presidente FIARPED*
Partecipanti:
Domenica Taruscio *Dirett. Centro di Coordinamento Nazionale Malattie Rare, Istituto Superiore di Sanità*
Bruno Dallapiccola *Direttore Scientifico Ospedale Pediatrico Bambino Gesù*
Lucia Monaco *Direttore Scientifico Fondazione Telethon*
Ugo Capolino Perlingieri *Gruppo di Lavoro sui Farmaci Orfani (GLFO), Assobiotec*
Maurizio Scarpa Coordinatore rete di riferimento europea per malattie metaboliche ereditarie - METABERN
Renza Barbon Galluppi *Presidente Emerito UNIAMO FIRM Onlus*

Temi in discussione
- L'attività scientifica del Centro di coordinamento nazionale malattie rare per le patologie pediatriche
- Lo stato della ricerca per le malattie rare nei centri pediatrici nazionali
- La ricerca indipendente promossa da Telethon per le malattie genetiche rare
- Il ruolo dell'industria nello sviluppo dei farmaci orfani per le malattie rare
- Le reti europee per le malattie rare: censimento delle reti attive, criticità e prospettive
- Il ruolo delle Associazioni di pazienti per la ricerca sulle malattie rare pediatriche

13.30 LUNCH

SESSIONI SPECIALISTICHE (1)
- Moderatori: ***Giovanni Battista Capasso, Francesco Chiarelli***

Le singole Società illustreranno nella sessione per l'area specialistica di competenza:
- Lo stato dell'arte della produzione scientifica più recente (ultimi 3 anni), per le malattie rare della rispettiva area specialistica
- Lo stato dell'arte sullo sviluppo dei farmaci orfani per malattie rare, frutto sia della ricerca industriale che indipendente, con la partecipazione alle sperimentazioni di gruppi italiani
- La ricognizione dei centri pediatrici che sono stati accettati nella rete europea di riferimento (ERN) per le malattie rare della specialità

GIOVEDÌ, 29 GIUGNO 2017

14.30 ***Malattie emato-oncologiche pediatriche***
a cura della Società Italiana di Ematologia e Oncologia Pediatrica - AIEOP
(Presidente: ***Franca Fagioli***)
Intervengono: ***Franca Fagioli - Marco Zecca - Carmelo Rizzari - Silverio Perrotta***

16.00 ***Malattie nefrologiche pediatriche***
a cura della Società Italiana di Nefrologia Pediatrica - SINEPE (Presidente: ***Luisa Murer***)
Intervengono: ***Luisa Murer - Francesco Emma - Carmine Pecoraro***

16.50 ***Malattie immunologiche pediatriche***
a cura del Gruppo di Immunodeficienze - IPINET-AIEOP (Coordinatore: ***Claudio Pignata***)
Intervengono: ***Claudio Pignata - Alessandro Aiuti - Alessandro Plebani***

17.40 Discussione

18.00 Chiusura lavori prima giornata

VENERDÌ, 30 GIUGNO 2017

SESSIONI SPECIALISTICHE (2)
- Moderatori: ***Franco Cerutti***

9.00 ***Malattie respiratorie infantili e fibrosi cistica***
a cura della Società Italiana per le Malattie Respiratorie Infantili - SIMRI
(Presidente: ***Renato Cutrera***) e della Società Italiana per lo Studio della Fibrosi Cistica - SIFC
(Presidente: ***Valeria Raia***)
Intervengono: ***Francesca Santamaria - Valeria Raia***

9.50 ***Malattie endocrinologiche pediatriche***
a cura della Società Italiana di Endocrinologia e Diabetologia Pediatrica - SIEDP
(Presidente: ***Franco Cerutti***)
Intervengono: ***Marco Cappa – Graziano Grugni – Antonio Balsamo***

10.40 ***Malattie metaboliche ereditarie***
a cura della Società Italiana per lo Studio delle Malattie Metaboliche Ereditarie e lo Screening Neonatale - SIMMESN (Presidente: ***Carlo Dionisi Vici***)
Intevengono: ***Carlo Dionisi Vici – Daniela Concolino – Francesco Porta***

11.30 ***Malattie gastroenterologiche e epatologiche pediatriche***
a cura della Società Italiana di Gastroenterologia Epatologia e Nutrizione Pediatrica - SIGENP (Presidente: ***Carlo Agostoni***)
Intervengono: ***Mara Cananzi - Gabriella Nebbia - Giusy Ranucci***

12.20 Discussione

13.00 LUNCH

VENERDÌ, 30 GIUGNO 2017

SESSIONI SPECIALISTICHE (3)
- Moderatori: ***Andrea Bartuli, Giovanni Cioni***

14.00 ***Malattie genetiche pediatriche e sindromi malformative***
a cura della Società Italiana di Malattie Genetiche Pediatriche e Disabilità Congenite - SIMGePeD (Presidente: ***Andrea Bartuli***)
Intervengono: ***Giuseppe Zampino - Daniela Melis - Francesca Rocchi***

14.50 ***Malattie neurologiche e neuromuscolari pediatriche***
a cura della Società Italiana di Neuropsichiatria dell'Infanzia e dell'Adolescenza - SINPIA
(Presidente: ***Antonella Costantino***)
e della Società Italiana di Neurologia Pediatrica - SINP (Presidente: ***Raffaele Falsaperla***)
Intervengono: ***Salvatore De Masi - Vincenzo Leuzzi - Carlo Minetti - Anna Rosati***

15.40 ***Malattie reumatologiche pediatriche***
a cura del Gruppo di Studio di Reumatologia Pediatrica della SIP - REUMA
(Coordinatore: ***Angelo Ravelli***)
Intervengono: ***Francesca Minoia – Marco Gattorno – Alberto Tommasini***

16.30 ***Malattie cardiologiche pediatriche***
a cura della Società Italiana di Cardiologia Pediatrica- SICP
(Presidente: ***M.Giovanna Russo***)
Intervengono: ***M.Giovanna Russo – Giuseppe Limongelli***

17.20 Discussione generale. Proposte.

17.45 Questionario di valutazione ECM. Conclusione dei lavori

la ricerca al servizio dei bambini