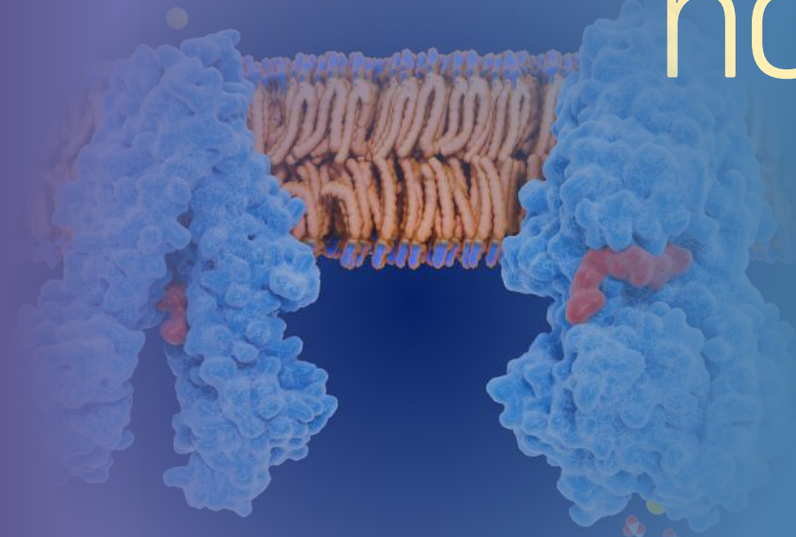
Responsabile Scientifico: **Francesco Blasi**

20 Settembre 2025

GIORNATE PEDIATRICHE:

avanzamenti nella cura della Fibrosi Cistica e strategie per le mutazioni non-



in collegamento dalle ore 14.00

Milano | Firenze | Napoli | Messina

GIORNATE PEDIATRICHE:

avanzamenti nella cura della Fibrosi Cistica e strategie per le mutazioni non-F

La fibrosi cistica (FC) rappresenta la malattia genetica autosomica recessiva più frequente nella popolazione caucasica, con un'incidenza stimata di circa 1 su 2.500 nati vivi. Negli ultimi anni, il panorama della cura della FC ha subito una trasformazione radicale grazie all'introduzione di terapie modulatorie mirate alla proteina CFTR (Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator), in particolare per le mutazioni più comuni come la F508del. Tuttavia, rimane ancora una significativa porzione di pazienti con mutazioni cosiddette "non-F", per i quali l'accesso a terapie efficaci è limitato o inesistente.

Il convegno"Giornate Pediatriche: Avanzamenti nella Cura della Fibrosi Cistica e Strategie per le Mutazioni Non-F" nasce dall'esigenza di aggiornare e formare i professionisti sanitari, in particolare quelli che operano in ambito pediatrico, sulle più recenti innovazioni terapeutiche e gestionali della FC, con un'attenzione specifica alle mutazioni meno comuni. L'obiettivo principale è quello di promuovere un approccio sempre più personalizzato e inclusivo, che tenga conto della variabilità genetica dei pazienti e delle implicazioni cliniche associate.

Nel corso del convegno saranno affrontati i seguenti temi: aggiornamenti sulla fisiopatologia della FC, nuove terapie modulatorie in fase di sviluppo per mutazioni rare, ruolo delle terapie geniche e degli RNA-based therapies, strategie di trattamento sintomatico avanzato, e impatto psicosociale della malattia in età pediatrica. Particolare attenzione sarà rivolta alla diagnosi precoce e all'importanza dello screening neonatale, così come all'interazione multidisciplinare tra pediatri, pneumologi, genetisti, nutrizionisti e psicologi.

Il convegno intende favorire un confronto attivo tra clinici e ricercatori, stimolando una riflessione condivisa su come migliorare la qualità della vita dei bambini affetti da FC e ridurre le diseguaglianze terapeutiche legate alle mutazioni rare. L'evento rappresenta un'opportunità formativa preziosa per orientare la pratica clinica alle più recenti evidenze scientifiche e per promuovere una cultura della cura sempre più innovativa, equa e centrata sul paziente.

Data l'importanza degli argomenti trattati, per permettere ad una platea più ampia di partecipare,
si è deciso di dare la possibilità ai discenti di collegarsi da remoto sia nella prima sessione, sia nella seconda sessione.
Per questi ultimi non è previsto l'ottenimento dei crediti ECM in nessun caso.
I discenti invece che prenderanno parte in presenza all'evento,
potranno ottenere i crediti ECM per la seconda sessione, essendo questa accreditata.

Faculty

Francesco Blasi (Milano) | **Pierre Regis Burgel** (Parigi) | **Vincenzo Carnovale** (Napoli) | **Laura Claut** (Milano) | **Stefano Costa** (Messina) |
Valeria Daccò (Milano) | **Valeria Galici** (Firenze) | **Maria Cristina Lucanto** (Messina) | **Francesca Lucca** (Verona) | **Simona Nigro** (Messina) | **Angela Sepe** (Napoli)
Giovanni Taccetti (Firenze) | **Vito Terlizzi** (Firenze) | **Antonella Tosco** (Napoli) | **Laura Zazzeron** (Milano)

PRIMA SESSIONE NON ACCREDITATA ECM

WEBINAR LIVE e IN PRESENZA

GIORNATE PEDIATRICHE:
avanzamenti nella cura della
Fibrosi Cistica
e strategie per le mutazioni non-

PROGRAMMA

14.00-14.15	**Introduzione al workshop** - Francesco Blasi
14.15-15.00	**Fibrosi cistica in età pediatrica: una nuova gestione?** – Francesca Lucca
15.00-15.45	**The present and the future of Cystic Fibrosis Treatment management** - Pierre-Régis Burgel
15.45-16.00	*Discussione*

20 Settembre 2025

Modalità di partecipazione

Iscrizione gratuita

Da remoto
NON accreditata ECM

In presenza
NON accreditata ECM

Starhotel Anderson
Piazza Luigi di Savoia, 20
20124 Milano
Milano

Hotel L'Orologio
P.za di Santa Maria Novella, 24
50123 Firenze
Firenze

Starhotel Terminus
P.za Giuseppe Garibaldi, 91
80142 Napoli
Napoli

Royal Palace Hotel
Via T. Cannizzaro, 3
98123 Messina
Messina

SECONDA SESSIONE
IN PRESENZA e WEBINAR LIVE
ACCREDITATA ECM
solo per coloro che partecipano IN PRESENZA

GIORNATE PEDIATRICHE:
avanzamenti nella cura della
Fibrosi Cistica
e strategie per le mutazioni non-

PROGRAMMA

Milano
Starhotel Anderson
Piazza Luigi di Savoia, 20

Moderatore: V. Daccò

16.00-16.15
Introduzione - V. Daccò

16.15-16.35
CASO CLINICO 1
Efficacia di Elexacaftor-Tezacaftor-Ivacaftor in un ragazzo con genotipo N1303K/N1303K e infezione cronica da Burkholderia gladioli
L. Claut, L. Zazzeron

16.35-16.55
CASO CLINICO 2
Impatto di Elexacaftor-Tezacaftor-Ivacaftor in una paziente pediatrica con fibrosi cistica
L. Claut

16.55-17.15
CASO CLINICO 3
Complicanze gastrointestinali nella fibrosi cistica: un caso clinico e l'impatto della terapia con modulatori - *L. Zazzeron*

17.15-18.00
Discussione

Firenze
Hotel L'Orologio
P.za di Santa Maria Novella, 24

Moderatore: G. Taccetti

16.00-16.30
Introduzione - G. Taccetti

16.30-16.50
CASO CLINICO 1
Modulatori in età pediatrica: un caso clinico in follow-up a Livorno
V. Terlizzi

16.35-16.55
CASO CLINICO 2
Uso di modulatori in età pediatrica in soggetti con mutazioni non DF508: casistica del Centro Regionale di Riferimento per la Fibrosi cistica
V. Galici

17.10-17.30
CASO CLINICO 3
I potenziali effetti indesiderati delle nuove terapie in età pediatrica: casistica e monitoraggio
V. Terlizzi

17.30-18.00
Discussione

Napoli
Starhotel Terminus
P.za Giuseppe Garibaldi, 91

Moderatore: V. Carnovale

16.00-16.15
Introduzione - V. Carnovale

16.15-16.35
CASO CLINICO 1
Fiore nel deserto
A. Sepe, A. Tosco

16.35-16.55
CASO CLINICO 2
Ritorno al futuro
A. Sepe

16.55-17.15
CASO CLINICO 3
L'ombra del passato
A. Tosco

17.15-18.00
Discussione

Messina
Royal Palace Hotel
Via T. Cannizzaro, 3

Moderatore: M.C. Lucanto

16.00-16.15
Introduzione - M.C. Lucanto

16.15-16.35
CASO CLINICO 1
Non tutto è perduto
S. Costa

16.35-16.55
CASO CLINICO 2
...nata sotto una buona stella!
S. Nigro

16.55-17.15
CASO CLINICO 3
È solo questione di genetica?
S. Costa

17.15-18.00
Discussione

Modalità di partecipazione
Iscrizione gratuita

Da remoto
NON accreditata ECM

In presenza
ACCREDITATA ECM

- Milano
- Firenze
- Napoli
- Messina

20 Settembre 2025

GIORNATE PEDIATRICHE:
avanzamenti nella cura della
Fibrosi Cistica
e strategie per le mutazioni
non-

ECM
Educazione Continua in Medicina

Milano
Starhotel Anderson
Piazza Luigi di Savoia, 20
20024 MILANO

ID ECM: 275-457819
Crediti Formativi ECM: **n. 2,6**

Firenze
Hotel L'Orologio
P.za di Santa Maria Novella, 24
50123 FIRENZE

ID ECM: 275-458047
Crediti Formativi ECM: **n. 2,6**

Napoli
Starhotel Terminus
P.za Giuseppe Garibaldi, 91
80142 NAPOLI

ID ECM: 275-458056
Crediti Formativi ECM: **n. 2,6**

Messina
Royal Palace Hotel
Via T. Cannizzaro, 3
98123 MESSINA

ID ECM: 275-458067
Crediti Formativi ECM: **n. 2,6**

Professioni e Discipline:
▪ MEDICO CHIRURGO ▪
(Discipline: Genetica Medica, Geriatria, Infettivologia, Malattie dell'Apparato Respiratorio, Medicina Interna, Microbiologia e Virologia, Pediatria, Scienze dell'Alimentazione e Dietetica)
▪ BIOLOGO ▪
▪ DIETISTA ▪
▪ FARMACISTA ▪
▪ FISIOTERAPISTA ▪
▪ INFERMIERE ▪
▪ INFERMIERE PEDIATRICO ▪
▪ PSICOLOGO (Discipline: Psicologia, Psicoterapia)
▪ TECNICO DI LABORATORIO BIOMEDICO ▪

Obiettivo Formativo: 3 – Documentazione clinica.
Percorsi clinico-assistenziali diagnostici e riabilitativi, profili di assistenza – profili di cura

Ore formative: 4 (di cui 2 accreditate ECM)

Partecipanti previsti: 25 per ciascuna sede

Con la sponsorizzazione non condizionante di:

Provider ECM (ID 275) e Segreteria Organizzativa

info&med s.r.l.
informazione& formazione& medicina
Via San Gregorio, 12 - 20124 MILANO (Italy)
Mobile +39 338 3999756
caterina.cattaneo@infomed-online.it
www.infomed-online.it

Main Sponsor

VERTEX
THE SCIENCE of POSSIBILITY

Stewart Italia®
CHEMICAL & PHARMACEUTICAL INDUSTRIES Srl