

Sabato 24 Novembre 2018

12.00|13.00 TAVOLA ROTONDA

I Farmaci Orfani

Moderatori: U. Trama, G. Limongelli

Interverranno:

Farmaceutica Regionale: **S. Creazzola, A. Fucile, M. Galdo,**

U. Trama

CPR AIFA: **A. Filippelli**

Esponenti universitari-ospedalieri-territoriali: **A. Capuano,**

F. Rossi

CIRFF: **E. Novellino, E. Menditto, V. Orlando**

OMAR: **I. Ciancealeoni**

CREA Sanità: **F. Spandonaro**

UNIAMO: **T. Iorno**

Discussant: Esperti Clinici

13.00|13.30 QUESTION TIME: cosa abbiamo fatto, cosa
dobbiamo ancora fare insieme

13.30|14.00 Conclusioni - Fine dei lavori

PRESIDENTE DEL CONGRESSO

Vincenzo De Luca, *Presidente Regione Campania*
Commissario ad ACTA per la Sanità Regione Campania

COMITATO TECNICO-ORGANIZZATIVO

Regione Campania

E. Coscioni, A. Postiglione, A. Guida, U. Trama, B. Morgillo

Centro di Coordinamento Malattie Rare

G. Limongelli, G. Scarano, G. Andria, C. De Stasio,

P. Elefante, M. Esposito

Tavolo Tecnico Regionale

A. Ballabio, S. Buono, M. De Giovanni, O. Mazzella,

L. Perrone, G. Piccinocchi, F. Salvatore, R. Scarpa, F. Simonelli,

C. Vita, M. Triggiani

REFERENTI AZIENDALI PRESIDI

G. Cerbone, S. Esposito, A. Filosa, A. Gargiulo, M. Izzo,

A. Maisto, C. Pecoraro, G. Rossi, P. Strisciuglio, P. Tirelli,

L. Vittorioso

COMITATO SCIENTIFICO

Centri eccellenza e/o della rete europea (ERN)

A. Colao, S. De Placido, G. Di Minno, A. Iolascon, R. Iorio,

D. Melis, M. Melone, G. Palmieri, G. Parenti, C. Pignata,

L. Politano, S. Perrotta, V. Raia, M. C. Salerno, F. Santamaria,

L. Santoro, G. Valentini

Centri Ricerca Regionali

G. Andreotti (ICB), G. B. Capasso (Biogem), R. Castello (Tigem),

R. Di Lauro (CEINGE), E. Di Schiavi (IBBR), M. Ursini (IGB)

COMITATO PREMIO RICERCA

G. Andria, *Referente Scientifico Centro Coordinamento*

Regionale Malattie Rare

A. Guida, *Direzione Generale Tutela della Salute*

F. Simonelli, *Gruppo Tecnico di Lavoro Esperti Malattie Rare*

A. Simeone, *Centri Ricerca Regionale*

U. Trama, *U.O. Farmaceutica*

Delos



Segreteria Organizzativa

Delos Communication srl

p.co Comola Ricci, 98 - 80122, Napoli

ph. + 39 081 7142129 - fax +39 081 7141472

info@deloscommunication.it

www.deloscommunication.it



Centro Coordinamento
Malattie Rare
Regione Campania



D.G. Tutela Salute e
Coordinamento del
Sistema Sanitario

La Ricerca sulle Malattie Rare in Campania

#noncosirara

NAPOLI

23/24 novembre 2018

Auditorium - Regione Campania
Centro Direzionale di Napoli - ISOLA C3

Venerdì 23 Novembre 2018

- 8.00|8.15** Registrazione dei partecipanti
8.15|9.15 Saluti delle autorità
V. De Luca, E. Coscioni, A. Postiglione, A. Giordano
9.15|9.45 La Ricerca in Campania sulle Malattie Rare
Introduzione: G. Limongelli
Relatore: G. Andria

I SESSIONE

- Malattie rare e non diagnosticate
Chair: M. C. Salerno, L. Santoro, M. Triggiani
9.45|10.00 Il Network delle malattie senza diagnosi in Campania e nel mondo
A. Ballabio
10.00|10.15 Nuovi metodi diagnostici
V. Nigro
10.15|10.30 Le malattie pediatriche rare e non diagnosticate
N. Brunetti Pierri
10.30|10.45 Discussione
10.45|11.15 Coffe break

II SESSIONE

- Modelli cellulari e animali di malattie rare
Chair: L. Perrone, C. Pignata, F. Santamaria
11.15|11.30 Modelli animali e cellulari un approccio multitasking allo studio, diagnosi e terapia delle malattie rare
A. Simeone - IGB
11.30|11.45 Medicina traslazionale e di precisione
G. B. Capasso - Biogem
11.45|12.00 Modelli non-vertebrati di malattie rare
E. Di Schiavi - IBBR
12.00|12.15 Diagnosi e terapia personalizzate per malattie genetiche rare
G. Andreotti - ICB
12.15|12.30 Terapie molecolari ed editing genomico per le cure delle malattie rare
C. Missero, R. Di Lauro - CEINGE
12.30|12.45 Discussione

III SESSIONE

La ricerca traslazionale, dal laboratorio al letto del paziente: le nuove terapie

Chair: G. Di Minno, R. Iorio, G. Valentini

- 12.45|13.00** Malattie Neuromuscolari
L. Politano
13.00|13.15 Malattie Lisosomiali
G. Parenti
13.15|13.30 Malattie Oculari
F. Simonelli
13.30|13.45 Discussione
Discussant: P. Calabrò, S. Perrotta, A. Pisani, F. Trepiccione
13.45|14.45 Pausa Pranzo
14.45|15.00 Intervento del Presidente della Regione Campania e Commissario in ACTA per la Sanità
V. De Luca
15.00|16.00 TAVOLA ROTONDA
Dalla Ricerca ai modelli assistenziali: l'esempio delle malattie del RAS-MAPK
Moderatori: C. Pecoraro, P. Strisciuglio, G. Tedeschi
Interverranno:
• Il Pediatra: **R. Della Casa, D. Melis, C. Santoro**
• Il Genetista (BMC): **G. Piluso**
• Il Cardiologo: **M. G. Russo, G. Pacileo**
• Il Neurologo: **S. Buono, M. Melone, F. Trojsi**
• Il Dermatologo: **G. Argenziano, G. Fabbrocini**
16.00|16.30 Proclamazione dei vincitori
Concorso "CAMPANIA Got Rare Talents!"
In memoria del Prof. Paolo Limongelli, uomo, medico, ricercatore
Presentazione Lavori - Assegnazione dei premi
16.30|17.00 La parola ai pazienti: cosa pensano i pazienti e le associazioni in Campania?
O. Mazzella (Forum M. Rare)
Discussant: Associazioni di Pazienti con Malattie Rare
17.00|17.30 Conclusioni - Fine dei lavori della giornata

Sabato 24 Novembre 2018

- 8.30|9.00** Saluti della Direzione Generale Tutela della Salute - Regione Campania
A. Guida, P. Buono, U. Trama

IV SESSIONE

- Le Malattie Rare in Campania: ricerca, clinica, governance
9.00|9.30 Le Malattie Rare in Campania: dal DCA 48 ai tavoli regionali: cosa abbiamo fatto in 1 anno, cosa faremo
A. Guida
9.30|10.30 TAVOLA ROTONDA
Registri Malattie Rare
Moderatore: E. Maragò (Quotidiano Sanità)
Interverranno:
• Ministero Salute: **M. E. Congiu, S. Arcà**
• Istituto Superiore Sanità: **D. Taruscio**
• Coordinamento Malattie Rare Regione del Veneto: **P. Facchin**
• Centro Coordinamento Malattie Rare Campania: **G. Limongelli, G. Scarano**
• Rappresentanti Associazione Pazienti: **O. Mazzella, T. Iorno**
10.30|11.30 TAVOLA ROTONDA
European Reference Network, Dall'Europa, all'Italia, alla Campania
Moderatore: Ester Maragò (Quotidiano Sanità)
Interverranno:
• Regione Campania: **A. Guida**
• ERN Campania: **A. Colao, A. Iolascon**
• Coordinamento Europeo ERN: **M. Scarpa**
• Rappresentanti Associazione Pazienti: **O. Mazzella, T. Iorno**
• Istituto Superiore di Sanità: **D. Taruscio**
• Tavolo Interregionale Malattie Rare: **P. Facchin**
Discussant: Referenti ERN Campania, Referenti aziendali
11.30|12.00 Coffe Break