

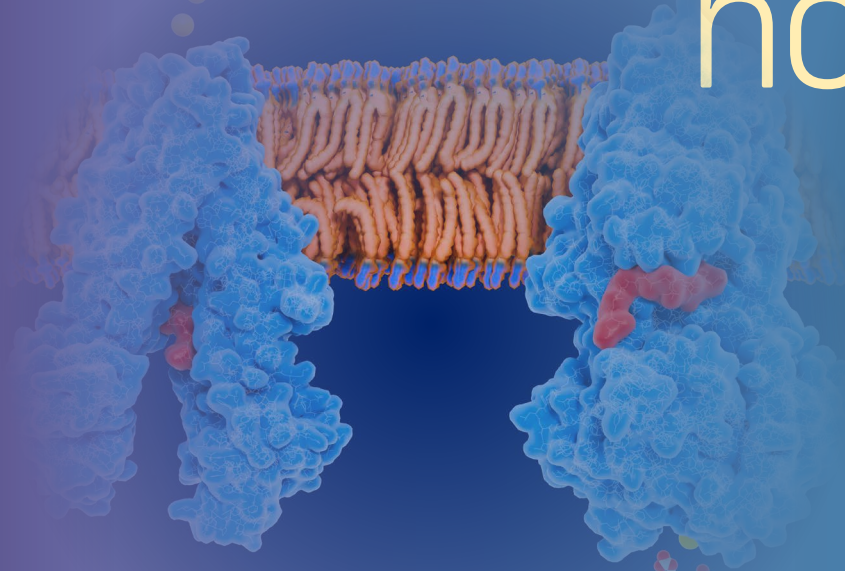
Responsabile Scientifico: **Francesco Blasi**

**20**  
Settembre  
2025

# GIORNATE PEDIATRICHE:

avanzamenti nella cura della

Fibrosi Cistica  
e strategie per le **mutazioni**  
**non-**



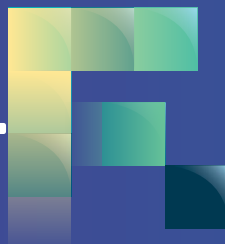
*in collegamento dalle* ore 14.00

Milano  Firenze  Napoli  Messina 

# GIORNATE PEDIATRICHE:

avanzamenti nella cura della

## Fibrosi Cistica e strategie per le mutazioni non-



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 disuguaglianze 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

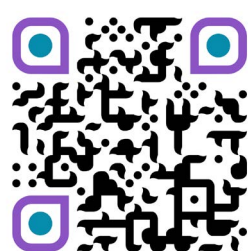
Discussione

## Modalità di partecipazione

Iscrizione gratuita



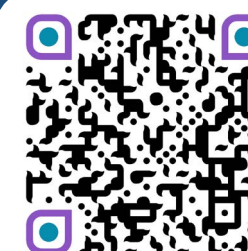
**Da remoto**  
NON accreditata ECM



**In presenza**  
ACCREDITATA ECM



Milano  
Firenze  
Napoli  
Messina



**20**  
Settembre  
2025

# ECM

## Educazione Continua in Medicina

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

### 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**



Via San Gregorio, 12 - 20124 MILANO (Italy)  
Mobile +39 338 3999756  
caterina.cattaneo@infomed-online.it  
www.infomed-online.it

**Main Sponsor**



**Stewart Italia**  
CHEMICAL & PHARMACEUTICAL INDUSTRIES Srl