

Elenco moderatori e relatori

Dott. Bernardino ARTONE, Direttore Distretto Sanitario Sud, AUSL-LT

Dott. Sandro BARTOLOMEO, Primario D.S.M. AUSL-LT
Dott. Bruno BEMBI, Istituto per l'infanzia "Burlo Garofalo" Trieste

Dott. Enrico BERTINI, Laboratorio di Medicina Nucleare, IRCCS Ospedale Bambino Gesù, Roma

Prof. Gianmartino BENZI, European Medicines Evaluation Agency (EMA) / Parlamento Europeo

Dott. Renato BERARDINELLI, U.O. Pediatria di Palidoro, IRCCS Ospedale Bambino Gesù, Roma

Prof. Adriano BOMPIANI, Comitato Europeo di Bioetica

Dott.ssa Paola BOIARDI, Task Force Orphan Drugs, Pavia
Dott. Alessandro P. BURLINA, Dip. Scienze Neurologiche e Psichiatriche, Azienda Ospedaliera, Università di Padova

Dott. Alberto BURLINA, Dipartimento di Pediatria, Azienda Ospedaliera, Università di Padova

Prof. Menotti CALVANI, SIGMA-TAU

Dott. Marco CAPPA, U.O. Pediatria di Palidoro, IRCCS Ospedale Bambino Gesù, Roma

Prof.ssa Adriana CECI, Università di Bari

Dott. Salvatore CIRIGNOTTA, Presidente AUSL Latina

Dott. Carlo V. DIONISI, U.O. di Patologia Metabolica, IRCCS Ospedale Bambino Gesù, Roma

Prof. Antonio FEDERICO, Direttore U.O. Malattie Neurometaboliche, Università di Siena

On. Anna Teresa FORMISANO, Assessore Politiche per la Famiglia e Servizi Sociali, Regione Lazio

Prof. Silvio GARATTINI, Direttore Istituto Farmacologico "Mario Negri" Milano

Prof.ssa Rosanna GATTI, Pediatria - Istituto "Giannina Gaslini", Genova

M. Teresa IMPELLICERI (Vigilatrice d'Infanzia), Rep. Patologia Metabolica, IRCCS Ospedale Bambino Gesù Roma

Dott. Michele LIPUCCI, Vicepresidente EURORDIS (European Organization on Rare Disorders)

Dott.ssa Loredana NASTA, Presidente Uniamo (Federazione Italiana Malattie Rare)

Dott.ssa Francesca PASINELLI, Direttore Scientifico TELETHON

Dott. Giovanni M. RIGHETTI, Presidente dell'Ordine dei Medici Chirurghi e degli Odontoiatri della Provincia di Latina

Dott. Gaetano SABETTA, Responsabile U.O. di Patologia Metabolica, IRCCS Ospedale Bambino Gesù, Roma

On. Vincenzo SARACENI, Ass. alla Sanità, Regione Lazio

Dott.ssa Maria SESSA, Divisione di Neurologia, Università Vita e Salute, IRCCS San Raffaele, Milano

Dott.ssa Domenica TARUSCIO, COMP (Committee for Orphan Medical Products) / Istituto Superiore Sanità Roma

Dott.ssa Graziella UZIEL, Istituto Neurologico "Carlo Besta", Milano

Come raggiungerci

Sede del Convegno: FORMIA (LT)
Centro CONI - Via Appia Lato Napoli n. 175

FORMIASI RAGGIUNGE:

Via strada: dall'Autostrada del Sole A1, uscita Cassino, 28 Km circa, 30 minuti di percorrenza.
Da Roma: Km 142. Da Napoli: Km 86.

Via ferrovia: collegata con treni locali, espressi e intercity. Per i treni Euro Star, cambiare a Roma o Napoli.
Stazione di Formia - centro CONI: circa 3 Km.
Il centro CONI può essere raggiunto con servizio pubblico (autobus) o taxi.

Via aerea: aereoporto di "Capodichino" (Napoli), circa 1 ora di percorrenza. Aereoporto di "Leonardi da Vinci" Fiumicino (Roma), circa 2 ore di percorrenza.

Per sistemazione alberghiera: Associazione alberghiera-ristoratori, FORMIA. Tel. 0771/723896 - 772121 - 770405

Segreteria Scientifica

A.I.L.U. - Associazione Italiana Leucodistrofie Unite
UNIAMO - Federazione Italiana Malattie Rare

Segreteria Organizzativa

Comune di Formia - Assessorato Servizi Sociali

A.I.L.U. - Associazione Italiana Leucodistrofie Unite
Via Don Luigi Sturzo, 46 04023 Formia (LT)
Tel/Fax 0771/24939
E-mail: ailu@libero.it
Sito internet: <http://digilander.iol.it/ailu>

Angelo Romanelli - Capo Sala CAD
ASL Distretto Sud, Formia
Cell. 368/472294

La partecipazione al Convegno è gratuita.
Ai partecipanti sarà rilasciato un attestato di partecipazione.

Per il grande interesse scientifico, sociale e umano, la S.V. è invitata a partecipare.

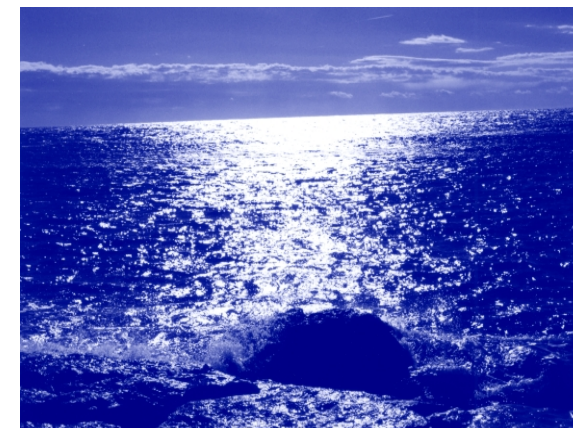


A.I.L.U.

**ASSOCIAZIONE
ITALIANA
LEUCODISTROFIE
UNITE**

Leucodistrofie: affrontiamole insieme

Conoscere, prevenire, curare
**Il futuro delle
Leucodistrofie
nell'ambito delle
Malattie Rare**



4 & 5 aprile 2002

**Sala convegni del centro CONI
in Via Appia Lato Napoli, 175 Formia (LT)**

Con il patrocinio di:

- Alto Patronato Presidente Repubblica Italiana
- Amministrazione provinciale di Latina
- Azienda Sanitaria Latina
- Collegio IP.AS.VI. Latina
- Comune di Formia
- Federazione Italiana Malattie Rare "UNIAMO"
- Forum Terzo Settore Sud Pontino
- IPSSAR "A. Celletti" - Formia
- Ordine dei Medici della Provincia di Latina
- Regione Lazio

Si ringrazia, per il contributo fattivo:

- Assessorato Politiche per la Famiglia e Servizi Sociali della Regione Lazio
- Banca Popolare di Fondi
- Nutricia SpA

L'obiettivo del Congresso è di approfondire i problemi sanitari, sociali, dietetici, medici, scientifici, farmacologici, psicologici e assistenziali delle malattie rare, con particolare riguardo alle leucodistrofie, affinché possa essere anche di aiuto ai malati e loro familiari.

PROGRAMMA

4 Aprile 2002

- Ore 8,30 Registrazione
Ore 9,00 Saluto delle Autorità
Ore 9,30 Apertura dei lavori - Associazione A.I.L.U.

I SESSIONE

MALATTIE RARE: STATO DELL'ARTE E RICERCA

Chairman: **Prof. Adriano Bompiani**

- Ore 9,45 **Dott.ssa Domenica Taruscio**
IL CENTRO NAZIONALE MALATTIE RARE DELL'ISTITUTO SUPERIORE DI SANITA: ATTIVITA NAZIONALI E EUROPEE
- Ore 10,25 **Prof. Silvio Garattini**
LE RISPOSTE DELLE ISTITUZIONI ALLE ASPETTATIVE E AI BISOGNI DEI MALATI: IL CASO "MARIONEGRI"
- Ore 10,50 *Coffee Break*
Chairman: **Prof. Gianmartino Benzi**
- Ore 11,10 **Prof.ssa Adriana Ceci**
Dott.ssa Paola Boiardi
SVILUPPO DI NUOVI FARMACI PER LE MALATTIE RARE

- Ore 11,35 **Dott.ssa Francesca Pasinelli**
TELETHON E LA RICERCA SCIENTIFICA NELLE MALATTIE RARE: RIFERIMENTI ALLE LEUCODISTROFIE
- Ore 12,00 **Prof. Adriano Bompiani**
MALATTIE RARE E FARMACI ORFANI: PROBLEMATICHE ETICHE E SOCIALI
- Ore 12,25 **Dott. Menotti Calvani**
I FARMACI ORFANI E L'INDUSTRIA FARMACEUTICA: QUALE FUTURO?
- Ore 12,50 Discussione
- Ore 13,30 *Lunch Break*

II SESSIONE

LE LEUCODISTROFIE: PARTE I

Chairman: **Prof. Antonio Federico**
Prof. Silvio Garattini

- Ore 14,50 **Prof. Antonio Federico**
LEUCODISTROFIE: DALLA CLINICA ALLA DIAGNOSI, CON PARTICOLARE RIGUARDO ALLE FORME AD ESORDIO TARDIVO
- Ore 15,20 **Dott. Nicola De Stefano**
NUOVE TECNICHE DI RISONANZA MAGNETICA NELLA DIAGNOSI DELLE LEUCODISTROFIE
- Ore 15,50 **Dott. Bruno Bembi**
ANALISI E INQUADRAMENTO DELLE MALATTIE LISOSOMIALI: ULTIMI SVILUPPI
- Ore 16,20 **Dott. Alberto Burlina**
MALATTIA DI CANAVAN: ASPETTI CLINICI E GENETICI, TERAPIE ATTUALI E FUTURE
- Ore 16,50 **Dott.ssa Maria Sessa**
LEUCODISTROFIA METACROMATICA: ASPETTI GENETICI E CLINICI
- Ore 17,20 **Prof.ssa Rosanna Gatti**
MALATTIA DI KRABBE: ASPETTI CLINICI E GENETICI, TERAPIE ATTUALI E FUTURE
- Ore 17,50 Discussione
- Ore 18,50 Fine lavori della prima giornata

5 Aprile 2002

III SESSIONE

LE LEUCODISTROFIE: PARTE II

Chairman: **Dott. Gaetano Sabetta**
Dott. Marco Cappa

- Ore 9,00 **Dott. Alessandro P. Burlina**
MALATTIA DI PELIZAEUS-MERZBACHER: ASPETTI CLINICI E BIOCHIMICI: STATO ATTUALE E PROSPETTIVE FUTURE

- Ore 9,30 **Dott. Enrico Bertini**
MALATTIA DI ALEXANDER E LEUCODISTROFIA MEGALENCEFALICA CISTICA: ASPETTI CLINICI E GENETICI
- Ore 10,00 **Dott. Carlo V. Dionisi**
DIFETTI DELLA BIOGENESI PEROSSISOMIALE: ASPETTI CHIMICI E BIOCHIMICI
- Ore 10,30 **Dott.ssa Graziella Uziel**
ADRENOLEUCODISTROFIA E AMN: ASPETTI GENETICI, CLINICI E DIETETICI; TERAPIE UTILIZZATE E PROSPETTIVE FUTURE
- Ore 11,00 *Coffee Break*
Chairman: **Dott. Sandro Bartolomeo**
Dott. Giovanni M. Righetti

- Ore 11,20 **Dott. Gaetano Sabetta**
PROBLEMATICHE DIETETICHE E PSICOLOGICHE, PARTICOLARMENTE NELLE LEUCODISTROFIE
- Ore 11,50 **Dott. Marco Cappa**
Dott. Renato Berardinelli
PROBLEMATICHE SOCIO-ASSISTENZIALI E SPORTIVE NELL'HANDICAP
- Ore 12,20 **Impelliceri Maria Teresa (Vigilatrice d'infanzia)**
PROTOCOLLI ASSISTENZIALI NELLE MALATTIE RARE, CON PARTICOLARE RIFERIMENTO ALLE LEUCODISTROFIE
- Ore 12,50 Discussione
- Ore 13,30 *Lunch Break*

IV SESSIONE

ASPETTI SANITARI, SOCIALI E ASSISTENZIALI NELLE MALATTIE RARE

Chairman: **Dott. Bernardino Artone**

- Ore 15,00 **Brevi testimonianze**
IL PAZIENTE AFFETTO DA MALATTIA RARA
- Ore 15,20 **Dott. Gaetano Sabetta**
I CENTRI DI RIFERIMENTO REGIONALI PER IL MALATO
- Ore 15,40 **Dott. Michele Lipucci**
Dott.ssa Loredana Nasta
L'ASSOCIAZIONISMO PER LE MALATTIE RARE
- Ore 16,10 **On. Anna Teresa Formisano**
On. Vincenzo Saraceni
Dott. Salvatore Cirignotta
IL RUOLO DELLO STATO, DEGLI ENTI LOCALI TERRITORIALI E LE ASL
- Ore 17,10 **Dibattito**