

## Programma

### LE MALATTIE RARE: LA GLICOGENOSI. MODELLI ORGANIZZATIVI

Moderatori: E. Calzolari, M.R. Tola

- 9.00-9.30 Le malattie rare in ER: il registro e le reti hub e spoke  
E. Di Ruscio
- 9.30-10.00 Il Centro Hub per la Malattia di Pompe Late-Onset  
M.R. Tola
- 10.00-10.30 Il ruolo della Azienda Ospedaliera Universitaria di Ferrara  
D. Fabbri
- 10.30-11.00 Il ruolo dell'associazione  
F. Seidita
- 11.00-11.10 Confronto con gli esperti  
E. Di Ruscio, D. Fabbri, F. Seidita, M.R. Tola
- 11.10-11.30 *Coffee break*

### LA MALATTIA DI POMPE: ASPETTI CLINICI E TERAPEUTICI

Moderatori: L. Merlini, M. Piattella

- 11.30-12.00 La malattia di Pompe: il decorso spontaneo della malattia  
L. Merlini
- 12.00-12.45 Il trattamento enzimatico sostitutivo in Italia: dati acquisiti e problematiche ancora aperte  
B. Bembi
- 12.45-13.00 Confronto con gli esperti  
B. Bembi, L. Merlini
- 13.00-14.00 *Lunch*

### IL TRATTAMENTO ENZIMATICO SOSTITUTIVO IN ER

Moderatori: P. Scanavacca, V. Tugnoli

- 14.00-14.20 La preparazione del farmaco e la sua stabilità  
S. Sferra
- 14.20-15.00 Il protocollo dell'adulto: valutazioni clinico-strumentali  
M. Piattella, E. Sette
- 15.00-15.30 Risultati del trattamento nelle forme late-onset  
V. Tugnoli
- 15.30-15.50 Eventi avversi  
E. Sette
- 15.50-16.10 Confronto con gli esperti  
M. Piattella, E. Sette, S. Sferra, V. Tugnoli
- 16.10-16.30 *Coffee break*
- 16.30-17.30 L'esperienza dei Centri "Infusori": Forlì, Ravenna, Modena  
L. Leroni, W. Neri
- 17.30-18.00 La Ricerca  
F. Conconi
- 18.00-18.15 Il punto su: progressi fatti e questioni ancora aperte  
V. Tugnoli
- 18.15-18.30 Valutazione dell'apprendimento e chiusura dei lavori

4 DICEMBRE 2009

### INFORMAZIONI GENERALI

#### SEDE DEL CONVEGNO

Sala Imbarcadere 2  
Castello Estense  
44100 Ferrara

#### COMITATO SCIENTIFICO

Dott.ssa Elisabetta Sette  
Dott.ssa Valeria Tugnoli  
U.O. Neurologia  
Azienda Ospedaliera Universitaria Ferrara  
Tel. 0532/237469

#### ECM

È stata presentata richiesta di accreditamento per Medici Specialisti in Neurologia, Pediatria e Pneumologia.

#### SEGRETERIA ORGANIZZATIVA



Viale G. Matteotti, 7 - 50121 Firenze  
Tel. 055/5035304 - Fax 055/5001912  
d.saccomani@oic.it

Con la collaborazione di

genzyme