

WORKSHOP

TERAPIE SPERIMENTALI PER MALATTIE NEURODEGENERATIVE

Experimental Therapies For Neurodegenerative Diseases

venerdì 7 luglio 2017

ore 10:00 - 16:30

aula convegni

**Istituto malattie rare
"MAURO BASCHIROTTO" onlus
via B. Bizio n°1 Costozza di Longare VI**

organizzato da

Associazione malattie rare

MAURO BASCHIROTTO ONLUS

con

SPG 47 IL MONDO DI SOFIA

partecipazione gratuita

confermare presenza al 0444 555557 - 0444 555930

e-mail: consulenze@birdfoundation.org

PROGRAMMA

- 10:00 Accoglienza e registrazione dei partecipanti
- 10:15 Presentazione iniziativa
- 10:30 **Dott. Luigi Bartolomei**
Dipartimento di Neuroscienze e Diagnostica - Azienda Ospedaliera Aulss 8 di Vicenza
MALATTIE NEURODEGENERATIVE: L'IMPORTANZA DELLA DIAGNOSI CLINICA
Neurodegenerative Diseases: significance of the Clinical Diagnosis
- 11:10 Interventi dei partecipanti
- 11:20 **Prof. Mimoun Azzouz**
Department of Neuroscience Sheffield Institute for Translational Neuroscience University of Sheffield – UK
GENE THERAPEUTICS FOR NEURODEGENERATIVE DISEASES
Terapia Genica per Malattie Neurodegenerative
- 12:00 Interventi dei partecipanti
- 12:10 **Prof. Franco Pagani**
Human Molecular Genetics Group ICGEB - Trieste
NUOVE STRATEGIE TERAPEUTICHE BASATE SU RNA NELLA CURA DELLE MALATTIE RARE
New therapeutical strategies based on RNA for Rare Diseases
- 12:50 Interventi dei partecipanti
- 13:00 Break
- 14:15 **Dott.ssa Francesca Salvatori**
Sezione di Microbiologia e Patologia – Dipartimento Scienze della vita e Biotecnologie Università di Ferrara
GENE EDITING E VETTORI ERPETICI: NUOVE STRATEGIE SPERIMENTALI PER LA CURA DELL'ATASSIA SPINOCEREBELLARE DI TIPO 1 (SCA1)
Gene Editing and Herpes Vectors: new experimental strategies for Therapy of Spinocerebellar Ataxia type 1
- 14:55 Intervento dei partecipanti
- 15:05 **Dott. Uros Hladnik**
Laboratori di Genetica Medica Istituto Malattie Rare «Mauro Baschirotto» B.I.R.D.–Costozza di Longare (VI)
L'IMPORTANZA della DIAGNOSI GENETICA per la PREVENZIONE e la CURA delle MALATTIE NEURODEGENERATIVE
The significance of Genetical Diagnosis for prevention and Therapy of Neurodegenerative Diseases
- 15:45 Tavola rotonda (Medici, Ricercatori e Famiglie)
TERAPIE SPERIMENTALI PER MALATTIE NEURODEGENERATIVE
Experimental Therapies For Neurodegenerative Diseases
- 16:30 Chiusura dei Lavori

Questo convegno viene organizzato in collaborazione con «**SPG47 il mondo di Sofia**» per lo studio di una possibile cura per questa rarissima forma genetica e per altre Paraplegie Spastiche Ereditarie.

Fin dalla sua nascita l'Associazione Malattie Rare «Mauro Baschirotto» Onlus ha ideato, promosso, iniziato e finanziato Progetti di Ricerca nell'ambito della Terapia Genica di Malattie Neurodegenerative quali la Leucodistrofia Metacromatica e l'Atrofia Muscolare Spinale. Per la cura della Leucodistrofia Metacromatica ha avviato e sostenuto, per più di dieci anni a partire dal 1992, il primo Progetto Mondiale di Terapia Genica all'Istituto San Raffaele di Milano con la direzione del prof. Claudio Bordignon. Tale Progetto ha ottenuto un risultato straordinario annunciato nel 2013 con la cura dei primi 6 bambini (prima sperimentazione mondiale del Sistema Nervoso Centrale con risultato positivo).

Per l'Atrofia Muscolare Spinale ha finanziato, per circa dieci anni a partire dal 1996, il gruppo di ricerca del prof. Patrick Aebischer del CHUV di Losanna per la Terapia Genica con vettori lentivirali del modello murino prodotto dalla prof. Judith Melki.

Tra i Post Doc sostenuti dall'Associazione c'era anche il dott. Mimoun Azzouz. Il Progetto ha segnato un' importante tappa nella ricerca della Terapia Sperimentale dell'Atrofia Muscolare Spinale e della Sclerosi Laterale Amiotrofica.

La nuova sfida: vogliamo ancora correre per la Terapia Genica



dona il tuo 5 per mille indicando il codice fiscale
02037150246 nel campo "Sostegno al Volontariato"



IT 16 N 08807 11800 018008047812 *scrivi per Sofia*

IT 10 P 07601 11800 000017000365 *scrivi per Sofia*

Via B. Bizio, 1 Costozza di Longare (VI) - Tel. 0444.555557 Fax 0444.1429779
www.lemalattierare.org - info@lemalattierare.org

SPG47 il mondo di Sofia