



# LE TERAPIE GENICHE: ATTUALITÀ E PROSPETTIVE

17 Novembre 2020

Dalle ore 14:00 alle 16:30

Le terapie cellulari e geniche, definite anche terapie avanzate, rappresentano una **vera rivoluzione nel mondo della salute**. Utilizzate nelle malattie genetiche dove la causa è il malfunzionamento di un gene, queste terapie hanno lo scopo di sostituire la copia mutata del gene stesso con un'altra perfettamente funzionante, consentendo il ripristino dell'attività cellulare.

Di recente, la terapia cellulare e genica sta riscontrando un ampio consenso nella comunità scientifica. Nei laboratori di ricerca di tutto il mondo gli stanno lavorando su tre grossi filoni di ricerca identificabili nella capacità di **trasferire informazioni genetiche per correggere quelle difettose** o per **istituire nuove funzioni cellulari**, sfruttando a volte anche le cellule staminali, e nella **possibilità di manipolare le cellule del sistema immunitario** rendendole **in grado di attaccare le cellule tumorali**.

Obiettivo del presente webinar è fare il punto sullo **stato di avanzamento della ricerca nella terapia genica**.

Partendo dalla spiegazione del concetto di terapia genica e del suo meccanismo d'azione, verranno poi descritti i primi approcci al trattamento delle malattie genetiche rare e verrà esaminata la situazione attuale, che può essere considerata come il frutto di un processo di avanzamento tecnologico, che oggi ci permette di intervenire a livello dei geni e correggere i difetti che provocano l'insorgenza di patologie spesso letali.

Verranno, inoltre, discussi gli ostacoli relativi all'applicazione della **terapia genica** e delle possibilità attraverso cui superare ogni barriera.

Un focus particolare verrà, infine, dato all'identificazione dei **requisiti richiesti ai centri coinvolti, oltre che delle caratteristiche del candidato ideale**.

**A tale scopo, un panel di esperti riporterà la propria esperienza rispetto a progettualità in corso condividendo i progressi compiuti nella ricerca e nel trattamento di alcune malattie genetiche rare.**



## AGENDA



**14:00 - 14:10** | L'impegno di Pfizer nella terapia genica  
**M. Monterubbianesi**



**14:10 - 14:40** | Cosa è la terapia genica? Dalla storia all'attualità sino alle prospettive future

**M. Pinotti**

**14:40 - 14:50** | Discussione



**14:50 - 15:10** | La terapia genica nel campo dell'emofilia: potenzialità da scoprire e aspetti da chiarire di una nuova prospettiva

**E. Baldacci**

**15:10 - 15:20** | Discussione



**15:20 - 15:40** | La terapia genica nel campo della distrofia muscolare di Duchenne: potenziali vantaggi e aspetti ancora controversi di una nuova prospettiva

**C. Fiorillo**

**15:40 - 15:50** | Discussione



**15:50 - 16:10** | La terapia genica nello scenario clinico: requisiti per un centro somministratore e identificazione dei pazienti candidati

**M.N.D. Di Minno**

**16:10 - 16:20** | Discussione



**16:20 - 16:25** | Conclusioni



## AFFILIAZIONI

**Mirko Pinotti**

*Dipartimento di Scienze della vita e biotecnologie: Sezione di Biochimica e Biologia Molecolare, Università di Ferrara*

**Erminia Baldacci**

*U.O.S. Diagnosi Speciale e Terapia dell'Emostasi e della Trombosi - U.O.C Ematologia Policlinico Umberto I, Roma*

**Matteo Nicola Dario Di Minno**

*Dipartimento di Scienze Biomediche Avanzate, Policlinico Federico II, Napoli*

**Chiara Fiorillo**

*Neurologia Pediatrica e Malattie Muscolari. Ospedale Pediatrico G. Gaslini, Genova*