



Responsabile Scientifico: **Francesco Blasi (Milano)**

20
Settembre
2025

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

firenze

GIORNATE PEDIATRICHE: AVANZAMENTI NELLA CURA DELLA FIBROSI CISTICA E STRATEGIE PER LE MUTAZIONI NON-F

20 SETTEMBRE 2025

Webinar Live e in presenza a Firenze

in&fo&med s.r.l.

Sede legale e Operativa

Via San Gregorio, 12 - 20124 Milano

Tel. +39 02 49453331

Posta certificata infomed-srl@legalmail.it



C.F. e P.I. 01518390990

C.C.I.A.A. di Milano n. 2112775

Capitale Sociale i.v. € 15.000.00





RAZIONALE SCIENTIFICO

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.

Attraverso la partecipazione di relatori esperti e la presentazione di casi clinici, 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.

In definitiva, queste Giornate Pediatriche vogliono essere un momento di crescita e aggiornamento professionale, ma anche un'occasione per rinnovare l'impegno della comunità scientifica e sanitaria nella lotta alla fibrosi cistica, con uno sguardo particolare ai pazienti più fragili e ancora in attesa di risposte terapeutiche.

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.

in&fo&med s.r.l.

Sede legale e Operativa

Via San Gregorio, 12 - 20124 Milano

Tel. +39 02 49453331

Posta certificata infomed-srl@legalmail.it



C.F. e P.I. 01518390990
C.C.I.A.A. di Milano n. 2112775
Capitale Sociale i.v. € 15.000.00





PROGRAMMA SCIENTIFICO

14:00-16:00 PRIMA SESSIONE (NON ACCREDITATA ECM) WEBINAR LIVE E PRESENZA

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 guidata

16.00-18.00 SECONDA SESSIONE: CASI CLINICI WEBINAR LIVE E PRESENZA (ACCREDITATA ECM – SOLO PER I DISCENTI IN PRESENZA)

FIRENZE

Moderatore: Giovanni Taccetti (Firenze)

16:00-16:30 Introduzione – *Giovanni Taccetti (Firenze)*

16:30-16:50 Caso Clinico 1: Modulatori in età pediatrica: un caso clinico in follow-up a Livorno - *Matteo Botti (Livorno)*

16:50-17:10 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 – *Valeria Galici (Firenze)*

17:10-17:30 Caso Clinico 3: I potenziali effetti indesiderati delle nuove terapie in età pediatrica: casistica e monitoraggio - *Vito Terlizzi (Firenze)*

17:30-18:00 Discussione

in&fo&med s.r.l.

Sede legale e Operativa

Via San Gregorio, 12 - 20124 Milano

Tel. +39 02 49453331

Posta certificata infomed-srl@legalmail.it



C.F. e P.I. 01518390990
C.C.I.A.A. di Milano n. 2112775
Capitale Sociale i.v. € 15.000.00

