

## FACULTY

**Massimo Alfieri** - FOP Italia  
**Ermanno Baldo** - Ospedale S. Maria del Carmine, Rovereto, Italia  
**Chris Bedford-Gay** - FOP UK  
**Renata Bocciardi** - Università di Genova – Istituto G. Gaslini, Genova, Italia  
**Betsy Bogard** - IFOPA Global Research Development Director  
**Roberto Bufo** - Presidente Associazione Italiana per l'Eteroplasia Ossea Progressiva  
**Alex Bullock** - University of Oxford, UK  
**Enrico Cristoforetti** - Presidente FOP Italia  
**Maja Di Rocco** - Istituto G. Gaslini, Genova, Italia  
**Marelise Eekhoff** - FOP Stichting Nederland  
**Donna Grogan** - Clementia Pharmaceuticals  
**Mirella Filocamo** - Telethon Network of Genetic Biobanks - Istituto G. Gaslini, Genova, Italia  
**Marie Hallbert Fahlberg** - FOP Sweden and Scandinavia  
**Lousie Juliana** - FOP Malaysia  
**Frederick Kaplan** - University of Pennsylvania, Philadelphia, USA  
**Takenobu Katagiri** - Saitama Medical University, Japan  
**Yllka Kodra** - Centro Nazionale Malattie Rare, Istituto Superiore di Sanità  
**Antoine Lagoutte** - FOP France  
**Moira Liljestrom** - Fundación FOP Argentina  
**Giovanna Mantovani** - Università degli Studi di Milano, Italia  
**Maria Marcheselli** - Consigliere FOP Italia e Vicepresidente UNIAMO  
**Francesco Moresco** - Consiglio Direttivo FOP Italia  
**Rolf Morhart** - Chefarzt Klinik für Kinder und Jugendmedizin Klinikum, Garmisch Partenkirchen, Germany  
**Maurizio Pacifici** - University of Pennsylvania, Philadelphia, USA  
**Robert Pignolo** - University of Pennsylvania, Philadelphia, USA  
**Roberto Ravazzolo** - Università di Genova – Istituto G. Gaslini, Genova, Italia  
**Gonzalo Sanchez** - Leiden University Medical Center, The Netherlands  
**Alessandra Scoglio** - Consiglio Direttivo FOP Italia  
**Eileen Shore** - University of Pennsylvania, Philadelphia, USA  
**Christiaan Scott** - FOP South Africa  
**Irene Snijder** - FOP Stichting Nederland  
**Jim Triffitt** - University of Oxford, UK  
**Paul Yu** - Harvard Medical School, Boston, USA

## Informazioni

Il meeting è rivolto a medici, biologi, farmacisti e tecnici sanitari di laboratorio biomedico. Saranno ammessi 100 partecipanti secondo l'ordine di arrivo delle adesioni e la pertinenza alle discipline di riferimento ai fini ECM

## Registrazione

La partecipazione al meeting è gratuita. Sono previsti una pausa caffè e un lunch per ciascuna giornata. Iscrizioni on-line tramite sito [www.cisef.org](http://www.cisef.org) o scaricando e inviando la scheda alla Segreteria Organizzativa entro il 21 marzo 2014

## Crediti ECM

n.856-89766 - Crediti assegnati: 6  
L'accreditamento ECM è previsto per la sola giornata di venerdì. La presenza dei partecipanti sarà verificata tramite firma di entrata ed uscita. L'apprendimento sarà valutato tramite questionario con domande a risposta multipla

## Tariffe convenzionate b&b presso

Hotel AC\*\*\*\*, c.so Europa 1075, tel. 010 3071180 (accanto alla sede congressuale)  
Hotel Iris\*\*\*, tel. 010 3760703  
raggiungibili a piedi dalla sede dell'evento

## Segreteria Organizzativa

Manuela Aloe  
CISEF Centro Internazionale di Studi e Formazione "Germana Gaslini"  
Via Romana della Castagna 11A,  
16148 Genova  
tel.: 010 5636.2864; fax: 010 56362885  
e-mail: [manuelaaloe@cisef.org](mailto:manuelaaloe@cisef.org)  
sito-web: [www.cisef.org](http://www.cisef.org)



Il CISEF Germana Gaslini è  
Provider Nazionale Accreditato ECM n. 856  
Certificazione ISO9001:2008  
**Direttore CISEF: Antonio Infante**



Istituto Giannina Gaslini

8th International Meeting

# Fibrodysplasia Ossificans Progressiva



**April 4-5, 2014**

**Badia Benedettina della Castagna, Genova**

Evento RES n.856-89766

n. 6 crediti ECM per **Medico** (discipline: Pediatria, Neonatologia, Nefrologia, Cardiologia, Genetica medica, Laboratorio di Genetica medica),  
**Biologo, Farmacista e Tecnico Sanitario di laboratorio biomedico**

OBIETTIVO FORMATIVO TECNICO-PROFESSIONALE n. 18

"Contenuti tecnico-professionali (conoscenze e competenze) specifici di ciascuna professione, specializzazione e attività ultraspecialistica"

## Direttore del corso

**Roberto Ravazzolo**

Università di Genova

UOC Genetica Medica, IRCCS Istituto G. Gaslini, Genova

Con il patrocinio di:  
Regione Liguria e Comune di Genova



Iscrizioni e ulteriori informazioni su  
[www.cisef.org](http://www.cisef.org)

- 8.45 Registration - *Registrazione*  
 9.30 Welcome address - *Saluti di benvenuto*  
 9.55 Introduction - *Introduzione*  
**R. Ravazzolo**

### Pathogenic mechanisms and therapeutic approaches for Fibrodysplasia Ossificans Progressiva

#### Meccanismi patogenetici e approcci terapeutici per la Fibrodisplasia Ossificante Progressiva

- 10.00 FOP: In the Common Interest  
*FOP: nell'interesse comune*  
**Frederick Kaplan**
- 10.30 FOP therapy: steps ahead and implications for the treatment of related diseases  
*Terapia della FOP: progressi e implicazioni per il trattamento di malattie correlate*  
**Maurizio Pacifici**
- 11.00 Molecular mechanisms of activation of mutant ALK2  
*Meccanismi molecolari di attivazione di ALK2 mutante*  
**Takenobu Katagiri**
- 11.30 Coffee break - *Pausa caffè*
- 11.45 Alk2 regulates early chondrogenic fate in FOP endochondral heterotopic ossification  
*Alk2 regola il destino condrogenico precoce nell'ossificazione eterotopica endocondrale della FOP*  
**Eileen Shore**
- 12.15 Resident stem cell populations and targeting ALK2 kinase in FOP  
*Popolazioni residenti di cellule staminali e bersaglio della chinasi ALK2 nella FOP*  
**Paul Yu**
- 12.45 Lunch - *Pranzo*
- 14.00 Overview of FOP Research and Patient Activities in the UK - Potential FOP Therapies: The Oxford Story  
*Ricerca sulla FOP e attività dei pazienti in Inghilterra - Potenziali terapie della FOP: la storia di Oxford*  
**Jim Triffitt - Alex Bullock**
- 14.40 Exploring different approaches to normalize overactive ALK2 signaling in FOP  
*Ricerca di diversi approcci per normalizzare la segnalazione iperattiva di ALK2 nella FOP.*  
**Gonzalo Sanchez**
- 15.10 Regulation of ACVR1 expression and screening of small molecules  
*Regolazione dell'espressione di ACVR1 e screening di piccole molecole*  
**Renata Bocciardi**
- 15.40 GNAS genetic and epigenetic alterations in Progressive Osseous Heteroplasia - Mosaicism in POH - GNAS regulation of Heterotopic Ossification  
*Alterazioni genetiche ed epigenetiche di GNAS nella Eteroplasia Ossea Progressiva Mosaicismo nella POH - Regolazione dell'ossificazione eterotopica da parte di GNAS*  
**Giovanna Mantovani, Robert Pignolo, Eileen Shore**
- 16.25 Coffee break - *Pausa caffè*
- 16.45 A comprehensive global perspective on the natural history of FOP  
*Una prospettiva globale sulla storia naturale della FOP*  
**Robert Pignolo**
- 17.15 Round table on clinical issues of FOP  
*Tavola rotonda sugli aspetti clinici della FOP*  
**Fred Kaplan, Robert Pignolo, Rolf Morhart, Ermanno Baldo, Maja Di Rocco**
- 18.00 Evaluation and satisfaction test  
*Test di apprendimento e gradimento ai fini ECM*

- 8.30 Introduction - *Introduzione*  
**Claudio Montaldo**, Assessore alla Sanità Regione Liguria  
**Silvio Del Buono**, Direttore Sanitario Istituto Giannina Gaslini  
**Mirella Rossi**, Responsabile Regionale ARS sportello e registro Malattie Rare Liguria  
**Michela Buzzari**, Coordinatrice sportello Malattie Rare  
**Paola Mazzocchi**, consigliere Gruppo di consultazione Malattie Rare
- 9.00 Palovarotene: Drug Development and Partnership with the FOP Community  
 Palovarotene: Sviluppo del farmaco e collaborazione con la comunità FOP  
**Donna Grogan**
- 9.30 Evolution on FOP registry development  
*Evoluzione sul registro FOP*  
**Betsy Bogard**
- 9.50 Telethon Biobank for FOP  
*Biobanca Telethon per la FOP*  
**Mirella Filocamo**
- 10.10 National and European politics for rare diseases  
*Politiche nazionali ed europee per le malattie rare*  
**Yilka Kodra**
- 10.30 Coffee break - *Pausa caffè*
- 10.45 IPOHA Association  
*L'Associazione IPOHA*  
**Roberto Bufo**
- 11.00 International Presidents' Council  
*Consiglio internazionale dei Presidenti*  
**Maira Liljesthröm**
- 11.15 Developing European alliance with associations: UNIAMO and EURORDIS  
*Sviluppare le alleanze europee con le altre associazioni: UNIAMO e EURORDIS*  
**Maria Marcheselli**
- 11.30 BBMRI.EU and European FOP Consortium  
 BBMRI.EU e Consorzio europeo sulla FOP  
**Irene Snijder e Marelise Eekhoff**
- 11.45 FOP in Africa: awareness leads to diagnosis  
*La FOP in Africa: la conoscenza porta alla diagnosi*  
**Christiaan Scott**
- 12.00 Round Table: Are we ready for drug experimentation in patients?  
*Tavola Rotonda: Siamo pronti per la sperimentazione di farmaci nei pazienti?*  
**Massimo Alfieri, Chris Bedford-Gay, Antoine Lagoutte (FOP France), Maira Liljesthröm (Fundación FOP Argentina), Marie Hallbert Fahilberg (FOP Svezia e Scandinavia), Lousie Juliana (FOP Malaysia), Christiaan Scott (FOP Sud Africa)**
- 12.45 Conclusions - *Conclusioni* - Consiglio Direttivo FOP Italia: **Francesco Moresco, Alessandra Scoglio, Enrico Cristoforetti**
- 13.00 Lunch - *Pranzo*
- 14.15 Doctors meet patients  
*I Dottori incontrano i pazienti*  
**Ermanno Baldo, Maja Di Rocco, Fred Kaplan, Rolf Morhart, Robert Pignolo**
- 14.30 Assemblea generale Associazione FOP Italia Onlus
- 16.00 Meeting of FOP Associations and Clinical Representatives: FOP Registry  
*Incontro Rappresentanti Associazioni FOP e Referenti Medici: Registro FOP*