

# XVI CONVEGNO TRIENNALE

SUI PROBLEMI CLINICI E SOCIALI  
DELL'EMOFILIA E DELLE MALATTIE  
EMORRAGICHE CONGENITE

**VERSO L'INNOVAZIONE...  
CON 20 ANNI DI ESPERIENZA**

NAPOLI 9 - 12 NOVEMBRE 2017

Con particolare emozione ed entusiasmo vi diamo il benvenuto a Napoli per il XVI Convegno Triennale sui problemi clinici e sociali dell'emofilia e delle malattie emorragiche congenite, che ritorna in terra campana a distanza di 21 anni dallo storico Convegno che sancì la costituzione di AICE e FedEmo. Un ventennio di continua evoluzione e crescita per la comunità italiana dell'emofilia, che ha visto il consolidamento dell'organizzazione dei Centri e lo sviluppo di una rete di collaborazioni cliniche e scientifiche che ha portato l'assistenza e la ricerca italiana nel settore a livelli di eccellenza. Celebriamo dunque il ventennale e, con tutta la consapevolezza del percorso compiuto, ci proiettiamo nel prossimo triennio associativo, in un momento davvero epocale per le innovazioni che stanno ampliando gli orizzonti del trattamento dell'emofilia.

Le prospettive emerse dai trial clinici degli ultimi anni stanno diventando o possono a breve rappresentare opzioni concrete a disposizione di medici e pazienti e la nostra Comunità è pronta a raccogliere le sfide di questi cambiamenti, per essere in grado di offrire le migliori scelte di trattamento in termini di efficacia e sicurezza. In questo clima di grande fervore scientifico e con la carica del rinnovato interesse e della crescente partecipazione alle attività associative che abbiamo sperimentato in questi tre anni, ci apprestiamo a vivere un Convegno dal programma davvero ricco ed intenso: ringraziando vivamente chi lo ha reso possibile, dai Soci Sostenitori ai Consigli Direttivi AICE e FedEmo, dalle Commissioni AICE all'Agenzia organizzativa, auguriamo a tutti di continuare a lavorare insieme, per guardare al futuro delle innovazioni, con la ricchezza e la solidità delle esperienze che le nostre Associazioni custodiscono.

Cristina Cassone, Presidente FEDEMO

Giovanni Di Minno, Presidente AICE

# XVI CONVEGNO TRIENNALE

SUI PROBLEMI CLINICI E SOCIALI  
DELL'EMOFILIA E DELLE MALATTIE  
EMORRAGICHE CONGENITE

VERSO L'INNOVAZIONE...  
CON 20 ANNI DI ESPERIENZA

Presidente del Convegno **Prof. Giovanni Di Minno**



## Associazione Italiana Centri Emofilia - AICE

Giovanni Di Minno  
Massimo Morfini  
Hamisa Jane Hassan  
Elena Santagostino  
Angelo Claudio Molinari  
Rita Carlotta Santoro  
Annarita Tagliaferri  
Antonio Coppola

**Presidente**  
**Past President**  
**Rappresentante ISS**  
**Vice Presidente e Consigliere**  
**Consigliere**  
**Consigliere**  
**Consigliere**  
**Segretario**



## Federazione delle Associazioni Emofilici - FedEmo

Cristina Cassone  
Alberto Garnero  
Stefania Farace  
Giuseppe Mazza  
Luca Montagna  
Daniele Preti  
Francesca Loddo  
Simone Sandri  
Barbara Ponte

**Presidente**  
**Vice Presidente**  
**Segretario Generale**  
**Consigliere**  
**Consigliere**  
**Direttore Esecutivo**  
**Segreteria Presidenza**  
**Project Manager**  
**Project Manager**

In collaborazione con **Fondazione Paracelso**



Andrea Buzzi

**Presidente**





PROGRAMMA

9 NOVEMBRE

- 14.00 - 17.00 Consiglio Direttivo AICE
- 15.00 - 18.00 Riunione Redazione AICEonline
- 17.00 - 19.00 Riunioni Commissioni  
Qualità dei Laboratori - Studi Clinici - Studio Artropatia
- 18.00 - 20.00 Riunione Commissione Farmacocinetica

10 NOVEMBRE

- 08.30 - 10.30 Riunioni Commissioni  
AICE & Associazioni - Linee Guida
- 09.30 - 12.30 Riunione Commissione Genetica
- 10.30 - 12.30 Riunione Commissione Emoweb
- 12.30 Benvenuto e RegISTRAZIONI
- 13.30 APERTURA DEL CONVEGNO**  
Saluti delle Autorità  
Saluti e comunicazioni del Presidente AICE - Giovanni Di Minno  
Saluti e comunicazioni del Presidente FEDEMO - Cristina Cassone  
Saluti e comunicazioni del Presidente di Fondazione Paracelso - Andrea Buzzi

#### **14.00 SIMPOSIO - LA TERAPIA DELL'EMOFILIA, VERSO IL DOMANI**

Moderatori: Maria Gabriella Mazzucconi - Cristina Cassone

- 14.00 Concentrati attuali di FVIII/IX: risultati, costo/benefici, prospettive - Giancarlo Castaman
- 14.20 Terapia non sostitutiva: a che punto siamo - Elena Santagostino
- 14.40 Terapia genica: progressi e prospettive - Flora Peyvandi
- 15.00 Le novità terapeutiche: il punto di vista dei pazienti - Giuseppe Mazza
- 15.20 Discussione

#### **15.30 SIMPOSIO - L'EMOFILIA E LA RICERCA, IN ITALIA, NEL MONDO, VERSO IL FUTURO**

Moderatori: Giovanni Di Minno - Pier Mannuccio Mannucci

- 15.30 La ricerca clinica in emofilia in Italia - 20 anni di AICE - Angiola Rocino - Massimo Morfini
- 15.50 La ricerca in Italia: verso quale futuro? - Luigi Nicolais
- 16.10 **Special Lecture**  
Towards innovation, research scenarios in hemophilia - William Keith Hoots



16.40 Discussione  
16.50 Premiazioni - **Idee Giovani per la Ricerca AICE**  
Pier Mannuccio Mannucci - Guglielmo Mariani - Massimo Morfini

17.00 Break

**17.30 Simposi Sponsorizzati (Fuori campo ECM)**

19.15 Termine dei lavori | giornata

11 NOVEMBRE

**08.30 ASSEMBLEA SOCI AICE (IN PARALLELO ASSEMBLEA FEDEMO)**

08.30 Presentazione dei candidati al Consiglio Direttivo e nomina della Commissione Elettorale  
08.45 Aggiornamento Emoweb e Registro Prospettico AICE - Emily Oliovecchio, Elena Santagostino  
09.00 Aggiornamenti lavori Commissioni AICE  
Redazione AICEonline - Emanuela Marchesini; Genetica - Giancarlo Castaman; Qualità Laboratori - Angelo Claudio Molinari, Rita Carlotta Santoro; Farmacocinetica - Massimo Morfini; Studio Artropatia - Luigi Piero Solimeno;  
AICE-Associazioni - Gabriella Gamba  
09.50 Aggiornamento Raccomandazioni AICE emofilia - Antonio Coppola, Angiola Rocino  
10.10 Aggiornamento Studi in corso - Annarita Tagliaferri  
Nuove proposte di studio - Massimo Franchini, Massimo Morfini, Maria Elisa Mancuso  
10.30 Break

**11.00 Simposi Sponsorizzati (Fuori campo ECM)**

**12.30 SESSIONE - MALATTIE EMORRAGICHE CONGENITE: RAPPORTI CON LE ISTITUZIONI**

Moderatori: Laura Contino - Hamisa Jane Hassan

12.30 Stato dell'arte implementazione Accordo Stato Regioni MEC  
Cristina Cassone - Laura Contino

12.50 Aggiornamenti previdenziali e legislativi - Cristina Cassone, Marco Calandrino

13.05 Progetti di cooperazione internazionale - Emanuela Marchesini

13.20 Discussione

13.30 Colazione di lavoro

**14:30 SESSIONE - TEMI SOCIALI**

Moderatori: Chiara Biasoli - Andrea Buzzi

14.30 Nonostante l'emofilia. Un'indagine qualitativa sugli atteggiamenti resilienti degli emofilici italiani e le loro famiglie - Luca Negri

14.45 Progetto Sport - Stefania Farace

15.00 Barriera Zero. L'esperienza di un progetto dedicato agli adolescenti emofilici - Andrea Buzzi

15.15 Discussione

**15.30 Simposi Sponsorizzati (Fuori campo ECM)**

17.30 Break & Poster Session

**18.30 SESSIONE – COMPREHENSIVE CARE**

Moderatori: Massimo Morfini , Cosimo Pietro Ettorre

18.30 Terapie anti-HCV: accesso e dati in pazienti con MEC - Maria Elisa Mancuso

18.45 Artropatia emofilica: progressi e prospettive

Matteo Nicola Dario Di Minno - Luigi Piero Solimeno - Clarissa Bruno

19.15 Donna e coagulopatie - Cristina Santoro

19.30 Discussione

19.45 Proclamazione vincitori **Premi in memoria del Prof. Raffaello de Biasi**  
per i migliori abstract di giovani ricercatori e per le migliori pubblicazioni 2014-2017

20.15 Termine dei lavori Il giornata

**12 NOVEMBRE**

**08.30 SESSIONE – TRA RICERCA E CLINICA: COMUNICAZIONI ORALI**

Moderatori: Raimondo De Cristofaro - Massimo Franchini

Presentazione dei 10 migliori contributi scientifici [6 minuti + 3 minuti di discussione]



**10.00 TAVOLA ROTONDA - EMERGENZE NELLE MALATTIE EMORRAGICHE CONGENITE**

**Accrescere consapevolezza e approcci condivisi**

Moderatori: Paola Caporaletti - Cristina Cassone - Angelo Claudio Molinari

10.00 Focus on: emorragia cerebrale, dati AICE - Ezio Zanon

10.10 Stato, esperienze e prospettive - Intervengono:

Annarita Tagliaferri (AICE)

Maria Pia Ruggeri (SIMEU)

Paola Giordano, Lucia Peccarisi (AICE/SIMEUP)

Simone Sandri (FEDEMO)

10.50 Discussione

11.00 Break

**11.30 Simposi Sponsorizzati (Fuori campo ECM)**

**12.30 SESSIONE - HOT TOPICS**

Moderatori: Rita Carlotta Santoro - Maria Messina

12.30 La Medicina di precisione nelle MEC - Giovanni Di Minno

12.50 Il laboratorio di coagulazione nell'era delle novità terapeutiche - Armando Tripodi

13.10 Aggiornamento raccomandazioni AICE per il trattamento dell'emofilia - Antonio Coppola

13.30 Discussione

13.40 Saluto dei Presidenti e dei nuovi Consigli AICE - FedEmo

13.50 Conclusione dei lavori





SIMPOSI SPONSORIZZATI

**Venerdì 10 novembre 2017**

17.30 SIMPOSIO SPONSORIZZATO ROCHE (fuori campo ECM)



Gli Anticorpi monoclonali: una nuova prospettiva terapeutica nell'emofilia A  
Giancarlo Castaman - Maria Elisa Mancuso

18.15 SIMPOSIO SPONSORIZZATO BIOVILLIX (fuori campo ECM)



Nuove prospettive di trattamento bypassante con FVII nativo:  
gestione dei sanguinamenti in presenza dell'inibitore per il fattore VIII  
Moderatore: Matteo Nicola Dario Di Minno  
Relatore: Davide Matino

18.45 SIMPOSIO SPONSORIZZATO GRIFOLS (fuori campo ECM)



Management of inhibitors in poor prognostic patients  
(Gestione degli inibitori nei pazienti a prognosi negativa)  
Relatore: Alessandra Borchiellini

**Sabato 11 novembre 2017**

11.00 SIMPOSIO SPONSORIZZATO BAYER (fuori campo ECM)



Dall'innovazione alla protezione nella Real Life: l'impegno Bayer nel presente e nel futuro  
Moderatori: Antonio Coppola - Rita Carlotta Santoro  
Caso clinico pediatrico - Erminia Baldacci  
Caso clinico adulto - Rita Carlotta Santoro  
Nuovi orizzonti e nuove opportunità di cura - Cristina Santoro

11.30 SIMPOSIO SPONSORIZZATO SOBI (fuori campo ECM)



Progress, quando l'innovazione diventa sostenibilità  
Moderatori: Annarita Tagliaferri - Rita Carlotta Santoro  
L'esperienza pratica in emofilia A e B - Ezio Zanon  
L'innovazione sostenibile - Carlo Lazzaro  
Conclusioni  
Annarita Tagliaferri, Rita Carlotta Santoro

12.00 SIMPOSIO SPONSORIZZATO SHIRE (fuori campo ECM)



Nuove frontiere nella gestione del trattamento del paziente con emofilia congenita  
Moderatore: Elena Santagostino  
Evoluzione continua dello standard of care e personalizzazione dei prodotti ad emivita prolungata  
Antonio Coppola  
Innovazioni terapeutiche per il miglioramento della pratica clinica: efficacia ed efficienza del  
trattamento personalizzato - Ezio Zanon

15.30 SIMPOSIO SPONSORIZZATO SHIRE (fuori campo ECM)



aPCC: sicurezza ed efficacia in 40 anni di utilizzo  
Moderatore: Angiola Rocino  
Evoluzione storica della terapia con bypassanti - Angiola Rocino  
Sicurezza ed efficacia: 40 anni di esperienza - Alessandro Gringeri

16.00 SIMPOSIO SPONSORIZZATO CSL BEHRING (fuori campo ECM)



Innovare in emofilia... una questione di trasporto! - Maria Elisa Mancuso



16.45 SIMPOSIO SPONSORIZZATO NOVO NORDISK (fuori campo ECM)



Cambiare il paradigma del trattamento in emofilia B: verso una migliore qualità di vita

Moderatori: Elena Santagostino - Giovanni Di Minno

Benvenuto ed introduzione - Elena Santagostino - Giovanni Di Minno

Sfide ed opportunità nel monitoraggio dei fattori con emivita estesa: focus su nonacog beta pegol - Armando Tripodi

Prolonging half-life and increasing factor activity levels in haemophilia B with nonacog beta pegol:

taking life on with a once weekly fixed dosing - Stephanie Seremetis

Q&A, discussione e conclusioni

**Domenica 12 novembre 2017**

11.30 SIMPOSIO SPONSORIZZATO KEDRION (fuori campo ECM)



Il Fattore VIII ricombinante da linea cellulare umana non modificato: dagli studi clinici alla real life

Moderatore: Elena Santagostino

Focus sui PUPs: efficacia e sicurezza dallo studio NuProtect - Angiola Rocino

Verso l' ABR zero? La nostra esperienza con la profilassi personalizzata - Federica Valeri

12.00 SIMPOSIO SPONSORIZZATO PFIZER (fuori campo ECM)



Nonacog alfa: nuovi concetti e prospettive emergenti per la personalizzazione del trattamento

Moderatore: Cristina Santoro

Relatore: Massimo Morfini





# COMUNICAZIONI ORALI



12 NOVEMBRE

**8:30 SESSIONE: TRA RICERCA E CLINICA**

Moderatori: Raimondo De Cristofaro, Massimo Franchini

THE EFFECT OF ENHANCED COLLAGEN IV BINDING IN A HEMOPHILIA B MODEL OF EXERCISE-INDUCED MUSCLE BLEEDING

**Matino D., Iorio A., Stafford D., Chan A.**

AN OPTIMIZED IN VITRO EXPRESSION PLATFORM IDENTIFIES HAEMOPHILIA B NONSENSE MUTATIONS, AND THUS PATIENTS, ELIGIBLE FOR THERAPEUTIC DRUG-INDUCED READTHROUGH

**Branchini A., Ferrarese M., Castaman G., Bernardi F., Pinotti M.**

REVERSION OF NULL SPLICING MUTATIONS CAUSING HEMOPHILIA B THROUGH RNA THERAPEUTICS

**Balestra D., Scalet D., Bernardi F., Pinotti M.**

EXPLORING CHAPERONE-LIKE COMPOUNDS AS INNOVATIVE THERAPEUTIC CORRECTION APPROACH FOR FACTOR IX MISSENSE MUTATIONS CAUSING TYPE I HAEMOPHILIA B

**Pignani S., Todaro A., Ferrarese M., Marchi S., Lombardi S., Pinton P., Bernardi F., Pinotti M., Branchini A.**



DIFFERENTIAL OCCURRENCE OF B REGULATORY CELLS IN SEVERE HEMOPHILIA A WITH AND WITHOUT INHIBITORS

**Matino D., Gargaro M., Linari S., Puccetti P., Iorio A., Fallarino F., Castaman G.**

GENOTYPE SCREENING AND PHENOTYPE RELATIONSHIPS IN FXI DEFICIENCY: A SINGLE CENTRE STUDY

**Matichecchia A., Quintavalle G., Riccardi F., Coppola A., Rivolta G.F., Tagliaferri A.**

RETROSPECTIVE EVALUATION OF PHENOTYPE AND MANAGEMENT OF A-HYPO-FIBRINOGENEMIA IN A COHORT OF ITALIAN PATIENTS.

**Santoro C., Massaro F., Baldacci E., Ferretti A., Bruzzese A., Santoro R.C., Pasca S., Borchiellini A., Castaman G., Peyvandi F., Mazzucconi M.G.**

JOINT REPLACEMENTS FOR SEVERE HAEMOPHILIC ARTHROPATHY IN PATIENTS WITH INHIBITORS: A LONG-TERM EXPERIENCE AT A SINGLE INSTITUTION

**Carulli C., Rizzo A.R., Linari S., Zago M., Pieri L., Castaman G., Innocenti M.**

DIRECT ACTING ANTIVIRAL DRUGS IN PATIENTS WITH HEMOPHILIA AND CHRONIC HCV INFECTION: A SINGLE CENTER EXPERIENCE

**Mancuso M.E., Aghemo A., Fasulo M.R., Peyvandi F., Santagostino E.**

PATTERN OF OSTEOPENIA/OSTEOPOROSIS AND HYPOVITAMINOSIS D IN PATIENTS WITH MODERATE HEMOPHILIA A AND B

**Linari S., Pieri L., Castaman G.**



## INFORMAZIONI

### RESPONSABILE SCIENTIFICO:

Prof. Giovanni Di Minno  
Presidente AICE  
Dipartimento di Medicina Clinica e Chirurgia  
Università degli Studi di Napoli Federico II  
Via S. Panisini, 5 - 80131 Napoli

### SEDE DEL CONVEGNO:

EUROSTAR HOTEL EXCELSIOR  
Via Partenope, 48  
80121 Napoli

### ACCREDITAMENTO E.C.M.

Il Corso è stato inserito nel Piano Formativo 2017 per l'Educazione Continua in Medicina (ECM) e ha ottenuto **n. 9,1 crediti** per Medici Chirurghi, Biologi, Psicologi, Fisioterapisti, Assistenti Sanitari, Tecnici Sanitari di Laboratorio Biomedico, Tecnici Ortopedici, Tecnici Sanitari di radiologia medica, Infermieri e Infermieri pediatrici.

La legislazione in materia di E.C.M. non prevede l'assegnazione dei crediti formativi a specializzandi e ad altre professioni/discipline mediche.

Per conseguire i crediti è necessario:

- partecipare in misura del 100% ai lavori congressuali.
- riconsegnare al termine dell'evento in segreteria la modulistica debitamente compilata e firmata.

Si ricorda che i crediti verranno inviati via email dopo il Corso, previo riscontro da parte dei responsabili scientifici E.C.M. di almeno il 75% di risposte esatte del questionario di apprendimento.

### PROVIDER ECM E SEGRETERIA ORGANIZZATIVA

Elleventi s.r.l. - Provider ECM ID 5467  
Via Maestro Gaetano Capocci, 11 - 00199 Roma  
Tel.06 89761068 - Fax 06 94804075  
e-mail: info@elleventi.it - web: www.elleventi.it

ELLEVENTI

## MODERATORI E RELATORI

Chiara Biasoli	Cesena	Emanuela Marchesini	Perugia
Clarissa Bruno	Bari	Guglielmo Mariani	Westminster (UK)
Andrea Buzzi	Milano	Giuseppe Mazza	Londra (UK)
Paola Caporaletti	Bari	M. Gabriella Mazzucconi	Roma
Cristina Cassone	Taranto	Maria Messina	Torino
Giancarlo Castaman	Firenze	Angelo Claudio Molinari	Genova
Marco Calandrino	Bologna	Massimo Morfini	Firenze
Laura Contino	Alessandria	Luca Negri	Milano
Antonio Coppola	Parma	Luigi Nicolais	Napoli
Raimondo De Cristofaro	Roma	Lucia Peccarisi	Bari
Giovanni Di Minno	Napoli	Flora Peyvandi	Milano
Matteo N. D. Di Minno	Napoli	Angiola Rocino	Napoli
Cosimo Pietro Ettore	Bari	Maria Pia Ruggeri	Roma
Stefania Farace	Napoli	Simone Sandri	Bologna
Massimo Franchini	Mantova	Elena Santagostino	Milano
Gabriella Gamba	Pavia	Cristina Santoro	Roma
Paola Giordano	Bari	Rita Carlotta Santoro	Catanzaro
Hamisa Jane Hassan	Roma	Luigi Piero Solimeno	Milano
William Keith Hoots	Bethesda, MD (USA)	Annarita Tagliaferri	Parma
Maria Elisa Mancuso	Milano	Armando Tripodi	Milano
Pier Mannuccio Mannucci	Milano	Ezio Zanon	Padova



Si ringrazia per il contributo incondizionato:

 Shire

 CSL Behring  
Biotherapies for Life™

 novo nordisk®

 Roche

 Bayer

 BIOVilix

 KEDRION  
BIOPHARMA

 Pfizer

 sobi  
Pioneer in Rare Diseases

 GRIFOLS