

**sabato 23 marzo 2019 - ore 9,00**

## MEETING CIAMI ONLUS

### A CHE PUNTO SIAMO CON IL TRIAL CLINICO: STATO ATTUALE E SPERANZE PER IL FUTURO

**Dott. FEDERICO MINGOZZI** *Coordinatore progetto CureCN*

**Dott. LORENZO D'ANTIGA** *Dir. Epatologia pediatrica OPG BG*

**Dott. FLAVIO RONCHI** *Dir. scientifico CIAMI Onlus*

Saranno insieme e disponibili ad illustrare il momento che stiamo vivendo nella sperimentazione della terapia genica per la cura del Crigler-Najjar e per dare tutte le risposte possibili alle Associazioni dei pazienti ed alle loro famiglie.

**domenica 24 marzo 2019 - ore 10,30**

## ASSEMBLEA DEGLI ASSOCIATI

### **Ordine del giorno Ass. Ordinaria:**

- 1) Relazione del Presidente
- 2) Relazione bilancio esercizio 2018
- 3) votazione ed approvazione bilancio
- 4) Aggiornamenti sui progetti di terapia genica
- 5) Varie ed eventuali

### **Ordine del giorno Ass. Straordinaria:**

- 1) Modifiche Statuto per adeguamento alla riforma del Terzo Settore in vigore dal 02/08/19

realizzato grazie al contributo di:



### **Segreteria Scientifica:**

Dott. Flavio Ronchi  
Telefono: 360 957358  
E-mail: ronchi@ciami.it

### **Segreteria Organizzativa:**

Dott. Velio Venturi  
Telefono: 337 552779  
E-mail: presidente@ciami.it

### **CIAMI onlus**

organizzazione non lucrativa di utilità sociale  
Prot. n° 33125 Agenzia delle Entrate

Via Ivo Peli, 21 - Casalecchio di Reno (BO)  
Tel. 051 575835  
Codice Fiscale 91210030374  
E-mail: info@ciami.it - www.ciami.it

**DONA IL 5 x mille a CIAMI**

**CRIGLER-NAJJAR**  
ITALIA ONLUS

Associazione  
malati  
iperbilirubinemici

ANNUALE MEETING  
sindrome di Crigler-Najjar



22 / 23 / 24 marzo 2019

**HOTEL MEDITERRANEO**

Riccione

P.le Roma, 3 - 47838 Riccione

venerdì 22 marzo 2019 - ore 9,00

Nella primavera 2019 il Meeting **CIAMI Onlus** è abbinato al Meeting **"CURE CN"**.

Il progetto europeo "CURE CN" è giunto alla fase di sperimentazione clinica con un trial che prevede l'utilizzo di un farmaco ottenuto attraverso l'ingegneria genetica, frutto della collaborazione tra laboratori e centri clinici di diversi paesi europei.

Leader di questa importante ricerca è il **Prof. Federico Mingozzi** che, nel laboratorio **Genethon**, ha coordinato lo sviluppo di tutte le tecniche necessarie per ottenere un farmaco, costituito da un vettore virale contenente il gene sano, il quale dovrà entrare negli epatociti e correggere il difetto presente nel gene mutato, causa della sindrome di **Crigler-Najjar**.

Inoltre questo modello di ricerca e il protocollo usato nel trial clinico potrebbero risultare utili nella cura di altre malattie ereditarie del fegato.

A Riccione saranno presenti i componenti dei consigli direttivi delle associazioni europee di pazienti che hanno fortemente sostenuto la ricerca di questa terapia, della quale si è cominciato a mettere le basi progettuali qualche decennio fa, quando si è anche costituita l'associazione italiana **CIAMI Onlus**.

Negli anni successivi, in diversi stati europei, altri gruppi di pazienti **Crigler-Najjar** si sono costituiti in associazioni che, come la nostra, hanno contribuito a perseguire questo obiettivo comune.

Al Meeting **"CURE CN"** parteciperanno ricercatori e medici in rappresentanza dei laboratori di ricerca e degli ospedali in cui hanno iniziato a trattare i pazienti coinvolti nel trial clinico. Avranno un ruolo determinante anche le Associazioni dei Malati che uniranno le loro idee a quelle degli esperti e dei medici, lavorando in sinergia per raggiungere insieme un obiettivo ambizioso e da sempre sognato.

*per laboratori GENETHON Francia*

FEDERICO MINGOZZI  
SYLVIE COULOMB  
BÉRANGÈRE BERTIN  
PHILIPPE VERON  
SÉVERINE POUILLOT  
FANNY COLLAUD  
NATHALIE KNUCHEL-LEGENDRE  
GERALDINE HONNET

*per Laboratori GENOSAFE Francia*

LAURENCE JEANSON-LEH  
CAROLE MASURIER

*per AP-HP Ospedale "Antoine Bécère" Francia*

PHILIPPE LABRUNE  
ARIANE PERRY  
AURÉLIE HUBERT

*per ACADEMIC MEDICAL CENTER Olanda*

PITER BOSMA  
SEM ARONSON  
LYSBETH TEN BLOEMENDAAL  
XIAOXIA SHI  
FLOOR TIELBEKE

*per MEDIZINISCHE HOCHSCHULE Germania*

NORMAN JUNGE

*per EURICE European Research and Project Office GmbH Germania*

MELANIE HAUPENTHAL  
ANETT PFEIFFER

*per MCTOX Toxicology Consulting GmbH Austria*

MARKO REPIC

*per ULEIC Università Leicester UK*

ALVARO GARCIA CRUZ

*per SEAB Scientific and Ethical Advisory Board*

DON RENZO PEGORARO  
FRANCESCA FALLARINO  
MYLENE BOTBOL-BAUM

*per Azienda Ospedaliera AOPG Bergamo*

LORENZO D'ANTIGA  
ANGELO DI GIORGIO

*per Ospedale Federico II Napoli*

NICOLA BRUNETTI PIERRI  
VIRGINIA GINOCCHIO

*per Laboratori ICGEB Trieste*

ANDRES MURO  
GIULIA BORTOLUSSI

*per Associazione CN Francia*

MARYLÈNE BEINAT  
PHILIPPE BEINAT

*per Associazione CN Olanda*

ANNEMARIE BALK  
PETER DE VETTE  
JACK JANSSEN

*per Associazione CIAMI Italia*

FLAVIO RONCHI  
GABRIELE TOIETTA  
BEATRICE VENTURI  
ROSSANA CANTÙ GROPPI  
VELIO VENTURI

*Il progetto "CURE CN" ha ricevuto i fondi dal programma EUROPEO di ricerca e innovazione HORIZON 2020 con l'accordo di finanziamento n°755225*