



Lunedì 4 Ottobre 2021
Perugia, Sala dei Notari

Preliminary Programm

EPILESSIE MIOCLONICHE PROGRESSIVE (*Progressive myoclonic epilepsies*)

EXPERT MEETING: MALATTIA DI LAFORA E TERAPIE INNOVATIVE (*Lafora disease and innovative therapies*)

- 8:30-9:00 Registrazione partecipanti- Participants registration
- 9:00-9:20 *Introduzione al meeting - Introduction to the meeting: P. Prontera, F. Gatti*
- 9:20-10:00 *Saluti delle autorità - Greetings from the authorities :A. Romizi (Sindaco Comune di Perugia), M. Giannico (Dir. Gen. A.O. PG), M. Caniglia (Dir. Dip. Materno Infantile A.O. PG), V. Talesa (Dir. Dip. Medicina e Chirurgia Università di PG), M. Oliviero (Magnifico Rettore Università di PG)*
- 10:00-10:30 *Moderatori - Chairmans: A. Verrotti, T. A. Cantisani, P. Striano, P. Tinuper*
- 10:30-11:00 **A. Aiuti** (*IRCCS San Raffaele, Telethon Institute for gene therapy*) **Terapie innovative per malattie neurodegenerative; la terapia genica della Leucodistrofia Metacromatica** - *Innovative therapies for neurodegenerative diseases; gene therapy for Metachromatic Leukodystrophy*
- 11:00-11:45 **B. Minassian** (*UT Southwestern Medical Center, Dallas, Texas*) **Storia della Malattia di Lafora (uno sguardo al prossimo futuro)** - *Lafora Disease's History (a view from the near future)*
- 11:45-12:15 **F. Bisulli e F. Pondrelli** (*Irccs Istituto delle Scienze Neurologiche, Università di Bologna*) **Storia naturale e possibili biomarcatori per la prognosi** - *Natural history and potential biomarkers for prognosis*
- 12:15-13:00 *Discussione generale - Discussion*
- 13:00-14:30 *Pausa pranzo - Lunch*
- 14:30-14:45 *Moderatori - Chairmans: R. Michelucci, L. Canafoglia, C. Costa, F. Zara*
- 14:45-15:30 **M. S. Gentry** (*University of Kentucky*) **Trattamento della malattia di Lafora con la tecnologia di fusione anticorpo-enzima** - *Treating Lafora disease with antibody-enzyme fusions*
- 15:30-16:15 **J. M. Serratos, M. Sanchez** (*Fundación Jiménez Díaz, Madrid, Spagna*) **Nuovi modelli sperimentali e riutilizzo dei farmaci** - *New experimental models of Lafora disease and drug repurposing*
- 16:15-16:30 *Interventi programmati e discussione - Scheduled presentations and discussion: R. Michelucci, G. Costantino*
- 16:30-16:50 **D. M. Cordelli** (*Università di Bologna*) **Gestione e ruolo della dieta chetogenica** - *Management and role of the ketogenic diet*
- 16:50-17:10 **S. Mazzone** (*Irccs Istituto delle Scienze Neurologiche, Ospedale Bellaria, Bologna*) **Considerazioni cognitive e psicologiche sullo spettro della malattia di Lafora** - *Cognitive and psychological assessment of Lafora Disease*
- 17:10-17:30 *Discussione generale - Discussion*
- 17:30-17:45 **Anna e Giuseppe Baschirotto** (*Sezione Umbra Associazione Malattie Rare "Mauro Baschirotto"*)
Progetto Terapia Genica Lafora
- 17:45-18:00 *Chiusura - Conclusions: P. Prontera, A. Verrotti*
- 20:30 **Cena di Gala (Gala Dinner)** - *per info e prenotazioni meetinglafora@perugiapost.it*



Comitato scientifico

- Prontera Paolo
- Verrotti Alberto
- Striano Pasquale
- Bisulli Francesca

Responsabile scientifico

- P. Prontera (*Centro di Riferimento Regionale di Genetica Clinica, A.O. PG*)

Segreteria organizzativa

- Fondazione POST
- Perugia Officina della Scienza e Tecnologia
- Associazione Malattie Rare "Mauro Baschirotto"

Iscrizioni

- Fondazione POST
- tel. 075 5736501
- info@perugiapost.it

Collegamento da remoto

<https://www.youtube.com/user/fondazionepost>

<https://www.facebook.com/perugiapost>

Martedì 5 Ottobre 2021

Santa Maria degli Angeli, Palazzo del Capitano del Perdono

10:00 - 13:00 TAVOLA ROTONDA (Riservato a Relatori - Reserved to Speakers)

- Terapie Innovative ASO ed Enzimatiche:** due strade parallele o possibilità di interazione?
Innovative ASO and Enzymatic therapies: two parallel paths or possibilities of interaction?
- Terapia Enzimatica Sostitutiva per Malattia di Pompe:** un utilizzo anche per la Lafora?
Enzyme Replacement Therapy for Pompe Disease: a use also for Lafora?
- Terapia Genica per Laforina e Malina:** problematiche tecniche e applicative
Gene therapy for Laforin and Malin: technical and applicative problems