

8 Febbraio 2015

Ospedale San Raffaele - via Olgettina, 60 - Milano
aula PINTA (Dibit1, piano -1)

**RICERCATORI, CLINICI E PAZIENTI INSIEME IN UN INCONTRO
INFORMATIVO E FORMATIVO PROPEDEUTICO A COMPRENDERE IL
RAZIONALE SCIENTIFICO DELLA TERAPIA GENICA PER LA BETA-TALASSEMIA**

PROGRAMMA

- h. 9.30** Registrazione partecipanti
- h. 10:00** Apertura lavori e benvenuto da parte dello Staff del TIGET - OSR
Un percorso di empowerment nella ricerca
(*Marco Bianchi e Tommasina Iorno*)
- h. 10:15** Comprendere per partecipare: uno studio sperimentale innovativo in costruzione, una opportunità unica di confronto tra pazienti, ricercatori e clinici.
(*Sara Casati*)

DIALOGANDO CON I RICERCATORI E I CLINICI ALLE SOGLIE DI UNO STUDIO DI FASE 1/2

- h. 10:30** Il razionale scientifico: dallo sviluppo del vettore ai dati di efficacia e sicurezza degli studi preclinici
(*Giuliana Ferrari*)
- h. 11:00** Il disegno dello studio clinico & il processo di valutazione, selezione e coinvolgimento dei pazienti candidati.
➤ Una questione aperta: conservazione della fertilità e procreazione se partecipo allo studio.
(*Sarah Markt, Fabio Ciceri, Alessandro Aiuti, Maria D. Cappellini*)
(*Michela Gabaldo, Alessia Daturi*)
- h. 13:30** **LIGHT LUNCH**
- h. 14:30** Nel cuore dello studio clinico.
➤ Fasi, tempi e implicazioni del trattamento
➤ L'importanza del follow-up
➤ I diritti in gioco dei pazienti
(*Sarah Markt, Fabio Ciceri, Alessandro Aiuti, Maria D. Cappellini, Miriam Casiraghi*)
- h. 16.30** **CHIUSURA LAVORI**

Lo spirito della giornata è partecipativo, ogni domanda e ogni richiesta di approfondimento saranno preziose per crescere insieme in un momento così decisivo, di possibile e innovativa svolta di cura, per tutta la comunità dei pazienti affetti da beta-talassemia. Le sessioni saranno facilitate da Sara Casati, in continua interazione con i pazienti e i caregiver, proprio per fare emergere e condividere il bisogno di conoscenza in vista del nuovo studio clinico.

Marco Bianchi – Presidente UNITED Onlus
Tommasina Iorno – Presidente ATDL Onlus
Sara Casati – Bioeticista

Michela Gabaldo – Regulatory affairs Fond. Telethon
Alessia Daturi – Resp. Filo Diretto Fond. Telethon
Miriam Casiraghi – Infermiera di Ricerca TIGET

Giuliana Ferrari – Coord. Ricerca TIGET – Dir. Scient. Studio clinico

Sperimentatori responsabili protocollo clinico

- Alessandro Aiuti –Dirett. UO Immunoematol. Pediat. OSR
- Fabio Ciceri – Dirett. UO Ematologia e Trapianto di Midollo OSR
- Sarah Markt – UO Ematologia e Trapianto di Midollo OSR
- Maria Domenica Cappellini – Dip. di Medicina Interna - Medicina
1A - Fondazione Ca Granda - Università di Milano