

**NEL CUORE DELLA SPERIMENTAZIONE DELLA TERAPIA GENICA  
CON PERSONE AFFETTE DA BETA-TALASSEMIA:**

**un confronto aperto tra pazienti, ricercatori e clinici**

AULA NINA (Dibit1, piano -1) - Ospedale San Raffaele - Via Olgettina 60 Milano

L'ATDL promuove questa II<sup>a</sup> giornata di informazione pubblica: **tutti i partecipanti presenti con le loro domande e commenti daranno il ritmo e l'orientamento del confronto aperto** sui primi risultati della sperimentazione in corso.

Facilita: Sara Casati - BIOETICISTA

- |                      |  |
|----------------------|--|
| <b>09:00 - 10:00</b> | <b>Registrazione</b>   |
| <b>10:00 - 10:15</b> | <b>Saluti a tutti i partecipanti dal gruppo di lavoro</b><br><i>(Tommasina Iorno - Sara Casati - Alessia Daturi - Giuliana Ferrari - Alessandro Aiuti - M. Domenica Cappellini - Fabio Ciceri - Sarah Marktelt)</i>  |
| <b>10.15 - 10.30</b> | <b>IL RUOLO DELLE ASSOCIAZIONI</b><br><i>L'associazione dei pazienti al servizio di una comunità scientifica allargata</i><br><i>(Tommasina Iorno &amp; Angela Iacono)</i>   |
| <b>10.30 - 10.45</b> | <b>COMPRENDERE PER PARTECIPARE CON CONSAPEVOLEZZA....</b><br><i>Partecipare e saper valutare le nuove frontiere e l'impatto della ricerca genica</i><br><i>(Salvatore Lo Re - Sarah Marktelt - Sara Casati in qualità di bioeticista)</i>  |
| <b>10.45 - 11.30</b> | <b>IN DIALOGO CON I TRE PAZIENTI PARTECIPANTI ADULTI</b><br><i>Nel cuore della sperimentazione della terapia genica con i pazienti che hanno partecipato alla fase I dello studio clinico</i><br><i>(Carlo Dettori - Salvatore Lo Re - Susan Ferro )</i>   |
| <b>11.30 - 12.00</b> | <b>DOVE SIAMO ARRIVATI ....</b><br><i>I primi dati di sicurezza ed efficacia</i><br><i>La valutazione positiva del Data Safety Monitoring Board e la discussione nei consessi scientifici</i><br><i>(Giuliana Ferrari - Alessandro Aiuti - M. Domenica Cappellini - Fabio Ciceri - Sarah Marktelt)</i> |
| <b>12.00 - 12.30</b> | <b>IL FOLLOW UP DI UNA SPERIMENTAZIONE CLINICA INNOVATIVA</b><br><i>Come monitoro la salute del partecipante al trial e quali dati scientifici raccolgo nel tempo ...</i><br><i>(Giuliana Ferrari - Alessandro Aiuti - M. Domenica Cappellini - Fabio Ciceri - Sarah Marktelt)</i>                     |
| <b>12.30 - 13.00</b> | <b>I PROSSIMI PASSI</b><br><i>La sperimentazione clinica si apre ai minori</i><br><i>(Giuliana Ferrari - Alessandro Aiuti - M. Domenica Cappellini - Fabio Ciceri - Sarah Marktelt)</i>  |
| <b>13.00 - 13.45</b> | <b>ASPETTATIVE DELLA COMUNITA' DEI PAZIENTI</b>  |
| <b>13.45 - 14.00</b> | <b>CONCLUSIONI - SALUTI - LIGHT LUNCH</b>  |

## FACILITATORI - RELATORI - PARTECIPANTI

Sara Casati - Bioeticista

Tommasina Iorno - Presidente ATDL Onlus

Angela Iacono - Presidente Fondazione "L. Giambrone"

Carlo Dettori - paziente

Salvatore Lo Re - paziente

Susan Ferro - paziente

Alessia Daturi - Fondazione Telethon

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 Marktel - UO Ematologia e Trapianto di Midollo OSR

- Maria Domenica Cappellini - Dip. di Medicina Interna - Medicina 1A - Fondazione Ca Granda -  
Università di Milano