



 **Mitocon**

Insieme per lo studio e la cura
delle malattie mitocondriali

9° Convegno Nazionale sulle Malattie Mitocondriali

Pazienti, famiglie, medici e ricercatori in rete.
Le nuove frontiere della ricerca sulle malattie
mitocondriali.

ROMA, 30 MAGGIO - 2 GIUGNO 2019
HOLIDAY INN ROME EUR PARCO DEI MEDICI

Organizzato da Mitocon - Insieme per lo studio e la cura delle
malattie mitocondriali Onlus

CON IL PATROCINIO DI:



ROMA



SAPIENZA
UNIVERSITÀ DI ROMA

Sin
SOCIETÀ ITALIANA DI NEUROLOGIA

FONDAZIONE
elethon



UNIVERSITÀ
CATTOLICA
del Sacro Cuore

con il patrocinio di
UNIAMO
FEDERAZIONE ITALIANA
MALATTIE MITO
CONDRIALI
Rome - Dicastero Italy

E CON IL PATROCINIO DELL'ISTITUTO SUPERIORE DI SANITÀ

PROGRAMMA SCIENTIFICO

GIOVEDÌ 30 MAGGIO

Sala plenaria

10:00 - 12:30

Riunione Steering Committee del Registro Clinico dei pazienti mitocondriali ed elezione del Comitato di Controllo (riservata)

13:00

Pranzo

Sessioni Scientifiche ECM

Sala plenaria

Durante le sessioni scientifiche è previsto un servizio di traduzione simultanea

13:30

Registrazione partecipanti

14:30

Saluti di benvenuto.
A seguire, testimonianze dai pazienti:
M. G. Camera

Sessione 1:

Storia naturale delle malattie mitocondriali più comuni

Chairman:

Paola Desideri,
Vicepresidente
Mitocon Onlus

Moderatore:

Olimpia Musumeci,
AOU Policlinico
"G. Martino", Messina

15:00

Natural history of m.3243A>G, G. Gorman, Wellcome Trust Centre for Mitochondrial Research, Newcastle University

15:30

Encefalomiopatia neurogastrointestinale mitocondriale (MNGIE), M. Filosto, ASST Spedali Civili e Università degli Studi di Brescia

16:00

Modifica della storia naturale: l'esempio della terapia con nucleotidi/nucleosidi in TK2, M.A. Donati, AOU Anna Meyer, Firenze

16:30

Primary mitochondrial myopathies: from diagnosis to therapy, C. Lamperti, Fondazione IRCCS Istituto Neurologico Carlo Besta, Milano

17:00

Coffee Break



Sessione 2:

Approcci diagnostici

Chairman:

Piero Santantonio,
Presidente Mitocon Onlus

Moderatore:

Michelangelo Mancuso,
AOU Pisana -
Università di Pisa

17:40

The diagnosis of mitochondrial disorders by an integrative "multi-omic" approach, H. Prokisch, German Research Center for Environmental Health, München

18:10

The impact of muscle biopsy in the era of massive genomic sequencing, S. Servidei, Istituto di Neurologia, Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma

18:40

Neuroradiological red flags of mitochondrial disorders, R. Lodi, Università di Bologna

19:10

Chiusura lavori

20:00

Cena



PROGRAMMA SCIENTIFICO

VENERDÌ 31 MAGGIO

Sessioni Scientifiche

ECM

Sala plenaria

Durante le sessioni scientifiche è previsto un servizio di traduzione simultanea

Sessione 3:

Novità e aggiornamenti nel mondo mitocondriale

Chairman:

Paola Desideri,
Vicepresidente
Mitocon Onlus

Moderatore:

Serenella Servidei,
Istituto di Neurologia,
Università del Sacro Cuore,
Roma

8:00

Registrazione partecipanti

8:30

Saluti di benvenuto.
A seguire, testimonianze dai
pazienti: M. Marmotta

9:00

Aggiornamento sui farmaci
potenzialmente dannosi per i malati
mitocondriali, M. Mancuso, AOU Pisana -
Università di Pisa

9:10

Mitochondrial diseases in the ERN-NMD,
R. Horvath, Department of Clinical
Neurosciences, University of Cambridge

9:40

Il ruolo dei pazienti negli ERN,
P. Morandi, ePAG ERN Eye

10:10

Overview nuove sindromi mitocondriali
dell'adulto, V. Carelli, IRCCS Istituto
delle Scienze Neurologiche (ISNB)
Ospedale Bellaria, Bologna

10:40

Overview nuove sindromi mitocondriali
del bambino, E. S. Bertini, Ospedale
Pediatico Bambino Gesù, Roma

11:10

Coffee Break

11:40

Guidelines in mitochondrial
diseases, R. Horvath, Department
of Clinical Neurosciences,
University of Cambridge



Sessione 4:

Selezione Posters e premio Mitoldeas

Chairman:

Paola Desideri,
Vicepresidente
Mitocon Onlus

Moderatore:

Costanza Lamperti,
Fondazione IRCCS Istituto
Neurologico Carlo Besta,
Milano

12:10

Poster 1

12:25

Poster 2

12:40

Poster 3

12:55

Risultati progetto Mitoldeas 2018:
Caratterizzazione del profilo metabolico
nelle Malattie Mitocondriali,
G. A. Primiano, Istituto di Neurologia,
Università Cattolica del Sacro Cuore,
Roma

13:10

Consegna Premio Mitoldeas 2019

Sala Properzio

11:30 - 13:30

MMGIE Consensus Conference meeting
(riservata)

13:30

Pranzo

Sessione 5:

Sperimentazioni
cliniche in corso

Chairman:

Piero Santantonio,
Presidente Mitocon Onlus

Moderatore:

Valerio Carelli,
IRCCS Istituto delle Scienze
Neurologiche (ISBN),
Ospedale Bellaria, Bologna

14:30

Overview trials clinici in corso,
M. Mancuso, AOU Pisana - Università di
Pisa

15:00

Update on BioElectron's Mitochondrial
Drug Development Programs, M. Klein,
Chief Executive Officer of BioElectron

15:30

Advances in the Elamipretide
Development Programs: Updating the
Mitochondrial Community, S. Bergheanu,
MD, PhD Senior Medical Director Stealth
BioTherapeutics



Sessione 6:

Dalla scienza di base alle future terapie

Chairman:

Piero Santantonio,
Presidente Mitocon Onlus

Moderatore:

Valeria Sonia Tiranti,
Fondazione IRCCS Istituto
Neurologico Carlo Besta,
Milano

Attività per pazienti e famiglie:

Consulenze
specialistiche *
Sala Properzio

** su prenotazione*

16:00

Results of GS010 Gene Therapy
in LHON subjects, M. Taiel,
MD, VP of Clinical Development,
GenSight Biologics

16:30

Coffee break

17:10

Exploring new pathways to target
mitochondrial diseases, C. Viscomi,
Medical Research Council Mitochondrial
Biology Unit, University of Cambridge

17:40

Towards therapeutic mitochondrial
genome editing using programmable
nucleases, M. Minczuk, MRC
Mitochondrial Biology Unit, Wellcome
Trust, Cambridge Biomedical Campus

18:10

Gene therapy for mitochondrial diseases:
promises and pitfalls, C. Viscomi,
Medical Research Council Mitochondrial
Biology Unit, University of Cambridge

18:40 - 19:10

MNGIE Consensus Conference, R. Rinaldi,
Neurology Unit, AOSP, Bologna

20:00

Cena

17:00 - 19:00

Consulenza per adulti,
M. Mancuso, AOU Pisana - Università di
Pisa



PROGRAMMA PAZIENTI

SABATO 1 GIUGNO

Attività per pazienti e famiglie

Sala plenaria

Moderatori:

Fabrizio Farnetani, Vice
Presidente Mitocon Onlus
Marzia Giulia Camera,
Mitocon Onlus

8:30

Saluti di benvenuto

8:45

Consulenza genetica nel portatore asintomatico di una mutazione del mtDNA, D. Zuccarello, UOC di Genetica ed Epidemiologia Clinica, AOU Padova

9:15

Aggiornamento sui farmaci potenzialmente dannosi per i malati mitocondriali, M. Mancuso, AOU Pisana - Università di Pisa

9:30

I disturbi del sonno nelle malattie mitocondriali, O. Bruni, La Sapienza Università di Roma

10:00

Overview dal mondo mitocondriale - parte 1, A. Ardisson, Fondazione IRCCS Istituto Neurologico Carlo Besta, Milano

10:30

Overview dal mondo mitocondriale - parte 2, C. Garone, MRC Mitochondrial Biology Unit, Wellcome Trust, Cambridge Biomedical Campus

11:00

Re-designing diagnostic and therapeutic approach to mitochondrial disorders with magic tools: the WAMAZE project, C. Garone, MRC Mitochondrial Biology Unit, Wellcome Trust, Cambridge Biomedical Campus

11:10

Coffee Break



Attività per pazienti e famiglie

Sala plenaria

Moderatori:

Fabrizio Farnetani, Vice
Presidente Mitocon Onlus
Marzia Giulia Camera,
Mitocon Onlus

11:30

Cannabis terapeutica: applicazioni cliniche nelle malattie cronicodegenerative, C. Salvadori, medico di medicina integrata, terapia del dolore e cannabis expert

12:00

Il ruolo del gastroenterologo nelle malattie mitocondriali: realtà e impegno futuro, M. Carello, Ospedale Martini, Torino

12:30

Malattie Rare senza diagnosi: dall'inquadramento alla ricerca di una cura, M. Macchiaiolo, Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Roma

13:00

Lo screening neonatale esteso: stato dell'arte e prospettive future, G. Polo, UOC Malattie Metaboliche Ereditarie, Centro Regionale Screening Neonatale Allargato, AOU Padova

13:30

Pranzo

Attività per pazienti e famiglie:

Laboratori *

14:30 - 16:30

Gruppo genitori: Insieme è possibile,
L. Gentile, Psicologa Clinica,
Psicoterapeuta e Psicologa di Comunità
Sala MINERVA

15:00 - 16:30

Dubbi, perplessità e quesiti su come migliorare la qualità di vita del paziente mitocondriale con l'alimentazione, M. G. Camera,
Biologa Nutrizionista Mitocon Onlus
Sala VENERE

16:30

Mitomerenda

** su prenotazione*



**Attività per pazienti e
famiglie:
Laboratori***

17:00 - 18:30

La gestione del bambino a casa,
A. Mandelli, Anestesista
Rianimatore, Terapia Intensiva
Pediatria ASST FBF Sacco Presidio
Ospedaliero V. Buzzi, Milano e
C. Mastella, Terapista della
Riabilitazione, Coordinatore SAPRE -
Settore Abilitazione Precoce dei
Genitori Unità Operativa di
Neuropsichiatria dell'Infanzia e
dell'Adolescenza Fondazione IRCSS
Ca' Granda - Ospedale Maggiore
Policlinico, Milano
Sala VENERE

Fisioterapia respiratoria,
M. Pelliccioni, Terapista della
Riabilitazione, UILDM - Unione Italiana
Lotta alla Distrofia Muscolare Lazio
Sala MINERVA

**Consulenze
specialistiche ***

Gruppo LHON - ADOA,
Sala CATULLO

15:00 - 17:30

Consulenza per adulti,
Sala ARISTOTELE

S. Servidei, Istituto di Neurologia,
Università Cattolica del Sacro Cuore,
Roma

15:00 - 17:30

Consulenze per bambini,
Sala CICERONE

A. Ardisson, Fondazione IRCCS Istituto
Neurologico Carlo Besta, Milano

E. S. Bertini, IRCCS Ospedale Pediatrico
Bambino Gesù, Roma

20:00

Apericena sociale e Magic Show

** su prenotazione*

PROGRAMMA PAZIENTI

DOMENICA 2 GIUGNO

Sessioni per pazienti e famiglie

Sala plenaria

10:00

Una giornata di orientamento alimentare nel paziente mitocondriale, M. Camera, biologa nutrizionista Mitocon Onlus

10:30

Presentazione attività Mitocon Onlus

11:00

Sviluppo comitati territoriali Mitocon Onlus

12:00

Chiusura Convegno

12:30

Pranzo





**Mitocon Insieme per lo studio e la cura delle
malattie mitocondriali Onlus**

Via F. Benaglia, 13
00153 Roma
www.mitocon.it

Per informazioni:
06 66991333
segreteria@mitocon.it

