

Titolo: F.O.R.W.A.R.D. 2.0 – Fabry Outcomes: Reviewing Real-world Data & 20 Years of ERT - Area Nord

Provider ECM: Ecmclub srl (ID 4946), Via Gallarate 106, 20151 Milano

Segreteria Organizzativa: Axenso srl, Via Gallarate 106, 20151 Milano

Evento n. 4946 - **483839**

Tipologia: FSC

Crediti ECM: 14,4

Accreditato per le seguenti figure sanitarie:

Medico chirurgo

Cardiologia

Endocrinologia

Medicina Interna

Nefrologia

Neurologia

Sede primo incontro residenziale: NH De La Gare, Piazza XX Settembre 2, 40121 Bologna

Sede secondo incontro virtuale: Live webinar - Ecmclub Srl

Sede piattaforma

Ecmclub srl

Via Gallarate 106, 20151, Milano 20151

<https://corsi.ecmclub.org/>

Data e durata

Data inizio: 9 giugno 2026

Data fine: 20 ottobre 2026

Durata effettiva attività formativa: 9

Numero partecipanti: 11

Obiettivo formativo: Documentazione clinica. Percorsi clinico-assistenziali diagnostici e riabilitativi, profili di assistenza - profili di cura. (3)

Razionale del corso

Sono trascorsi oltre due decenni dall'approvazione della prima Terapia Enzimatica Sostitutiva (ERT) per la Malattia di Fabry (Agalsidasi alfa e beta, 2001). In questo arco temporale, la comunità scientifica ha accumulato un patrimonio di dati unico nel panorama delle malattie rare, grazie a registri internazionali (come FOS e Fabry Registry) e numerosi studi osservazionali. Tuttavia, il passaggio dalla "scarsità di opzioni" alla "abbondanza di dati" ha generato un nuovo paradosso clinico: la difficoltà di distinguere segnali robusti da evidenze fragili, tipiche della fase IV e della Real World Evidence.

Attualmente, la letteratura scientifica offre indicazioni a volte eterogenee su outcome a lungo termine, in particolare riguardo alla stabilizzazione della fibrosi cardiaca e al declino del GFR in fenotipi classici vs late-onset. Come evidenziato dalle indicazioni per questa edizione, non è più sufficiente chiedersi "quanti" dati esistano, ma "quali" di questi possiedano la solidità metodologica (controllo dei confondenti, durata del follow-up, hard endpoints) per guidare le scelte terapeutiche.

Inoltre, la gestione moderna del paziente Fabry richiede un focus sempre più attento su aspetti un tempo considerati secondari, come l'immunogenicità (formazione di anticorpi anti-drug) e la tollerabilità, che possono impattare l'efficacia clinica a lungo termine. Questo progetto nasce dalla necessità di fare "ordine" (de-cluttering scientifico) e trasformare 20 anni di esperienza in strumenti operativi. Attraverso un Gruppo di Miglioramento ristretto ed esperto, il progetto mira a filtrare il rumore di fondo per distillare checklist operative e algoritmi decisionali che supportino il clinico nella personalizzazione della cura, definendo con precisione quando iniziare, come monitorare e quando riconsiderare (switch/stop) la terapia.

Programma del Corso

Primo incontro - 9 giugno 2026 - Residenziale

10:30 - 10:45	Welcome e Introduzione	Sandro Feriozzi, Gianni Carraro
10:45 - 11:15	Gerarchia delle Evidenze e Registri	<i>Maria Luisa Zedde</i>
11:15 - 11:45	Organ Protection – Review Critica	<i>Yuri Battaglia</i>
11:45 - 12:30	Discussione sui temi trattati	
12:30 - 13:30	Lunch Break	
13:30 - 14:00	Oltre l'efficacia – Safety & Immunogenicità	<i>Michele Moretti</i>
14:00 - 16:00	Costruzione della "Checklist delle Certezze"	<i>Gianni Carraro</i>
16:00 - 17:00	Wrap-up e Discussione sui temi trattati	<i>Sandro Feriozzi, Gianni Carraro</i>
17:00 - 17:30	Conclusioni	<i>Sandro Feriozzi, Gianni Carraro</i>

Secondo incontro - 20 ottobre 2026 - Live webinar

14:30 - 14:45	Recap e Obiettivi	<i>Gianni Carraro</i>
14:45 - 16:45	Grand Round Clinico: condivisione di esperienze e discussione generale	
16:45 - 17:15	Consensus: Algoritmo Decisionale	Gianni Carraro
17:15 - 17:30	Chiusura Lavori	

Responsabile Scientifico

Sandro Feriozzi

Dirigente Medico specializzato in Nefrologia, Università Campus Biomedico, Roma

Tutor

Gianni Carraro

Dirigente medico specializzato in nefrologia, Azienda Ospedale Università, Padova

Docenti

Nome / Cognome	Codice fiscale	Laurea	Specializzazione	Affiliazione
Yuri Battaglia	BTTYRU81E06F839V	Medicina e Chirurgia	Nefrologia	Ospedale Santa Chiara, Trento
Martina Bollati	BLLMTN93P57A182M	Medicina e Chirurgia	Endocrinologia	Ospedale Molinette, Torino
Gianni Carraro	–	Medicina e Chirurgia	Nefrologia	Azienda Ospedale Università, Padova
Sandro Feriozzi	FRZSDR54B12G135K	Medicina e Chirurgia	Nefrologia	Università Campus Biomedico, Roma
Piero Gentile	GNTPRI87C31I874U	Medicina e Chirurgia	Cardiologia	Ospedale Niguarda, Milano
Michelangelo Mancuso	MNCMHL72P28G702R	Medicina e Chirurgia	Neurologia	Ospedale S. Chiara, Pisa
Giacomo Marchi	MRCGCM86T30L781M	Medicina e Chirurgia	Medicina Interna	Policlinico Borgo Roma, Verona
Michele Moretti	–	Medicina e Chirurgia	Cardiologia	Ospedale S. Chiara, Trento
Angela Perilli	PRLNGL66L45H985Y	Medicina e Chirurgia	Cardiologia	ASL Lanciano-Vasto-Chieti
Laura Maria Scichilone	SCCLMR87T68B429H	Medicina e Chirurgia	Nefrologia	Ospedale Cona, Ferrara
Marialuisa Zedde	ZDDMLS75H28I452Y	Medicina e Chirurgia	Neurologia	Arcispedale S. Maria Nuova, Reggio Emilia