

CORSO ECM RESIDENZIALE

“SMART Rising Together” La voce degli Specialisti emergenti nella cura della SMA
Opportunities in Evolving Therapeutic Landscape

Milano, 15-16 Giugno 2026

RAZIONALE SCIENTIFICO

L'atrofia muscolare spinale (Spinal Muscular Atrophy – SMA) è una patologia neuromuscolare rara il cui decorso naturale è stato profondamente modificato dall'introduzione delle terapie disease-modifying e dallo screening neonatale. Questi progressi hanno determinato un ampliamento dello spettro fenotipico e l'emergere di nuovi scenari clinici, rendendo necessaria una gestione sempre più dinamica e personalizzata, sia in età pediatrica che adulta.

Il panorama terapeutico è caratterizzato da una crescente complessità: nuove generazioni di terapie, strategie multimodali, opzioni di add-on e switch terapeutico pongono il clinico di fronte alla necessità di ridefinire obiettivi, timing e criteri di efficacia. Parallelamente, la crescente sopravvivenza e il miglioramento funzionale dei pazienti rendono sempre più evidente l'importanza di outcome sensibili, capaci di cogliere cambiamenti clinicamente significativi anche “ai margini dello spettro”, superando i limiti delle scale tradizionali.

Il corso si propone di affrontare queste sfide integrando ricerca traslazionale, evidenze cliniche e pratica quotidiana, con un focus sulle nuove opportunità terapeutiche emergenti e sull'evoluzione degli obiettivi di trattamento nella SMA. In un contesto in cui il miglioramento degli outcome richiede di “alzare l'asticella” dell'efficacia terapeutica, diventa fondamentale ridefinire il concetto di risposta al trattamento lungo l'intero spettro di malattia. Parallelamente, l'approfondimento dei modelli di malattia e dei meccanismi biologici sottostanti rappresenta una base essenziale per lo sviluppo di strategie terapeutiche sempre più mirate e personalizzate.

Un elemento distintivo del programma è il coinvolgimento attivo degli specialisti emergenti, valorizzato attraverso sessioni di oral communications e momenti di confronto multidisciplinare. Attraverso il contributo dei Centri italiani per la SMA, il corso intende favorire la condivisione di best practice e un network collaborativo, con l'obiettivo di migliorare la presa in carico globale del paziente e ottimizzare gli outcome clinici nel contesto di un panorama terapeutico in continua evoluzione.

Data di svolgimento: **15 e 16 giugno 2026**

Sede di svolgimento: **DUO MILAN PORTA NUOVA _ Via Gerolamo Cardano, 1, 20124 - Milano**

N. ID ECM: **4252 - 484620**

N. ore formative: **9**

N. crediti ECM: **9**

N. Partecipanti: **30**

Segreteria scientifica e organizzativa: **Edra Media S.r.l.**

Provider ecm: **Edra Media S.r.l. _ ID 4252**

Sponsor: **Biogen Italia S.r.l.**

Quota di iscrizione: **gratuita**

Reclutamento: **indiretto**

Url corso: **<https://cattedra.edraspa.it>**



Edra Media S.r.l.
Viale Enrico Forlanini, 21
20134 Milano - Italia
Tel.: +39 02 881841
Fax: +39 02 88184301
edramedia@pec.it

Iscrizione al Registro delle
Imprese di Milano n. 2779669
P. IVA e C.F. 14392280963
Cap. Soc. € 50.000,00 i.v.

Sede piattaforma: **ELMEC S.p.A. (Via Pret,1 - 21020 Brunello - VA)**

Obiettivo formativo

N.18: Contenuti tecnico-professionali (conoscenze e competenze) specifici di ciascuna professione, di ciascuna specializzazione e di ciascuna attività ultraspecialistica, ivi incluse le malattie rare e la medicina di genere

Area Formativa

Acquisizione competenze tecnico-professionali

DESTINATARI

Professione: medico chirurgo

Discipline: neurologia, neuropsichiatria infantile, pediatria, medicina fisica e riabilitazione

Responsabili Scientifici

- **Silvia BONANNO**_ Neurologo presso SC Neuro4 - Neuroimmunologia e Malattie Neuromuscolari, Fondazione IRCCS Istituto Neurologico Carlo Besta, Milano
- **Maria SFRAMELI** _ Neurologo presso la U.O.S.D. Malattie Neurodegenerative ad elevata complessità assistenziale, AOU Policlinico Universitario "G. Martino", Messina
- **Federica TRUCCO**_ Pediatra Dipartimento di Neuroscienze, Riabilitazione, Oftalmologia, Genetica e Scienze Materno-Infantili (DINOEMI), Università di Genova. Neurologia Pediatrica e Malattie Muscolari, IRCCS Istituto G. Gaslini, Genova

Faculty

- **Enrico Silvio BERTINI**
Responsabile dell'Unità di Malattie Neuromuscolari e Neurodegenerative – Laboratorio di Medicina Molecolare, Dipartimento di Neuroscienze e Neuroriabilitazione dell'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù di Roma
- **Marina Maria BOIDO**
Professore Associato in Anatomia Umana - Dip. Neuroscienze, Università di Torino
- **Silvia BONANNO**
Medico Neurologo presso SC Neuro4 - Neuroimmunologia e Malattie Neuromuscolari- Fondazione IRCCS Istituto Neurologico Carlo Besta, Milano
- **Giorgia CORATTI**
Terapista della neuro e psicomotricità dell'età evolutiva. Ricercatore Universitario a Tempo Determinato MEDS-26/C Università cattolica del Sacro Cuore, Roma
- **Claudia DOSI**
Neuropsichiatra infantile, Fondazione IRCCS Istituto Neurologico Carlo Besta - Milano
- **Giulio GADALETA**
Neurologo, Dipartimento di Neuroscienze "Rita Levi Montalcini", Torino
- **Delia GAGLIARDI**
Neurologo e ricercatrice presso la Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico di Milano
- **Daniela LEONE**
Neuropsichiatra Infantile, Centro Clinico Nemo Pediatrico, Policlinico Universitario A. Gemelli IRCCS, Roma
- **Stefania MARCUZZO**
Neurobiologo, Ricercatore sanitario - Fondazione IRCCS Istituto Neurologico Carlo Besta, Milano
- **Chiara PANICUCCI**
Pediatra, Istituto "Giannina Gaslini" di Genova

- **Agata Katia PATANELLA**
Neurologo, Centro Clinico NeMO Adulti - Fondazione Serena Onlus c/o Fondazione Policlinico Universitario A. Gemelli IRCCS, Roma
- **Maria Carmela PERA**
Neuropsichiatra Infantile_Dirigente Medico di Neuropsichiatria Infantile. Ospedale dei bambini "Barilla" Parma
- **Lucia RUGGIERO**
Dipartimento di Neuroscienze, Scienze Riproduttive ed Odontostomatologiche
Università degli Studi di Napoli Federico II
- **Maria SFRAMELI**
Medico Neurologo presso la U.O.S.D. Malattie Neurodegenerative ad elevata complessità assistenziale, AOU Policlinico Universitario "G. Martino", Messina
- **Federica TRUCCO**
Pediatra, Dipartimento di Neuroscienze, Riabilitazione, Oftalmologia, Genetica e Scienze Materno- Infantili (DINOEMI), Università di Genova. Neurologia Pediatrica e Malattie Muscolari, IRCCS Istituto G. Gaslini, Genova

PROGRAMMA SCIENTIFICO

Lunedì, 15 giugno 2026

13.00 - 13.45 *Light Lunch e Registrazione dei partecipanti*

13.45 - 14.00 Benvenuto, introduzione e obiettivi del corso

S. Bonanno, M. Sframeli, F. Trucco

14.00 - 14.45

OPENING LECTURE | Dalle origini al futuro: un viaggio nella storia della SMA⁽¹⁾ – **E. Bertini**

14.45 – 16.30

ROUND TABLE | Raising the bar: migliorare l'efficacia nel trattamento della SMA

Moderatori: M. Sframeli, F. Trucco

- 14.45 – 15.30 Next-generation therapies: ASO⁽²⁾ evoluti e nuovi orizzonti terapeutici
D. Leone
- 15.30 – 16.15 Strategie multimodali per superare la variabilità clinica – **G. Gadaleta**
- 16.15 – 16.30 Discussione sui temi trattati – **All faculty**

16.30 - 16.45 *Coffee break*

16.45 - 18.15

Oral presentation | Dalla ricerca alla pratica clinica: aggiornamenti e prospettive future

Moderatori: S. Bonanno, D. Gagliardi

Topics

- Biomarcatori e studi preclinici
- Nuove prospettive di ricerca
- Esperienze real life in pratica clinica

Update su progetto di ricerca vincitore oral presentation edizione 2025 – **D. Gagliardi**

18.15 - 18.30 *Votazione della miglior Oral presentation*

Martedì, 16 giugno 2026

9.00 - 10.15

Modelli di malattia - sviluppo di nuovi approcci e personalizzazione delle terapie

Moderatore: S. Bonanno

- 09.00 - 09.20 Oltre il motoneurone: muscolo scheletrico e giunzione neuromuscolare come target nella SMA – **M. M. Boido**
- 09.20 - 09.40 RNA non codificanti nel muscolo scheletrico: dal biomarcatore al target terapeutico nei modelli in vitro paziente-specifici – **S. Marcuzzo**
- 09.40 - 10.00 Approcci multiomici in SMA: uno studio multicentrico italiano – **C. Panicucci**
- 10.00 - 10.15 Discussione sui temi trattati – **All faculty**

10.15 - 10.45 *Coffee break*

10.45 - 11.10 **Hands-on** | Comprendere la risposta oggi: i nuovi fenotipi – **G. Coratti**

11.10 - 11.30 Discussione su Hands-on – **G. Coratti, F. Trucco**

11.30 - 13.00

Definire la risposta terapeutica oggi: “on the edge of the spectrum”

Moderatore: M. Sframeli

- 11.30 - 12.15 **Question Time: Bambino** – **C. Dosi, D. Leone**
- 12.15 - 13.00 **Question Time: Adulto** – **A. K. Patanella, L. Ruggiero**

13.00-14.00 *Lunch*

14.00 - 14.45

JOURNAL CLUB

Moderatore: M. Sframeli

- 14.00 - 14.25 Evidenze longitudinali e massimizzazione degli outcome nel paziente presintomatico – **M. C. Pera**
- 14.25 - 14.45 Expert Forum Discussion su NBS⁽³⁾ - **Discussant: C. Dosi, D. Leone**

14.45 - 15.00 Take home messages e conclusioni – **S. Bonanno, M. Sframeli, F. Trucco**

15.00 - 15.15 *Premiazione Miglior Oral Presentation*

Quiz ecm on line

ACRONIMI:

- 1) **SMA** - Atrofia Muscolare Spinale (Spinal Muscular Atrophy)
- 2) **ASO** – Oligonucleotide antisense (Antisense oligonucleotide)
- 3) **NBS** – Screening neonatale (New Born Screening)

I CURRICULA DEI RESP. SCIENTIFICI, RELATORI e MODERATORI si trovano presso l'archivio del Provider