

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

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

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

Evento n. 4946 - **484685**

Tipologia: FSC

Crediti ECM: 14,4

Accreditato per le seguenti figure sanitarie:

Medico chirurgo
Cardiologia
Medicina Interna
Nefrologia
Neurologia

Sede primo incontro residenziale: Hotel The Hive, Via Torino 6, 00184 Roma

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: 16 giugno 2026

Data fine: 27 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 - 16 giugno 2026 - Residenziale

10:30 - 10:45	Welcome e Introduzione	Sandro Feriozzi, Cinzia Zuchi
10:45 - 11:15	Gerarchia delle Evidenze e Registri	<i>Irene Sitzia</i>
11:15 - 11:45	Organ Protection – Review Critica	<i>Egrina Dervishi</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>Antonia Nucera</i>
14:00 - 16:00	Costruzione della "Checklist delle Certezze"	<i>Cinzia Zuchi</i>
16:00 - 17:00	Wrap-up e Discussione sui temi trattati	<i>Sandro Feriozzi</i>
17:00 - 17:30	Conclusioni	<i>Sandro Feriozzi, Gianni Carraro</i>

Secondo incontro - 27 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

Cinzia Zuchi

Dirigente Medico, Cardiologia e Fisiopatologia Cardiovascolare, Azienda Ospedaliera di Perugia

Docenti

Nome / Cognome	Codice fiscale	Laurea	Specializzazione	Affiliazione
Cinzia Cianfrocca	CNFCNZ60E66H501N	Medicina e Chirurgia	Cardiologia	Ospedale S. Filippo Neri, Roma
Serenella Conti	CNTSNL75L61I921O	Medicina e Chirurgia	Medicina Interna	Ospedale di Spoleto
Egrina Dervishi	–	Medicina e Chirurgia	Nefrologia	Azienda Ospedaliero Universitaria Careggi, Firenze
Sandro Feriozzi	FRZSDR54B12G135K	Medicina e Chirurgia	Nefrologia	Università Campus Biomedico, Roma
Roberta Magnano	MGNRRT85R17L103A	Medicina e Chirurgia	Malattie apparato cardiovascolare	Presidio Ospedaliero di Pescara
Anna Mengoni	MNGNNA84C24E256R	Medicina e Chirurgia	Malattie apparato cardiovascolare	Azienda Ospedaliera di Perugia
Antonia Nucera	NCRNTN68C65C954Y	Medicina e Chirurgia	Neurologia	Ospedale Fabrizio Spaziani, Frosinone
Simona Rosania	RSNSMN83C43D643G	Medicina e Chirurgia	Cardiologia	ASL Taranto
Irene Sitzia	STZRNI75C47B354N	Medicina e Chirurgia	Nefrologia	ASL Cagliari
Cinzia Zuchi	ZCHCNZ80A70M082N	Medicina e Chirrugia	Cardiologia	Azienda Ospedaliera di Perugia