



Modulatori CFTR: Riconsiderare la stabilità, la prevenzione e gli esiti a lungo termine

01 Ottobre 2026

Starhotels Excelsior - Bologna

Responsabile Scientifico:

Vincenzo Carnovale, Napoli

SEDE: Starhotels Excelsior - V.le Pietro Pietramellara, 51, 40121 Bologna

FORMAT ECM: RESIDENZIALE

ORE FORMATIVE COMPLESSIVE: 6:30 ore

CREDITI ECM: 6

ID ECM: 275 – TBD ??

PARTECIPANTI PREVISTI: 50

PROFESSIONI E DISCIPLINE:

Biologo

Dietista

Fisioterapista

Infermiere Pediatrico

Infermiere

Medico Chirurgo (Discipline: Diabetologia, Genetica Medica, Geriatria, Malattie Metaboliche, Malattie dell'Apparato Respiratorio; Malattie Infettive; Medici di Medicina Generale, Medicina Interna, Microbiologia e Virologia, Patologia Clinica, Pediatria, Pediatri di libera scelta; Psichiatri, Psicoterapia, Radiodiagnostica)

Psicologo (Discipline: Psicologia; Psicoterapia)

Tecnico Sanitario Laboratorio Biomedico

Tecnico di Radiologia Medica

RAZIONALE SCIENTIFICO

L'introduzione dei modulatori della proteina CFTR ha rappresentato un cambio di paradigma nella storia naturale della fibrosi cistica, trasformando una malattia a prognosi infausta in una condizione cronica gestibile e modificando profondamente le aspettative di pazienti, famiglie e clinici. Se i primi anni di utilizzo si sono concentrati sulla dimostrazione di efficacia e sul raggiungimento della stabilità clinica, oggi ci troviamo di fronte a interrogativi più complessi e maturi: cosa significa realmente "stabilità" in un paziente trattato precocemente? È sufficiente mantenere lo status quo, oppure l'obiettivo deve diventare l'ottimizzazione e la prevenzione del danno a lungo termine?

Questa giornata formativa nasce dalla necessità di riconsiderare criticamente tali concetti alla luce delle evidenze più recenti. L'intervento precoce in età pediatrica apre scenari inediti riguardo alla possibilità di modificare il decorso della

in&fo med s.r.l.

Sede legale e Operativa

Via San Gregorio, 12 - 20124 Milano

Tel. +39 02 49453331

Posta certificata infomed-srl@legalmail.it



C.F. e P.I. 01518390990

C.C.I.A.A. di Milano n. 2112775

Capitale Sociale i.v. € 15.000.00



malattia attraverso il ripristino tempestivo della funzione CFTR, ma solleva al contempo nuove sfide, in particolare sul versante infettivologico: la prevenzione della colonizzazione cronica e il monitoraggio dell'infezione nel bambino trattato precocemente richiedono approcci aggiornati e, talvolta, una ridefinizione delle strategie consolidate.

Nel paziente adulto l'attenzione si sposta dalla semplice stabilizzazione verso una visione più ambiziosa dell'ottimizzazione terapeutica. La gestione dell'infezione cronica da *Pseudomonas aeruginosa* e il ruolo della terapia inalatoria, l'impatto multisistemico dei modulatori al di là del coinvolgimento polmonare e la gestione delle comorbidità emergenti rappresentano aree in cui le evidenze sono in rapida evoluzione e in cui la pratica clinica necessita di un aggiornamento continuo.

Infine, l'espansione dei criteri di eleggibilità – con l'estensione di indicazione alle fasce di età più precoci, l'inclusione dei fenotipi a funzione residua e le evidenze real-world – impone una riflessione sui nuovi target terapeutici, sull'utilizzo del cloro sudorale come marcatore surrogato e sul valore del follow-up multidisciplinare. La domanda di fondo che attraversa l'intera giornata è se sia ancora sufficiente stabilizzare oppure se sia ormai tempo di ridefinire il concetto stesso di successo clinico nella fibrosi cistica.

La struttura in tre sessioni e sette relazioni, con ampio spazio dedicato alla discussione, intende favorire un confronto multidisciplinare tra le diverse figure professionali coinvolte nella presa in carico del paziente, dal pediatra all'infettivologo, dallo pneumologo allo psicologo, nella convinzione che la complessità della malattia nell'era dei modulatori richieda competenze integrate e una visione condivisa.

Obiettivi del convegno

Il convegno si propone di aggiornare i partecipanti sulle più recenti acquisizioni relative all'impiego dei modulatori CFTR lungo l'intero percorso di vita del paziente con fibrosi cistica, dall'età pediatrica all'età adulta. In particolare, ci si propone di fornire strumenti per valutare il valore dell'intervento precoce nel modificare il decorso della malattia; di aggiornare le conoscenze sulle nuove sfide infettivologiche, con attenzione alla prevenzione della colonizzazione cronica e al monitoraggio dell'infezione; di promuovere il passaggio concettuale dalla stabilità all'ottimizzazione terapeutica nel paziente adulto; di approfondire l'impatto multisistemico dei modulatori e la gestione delle comorbidità; di analizzare l'estensione dei criteri di eleggibilità e le evidenze real-world relative alle popolazioni emergenti; e, infine, di stimolare una riflessione critica sui nuovi target terapeutici e su una rinnovata definizione di successo clinico. Trasversalmente, il convegno intende rafforzare l'approccio multidisciplinare alla presa in carico del paziente, valorizzando il contributo integrato delle diverse professionalità coinvolte.

PROGRAMMA SCIENTIFICO

09.30 – 09.45 - WELCOME COFFEE

09.45 – 10.00 – Registrazione dei partecipanti

10.00 – 10.10 Apertura dei lavori, presentazione del programma e degli obiettivi formativi

Vincenzo Carnovale

SESSIONE I - Intervenire presto: il paziente pediatrico nell'era dei modulatori

10.10-10.45 Modificare il decorso della malattia: il valore del ripristino precoce della funzione CFTR

Valeria Daccò

10.45-11.00 Discussione



11.00-11.30 Coffee Break

11.30-12.00 Nuove sfide infettivologiche nel paziente pediatrico con FC nell'era dei modulatori: prevenire la colonizzazione cronica e monitorare l'infezione nel bambino trattato precocemente

Sonia Volpi

12.00-12.15 *Discussione*

12.15-12.45 RIFC

Marco Salvatore

12.45-13.15 *Discussione plenaria della sessione mattutina*

13.15-13.45 Lunch

SESSIONE II - Oltre la stabilità: adulto, comorbidità e nuovi orizzonti

13.45-14.05 Dalla stabilità all'ottimizzazione: nuove aspettative terapeutiche nella FC

Vito Terlizzi

14.05-14.15 *Discussione*

14.15-14.25 Infezione cronica da P. aeruginosa nell'adulto in trattamento con modulatori: il ruolo della terapia inalatoria

Elena Spinelli

14.25-14.40 *Discussione*

14.40-15.00 Coffee Break

15.00-15.20 Beyond the Lung: impatto multisistemico dei modulatori CFTR e gestione delle comorbidità

Andrea Gramegna

15.20-15.30 *Discussione*

SESSIONE III - Beyond Expanding the Boundaries & The Next Therapeutic Ambition: dalle popolazioni emergenti a una nuova definizione di successo clinico

15.30-16.00 Estensione dell'eleggibilità, fenotipi a funzione residua, evidenze real-world ed estensione di indicazione nei pazienti 2-5 anni (dati ECFS).

Irene Esposito

16.00-16.30 È ancora sufficiente stabilizzare? Nuovi target terapeutici, cloro sudorale come surrogate marker e follow-up multidisciplinare

Mirco Ros

16.30-16.45 *Discussione*

16.45-17.15 Conclusioni e chiusura lavori

in&fo med s.r.l.

Sede legale e Operativa

Via San Gregorio, 12 - 20124 Milano

Tel. +39 02 49453331

Posta certificata infomed-srl@legalmail.it



C.F. e P.I. 01518390990

C.C.I.A.A. di Milano n. 2112775

Capitale Sociale i.v. € 15.000.00



FACULTY

Cognome	Nome	LAUREA	SPECIALIZZAZIONE	ENTE DI APPARTENENZA	DESCRIZIONE ATTIVITA' PROFESSIONALE/FORMATIVA
Carnovale	Vincenzo	Medicina e Chirurgia	Geriatría	Azienda Ospedaliero Universitaria Federico II	Presidente Società Italiana di Fibrosi Cistica, Responsabile del Centro di Riferimento Regionale della Fibrosi Cistica dell'Adulto Azienda Ospedaliero Universitaria Federico II di Napoli
Daccò	Valeria	Medicina e Chirurgia	Pediatria	IRCCS Cà Granda Ospedale Maggiore Policlinico	Responsabile SS Fibrosi Cistica Dipartimento arera Materno-Infantile IRCCS Cà Granda Ospedale Maggiore Policlinico
Esposito	Irene	Medicina e Chirurgia	Malattie dell'Apparato Respiratorio	Ospedale Infantile Regina Margherita – A.O.U. Città della Salute e della Scienza di Torino	Direttore della Struttura Complessa (SC) di Pneumologia Pediatrica Ospedale Infantile Regina Margherita – A.O.U. Città della Salute e della Scienza di Torino
Gramegna	Andrea	Medicina e Chirurgia	Malattie dell'Apparato Respiratorio	IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico di Milano	Professore Associato in Malattie dell'Apparato Respiratorio presso il Dipartimento di Fisiopatologia Medico-Chirurgica e dei Trapianti dell'Università degli Studi di Milano. Medico Pneumologo presso la SC Pneumologia e Fibrosi Cistica della Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico di Milano
Ros	Mirco	Medicina e Chirurgia	Pediatria	Ospedale Ca' Foncello – Azienda ULSS 2 Marca Trevigiana	Direttore dell'Unità Operativa Semplice Dipartimentale (UOSD) Fibrosi Cistica Ospedale Ca' Foncello – Azienda ULSS 2 Marca Trevigiana
Salvatore	Marco	Medicina e Chirurgia	CHIRURGIA D'URGENZA E PRONTO SOCCORSO	Centro Nazionale Malattie Rare Istituto Superiore di Sanità – Italia	Direttore – Struttura di Missione Temporanea Malattie Rare Senza Diagnosi - Centro Nazionale Malattie Rare Istituto Superiore di Sanità – Italia
Spinelli	Elena	Medicina e Chirurgia	Pediatria	Ospedale M.Bufalini di Cesena (FC)	<i>Dirigente Medico presso il Centro Regionale Emilia Romagna per la Fibrosi Cistica, c/o Ospedale M.Bufalini di Cesena (FC)</i>
		Medicina e Chirurgia	Pediatria	Ospedale Pediatrico Meyer Firenze	Medico specialista in pediatria Ospedale Pediatrico Meyer Firenze

Volpi	Sonia	Medicina e Chirurgia	Pediatria informazioni & formazione medicina	AOU Verona	Medico specialista in pediatria AOU Verona
-------	-------	-------------------------	---	------------	--

in&fo&med s.r.l.

Sede legale e Operativa

Via San Gregorio, 12 - 20124 Milano

Tel. +39 02 49453331

Posta certificata infomed-srl@legalmail.it



C.F. e P.I. 01518390990

C.C.I.A.A. di Milano n. 2112775

Capitale Sociale i.v. € 15.000.00

