

# PROGRAMMA

## 4° CONGRESSO A-NCL

Roma, presso Occidental Aran  
Park Hotel.

OTTOBRE  
**19**

**9:15 - 09:30** - REGISTRAZIONE PARTECIPANTI

**10:00 - 10:15** - BENVENUTO

**10:15 - 10:30** - SALUTO OMAR E TELETHON

**10:30 - 11:00**

**UNO SGUARDO  
AL FUTURO:  
COSA CI ASPETTA  
PER LA RICERCA  
SULLE CEROIDO-  
LIPOFUSCINOSI  
NEURONALI?**

*Dr. Filippo Santorelli*  
- Direttore UOC di  
Medicina Molecolare  
per le Malattie  
Neurodegenerative e  
Neurogenetiche,  
IRCCS Fondazione  
Stella Maris, Pisa

**11:00 - 11:20**

**UPDATE E DATI A  
LUNGO TERMINE  
-TERAPIA  
ENZIMATICA  
SOSTITUTIVA IN  
CLN2**

*Dr. Nicola Specchio*  
- Responsabile UO di  
Neurologia  
dell'Epilessia e  
Disturbi del  
movimento –  
Ospedale Pediatrico  
Bambino Gesù Roma

**11:30 - 12:00**

**NUOVE EVIDENZE NEI  
MODELLI ZEBRAFISH  
PER LA CEROIDO  
LIPOFUSCINOSI  
NEURONALE:  
BIOMARCATORI E  
MOLECOLE  
INNOVATIVE**

*Dr.ssa Maria Marchese*  
- Biologa Ricercatrice -  
UO Medicina  
Molecolare per Malattie  
Neurodegenerative e  
Neuromuscolari –  
IRCCS Stella Maris Pisa

**12:00 - 12:30**

**UN MODELLO IN  
DROSOPHILA DI  
CLN13 (O MALATTIA  
DI Kufs di Tipo B)  
PER STUDIARNE LA  
PATOGENESI E LA  
FUNZIONE DELLA  
CATEPSINA F**

*Prof. Thomas Vaccari*  
- Ricamatore e Prof.  
Associato di Biologia  
applicata presso  
Università di Milano

**12:30 - 13:00**

**VIAGGIO  
ATTRAVERSO LA  
MALATTIA DI  
BATTEN:  
L'IMPATTO SULLA  
FAMIGLIA**

*Prof. Alessandro Simonati*  
- Specialista in Neurologia,  
già professore ordinario di  
Neuropsichiatria Infantile  
presso l'Università di  
Verona

**13:00 - 13:30**

**INTERVENTI DAL  
PUBBLICO  
(DOMANDE)**

**13:30 - 15:00**

**PRANZO A BUFFET  
(SOLO PRENOTATI)**

**15:00 - 15:30**

**IL NUOVO  
REGISTRO DI  
MALATTIA**

*Dr.ssa Stefania Della  
Vecchia*  
- Neuropsichiatra  
Infantile e ricercatrice  
presso IRCCS  
- Fondazione Stella  
Maris, Pisa

**15:30 - 16:00**

**L'APP NCL2  
PRESENTAZIONE**

*Dr.ssa Marilisa Asunis*  
- Neuropsichiatra -  
Dip. di Neurologia ed  
Epilettologia  
Pediatrica Azienda  
Ospedaliera Brotzu,  
Cagliari

**16:00 - 16:30**

**LA A-NCL ATTIVITÀ E  
PROSPETTIVE**

*Dr. Saverio Bisceglia* -  
Presidente  
Associazione Nazionale  
Ceroidolipofuscinosi

**16:30 - 17:00**

**INTERVENTI DAL  
PUBBLICO  
(DOMANDE)**

**17:00**

**RINGRAZIAMENTI  
E SALUTI**