



Fondazione IRCCS  
San Gerardo dei Tintori

Sistema Socio Sanitario



Regione  
Lombardia

UNIVERSITÀ DEGLI STUDI  
DI MILANO  
BICOCCA



In collaborazione con



presentano il Convegno

**Terapie Avanzate: sviluppo, qualità e produzione**

**per una medicina in evoluzione**

**Direzione Scientifica:**

**Giuseppe Gaipa<sup>1,2</sup> - Giuseppe Dastoli<sup>2</sup> - Andrea Biondi<sup>2,3</sup>**

<sup>1</sup>Laboratorio di Terapia Cellulare e Genica Stefano Verri - Fondazione IRCCS San Gerardo dei Tintori, Monza

<sup>2</sup>Fondazione M. Tettamanti Menotti De Marchi ONLUS, Monza

<sup>3</sup>Pediatria, Fondazione IRCCS San Gerardo dei Tintori, Monza  
Scuola di Medicina e Chirurgia, Università Milano-Bicocca

Lunedì

**14 ottobre**

**2024**

**Novotel Ca' Granda**

**Viale Suzzani, 13 - Milano**

Con il contributo non condizionante di:



Cell & Gene Therapy



## Razionale scientifico

I prodotti medicinali per Terapie Avanzate (ATMP) fanno parte dei farmaci biologici e possono essere impiegati in diverse aree quali la terapia cellulare, la terapia genica e l'ingegneria tissutale. Essi hanno dimostrato la loro efficacia in diversi settori della medicina quali l'oncologia, l'ematologia, le malattie rare metaboliche o immunitarie di origine genetica e la medicina rigenerativa.

La produzione e la sperimentazione dei farmaci per Terapie Avanzate è strettamente regolata a livello europeo e nei singoli stati membri al fine di garantire la loro sicurezza ed efficacia. Per questo motivo i processi di preparazione e controllo devono soddisfare lo standard farmaceutico internazionale di Good Manufacturing Practices (GMP).

Il Convegno del 14 Ottobre prossimo rappresenta un appuntamento fondamentale nel panorama nazionale da più di 10 anni. Esso rappresenta per gli operatori del settore una opportunità di incontro, aggiornamento e discussione critica sui numerosi temi delle Terapie Avanzate in un clima stimolante ed accogliente. Come da tradizione anche quest'anno saranno discusse le più rappresentative esperienze cliniche e pre-cliniche nel settore delle Terapie Avanzate con contributi di eccellenza sia a livello italiano che internazionale. Come nella tradizione di questo evento interverranno i rappresentanti della autorità regolatoria italiana (Istituto Superiore di Sanità) che discuteranno con gli operatori i temi della sperimentazione, autorizzazione e rimborso degli ATMP.

Lo scopo del Convegno è anche quello di fare il punto sulle principali innovazioni tecnologiche offerte dalle aziende del settore per il miglioramento dei processi produttivi, delle tecniche di controllo di qualità e di monitoraggio post-infusione dei pazienti.

I partecipanti saranno ricercatori, medici e operatori tecnici GMP sia di strutture accademiche che private, nonché aziende del settore diagnostico e farmaceutico.

## Programma

08.45 | Registrazione

09.00 | Saluti di benvenuto e introduzione ai lavori:

*Luigi Roth, Presidente della Fondazione Tettamanti*

*Silvano Casazza, Direttore Generale Fondazione IRCCS San Gerardo dei Tintori*

*Emilio Verri, Presidente Comitato Stefano Verri*

### OPENING LECTURE

Moderatore: *Andrea Biondi*

09.15 | **L'immunoterapia con cellule CAR-T nelle malattie auto-immuni**

*Franco Locatelli, Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Roma*

### NUOVI SCENARI NEL PANORAMA DELLA TERAPIA GENICA

Moderatore: *Giuseppe Dastoli & Adriana Balduzzi*

10.00 | **L'uso dei CAR-T in oncologia pediatrica: l'esperienza del Great Ormond Street Hospital (GOSH), London UK**

*Giovanna Lucchini, Fondazione Tettamanti/Fondazione IRCCS San Gerardo dei Tintori*

10.25 | **La terapia genica nelle emoglobinopatie**

*Giuliana Ferrari, San Raffaele-Telethon Institute for Gene Therapy (SR-TIGET)*

10.50 | Pausa caffè

### TERAPIE AVANZATE: RICERCA, SVILUPPO E PRODUZIONE CLINICA (I)

Moderatori: *Maria Luisa Nollì & Giuseppe Gaipa*

11.20 | **Sperimentazione, autorizzazione e rimborso degli ATMP: aspetti regolatori**

*Mauro Biffoni, Istituto Superiore di Sanità, Roma*

11.45 | **The Era of platform methods: Addressing affordability and sustainability of ATMPs**

*Valentina Curella, Eurofins BioPharma Product Testing Italy*

12.10 | **Introduction to the Advanced Therapies Unit: design & activity**

*Ander Izeta, BioGipuzkoa HRI & Donostia University Hospital, San Sebastián, Gipuzkoa, Spain*

12.35 | **CARCIK-CD19 in BCP-ALL clinical outcomes and post-infusion immune monitoring**

*Alessandro Rambaldi, Ospedale Papa Giovanni XXIII Bergamo*

13.00 | Pausa pranzo

### TERAPIE AVANZATE: RICERCA, SVILUPPO E PRODUZIONE CLINICA (II)

Moderatori: *Sarah Tettamanti & Giovanna Lucchini*

14.00 | **Enhancing CAR-T cell activity through recruitment of proximal T cell signaling pathways**

*Maria Caterina Rotiroli, Dana-Farber Cancer Institute, Boston (USA)*

14.25 | **Utilizzo della Citometria Spettrale nella caratterizzazione degli ATMPs**

*Chiara Buracchi, Fondazione Tettamanti/Fondazione IRCCS San Gerardo dei Tintori, per Cytek Biosciences*

14.50 | **Advancing Immuno-oncology and cell therapies from discovery to market through state-of-the art single cell analysis**

*Gianluca Rotta, BD Bioscience*

15.15 | **Lo studio Matrix con Cellule Mesenchimali stromali in brain injury**

*Giuseppe Citerio, Fondazione IRCCS San Gerardo dei Tintori, Monza*

15.40 | **Cellule CARCIK-CD19: sviluppo, produzione, Tech Transfer ed evoluzione di una piattaforma Accademica di terapia avanzata**

*Giuseppe Gaipa, Laboratorio Verri, Fondazione IRCCS San Gerardo dei Tintori*

16.05 | Conclusione dei lavori e saluti