

14° CONGRESO INTERNACIONAL DE LIPOFUSCINOSIS CEROIDEAS NEURONALES
(ENFERMEDAD DE BATTEN)

Y

2^{das} JORNADAS INTERNACIONALES DE ORGANIZACIÓN DE PACIENTES

Octubre 22 al 26, 2014

HOTEL SHERATON,
Avenida Duarte Quirós 1300
CÓRDOBA, ARGENTINA
www.nclcordoba.com

Mensaje del Presidente

El Congreso Científico se ha celebrado cada dos años en lados alternos del Atlántico, con reuniones en los EE. UU. y Europa. Este es el único foro internacional que reúne a aquellos comprometidos con la problemática de las Lipofuscinosis Ceroideas Neuronales (LCN), conocidas en los EE.UU. como "enfermedad de Batten", epónimo de uno de los tipos. Se trata de un grupo de enfermedades neurodegenerativas hereditarias profundamente discapacitantes con inicio en todas las edades. NCL2014 es la versión número 14 de estos encuentros científicos, y la primera que se lleva a cabo en América Latina. El congreso abarca temáticas actuales que van desde la ciencia básica hasta la clínica, consideradas en el campo de la investigación traslacional. A su vez, la reunión académica presenta la perspectiva actual de la investigación con una mirada puesta en la terapéutica, ya que, si bien aún no se cuenta con medicamentos aprobados, los experimentos de terapias de reemplazo enzimático, genéticas y de pequeñas moléculas, están en pleno progreso.

Se reúnen paralelamente las organizaciones de las familias de los afectados de diversas partes del mundo, favoreciéndose la interacción entre éstas y los científicos y profesionales. La reunión internacional de las organizaciones de padres de pacientes provenientes de países con altos, medianos y bajos ingresos brinda la oportunidad de generar actividades de contacto entre estos grupos y los académicos, con el objetivo de traducir los avances científicos a un lenguaje comprensible para las familias y lograr una interacción productiva.

Nuestro objetivo es organizar una reunión al más alto nivel científico, y al mismo tiempo presentar la informa-

ción de los mejores estándares clínicos en un formato accesible a las familias, neurólogos, pediatras, otros especialistas y los cuidadores de diversas partes mundo. Se ha diseñado por primera vez un taller centrado en la bioética en relación a patologías neurodegenerativas. Se incorporaron además temáticas actuales a nivel internacional, como la nomenclatura, los registros de pacientes y los bancos de material biológico.

Han confirmado la participación más de 30 distinguidos científicos internacionales y se han recibido numerosos trabajos de investigadores jóvenes provenientes de América Latina, Europa, EE.UU., Australia y Nueva Zelanda. El Congreso publica su libro de actas en la prestigiosa revista *Medicina (B Aires)*. Con motivo del Congreso se publicará además un número especial dedicado a los avances sobre este grupo de enfermedades en la revista *Biochimica et Biophysica Acta* que aparecerá en el año 2015.

El impacto de este evento se visualiza en la ampliación de los conocimientos científicos y las prestaciones médicas y sociales en una región nueva, basado en el trabajo pionero del Centro de Estudio de los Errores Congénitos del Metabolismo-CEMECO, que funciona en Argentina desde hace más de 30 años en el Hospital de Niños de la Provincia de Córdoba, y que cuenta con un programa específico dedicado a las LCN con más de 10 años de vigencia. Córdoba ha sido elegida como sede por contar con este centro referencial hospitalario, único en América Latina, en el que se han diagnosticado los niños de la región, el cual es sostenido por investigadores de la Universidad Nacional de Córdoba, y del Consejo Nacional de Investigaciones Científicas y Técnicas de la República Argentina.

Prof. Dra. Inés Noher de Halac

14th INTERNATIONAL CONFERENCE ON NEURONAL CEROID LIPOFUSCINOSES
AND
2nd INTERNATIONAL PATIENTS ORGANIZATION MEETING

October 22-26, 2014

HOTEL SHERATON,
Avenida Duarte Quirós 1300
CÓRDOBA, ARGENTINA
www.nclcordoba.com

Message from the President

The scientific conference is held every two years on alternate sides of the Atlantic, with meetings in the USA and Europe. This is the only international forum that brings together those committed to the Neuronal Ceroid Lipofuscinoses (NCL), disorders known in the USA as "Batten disease", eponym of one type. It is a group of inherited neurodegenerative diseases profoundly disabling with onset in all ages. NCL2014 is the 14th edition of these scientific meetings and the first to be held in Latin America. The conference covers current topics ranging from basic science to the clinic, considered in the field of translational research. In turn, the academic session presents the current research perspectives with a therapeutic scope because, although it has still not approved drugs, experiments of enzyme replacement therapies, genetic and small molecules are in full progress.

The patient's organization meeting gathers affected families and their representatives from around the world, favoring the interaction between them with scientists and professionals. The international meeting of parent organization from countries with high, middle and low income gives also the chance of generating activities to contact between the two meetings with the goal of translating science into understandable language for families and achieve productive interactions.

Our goal is to organize a meeting at the highest scientific level, while presenting the information in the

best clinical standards in a format accessible to families, neurologists, pediatricians, specialists and other caregivers of different parts world. It has been designed for the first time a workshop focused on bioethics in relation to neurodegenerative diseases. International issues relevant to day were also considered, like nomenclature, patient's registries and banking of biological samples.

They have confirmed participation over 30 distinguished international scientists and have received numerous abstracts of young researchers from Latin America, Europe, USA, Australia and New Zealand. The conference promotes a chapter with representatives of patients and their families. The congress publishes the submitted abstracts in the prestigious journal *Medicina (B Aires)*. A special issue devoted to the progress of this group of diseases will also be published in the journal *Biochimica et Biophysica Acta* that will appear in 2015.

The impact of this event is displayed in the expansion of scientific knowledge, with medical and social benefits in a new region, based on the pioneering work of the Center for the Study of Inborn Errors of Metabolism-CEMECO, operating in Argentina since over 30 years in the Children's Hospital of the Province Córdoba. A specific program is dedicated to the NCL since over 10 years. Córdoba was chosen as the venue for having this referential center in Latin America supported by researchers from the National University of Córdoba, and the National Science and Technology Council of Argentina.

Prof. Ines Noher de Halac PhD