



Duchenne  
Parent  
Project  
onlus



## XVI CONFERENZA INTERNAZIONALE SULLA DISTROFIA MUSCOLARE DI DUCHENNE E BECKER

16 - 18 febbraio 2018 - Ergife Palace Hotel, Roma - Italia

VENERDÌ 16 FEBBRAIO

15:30 REGISTRAZIONE

16:00

**SESSIONI PARALLELE**

**SESSIONE PARALLELA**

**"Affettività e sessualità"**

MAXIMILIANO ULIVIERI

16:00 - 17:00

**SESSIONE PARALLELA**

**"Ci sono anch'io: essere fratello di un paziente DMD/BMD"**

CARLA FERMARIELLO

**SESSIONE PARALLELA**

**"Fisioterapia respiratoria"**

CRISTINA BELLA

**SESSIONE PARALLELA**

**"Fisioterapia motoria"**

CRISTINA BELLA

**SESSIONE PARALLELA**

**"Ciò che mangiamo ha un peso"**

**Gli aspetti nutrizionali nella DMD e BMD**

SIMONA BERTOLI

**SESSIONE PARALLELA**

**"Ciò che mangiamo ha un peso"**

**Gli aspetti nutrizionali nella DMD e BMD**

SIMONA BERTOLI

18:30 - 20:00

**SESSIONE PARALLELA**

**"Legge che va, diritto che viene"**

**Leggi, burocrazia e diritti**

CARLO GIACOBINI

**SESSIONE PARALLELA**

**"Integrando si impara" - Integrazione scolastica - SALVATORE NOCERA**

**SESSIONE PARALLELA**

**"Fisioterapia motoria e respiratoria"**

CRISTINA BELLA

17:30 - 18:30

**SESSIONE PARALLELA**

**"Quella X che fa la differenza"**

**Donne portatrici - CHIARA FIORILLO**

20:30

**CENA A BUFFET**

**SESSIONE PARALLELA**

**"Integrando si impara" - Integrazione scolastica - SALVATORE NOCERA**



**ANIMAZIONE PER BAMBINI  
E RAGAZZI PER TUTTA LA DURATA  
DELLA CONFERENZA**

16 - 18 febbraio 2018 - Ergife Palace Hotel, Roma- Italia

SABATO

17

FEBBRAIO

08:00

REGISTRAZIONE

8:30

**BENVENUTO E APERTURA DEI LAVORI***Luca Genovese, Parent Project onlus**Filippo Buccella, Parent Project onlus**Stefano Mazzariol, Parent Project onlus*

9:00

**Panoramica strategie terapeutiche volte a ripristinare la produzione di distrofina***Fernanda De Angelis, Parent Project onlus*

9:15 SESSIONE 1:

**STUDI PRE-CLINICI / FASE 1***Moderatori: Annemieke Aartsma-Rus,**Filippo Buccella***Terapia genica - minidistrofina AAV***Michael Binks, Pfizer***Terapia genica - microdistrofina AAV***Thomas Voit, UCL Institute of Child Health***Terapia genica***Kevin Flanigan, Nationwide Children's Hospital***Terapia genica per la DMD***Pat Furlong, Parent Project Muscular Dystrophy***Editing genomico***Annemieke Aartsma-Rus, Leiden University**Medical Center***Stereopuri per l'exon skipping per il potenziale trattamento della DMD***Wendy Erler, Wave Life Sciences*

10:45 DOMANDE &amp; RISPOSTE

11:15 PAUSA



11:20 SESSIONE 2:

**TAVOLA ROTONDA****"IL BAMBINO E LA FAMIGLIA INCONTRANO LA PATOLOGIA"***Moderatore: Sara Capponi*

In questa sessione parleremo del delicato momento della diagnosi e di come questa altera gli equilibri familiari che devono essere ristabiliti per affrontare le successive fasi di vita. Un'attenzione particolare verrà dedicata alle modalità di comunicazione della diagnosi, dal medico alla famiglia, dalla famiglia al bambino, senza dimenticare i fratelli.

*Interverranno:**Emanuela Giulitti, Parent Project onlus**Adele D'Amico, Ospedale Pediatrico**Bambino Gesù**Filippo Buccella, Parent Project onlus**Angela Pirozzi, Parent Project onlus**Giulia Breveglieri, Parent Project onlus*

13:00 SESSIONE POSTER

**PRANZO**

14:00

**Panoramica strategie terapeutiche volte a compensare il deficit di distrofina***Fernanda De Angelis, Parent Project onlus*

## 14:15 SESSIONE 3:

## STUDI CLINICI NEI PIU' PICCOLI

Moderatori: Valeria Sansone, Fernanda De Angelis

**Edasalonexent (CAT-1004), sviluppo di un inibitore di NF-κB per i pazienti con DMD**

Joanne Donovan, Catabasis Pharmaceuticals

**Studi clinici con il vamorolone (VBP15)**

Eric Hoffman, ReveraGen BioPharma

**BRAVE: studio di fase 2 per valutare l'efficacia e la sicurezza di MNK1411 nella DMD**

Patrice Becker, Mallinckrodt Pharmaceuticals

## 15:00 DOMANDE &amp; RISPOSTE

## 15:30 SESSIONE 4:

## TAVOLA ROTONDA

**"DALL'INFANZIA ALL'ADOLESCENZA"**

Moderatore: Gerardo Laurenzana

In questa sessione parleremo della delicata fase di passaggio all'adolescenza, complessa sia dal punto di vista emotivo sia per quanto riguarda l'evoluzione della patologia. Si intende, inoltre, promuovere una riflessione sulla partecipazione ai trial clinici, vissuti da genitori e paziente come una possibilità per il futuro.

Interverranno:

Maria Caterina Pugliese, Parent Project onlus

Marika Pane, Centro Nemo Pediatrico Policlinico

Agostino Gemelli

Ezio Magnano, Parent Project onlus

Luca Tucciarone, IRCCS Fondazione Santa Lucia,

Università di Roma "Sapienza"

Silvio Bartolini, IIS Campus Leonardo da Vinci

Marco Genovese, Parent Project onlus

Luca Montevocchi, Parent Project onlus

## 17:00 SESSIONE POSTER

## PAUSA



## 17:15 SESSIONE 5:

## STUDI CLINICI NEI BAMBINI

## DEAMBULANTI

Moderatori: Eugenio Mercuri, Stefano Mazzariol

**La pipeline di Sarepta e i programmi di sviluppo in fase iniziale**

Madeleine Billeter, Sarepta Therapeutics

**PhaseOut DMD: uno studio Proof of Concept di fase 2 di ezutromid**

Michelle Avery, Summit Therapeutics plc

**RIM4DMD: risultati preliminari dello studio di fase 1b dalla sicurezza alla tollerabilità per i pazienti con DMD**

Stefano Previtali, Ospedale San Raffaele

**DOMAGROZUMAB**

Michael Binks, Pfizer

**Programma di sviluppo anti-miostatina di Roche (RG6206) nella Duchenne**

Roxana Dregghici, Roche

## 18:30 DOMANDE &amp; RISPOSTE

## 20:30 CENA



## DJ SET



16 - 18 febbraio 2018 - Ergife Palace Hotel, Roma- Italia

# DOMENICA 18 FEBBRAIO

8:30

## APERTURA LAVORI

Luca Genovese, Parent Project onlus  
Stefano Mazzariol, Parent Project onlus

8:45

## PRESENTAZIONE POSTER VINCITORI

9:00 **SESSIONE 6:**

## TAVOLA ROTONDA

### "PROGETTO DI VITA"

Moderatore: Ezio Magnano

In questa sessione verranno evidenziati gli aspetti che caratterizzano le esperienze di vita indipendente, sia nella relazione di interdipendenza tra genitori e ragazzo, sia rispetto ai contesti sociali di vita.

Interverranno

Tiziana D'Auria, Parent Project onlus  
Fabrizio Racca, Ospedale SS. Antonio e Biagio e  
Cesare Arrigo di Alessandria  
Marco Rasconi, UILDM  
Luca Genovese, Parent Project onlus  
Fabio Superti, Luca Buccella,  
Parent Project onlus  
Stefano Sallemi, Luca Surdo,  
Assistenti domiciliari

10:45 **SESSIONE 7:**

## STUDI CLINICI IN PIÙ

## POPOLAZIONI

Moderatori: Francesco Muntoni, Filippo Buccella

### Programmi di sviluppo per lo skipping dell'esone 51 PMO e PPMO

Madeleine Billeter, Sarepta Therapeutics

### Givinostat nella Distrofia Muscolare di Duchenne e Becker

Sara Cazzaniga, Italfarmaco

### Aggiornamenti sulla mutazione nonsense

Valeria Sansone, Centro clinico NEMO A.O.

Niguarda di Milano

### Raxone® (idebenone) e la gestione respiratoria nella DMD

Thomas Meier, Santhera Pharmaceuticals

### CAP-1002: aggiornamento clinico sulla terapia cellulare per la DMD

Linda Marban, Capricor Therapeutics

12:00 **DOMANDE & RISPOSTE**

12:30

## CHIUSURA DEI LAVORI

10:30 **PAUSA**



16 - 18 febbraio 2018 - Ergife Palace Hotel, Roma- Italia

**MEETING SULLA DISTROFIA MUSCOLARE DI BECKER:  
GESTIONE CLINICA E SPERIMENTAZIONI**

**DOMENICA 18 FEBBRAIO**

14:30

**BENVENUTO E APERTURA DEI LAVORI**

*Luca Genovese, Parent Project onlus  
Giacomo Comi, Fondazione IRCCS Ca' Granda  
Ospedale Maggiore Policlinico/Università  
degli Studi di Milano*

16:20

**ASPETTI PSICOLOGICI**

*Mariangela Bellomo, Giada Perinel  
Parent Project onlus*

14:35

**LA DISTROFIA MUSCOLARE DI BECKER**

*Adele D'Amico, Ospedale Pediatrico  
Bambino Gesù di Roma*

16:40

**ESPERIENZE DEI PAZIENTI**

*Fabio Superti, Antonio Bellon  
Parent Project onlus*

15:05

**LA GESTIONE CLINICA DELLA DISTROFIA  
MUSCOLARE DI BECKER**

*Elena Pegoraro, Università di Padova*

17:00

**TRIAL CLINICI NELLA DISTROFIA  
MUSCOLARE DI BECKER**

*Giacomo Comi, Fondazione IRCCS Ca' Granda  
Ospedale Maggiore Policlinico/Università degli  
Studi di Milano*

15:35

**DOMANDE & RISPOSTE**

17:30

**DOMANDE & RISPOSTE**

16:00

**PAUSA**



18:00

**CHIUSURA DEI LAVORI**

sotto l'alto patrocinio del Parlamento europeo



e con il patrocinio di



Ministero degli Affari Esteri  
e della Cooperazione Internazionale

Ministero della Salute

Istituto Superiore di Sanità

Accademia Nazionale dei Lincei

Con il patrocinio  
del Consiglio regionale  
del Lazio



CONSIGLIO  
REGIONALE  
DEL LAZIO



Città metropolitana  
di Roma Capitale

ROMA



UNIVERSITÀ  
DEGLI STUDI  
DI PADOVA



UNIVERSITÀ  
DEGLI STUDI  
DI FERRARA  
- EX LABORE FRUCTUS -



UNIVERSITÀ  
CATTOLICA  
del Sacro Cuore



Università degli Studi  
di Roma "Tor Vergata"



Università degli Studi  
di Messina



IRCCS FONDAZIONE  
STELLA MARIS



Bambino Gesù  
OSPEDALE PEDIATRICO



Fondazione Italiana per il cuore





Duchenne  
Parent  
Project  
ONLUS

Centro Ascolto Duchenne 800 943 333  
tel. 06 66182811 - fax 06 66188428  
[www.parentproject.it](http://www.parentproject.it)  
[associazione@parentproject.it](mailto:associazione@parentproject.it)

SEGUICI SU

