



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 & 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 & 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 & 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

10:30 PAUSA



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

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



Duchenne
Parent
Project
ONLUS

Centro Ascolto Duchenne 800 943 333
tel. 06 66182811 - fax 06 66188428
www.parentproject.it
associazione@parentproject.it

SEGUICI SU

