

CAMBIARE IL MONDO È UN GIOCO DI SQUADRA

Quando partecipare fa la differenza



XVII CONFERENZA INTERNAZIONALE
sulla distrofia muscolare di Duchenne e Becker





CAMBIARE IL MONDO È UN GIOCO DI SQUADRA
Quando partecipare fa la differenza



VENERDI 15 FEBBRAIO | 14:00 REGISTRAZIONE

15:00

SESSIONI PARALLELE

15:00 – 16:00

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

Carla Fermariello - *Associazione Siblings*
Testimonianze di famiglie

Fisioterapia motoria

Cristina Bella - *Parent Project onlus*

Ciò che mangiamo ha un peso.

Gli aspetti nutrizionali nella DMD e BMD

Simona Bertoli - *Università degli Studi di Milano*

Integrando si impara

Giancarlo Onger - *C.N.I.S. Brescia*

16:15 – 17:15

Pianificare una gravidanza: la consulenza genetica nelle donne portatrici

Alessandra Ferlini - *Università degli Studi di Ferrara*

Integrando si impara

Giancarlo Onger - *C.N.I.S. Brescia*

Fisioterapia respiratoria

Cristina Bella - *Parent Project onlus*

Oltre le barriere

Michele Marchi - *Dipartimento di Architettura, Università degli Studi di Ferrara*

Luca Bertazzoni - *Domotica Quadrifoglio*

17:30 – 19:00

Legge che va, diritto che viene

Carlo Giacobini - *HandyLex*

Fisioterapia motoria e respiratoria

Cristina Bella - *Parent Project onlus*

Affettività e sessualità

Max Ulivieri - Fabrizio Quattrini - Lorenzo Simonetti - Claudio Miglio - *Comitato Love Giver*

19:30



CENA A BUFFET E
PROIEZIONE DEL
DOCUMENTARIO

“AutoNOImia: dietro le
quinte”



ANIMAZIONE PER BAMBINI
E RAGAZZI PER TUTTA LA DURATA
DELLA CONFERENZA

SABATO 16 FEBBRAIO | 08:00 REGISTRAZIONE

8:30

Benvenuto e apertura dei lavori

Luca Genovese, *Parent Project onlus*

9:00

Panoramica delle strategie terapeutiche

Francesca Ceradini, *Parent Project onlus*

9:15 SESSIONE 1

Strategie terapeutiche per il ripristino della distrofina
Parte I

Moderatori: Francesco Muntoni e Filippo Buccella

Minidistrofina AAV

Michael Binks, *Pfizer*

Terapia genica Microdistrofina - SGT-001

Carl Morris, *Solid Biosciences*

Terapia genica con microdistrofina come trattamento per la distrofia muscolare di Duchenne

Rachel Potter, *Sarepta*

Aggiornamenti sull'editing genomico per la distrofia muscolare di Duchenne

Ronald Cohn, *SickKids, Canada*

Terapia cellulare per la DMD: perché potrebbe finalmente funzionare

Giulio Cossu, *Manchester University*

10:30 Domande & Risposte

11:00 Pausa



11:15 SESSIONE 2

Tavola Rotonda

“Quando la complessità aumenta: DMD/BMD e problematiche correlate”

Moderatore: Marica Pugliese, *Parent Project onlus*

In questa sessione verrà affrontato il tema delle problematiche correlate alla DMD/BMD. Partendo dagli studi che evidenziano, come in un terzo dei casi, possano presentarsi difficoltà nelle funzioni neuropsicologiche, disturbi dell'apprendimento, del comportamento e dell'umore, si passerà a delineare gli approcci neuro-riabilitativi progettati sulla specificità del singolo.

Un'attenzione particolare verrà dedicata alle modalità con cui tale approccio ecologico viene attuato e adattato nei contesti di vita quotidiana, in famiglia e a scuola.

Interventi:

Marika Pane, *Centro Nemo*

Pediatrico - Policlinico

Universitario "A. Gemelli", Roma

Maria Elena Lombardo, *UILDM*

Sezione Lazio

Rosy Galbo, *UILDM Sezione Lazio*

Serena Calabrese, *Logopedista*

Giancarlo Onger, *C.N.I.S. Brescia*

Sabrina Parazzini, *Istituto*

Comprensivo via Luigi Rizzo Roma

Testimonianze di famiglie

**Efficacia a lungo termine
dell'idebenone sugli esiti della
funzione respiratoria nei pazienti
con DMD**

Thomas Meier, *Santhera*

Pharmaceuticals

**15:00 Domande &
Risposte**

15:30 Pausa



**15.45 SESSIONE 4
TAVOLA ROTONDA**

**Avere cura di chi si prende cura:
donne che incontrano la DMD/
BMD**

Moderatore: Emanuela Giulitti, Parent

Project onlus

In questa sessione verrà messo in risalto il ruolo delle donne che si confrontano con la diagnosi di DMD/BMD, siano esse madri o sorelle. Gli interventi si focalizzeranno sull'importanza di essere a conoscenza dell'ereditarietà della patologia e dell'eventuale condizione di donna portatrice, sottolineando le strategie della presa in carico clinica nel caso di donne portatrici. Un'attenzione particolare sarà dedicata allo stato psico-emozionale che si genera nell'espletamento delle funzioni materne attraverso testimonianze di storie di vita.

12.45: Pranzo



Sessione poster

14:00 SESSIONE 3

**Strategie terapeutiche per
rinforzare il muscolo**

Moderatori: Valeria Sansone e Stefano Mazzariol

**Givinostat: aggiornamento clinico
in Duchenne e Becker**

Paolo Bettica, *Italfarmaco*

**Antimiostatina RG6206 nella
Duchenne**

Roxana Dreghici, *Roche*

Domagrozumab

Michael Binks, *Pfizer*



15 - 17 febbraio 2019 - Ergife Palace Hotel, Roma- Italia

Interventi:

Alessandra Ferlini, *Università degli Studi di Ferrara*

Elena Pegoraro, *Università degli studi di Padova*

Testimonianze di famiglie

17:15 Proiezione
documentario "New lives:
stories linked by Duchenne
and Becker muscular
dystrophy"

18:00 SESSIONE 5:
I Pazienti: il sostegno
in più in laboratorio

Stefano Mazzariol, *Parent Project onlus*

Pier Lorenzo Puri, *Fondazione Santa Lucia - Roma e Sanford Burnham Medical Research Institute - California*

18:45 Emergency card

Fabrizio Racca, *Ospedale "SS. Antonio e Biagio e Cesare Arrigo", Alessandria*

19:00 Chiusura dei
lavori

20:30 Cena a buffet



Proclamazione
vincitori sessione
poster

Dj Set



DOMENICA 17 FEBBRAIO

8:15

Apertura dei lavori

8:30 **SESSIONE 6**

Strategie terapeutiche per il ripristino della distrofina -

Parte II

Moderatori: Annemieke Aartsma-Rus e Filippo Buccella

Programma di sviluppo dell'exon skipping: PMO e PPMO

Madeline Billeter, *Sarepta Therapeutics*

Stereopuri per il potenziale trattamento della DMD con l'exon skipping: aggiornamenti dai trial clinici

Mike Panzara, *Wave Life Science*

Aggiornamenti per le mutazioni non-senso

Eugenio Mercuri, *Policlinico Universitario "A. Gemelli", Roma*

09:15 **Domande & Risposte**

09:45 **SESSIONE 7**

TAVOLA ROTONDA

Accessibilità possibile: una progettazione consapevole degli spazi di vita

Moderatore: Tiziana D'Auria, *Parent Project onlus*

Gli interventi di questa sessione andranno a delineare le procedure da seguire per una progettazione accessibile degli spazi di vita costruiti sulle esigenze e i bisogni della persona. A partire dalla definizione delle linee guida sulla ristrutturazione abitativa, si valuteranno le possibilità offerte dalle nuove tecnologie della domotica. Allo scopo di dimostrare la fattibilità di una buona progettazione, un'attenzione particolare verrà dedicata al racconto di riorganizzazioni abitative già realizzate o in corso di realizzazione.

Interventi:

Michele Marchi, *Dipartimento di Architettura, Università degli Studi di Ferrara*

Luca Bertazzoni, *Domotica Quadrifoglio*

Testimonianze di famiglie e ragazzi di *Parent Project onlus*

11:15 **Pausa**



11:30 SESSIONE 8

Strategie terapeutiche per rinforzare il muscolo e contrastare l'infiammazione

Moderatori: Giuseppe Vita e Luca Genovese

Aggiornamenti su vamorolone

Eric Hoffman, *ReveraGen BioPharma*

PolarisDMD, trial in fase 3 di Edasalonexent, un nuovo inibitore NF-B

Joanne Donovan, *Catabasis Pharmaceuticals*

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

Jacqueline Delfgaauw, *Mallinckrodt Pharmaceuticals*

TAMOXIFEN nella DMD: studio di sicurezza ed efficacia di fase 3

Dirk Fisher, *Universitäts-Kinderspital beider (UKBB)*

12:30 Domande & Risposte

13:00 SESSIONE 9:

TAVOLA ROTONDA

Accesso precoce ai farmaci sperimentali

Moderatori: Filippo Buccella e Stefano Mazzariol

Questa sessione è dedicata agli aspetti regolatori che governano l'accesso precoce ai farmaci sperimentali. La tavola sarà aperta con una presentazione dei percorsi di accesso precoce possibili e proseguirà con un dibattito che coinvolgerà i rappresentanti di tutte le figure coinvolte nel processo: pazienti, clinici, esperti e istituzioni.

Interventi:

Sandra Petraglia, *Area pre-autorizzazione - Agenzia Italiana del Farmaco, Roma - In attesa di conferma*
Francesco Macchia, *Osservatorio Farmaci Orfani*

Valeria Sansone, *Centro Clinico Nemo - A. O. "Niguarda", Milano*
Testimonianze di famiglie

14:00 Chiusura dei lavori

CAMBIARE IL MONDO È UN GIOCO DI SQUADRA

Quando partecipare fa la differenza



MEETING SULLA DISTROFIA MUSCOLARE DI BECKER

DOMENICA 17 FEBBRAIO

15:00

Benvenuto e apertura dei lavori

Luca Genovese, *Parent Project onlus*
Elena Pegoraro, *Università degli studi di Padova*
Antonio Bellon, *Parent Project onlus*

15:10

Dalle basi genetiche alla diagnosi della BMD

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

15:25

Dalla genetica alla variabilità clinica

Elena Pegoraro, *Università degli studi di Padova*

15:40

La gestione clinica della BMD

Luca Bello, *Università degli studi di Padova*

16:00

Domande & Risposte

16:30

ASPETTI PSICOLOGICI

Mariangela Bellomo e Giada Perinel,
Parent Project onlus

16:50

Aspetti respiratori nella BMD

Andrea Vianello, *Azienda Ospedaliera di Padova*

17:00

Anestesia nella BMD

Fabrizio Racca, *Ospedale "SS. Antonio e Biagio e Cesare Arrigo", Alessandria*

17:10

Aspetti cardiaci nella BMD

Rachele Adorisio, *Ospedale Pediatrico "Bambino Gesù", Roma*

17:25

Trial clinici nella BMD

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

17:50

Domande & Risposte

18:20

CHIUSURA DEI LAVORI

con il patrocinio di



con il patrocinio di



Ministero della Salute

Istituto Superiore di Sanità

Accademia Nazionale dei Lincei



con il patrocinio del "Consiglio regionale del Lazio"



con il patrocinio dell'Università degli Studi di Roma "Tor Vergata"



Università degli Studi di Messina



15 - 17 febbraio 2019 - Ergife Palace Hotel, Roma- Italia



CAMBIARE IL MONDO È UN GIOCO DI SQUADRA

Quando partecipare fa la differenza



CAMBIARE IL MONDO È UN GIOCO DI SQUADRA

Quando partecipare fa la differenza



XVII CONFERENZA INTERNAZIONALE sulla distrofia muscolare di Duchenne e Becker



Duchenne
Parent
Project
ONLUS

Via Pietro De Francisci, 36 - 00165 Roma
tel. 06 66182811 - fax 06 66188428
Centro Ascolto Duchenne 800 943 333
www.parentproject.it

SEGUICI SU

