



GENITORI CONTRO LA DISTROFIA MUSCOLARE DUCHENNE E BECKER - ONLUS

“I trial clinici e la ricerca Duchenne e Becker nel mondo”

Milano 15-16 febbraio 2008
NOVOTEL MILANO NORD CA' GRANDA - Viale Suzzani 13

Programma

Venerdì 15 Febbraio 2008 - Milano

15:30

Saluti di Benvenuto

Filippo Buccella

Presidente Parent Project onlus

Michela Vuga

giornalista responsabile area salute AGR - RCS

Ombretta Fortunati

Consigliera Delegata alla Partecipazione e alla Tutela dei Diritti delle Persone Diversamente Abili - Provincia di Milano

16:00

1. Una strategia europea per accelerare il cammino verso la terapia

I. Il progetto Treat-NMD – Francoise Salama (AFM/Genethon - Francia)

II. Valutazione di sicurezza del trial - Anna Ambrosini (Telethon - Italia)

II. Il registro pazienti italiano - Filippo Buccella (Parent Project Italia)

a. Il database genetico– Francesca Ceradini (Parent Project Italia)

17:00

2. Un modello nazionale per migliorare l'assistenza

a. La rete piemontese – Fabrizio Racca (Universita' di Torino - Italia)

17:30 Domande e risposte - Michela Vuga Giornalista AGR - RCS

SEDE LEGALE:
Via Santa Giusta, 50 Aranova (Rm)
SEDE OPERATIVA:
Via Aurelia, 1299 - 00166 Roma

tel. 06.66.18.28.11 - fax 06.66.18.84.28
Centro Ascolto Duchenne 800 943 333
partita iva 05203531008
www.parentproject.org



Sabato 16 Febbraio 2008 – Milano

9:00

La ricerca sulla Duchenne: lo stato attuale dei nuovi approcci terapeutici

Giulio Cossu (SCRI San Raffaele – Italia)

9:15

1. Terapia genica: nuove strategie per sostituire il gene mutato nella DMD - Moderatore Giulio Cossu

a. Sostituzione del gene - Annick Martin (AFM/Genethon - Francia)

b. Terapia genica AAV-mediata - Olivier Danos (CNRS – France)

c. Exon skipping a lungo termine nel topo mdx - Irene Bozzoni (Università di Roma “La Sapienza” – Italia)

10.15

II. Domande e risposte – Moderatrice Michela Vuga

10:30

2. Terapia cellulare: nuove strategie per sostituire le cellule difettose - Moderatore Steve Wilton

a. Trapianto autologo di cellule staminali adulte ingegnerizzate per produrre distrofina – Yvan Torrente (Università di Milano – Italia)

b. Golden Retriever Muscular Dystrophy: trattamento cellulare a lungo termine e terapia cellulare autologa – Maurilio Sampaolesi (Università di Padova – Italia)

c. Una nuova popolazione di cellule staminali nel muscolo scheletrico - David Sassoon (Inserm – Francia)

d. Rigenerazione muscolare con staminali embrionali - Rita Perlingeiro (University of Texas Southwestern Medical Center – US)

11.50

II. Domande e risposte – Moderatrice Michela Vuga

12:00

3. Terapia farmacologica - Moderatore Pier Lorenzo Puri

I. Come compensare l'assenza di distrofina

a. Steroidi giornalieri: una strategia valida a lungo termine? – Douglas Biggar (Università di Toronto – Canada)

b. Regolare l'utrofina - Jon Tinsley (SUMMITplc – GB)

c. Risultati del primo trial clinico con exon skipping - Annemieke Aartsma-Rus (Università di Leiden – Olanda)

d. Exon skipping per ridurre la severità della DMD: a che punto siamo? - Steve Wilton (Università di Western Australia – Australia)

13.15

II. Domande e risposte – Moderatrice Michela Vuga

13:30 pm: Pranzo

15:00

3. Terapia farmacologica - Moderatore Douglas Biggar

III. Come compensare l'assenza di distrofina

e. Aggiornamenti sullo sviluppo del PTC124 nella DMD - Langdon Miller (PTC Therapeutics – USA)

f. Ritmi circadiani ed impiego dei corticosteroidi – Maurizio Cutolo (Università di Genova – Italia)

IV. Come combattere l'atrofia e promuovere l'ipertrofia muscolare

a. Gli inibitori delle iston deacetilasi – Pier Lorenzo Puri (DTI-EBRI) USA

b. NO ed il rilascio di agenti anti-infiammatori - Emilio Clementi (Università di Milano – Italia)

c. Inibire i regolatori negativi del muscolo - Jas Seehra (Acceleron Pharma – USA)

17:00 Domande finali e risposte – Moderatrice Michela Vuga



Il programma del Convegno e la scheda d'iscrizione sono disponibili sul sito www.parentproject.it

La Distrofia Muscolare di Duchenne e Becker (DMD/DMB) è una malattia rara, la forma più grave delle distrofie muscolari, che viene trasmessa dalle madri attraverso il cromosoma X e colpisce 1 su 3.500 maschi nati vivi. Attualmente non esiste una cura specifica, ma un trattamento da parte di una équipe multidisciplinare che ha permesso di migliorare le condizioni generali e raddoppiare le aspettative di vita. Si stima che in Italia ci siano 5.000 persone affette dalla patologia.

Parent Project Onlus, l'associazione fondata dai genitori con figli affetti dalla distrofia muscolare di Duchenne e Becker, nasce nel 1996 per sconfiggere questa grave distrofia muscolare promuovendo e finanziando la ricerca scientifica. In questi anni ha contribuito, con oltre 1.500.000 euro di investimenti, al finanziamento di più di 50 progetti specifici. Altro obiettivo primario dell'associazione è la formazione e il sostegno, per le famiglie coinvolte dalla malattia. Dal 2002, grazie al Centro Ascolto Duchenne, finanziato dall'ISMA (Istituti Santa Maria in Aquiro di Roma) e dalla Fondazione Peppino Vismara, è attivo un servizio gratuito che fornisce informazioni del quale possono beneficiare, oltre alle famiglie, tutti gli specialisti interessati all'approfondimento.

Maggiori informazioni sulle attività di Parent Project e del Centro Ascolto Duchenne è possibile riceverle telefonando al Numero Verde 800 - 943 333 o visitando il sito internet www.parentproject.org

Per sostenere la "Campagna Rompere il silenzio" di Parent Project Onlus:

c/c postale 000049412166 – IBAN: IT18M0760103200000049412166

Banca Popolare Commercio e Industria – IBAN: IT18B0504803205000000010493

Ufficio stampa Parent Project Onlus

Tel. 06 66.18.28.11 – Fax 06 66.18.84.28

Stefania Collet

e-mail ufficiostampa@parentproject.org

Responsabile Scientifico Parent Project Onlus

Tel. 06 66.18.28.11 - Fax 06 66.18.84.28

Francesca Ceradini

f.ceradini@parentproject.org