

X Conferenza Internazionale sulla Distrofia Muscolare Duchenne e Becker
17 – 19 febbraio 2012 – Roma Ergife Palace Hotel

Programma Sessione Plenaria

Sabato 18 febbraio

8:30 – 8:50 **Registrazione**

8:50 – 9:00 **Benvenuto e apertura dei lavori**
Filippo Buccella, Parent Project onlus

9:00 - 11:00 **Sessione 1: Ricerca di base**
Moderatore: *Carrie Miceli*

09:00 - 9:25 **Panoramica sulla ricerca nel campo della DMD/BMD**
Sharon Hesterlee
PPMD, USA

9:25 - 9:50 **Panoramica sugli incontri scientifici di Baltimora e Roma**
Carrie Miceli
UCLA School of Medicine and College of Letters and Sciences - Los Angeles, USA

9:50 - 10:10 **L'exon skipping in fase preclinica**
Annemieke Aartsma-Rus
Dept of Human Genetics Leiden University Medical Center LUMC, Olanda

10:10 - 10:30 **Cromosoma umano artificiale per la terapia DMD**
Francesco S. Tedesco
Dept of Cell and Developmental Biology, University College – Londra, Gran Bretagna.

10:30 - 10:50 **Il Biglicano**
Justin Fallon
Neuroscience Department of Brown University, USA

10:50 - 11:10 **Coffee Break**



11:10 - 13:00 Sessione 2: Ricerca di base

Moderatore: *Stan Nelson*

11:10 - 11:30 Analisi dei dati DuchenneConnect per determinare gli effetti clinici dell'assistenza in ambito familiare

Stan Nelson

David Geffen School of Medicine at UCLA - Los Angeles, USA

11:30 - 11:50 Il ruolo dei microRNA nella DMD

Irene Bozzoni

Dip di Biologia e Biotecnologie - Università La Sapienza di Roma, Italia

11:50 - 12:10 Analoghi degli steroidi come potenziale terapia per la DMD

Kanneboyina Nagaraju

Children's National Medical Center (CGMR) - Washington, USA

12:10 - 12:30 Identificazione di biomarker genomici nella DMD

Alessandra Ferlini

Dip di Medicina Sperimentale e Diagnostica - Università di Ferrara, Italia

12:30 - 12:50 Domande e risposte

13:00 - 14:30 Pranzo

14:30 - 16:30 Sessione 3: Gestione clinica della DMD/BMD

Moderatore: *Antonio Toscano*

Presidente AIM (Associazione Italiana Miologia)

14:30 - 14:50 Progetto di Audit civico nei servizi per la DMD e BMD

Filippo Buccella

Parent Project onlus

14:50 - 15:10 Diagnosi clinica e molecolare

Holly Peay

PPMD, USA

15:10 - 15:30 Monitoraggio dei trattamenti terapeutici

Jes Rahbek

Rehabiliterings Center for Muskelsvind - Aarhus, Danimarca

15:30 - 15:50 Gli steroidi per la Duchenne: il buono, il brutto e l'incerto

Douglas Biggar

University of Toronto, Holland Bloorview Kids Rehab. Hospital – Toronto, Canada



15:50 - 16:10 Gestione riabilitativa ed ortopedica

Helen Posselt
Brisbane - Australia

16:10 - 16:30 Gestione degli aspetti endocrinologici e nutrizionali

Elena Mularoni
Ospedale Oftalmico di Torino - Italia

16:30 - 16:50 Coffee Break

16:50 - 18:50 Sessione 4: Gestione clinica della DMD/BMD

Moderatore: *Douglas Biggar*

16:50 - 17:10 Gestione cardiaca nella DMD: anche il cuore è un muscolo

Linda Cripe
Cincinnati Children's Hospital Medical Center - Cincinnati, USA

17:10 - 17:30 Gestione delle emergenze cardiache

Antonio Amodeo
UO Cardiocirurgia Ospedale Pediatrico Bambino Gesù – Roma, Italia

17:30 - 17:50 Gestione della insufficienza respiratoria cronica

Grazia Crescimanno
Istituto di Biomedicina e Immunologia Molecolare CNR - Palermo, Italia

17:50 - 18:10 Gestione delle emergenze respiratorie

Fabrizio Racca
Anestesia Pediatrica AON SS Antonio e Biagio e Cesare Arrigo Alessandria, Italia

18:10 - 18:30 Aspetti psicologici e cognitivi

Emanuela Giulitti
Centro Ascolto Duchenne Parent Project onlus, Italia

18:30 - 18:50 Domande e risposte

20.00 Cena Sociale Parent Project

Domenica 19 febbraio

9:00 - 11:00 Sessione 1: Aggiornamenti sui Trial

Moderatore: *Pat Furlong*
Presidente PPMD, USA

9:00 - 9:20 Exon Skipping: studi clinici in corso e prospettive

Nathalie Goemans
Dept of Pediatrics and Child Neurology, University Hospitals – Leuven

9:20 - 9:40 Exon Skipping

John Kraus
GSK

9:40 - 10:00 Exon Skipping

Giles Campion
Prosensa

10:00 - 10:20 Eteplirsen

Michela Guglieri
Newcastle University, Institute of Genetic Medicine, Newcastle upon Tyne, UK

10:20 - 10:40 Sicurezza ed efficacia di Ataluren in pazienti con mutazione nonsense

Eugenio Mercuri
Dip di Neuropsichiatria Infantile, Policlinico Agostino Gemelli – Roma, Italia

10:40 - 11:00 Terapia cellulare per la DMD

Giulio Cossu
Dept of Cell and Developmental Biology, University College – Londra, Gran Bretagna

11:00 - 11:20 Coffee Break

11:20 - 13:30 Sessione 2: Aggiornamenti sui Trial

Moderatore: *Elizabeth Vroom*
Presidente DPP e UPPMD, Olanda

11:20 - 11:40 Sviluppo clinico di Catena (Idebenone) nella DMD

Raffaele Rubino
Santhera

11:40 – 12:00 Studio clinico con flavocoxid: a che punto siamo?

Sonia Messina
Dip di Neurologia e Malattie Neuromuscolari Policlinico Universitario Messina, Italia



**Duchenne
Parent
Project**
onlus

12:00 - 12:20 Isofen

Emilio Clementi

Farmacologia Clinica Ospedale Luigi Sacco - Milano, Italia

12:20 – 12:40 Tadalafil/Sildenafil

Stan Nelson

David Geffen School of Medicine at UCLA - Los Angeles, USA

12:40 - 13:00 Primo studio clinico per valutare la tollerabilità, il profilo farmacocinetico e l'effetto di givinostat nella DMD

Paolo Bettica

Italfarmaco

13:00 - 13:20 Domande e risposte

13:20 - 13:30 Conclusioni

Programma Sessioni Parallele

Venerdì 17 febbraio
dalle 17.00 alle 18.30

Sessioni dedicate a famiglie con bambini piccoli:

- Integrazione Scolastica
- Sessione pratica di stretching
- Guida all'utilizzo del Registro Italiano Pazienti DMD/BMD

Sabato 18 febbraio
dalle 15.30 alle 17.00 e dalle 17.30 alle 19.00

- Sessione pratica di stretching e fisioterapia (per fisioterapisti)
- Adolescenza, crescita e sessualità
- Utilizzo degli ausili per la riabilitazione, la respirazione e la comunicazione
- Gruppi di auto-aiuto e sostegno psicologico
- L'abbattimento delle barriere, ristrutturare casa
- Sessione sul lavoro (Progetto 383 "Rete Duchenne al LAVORO contro la povertà e l'esclusione sociale)
- Mio fratello è figlio unico?
- Burocrazia
- Aspetti genetici e Registro Italiano Pazienti DMD/BMD
- Come organizzare eventi ed iniziative per Parent Project Onlus