



XV CONFERENZA INTERNAZIONALE SULLA DISTROFIA MUSCOLARE DI DUCHENNE E BECKER

**17 – 19 febbraio 2017
Ergife Palace Hotel, Roma- Italia**

Programma preliminare

L'evento si aprirà venerdì 17 febbraio alle ore 16.30 con lo spazio dedicato alla formazione per le famiglie. Nelle diverse salette disponibili, gli specialisti aspetteranno i ragazzi, i genitori, i parenti per affrontare insieme temi legati agli aspetti della vita quotidiana.

Venerdì, 17 febbraio

16:30 SESSIONE PARALLELA "La gestione clinica dei ragazzi BMD dalla clinica alla vita quotidiana"

Adele D'Amico, Unità Operativa di Malattie Neuromuscolari e Neurodegenerative, Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Roma, Italia

16:30 SESSIONE PARALLELA "Stretching e fisioterapia respiratoria"

*Luca Guidicini, Parent Project Onlus, Italia
Cristina Bella, Parent Project Onlus, Italia*

16:30 SESSIONE PARALLELA "Donne Portatrici"

Chiara Fiorillo, U.O.C. Neurologia Pediatrica e Malattie Muscolari, Ospedale Pediatrico G. Gaslini, Genova, Italia

16:30 SESSIONE PARALLELA "Mio Fratello è figlio unico?"

(Relatore da confermare)

18:00 SESSIONE PARALLELA "Leggi e diritti"

Carlo Giacobini, HandyLex.org, Italia



XV CONFERENZA INTERNAZIONALE SULLA DISTROFIA MUSCOLARE DI DUCHENNE E BECKER

*18 – 19 febbraio 2017
Ergife Palace Hotel, Roma- Italia*

Programma preliminare

Sabato, 18 febbraio

8:30 REGISTRAZIONE

9:00 BENVENUTO E APERTURA DEI LAVORI

*Filippo Buccella, Parent Project Onlus, Italia
Luca Genovese, Parent Project Onlus, Italia
Stefano Mazzariol,, Parent Project Onlus, Italia*

9:05 "IL PANORAMA ATTUALE DELLE SPERIMENTAZIONI CLINICHE "

Fernanda De Angelis, Parent Project Onlus, Italia

SESSIONE 1: STUDI IN FASE PRE-CLINICA

Moderatore: Pier Lorenzo Puri

Editing e DMD

Annemieke Aartsma-Rus, Leiden University Medical Center LUMC, Leiden, Netherland

Duplicazioni

*Kevin Flanigan, Center for Gene Therapy, Nationwide Children's Hospital, Ohio, USA -
TBD*

Antisenso Stereopuri per l'exon skipping

Wendy Erler, Wave Life science

Terapia Genica per la DMD

Carl Morris, Solid Biosciences

Uso delle cellule del Sertoli nella Distrofia Muscolare di Duchenne: verso l'applicazione clinica nei pazienti

Guglielmo Sorci, Università di Perugia, Perugia, Italia

Un approccio diverso per rallentare la progressione della Distrofia Muscolare: il silenziamento di Nfix rallenta la contrazione e la rigenerazione dei muscoli distrofici e recupera il fenotipo patologico

Graziella Messina, University of Milan, Milan, Italia

DOMANDE & RISPOSTE

SEDE LEGALE E OPERATIVA: tel. 06 66182811 – fax 06 66188428
Via N. Coviello, 12/14 Centro Ascolto Duchenne 800 943 333
00165 Roma partita iva 05203531008 - www.parentproject.it



Duchenne
Parent
Project
onlus

PAUSA CAFFE'

SESSIONE 2: TAVOLA ROTONDA "VERSO LA DISPONIBILITA' DI NUOVE TERAPIE"

Moderatore: Filippo Buccella

Durante questa sessione parleremo di ricerca pre-clinica e di come ottimizzare questa importante fase del percorso di sviluppo di un farmaco al fine di migliorare le probabilità di successo degli studi clinici nei pazienti. Sarà affrontato in questa sessione anche il tema dei costi attuali della patologia

Invitati ad intervenire:

Annemieke Aartsma Rus; Leiden University Medical Center LUMC, Leiden, Olanda

Annamaria De Luca, Università di Bari Aldo Moro - Bari, Italia

Elena Serena, Università degli Studi di Padova, Padova, Italia

Luca Emili, Promeditec

Pavel Balabanov, EMA *To be confirmed*

Mario Melazzini, Direttore Generale AIFA

Andrea Marcellusi, Università di Tor Vergata, Roma

Laura Bianconi, Senatrice

13:00 PRANZO

SESSIONE 3: TAVOLA ROTONDA "LA POPOLAZIONE ADULTA"

Moderatore: Luca Genovese

durante questa sessione i ragazzi e i giovani adulti parleranno di vita indipendente esplorando diversi aspetti: scuola, lavoro, passioni, sport e affettività

PAUSA CAFFE'

SESSION 4: MISURE DI VALUTAZIONE

Moderatore: da definire

GENERAZIONE DI CELLULE MIOGENICHE DA CELLULE STAMINALI PLURIPOTENTI PRESENTI NELLE URINE PER TESTARE L'EFFICACIA DEI FARMACI E IDENTIFICARE BIOMARCATORI NEI PAZIENTI CON DISTROFIA MUSCOLARE DI DUCHENNE

Alessandra Ferlini, Dip. di Riproduzione e Accrescimento & Dip. di Scienze Mediche, Ferrara, Italia

MISURA PER MISURA

Eugenio Mercuri, Dip. Neuropsichiatria Infantile, Policlinico Agostino Gemelli, Roma, Italia



Duchenne
**Parent
Project**
onlus

**PROGETTO DI IMPLEMENTAZIONE CON LA MISURA DELLA SNIP
DEL DATA BASE RESPIRATORIO DI PARENT PROJECT ITALIA**

*Fabrizio Racca, Rep. Di Anestesia Pediatrica AO Nazionale, SS. Antonio e Biagio e
Cesare Arrigo di Alessandria, Alessandria, Italia*

MRI

TBD

DOMANDE & RISPOSTE

SESSIONE 5: TRIAL CLINICI IN FASE 1 – 1/2

Moderatore: da definire

BMS986089

Leslie Jacobsen, Bristol-Myers Squibb

CAP-1002

Linda Marban, Capricor Therapeutics

Rimeporide

Stefano Previtali, Ospedale San Raffaele, Milano, Italia

Epicatechina

George Schreiner, Cardero Therapeutics

DOMANDE & RISPOSTE

20:30

CENA



Domenica, 19 febbraio

8:30 BENVENUTO E APERTURA DEI LAVORI

Luca Genovese, Parent Project Onlus, Italia

Stefano Mazzariol, Parent Project Onlus, Italia

SESSIONE 6: TRIAL CLINICI IN FASE 2

Moderatore: Annamaria De Luca

Ezutromid/SMT C1100

Ralf Roskamp, Summit

CAT 1004

Joanne M. Donovan, Catabasis

Vamorolone/ VBP 15

Eric Hoffman, ReveraGen

Domagrozumab/PF 06252616

Ottavio Vitolo, Pfizer

DOMANDE & RISPOSTE

SESSIONE 7: TRIAL CLINICI IN FASE 3

Moderatore: Francesco Muntoni

Givinostat

Paolo Bettica, Italfarmaco

Raxone

Thomas Meier, Santhera

Eteplirsén, SRP 4053, SRP 4045

Edward Kaye, Sarepta

AGGIORNAMENTI SULLA MUTAZIONE NONSENSEN

Eugenio Mercuri, Dip. Neuropsichiatria Infantile, Policlinico Agostino Gemelli, Roma, Italia

DOMANDE & RISPOSTE

SESSIONE 8: TAVOLA ROTONDA "CRITICITÀ NEGLI STUDI CLINICI IN FASE AVANZATA"

13:30 FINE DEI LAVORI