



**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

Luisa Politano, Professore di Genetica Medica nella Università degli Studi della Campania "Luigi Vanvitelli" - Responsabile del Servizio di Cardiomiologia e Genetica Medica dell'Azienda Ospedaliera Universitaria "Luigi Vanvitelli" - Primo Polyclinico

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

Giulia Franco, Psicologa dell'età evolutiva, Padova

18:00 SESSIONE PARALLELA "Leggi e diritti"

Carlo Giacobini, HandyLex.org, Itali



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 genetico per la DMD

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

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 microincapsulate nella Distrofia Muscolare di Duchenne

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, Università di Milano, Milaon, Italia

DOMANDE & RISPOSTE



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

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

Luca Emili, Promeditec

Andrea Marcellus, 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: Eugenio Mercuri

LE CELLULE STAMINALI DERIVATE DALLE URINE POSSONO RIASSUMERE IL FENOTIPO DMD E SONO STRUMENTI PER LO STUDIO DELLE MUTAZIONI E L'EFFETTO DEI TRATTAMENTI

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

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



DOMANDE & RISPOSTE

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

Moderatore: Filippo Buccella

Aggiornamento sul programma BMS: adnectina anti-miostatina

Leslie Jacobsen, Bristol-Myers Squibb

CAP-1002

Linda Marban, Capricor Therapeutics

Studio RIM4DMD: aggiornamento e prossimi passi

Stefano Previtali, Ospedale San Raffaele, Milano, Italia

Aggiornamento sulla biogenesi dei mitocondri come nuova terapia per la Distrofia Muscolare di Duchenne e Becker

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: TBD

Ezutromid/SMT C1100

Ralf Rosskamp, Summit

CAT 1004

Joanne M. Donovan, Catabasis

Vamorolone/ VBP 15

Eric Hoffman, ReveraGen

Domagrozumab: aggiornamento sullo studio principale e i successivi

Michael Binks, Pfizer

DOMANDE & RISPOSTE

PAUSA CAFFE'

SESSIONE 7: TRIAL CLINICI IN FASE 3

Moderatore: Francesco Muntoni

Givinostat

Paolo Bettica, Italfarmaco

Il ruolo di Raxone (Idebenone) nella gestione respiratoria nella DMD

Thomas Meier, Santhera

Eteplirsen, SRP 4053, SRP 4045

Edward Kaye, Sarepta

AGGIORNAMENTI SULLA MUTAZIONE NONSENZO

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

DOMANDE & RISPOSTE



SESSIONE 8: TAVOLA ROTONDA "TRIAL CLINICI E ASPETTATIVE"

Moderatore: Eugenio Mercuri e Francesco Muntoni

Durante questa sessione parleremo delle criticità negli studi clinici in fase avanzata.

Invitati ad intervenire:

Edward Kaye, Sarepta Therapeutics

Mark Rothera - Sonmi Park, PTC Therapeutics

Paolo Bettica, Italfarmaco

Thomas Meier, Santhera

Valeria Ricotti, Solid Biosciences

13:30 FINE DEI LAVORI