



Duchenne
Parent
Project
onlus

**XVII CONFERENZA INTERNAZIONALE
SULLA DISTROFIA MUSCOLARE DI DUCHENNE E BECKER**
15 – 17 febbraio 2019
Ergife Palace Hotel, Roma- Italia

Programma preliminare

VENERDI 15 FEBBRAIO

14:30 ACCOGLIENZA

14:30 REGISTRAZIONE

15:00 SESSIONI PARALLELE

15:00 – 16:00

SESSIONE PARALLELA - "Ci sono anch'io: essere fratello di un paziente DMD/BMD"

Carla Fermariello (Associazione Sibling)

SESSIONE PARALLELA "Fisioterapia motoria"

Cristina Bella (fisioterapista Parent Project)

SESSIONE PARALLELA "Ciò che mangiamo ha un peso" Gli aspetti nutrizionali nella DMD e BMD

Relatore da definire

SESSIONE PARALLELA "Integrando si impara"

Relatore da definire

16:15 – 17:15

SESSIONE PARALLELA "Pianificare una gravidanza: La consulenza genetica nelle donne portatrici"

Alessandra Ferlini

SESSIONE PARALLELA "Integrando si impara"

Relatore da definire

SESSIONE PARALLELA "Fisioterapia respiratoria"

Cristina Bella (fisioterapista Parent Project)

SESSIONE PARALLELA "Oltre le barriere"

Michele Marchi - Luca Bertazzoni

17:30 – 19:00

SESSIONE PARALLELA "Legge che va, diritto che viene"

Carlo Giacobini (Direttore responsabile di HandyLex.org)



SESSIONE PARALLELA "Affettività e sessualità"

**Max Olivieri – Prof. Fabrizio Quattrini – Avv. Lorenzo Simonetti e Avv. Claudio Miglio
(Comitato Love Giver)**

SESSIONE PARALLELA "Fisioterapia motoria e respiratoria"

Cristina Bella (fisioterapista Parent Project)

20:30 CENA A BUFFET E INTRATTENIMENTO SERALE

SABATO 16 FEBBRAIO

8:00 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: F. Muntoni e F. Buccella

- **Minidistrofina AAV**
Michael Binks, Pfizer
- **SGT-001**
Carl Morris, Solid Biosciences
- **rAAVrh74.MHCK7 micro-dystrophin**
Rachel Potter, Sarepta
- **Editing Genomico**
Ronald Cohn, SickKids, Canada
- **Terapia cellulare**
Giulio Cossu, University of Manchester, Regno Unito

10.30 Domande e risposte

11.00 Pausa



11.15 SESSIONE 2: TAVOLA ROTONDA - Quando la complessità aumenta: DMD/BMD e problematiche correlate

Moderatore: M. 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 possono 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.

Interverranno:

Marika Pane, Centro Nemo Pediatrico Policlinico Agostino Gemelli

Maria Elena Lombardo, UILDM LAZIO

Sabrina Parazzini, Insegnante di sostegno Istituto Comprensivo via Luigi Rizzo Roma

Giancarlo Onger, C.N.I.S Brescia

Rosy Galbo, Terapista della Neuro e Psicomotricità dell'età evolutiva - UILDM Sezione Lazio

Testimonianze delle famiglie di Parent Project onlus: Clizia Carozzino

12.45 PRANZO/SESSIONE POSTER

14.00 SESSIONE 3: Strategie terapeutiche per rinforzare il muscolo

Moderatori: V. Sansone e S. Mazzariol

- **GALGT2**
Kevin Flanigan, Nationwide Children's Hospital, Columbus, Ohio, USA
- **GIVINOSTAT**
Paolo Bettica, Italfarmaco
- **RG6206**
Roxana Dreghici, Roche
- **Domagrozumab**
Michael Binks, Pfizer
- **Raxone**
Thomas Meier, Santhera Pharmaceuticals

15.30 Domande e risposte



16.45 SESSIONE 4: TAVOLA ROTONDA – Avere cura di chi si prende cura: donne che incontrano la DMD/BMD

Moderatore: E. 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.

Interverranno:

Alessandra Ferlini, Università degli Studi di Ferrara

Elena Pegoraro, Università di Padova

Testimonianza di una sorella

Testimonianze delle famiglie di Parent Project onlus

18.15 SESSIONE 5: PROGETTI FINANZIATI DA 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

20.30 Proclamazione vincitori sessione poster

CENA



DOMENICA 17 FEBBRAIO

8.15 APERTURA DEI LAVORI

Parent Project onlus

8.30 SESSIONE 6: Strategie terapeutiche per il ripristino della distrofina - Parte II

Moderatori: A.M. Aartsma-Rus e F. Buccella

- **Aggiornamenti sull'exon skipping**
Gilmore O'Neill, Sarepta Therapeutics
- **WVE-210201**
Mike Panzara, Wave Life Science
- **Aggiornamenti per le mutazioni non-senso**
Eugenio Mercuri, Policlinico Universitario "A. Gemelli", Italia

9.15 Domande e risposte

9.45 SESSIONE 7: Tavola rotonda – Accessibilità possibile: una progettazione consapevole degli spazi di vita

Moderatore: T. 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.

Interverranno:

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

Luca Bertazzoni, Domotica Quadrifoglio

Samuele Ragona,

Testimonianza di una famiglia di Parent Project: Ialina Vinci

Testimonianza di un paziente



11.15 SESSIONE 8: Strategie terapeutiche per rinforzare il muscolo e contrastare l'infiammazione

Moderatori: G. Vita e L. Genovese

- **VAMOROLONE**
Eric Hoffman, ReveraGen BioPharma
- **EDASALONEXENT**
Joanne Donovan, Catabasis Pharmaceuticals
- **MNK-1411**
Jacqueline Delfgaauw, Mallinckrodt Pharmaceuticals
- **TAMOXIFEN**
Dirk Fisher, Universitäts-Kinderspital beider (UKBB)

12.15 Domande e risposte

12.45 SESSIONE 9: Tavola rotonda – Accesso precoce ai farmaci sperimentali

Moderatori: F. Buccella e S. Mazzariol, Parent Project onlus

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.

14.00 CHIUSURA DEI LAVORI

15.00 MEETING DISTROFIA MUSCOLARE DI BECKER