

**XVI CONFERENZA INTERNAZIONALE
SULLA DISTROFIA MUSCOLARE DI DUCHENNE
E BECKER**

*16 - 18 febbraio 2018
Ergife Palace Hotel, Roma- Italia*

VENERDI' 16 FEBBRAIO

15:30 REGISTRAZIONE

16:00 SESSIONI PARALLELE

16:00 – 17:00

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

CARLA FERMARIELLO

SESSIONE PARALLELA "Fisioterapia motoria" - *CRISTINA BELLA*

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

BERTOLI SIMONA - ESTER GIAQUINTO

SESSIONE PARALLELA "Integrando si impara" - *Integrazione scolastica* - *SALVATORE NOCERA*

17:30 – 18:30

SESSIONE PARALLELA "Quella X che fa la differenza" - *Donne portatrici* - *CHIARA FIORILLO*

SESSIONE PARALLELA "Integrando si impara" - *Integrazione scolastica* - *SALVATORE NOCERA*

SESSIONE PARALLELA "Affettività e sessualità" *MASSIMILIANO ULIVIERI*

SESSIONE PARALLELA "Fisioterapia respiratoria" - *CRISTINA BELLA*

18:30 – 20:00

SESSIONE PARALLELA "Legge che va, diritto che viene" - *Leggi, burocrazia e diritti*

CARLO GIACOBINI

SESSIONE PARALLELA "Fisioterapia motoria e respiratoria" - *CRISTINA BELLA*

20:30 CENA A BUFFET

SABATO 17 FEBBRAIO

8:00 REGISTRAZIONE

8:30 **BENVENUTO E APERTURA DEI LAVORI**

Filippo Buccella, Parent Project onlus
Luca Genovese, Parent Project onlus
Stefano Mazzariol, Parent Project onlus

SESSIONE 1: STUDI PRE-CLINICI / FASE 1

Terapia genica - microdistrofina AAV

Michael Binks, Pfizer

Terapia genica - microdistrofina AAV

Thomas Voit, UCL Institute of Child Health

Terapia genica - SGT - 001

Carl Morris, Solid Biosciences

Terapia genica - microdistrofina AAV

Louise Rodino-Klapac, Nationwide Children's Hospital

Terapia genica - GALGT2

Kevin Flanigan, Nationwide Children's Hospital - TBC

Editing genomico

TBC

WAVE 51

Wendy Erler, Wave Life Science

Domande & Risposte

PAUSA

SESSIONE 2: TAVOLA ROTONDA

"IL BAMBINO E LA FAMIGLIA INCONTRANO LA PATOLOGIA"

In questa sessione parleremo del delicato momento della diagnosi e di come questa altera gli equilibri familiari che devono essere ristabiliti per affrontare le successive fasi di vita. Un'attenzione particolare verrà dedicata alle modalità di comunicazione della diagnosi, dal medico alla famiglia, dalla famiglia al bambino, senza dimenticare i fratelli.

13:00 PRANZO

SESSIONE 3: STUDI CLINICI NEI PIU' PICCOLI

EDASALONEXENT

Joanne Donovan, Catabasis Pharmaceuticals

VAMOROLONE

Eric Hoffman, ReveraGen BioPharma

Domande & Risposte

SESSIONE 4: TAVOLA ROTONDA "DALL'INFANZIA ALL'ADOLESCENZA"

In questa sessione parleremo della delicata fase di passaggio all'adolescenza, complessa sia dal punto di vista emotivo sia per quanto riguarda l'evoluzione della patologia. Si intende, inoltre, promuovere una riflessione sulla partecipazione ai trial clinici, vissuti da genitori e paziente come una possibilità per il futuro.

PAUSA

SESSIONE 5: STUDI CLINICI NEI BAMBINI DEAMBULANTI

SRP4053 SRP4045

Madeleine Billeter, Sarepta Therapeutics

EZUTROMID

Michelle Avery, Summit Therapeutics plc

RIMEPORIDE

Stefano Previtali, Ospedale San Raffaele, Milano

DOMAGROZUMAB

Michael Binks, Pfizer

BMS-986089/RG6206

Roche

Domande & Risposte

SESSIONE POSTER

20:30

CENA

DOMENICA 18 FEBBRAIO

8:30

APERTURA LAVORI

*Luca Genovese, Parent Project onlus
Stefano Mazzariol, Parent Project onlus*

SESSIONE 6: TAVOLA ROTONDA “PROGETTO DI VITA”

In questa sessione verranno evidenziati gli aspetti che caratterizzano le esperienze di vita indipendente, sia nella relazione di interdipendenza tra genitori e ragazzo, sia rispetto ai contesti sociali di vita.

SESSIONE 7: STUDI CLINICI IN PIU' POPOLAZIONI

ETEPLIRSEN

Madeleine Billeter, Sarepta Therapeutics

GIVINOSTAT

Paolo Bettica, Italfarmaco

AGGIORNAMENTI SULLA MUTAZIONE NON SENSO

TBD

RAXONE

Thomas Meier, Santhera Pharmaceuticals

CAP-1002

Linda Marban, Capricor Therapeutics

Domande & Risposte

13:30

CHIUSURA DEI LAVORI