

# CAMBIARE IL MONDO È UN GIOCO DI SQUADRA

*Quando partecipare fa la differenza*



**XVII CONFERENZA INTERNAZIONALE**  
sulla distrofia muscolare di Duchenne e Becker





# **CAMBIARE IL MONDO È UN GIOCO DI SQUADRA**

*Quando partecipare fa la differenza*



VENERDI 15 FEBBRAIO | 14:00 REGISTRAZIONE

15:00

SESSIONI PARALLELE

15:00 – 16:00

**Ci sono anch'io: essere fratello di un paziente DMD/BMD**

Carla Fermariello - *Associazione Siblings*  
*Testimonianze di famiglie*

**Fisioterapia motoria**

Cristina Bella - *Parent Project onlus*

**Ciò che mangiamo ha un peso.**

**Gli aspetti nutrizionali nella DMD e BMD**

Simona Bertoli - *Università degli Studi di Milano*

**Integrando si impara**

Giancarlo Onger - *C.N.I.S. Brescia*

16:15 – 17:15

**Pianificare una gravidanza: la consulenza genetica nelle donne portatrici**

Alessandra Ferlini - *Università degli Studi di Ferrara*

**Integrando si impara**

Giancarlo Onger - *C.N.I.S. Brescia*

**Fisioterapia respiratoria**

Cristina Bella - *Parent Project onlus*

**Oltre le barriere**

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

Luca Bertazzoni - *Domotica Quadrifoglio*

17:30 – 19:00

**Legge che va, diritto che viene**

Carlo Giacobini - *HandyLex*

**Fisioterapia motoria e respiratoria**

Cristina Bella - *Parent Project onlus*

**Affettività e sessualità**

Max Ulivieri - Fabrizio Quattrini -  
Lorenzo Simonetti - Claudio Miglio -  
*Comitato Love Giver*

19:30



CENA A BUFFET E  
PROIEZIONE DEL  
DOCUMENTARIO

“AutoNOImia: dietro le  
quinte”



ANIMAZIONE PER BAMBINI  
E RAGAZZI PER TUTTA LA DURATA  
DELLA CONFERENZA

SABATO 16 FEBBRAIO | 08:00 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:* Francesco Muntoni e Filippo Buccella

**Minidistrofina AAV**

Michael Binks, *Pfizer*

**Terapia genica Microdistrofina - SGT-001**

Carl Morris, *Solid Biosciences*

**Terapia genica con microdistrofina come trattamento per la distrofia muscolare di Duchenne**

Rachel Potter, *Sarepta*

**Aggiornamenti sull'editing genomico per la distrofia muscolare di Duchenne**

Ronald Cohn, *SickKids, Canada*

**Terapia cellulare per la DMD: perché potrebbe finalmente funzionare**

Giulio Cossu, *Manchester University*

10:30 Domande & Risposte

11:00 Pausa



11:15 SESSIONE 2

Tavola Rotonda

**“Quando la complessità aumenta: DMD/BMD e problematiche correlate”**

*Moderatore:* Marica 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, possano 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.*

**Interventi:**

Marika Pane, *Centro Nemo*

*Pediatrico - Policlinico*

*Universitario "A. Gemelli", Roma*

Maria Elena Lombardo, *UILDM*

*Sezione Lazio*

Rosy Galbo, *UILDM Sezione Lazio*

Serena Calabrese, *Logopedista*

Giancarlo Onger, *C.N.I.S. Brescia*

Sabrina Parazzini, *Istituto*

*Comprensivo via Luigi Rizzo Roma*

Testimonianze di famiglie

**Efficacia a lungo termine  
dell'idebenone sugli esiti della  
funzione respiratoria nei pazienti  
con DMD**

Thomas Meier, *Santhera*

*Pharmaceuticals*

**15:00 Domande &  
Risposte**

**15:30 Pausa**



**15.45 SESSIONE 4  
TAVOLA ROTONDA**

**Avere cura di chi si prende cura:  
donne che incontrano la DMD/  
BMD**

*Moderatore: Emanuela 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.*

**12.45: Pranzo**



**Sessione poster**

**14:00 SESSIONE 3**

**Strategie terapeutiche per  
rinforzare il muscolo**

*Moderatori: Valeria Sansone e Stefano Mazzariol*

**Givinostat: aggiornamento clinico  
in Duchenne e Becker**

Paolo Bettica, *Italfarmaco*

**Antimiostatina RG6206 nella  
Duchenne**

Roxana Dreghici, *Roche*

**Domagrozumab**

Michael Binks, *Pfizer*



15 - 17 febbraio 2019 - Ergife Palace Hotel, Roma- Italia

**Interventi:**

Alessandra Ferlini, *Università degli Studi di Ferrara*

Elena Pegoraro, *Università degli studi di Padova*

Testimonianze di famiglie

17:15 Proiezione  
documentario "New lives:  
stories linked by Duchenne  
and Becker muscular  
dystrophy"

18:00 SESSIONE 5:  
I Pazienti: il sostegno  
in più in laboratorio

Stefano Mazzariol, *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*

19:00 Chiusura dei  
lavori

20:30 Cena a buffet



Proclamazione  
vincitori sessione  
poster

Dj Set



# DOMENICA 17 FEBBRAIO

8:15

**Apertura dei lavori**

8:30 **SESSIONE 6**

Strategie terapeutiche per il ripristino della distrofina -

*Parte II*

*Moderatori:* Annemieke Aartsma-Rus e Filippo Buccella

**Programma di sviluppo dell'exon skipping: PMO e PPMO**

Madeline Billeter, *Sarepta Therapeutics*

**Stereopuri per il potenziale trattamento della DMD con l'exon skipping: aggiornamenti dai trial clinici**

Mike Panzara, *Wave Life Science*

**Aggiornamenti per le mutazioni non-senso**

Eugenio Mercuri, *Policlinico Universitario "A. Gemelli", Roma*

09:15 **Domande & Risposte**

09:45 **SESSIONE 7**

**TAVOLA ROTONDA**

**Accessibilità possibile: una progettazione consapevole degli spazi di vita**

*Moderatore:* Tiziana 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.*

**Interventi:**

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

Luca Bertazzoni, *Domotica Quadrifoglio*

Testimonianze di famiglie e ragazzi di *Parent Project onlus*

11:15 **Pausa**



## 11:30 SESSIONE 8

### Strategie terapeutiche per rinforzare il muscolo e contrastare l'infiammazione

*Moderatori:* Giuseppe Vita e Luca Genovese

#### **Aggiornamenti su vamorolone**

Eric Hoffman, *ReveraGen BioPharma*

#### **PolarisDMD, trial in fase 3 di Edasalonexent, un nuovo inibitore NF-B**

Joanne Donovan, *Catabasis Pharmaceuticals*

#### **Brave: studio di fase 2 per valutare l'efficacia e la sicurezza di MNK1411 nella DMD**

Jacqueline Delfgaauw, *Mallinckrodt Pharmaceuticals*

#### **TAMOXIFEN nella DMD: studio di sicurezza ed efficacia di fase 3**

Dirk Fisher, *Universitäts-Kinderspital beider (UKBB)*

## 12:30 Domande & Risposte

## 13:00 SESSIONE 9: TAVOLA ROTONDA

### **Accesso precoce ai farmaci sperimentali**

*Moderatori:* Filippo Buccella e Stefano Mazzariol

*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.*

#### **Interventi:**

Sandra Petraglia, *Area pre-autorizzazione - Agenzia Italiana del Farmaco, Roma - In attesa di conferma*  
Francesco Macchia, *Osservatorio Farmaci Orfani*

Valeria Sansone, *Centro Clinico Nemo - A. O. "Niguarda", Milano*  
Testimonianze di famiglie

## 14:00 Chiusura dei lavori

# CAMBIARE IL MONDO È UN GIOCO DI SQUADRA

*Quando partecipare fa la differenza*



# MEETING SULLA DISTROFIA MUSCOLARE DI BECKER

## DOMENICA 17 FEBBRAIO

### 15:00

#### **Benvenuto e apertura dei lavori**

Luca Genovese, *Parent Project onlus*  
Elena Pegoraro, *Università degli studi di Padova*  
Antonio Bellon, *Parent Project onlus*

### 15:10

#### **Dalle basi genetiche alla diagnosi della BMD**

Adele D'Amico, *Ospedale Pediatrico "Bambino Gesù", Roma*

### 15:25

#### **Dalla genetica alla variabilità clinica**

Elena Pegoraro, *Università degli studi di Padova*

### 15:40

#### **La gestione clinica della BMD**

Luca Bello, *Università degli studi di Padova*

### 16:00

#### **Domande & Risposte**

### 16:30

#### **ASPETTI PSICOLOGICI**

Mariangela Bellomo e Giada Perinel,  
*Parent Project onlus*

### 16:50

#### **Aspetti respiratori nella BMD**

Andrea Vianello, *Azienda Ospedaliera di Padova*

### 17:00

#### **Anestesia nella BMD**

Fabrizio Racca, *Ospedale "SS. Antonio e Biagio e Cesare Arrigo", Alessandria*

### 17:10

#### **Aspetti cardiaci nella BMD**

Rachele Adorisio, *Ospedale Pediatrico "Bambino Gesù", Roma*

### 17:25

#### **Trial clinici nella BMD**

Giacomo Comi, *Fondazione IRCCS "Ca' Granda" - Ospedale Maggiore Policlinico/Università degli Studi di Milano*

### 17:50

#### **Domande & Risposte**

### 18:20

#### **CHIUSURA DEI LAVORI**

con il patrocinio di



con il patrocinio di



Ministero della Salute

Istituto Superiore di Sanità

Accademia Nazionale dei Lincei



con il patrocinio del "Consiglio regionale del Lazio"



con il patrocinio dell'Università degli Studi di Roma "Tor Vergata"



Università degli Studi di Messina



*15 - 17 febbraio 2019 - Ergife Palace Hotel, Roma- Italia*



## **CAMBIARE IL MONDO È UN GIOCO DI SQUADRA**

*Quando partecipare fa la differenza*



# CAMBIARE IL MONDO È UN GIOCO DI SQUADRA

*Quando partecipare fa la differenza*



## XVII CONFERENZA INTERNAZIONALE sulla distrofia muscolare di Duchenne e Becker



Duchenne  
Parent  
Project  
onlus

Via Pietro De Francisci, 36 - 00165 Roma  
tel. 06 66182811 - fax 06 66188428  
Centro Ascolto Duchenne 800 943 333  
[www.parentproject.it](http://www.parentproject.it)

SEGUICI SU

