



Duchenne
Parent
Project
aps

**XVIII CONFERENZA INTERNAZIONALE
SULLA DISTROFIA MUSCOLARE DI DUCHENNE E BECKER
28-29 Febbraio – 1° Marzo 2020- Ergife Palace Hotel – Roma - Italia**

Programma preliminare

Venerdì 28 Febbraio

14:00/15:30 Ci sono anch'io. Essere fratello di un paziente DMD/BMD

Carla Fermariello - *Associazione Siblings*

14:00/15:30 Ciò che mangiamo ha un peso. Gli aspetti nutrizionali nella DMD e BMD

Simona Bertoli – *Università degli Studi di Milano*

14:00/15:30 Oltre le barriere. Accessibilità e progettazione accessibile

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

14:00 /15:30 Fisioterapia motoria per bambini e adulti

Cristina Bella – *Parent Project aps*

16:00/17:30 Quando la complessità aumenta. DMD/BMD e problematiche correlate

Paolo Alfieri – *Ospedale Pediatrico Bambino Gesù*

Francesca Cumbo – *Ospedale Pediatrico Bambino Gesù*

16:00/17:30 Integrando si impara: Integrazione scolastica

Giancarlo Onger – *C.N.I.S. Brescia*

16:00/17:30 Easy life. La domotica al servizio della Comunità

Luca Bertazzoni – *Domotica Quadrifoglio*

16:00/17:30 Fisioterapia respiratoria per bambini e adulti

Cristina Bella – *Parent Project aps*

17:30/19:00 Legge che va, diritto che viene. Leggi, burocrazia e diritti

Carlo Giacobini – *HandyLex*

17:30/19:00 Io speriamo che me la cavo. Strategie per pianificare la Vita Indipendente

Luca Genovese – *Parent Project aps*

17:30/19:00 Fisioterapia motoria e respiratoria per bambini e adulti

Cristina Bella – *Parent Project aps*

16:30 – 17:30 Meeting con company e associazioni dei pazienti

NOVITA' 2020 LABORATORI PER BAMBINI 16:00/17:30 LABORATORIO DANZATERAPIA

Lucrezia Salucci – *Parent Project aps*



Sabato 29 Febbraio

8:00 REGISTRAZIONE

8:30 Benvenuto e apertura dei lavori
Luca Genovese, *Parent Project aps*

9:00 SESSIONE 1: IL RIPRISTINO DELLA DISTROFINA PARTE I : LA TERAPIA GENICA
Moderatori: Eugenio Mercuri e Fernanda De Angelis

Aggiornamento su PF-06939926, una terapia genica con mini-distrofina per la distrofia muscolare di Duchenne
Beth Belluscio, Pfizer

Terapia genica Microdistrofina - SGT-001
Carl Morris, Solid Biosciences

Terapia genica con microdistrofina come trattamento per la distrofia muscolare di Duchenne
Gilmore O'Neill, Sarepta Therapeutics

Terapia genica Microdistrofina
Jean Francois Briand, Généthon
TBD

Le criticità della terapia genica
Francesco Muntoni, Dubowitz Neuromuscular Centre UCL Institute of Child Health & GOSH, London

9:55 DOMANDE E RISPOSTE CON UN PANEL DI ESPERTI

10:30 Pausa

11:00 SESSIONE 2: TAVOLA ROTONDA "COSTRUIRE IL BENESSERE E' UN'ARTE: NUOVI SCENARI POSSIBILI"

Moderatore: Emanuela Giulitti - *Parent Project aps*

La tavola rotonda ha l'obiettivo di far conoscere nuove opportunità ludico-ricreative che possano recare beneficio ai bambini e ragazzi con DMD/BMD. Vorremmo coinvolgere genitori e ragazzi che possano testimoniare come un'attività legata alle arti figurative, alla danza, alla musica e al teatro possa condizionare positivamente la vita dei bambini, ponendo le basi per la costruzione di una buona autostima, a livello personale e dell'inclusione a livello sociale allargato. Come tecnici saranno coinvolti esperti in pet therapy, danzaterapia, arteterapia e musicoterapia.



Interventi: Lucrezia Salucci - Patrizia Cecinini - Daniele Amanti

12:30 Pranzo

Sessione Poster

14:00 SESSIONE 3: DOWNSTREAM/RINFORZARE IL MUSCOLO

Moderatori: Claudio Bruno e Ilaria Zito

Risultati dell'analisi intermedia dello studio clinico RG6206 di fase 2/3 in ragazzi con distrofia muscolare di Duchenne

Roxana Dregheci, Roche

Effetti sulla funzione respiratoria del trattamento a lungo termine con Idebenone

Shabir Hasham, Santhera Pharmaceuticals

Givinostat

Sara Cazzaniga, Italfarmaco

CAP 1002

TBD, Capricor Therapeutics

14:45 DOMANDE E RISPOSTE

15:15 SESSIONE 4: TAVOLA ROTONDA "OLTRE LE TERAPIE, IL TEMPO LIBERO"

Moderatore: Tiziana D'Auria - *Parent Project aps*

La tavola rotonda ha l'obiettivo di far raccontare ai ragazzi e ai genitori le proprie esperienze sul tema del tempo libero, sia per quanto riguarda lo sport che per quanto riguarda i viaggi.

Interventi: Stefano Carducci - Lorenzo Diosi - Roberto Vitali - Maria Concetta Del Gaudio

16:45 SESSIONE 5: Distrofia Muscolare di Becker (presentazione Linee Guida Becker)

Moderatori: Elena Pegoraro, Alessandra Ferlini e Fernanda De Angelis

17:15 COFFEE BREAK

17:45 SESSIONE 6: OTTIMIZZARE IL FLUSSO DELLA RICERCA: DAI PROGETTI SCIENTIFICI ALLE NEWS

Moderatori: Annemieke Aartsma-Rus/Annamaria De Luca e Gloria Antonini

Pianificazione e realizzazione di uno studio di ricerca



Annemieke Aartsma-Rus Leiden University Medical Center/Annamaria De Luca Università degli Studi di Bari Aldo Moro

L'utilizzo di cellule di Sertoli microincapsulate nella distrofia muscolare di Duchenne. Verso l'applicazione sui pazienti
Guglielmo Sorci – Sara Chiappalupi Università di Perugia

Caratterizzazione del profilo genetico dei FAP durante la progressione della DMD e il trattamento con inibitori delle HDAC
Lorenzo Puri – Luca Tucciarone Fondazione Santa Lucia IRCCS/ Sanford Burnham Prebys Medical Discovery Institute, La Jolla, California – US

Informazione e comunicazione
Francesca Ceradini, Osservatorio Terapie Avanzate

18:30 Presentazione Progetto HERCULES

Emily Crossley, Duchenne UK

NOVITA' 2020 LABORATORI PER BAMBINI

09:30/11:00 LABORATORIO ARTETERAPIA

Maria Gravinese

14:00/15:30 LABORATORIO PET THERAPY

Roberta Sidera - Patrizia Cecinini

17:00/18:30 LABORATORIO MUSICOTERAPIA

19:00 Chiusura lavori

20:30 Cena



Domenica 1 Marzo

9:00 Apertura lavori

9:15 SESSIONE 7: IL RIPRISTINO DELLA DISTROFINA - PARTE II

Moderatori: Gianluca Vita e Ilaria Zito

Exon skipping

Gilmore O'Neill, Sarepta Therapeutics

Audentes

TBD

Terapia genica e cellulare in combinazione

Giulio Cossu, Università di Manchester

Mutazioni non-senso

Marika Pane, Centro Nemo Pediatrico Policlinico Agostino Gemelli

9:55 DOMANDE E RISPOSTE

10:30 SESSIONE 8: Infiammazione e fibrosi

Moderatori: Michela Catteruccia e Gloria Antonini

Edasalonexent: un inibitore di NF-kB a uso orale in fase 3, indipendente dal tipo di mutazione per il trattamento della distrofia muscolare di Duchenne

Joanne Donovan, Catabasis Pharmaceuticals

Un aggiornamento sugli studi clinici con vamorolone per il trattamento della distrofia muscolare di Duchenne

Laurie Conklin, Reveragen

10:50 DOMANDE E RISPOSTE

11:20 BREAK

12:00 SESSIONE 9: TAVOLA ROTONDA: AFFETTIVITÀ'

Moderatore: Maria Caterina Pugliese - Parent Project aps



La tavola rotonda ha l'obiettivo di raccontare l'affettività da più punti di vista. La sessione sarà gestita da tecnici che da sempre si interrogano su questo tema

Interventi: Max Ulivieri - *Fabrizio Quattrini*

13:30 Fine lavori