

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

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

*Programma preliminare*

### 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*

**9:00**

**Panoramica Strategie terapeutiche volte a ripristinare la produzione di distrofina**

*Fernanda De Angelis, Parent Project onlus*

### 9:15 SESSIONE 1: STUDI PRE-CLINICI / FASE 1

*Moderatori: Annemieke Aartsma-Rus; Filippo Buccella*

**Terapia genica - minidistrofina 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 - GALGT2**

*Kevin Flanigan, Nationwide Children's Hospital*

**Editing genomico**

*Pat Furlong, Parent Project Muscular Dystrophy*

**Stereopuri per l'exon skipping**

*Wendy Erler, Wave Life Sciences*

**10:50 Domande & Risposte**

**11:20 PAUSA**

### 11:30 SESSIONE 2: TAVOLA ROTONDA

"IL BAMBINO E LA FAMIGLIA INCONTRANO LA PATOLOGIA"

*Moderatore: Sara Capponi*

*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.*

*Interverranno:*

*Emanuela Giulitti, CAD Parent Project onlus*

*Adele D'Amico, Ospedale Pediatrico Bambino Gesù*

*Filippo Buccella, Parent Project onlus*

*Angela Pirozzi, Parent Project onlus  
Giulia Breveglieri, Parent Project onlus*

**13:00 SESSIONE POSTER**  
**PRANZO**

**14:00** **Panoramica Strategie terapeutiche volte a compensare il deficit di distrofina**  
*Fernanda De Angelis, Parent Project onlus*

**14:15 SESSIONE 3: STUDI CLINICI NEI PIU' PICCOLI**

**Edasalonexent (CAT-1004), sviluppo di un inibitore di NF- $\kappa$ B per i pazienti con DMD**

*Joanne Donovan, Catabasis Pharmaceuticals*

**Studi clinici con il vamorolone (VBP15)**

*Eric Hoffman, ReveraGen BioPharma*

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

*Patrice Becker, Mallinckrodt Pharmaceuticals*

**15:00 Domande & Risposte**

**15:30 SESSIONE 4: TAVOLA ROTONDA "DALL'INFANZIA ALL'ADOLESCENZA"**

Moderatore: Gerardo Laurenzana

*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.*

*Interverranno:*

*Maria Caterina Pugliese, CAD Parent Project onlus*

*Marika Pane, Policlinico Agostino Gemelli*

*Luca Tucciarone, Fondazione Santa Lucia*

*Silvio Bartolini, IIS Campus Leonardo da Vinci*

*Marco Genovese, Parent Project onlus*

*Luca Montevicchi, Parent Project onlus*

**17:00 SESSIONE POSTER**  
**PAUSA**



## 17:15 SESSIONE 5: STUDI CLINICI NEI BAMBINI DEAMBULANTI

### **La pipeline di Sarepta e i programmi di sviluppo in fase iniziale**

*Madeleine Billeter, Sarepta Therapeutics*

### **PhaseOut DMD: uno studio Proof of Concept di fase 2 di ezutromid**

*Michelle Avery, Summit Therapeutics plc*

### **RIM4DMD: risultati preliminari dello studio di fase 1b dalla sicurezza alla tollerabilità per i pazienti con DMD**

*Stefano Previtali, Ospedale San Raffaele, Milano*

### **DOMAGROZUMAB**

*Michael Binks, Pfizer*

### **RG6206**

*Roxana Dreglici, Roche*

**18:30 Domande & Risposte**

**20:30** CENA

## **DOMENICA 18 FEBBRAIO**

**8:30** APERTURA LAVORI

*Luca Genovese, Parent Project onlus*

*Stefano Mazzariol, Parent Project onlus*

**8:45** PRESENTAZIONE POSTER VINCITORI

### 9:00 SESSIONE 6: TAVOLA ROTONDA "PROGETTO DI VITA"

*Moderatore: Ezio Magnano*

*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.*

*Interverranno*

*Tiziana D'Auria, CAD Parent Project onlus*

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

*Marco Rasconi, UILDM*

*Luca Genovese, Parent Project onlus*

*Fabio Superti, Luca Buccella, Parent Project onlus*

*Stefano Sallemi, Luca Surdo, Assistenti domiciliari*

**10:30** PAUSA

**10:45 SESSIONE 7: STUDI CLINICI IN PIU' POPOLAZIONI**

**Programmi di sviluppo per lo skipping dell'esone 51**

**PMO e PPMO**

*Madeleine Billeter, Sarepta Therapeutics*

**Givinostat nella Distrofia Muscolare di Duchenne e Becker**

*Paolo Bettica, Italfarmaco*

**Aggiornamenti sulla mutazione nonsense**

*Valeria Sansone, Centro clinico NEMO A.O. Niguarda - Milano*

**Raxone® (idebenone) e la gestione respiratoria nella DMD**

*Thomas Meier, Santhera Pharmaceuticals*

**CAP-1002**

*Linda Marban, Capricor Therapeutics*

**12:00 Domande & Risposte**

**12:30** CHIUSURA DEI LAVORI

## **MEETING SULLA DISTROFIA MUSCOLARE DI BECKER: GESTIONE CLINICA E SPERIMENTAZIONI**

*Domenica 18 febbraio 2018*

- 14:30**     **BENVENUTO E APERTURA DEI LAVORI**  
*Filippo Buccella, Parent Project onlus*  
*Giacomo Comi, Fondazione IRCCS Ca' Granda - Ospedale Maggiore Policlinico/Università degli Studi di Milano*
- 14:35**     **LA DISTROFIA MUSCOLARE DI BECKER**  
*Adele D'Amico, Ospedale Pediatrico Bambino Gesù di Roma*
- 15:05**     **LA GESTIONE CLINICA DELLA DISTROFIA MUSCOLARE DI BECKER**  
*Elena Pegoraro, Università di Padova*
- 15:35**     *Domande & Risposte*
- 16:00**     **PAUSA**
- 16:20**     **ASPETTI PSICOLOGICI**  
*Mariangela Bellomo, Giada Perinel - CAD Lombardia, Parent Project onlus*
- 16:40**     **ESPERIENZE DEI PAZIENTI**  
*Fabio Superti, Antonio Bellon*
- 17:00**     **TRIAL CLINICI NELLA DISTROFIA MUSCOLARE DI BECKER**  
*Giacomo Comi, Fondazione IRCCS Ca' Granda - Ospedale Maggiore Policlinico/Università degli Studi di Milano*
- 17:30**     *Domande & Risposte*
- 18:00**     **CHIUSURA DEI LAVORI**