



Duchenne  
Parent  
Project  
onlus

**XIII CONFERENZA INTERNAZIONALE  
DISTROFIA MUSCOLARE DI DUCHENNE E BECKER**  
*21 – 22 Febbraio 2015*  
*The Church Palace, Rome - Italia*

**Programma Provvisorio aggiornato al 30 Gennaio 2015**

**Sabato, 21 febbraio**

**8:15 REGISTRAZIONE**

**8:45 BENVENUTO E APERTURA DEI LAVORI**  
*Filippo Buccella – Parent project Onlus*

**9:00 "GUARDATE IN ALTO VERSO LE STELLE E NON IN BASSO VERSO I VOSTRI PIEDI"**  
*Nicoletta Madia – Parent project Onlus*

**9:10 SESSIONE 1: PREPARAZIONE DI UN TRIAL CLINICO**

**TRIAL CLINICI, FACILE A DIRSI DIFFICILE A FARSI**  
*Tiziana D'Auria – Parent project Onlus*

**- RICERCATORI**

*Annemieke Aartsma-Rus*

**- RAPPRESENTANTE DEI PAZIENTI**

*Filippo Buccella*

**- CLINICI**

*Elena Pegoraro*

**- INDUSTRIE**

*Paolo Bettica - Italfarmaco*  
*Anthony Hall - Prosensa*

***Domande e Risposte***

**10:45 PER QUANTO DIFFICILE POSSA ESSERE LA VITA C'È SEMPRE QUALCOSA CHE È POSSIBILE FARE... NEL MONDO**

**11:00 SESSIONE 2: TRIAL CLINICI IN FASE 1**

**VBP-15**

**Kannaboina Nagaraju**

**RIMEPORIDE: clinical program**



**Duchenne  
Parent  
Project**  
onlus

*Florence Porte - EspeRare Foundation*  
**FLAVOCOVID**  
*Sonia Messina*  
**SMT C1100**  
*Francesco Muntoni*

### *Domande e Risposte*

**12:30 Pranzo**

### **14:00 SESSIONE 3 : EFFICACIA**

#### **FACCIA A FACCIA CON L' EFFICACIA**

*Emanuela Giulitti- Parent Project Onlus*

#### **RICERCA SULLE NUOVE MISURE DI VALUTAZIONE**

##### **Upper limb**

*Eugenio Mercuri*

##### **Biomarkers**

*Alessandra Ferlini*

##### **MRI**

*Volker Straub*

##### **miRNAs**

*Adele D'Amico*

##### **MyoPinch MyoGrip**

*Laurent Servais*

**- RAPPRESENTANTE DEI PAZIENTI**

*Filippo Buccella*

**- CLINICI**

*Francesco Muntoni*

**- INDUSTRIE**

*Anthony Hall – Prosensa*  
*Edward Kaye - Sarepta*

### *Domande e Risposte*

**16:15 PER QUANTO DIFFICILE POSSA ESSERE LA VITA C'È SEMPRE QUALCOSA CHE È POSSIBILE FARE... NEL PROPRIO PAESE**

### **16:30 SESSIONE 4 : TRIAL CLINICI IN FASE 1/2-2**



**Valutazione della sicurezza ed efficacia della somministrazione sistemica di microdistrofina in cani GRMD: verso un trial clinic di fase 1/2**

*Alberto Malerba*

**Trial clinico con Mesoangioblasti**

*Giulio Cossu*

**PRO045-PRO053- PRO044**

*Anthony Hall - Prosensa*

**SRP-4053, Eteplirsen**

*Edward Kaye - Sarepta*

**Inibitore della Miostatina**

*Carl Morris - Pfizer*

**Givinostat**

*Paolo Bettica - Italfarmaco*

***Domande e Risposte***



Duchenne  
**Parent  
Project**  
onlus

**Domenica, 22 febbraio**

**9:00** **BENVENUTO E APERTURA DEI LAVORI**  
*Filippo Buccella – Parent project Onlus*

**9:30 SESSIONE 5 : AUTORIZZAZIONE ALLA COMMERCIALIZZAZIONE**

**ASPETTATIVE E IMPLICAZIONI PSICOLOGICHE NEI TRIAL CLINICI**  
*Maria Caterina Pugliese– Parent project Onlus*

- **RAPPRESENTANTE DEI PAZIENTI** *Filippo Buccella*
- **CLINICI** *Eugenio Mercuri*
- **INDUSTRIE** *Edward Kaye – Sarepta*

*Domande e Risposte*

**11:10** *L'IMPORTANTE È NON ARRENDERSI MAI!*

**11:30 SESSIONE 6 : TRIAL CLINICI IN FASE 3**

**Eteplirsen**  
*Edward Kaye - Sarepta*  
**TRIAL ACT DMD**  
*Gwendolyn Niebler - PTC Therapeutics*



**Drisapersen**

*Anthony Hall – Prosensa*

**Tadalafil**

*Michele Guadagna - Eli Lilly*

**Efficacia dell'idebenone sui parametri respiratori in pazienti DMD non in trattamento steroideo: risultati del trial multicentrico di fase 3 in doppio cieco, randomizzato, controllato con placebo**

*Raffaella Willmann - Santhera*

***Domande e Risposte***