



**XXII CONFERENZA INTERNAZIONALE SULLA DISTROFIA MUSCOLARE DI DUCHENNE E BECKER**  
**28 febbraio – 1-2 marzo 2025 – Ergife Palace Hotel, Roma**

**VENERDÌ 28 FEBBRAIO**

**14:00 INIZIO REGISTRAZIONI E ACCOGLIENZA DELLE FAMIGLIE**

**15:00 Parent Project Incontra le nuove famiglie**

Parent Project a.p.s.  
SALA BAALBEK

**17:00 SESSIONI PARALLELE**

**Abc della scienza nella DMD/BMD**

Parent Project a.p.s.  
SALA MERIDA

**Gli aspetti cognitivi ed emotivo-comportamentali: presa in carico valutativa, riabilitativa e monitoraggio**

Francesca Cumbo e Michele Tosi - Unità di Malattie Muscolari e Neurodegenerative  
Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Roma  
SALA SPALATO

**Affettività e sessualità**

Maximiliano Olivieri - Comitato Love Giver  
SALA POLA

**BMD: facciamo gruppo**

**(gruppo esperienziale e di confronto per ragazzi maggiori di 16 anni)**

Parent Project a.p.s.  
SALA SABRATHA

**Legge che va, diritto che viene**

Carlo Giacobini – Giornalista, divulgatore e collaboratore Parent Project



SEDE LEGALE E OPERATIVA: Via P. De Francisci, 36 - 00165  
Roma tel. 06 66182811 - Centro Ascolto Duchenne 800 943 333  
C.F. 05203531008 - [www.parentproject.it](http://www.parentproject.it)



Ente con personalità giuridica iscritto al  
RUNTS dal 17/10/22 al n.57282



SALA ORANGE 1

**17:30 Ausili e tecnologie scolastiche**

Fabrizio Corradi - Istituto Leonarda Vaccari, Roma – LUMSA, Roma

Daniela Frigerio - Istituto Giannina Gaslini, Genova

SALA ORANGE 2

**17:00 Terzo Settore, Aziende e Fondazioni: creare partnership di valore per il welfare sociale  
(per i rappresentanti di Aziende e Fondazioni)**

Modera: Massimo Coen Cagli - Scuola di Fundraising di Roma

Parent Project aps

Chiara Lodi Rizzini - Secondo Welfare – Università degli Studi di Milano

Alberto Moretti – Consorzio Sale della Terra

Ugo Morelli – Università degli studi di Napoli Federico II

SALA BAALBEK

20:30 CENA SOCIALE (previa iscrizione tramite modulo)



SEDE LEGALE E OPERATIVA: Via P. De Francisci, 36 - 00165  
Roma tel. 06 66182811 - Centro Ascolto Duchenne 800 943 333  
C.F. 05203531008 - [www.parentproject.it](http://www.parentproject.it)



Ente con personalità giuridica iscritto al  
RUNTS dal 17/10/22 al n.57282



## SABATO 1 MARZO

PLENARIA

SALE PARALLELE

LABORATORI

### **8:30 UNO SPECIALE BENVENUTO**

### **9:30 Sessione scientifica - FLASH Alterare la progressione della patologia**

Modera: Ilaria Zito, Parent Project aps

Aggiornamenti su:

CAP-1002

*Marika Pane - Policlinico Gemelli, Roma*

EDG-5506

*Giacomo Comi - Policlinico di Milano*

*Satralizumab*

*Riccardo Masson - Istituto Besta, Milano*

Q&A con:

*Capricor Therapeutics, Edgewise Therapeutics,*

*Roche*

### **10:10 Tavola Rotonda La cultura che DisAbilita: contrastare l'abilismo in tutte le sue forme**

Moderano: Marica Pugliese – Sara Billai –

Carlotta Falaschi – Parent Project aps

*Rachel Callander - Speaker. Author. Trainer.*

*Artist*

*Rosa Bellacicco – Università degli Studi di Torino*

*Maximiliano Ullivieri - Comitato Love Giver*

*Testimonianze:*

*Valentina Esposito*

*Samuele Ragona*

*Domitilla Mezzanotte*

### **11:25 Come Cambia l'attivismo: le nuove opportunità del 2025**

*Massimo Coen Cagli - Scuola di Fundraising di*

*Roma - Parent Project aps*

### **11:40 COFFEE BREAK**



SEDE LEGALE E OPERATIVA: Via P. De Francisci, 36 - 00165  
Roma tel. 06 66182811 - Centro Ascolto Duchenne 800 943 333  
C.F. 05203531008 - [www.parentproject.it](http://www.parentproject.it)



Ente con personalità giuridica iscritto al  
RUNTS dal 17/10/22 al n.57282



## 12:00 Sessione scientifica

### Cosa abbiamo imparato: feedback dai meeting respiratorio ed endocrinologico

Modera: Fernanda De Angelis, Parent Project aps  
Fabrizio Racca - Ospedale Mauriziano, Torino  
Tommaso Aversa - Policlinico Gaetano Martino,  
Messina  
Q&A

## 12:45 The Power of Words

Rachel Callander - Speaker. Author. Trainer.  
Artist

## 13:00 PAUSA PRANZO

## 13:30 SPAZIO REGISTRO

## 15:00 SALA OFFICE MAGNA

## 14:00 Giornata delle Malattie Rare

Annalisa Scopinaro - UNIAMO  
**Consulta delle Malattie  
Neuromuscolari**  
Fabio Amanti - Parent Project aps  
Francesco Ieva - Altrodomani

## 14:15 Sessione scientifica - FOCUS

### Strategie di exon skipping

Modera: Ilaria Zito, Parent Project aps  
Aggiornamenti su:  
SRP-5051, casimersen, golodirsen, eteplirsen,  
viltolarsen, DYNE-251, WVE-N531, BMN 351,  
ENTR-601-44, AOC 1044, PGN-EDO51, SQY51  
Annemieke Artsma-Rus - Leiden University  
Medical Center  
Discussione con:  
Sarepta Therapeutics, Dyne Therapeutics, Wave  
LifeScience, BioMarin Pharmaceutical, Entrada  
Therapeutics, Avidity Biosciences

## 14:30 Gruppo di confronto sul tema della sessualità e affettività

(solo per i ragazzi con  
distrofia muscolare di  
Duchenne e Becker  
maggiori di 16 anni)  
Parent Project aps  
Montixi Vittorio –  
Educatore – Vide-a-II  
viaggio di Enea  
Claudio Montixi  
SALA POLA

## 14:30 Laboratorio Ludico e sportivo in ambito cinotecnico per bambini e ragazzi

Elena Cannella  
Vivere a tempo di  
coda ASD  
SALA  
ORANGE 1



SEDE LEGALE E OPERATIVA: Via P. De Francisci, 36 - 00165  
Roma tel. 06 66182811 - Centro Ascolto Duchenne 800 943 333  
C.F. 05203531008 - [www.parentproject.it](http://www.parentproject.it)



Ente con personalità giuridica iscritto al  
RUNTS dal 17/10/22 al n.57282



**15:15 Integrare le voci dei pazienti nei registri per migliorare la cura e la ricerca: il progetto PaLaDIn**

*Ilaria Zito, Parent Project a.p.s*

**15:20 Tavola Rotonda**

**Sibling. Il passaggio dalle quinte al palcoscenico**

*Moderano: Silvia Bencivelli e Marica Pugliese – Valeria Catrraso – Carmen Rocca Sileo – Parent Project a.p.s*

*Andrea Dondi - Fondazione Paideia, Milano  
Alessia Cinotti - Università degli Studi di Milano Bicocca*

*Testimonianze:*

*Angela Pirozzi  
Federica Verardo  
Francesco Marinelli*

**16:35 Il nuovo e definitivo sito internet di Parent Project**

*Mirco Natili – Parent Project a.p.s*

**16:50 COFFEE BREAK**

**17:20 Sessione FOCUS**

**Terapia genica**

*Modera Fernanda De Angelis, Parent Project a.p.s  
Aggiornamenti su:  
PF-06939926, SRP-9001, SGT-003, RGX-202, GNT-0004  
Eugenio Mercuri - Policlinico Gemelli, Roma  
Discussione con:  
Roche, Solid Biosciences, Genethon*

**17:00 Ci sono anch'io.**

**Essere fratello di un paziente**

**DMD/BMD** (gruppo di confronto tra sibling)  
*Parent Project a.p.s*

**SALA MERIDA**

**17:00 Laboratorio cinematogra**

**fico: ogni sguardo è unico**

*Alessandro Bertolucci  
Gianluca Mazzarella  
Experia asp,  
progetto "Doppi o Sorriso"  
SALA SPALATO*

**18:30 Chiusura lavori**



SEDE LEGALE E OPERATIVA: Via P. De Francisci, 36 - 00165 Roma tel. 06 66182811 - Centro Ascolto Duchenne 800 943 333 C.F. 05203531008 - [www.parentproject.it](http://www.parentproject.it)



Ente con personalità giuridica iscritto al RUNTS dal 17/10/22 al n.57282



**20:30 CENA CON SORPRESA**



SEDE LEGALE E OPERATIVA: Via P. De Francisci, 36 - 00165  
Roma tel. 06 66182811 - Centro Ascolto Duchenne 800 943 333  
C.F. 05203531008 - [www.parentproject.it](http://www.parentproject.it)



Ente con personalità giuridica iscritto al  
RUNTS dal 17/10/22 al n.57282



## DOMENICA 2 MARZO

### PLENARIA

#### 8:45 INIZIO LAVORI

#### 9:00 Sessione scientifica FLASH – Innovatività

Modera Ilaria Zito, Parent Project a.p.s.  
Primo trial clinico di MyoPAXon, una terapia per la DMD basata su cellule staminali pluripotenti indotte  
*Karim Azzag - University of Minnesota*  
Split intein per la terapia genica  
*Jeffrey Chamberlain - School of Medicine, University of Washington*  
Strategie innovative di editing del genoma per DMD e BMD  
*Francesco Chemello - Università di Bologna*  
Q&A

#### 09:40 Tavola rotonda: Orizzonti e sguardi nella distrofia muscolare di Becker

Moderano: Giada Perinel - Carlotta Falaschi – Parent Project a.p.s  
*Francesca Cumbo - Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Roma*  
*Pegoraro Elena - Ospedale Universitario di Padova*  
*Carlo Giacobini - Direttore Generale di Iura e collaboratore Parent Project*  
*Michela Caroli - Ospedale Universitario di Padova*  
Testimonianze:  
*Fabio Superti*  
*Michele Celebrin*

#### 10:55 La Campagna di Pasqua: aggiornamenti, novità ed obiettivi

*Mirco Natili – Parent Project a.p.s*

#### 11.10 COFFEE BREAK

### SALE PARALLELE

#### 9:00 Laboratorio:

Spazio al Benessere: tecniche pratiche per rigenerarsi  
Un laboratorio per genitori dove scoprire e sperimentare pratiche di consapevolezza, respirazione e rilassamento corporeo per prendersi cura di sé nella quotidianità  
Sara Billai – Giuseppe Giardina - Parent Project a.p.s  
SALA SPALATO

#### 9:00 SPAZIO REGISTRO

#### 10:00 SALA OFFICE MAGNA

#### 10:30 Sessione parallela

Sonno e strategie per dormire  
Moderano: Cristina Bella  
*Giordana Donvito, Terapista Occupazionale*  
*Grazia Crescimanno - Istituto per la Ricerca ed Innovazione Biomedica (IRIB) del Consiglio Nazionale delle Ricerche - Palermo*  
*Maria Grazia D'Angelo - IRCCS E. Medea, Associazione La Nostra Famiglia- Bosisio Parini, Lecco*  
SALA ORANGE 1



SEDE LEGALE E OPERATIVA: Via P. De Francisci, 36 - 00165 Roma tel. 06 66182811 - Centro Ascolto Duchenne 800 943 333 C.F. 05203531008 - [www.parentproject.it](http://www.parentproject.it)



Ente con personalità giuridica iscritto al RUNTS dal 17/10/22 al n.57282



## 11:30 Sessione scientifica - FOCUS

### Molecole a fine percorso

Modera: Fernanda De Angelis, Parent Project a.p.s  
Vamorolone  
*Luca Bello - Università di Padova*  
Givinostat  
*Emilio Albamonte – Centro Clinico NeMO, Milano*  
Q&A con  
*Santhera Pharmaceuticals, Italfarmaco*

## 12:00 Sessione scientifica PANEL DISCUSSION -

### Problematiche, sfide, successi: come ottimizzare il percorso di sviluppo di un farmaco

Moderano: Ialina Vinci e Alberto Bottaro, Parent Project a.p.s  
Discussione aperta con:  
*Eugenio Mercuri – Policlinico Gemelli Roma*  
*Luca Bello – Ospedale Universitario di Padova*  
*Valeria Sansone – Centro Clinico NeMO Milano*  
*Italfarmaco, Santhera Pharmaceuticals, Roche, Sarepta Therapeutics*

## 13:30 LUNCH BOX, CHIUSURA LAVORI E SALUTI



SEDE LEGALE E OPERATIVA: Via P. De Francisci, 36 - 00165  
Roma tel. 06 66182811 - Centro Ascolto Duchenne 800 943 333  
C.F. 05203531008 - [www.parentproject.it](http://www.parentproject.it)



Ente con personalità giuridica iscritto al  
RUNTS dal 17/10/22 al n.57282