

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 aps
SALA BAALBEK

17:00 SESSIONI PARALLELE

Abc della scienza nella DMD/BMD

Parent Project aps
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 Ulivieri - Comitato Love Giver
SALA POLA

BMD: facciamo gruppo

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

Parent Project aps
SALA SABRATHA

Legge che va, diritto che viene

Carlo Giacobini – Giornalista, divulgatore e collaboratore Parent Project





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)



SABATO 1 MARZO

PLENARIA

SALE PARALLELE

LABORATORI

8:30 UNO SPECIALE BENVENUTO

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

Moderata: 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 Olivieri - 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



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 - Altrodamani

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 Aartsma-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 – VideA-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

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

Ilaria Zito, Parent Project aps

**15:20 Tavola Rotonda
Sibling. Il passaggio dalle quinte al palcoscenico**

*Moderano: Silvia Bencivelli e Marica Pugliese –
Valeria Catraso – Carmen Rocca Sileo – Parent
Project aps*

*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 aps

16:50 COFFEE BREAK

**17:20 Sessione FOCUS
Terapia genica**

*Moderata Fernanda De Angelis, Parent Project aps
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 aps
SALA MERIDA

**17:00 Laboratorio
cinematografico: ogni
sguardo è
unico**
Alessandro
Bertolucci
Gianluca
Mazzarella
Experia asp,
progetto "Doppi
o Sorriso"
SALA
SPALATO

18:30 Chiusura lavori



20:30 CENA CON SORPRESA



DOMENICA 2 MARZO

PLENARIA

8:45 INIZIO LAVORI

9:00 Sessione scientifica FLASH – Innovatività

Moderata Ilaria Zito, Parent Project aps
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 aps
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 aps

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 aps

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



11:30 Sessione scientifica - FOCUS

Molecole a fine percorso

Moderata: Fernanda De Angelis, Parent Project aps

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 aps

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

