



**XVIII CONFERENZA INTERNAZIONALE  
SULLA DISTROFIA MUSCOLARE DI DUCHENNE E BECKER  
17-21 Febbraio 2021**

**Mercoledì 17 febbraio**

**16:45-17:00 BENVENUTO E APERTURA DEI LAVORI**

*Luca Genovese e Maria Rosaria Rollo, Parent Project aps*

**17:00-18:30 SESSIONI PARALLELE**

**Quando la complessità aumenta. DMD/BMD e problematiche correlate**

*Relatori: Paolo Alfieri e Francesca Cumbo - Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Roma*

*Moderatrici: Emanuela Giulitti e Sara Billai, Parent Project aps*

**Ci sono anch'io. Essere fratello di un paziente DMD/BMD**

*Relatrice: Carla Ferrazzoli - Comitato Siblings*

*Moderatrici: Marica Pugliese e Anna Petruzza, Parent Project aps*

**Fisioterapia motoria per bambini e adulti**

*Relatrice: Cristina Bella, Parent Project aps*

*Moderatrice: Letizia Silicato, Parent Project aps*

**18:30 SESSIONE 1: PROGETTI DI RICERCA SUPPORTATI DA PARENT PROJECT**

*Moderatrici: Gloria Antonini e Maria Rosaria Rollo, Parent Project aps*

**Utilizzo di cellule di Sertoli microincapsulate nella distrofia muscolare di Duchenne. Verso l'applicazione sui pazienti**

*Guglielmo Sorci e Sara Chiappalupi - Università di Perugia*

**Biorepository di cellule staminali derivate dall'urina: applicazioni in diagnostica e ricerca**

*Maria Sofia Falzarano - Università di Ferrara*

**Il ruolo dell'inibitore delle istone deacetilasi (HDAC) givinostat sul rimodellamento cardiaco nei topi mdx**

*Roberto Rizzi - CNR, Institute of Biomedical Technologies (ITB) Milano*

**La proteinchinasi c theta (PKC $\theta$ ) come bersaglio terapeutico per contrastare le complicazioni tardive della DMD**

*Marina Bouché - Università di Roma La Sapienza*

**Caratterizzazione del profilo genetico dei FAP durante la progressione della DMD e il trattamento con inibitori delle HDAC**

*Pier Lorenzo Puri e Luca Tucciarone - Sanford Burnham Medical Research Institute, California e Fondazione Santa Lucia, Roma*

**19:30 DOMANDE E RISPOSTE**



## 20:00 CHIUSURA DEI LAVORI

### Giovedì 18 febbraio

#### 16:45 APERTURA

#### 17:00 SESSIONE 2: TERAPIE AVANZATE: ASPETTATIVE E REALTA'

Moderatori: *Filippo Buccella e Ilaria Zito, Parent Project aps*

##### **Terapie avanzate: sfide e speranze**

*Annemieke Aartsma-Rus, Leiden University Medical Center*

##### **Terapia basata sulle cellule iPS per la distrofia muscolare, il percorso dal laboratorio al letto del paziente**

*Rita Perlingeiro, University of Minnesota*

##### **Sviluppo di terapie basate su CRISPR/Cas9 per la distrofia muscolare di Duchenne**

*Eleonora Maino, Hospital for Sick Children in Toronto, Canada*

##### **Come eludere il sistema immunitario: osservazioni e strategie**

*Barry Byrne e Manuela Corti, Powell Gene Therapy Center, University of Florida*

#### 18:00 DOMANDE E RISPOSTE

#### 18:30 - 20:00 SESSIONI PARALLELE

##### **Legge che va, diritto che viene. Leggi, burocrazia e diritti**

*Relatore: Carlo Giacobini, giornalista e divulgatore*

*Moderatrici: Nicole Coluzzi e Carmen Sileo, Parent Project aps*

##### **Affettività e sessualità**

*Relatore: Max Ulivieri, Comitato Love Giver*

*Moderatrici: Marica Pugliese e Giada Perinel, Parent Project aps*

##### **Ciò che mangiamo ha un peso. Gli aspetti nutrizionali nella DMD e BMD**

*Relatrice: Simona Bertoli - Università degli Studi di Milano*

*Moderatrice: Maria Capece, Parent Project aps*

## 20:00 CHIUSURA DEI LAVORI

### Venerdì 19 febbraio

#### 16:30 PRESENTAZIONE VIDEOANIMAZIONE "CHE COSA SONO I TRIAL CLINICI"

*Luca Genovese e Marica Pugliese, Parent Project aps*



## **17:00 SESSIONE 3: ASSENZA DELLA DISTROFINA: DALLA DIAGNOSI DI DMD/BMD ALLA TERAPIA GENICA**

*Moderatrici: Fernanda de Angelis e Ilaria Zito, Parent Project aps*

### **La diagnosi di DMD/BMD**

*Eugenio Mercuri, Policlinico Gemelli - Roma*

### **Studio di terapia genica di fase 3 CIFFREO per la DMD di Pfizer**

*Beth Belluscio, Pfizer*

### **Aggiornamento sullo studio clinico IGNITE DMD**

*Carl Morris, Solid Biosciences*

### **Micro-dystrophin gene therapy**

*Alex Murphy, Roche - Teji Singh, Sarepta*

### **REGENXBIO E RGX-202 un nuovo programma di terapia genica per la Distrofia muscolare di Duchenne**

*Olivier Danos, REGENXBIO*

## **18:00 DOMANDE E RISPOSTE**

## **18:30 SESSIONE 4: ASPETTI PSICOLOGICI NELLA COMUNICAZIONE DELLA DIAGNOSI: PAROLA ALLE FAMIGLIE**

*Moderatrici: Emanuela Giulitti e Nicole Coluzzi, Parent Project aps*

## **20:00 CHIUSURA DEI LAVORI**

## **Sabato 20 febbraio**

### **9:45: APERTURA**

## **10:00 SESSIONE 5: L'IMPORTANZA DELLA GENETICA**

*Moderatori: Filippo Buccella, Ilaria Zito e Gloria Antonini, Parent Project aps*

### **Come la diagnosi genetica indirizza le terapie personalizzate**

*Alessandra Ferlini, Università di Ferrara*

### **Terapie rivolte all'RNA: aggiornamento su PMO e PPMO**

*Luigi Picaro, Sarepta Therapeutics*

### **NS Pharma Inc e il programma di sviluppo clinico di Viltolarsen**

*Benjamin Yungher, NS Pharma*

### **L'impegno di Dyne Therapeutics nel fornire terapie trasformative per i pazienti con Distrofia Muscolare di Duchenne**

*Romesh Subramanian, Dyne Therapeutics*



**Exon skipping mediato da mesoangioblasti**  
*Giulio Cossu, Università di Manchester*

**Mutazioni nonsense**  
*Luca Bello, Università degli Studi di Padova*

**11:30 DOMANDE E RISPOSTE**

**12:00 PAUSA PRANZO**

**15:00-15:30 RAGGI FOTONICI PER PARENT PROJECT: CONTRIBUTO MUSICALE**

**15:45: APERTURA**

**16:00 SESSIONE 6: PRESENTE E FUTURO DELLA GESTIONE CLINICA E FARMACOLOGICA**

*Moderatrici: Fernanda de Angelis e Gloria Antonini, Parent Project aps*

**Gestione clinica e farmacologica della DMD/BMD**  
*Adele D'Amico, Ospedale Pediatrico Bambino Gesù - Roma*

**Studio clinico di fase 3 PolarisDMD con edasalonexent nella Duchenne**  
*Joanne M. Donovan, Catabasis Pharmaceuticals*

**Vamorolone: una potenziale alternativa più sicura agli steroidi nella DMD**  
*Eric Hoffman, ReveraGen BioPharma*

**Programma di sviluppo di Pamrevlumab nella DMD**  
*Bassem Elmankabadi, FibroGen*

**Aggiornamento sullo sviluppo clinico di Givinostat**  
*Paolo Bettica, Italfarmaco*

**Caratterizzazione clinica e genetica dei giovani pazienti DMD naive agli steroidi nello studio FOR DMD**  
*Michela Guglieri, Newcastle University*

**Endpoint digitali nelle patologie rare: misurare la facilità di movimento nella Distrofia Muscolare di Duchenne**  
*Mindy Leffler, Casimir*

**17:30 DOMANDE E RISPOSTE**

**18:00 SESSIONE 7: ASPETTI PSICOLOGICI DEL PASSAGGIO DALL'INFANZIA ALL'ADOLESCENZA: PAROLA ALLE FAMIGLIE**

*Moderatrici: Tiziana D'Auria e Marica Pugliese, Parent Project aps*

**19:30 CHIUSURA DEI LAVORI**



## **Domenica 21 febbraio**

### **10:00-11:30 SESSIONI PARALLELE**

#### **Integrando si impara: Integrazione scolastica**

*Relatore: Giancarlo Onger – C.N.I.S. Brescia*

*Moderatrici: Tiziana D'Auria e Lucrezia Salucci, Parent Project aps*

#### **Easy life. La domotica al servizio della Comunità**

*Relatore: Luca Bertazzoni – Domotica Quadrifoglio*

*Moderatrici: Stefania Manganaro e Letizia Sticca, Parent Project aps*

### **11:30 SESSIONE 8: LINEE GUIDA PER FAMIGLIE E STUDI CLINICI NELLA BMD**

*Moderatori: Gerardo Laurenzana, Antonio Bellon e Fernanda de Angelis, Parent Project aps*

#### **Sviluppo delle Linee guida per famiglie per la BMD**

*Elena Pegoraro, Università degli Studi di Padova*

#### **Givinostat nella BMD**

*Giacomo Comi, Fondazione IRCCS Cà Granda Ospedale Maggiore Policlinico, Milano*

#### **Un approccio mitocondriale per la Distrofia Muscolare di Becker**

*Ransi Somaratne, Epirium Bio*

#### **Edgewise Therapeutics: dall'azienda ai programmi di sviluppo**

*Alan Russel, Edgewise Therapeutics*

### **12:30 DOMANDE E RISPOSTE**

### **13:00 PAUSA PRANZO**

### **15:00 SESSION 9: ASPETTI PSICOLOGICI DELLA VITA ADULTA: PAROLA AI PAZIENTI**

*Moderatrici: Nicole Coluzzi e Maria Capece, Parent Project aps*

### **16:30 SESSIONE 10: CUORE E RESPIRAZIONE**

*Moderatori: Filippo Buccella e Gloria Antonini, Parent Project aps*

#### **Gestione cardiaca**

*Rachele Adoriso, Ospedale Pediatrico Bambino Gesù - Roma*

#### **Gestione respiratoria**

*Fabrizio Racca, Azienda Ospedaliera SS Antonio Biagio e Cesare Arrigo di Alessandria*

#### **Santhera: cosa abbiamo imparato dallo studio SIDEROS e il nostro impegno costante verso la comunità Duchenne**

*Jodi Wolff, Santhera Pharmaceuticals*

#### **Lo studio clinico FIGHT DMD**



*Ines Macias-Perez, Cumberland Pharmaceuticals*

**Cap-1002 (terapia cellulare cardiaca) per il trattamento degli arti superiori e della funzionalità cardiaca in pazienti con DMD in stadi avanzati**

*Linda Marbán, Capricor Therapeutics*

**Emergency Card**

*Fabrizio Racca, Azienda Ospedaliera SS Antonio Biagio e Cesare Arrigo di Alessandria*

**17:30 DOMANDE E RISPOSTE**

**19:00 SALUTI FINALI**

*Luca Genovese, Parent Project aps*