



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

**Programma preliminare**

**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 PERGAMO

**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 Bergamo

SALA VOLUBILIS

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**

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, Edgewise, 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*

**11:40 COFFEE BREAK**

**12:00 Sessione scientifica  
Cosa abbiamo imparato:  
feedback dai meeting respiratorio  
ed endocrinologico**

*Fabrizio Racca - Ospedale Mauriziano, Torino*

*Tommaso Aversa - Policlinico Gaetano Martino,*

*Messina*

**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**

Aggiornamenti su:

SRP-5051, casimersen, golodirsen, eteplirsen,  
DYNE-251, WVE-N531, BMN 351, ENTR-601-44,  
AOC 1044, PGN-EDO51

*Annemieke Aartsma-Rus - Leiden University  
Medical Center*

Discussione con:

*Sarepta, Dyne Therapeutics, Wave LifeScience,  
BioMarin, Entrada, Avidity, PepGen*

**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 Tavola Rotonda**

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

*Moderano: 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*

**16:45 COFFEE BREAK**



**17:15 Sessione FOCUS  
Terapia genica**

Aggiornamenti su:

PF-06939926, SRP-9001, SGT-003, RGX-202, GNT-0004

*Eugenio Mercuri - Policlinico Gemelli, Roma*

Discussione con:

*Roche, Solid, RegenXBio, 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  
cinematogra  
fico: 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

Primo trial clinico di MyoPAXon, una terapia per la DMD basata su cellule staminali pluripotenti indotte  
*Karim Azzag - University of Minnesota*  
Split intein for gene therapy  
*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:  
*Sabatino Palandrani*  
*Michele Celebrin*

### 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

#### 11.10 COFFEE BREAK

#### 11:30 Sessione scientifica - FOCUS Molecole a fine percorso

Vamorolone  
*Luca Bello - Università di Padova*  
Givinostat  
*Emilio Albamonte – Centro Clinico NeMO, Milano*  
Q&A con  
*Santhera, Italfarmaco*





**12:00 Sessione scientifica PANEL DISCUSSION -  
Problematiche, sfide, successi: come ottimizzare il  
percorso di sviluppo di un farmaco**

Discussione aperta con:

*Eugenio Mercuri – Policlinico Gemelli Roma, Luca Bello – Ospedale  
Universitario di Padova, Valeria Sansone – Centro Clinico NeMO Milano  
Italfarmaco, Santhera, Roche, Sarepta, PTC Therapeutics*

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

