



12 - 14 febbraio 2016

The Church Palace, Roma - Italia

XIV Conferenza Internazionale **sulla Distrofia Muscolare** **di Duchenne e Becker**

Parent Project Onlus



Duchenne
Parent
Project
onlus



Sessione Plenaria

Venerdì 12 Febbraio

Registrazione

Benvenuto e apertura dei lavori

Filippo Buccella, Parent Project onlus - Roma, Italia

14:40 - 16:00

Sessione 1: Gestione Clinica della DMD e BMD 0 - 14 anni

Moderatore: Nathalie Goemans

Linee Guida sulla DMD/BMD

Nathalie Goemans - Dept. of Pediatrics and Child Neurology, University Hospitals - Leuven, Belgio

Diagnosi clinica

Tiziana Mongini - Dip. Di Neuroscienze Università di Torino, Ospedale Molinette, AUS. Giovanni Battista - Torino, Italia

Diagnosi molecolare

Filippo M. Santorelli - - Medicina Molecolare e Malattie Neuromuscolari, IRCCS Stella Maris - Pisa, Italia

Steroidi, fisioterapia e controlli medici

Adele D'Amico - Dip. di Medicina Pediatrica IRCCS Ospedale Pediatrico Bambino Gesù - Roma, Italia

Gestione cardiaca

Rachele Adoriso - Dip. Medico Chirurgico di Cardiologia Pediatrica, U.O. Cardiologia, IRCCS Ospedale Pediatrico Bambino Gesù - Roma, Italia

Gestione respiratoria

Fabrizio Racca - Rep. di Anestesia Pediatrica AO Nazionale, SS. Antonio e Biagio e Cesare Arrigo di Alessandria - Alessandria, Italia

Questioni psicologiche

Emanuela Giulitti - Parent Project Onlus - Roma, Italia

Domande e risposte

16:40 - 17:40

Sessione 2: Strategie anti-infiammatorie

Moderatore: Kanneboyina Nagaraju

Panoramica sulle strategie anti-infiammatorie

Kanneboyina Nagaraju - Research Center for Genetic Medicine, Children's National Medical Center (CGMR) - Washington, USA

VBP-15

Kanneboyina Nagaraju - Research Center for Genetic Medicine, Children's National Medical Center (CGMR) - Washington, USA

Flavocoxid

Sonia Messina - Dip. Di Neurologia e Malattie Neuromuscolari, Policlinico Universitario Messina - Messina, Italia

FOR DMD

Michela Guglieri - Institute of Genetic Medicine, Newcastle University - Newcastle upon Tyne, Gran Bretagna

RisBo

Maria Luisa Bianchi - Centro Malattie Metaboliche Ossee, Istituto Auxologico Italiano IRCCS - Milano, Italia

Domande e risposte

Sessione Plenaria

Sabato 13 Febbraio

Registrazione

Benvenuto e apertura dei lavori

Filippo Buccella - Parent Project onlus - Roma, Italia

Ricerca Parent Project onlus

Fernanda De Angelis - Parent Project onlus - Roma, Italia

Studio di Storia Naturale

Stan Nelson, Dept. of Human Genetics, UCLA Human Genetics - Los Angeles, USA

9:10 - 10:10

Sessione 3: Terapia Cellulare

Moderatore: Giulio Cossu

Panoramica sulla terapia cellulare

Giulio Cossu - ?

Biomateriali

Sanford/Burnham Medical Research Institute, La Jolla USA & Fondazione Santa Lucia - Roma, Italia

Cromosomi artificiali umani e cellule iPS per lo sviluppo di nuove terapie per la DMD

Francesco S. Tedesco - Dept. of Cell and Developmental Biology, University College – Londra, Gran Bretagna

iPS nella DMD

Rita Perlingeiro - Dept. of Medicine, Lillehei Heart Institute, University of Minnesota - Minneapolis, USA

Terapia cellulare per la distrofia muscolare

Giulio Cossu - ?

Domande e risposte

10:40 - 11:30

Sessione 4: Strategie di correzione

Moderatore: Annemieke Aartsma-Rus

Panoramica sulle strategie di correzione

Annemieke Aartsma-Rus - Dept. of Human Genetics Leiden University Medical Center LUMC - Leiden, Olanda

Biglicano

Justin Fallon - Neuroscience Department of Brown University - Providence, USA

Editing del genoma come strategia di correzione per la Distrofia Muscolare di Duchenne

Charles Gersbach - Dept. of Biomedical Engineering, Duke University - Durham, USA

Ataluren fase 3

PTC Therapeutics

Domande e risposte

12:10 - 13:20

Sessione 5: Strategie di Exon Skipping

Moderatore: Francesco Muntoni

Panoramica sulle strategie di exon skipping

Francesco Muntoni - Dubowitz Neuromuscular Centre and MRC Centre for Neuromuscular Diseases UCL Institute of Child Health and Great Ormond Street Hospital for Children (GOSH), Dept. Of Developmental Neurocience - Londra, Gran Bretagna

Ricerca sull'exon skipping

Annemieke Aartsma-Rus - Dept. of Human Genetics Leiden University Medical Center LUMC - Leiden, Olanda

Exon skipping per le duplicazioni

Kevin Flanigan - Center for Gene Therapy, Nationwide Children's Hospital, Ohio, USA

Multi-exon skipping

Toshifumi Yokota - Dept. of Medical Genetics, University of Alberta Faculty of Medicine and Dentistry, Edmonton, Alberta, Canada

Aggiornamento sui trial clinici di Prosensa

Giles Champion - Direttore Scientifico e vice presidente di Ricerca & Sviluppo, Prosensa - Leiden, Olanda

Aggiornamento sui trial clinici con Drisapersen

Giles Champion - Direttore Scientifico e vice presidente di Ricerca & Sviluppo, Prosensa - Leiden, Olanda

Aggiornamento sul trial clinico con Eteplirsen

Sarepta

Domande e risposte

Pranzo

14:40 - 16:10

Sessione 6: Gestione clinica della DMD e BMD over 14 anni

Moderatore: Douglas Biggar

Il passaggio alla vita adulta

Douglas Biggar - University of Toronto, Holland Bloorview Kids, Rehabilitation Hospital, Toronto, Canada

Linee Guida sulla DMD/BMD

Irene Bruno - U.C.O. Clinica Pediatrica, IRCCS materno infantile Burlo Garofalo - Trieste, Italia

Fisioterapia

Elena Mazzone - Dip. Neuropsichiatria Infantile, Policlinico Agostino Gemelli - Roma, Italia

Gestione cardiaca

Pier Giorgio Bruno - Dip. Scienze Cardiovascolari, Policlinico Agostino Gemelli - Roma, Italia

Gestione respiratoria

Grazia Crescimanno - Istituto di Biomedicina e Immunologia Molecolare CNR - Palermo, Italia

Emergenze cardiache

Antonio Amodeo - Cardiocirurgo Pediatrico, Ospedale Pediatrico Bambino Gesù - Roma, Italia

Emergenze respiratorie

Fabrizio Racca - Rep. Anestesia Pediatrica AO NAzionale SS Antonio e Biagio Cesare Arrigo di Alessandria - Alessandria, Italia

Questioni psicologiche

Maria Caterina Pugliese - Parent Project onlus - Roma, Italia

Domande e risposte

CENA SOCIALE

Sessione Plenaria

Domenica 14 Febbraio

Presentazione primo rapporto Audit Civico nei servizi per la distrofia muscolare Duchenne e Becker

9:30 - 10:10

Sessione 7: Ricerca sui test di valutazione funzionali

Moderatore: Eugenio Mercuri

Panoramica sulla ricerca dei test di valutazione funzionali

Eugenio Mercuri - Dip. Neuropsichiatria Infantile, Policlinico Agostino Gemelli - Roma, Italia

Test di valutazione funzionali

Craig McDonald - Dept. of Physical Medicine and Rehabilitation, UC Davis Children's Hospital - CA, USA

Strumenti di valutazione per la funzionalità degli arti superiori

Eugenio Mercuri - Dip. Neuropsichiatria Infantile, Policlinico Agostino Gemelli - Roma, Italia

Domande e risposte

Coffee Break

11:00 - 12:00

Sessione 8: Potenziamiento della massa muscolare e delle condizioni di salute

Moderatore: Michael Rudnicki

Panoramica sul potenziamento della massa muscolare e delle condizioni di salute

Michael Rudnicki - Ottawa Hospital Research Institute, Dept. of Medicine and Department of Cellular and Molecular Medicine, Faculty of Medicine, University of Ottawa - Ottawa, USA

Wnt7a come potenziale terapia per la distrofia muscolare

Michael Rudnicki - Ottawa Hospital Research Institute, Dept. of Medicine and Department of Cellular and Molecular Medicine, Faculty of Medicine, University of Ottawa - Ottawa, USA

Studio Clinico con Tadalafil in DMD

Michele Guadagna - Clinical Development Consultant (CDC) - Neuroscience- Eli Lilly Italia - Sesto Fiorentino (FI), Italia

Trial con Givinostat

Paolo Bettica - Direttore dello sviluppo clinico - Italfarmaco S.p.A., Italia

Stanley C. Froehner - Dept. of Physiology & Biophysics, University of Washington - USA

ISOFEN

Emilio Clementi - Unità di Farmacologia Clinica, Ospedale Luigi Sacco, Università di Milano - Milano, Italia

Domande e risposte