



# **XV CONFERENZA INTERNAZIONALE SULLA DISTROFIA MUSCOLARE DI DUCHENNE E BECKER**

*18 – 19 febbraio 2017  
Ergife Palace Hotel, Roma- Italia*

*Programma preliminare*

**Sabato, 18 febbraio**

## **REGISTRAZIONE**

### **BENVENUTO E APERTURA DEI LAVORI**

*Luca Genovese, Parent Project Onlus, Roma, Italia  
Stefano Mazzariol, Parent Project Onlus, Roma, Italia*

### **"IL PANORAMA ATTUALE DELLE SPERIMENTAZIONI CLINICHE "**

*Fernanda De Angelis, Parent Project Onlus, Roma, Italia*

## **SESSIONE 1: RIPRISTINO PRODUZIONE DISTROFINA E MECCANISMI COMPENSATORI**

*Moderatore: Francesco Muntoni*

### **Introduzione alla sessione**

*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, Regno  
Unito*

### **Cellule Staminali**

*Marco Quarta, Dept of Neurology and Neurological Sciences, Stanford University,  
California, USA*

### **Editing e DMD**

*Annemieke Aartsma-Rus, Leiden University Medical Center LUMC, Leiden, Olanda*

### **Duplicazioni**

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

### **Antisense stereopuri per exon skipping**

*Paul Bolno, Wave Life science*

### **Eteplirsen, SRP4053, SRP4045**

*Edward Kaye, Sarepta*

### **TRANSLARNA 2/5 anni**

*PTC Therapeutics*



## **SMT C1100**

*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, Regno Unito*

## **DOMANDE & RISPOSTE**

## **PAUSA**

## **PRANZO**

### **SESSIONE 2: TAVOLA ROTONDA "VERSO LA DISPONIBILITA' DI NUOVE TERAPIE"**

Durante questa sessione parleremo di ricerca pre-clinica e di come ottimizzare questa importante fase del percorso di sviluppo di un farmaco al fine di migliorare le probabilità di successo degli studi clinici nei pazienti. Sarà affrontato in questa sessione anche il tema dei costi attuali della patologia

### **SESSIONE 3: CUORE E MITOCONDRI**

*Moderatore: Da definire*

#### **Introduzione alla sessione**

*Oratore da definire*

#### **MTB1**

*George Mulligan, Mitobridge*

#### **Epicatechina**

*George Schreiner, Cardero Therapeutics*

#### **Catena/Raxone**

*Santhera*

#### **CAP-1002**

*Linda Marvan, Capricor Therapeutics*

## **DOMANDE & RISPOSTE**

## **PAUSA**

### **SESSIONE 4: TAVOLA ROTONDA "LA POPOLAZIONE ADULTA"**

Durante questa sessione parleranno i ragazzi e i giovani adulti che si racconteranno condividendo le loro esperienze e i loro bisogni.



## **SESSIONE 5: MISURE DI VALUTAZIONE**

### **Introduzione alla sessione**

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

### **GENERAZIONE DI CELLULE MIOGENICHE DA CELLULE STAMINALI PLURIPOTENTI PRESENTI NELLE URINE PER TESTARE L'EFFICACIA DEI FARMACI E IDENTIFICARE BIOMARCATORI NEI PAZIENTI CON DISTROFIA MUSCOLARE DI DUCHENNE**

*Alessandra Ferlini, Dip. di Riproduzione e Accrescimento & Dip. di Scienze Mediche, Ferrara, Italia*

### **MISURA PER MISURA**

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

### **PROGETTO DI IMPLEMENTAZIONE CON LA MISURA DELLA SNIP DEL DATA BASE RESPIRATORIO DI PARENT PROJECT ITALIA**

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

### **MRI**

*Oratore da definire*

## **DOMANDE & RISPOSTE**

## **APERICENA**



Duchenne  
Parent  
Project  
onlus

**Domenica, 19 febbraio**

## **BENVENUTO E APERTURA DEI LAVORI**

*Luca Genovese, Parent Project Onlus, Roma, Italia*

*Stefano Mazzariol, Parent Project Onlus, Roma, Italia*

## **SESSIONE 6: MASSA MUSCOLARE E OMEOSTASI DEL CALCIO**

*Moderatore: da definire*

### **Introduzione alla sessione**

*Oratore da definire*

### **Metformina - L-Citrullina**

*Dirk Fischer, University Children's Hospital Basilea, Svizzera*

### **Rimeporide**

*Stefano Previtali, Ospedale San Raffaele, Milano, Italia*

### **BMS986089**

*Leslie Jacobsen, Bristol-Myers Squibb*

### **PF 06252616**

*Pfizer*

## **DOMANDE & RISPOSTE**

## **SESSIONE 7: INFIAMMAZIONE E FIBROSI**

*Moderatore: Anna Maria De Luca*

### **Introduzione alla sessione**

*Anna Maria De Luca, Dip. di Farmacia, Università degli Studi di Bari "Aldo Moro",  
Bari, Italia*

### **CAT 1004**

*Joanne M. Donovan, Catabasis*

### **VBP 15**

*Eric Hoffman, ReveraGen*

### **FG-3019**

*Ewa Carrier, Fibrogen*

### **Givinostat**

*Paolo Bettica, Italfarmaco*

## **DOMANDE & RISPOSTE**