



21 - 22 febbraio 2015

The Church Palace, Roma - Italia

XIII Conferenza Internazionale sulla Distrofia Muscolare di Duchenne e Becker

Parent Project Onlus



**Duchenne
Parent
Project**
onlus



08:15 **REGISTRAZIONE**

08:45 **BENVENUTO E APERTURA DEI LAVORI**

Filippo Buccella - *Parent Project Onlus, Roma, Italia*

09:00 **"GUARDATE IN ALTO VERSO LE STELLE E NON IN BASSO VERSO I VOSTRI PIEDI"**

Nicoletta Madia - *Parent Project Onlus, Roma, Italia*

09:10 **LO SCENARIO ATTUALE DELLE STRATEGIE TERAPEUTICHE**

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

09:20 **SESSIONE 1: PREPARAZIONE DI UN TRIAL CLINICO**

TRIAL CLINICI, FACILE A DIRSI DIFFICILE A FARSI

Tiziana D'Auria - *Parent Project Onlus, Roma, Italia*

DESIGNAZIONE DI FARMACO ORFANO

Domenica Taruscio - *Centro Nazionale Malattie Rare - ISS*

RICERCATORI

Annemieke Aartsma-Rus

*Leiden University Medical Center LUMC,
Leiden, Olanda*

RAPPRESENTANTE DEI PAZIENTI

Filippo Buccella

*Parent Project Onlus,
Roma, Italia*

CLINICI

Elena Pegoraro

*Dip. di Neuroscienze, Università di Padova,
Padova, Italia*

INDUSTRIE

Paolo Bettica

Italfarmaco

Anthony Hall

Prosensa

11:00 **Domande e Risposte**

**Per quanto difficile possa essere la vita c'è sempre qualcosa
che è possibile fare... NEL MONDO!**

Tavola Rotonda

11:10

SESSIONE 2: TRIAL CLINICI IN FASE 1

Moderatore: Annemieke Aartsma-Rus

**Aggiornamenti su VBP-15:
un nuovo analogo dei glucocorticoidi per la DMD**

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

Sviluppo della Rimeporide nella Distrofia Muscolare di Duchenne

Florence Porte
EspeRare Foundation

FLAVOCOXID: studio clinico pilota

Sonia Messina
*Dip. di Neuroscienze, Policlinico Universitario Messina,
Messina, Italia*

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 Neuroscience,
Londra, Gran Bretagna*

12:10

Domande e Risposte

12:40

Pranzo

14:00

SESSIONE 3: EFFICACIA

FACCIA A FACCIA CON L' EFFICACIA

Emanuela Giulitti – *Parent Project Onlus, Roma, Italia*

RICERCA SULLE NUOVE MISURE DI VALUTAZIONE

Upper limb

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

**Biomarkers nella DMD:
dalla scoperta allo sviluppo verso un'applicazione clinica**

Alessandra Ferlini
*Dip. di Medicina Sperimentale e Diagnostica,
Università di Ferrara,
Ferrara, Italia*

MRI

Volker Straub
*The John Walton Muscular Dystrophy Research Centre,
MRC Centre for Neuromuscular Diseases at Newcastle,
Institute of Genetic Medicine, Newcastle University,
Newcastle upon Tyne, Gran Bretagna*

miRNAs

Adele D'Amico
*Unità di Malattie Neuromuscolari e Neurodegenerative,
Dip. di Neuroscienze,
IRCCS Ospedale Pediatrico Bambino Gesù,
Roma, Italia*

MyoSets: dati longitudinali nei pazienti DMD

Laurent Servais
*Institute of Myology, Parigi, Francia
Reference Center for Neuromuscular Disease,
Centre hospitalier régional de la Citadelle,
Liège, Belgio*

RAPPRESENTANTE DEI PAZIENTI

Filippo Buccella
*Parent Project Onlus,
Roma, Italia*

CLINICI

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 Neuroscience,
Londra, Gran Bretagna*

INDUSTRIE

Paolo Bettica
Anthony Hall
Italfarmaco
Prosensa

AUTORITÀ REGOLATORIE

Donatella Gramaglia AIFA

Per quanto difficile possa essere la vita c'è sempre qualcosa
che è possibile fare...
NEL PROPRIO PAESE

16:30 **SESSIONE 4: TRIAL CLINICI IN FASE 1/2-2**

Moderatore: Eugenio Mercuri

Valutazione della sicurezza ed efficacia della somministrazione sistemica di microdistrofina in cani GRMD: verso un trial clinico di fase 1/2

Alberto Malerba

Gene Therapy Laboratory, School of Biological Sciences,
University of London,
Londra, Gran Bretagna

**Terapia cellulare per le distrofie muscolari:
cosa abbiamo appreso e la strada verso l'efficacia**

Giulio Cossu

Institute of Inflammation and Repair,
University of Manchester,
Manchester, Gran Bretagna

PRO045-PRO053- PRO044

Anthony Hall

Prosensa

Aggiornamento sullo studio di fase 2b con Eteplirsen e sullo studio per l'esone 53

Edward Kaye

Sarepta

Potenziale utilità dell'inibitore della Miostatina per il trattamento della distrofia muscolare di Duchenne

Carl Morris

Pfizer

Givinostat per il trattamento della distrofia di Duchenne

Paolo Bettica

Italfarmaco

18:00 **Domande e Risposte**

19:30

APERICENA MUSICALE

08:50 **BENVENUTO E APERTURA DEI LAVORI**
Filippo Buccella - *Parent Project Onlus, Roma, Italia*

09:00 **SALUTI ISTITUZIONALI**
Grazia Emilia De Biasi - *Commissione Igiene e Sanità - Senato*

09:10 **IL PERCORSO DI PTC NEL RENDERE DISPONIBILE AI PAZIENTI DMD UN FARMACO INNOVATIVO**
Stuart W. Peltz - *PTC Therapeutics*

09:40 **SESSIONE 5: ACCESSO AL MERCATO**

ASPETTATIVE E IMPLICAZIONI PSICOLOGICHE NEI TRIAL CLINICI
Maria Caterina Pugliese - *Parent Project Onlus, Roma, Italia*

REGISTRO DI SORVEGLIANZA POST MARKETING

Kate Bushby
Newcastle University John Walton Centre for Muscular Dystrophy Research, MRC Centre for Neuromuscular Diseases, Institute of Genetic Medicine, International Centre for Life, Newcastle upon Tyne, Great Britain - TREAT-NMD

RAPPRESENTANTE DEI PAZIENTI

Filippo Buccella
Parent Project Onlus, Roma, Italia

CLINICI

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

INDUSTRIE

Edward Kaye **Sarepta**
Mark Rothera **PTC Therapeutics**

11:00 **Domande e Risposte**

Tavola Rotonda

L'IMPORTANTE È NON ARRENDERSI MAI!

11:30 **SESSIONE 6: TRIAL CLINICI IN FASE 3**

Moderatore: Filippo Buccella



Panoramica sul programma di studi di conferma con Eteplirsen

Edward Kaye

Sarepta

Drisapersen

Anthony Hall

Prosensa

Potenziale degli inibitori delle PDE5 nella distrofia muscolare di Duchenne

Michele Guadagna

Eli Lilly

Efficacia dell'idebenone sui parametri respiratori in pazienti DMD non in trattamento steroideo: risultati del trial multicentrico di fase 3 in doppio cieco, randomizzato, controllato con placebo

Raffaella Willmann

Santhera

12:30 **Domande e Risposte**



XIII Conferenza Internazionale sulla DMD/BMD

Con il patrocinio di:



Main partner:



Con il contributo di:



La XIII Conferenza Internazionale sulla DMD/BMD è un evento realizzato nell'ambito della Giornata delle Malattie Rare 2015



PARENT PROJECT ONLUS
Via N. Coviello, 12 / 14 - 00165 Roma
Tel. 0666182811 - Fax 0666188428

Numero Verde 800 943 333
associazione@parentproject.it
www.parentproject.it