

**Masterclass su Distrofia Muscolare di Duchenne e Becker  
Gli eventi sentinella: dalla diagnosi alla presa in carico**

NH Collection Vittorio Veneto  
Corso d'Italia, 1, 00198 Roma

**PROGRAMMA SCIENTIFICO**

**15 settembre 2017**

- 09.15-09.30**    **Registrazione partecipanti\*\***
- 09.30-09.45**    **Apertura dei Lavori. Razionale e Obiettivi del Corso\*\***  
Filippo Buccella, Eugenio Mercuri\*, Gabriele Siciliano
- 09.45-10.15**    **Lettura Magistrale: la Ricerca nella DMD**  
Giuseppe Vita\*/Sonia Messina
- SESSIONE 1**    **IL PAZIENTE CON DISTROFIA MUSCOLARE DI DUCHENNE (DMD)**  
*Moderatore: Gabriele Siciliano*
- 10.15-10.30**    **Vivere con la malattia**  
Filippo Buccella
- 10.30-10.45**    **La storia naturale e clinica della DMD**  
Eugenio Mercuri\*
- 10.45-11.00**    **trattamenti attuali e le prospettive della ricerca**  
Valeria Sansone
- 11.00- 11.15**    **I costi sanitari e sociali**  
Francesco Saverio Mennini
- 11.15-11.30**    **Coffee-Break\*\***

## **SESSIONE 2 IL PAZIENTE DEAMBULANTE FINO AI 12 ANNI**

**11.30-12.30 Diagnosi per la presa in carico precoce: opportunità per il paziente nel dialogo tra il centro specialistico ed il pediatra di base**  
*Moderatori:* Filippo Buccella, Eugenio Mercuri\*

### **Diagnosi e presa in carico precoci**

*Speaker:* Claudio Bruno, Liliana Porfiri

## **SESSIONE 3 IL PAZIENTE DEAMBULANTE ADULTO**

**12.30- 13.30 La gestione delle complicanze nel Paziente DMD adulto**  
*Moderatori:* Tiziana Mongini, Antonella Pini, Filippo Buccella

### **Discussione “Il modello avanzato della presa in carico del paziente DMD/BMD”**

*Speaker:* Grazia D’Angelo, Walter Marrocco, Antonio Trabacca, Luisa Politano\*, Stefano Previtali, Andrea Vianello

**13.30-14.30 Lunch**

**14.30 -15.30 Il modello organizzativo nazionale di gestione del paziente con DMD e nelle realtà regionali**  
*Moderatori:* Patrizia Popoli\*, Armando Genazzani\*, Teresa Petrangolini\*, Maria Faggiano\*  
*Speaker:* Paola Facchin, Lorella Lombardozi\*, Giulia Ricci\*, Antonio Trabacca

**15.30 -16.00 L’utilità dei registri pazienti e degli studi di storia naturale**  
Eugenio Mercuri\*

## **Sessione Masterclass 1 IL PAZIENTE DEAMBULANTE FINO AI 12 ANNI**

*Moderatori:* Carlo Minetti\*, Enrico Bertini, Filippo Buccella

**16.00-16.15 La diagnosi genetica**  
Alessandra Ferlini

**16.15-16.30 La biopsia muscolare**  
Maurizio Moggio

**16.30-16.45 Presa in carico pediatrica**  
Marika Pane\*

---

**3P Solution S.r.l.** a socio unico. Sede Legale: via Marradi 3, 20123 Milano.  
Capitale sociale: 10.000,00€ iv. P.IVA/CF 06860060968 Iscrizione REA MI n.1919426. Provider Standard n. 327 dal 15 ottobre 2012  
Sistema di gestione per la qualità secondo la Norma **UNI EN ISO 9001:2015** per progettazione ed erogazione dei servizi per la  
Formazione Continua in Sanità. Certificazione CSQA n. 23887



- 16.45-17.45**    **ROLE PLAY comunicatore (1 ora) nel pediatrico – comunicazione diagnosi alla famiglia**  
Comunicatore
- 17.45-18.45**    **Show cases - Presentazione di 3 casi clinici: diagnosi, gestione terapeutica e tecniche di comunicazione alla famiglia (paziente pediatrico)**
- 18.45-19.00**    **Q&A**

**16 settembre**

**Sessione Masterclass 2 IL PAZIENTE NON DEAMBULANTE DOPO I 12 ANNI**

*Moderatori: Massimiliano Filosto, Filippo Buccella, Elena Pegoraro*

- 09.00-09.15**    **Le complicanze respiratorie**  
Andrea Vianello
- 09.15-09.30**    **L'emergenza respiratoria**  
Fabrizio Racca
- 09.30-19.45**    **Le complicanze cardiovascolari**  
Rachele Adorisio
- 09.45-10.00**    **Le complicanze posturali**  
Elena Mazzone\*
- 10.00-11.00**    **Show cases - Presentazione di 3 casi clinici: diagnosi, gestione terapeutica e tecniche di comunicazione alla famiglia (paziente maggiore di 12 anni)**
- 11.00-11.15**    **Q&A**
- 11.15-11.45**    **Premiazione\*\***  
*Diploma per i 6 casi clinici presentati e premiazione dei 2 vincitori*  
Filippo Buccella, Tiziana Mongini, Marika Pane\*, Gabriele Siciliano, Antonio Toscano\*
- 11.45-12.45**    **Take home message e chiusura del meeting**  
Filippo Buccella, Antonio Toscano\*
- 12.45-13.00**    **Compilazione questionari ECM\*\***

**\*\* sessione non accreditata ECM**

**\* invitato. In attesa di conferma**

---

**3P Solution S.r.l.** a socio unico. Sede Legale: via Marradi 3, 20123 Milano.

Capitale sociale: 10.000,00€ iv. P.IVA/CF 06860060968 Iscrizione REA MI n.1919426. Provider Standard n. 327 dal 15 ottobre 2012  
Sistema di gestione per la qualità secondo la Norma **UNI EN ISO 9001:2015** per progettazione ed erogazione dei servizi per la  
Formazione Continua in Sanità. Certificazione CSQA n. 23887



**ACRONIMI:****DMD - Distrofia Muscolare di Duchenne (DMD)****ANAGRAFICA DEI RELATORI**

Vocativo	Cognome	Nome	Laurea	Specializzazione	Affiliazione	Struttura di appartenenza
Dott.ssa	<b>ADORISIO</b>	RACHELE	Medicina e Chirurgia	Cardiologia	Dipartimento Medico Chirurgico di Cardiologia Pediatrica U.O. Cardiologia	IRCCS Ospedale Pediatrico Bambino Gesù - SEDE GIANICOLO, Roma
Dott.	<b>BERTINI</b>	ENRICO	Medicina e Chirurgia	Neurologia	Laboratorio di Medicina molecolare e unità di Malattie neuromuscolari e neurodegenerative del dipartimento di Neuroscienze	Ospedale IRCCS Bambino Gesù di Roma
Dott.	<b>BRUNO</b>	CLAUDIO	Medicina e Chirurgia	Pediatria	Dirigente Medico, Laboratorio di Patologia Muscolare, U.O.C. Neurologia Pediatrica e Malattie Muscolari	IRCCS Istituto Giannina Gaslini, Genova
Dott.	<b>BUCCELLA</b>	FILIPPO	Farmacia	Farmacia	Direttore Ricerca e Clinical Network - Parent Project onlus	Roma
Dott.ssa	<b>D'ANGELO</b>	MARIA GRAZIA	Medicina e Chirurgia	Neurologia	Neurologa Dipartimento di Neuroriabilitazione e responsabile Unità Semplice patologie neuromuscolari	IRCCS E Medea di Bosisio Parini (LC)
Prof.ssa	<b>FACCHIN</b>	PAOLA	Medicina e Chirurgia	Clinica Pediatrica; Igiene e Medicina Preventiva	Professore associato confermato Dipartimento di Salute della Donna e del Bambino Coordinatore del Tavolo Tecnico Interregionale Malattie Rare – Commissione Salute	Università degli Studi di Padova
Dott.	<b>FAGGIANO</b>	<b>MARIA ERNESTINA</b>	Chimica e Tecnologie Farmaceutiche	Diritto Sanitario, Farmacia Clinica, Farmacia Ospedaliera	Direttore Scientifico SIFO - Società Italiana di Farmacia Ospedaliera e dei Servizi Farmaceutici delle Aziende Sanitarie	AOU Policlinico Consorziale, Bari

**3P Solution S.r.l.** a socio unico. Sede Legale: via Marradi 3, 20123 Milano.

Capitale sociale: 10.000,00€ iv. P.IVA/CF 06860060968 Iscrizione REA MI n.1919426. Provider Standard n. 327 dal 15 ottobre 2012

Sistema di gestione per la qualità secondo la Norma **UNI EN ISO 9001:2015** per progettazione ed erogazione dei servizi per la

Formazione Continua in Sanità. Certificazione CSQA n. 23887



Prof.ssa	<b>FERLINI</b>	ALESSANDRA	Medicina e Chirurgia	Neurologia e Genetica Medica	Unità Operativa & Sezione di Genetica Medica Dipartimento di Scienze Mediche Dipartimento di Riproduzione e Accrescimento UNIFE-OSPFE	Università degli Studi di Firenze
Dott.	<b>FILOSTO</b>	MASSIMILIANO	Medicina e Chirurgia	Neurologia	Membro del Consiglio Direttivo e Segretario dell'Associazione Italiana di Miologia (AIM)	Associazione Italiana di Miologia
Prof.	<b>GENAZZANI</b>	<b>ARMANDO</b>	Medicina e Chirurgia	Farmacologia	Professore Ordinario di Farmacologia	Università del Piemonte Orientale, Novara
Dott.ssa	<b>LOMBARDOZZI</b>	LORELLA	Farmacia	Farmacia Ospedaliera	Dirigente Area Politica del Farmaco Regione Lazio	Regione Lazio
Dott.	<b>MARROCCO</b>	WALTER	Medicina e Chirurgia	Endocrinologia e Allergologia	Medico di Medicina Generale	Palestrina (RM)
Dott.ssa	<b>MAZZONE</b>	ELENA	Medicina e Chirurgia	Neurologia	Research Physiotherapist Catholic University in Rome, Responsabile terapisti dei centri NEMO	Roma
Prof.	<b>MENNINI</b>	SAVERIO FRANCESCO	Economia	Economia e commercio	Professore di Economia Sanitaria Presidente di ISPOR Italy-Rome Chapter; Research Director CEIS EEHTA	Università di Roma Tor Vergata e Kingston University, Londra, UK
Prof.	<b>MERCURI</b>	EUGENIO	Medicina e Chirurgia	Neuropsichiatria Infantile	Direttore dell'Unità operativa di Neuropsichiatria infantile	Policlinico "Agostino Gemelli" - Università Cattolica del Sacro Cuore di Roma
Dott.ssa	<b>MESSINA</b>	SONIA	Medicina e Chirurgia	Neurologia	Assistant Professor of Neurology University Hospital "G. Martino" of Messina Scientific Coordinator Nemo Sud Clinical Center Messina	Messina
Dott.	<b>MINETTI</b>	CARLO	Medicina e Chirurgia	Pediatria, Neuropsichiatria Infantile	Direttore UO Complessa di Neurologia Pediatrica e Malattie Muscolari dell'Università di Genova; Presidente Nazionale della Società	Genova

**3P Solution S.r.l.** a socio unico. Sede Legale: via Marradi 3, 20123 Milano.

Capitale sociale: 10.000,00€ iv. P.IVA/CF 06860060968 Iscrizione REA MI n.1919426. Provider Standard n. 327 dal 15 ottobre 2012  
Sistema di gestione per la qualità secondo la Norma **UNI EN ISO 9001:2015** per progettazione ed erogazione dei servizi per la  
Formazione Continua in Sanità. Certificazione CSQA n. 23887



					Italiana di Neurologia Pediatrica (SINP)	
Dott.	<b>MOGGIO</b>	MAURIZIO	Medicina e Chirurgia	Neurologia	Responsabile UO Malattie neuromuscolari	IRCCS Ca' Granda ospedale maggiore del policlinico di Milano
Dott.ssa	<b>MONGINI</b>	TIZIANA	Medicina e Chirurgia	Neurologia	Centro per le Malattie Neuromuscolari "P. Peirolo", Dipartimento di Neuroscienze S.C.U.D. Neurologia	Az. Ospedaliera S. Giovanni Battista, Torino
Dott.ssa	<b>PANE</b>	MARIKA	Medicina e Chirurgia	Neurologia	Direttore centro NEMO pediatrico	Policlinico Universitario A. Gemelli Roma
Dott.ssa	<b>PEGORARO</b>	ELENA	Medicina e Chirurgia	Neurologia, Genetica Medica	Dipartimento di Neuroscienze NPSRR Padova	Padova
Dott.ssa	<b>PETRANGOLINI</b>	TERESA			Consigliere regionale Lazio	Roma
Dott.ssa	<b>PINI</b>	ANTONELLA	Medicina e Chirurgia	Neuropsichiatria Infantile	Dirigente 1° livello TP, Alta Professionalità	Clinica neurologica ISNB Bologna
Prof.ssa	<b>POLITANO</b>	LUISA	Medicina e Chirurgia	Cardiologia e Genetica Medica	Servizio di Cardiomiologia e Genetica Medica Dipartimento Assistenziale Integrato di Medicina Interna e Specialistica	AOU Seconda Università degli Studi di Napoli
Dott.	<b>POPOLI</b>	<b>PATRIZIA</b>	Medicina e Chirurgia	Neurologia	Direttore del Reparto di Farmacologia del sistema nervoso centrale Dipartimento del Farmaco	Istituto Superiore di Sanità, Roma
Dott.ssa	<b>PORFIRI</b>	LILIANA	Medicina e Chirurgia	Neurologia e Neuropsichiatria Infantile	Dirigente Medico Neuropsichiatria Infantile	AOU Ospedali Riuniti, Ancona
Prof.	<b>PREVITALI</b>	STEFANO	Medicina e Chirurgia	Neurologia	(1) Professore a contratto, (2) Responsabile del servizio di biopsie muscolari, Dipartimento di Neurologia; Responsabile Unità di	(1) Università Vita Salute San Raffaele Milano (2) Istituto Scientifico San Raffaele, Milano

**3P Solution S.r.l.** a socio unico. Sede Legale: via Marradi 3, 20123 Milano.

Capitale sociale: 10.000,00€ iv. P.IVA/CF 06860060968 Iscrizione REA MI n.1919426. Provider Standard n. 327 dal 15 ottobre 2012  
Sistema di gestione per la qualità secondo la Norma **UNI EN ISO 9001:2015** per progettazione ed erogazione dei servizi per la  
Formazione Continua in Sanità. Certificazione CSQA n. 23887

					Rigenerazione Neuromuscolare, INSPE, Divisione di Neuroscienze	
Dott.	<b>RACCA</b>	FABRIZIO	Medicina e Chirurgia	Anestesia e Rianimazione	Direttore struttura complessa di anestesia e rianimazione pediatrica	Ospedale Civile ss. Antonio e Biagio e C. Arrigo, Alessandria
Dott.ssa	<b>RICCI</b>	GIULIA	Medicina e Chirurgia	Neurologia	Neurologo, Dipartimento di Medicina Clinica e Sperimentale, Università di Pisa	University of Pisa, Pisa
Dott.ssa	<b>SANSONE</b>	VALERIA	Medicina e Chirurgia	Neurologia	Dirigente Medico Dipartimento di Neurologia	IRCCS Policlinico San Donato
Prof.	<b>SICILIANO</b>	GABRIELE	Medicina e Chirurgia	Neurologia e Medicina Fisica e Riabilitazione	Presidente AIM Associazione Italiana di Miologia, Professore Ordinario Neurologia AOU Pisana	Pisa
Prof.	<b>TOSCANO</b>	ANTONIO	Medicina e Chirurgia	Neurologia	Responsabile Centro Regionale di Riferimento per le Malattie Neuromuscolari rare; Professore Associato confermato Neurologia	Università degli Studi di Messina
Dott.	<b>TRABACCA</b>	ANTONIO	Medicina e Chirurgia	Neurologia	Dirigente medico, Primario dell'Unità Operativa Complessa di Neuroriabilitazione (Neuropatologia e Riabilitazione funzionale)	Polo Regionale di Brindisi I.R.C.C.S. E. Medea, Brindisi
Dott.	<b>VIANELLO</b>	ANDREA	Medicina e Chirurgia	Pneumologia, Anestesia e Rianimazione	Dirigente Medico Direttore Struttura Complessa di Fisiopatologia Respiratoria	Azienda Ospedaliera di Padova
Prof.	<b>VITA</b>	GIUSEPPE	Medicina e Chirurgia	Neurologia	(1) Ordinario di Neurologia, Dipartimento di Medicina Clinica e Sperimentale; (2) Direttore Clinico Centro Clinico per le malattie neuromuscolari	(1) Università di Messina (2) Messina

**3P Solution S.r.l.** a socio unico. Sede Legale: via Marradi 3, 20123 Milano.

Capitale sociale: 10.000,00€ iv. P.IVA/CF 06860060968 Iscrizione REA MI n.1919426. Provider Standard n. 327 dal 15 ottobre 2012  
Sistema di gestione per la qualità secondo la Norma **UNI EN ISO 9001:2015** per progettazione ed erogazione dei servizi per la  
Formazione Continua in Sanità. Certificazione CSQA n. 23887

