

XII CONFERENZA INTERNAZIONALE DISTROFIA MUSCOLARE DI DUCHENNE E BECKER

21-23 Febbraio 2014 – Ergife Palace Hotel, Roma - Italia

Programma provvisorio aggiornato al 9 gennaio 2014

Sessioni Plenarie

Venerdì 21 Febbraio

14:40 – 16:00 Gestione Clinica della DMD/BMD 0-14 anni

Moderatore: *Nathalie Goemans- Dept. of Pediatrics and Child Neurology, University Hospitals, Leuven, Belgium*

- **Linee Guida sulla DMD/BMD**
Nathalie Goemans - Dept. of Pediatrics and Child Neurology, University Hospitals, Leuven, Belgium
- **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 Adorisio - 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

16:40 – 17:40 Strategie anti-infiammatorie

Moderatore: *Kanneboina Nagaraju- Research Center for Genetic Medicine, Children's National Medical Center (CGMR), Washington, USA*

- **Panoramica sulle strategie anti-infiammatorie**
Kanneboina Nagaraju - Research Center for Genetic Medicine, Children's National Medical Center (CGMR), Washington, USA
- **VBP-15**
Kanneboina Nagaraju - 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

Sabato 22 Febbraio

Ricerca Parent Project Onlus

Fernanda De Angelis - Parent Project Onlus

Studio di Storia Naturale

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

9:00 – 10:00 Terapia Cellulare

Moderatore: Giulio Cossu - Dept. of Cell and Developmental Biology, University College Londra, Gran Bretagna

- **Panoramica sulla terapia cellulare**
Giulio Cossu - Dept. of Cell and Developmental Biology, University College Londra, Gran Bretagna
- **Biomateriali**
Pier Lorenzo Puri - Sanford/Burnham Medical Research Institute, La Jolla USA & Fondazione Santa Lucia, Roma, Italia
- **Cromosoma artificiale umano e cellule iPS per la terapia 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 - Dept. of Cell and Developmental Biology, University College Londra, Gran Bretagna

10:20 – 11:00 Strategie di correzione

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

- **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

11:50 – 13:10 Strategie di Exon Skipping

Moderatore: *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*

- **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 Neuroscience, 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**
Prosensa
- **Aggiornamento sui trial clinici con Drisapersen**
GSK
- **Aggiornamento sul trial clinico con Eteplirsen**
Sarepta

14:40 – 16:10 Gestione Clinica della DMD/BMD over 14 anni

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

- **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 di 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

Domenica 23 Febbraio

9:30 – 10:00 Presentazione primo rapporto Audit Civico nei servizi per la distrofia muscolare Duchenne e Becker

10:00 – 11:00 Ricerca sui test di valutazione funzionali

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

- **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
- **Biomarcatori**
Alessandra Ferlini - Dip. Di Medicina Sperimentale e Diagnostica Università di Ferrara, Ferrara, Italia
- **Strumenti di valutazione per la funzionalità degli arti superiori**
Eugenio Mercuri - Dip. Neuropsichiatria Infantile, Policlinico Agostino Gemelli, Roma, Italia

11:40 – 12:50 Potenziamento della massa muscolare e delle condizioni di salute

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

- **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 - Italy
- **Trial con Givinostat**
Paolo Bettica - Direttore dello sviluppo clinico, Italfarmaco SpA
- **ISOFEN**
Emilio Clementi- Unità di Farmacologia Clinica, Ospedale Luigi Sacco, Università di Milano, Milano, Italia