

XVII CONFERENZA INTERNAZIONALE SULLA DISTROFIA MUSCOLARE DI DUCHENNE E BECKER

16 – 17 Febbraio 2019
Ergife Palace Hotel, Roma – Italia

Programma preliminare

Sabato 16 Febbraio

8:00 **REGISTRAZIONE**

8:30 **BENVENUTO E APERTURA DEI LAVORI**
Parent Project onlus

9:00 **Panoramica Strategie terapeutiche**
Ufficio Scientifico - Parent Project onlus

SESSIONE 1: RIPRISTINO DELLA DISTROFINA - PARTE 1

- **SGT-001**
Solid Biosciences
- **AAV – MINI DYS**
Pfizer (DA CONFERMARE)
- **rAAVrh74.MHCK7.micro-dystrophin**
Jerry Mendell (DA CONFERMARE)
- **Editing genomico**
(DA CONFERMARE)
- **Terapia cellulare**
(DA CONFERMARE)

Domande e risposte

BREAK

SESSIONE 2: Tavola rotonda



13.00 PRANZO E SESSIONE POSTER

SESSIONE 3: RINFORZARE IL MUSCOLO

- **GIVINOSTAT**
Italfarmaco
- **RG6206**
Roche
- **Domagrozumab**
Pfizer
- **RAXONE**
Santhera Pharmaceuticals
- **GALGT2**
Flanigan (DA CONFERMARE)

DOMANDE E RISPOSTE

SESSION 4: TAVOLA ROTONDA

BREAK

SESSIONE 5: RICERCA DI BASE E PROGETTI FINANZIATI DA PARENT PROJECT ONLUS

20.30 CENA

DOMENICA 17 FEBBRAIO

8:30 **BENVENUTO E INTRODUZIONE**

Parent Project onlus

SESSIONE 6: RIPRISTINO DELLA DISTROFINA - PARTE 2

- **Aggiornamenti sull'exon skipping**
Sarepta Therapeutics
- **WVE-210201**
Wave Life Science (DA CONFERMARE)
- **NS-065/NCNP-01**
NS Pharma (DA CONFERMARE)
- **Aggiornamenti sulle terapie per il trattamento delle mutazioni non senso(DA CONFERMARE)**

DOMANDE E RISPOSTE

SESSIONE 7: TAVOLA ROTONDA

SESSIONE 8: INFIAMMAZIONE

- **VAMOROLONE**
ReveraGen BioPharma
- **EDASALONEXENT**
Catabasis Pharmaceuticals
- **MNK-1411**
Mallinckrodt Pharmaceuticals (DA CONFERMARE)
- **CAP-1002**
Capricor Therapeutics (DA CONFERMARE)

13:30 CHIUSURA DEI LAVORI