



XVIII CONFERENZA INTERNAZIONALE
SULLA DISTROFIA MUSCOLARE DI DUCHENNE E BECKER

Programma preliminare

Venerdì 28 Febbraio

15:00 - 19:00 Sessioni parallele per le famiglie italiane (in italiano)

16.30 - 17.30 Meeting con company e associazioni dei pazienti

Sabato 29 Febbraio | 08:00 REGISTRAZIONE

8:30

Benvenuto e apertura dei lavori

Luca Genovese, *Parent Project aps*

8:45

Le terapie avanzate per la Duchenne

Parent Project aps

9:00 SESSIONE 1

Il ripristino della distrofina - Parte I

Moderatori:

Minidistrofina AAV

Beth Belluscio, Pfizer

Terapia genica Microdistrofina - SGT-001

Carl Morris, Solid Biosciences

Terapia genica con microdistrofina come trattamento per la distrofia muscolare di Duchenne

Rachel Potter, Sarepta Therapeutics

CRISPR

TBD

Aggiornamento trial terapia staminali

Giulio Cossu

10:15 Domande e Risposte



10:45 Pausa

11:00 SESSIONE 2

Tavola Rotonda

12:30 Pranzo

Sessione Poster

13:45 SESSIONE 3

Downstream/Rinforzare il muscolo

Moderatori:

RG6206

Roxana Dreghici, Roche

Idebenone

Shabir Hasham, Santhera Pharmaceuticals

Pamrevlumab

Elias Kouchakji, Fibrogen

TBD

CAP 1002

Linda Marban, Capricor Therapeutics

TBD

Ifetobran

Larry Markham, Cumberland Pharmaceuticals

TBD

15:00 Domande e Risposte

15:30 Pausa

15:45 SESSIONE 4

Tavola Rotonda



17:15 SESSIONE 5

Parent Project aps

TBD

19:00 Chiusura lavori

20:30 Cena

Domenica 1 Marzo

8:15

Apertura lavori

8:30 SESSIONE 6

Il ripristino della distrofina - Parte II

Moderatori:

Exon skipping

Rachel Potter, Sarepta Therapeutics

Exon skipping

Mike Panzara, Wave Life Science

Viltolarsen

Leslie Magnus, NS Pharma

Mutazioni non-senso

TBD

9:30 Domande e Risposte

10:00 SESSIONE 7

Distrofia Muscolare di Becker (presentazione Linee Guida Becker)

10:30 SESSIONE 8

Tavola Rotonda



12:00 **SESSIONE 9**

Infiammazione e fibrosi

Moderatori:

Givinostat

Sara Cazzaniga, Italfarmaco

Edasalonexent

Joanne Donovan, Catabasis Pharmaceuticals

Vamorolone

Laurie Conklin, Reveragen

MNK-1411

Jacqueline Delfgaauw, Mallinckrodt Pharmaceuticals

13:00 Domande e Risposte

13:30 Chiusura dei lavori