



**XIX CONFERENZA INTERNAZIONALE
SULLA DISTROFIA MUSCOLARE DI DUCHENNE E BECKER
17 - 20 Febbraio 2022- Ergife Palace Hotel – Roma, Italia**

GIOVEDÌ 17 FEBBRAIO (IN PRESENZA E ONLINE)

15:30-17:00 SESSIONI PARALLELE I

Ci sono anch'io. Essere fratello di un paziente DMD/BMD (inglese)
Integrando si impara: Integrazione scolastica

17:30-19:00 SESSIONI PARALLELE II

Legge che va, diritto che viene. Norme, burocrazia e diritti Carlo Giacobini
Fisioterapia motoria per bambini e adulti Cristina Bella – Parent Project aps

19:00 Fine lavori

VENERDÌ 18 FEBBRAIO (IN PRESENZA E ONLINE)

14:00 SESSIONE PROGETTI SCIENTIFICI

Introduzione: G. Antonini

Contrastare l'infiammazione nella DMD promuovendo la polarizzazione dei macrofagi pro-rigenerativi attraverso un approccio metabolico

Elisabetta Ferraro, Università di Pisa

Un nuovo approccio epigenetico per migliorare l'omeostasi muscolare nella distrofia di Duchenne

Giuseppina Caretti, Università di Milano

Studio pilota sull'inibizione farmacologica di Nfix come nuova terapia per la Distrofia Muscolare di Duchenne

Graziella Messina, Università degli Studi di Milano

La variabilità fenotipica nella Distrofia Muscolare di Becker: proposta di un protocollo di caratterizzazione clinica e molecolare per stratificare i pazienti nella preparazione dei trial

Gabriele Siciliano – Università di Pisa

La Cardiomiopatia nelle distrofinopatie: caratterizzazione e progressione

Rachele Adorisio, Ospedale Pediatrico Bambino Gesù di Roma

15:00 Domande e risposte

15:30-17:00 SESSIONI PARALLELE III

Quando la complessità aumenta. DMD/BMD e problematiche correlate (inglese)

Easy life. La domotica al servizio della Comunità (inglese)

Fisioterapia respiratoria per bambini e adulti - *Cristina Bella, Parent Project aps*

17:30-19:00 SESSIONI PARALLELE IV

Ciò che mangiamo ha un peso. Gli aspetti nutrizionali nella DMD e BMD (inglese)

Gruppo Becker (inglese)

Fisioterapia motoria e respiratoria per bambini e adulti - *Cristina Bella, Parent Project aps*



SABATO 19 FEBBRAIO (IN PRESENZA)

8:00 Registrazione

8:30 Benvenuto e apertura dei lavori

8:45 SESSIONE 1: IL RIPRISTINO DELLA DISTROFINA PARTE I: LA TERAPIA GENICA

Introduzione: F. De Angelis

Aggiornamenti su Fordadistrogen movaparvovec
Pfizer

Aggiornamenti su SRP-9001
Sarepta Therapeutics – Roche

Aggiornamenti sullo studio clinico IGNITE DMD
Solid Biosciences

Aggiornamenti sul programma di terapia genica con RGX-202
RegenXbio

Terapia genica per la duplicazione dell'esone 2 nella DMD
Kevin Flanigan, Nationwide Children's Hospital

Terapia genica ex vivo
Giulio Cossu, Università di Manchester

10:00 Domande e risposte

10:45 SESSIONE 2: TAVOLA ROTONDA: L'IMPATTO DEL COVID NELLA VITA QUOTIDIANA, TRA VINCOLI E PROSPETTIVE

12.15 SESSIONE 3: STRATEGIE FUTURE

Introduzione: I. Zito

Interventi in definizione

12:40 Domande e risposte

13:00 Pranzo

SESSIONE POSTER

14:30 SESSIONE 4: IL RIPRISTINO DELLA DISTROFINA PARTE II: LA CORREZIONE GENICA

Introduzione: I. Zito

Aggiornamento sui programmi di exon skipping con PMO e PPMO
Sarepta Therapeutics

Viltolarsen
NS-Pharma (TBC)

Aggiornamento sui programmi di exon skipping
Ash Dugar, Dyne Therapeutics

Aggiornamento sui programmi di exon skipping
Avidity

WVE-N531
Wave Lifescience (TBC)

Mutazioni nonsenso
E. Mercuri (TBC)

15:30 Domande e risposte



16:00 SESSIONE 5: TAVOLA ROTONDA: costruzione di un progetto di VITA INDIPENDENTE

17:45 SESSIONE 6: TRIAL CLINICI NELLA DISTROFIA MUSCOLARE DI BECKER

Introduzione: G. Laurenzana

Aggiornamenti su EDG-5506
Edgewise

Givinostat nella BMD
Italfarmaco

Vamorolone
Elena Pegoraro, Università di Padova

18:30 Domande e risposte

19:00 Chiusura lavori

20:30 Cena

DOMENICA 20 FEBBRAIO (IN PRESENZA)

9:00 Apertura lavori

9:15 SESSIONE 7: DOWNSTREAM PARTE I: AGIRE SULL'INFIAMMAZIONE

Intro: G. Antonini

Aggiornamenti su vamorolone nella Duchenne
Eric Hoffman, ReveraGen BioPharma

Aggiornamenti sul trial ForDMD
Michela Guglieri, Newcastle University

ATL-1102
Antisense Therapeutics

Canakinumab
Christopher Spurney, Children's National Medical Center (TBC)

9:55 Domande e risposte

10:30 SESSIONE 8: TAVOLA ROTONDA approvazione farmaci

12:00 SESSIONE 9: DOWNSTREAM PARTE II: MIGLIORARE LA SALUTE MUSCOLARE

Givinostat nella DMD
Italfarmaco

Aggiornamenti sugli studi clinici con Pamrevlumab nella Duchenne
FibroGen

Ifetroban
Cumberland Pharmaceuticals (TBC)

Cap-1002
Capricor Therapeutics

12:50 Domande e risposte