

**XXI CONFERENZA INTERNAZIONALE SULLA DISTROFIA MUSCOLARE DI DUCHENNE E BECKER  
16-18 febbraio 2024 – Ergife Palace Hotel, Roma**

**Programma preliminare**

**VENERDÌ 16 FEBBRAIO**

**14:00 INIZIO REGISTRAZIONI E ACCOGLIENZA DELLE FAMIGLIE**

**15:00 Parent Project Incontra Le Nuove Famiglie**

Ezio Magnano - Ilaria Zito - Sara Guglielmi - Sara Billai - Cristina Bella, Parent Project aps

**17:00 SESSIONI PARALLELE**

**Abc della scienza nella DMD/BMD**

Fernanda De Angelis, Parent Project aps

**Ci sono anch'io. Essere fratello di un paziente DMD/BMD**

Laura Gentile, OMAR - Maria Caterina Pugliese, Parent Project aps

**Ausili e tecnologie scolastiche**

Fabrizio Corradi, Istituto Leonarda Vaccari LUMSA Roma - Daniela Frigerio, Centro Clinico Nemo Milano - Cristina Bella, Parent Project aps

**Ciò che mangiamo ha un peso. Gli aspetti nutrizionali nella DMD/BMD**

Simona Bertoli, Università degli studi di Milano, IRCCS AUXOLOGICO, Milano - Valentina Bionda, Parent Project aps

**Gli aspetti cognitivi ed emotivo-comportamentali: presa in carico valutativa, riabilitativa e monitoraggio**

Francesca Cumbo e Michele Tosi, Unità di Malattie Muscolari e Neurodegenerative OPBG Roma - Emanuela Giullitti, Parent Project aps

**BMD: facciamo gruppo**

Giada Perinel, Sara Guglielmi e Antonio Bellon Parent Project aps

Testimonianze: Sabatino Francesco Palandrani, Antonio Laurenzana, Fabio Superti, Luigi Paolantonio



**SABATO 17 FEBBRAIO**

**PLENARIA**

**SALE PARALLELE**

**LABORATORI**

**8:30 UNO SPECIALE BENVENUTO**

**9:30 Sessione scientifica**  
**Strategie in fase di sviluppo iniziale**  
Moderazione: Ilaria Zito, Parent Project aps

- Claudio Bruno, Istituto Gaslini di Genova: DYNE-251, PGN-EDO51, WVE-N531
- Valeria Sansone, Ospedale Niguarda di Milano: ENTR-601-44, BMN-351, AOC-1044
- Stefano Previtali, Ospedale San Raffaele di Milano: RGX-202, SGT-003, DMD06

Q&A con: Dyne Therapeutics, PepGen, Wave Life Sciences, Entrada Therapeutics, BioMarin, Avidity Biosciences, RegenXbio, Solid Biosciences, Prof. Giulio Cossu

**10:45 Presentazione progetto PaLaDIn**  
David Allison, Treat-NMD

**9:30 Sessione Parallela**  
**Legge che va, diritto che viene. Leggi, burocrazia e diritti**  
Sara Guglielmi, Parent Project aps - Carlo Giacobini, Consulente Parent Project aps

**10:30 Come nasce un videogioco**  
Davide Carotti  
AIV, Accademia Italiana Videogiochi

**11:00 Poster Ciak**

**11:15 COFFEE BREAK**

**11:30 Tavola rotonda**  
**Promuovere la socializzazione: risposte resilienti ad esclusione, bullismo e discriminazione**  
Maria Caterina Pugliese e Sara Billai, Parent Project aps  
Alessia Cinotti, Università Bicocca, Milano  
Testimonianze: Daniele Amanti - Marco Mazzariol  
Con la partecipazione straordinaria di Lulu Rimmel, artista

**11:30 Sessione Parallela**  
**Focus sulla distrofia muscolare di Becker**  
Moderazione: Giada Perinel e Fernanda De Angelis, Parent Project aps

- Daniele Velardo, Policlinico di Milano: Gestione clinica della BMD
- Luca Bello, Ospedale Universitario di Padova: Aggiornamenti sugli studi clinici



con vamorolone e  
EDG-5506

- Elisa Minuti,  
Policlinico di  
Milano:  
Fisioterapia e  
ausili nella BMD
- Francesca Cumbo,  
Ospedale  
Pediatrico  
Bambino Gesù di  
Roma: Aspetti  
neuropsicologici  
nella BMD

Q&A con: Edgewise  
Therapeutics,  
Santhera  
Pharmaceuticals

**13:00 PAUSA PRANZO**

**13:00 Sessione poster**

**14:15 Tavola rotonda**  
**Affettività e sessualità, due mondi a confronto**  
Maximiliano Olivieri, Comitato lovegiver -  
Lulu Rimmel, artista

**14:30 Sessione Parallela**  
**Integratori nella**  
**DMD/BMD**  
Moderazione: Ilaria  
Zito e Francesca  
Mattei, Parent Project  
aps

- Annamaria De  
Luca, Università  
degli studi di Bari

**15:30 Sessione scientifica**  
**Strategie in fase intermedia di sviluppo**  
Moderazione: Fernanda De Angelis, Parent  
Project aps

- Adele D'Amico, Ospedale Pediatrico  
Bambino Gesù di Roma: PF-06939926,  
Ifetroban
- Maria Grazia D'Angelo, IRCCS E. Medea  
Bosisio Parini di Lecco: Pamrevlumab,  
CAP-1002, ATL1102
- Federica Ricci, Ospedale Regina  
Margherita di Torino SRP-5051, EDG-  
5506

Q&E con: Pfizer, Cumberland  
Pharmaceuticals, Fibrogen,  
Capricor Therapeutics, Percheron  
Therapeutics, Sarepta Therapeutics,  
Edgewise Therapeutics

**15.30 Sessione Parallela**  
**Gruppo di**  
**confronto sul tema**  
**della sessualità e**  
**affettività**  
(solo per i ragazzi)  
Maximiliano Olivieri,  
Comitato Lovegiver  
Vittorio Montixi,  
operatore sociale  
Lulu Rimmel, artista



**16:45 COFFEE BREAK**

**17:15 Sessione scientifica  
Costruiamo il futuro**  
Moderazione: Annemieke Aartsma-Rus,  
Università di Leiden

- Francesco Saverio Tedesco, UCL, GOSH & The Francis Crick Institute di Londra: Modelli di muscolo 3d e progetto Magic
- Adrian Westhaus, Genethon, Evry: avanzamenti sui vettori virali
- Francesco Chemello, Università di Bologna: Strategie di gene editing per la Duchenne

**17.00 Laboratorio  
mindfulness: la  
consapevolezza del  
corpo per stare  
insieme e  
condividere (solo  
per genitori)**  
Luisa Barbato,  
supervisore della SIAR

**17:00 Laboratorio  
droni per  
ragazzi**  
Oscar Chinello,  
Responsabile e  
coordinatore  
nazionale per le  
categorie: F9U -  
F3C - F3N - F3  
Aerobatics -  
Guido Magni,  
SKY Italia -  
con la  
partecipazione di  
un ospite  
d'eccezione

**17:30 Laboratorio  
ludico-sportivo  
in ambito  
cinotecnico per  
bambini e  
ragazzi**  
ASD "A TEMPO DI  
CODA"

**18:30 Chiusura lavori**

**20:30 CENA CON SORPRESA E PREMIAZIONE POSTER**

**DOMENICA 18 FEBBRAIO**

**PLENARIA**

**SALE PARALLELE**

**8:45 INIZIO LAVORI**

**9:00 Sessione scientifica  
Strategie in fase di sviluppo avanzata**  
Moderazione: Fernanda De Angelis, Parent Project aps

- Eugenio Mercuri, Policlinico A. Gemelli di Roma: SRP-9001, Givinostat
- Elena Pegoraro, Ospedale Universitario di Padova: Vamorolone, terapia per mutazioni nonsense

**9:00 Sessione Parallela  
Il viaggio prende forma:  
progettare per viaggiare**  
Giada Perinel Tiziana D'Auria Parent  
Project aps  
Luigi Passetto, LP viaggi  
Roberto Vitali, Village for all



- Alessandra Ferlini, Ospedale Universitario Sant'Anna di Ferrara: Eteplirsen, Golodirsen/Casimersen, Viltolarsen  
Q&A con: Roche, Italfarmaco, Santhera Pharmaceuticals, Sarepta Therapeutics

**10:30 Tavola rotonda**

**Il percorso della diagnosi genetica preimpianto nella pianificazione di una gravidanza per le donne portatrici**

Ilaria Zito e Emanuela Giulitti, Parent Project aps  
Daniela Zuccarello, Ospedale Universitario di Padova,  
Network italiano PGT (N.I.D.O)  
Andrea Gallinelli, AUSL di Ferrara  
Marina Forte, IVI Roma

**10:30 Sessione Parallela**

**Emergenze e come affrontarle**

Moderazione: Cristina Bella e Nefeli Vourou, Parent Project aps

- Cristina Bella, Parent Project aps: Emergency Card
- Luca Bello, Ospedale Universitario di Padova: Protocollo di P.J. Nicholoff ed emergenze nelle fratture
- Fabrizio Racca, AO Ordine Mauriziano, Torino: Emergenze respiratorie e anestesia
- Rachele Adorisio, Ospedale Pediatrico Bambino Gesù di Roma: Emergenze cardiache

**12:00 Sessione scientifica**

**Aspetti regolatori; restituzioni dei webinar tematici**

Moderazione: Filippo Buccella, Parent Project aps  
Ramona Belfiore-Oshan, Duchenne Regulatory Science Consortium, C-Path, USA

**13:00 LUNCH BOX, CHIUSURA LAVORI E SALUTI**

