

**CONGRESO  
INTERNACIONAL  
DUCHENNE**

PARENT PROJECT  
ESPAÑA



**Duchenne**  
PARENT PROJECT **España**

**7.8.9 JUNIO 2019**

**MADRID**

HOTEL: EUROSTARS

MADRID CONGRESS \*\*\*\*

**PROGRAMA**

**7.8.9 JUNIO 2019**  
**MADRID**  
HOTEL: EUROSTARS  
MADRID CONGRESS \*\*\*\*\*



**CONGRESO  
INTERNACIONAL  
DUCHENNE**  
PARENT PROJECT  
ESPAÑA

## **VIERNES, 7 DE JUNIO** (sólo se emite en español)

15:00-16:00 **REGISTRO**

16:00-16:15 **INAUGURACIÓN Y BIENVENIDA**

**Silvia Ávila.** *Presidenta Duchenne Parent Project España*

16:15-18:00 **MESA REDONDA: FAMILIAS-CLÍNICOS-PACIENTES**

Durante esta mesa redonda se tratarán temas relacionados con la DMD y la DMB.

Moderadores: **Dra. Francina Munell** y **Dra. Marisol Montolio**

**Dr. Adolfo López de Munain.** *IIS Biodonostia (San Sebastián)*

**Dra. Francina Munell.** *Hospital Vall d'Hebrón (Barcelona)*

**Dr. Carlos Ortez.** *Hospital Sant Joan de Dèu (Barcelona)*

**Dr. Juan Vílchez.** *Hospital La Fe (Valencia)*

**Dra. Cristina Domínguez.** *Hospital 12 de Octubre (Madrid)*

**Dr. Jordi Díaz-Manera.** *Hospital de la Santa Creu i Sant Pau (Barcelona)*

**Dra. Pía Gallano.** *Hospital de la Santa Creu i Sant Pau (Barcelona)*

**Dr. Sergi César.** *Hospital Sant Joan de Dèu de Barcelona*

18:00-18:30 **PAUSA-CAFÉ**

18: 30-19:00 **PRESENTACIÓN DEL PROYECTO: RESOLVER ASPECTOS SOBRE EL DÉFICIT DE DISTROFINA EN EL CEREBRO.** Programa HORIZON 2020

**Dr. Rubén Miranda García** y **Dr. Luis Miguel García Moreno.** *Departamento de Psicobiología y Metodología en Ciencias del Comportamiento. Universidad Complutense de Madrid.*

**Sara Osuna** y **David Díaz.** *Psicólogos Duchenne Parent Project España*

**Dra. Marisol Montolio.** *Directora Científica Duchenne Parent Project España*

**7.8.9 JUNIO 2019**  
**MADRID**  
HOTEL: EUROSTARS  
MADRID CONGRESS \*\*\*\*



**CONGRESO  
INTERNACIONAL  
DUCHENNE**  
PARENT PROJECT  
ESPAÑA

**19:00-19:20 AEMPS: EL TRABAJO DE LA AGENCIA ESPAÑOLA DE MEDICAMENTOS Y PRODUCTOS SANITARIOS**

**César Hernández.** *Jefe de Departamento de Medicamentos de Uso Humano. Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS)*

**19:20-20:30 TALLERES EN PARALELO**

- **TALLER EDAD ADULTA**

Aquí los pacientes adultos se harán cargo y hablarán sobre aspectos como la educación, el trabajo, las pasiones, los deportes y los sentimientos.

**David Díaz-Pinto.** *Psicólogo Duchenne Parent Project España*

- **TALLER FISIOTERAPIA PEDIÁTRICA**

Durante este taller se facilitan las herramientas más básicas a los padres para poder realizar una buena fisioterapia en casa.

**Lidia Parra.** *Interactúa. Duchenne Parent Project España*

- **TALLER SERVICIO INFORMACIÓN Y ORIENTACIÓN / SERVICIO DE ORIENTACIÓN JURÍDICA**

Aquí se abordarán temas como las diferencias que hay entre la discapacidad y la dependencia, cual es el momento idóneo para solicitar estas valoraciones, los aspectos más importantes a tener en cuenta y los recursos asociados a cada una de ellas.

**Alicia León.** *Trabajadora social Duchenne Parent Project España*

- **TALLER EDUCATIVO Taller psicoeducativo.**

En este taller se explicará la importancia del vínculo familia-sistema educativo.

Además, se abordarán aspectos relacionados tanto con las posibles adaptaciones a nivel individual como a nivel de clase que el/la menor necesite, así como dudas e incertidumbres que puedan surgir en este entorno.

**Sara Osuna.** *Psicóloga Duchenne Parent Project España*

**21:30 CENA**

7.8.9 JUNIO 2019

**MADRID**

HOTEL: EUROSTARS  
MADRID CONGRESS \*\*\*\*\*



**CONGRESO  
INTERNACIONAL  
DUCHENNE**

PARENT PROJECT  
ESPAÑA ●

## SÁBADO, 8 DE JUNIO

09:00-09:15 **INTRODUCCIÓN Y BIENVENIDA**

Silvia Ávila. *Presidenta Duchenne Parent Project España*

09:15-09:30 **DUCHENNE PARENT PROJECT ESPAÑA ESTRATEGIA CIENTÍFICA:  
UNA VISIÓN GLOBAL PARA LA CURA**

Dra. Marisol Montolio. *Directora Científica Duchenne Parent Project España*

09:30-11:00 **ESTUDIOS PRECLÍNICOS SUBVENCIONADOS POR DPPE**

Durante esta sesión, hablaremos sobre la investigación preclínica y cómo optimizar esta fase importante del desarrollo de fármacos para tener más éxito y generar más ensayos clínicos en el futuro.

Moderadora: **Dra. Marisol Montolio.** *Directora Científica Duchenne Parent Project España*

**Nuevos compuestos y calcio.** Dra. Ainara Vallejo

**miRNAs: herramientas que modulan la diferenciación y regeneración muscular.**

Dra. A. Aránega

**Reposicionamiento Utrofina.** Dr. Raúl Insa

**Nuevos compuestos proregenerativos y antifibróticos.** Dra. Lucía Gregorio

**Mejoras para terapia génica. Sagetis.** Dr. Salvador Borrós

**Nintedanib: Reposicionamiento para la DMD.** Dr. Jordi Díaz-Manera

*PREGUNTAS Y RESPUESTAS*

11:00-11:30 **PAUSA-CAFÉ**

11:30-11:45 **ESTRATEGIAS TERAPÉUTICAS: ESCENARIO ACTUAL  
¿QUÉ ES UN ENSAYO CLÍNICO?**

Dra. Marisol Montolio. *Directora Científica Duchenne Parent Project España*

7.8.9 JUNIO 2019  
**MADRID**  
HOTEL: EUROSTARS  
MADRID CONGRESS \*\*\*\*\*



**CONGRESO  
INTERNACIONAL  
DUCHENNE**  
PARENT PROJECT  
ESPAÑA ●

**11:45-13:15 ENSAYOS CLÍNICOS: RESTAURACIÓN DE LA DISTROFINA**

Moderadores: Dra. Marisol Montolio y Dr. Juan Vílchez

Microdistrofina para la Terapia Génica en la Distrofia Muscular de Duchenne.

Dra. Madeleine Billeter. *Sarepta Therapeutics*

Compromiso de Pfizer con los pacientes con DMD: una actualización del programa de terapia génica.

Nuria Mir. *Director Medical Affairs Rare Disease Spain*

Salto del Exón.

Dra. Lucía Quintana-Gallardo. *Sarepta Therapeutics*

Salto del Exón.

Dr. Matthew Anderton. *Wave Life Sciences*

Novedades en las mutaciones sin sentido: Ataluren.

Dr. Juan Vílchez. *Hospital La Fe, Valencia*

*PREGUNTAS Y RESPUESTAS*

**13:15-15:00 COMIDA**

**15:00-16:30 ENSAYOS CLÍNICOS: MEJORA DE LOS MÚSCULOS Y PROCESOS INFLAMATORIOS**

Moderadores: Dra. Marisol Montolio, Dra. Maitea Guridi, Dra. Sara Cazzaniga

Anti-Myostatin (RG6206).

Dra. Maitea Guridi. *Roche*

Desarrollo clínico para DMD liderado por Santhera (Introducción a SIDEROS)

Dra. Kristina Nygren - Dra. Vanessa dos Reis. *Santhera*

**7.8.9 JUNIO 2019**  
**MADRID**  
HOTEL: EUROSTARS  
MADRID CONGRESS \*\*\*\*



**CONGRESO  
INTERNACIONAL  
DUCHENNE**  
PARENT PROJECT  
ESPAÑA

Givinostat en desarrollo para la DMD y DMB.

Dra. Sara Cazzaniga. *Italfármaco*

Tamoxifeno en la DMD.

Dr. Dirk Fisher. *Universitats-Kinderspital Basel (UKBB)*

*PREGUNTAS Y RESPUESTAS*

**16:30-17:00 PAUSA-CAFÉ**

**17:00-18:30 CUIDADOS EN DUCHENNE Y BECKER parte I**

En este bloque trataremos diferentes cuidados en las distrofias musculares de Duchenne y Becker.

Moderadora: **Dra. Marisol Montolio.** *Directora Científica Duchenne Parent Project España*

**CUIDADOS ODONTOLÓGICOS.**

**Elizabeth Vroom.** *Presidenta de World Duchenne Organization*

**CUIDADOS MEDIADOS POR LA TECNOLOGÍA: Un Apoyo necesario para las Distrofias Musculares de Duchenne y Becker.**

Presentación: **Dr. Ofir Arad.** *Duchenne Parent Project España*

**Soportes para miembros superiores.** **Dr. Joan Lobo.** *CSIC, Barcelona*

**6MWT+.** **Eudald Mas.** *Eurecat*

**Exorapi.** **Dr. Sebastián Idelshon.** *Eurecat*

*PREGUNTAS Y RESPUESTAS*

**21:00 CENA / ESPECTÁCULO**

7.8.9 JUNIO 2019

**MADRID**

HOTEL: EUROSTARS  
MADRID CONGRESS \*\*\*\*\*



**CONGRESO  
INTERNACIONAL  
DUCHENNE**

PARENT PROJECT  
ESPAÑA ●

**DOMINGO, 9 DE JUNIO** (sólo se emite en español)

09:30-11:30 **CUIDADOS EN DUCHENNE Y BECKER parte II**

En este bloque trataremos diferentes cuidados en las distrofias musculares de Duchenne y Becker

Moderadora: **Dra. Marisol Montolio** *Duchenne Parent Project España*

**CUIDADOS PNEUMOLÓGICOS.**

**Dra. Emilia Barrot.** *Hospital Virgen del Rocío*

**CUIDADOS FISIOTERAPÉUTICOS.**

**Lidia parra.** *Interactúa. Duchenne Parent Project España*

**CUIDADOS DEL CORAZÓN.**

**Dr. Sergi César.** *Hospital Sant Joan de Dèu de Barcelona*

**CUIDADOS NUTRICIONALES.**

**Dra. Nuria Monfuleda, Dr. Carles Miralles.** *Centro de Nutrición Loveyourself*

**CUIDADOS NEUROPSICOLÓGICOS.**

**Sara Osuna.** *Duchenne Parent Project España*

11.30-11:40 **CLAUSURA**

**Silvia Ávila.** *Presidenta Duchenne Parent Project España*

12:30-13:00 **ASAMBLEA GENERAL ANUAL SÓLO PARA LOS SOCIOS DE DUCHENNE  
PARENT PROJECT ESPAÑA**