



13-14-15
MAYO 2022

PROGRAMA

Avalado por:



Con la colaboración de:



VIERNES 13 DE MAYO

(solo se emite en español)

13:00-16:00 REGISTRO.

16:00-16:15 BIENVENIDA.

Dña. 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 los estándares de cuidado.

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

Dr. Jaume Colomer.
Hospital Sant Joan de Déu (Barcelona)

Dr. Sergi Cesar. Hospital Sant Joan de Déu
(Barcelona).

Dra. Julita Medina.
Hospital Sant Joan de Déu (Barcelona).

Dra. Emilia Barrot. Hospital Virgen del Rocío (Sevilla).

Dr. Marcos Madruga. Neurolinkia y Hospital Viamed
Santa Ángela De la Cruz (Sevilla).

Dra. Carmina Díaz. Hospital General Universitario
de Alicante (Alicante).

Dr. Itxaso Martí. Hospital Universitario Donostia
(San Sebastián).

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

Dr. David Gomez. Hospital Vall d'Hebrón (Barcelona).

Dr. Andrés Nascimento. Hospital Sant Joan de Déu
(Barcelona)

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

Dra. Cristina Dominguez.
Hospital 12 de Octubre (Madrid).

Dra. Ana Camacho. Hospital 12 de Octubre (Madrid).

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

Dr. Carlos Ortez. Hospital Sant Joan de Déu
(Barcelona).

18:00-18:30 PAUSA — CAFÉ.

18:30-18:45 INAUGURACIÓN OFICIAL.

Dña. Silvia Ávila. Presidenta Duchenne Parent
Project España.

Dña. Esther Sabando. CEO Duchenne Parent Project
España.

Dña. Marta Marbán de Frutos. Diputada en la
Asamblea de Madrid por el Partido Popular.
Presidenta de la Comisión de Sanidad.

Dña. Paula Gómez-Angulo Amoros. Directora
General de Humanización y Atención al Paciente
de la Comunidad de Madrid.

18:45-20:15 ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN LAS DISTROFIAS MUSCULARES DE DUCHENNE Y BECKER.

Moderadores: Dña. Silvia Ávila & D. Manuel Pérez.

Dr. Juan Estévez. Departamento de Medicamentos
de Uso Humano. Agencia Española de Medicamentos
y Productos Sanitarios (AEMPS).

Dr. Jose Luis Poveda. Presidente de la Comisión
Nacional de Farmacia Hospitalaria.

Dr. Álvaro Lavandeira. Doctor en Derecho Sanitario
y Farmacéutico.

D. Manuel Pérez. Presidente de la Fundación Mehuer
Medicamentos huérfanos y enfermedades raras.

Dña. Marian Corral. Directora de la Asociación
Española de Medicamentos Huérfanos y Ultra
Huérfanos Aelmhu.

Dña. Silvia Ávila. Presidenta de Duchenne
Parent Project España.

21:30 CENA.

SÁBADO 14 DE MAYO

9:00-9:10 INTRODUCCIÓN Y BIENVENIDA.

Dña. Silvia Ávila. Presidenta Duchenne Parent
Project España.

9:10-9:20 DUCHENNE PARENT PROJECT ESPAÑA ESTRATEGIA CIENTÍFICA: UNA VISIÓN GLOBAL PARA LA CURA.

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

9:20-10:40 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.

Mejoras para terapia génica. Dr. Salvador Borrós.

Reposicionamiento Utrofina. Dra. Gal. la Pericot.

miRNAs: modular la diferenciación y regeneración muscular. Dra. A. Aránega.

Muscle in a chip. Dr. Juan Manuel Fernández.

Senolíticos en DMD. Dra. Pura Muñoz.

10:40-11:15 DISTROFINA Y CEREBRO.

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

Dra. María Damià. Hospital La Fe (Valencia).

11:15-11:40 PAUSA — CAFÉ.

Los participantes podrán dirigirse al área de networking para conocer a los expositores, hablar con los expertos y charlar con las familias de Duchenne/Becker.

11:40-11:50 ESTRATEGIAS TERAPÉUTICAS: ESCENARIO ACTUAL ¿QUÉ ES UN ENSAYO CLÍNICO?

En esta sesión, se explicará la estrategia llevada a cabo desde Duchenne Parent Project España para llegar con más rapidez a los ensayos clínicos de las DMD/DMB: Registro de Pacientes, Programa SARA.

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

11:50-13:20 ENSAYOS CLÍNICOS: RESTAURACIÓN DE LA DISTROFINA.

Moderadores:

Dra. Marisol Montolio & Dr. Carlos Ortez.

Microdistrofina para la Terapia Génica en la Distrofia Muscular de Duchenne. Dra. Maitea Guridi, Roche.

Pfizer en DMD: Compromiso de Pfizer con los pacientes. Kim Hae Kyung, Pfizer.

Actualización del programa RNA (PMO y PPMO). Rachel Salazar, Sarepta Therapeutics.

Novedades en las mutaciones sin sentido: Ataluren. Dr. Carlos Ortez. Hospital Sant Joan de Deu. Barcelona.

• Preguntas y respuestas

13:20-15:30 COMIDA: INTERACCIÓN SOCIAL.

15:30-17:00 ENSAYOS CLÍNICOS: MEJORA DE LOS MÚSCULOS Y PROCESOS INFLAMATORIOS.

Moderadores: **Dra. Marisol Montolio**. Directora Científica Duchenne Parent Project España. **Dr. Andrés Nascimento**. Hospital Sant Joan de Déu (Barcelona).

Givinostat en desarrollo para la DMD y DMB. Dra. Nicoletta Coceani. Italfármaco.

CAP-1002, una terapia celular para el tratamiento de la DMD no ambulatoria. Dra. Linda Marban. Capricor.

Vamolorone (ReveraGen-Santhera). Dr. Andrés Nascimento. Hospital Sant Joan de Déu (Barcelona).

Tamoxifeno. Dra. Jessica Expósito. Hospital Sant Joan de Déu (Barcelona).

Antimioestatina. Dra. Maitea Guridi. Roche.

17:00-17:10 INVESTIGACIÓN: DÓNDE ESTAMOS Y A DÓNDE VAMOS.

17:10-17:40 PAUSA — CAFÉ.

Espacio para descansar y dirigirse al área de networking para conocer a los expositores, hablar con los expertos y charlar con las familias de Duchenne.

17:40-18:30 LA TECNOLOGÍA: UN APOYO NECESARIO PARA LAS DISTROFIAS MUSCULARES DE DUCHENNE Y BECKER.

Durante esta sesión, hablaremos sobre la implementación de diferentes dispositivos que pueden facilitar el curso de la enfermedad. Además, esperamos un intercambio de conocimientos sobre el uso de los resultados digitales que se utilizarán en la investigación de Duchenne, el desarrollo de fármacos y la gestión diaria.

Dr. Ofir Arad. Duchenne Parent Project España.

Dr. Sebastian Idelshon. Eurecat/ Duchenne Parent Project España /Ephion Health.

Dr. Aaron Vilalta. Duchenne Parent Project España.

18:30-19:30 SESIÓN DE PÓSTERS CIENTÍFICOS.

La sesión de pósters científicos pretende proporcionar un espacio a estudiantes, investigadores/as y profesionales para presentar su trabajo a todos los asistentes.

21:30 CENA.

Esta es la última oportunidad de compartir experiencias con las familias, los médicos y los investigadores, además de muchas sorpresas.

DOMINGO 15 DE MAYO

(sólo se emite en español)

9:30-9:45 PRESENTACIÓN COMITÉ ASESOR DE ADULTOS DUCHENNE PARENT PROJECT ESPAÑA.

9:45-10:15 TRANSICIÓN A LA ETAPA ADULTA: DEPENDENCIA, DISCAPACIDAD, Y PATRIMONIO PROTEGIDO.

Dr. Álvaro Lavandeira. Departamento Legal. Duchenne Parent Project España.

10:15-12:15 SESIONES PARALELAS.

- › **Revolución Duchenne.** El Comité de Adultos de Duchenne Parent Project tratará temas como adaptaciones y beneficios de vivienda.

Es una sesión privada para adultos que viven con Duchenne y sus amigos / hermanos para charlar y conocer a otras personas de ideas afines, donde se podrán reunir con los psicólogos, tecnólogos, distribuidores, etc. Se darán conversaciones abiertas sobre temas como los juegos, la búsqueda de un trabajo y la vida independiente. Los participantes tendrán acceso a diferentes dispositivos tecnológicos en fase de prueba.

- › **Taller Sexualidad.** Durante este taller se abordará la sexualidad en la DMD&B. Se hablará de temas relacionados con la sexualidad para romper mitos y tabúes.

Dña. Sara Osuna y D. David Díaz-Pinto. Psicólogos Duchenne Parent Project España. Dra. Thais Pousada García. Grupo investigación TALIONIS. CITIC- Universidade da Coruña.

- › **Taller Fisioterapia Respiratoria.** Durante este taller se facilitan las herramientas más básicas a los padres para poder realizar una buena fisioterapia respiratoria.

Dña. Beatriz Sánchez Fernández. Fisioterapeuta respiratoria. Formadora.

12:15-12:45 ASAMBLEA GENERAL ANUAL SÓLO PARA SOCIOS DE DUCHENNE PARENT PROJECT ESPAÑA.

12:45-13:00 CLAUSURA.

Dña. Esther Sabando. CEO Duchenne Parent Project España.

Dña. Silvia Ávila. Presidenta Duchenne Parent Project España.

Patrocinador Platinum



Patrocinador Oro



Patrocinador Plata



Patrocinador Bronce

