

Osservatorio Malattie Rare e Parent Project Onlus organizzano un incontro alla scoperta della Distrofia muscolare di Duchenne. Viaggio nella patologia dai primi sintomi alla diagnosi genetica, la presa in carico del bambino fino all'adulto. I progressi della medicina, dalle terapie già disponibili al fermento della ricerca: in che direzione si muovono le sperimentazioni cliniche? Cosa si può sperare per il futuro?

OMAR Osservatorio Malattie Rare OMAR è l'unica testata giornalistica, in Italia ed in Europa, esclusivamente focalizzata sulla tematica delle malattie rare e dei farmaci orfani. Scopo dell'Osservatorio è far circolare una informazione facilmente comprensibile, ma scientificamente corretta, su tematiche ancora poco note, mettendo le proprie competenze a disposizione degli altri Media, dei pazienti e di tutti gli stakeholder del settore. L'Osservatorio, nato nel 2010, in meno di 5 anni è arrivato a costruire stretti rapporti di collaborazione con il mondo delle associazioni pazienti, con le istituzioni, i medici e ricercatori e con le aziende impegnate nel settore dei farmaci orfani. Il portale www.osservatoriomalattierare.it, è arrivato a superare la media di 10.000 visualizzazioni di pagina al giorno.



Parent Project Onlus è un'associazione di genitori con figli affetti da distrofia muscolare di Duchenne e Becker. Dal 1996 lavoriamo per migliorare il trattamento, la qualità della vita e le prospettive a lungo termine dei nostri bambini e ragazzi attraverso la ricerca, l'educazione, la formazione e la sensibilizzazione. Gli obiettivi di fondo che ci hanno fatto crescere fino ad oggi sono quelli di affiancare e sostenere le famiglie dei bambini che convivono con queste patologie attraverso una rete di Centri Ascolto, promuovere e finanziare la ricerca scientifica al riguardo e sviluppare un network collaborativo in grado di condividere e diffondere informazioni chiave.

Segreteria organizzativa:



Nomos Lab - Laboratorio Politiche Sanitarie
Largo Toniolo n. 6 - 00186 Roma Tel. +39 0668806236
www.nomoscsp.eu



MEDIA TUTORIAL

“VIAGGIO ALLA SCOPERTA DELLA DISTROFIA DI DUCHENNE.”

Dalla diagnosi clinica allo sviluppo delle terapie, passando attraverso la presa in carico del paziente. Un modello di eccellenza nel panorama delle malattie rare.

Roma 27 novembre 2015 - Ore 10.30
STARHOTELS METROPOLE
Via Principe Amedeo, 3

In collaborazione con



PROGRAMMA MEDIA TUTORIAL

10.30 - WELCOME COFFEE

10.45 - APERTURA DEI LAVORI

10.45 - 10.55 - LA DISTROFIA DI DUCHENNE

10.55 - 11.25 - DALLA DIAGNOSI ALLA PRESA IN CARICO

- I primi sintomi e la loro evoluzione
- Il percorso del paziente verso la diagnosi
- L'arrivo al Centro Specialistico
- La presa in carico dall'età pediatrica all'adulto

11.25 - 11.40 - RARI, MA QUANTI?

Esperienza e dati del Registro Pazienti DMD/BMD Italia

11.40 - 11.50 - IL FUTURO E' ADESSO!

11.50 - 12.20 - LA RICERCA DI UNA CURA: A CHE PUNTO SIAMO?

- Nuovi approcci alla terapia della Duchenne e nuovi trial

12.20 - 12.45 - TESTIMONIANZA

12.45 - 13.30 - DALLA PROVETTA AL PAZIENTE: UN LAVORO DI SQUADRA

- Dal laboratorio al paziente, il lungo percorso dei farmaci orfani
- Il paziente come consulente
- Dal consenso informato all'arruolamento, il ruolo delle associazioni
- La sperimentazione clinica, dalla progettazione all'attuazione: l'esperienza del Policlinico Gemelli

13.30 - 14.00 - DOMANDE E RISPOSTE

14.00 - 14.30 - PRANZO

Intervengono:

Filippo Buccella - Presidente Parent Project Onlus

Tiziana D'Auria - Centro Ascolto Duchenne Parent Project Onlus

Fernanda De Angelis - Area Scienza Parent Project Onlus

Francesco Macchia - Docente "Marketing e Tecniche di Accesso al Mercato Farmaceutico" Facoltà di Farmacia Università "La Sapienza" di Roma

Eugenio Mercuri - Direttore UOC Neuropsichiatria infantile Policlinico A. Gemelli

Maria Teresa Moscato - Area Scienza Parent Project Onlus

Marika Pane - Dirigente Medico Neuropsichiatria infantile (UOC) Policlinico A. Gemelli

Prevista la testimonianza diretta di pazienti DMD e famiglie

Modera **Ilaria Ciancaleoni Bartoli**, direttore Osservatorio Malattie Rare

Per informazioni Ufficio stampa OMAR

Stefania Collet - Mob: 349.5737747

ufficiostampa@osservatoriomalattierare.it