

## La ricerca di una terapia

Dal 1996 finanziamo progetti di ricerca specifici, perché questo significa investire sul futuro dei nostri figli. Quando abbiamo iniziato, la ricerca in questo campo era quasi inesistente. Oggi sono in fase di studio diversi approcci terapeutici alcuni rivolti al difetto genetico alla base della patologia, come la terapia genica o gli approcci di exon-skipping, altri che mirano a intervenire sui difetti secondari come l'infiammazione, la fibrosi e la fragilità muscolare.

Molti di questi approcci sono in una fase avanzata di studio nei pazienti e speriamo possano essere presto disponibili per tutti i nostri ragazzi. Oltre alla ricerca scientifica sosteniamo progetti clinici mirati, per esempio, ad approfondire le conoscenze sulle caratteristiche di progressione della patologia o all'identificazione di biomarcatori specifici.

## AIUTACI A FERMARE LA DUCHENNE

### Con una donazione tramite

- c/c postale 94255007
- **Bonifico** su Banca di Credito Cooperativo di Roma IBAN: IT38V0832703219000000005775
- un addebito diretto - **modulo SDD (ex RID)**
- **Carta di Credito o PayPal** tramite il Dona Ora su: [www.parentproject.it/dona](http://www.parentproject.it/dona)
- il tuo **5x1000** inserendo il **Codice Fiscale 05203531008** nella dichiarazione dei redditi

**Grazie!**

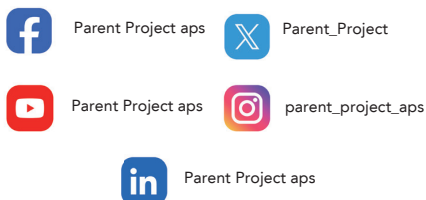


Parent Project aps è un ente con personalità giuridica iscritto al RUNTS dal 17/10/22 al n.57282

PARENT PROJECT APS  
Via P. De Francisci, 36 - 00165 Roma  
Tel. 06 66182811  
[associazione@parentproject.it](mailto:associazione@parentproject.it)



[www.parentproject.it](http://www.parentproject.it)



**Progetto InformaRARE.**  
Iniziativa finanziata dal  
Forum Toscano Associazioni  
Malattie Rare

Per conoscere tutte le nostre campagne, gli eventi e le iniziative visita il sito [www.parentproject.it](http://www.parentproject.it) oppure chiama il numero 06 66182811

**Grazie!**

RICERCA  
PROJECT  
SPERANZA  
REGISTRO  
DMD/BMD  
EDUCAZIONE E  
SENSIBILIZZAZIONE  
FAMIGLIE  
INFORMAZIONE  
DUCHENNE E BECKER  
PARENT  
COMUNITÀ DUCHENNE

## Parent Project aps

INSIEME X FERMARE LA  
DUCHENNE E LA BECKER



# INSIEME X FERMARE LA DUCHENNE

## Parent Project aps

Parent Project aps è un'associazione di pazienti e genitori con figli affetti da distrofia muscolare di Duchenne e Becker, una grave patologia genetica degenerativa che si manifesta nell'infanzia, causando una progressiva perdita della funzionalità muscolare. Attualmente non esiste una cura, ma una gestione clinica multidisciplinare, che permette di migliorare le condizioni generali e le aspettative di vita dei ragazzi. Per questo Parent Project è impegnata ad affiancare le famiglie, garantire nuove opportunità di trattamento e finanziare la ricerca. Questi sforzi hanno portato a un rallentamento della progressione della patologia raddoppiando l'aspettativa di vita dei nostri ragazzi.

## La distrofia muscolare di Duchenne e Becker

Sono oltre 5.000 le persone che convivono in Italia con la distrofia muscolare di Duchenne e Becker. La Duchenne (DMD) è una rara patologia genetica che colpisce 1 su 5000 neonati maschi. È la forma più grave delle distrofie muscolari, si manifesta in età pediatrica e causa una progressiva degenerazione dei muscoli. Con il tempo, un ragazzo affetto da DMD perde la capacità di muoversi e respirare autonomamente. Il trattamento da parte di un'équipe multidisciplinare permette di migliorare le condizioni generali e raddoppiare l'aspettativa di vita, che oggi può arrivare a superare la terza decade. Al momento, però, non esiste una cura.

La distrofia muscolare di Becker (BMD) è una variante più lieve, il cui decorso varia da paziente a paziente.



## Il Centro Ascolto Duchenne

Dal momento della diagnosi di distrofia muscolare di Duchenne o di Becker, la famiglia deve imparare a confrontarsi con una patologia complessa che investe ogni aspetto della quotidianità, per garantire al proprio figlio la migliore qualità di vita possibile. Per questo, nel 2002 abbiamo avviato il Centro Ascolto Duchenne (CAD). Il CAD accoglie le nuove famiglie che entrano a far parte della nostra associazione e le segue costantemente. Il servizio, gratuito, fornisce assistenza, consulenza psicologica, educativa, legale, informazioni e formazione per i genitori e si rivolge anche a medici di base, pediatri e

specialisti. Inoltre affianca insegnanti, operatori sanitari e assistenti sociali nella costruzione di percorsi di integrazione e nella programmazione di servizi adeguati per un paziente affetto da una patologia progressiva, con esigenze che cambiano nel corso della vita. Presente in diverse regioni, il CAD risponde al **numero verde 800 943 333**.

## Il Registro Pazienti DMD/BMD Italia

Nel 2008 abbiamo creato il Registro Pazienti DMD/BMD Italia, perché era necessario colmare la mancanza di informazioni sui pazienti e sull'incidenza della patologia in Italia. Si tratta di una banca dati on-line per pazienti, basata su dati genetici e clinici. Questi dati costituiscono un'informazione fondamentale per la comunità scientifica che deve progettare sperimentazioni cliniche per eventuali terapie.

Il Registro Italiano fa parte del Registro Globale Pazienti DMD/BMD, promosso dal network europeo Treat NMD Alliance, che raccoglie dati e riunisce specialisti e istituti di ricerca su scala mondiale.

Per avere maggiori informazioni su come iscriversi, sul funzionamento e la gestione del Registro Italiano: **[www.registrodmd.it](http://www.registrodmd.it)**