

## La ricerca di una cura

Dal 1996 finanziamo progetti di ricerca specifici, perché questo significa investire sul futuro dei nostri figli. Per fermare la distrofia di Duchenne e Becker è necessario riuscire a bloccare la degenerazione muscolare. Quando abbiamo iniziato, la ricerca in questo campo era quasi inesistente. Oggi, sono in fase di studio diversi approcci terapeutici: farmacologici, cellulari e di correzione genetica con le più moderne tecniche di biologia molecolare. Alcuni di questi studi sono giunti alla sperimentazione sull'uomo. Oltre alla ricerca scientifica sosteniamo progetti clinici, riguardanti per esempio la gestione delle emergenze respiratorie, la diagnosi genetica per tutti i pazienti e lo sviluppo di ausili, per garantire ai ragazzi il massimo dell'indipendenza e della qualità della vita possibile.

## LA MISSION DI PARENT PROJECT ONLUS

«Parent Project onlus è la più grande associazione di genitori che in Italia interviene sulla distrofia muscolare di Duchenne e Becker per garantire a tutti i pazienti e alle loro famiglie, un futuro di qualità. Interviene attraverso la promozione, l'indirizzo e il finanziamento alla ricerca scientifica; la promozione e l'erogazione di servizi dedicati ai pazienti e alle loro famiglie; l'affermazione e la tutela dei diritti delle persone con DMD/BMD affinché siano pienamente partecipi e autonome »



PARENT PROJECT ONLUS  
Via N.Coviello, 12/14 - 00165 Roma  
Tel. 0666182811 - Fax 0666188428  
associazione@parentproject.it



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



MINISTERO DEL LAVORO  
E DELLE POLITICHE SOCIALI

Iniziativa Mission is possible: iniziativa formativa di apprendimento e diffusione delle principali tematiche legate alla mission associativa volte a sostenere i progetti di vita autonoma per i ragazzi affetti da DMD/BMD finanziata dal Ministero del Lavoro e delle Politiche Sociali ai sensi della Lettera D della L.383/2000-Direttiva Annualità 2011

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

Parent Project Onlus

INSIEME X FERMARE LA DUCHENNE



INSIEME X FERMARE

## Parent Project Onlus

Siamo 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 ragazzi attraverso la ricerca, l'educazione, la formazione e la sensibilizzazione. Condividiamo la nostra battaglia con famiglie provenienti da tutto il mondo, riunite nella federazione United Parent Projects Muscular Dystrophy.

## La distrofia muscolare di Duchenne e Becker

Sono 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 3.500 neonati maschi. E' 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, nutrirsi 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 però da paziente a paziente.

## Il Centro Ascolto Duchenne

Dal momento in cui al proprio figlio viene diagnosticata la distrofia muscolare di Duchenne, un genitore deve imparare a confrontarsi con una patologia che investe ogni aspetto della quotidianità. Abbiamo imparato che l'informazione fa la differenza tra la vita e la morte. 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. 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 Italiano Pazienti DMD/BMD

Nel 2008 abbiamo elaborato il primo Registro Italiano Pazienti DMD/BMD, 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. Questi dati costituiscono un'informazione fondamentale per i ricercatori che devono progettare sperimentazioni cliniche per eventuali terapie. Il Registro Italiano fa parte del Registro Globale Pazienti DMD/DMB, promosso dal network europeo Treat NMD, 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)**