

COMUNICATO STAMPA

Al via la XVII Conferenza Internazionale sulla distrofia muscolare di Duchenne e Becker *Tre intensi giorni di approfondimento a 360 gradi su ricerca, trattamenti ed esperienze di chi convive con questa grave malattia rara*

Da venerdì 15 a domenica 17 febbraio 2019
Ergife Palace Hotel
Via Aurelia, 619 - Roma

Si svolgerà **dal 15 al 17 febbraio 2019**, presso l'Ergife Palace Hotel di Roma, la **XVII Conferenza Internazionale sulla distrofia muscolare di Duchenne e Becker** (DMD/BMD), organizzata da **Parent Project onlus**, l'associazione di pazienti e genitori di bambini e ragazzi che convivono con questa patologia genetica rara.

Centinaia di partecipanti dall'Italia e da varie nazioni saranno presenti a questo significativo appuntamento, che annualmente raduna pazienti, familiari, volontari, medici e ricercatori, aziende del settore farmaceutico, una varietà di attori coinvolti, a vario titolo, dalla tematica della DMD e BMD.

Il programma della Conferenza si fa ogni anno più ricco e variegato, per includere, oltre agli approfondimenti scientifici che ne costituiscono il cuore, numerosi momenti di approfondimento su tematiche ed esperienze legate all'ambito sociale e della vita quotidiana, per venire sempre più incontro a bisogni ed interessi dei giovani e giovanissimi pazienti e delle famiglie, riflettendo la complessità del loro vissuto.

"Cambiare il mondo è un gioco di squadra: quando partecipare fa la differenza" è il claim che accompagnerà la Conferenza. «*Ogni anno, ad ogni nuova Conferenza, ascoltiamo sempre piccole, grandi novità per i nostri figli*» spiega **Luca Genovese**, presidente di Parent Project onlus. «*È davvero un mondo in continua evoluzione. La Conferenza è un momento nel quale tutta la comunità Duchenne e Becker, riunita ed unita, riesce davvero a cambiare il corso delle cose per i nostri ragazzi.*»

Nelle giornate di sabato e domenica l'attenzione verrà focalizzata sugli sviluppi nella ricerca scientifica, in particolar modo **sugli studi clinici in corso e in avvio a livello internazionale finalizzati a validare quanto prima possibile quella o quelle terapie che purtroppo ad oggi ancora non sono disponibili per i pazienti Duchenne e Becker**. Si tratteranno vari filoni tematici in questo ambito: dagli ultimissimi aggiornamenti sulle terapie sperimentali più innovative quali la terapia genica, la terapia cellulare e l'editing genomico, sulle quali la comunità Duchenne nutre molte aspettative, alle terapie avanzate che mirano all'RNA **per il ripristino della distrofina, fino alle terapie farmacologiche più "classiche" che mirano a rinforzare i muscoli e a contrastare l'infiammazione caratteristica della patologia**.

Quest'anno **uno spazio verrà dedicato al finanziamento della ricerca di base**, da sempre un pilastro della missione di Parent Project, e verranno presentati dei video per illustrare brevemente i circa 15 progetti di ricerca attualmente finanziati dall'associazione. Inoltre, come nella scorsa edizione, la conferenza rappresenterà un'opportunità di visibilità e riconoscimento per i giovani ricercatori e giovani clinici che muovono i primi passi nel campo della DMD e BMD. A loro sarà dedicata una **Sessione Poster**, abbinata ad un concorso con una giuria di esperti che **premierà i**

migliori poster scientifici e la migliore divulgazione scientifica. I vincitori saranno annunciati e premiati sabato sera.

Domenica 17 febbraio, dalle 15, dopo la chiusura dei lavori della Conferenza Internazionale si svolgerà, presso la stessa sede, un **meeting** dedicato alla **distrofia muscolare di Becker (BMD)**. È il secondo anno che Parent Project organizza in Conferenza questo importante appuntamento per le famiglie e i pazienti Becker, durante il quale verranno illustrati i diversi aspetti della gestione clinica della patologia e le sperimentazioni in corso.

La **vita quotidiana**, nelle sue tante sfaccettature, e l'esperienza di pazienti e famiglie che convivono con la patologia saranno al centro in diversi momenti dell'evento.

Venerdì 15 febbraio dalle 15.00 si svolgeranno le **sessioni parallele** in lingua italiana: una serie di gruppi di discussione dedicati a diverse tematiche strettamente legate alla **vita quotidiana** – fisioterapia motoria e respiratoria, aspetti nutrizionali, integrazione scolastica, ruolo dei fratelli di bambini o ragazzi affetti dalla patologia, pianificazione delle gravidanze per le donne portatrici, affettività e sessualità, barriere architettoniche, leggi e diritti.

Sabato e domenica, in plenaria, diverse **tavole rotonde** andranno a sviluppare tematiche di interesse generale che riguardano la patologia. Si inizierà sabato mattina con uno spazio dedicato alle problematiche che talvolta sono correlate con la DMD/BMD, come difficoltà nelle funzioni neuropsicologiche, disturbi dell'apprendimento, del comportamento e dell'umore. Si proseguirà nel pomeriggio con una tavola rotonda dedicata alle donne che si confrontano con la patologia, sia esaminando il loro ruolo centrale nel lavoro di cura, sia le difficoltà connesse alla situazione di portatrice. Domenica mattina si parlerà di accessibilità e progettazione consapevole degli spazi di vita e, successivamente, di accesso precoce ai farmaci sperimentali.

Nell'ambito della Conferenza verranno presentati i nuovi materiali divulgativi elaborati da Parent Project, alcuni disponibili anche in lingua inglese, che saranno disponibili per pazienti, famiglie e tutti i partecipanti che desiderino approfondire tematiche legate alla DMD/BMD.

Troverà spazio all'interno della programmazione anche un momento speciale dedicato alle esperienze di bambini, ragazzi e genitori: sabato pomeriggio, infatti, verrà presentato in anteprima il **film documentario New lives: stories linked by Duchenne and Becker muscular dystrophy**, realizzato da Parent Project onlus con il supporto dell'agenzia Arimvideo. Attraverso le storie di vita di persone che vivono in 7 diversi paesi, il film vuole raccontare sia come la vita cambia dopo una diagnosi come quella di DMD/BMD, sia come alcune persone sono state e sono in grado di generare un impatto positivo nelle esistenze di altre persone, attraverso il loro impegno nelle associazioni e nella comunità di pazienti.

La **distrofia muscolare di 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. La distrofia muscolare di Becker (BMD) è una variante più lieve, il cui decorso varia però da paziente a paziente. Al momento, non esiste una cura.

Parent Project onlus è un'associazione di pazienti e genitori con figli affetti da distrofia muscolare di Duchenne e Becker. Dal 1996 lavora per migliorare il trattamento, la qualità della vita e le prospettive a lungo termine dei bambini e ragazzi affetti dalla patologia attraverso la ricerca, l'educazione, la formazione e la sensibilizzazione. Gli obiettivi di fondo che hanno fatto



crescere l'associazione fino ad oggi sono quelli di affiancare e sostenere le famiglie attraverso una rete di Centri Ascolto, promuovere e finanziare la ricerca scientifica e sviluppare un network collaborativo in grado di condividere e diffondere informazioni chiave.

Per informazioni

Parent Project onlus

Tel. 06/66182811

Elena Poletti (ufficio stampa) – tel. 331/6173371 – e.poletti@parentproject.it

associazione@parentproject.it

www.parentproject.it