
Distrofia di Duchenne: esperti da tutto il mondo riuniti a Roma da Parent Project Onlus

Alla Conferenza Internazionale “Distrofia muscolare di Duchenne e Becker - Dal gene ai farmaci”, che si svolgerà il 13 e 14 febbraio, saranno presentati i risultati delle sperimentazioni sull’uomo e le nuove attività dedicate alla Comunità Duchenne. Sul sito www.parentproject.it è possibile seguire la diretta via web.

12/02/10 - Nel mondo oltre 300.000 malati - una popolazione che corrisponde agli abitanti di città come Firenze, Bologna, Venezia, Bari o Catania - lottano per sopravvivere alla grave degenerazione muscolare provocata dalla Distrofia di Duchenne e Becker. Quotidianamente, più di un milione di persone - familiari, ricercatori, specialisti, operatori sociali, volontari e sostenitori - combattono per garantire ai pazienti la stessa sopravvivenza.

Una Comunità, quella Duchenne, che in Italia è formata da almeno 20.000 persone impegnate quotidianamente, nella tutela del diritto alla vita di oltre 5.000 pazienti. Un lavoro che in questi anni, ha consentito di raddoppiare le aspettative di vita e migliorare notevolmente anche la qualità dell’esistenza di migliaia di genitori. Grazie al lavoro di rete realizzato in questi anni da Parent Project Onlus, la Comunità è oggi protagonista di importanti programmi d’intervento socio-sanitario che favoriscono la presa in carico dei pazienti Duchenne/Becker.

Per sensibilizzare l’opinione pubblica sull’importante ruolo sociale svolto dalla Comunità Duchenne, Parent Project Onlus ha promosso dal 13 febbraio al 13 marzo la Campagna “Insieme X fermare la Duchenne”.

Ad aprire la Campagna informativa sarà la Conferenza Internazionale che vede tra gli interventi più attesi quello di Giulio Cossu dell’Istituto Scientifico Universitario San Raffaele di Milano, che parlerà del trial sull’uomo mediante l’uso di particolari cellule staminali adulte, chiamate mesoangioblasti. Di grande interesse anche la presentazione dei trial che saranno estesi ai pazienti DMD e DMB non deambulanti e dei quali parleranno Giles Campion di Prosensa Olanda, che presenta lo studio di Fase III con il PRO051 e Langdon L. Miller di PTC Therapeutics Inc, che presenta il trial condotto con il farmaco Ataluren (PTC124).

All’eccezionale evento scientifico parteciperà Irene Bozzoni dell’Università Sapienza di Roma che insieme a Tita Ritsema di AMT (Amsterdam Molecular Therapeutics) illustrerà un approccio basato sull’exon skipping mediante vettori virali; Lee Sweeney dell’University of Pennsylvania Medical Centre (USA) offrirà una panoramica sui diversi approcci farmacologici; Fabrizio Racca del Reparto di Anestesia e Rianimazione dell’Azienda Ospedaliera di Alessandria, che presenterà ufficialmente le Raccomandazioni basate su una revisione per la

gestione dell'insufficienza respiratoria acuta nei pazienti affetti da patologia neuromuscolare”.

Tutte le informazioni della Conferenza Internazionale, che si terrà presso l'Hotel Holiday Inn – Parco dei Medici di Roma, sono pubblicate sul sito www.parentproject.it dove è possibile seguire la diretta via web.

Le informazioni sulla Campagna “Insieme X fermare la Duchenne” si possono trovare sul sito www.fermareladuchenne.org o www.parentproject.it

La distrofia Muscolare di Duchenne e Becker è malattia genetica degenerativa, la forma più grave tra le distrofie muscolari diffusa nei bambini perché si manifesta già intorno ai 2 - 3 anni di vita ed è dovuta all'assenza di una proteina detta Distrofina. La conseguenza clinica è una progressiva diminuzione della forza muscolare con conseguente perdita delle abilità motorie. Questa patologia rara colpisce con un rischio statistico del 50% e viene trasmessa da donne sane portatrici del gene affetto. Di tutti i casi il 30% non è ereditario ma dovuto ad una nuova mutazione. Attualmente, per questa patologia, non esiste una cura ma un trattamento da parte di una equipe multidisciplinare che permette di migliorare le condizioni generali e raddoppiare le aspettative di vita.

Parent Project Onlus, l'associazione di genitori attiva in Italia dal 1996, lavora per accelerare il raggiungimento di una terapia e insieme garantire e diffondere le migliori opportunità di trattamento necessarie a far crescere la qualità della vita a tutti coloro che sono interessati dalla grave malattia rara. Per sostenere le famiglie ha organizzato il Centro Ascolto Duchenne una rete di professionisti che dal 2002 seguono le oltre cinquecento famiglie iscritte all'associazione; il progetto diagnostico “Una diagnosi per tutti” che dal 2005 ha consentito a circa il 95% dei ragazzi dell'associazione di ricevere la diagnosi genetica; il Registro Pazienti DMD/DMB, il primo registro genetico italiano che dal 2009 consente agli esperti di studiare lo sviluppo epidemiologico della patologia e ai pazienti di accedere ai trial di sperimentazione. L'associazione è fondatrice della federazione internazionale UPPMD (United Parent Projects for Muscular Dystrophies), un'Organizzazione diffusa in tutto il mondo.

Per sostenere le attività di Parent Project Onlus con una donazione:

C/C postale 94255007 – Causale: Campagna Insieme X fermare la Duchenne – febbraio 2010

C/C Banca Credito Cooperativo Ag.19 di Roma IBAN IT 38 V 08327 03219 000000005775 -

Causale: Campagna Insieme X fermare la Duchenne – febbraio 2010

Ufficio stampa Parent Project Onlus

Stefania Collet – 349 5737747 - ufficiostampa@parentproject.org

Francesca Bottello - 06 66182811 - press@parentproject.org

TESTO PUBBLICATO DA
Stefania Collet
di Parent Project Onlus

(Fonte notizia: Parent Project Onlus)