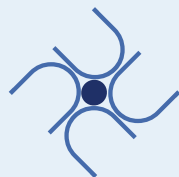


Dal 2008 al 2019 il Registro Pazienti DMD/BMD ha risposto a:

- 19 richieste mirate alla progettazione di studi clinici;
- 25 richieste di reclutamento di trial;
- 15 studi osservazionali.

Alcuni di questi studi sono stati anche oggetto di importanti pubblicazioni a livello internazionale.

Centinaia sono i pazienti che nel corso di questi anni hanno avuto la possibilità sia di essere informati per poter eventualmente partecipare a sperimentazioni cliniche, indipendentemente dal fatto che il proprio centro clinico di riferimento fosse coinvolto o meno nello studio, che di contribuire indirettamente al Registro, fornendo maggiori dati sulla DMD/BMD e quindi migliorando la ricerca e l'avanzamento degli studi.



Registro Pazienti  
DMD / BMD Italia

Responsabile Registro  
Dott.ssa Ilaria Zito  
[informa@registrodmd.it](mailto:informa@registrodmd.it)

numero verde 800 943 333  
Fax: 06 60513295

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

in collaborazione con:



Duchenne  
Parent  
Project



TREAT-NMD  
Neuromuscular Network

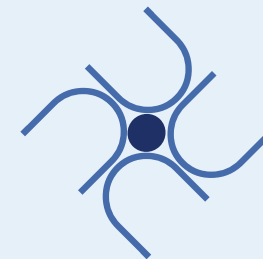
con il patrocinio di:



EURORDIS  
RARE DISEASES EUROPE



si ringrazia:



Registro Pazienti  
DMD / BMD Italia



Duchenne  
Parent  
Project  
o n l u s

## PERCHÉ NASCE IL REGISTRO PAZIENTI

Nel 2008 Parent Project onlus ha realizzato il Registro Pazienti DMD/BMD Italia, il primo registro nazionale gestito da pazienti, nato con lo scopo di raccogliere dati e disseminare informazioni necessarie ad accelerare la definizione di nuovi approcci clinici e terapeutici per la distrofia muscolare di Duchenne/Becker.

Si tratta di un registro a carattere nazionale, in grado di comparare e armonizzare a livello internazionale le informazioni raccolte.

Il Registro Pazienti DMD/BMD Italia è unico nel suo genere e rappresenta un importante strumento per la progettazione e la realizzazione di sperimentazioni cliniche a livello internazionale. È estremamente apprezzato come fonte preziosa di informazioni affidabili e aggiornate per tutta la comunità Duchenne e Becker.

## UN PROGETTO MONDIALE

Il Registro Pazienti DMD/BMD Italia è parte del Registro Globale DMD di TREAT-NMD Alliance (Translational Research in Europe for the Assessment and Treatment of Neuromuscular Diseases Alliance), un network di eccellenza che ha come obiettivo il coordinamento e l'armonizzazione della ricerca nel campo delle malattie neuromuscolari. Il Registro Globale DMD raccoglie i Registri Nazionali di oltre 30 Paesi che custodiscono le informazioni di più di 13.000 pazienti nel mondo con diagnosi DMD o BMD confermata.

## PERCHÉ È UTILE

Il Registro è un ottimo strumento per poter in futuro stimare il numero delle persone affette da DMD/BMD, dato al momento ignoto in Italia, e permette anche di conoscere meglio le condizioni generali di queste persone. Grazie alla raccolta dei dati genetici e clinici è uno strumento fondamentale per la progettazione e la realizzazione di sperimentazioni cliniche.

La condivisione di informazioni tra tutti gli utenti (pazienti, medici e ricercatori) consentirà di accelerare la definizione di nuovi approcci terapeutici. Il paziente, inoltre, attraverso l'inserimento dei propri dati nel Registro, potrà essere facilmente informato dell'opportunità di partecipare ad uno specifico studio clinico, o potrà ricevere informazioni importanti per la sua specifica condizione.

I ricercatori, i medici, le istituzioni e le aziende farmaceutiche possono far richiesta di accesso ai dati accorpate in forma anonima e possono quindi beneficiare di una visione d'insieme per orientare al meglio le priorità della ricerca.

## COME REGISTRARSI

La registrazione dei pazienti è molto semplice e può essere fatta dal paziente stesso. I dati necessari, suddivisi in anagrafici, genetici e clinici, vengono inseriti attraverso il sito [www.registrodmd.it](http://www.registrodmd.it).

In caso di difficoltà nell'inserimento dei dati, il paziente può chiedere aiuto al proprio medico curante o al Responsabile del Registro. Perché un registro di questo tipo sia utile, è

fondamentale che i dati siano sempre esatti e aggiornati. È indispensabile controllare i dati periodicamente e comunicare, o registrare direttamente sul sito internet, qualsiasi cambiamento nei dati anagrafici o nelle condizioni mediche.

La sicurezza dei dati e la protezione delle corrette procedure di registrazione e di accesso al registro vengono tutelate su più livelli e garantite dal Regolamento Generale sulla Protezione dei Dati Personali (GDPR). Tutti i dati immessi dagli utenti vengono immagazzinati in un database Oracle. L'accesso ai dati è sottoposto ad autenticazione, tramite username e password esclusive per ogni utente registrato, così da assicurare la riservatezza delle informazioni.

## I DIECI ANNI DEL REGISTRO

Nel 2008 il numero iniziale di iscritti raccolti era di 337 mentre oggi, nel 2019, il Registro Pazienti DMD/BMD Italia contiene i dati di quasi 900 pazienti di cui il 72% con diagnosi di Duchenne; 17% Becker; 2% Intermedia; 2% di pazienti con una diagnosi ancora non nota e 7% donne portatrici.

Nel corso di questo decennio, molteplici sono stati i contributi forniti da questo importante strumento, primo tra tutti la progettazione di studi clinici passati poi alla fase di reclutamento, ma anche la raccolta di preziose informazioni volte ad approfondire la conoscenza della patologia attraverso studi osservazionali.