

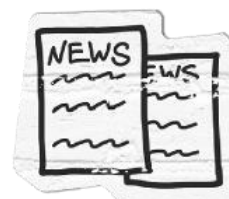


## Rassegna stampa

*Dal 3 al 16 novembre 2018*

## Indice

STAMPA CARTACEA...pag. 3



TESTATE WEB ...pag. 7



## Stampa cartacea

3 novembre 2018 - La voce di Rovigo

### **PETTORAZZA** L'evento di beneficenza

## Tutti di corsa per Jacopo e Davide un successo per la gara fino a Lendinara

PETTORAZZA GRIMANI - Domenica scorsa da Pettorazza Grimani è partita una corsa di beneficenza non competitiva di ben 50 chilometri verso Lendinara per sostenere l'associazione Parent Project Onlus, che combatte la distrofia muscolare di Duchenne. Tale manifestazione è stata organizzata per sensibilizzare gli atleti e gli sportivi più attenti del Polesine, per essere vicini a Jacopo e Davide, due bambini affetti da tale malattia, uno di Pettorazza Grimani e l'altro di Lendinara. La distrofia muscolare di Duchenne colpisce solo i maschi e nei primi anni di vita, infatti viene localizzata soprattutto nel terzo anno, dove i segni che attirano l'attenzione sono l'incapacità di camminare o correre quando queste funzioni dovrebbero già essere acquisite.

Presenti all'evento erano il sindaco di Pettorazza Gri-

mani, quello di Barbona, di San Bellino e il vicesindaco di Villadose. Per essere stata la prima edizione, la partecipazione è stata importante ed in tanti si sono divertiti a trascorrere questa giornata in allegria e compagnia di tante per-

sone che stavano correndo per il medesimo scopo. "Credo sia stata una bellissima esperienza - spiega il primo cittadino pettorazza-

no Gianluca Bernardinello - in quanto eravamo in tanti per dare una mano a questi bambini e le loro famiglie; sicuramente sarà una manifestazione da ripetere per non dimenticare e continuare ad aiutare chi ne ha di bisogno". In seguito è Romina Vetterello, la mamma di Jacopo, che racconta: "E' stata una vera e propria emozione, in quanto vedere tutte queste persone correre per fare del bene è stato sicuramente fantastico, soprattutto all'arrivo, quando tutti sono giunti con i

■ Fondi  
per Parent  
project  
onlus  
contro  
la distrofia

bambini primi di questo grande corteo".

"E' stato tutto perfetto, perché avevano chiamato pioggia e invece il tempo è stato abbastanza clemente proprio fino ad un attimo dopo che hanno tagliato il traguardo - concludendo - siamo certi che il prossimo anno ci saranno ancora maggiori presenze per questa bella iniziativa".



16 novembre 2018 - L'Unione Sarda

# Distrofie muscolari Duchenne-Becker: famiglie informate

**Parent Project** ha organizzato un convegno per domani a Cagliari all'hotel Holiday Inn

«Diventare genitori è un viaggio verso un mondo di emozioni forti e nuove. Quando lungo strada si incrocia un compagno di viaggio inatteso come una patologia genetica, ci si sente sommersi da paura e dolore, da elaborare per poter vivere il quotidiano e la crescita del proprio figlio». Questo si legge nelle linee guida di **Parent Project Onlus**, associazione nata negli Usa nel 1994 (in Italia è attiva dal 1996) su iniziativa di un gruppo di genitori di bambini colpiti dalla malattia di Duchenne e Becker, la più grave tra le distrofie muscolari, della quale nel nostro Paese si registrano circa 2000 casi, con (purtroppo) 50 nuove diagnosi ogni anno.

## La malattia

Patologia neuromuscolare a trasmissione recessiva legata al cromosoma X - tecnicamente, le distrofie muscolari di Duchenne (Dmd) e di Becker (Bmd) sono due varianti, rispettivamente più e meno grave, della stessa malattia caratterizzata dall'assenza, carenza o alterazione di una proteina chiamata distrofina - colpisce in media 1 su 5000 soggetti maschi, coi primi sintomi che si manifestano tra i 2 e i 6 anni. Coinvolge tutti i muscoli del corpo, inclusi il cuore e il diaframma, e conduce progressiva-

mente alla completa immobilità. L'aspettativa di vita, pur raddoppiata grazie alle innovazioni in campo terapeutico, non supera il terzo decennio.

## Il meeting

Per informare e sensibilizzare le famiglie, i medici e gli operatori territoriali sugli aspetti legati alla gestione clinica dei pazienti Duchenne e Becker, **Parent Project** ha organizzato per domani a Cagliari, dalle 10 alle 17 all'hotel Holiday Inn, un incontro pubblico che vedrà l'intervento di specialisti ed esperti, cui i presenti potranno chiedere lumi e porre quesiti. Spiega Francesca Ceradini, biologa molecolare, responsabile scientifico di **Parent Project Onlus**: «L'obiettivo del meeting è aggiornare su tutto ciò che contribuisce a migliorare la qualità della vita dei bambini e dei ragazzi colpiti dalla distrofia muscolare di Duchenne e Becker. Saranno affrontati i temi della diagnosi, delle corrette procedure fisioterapiche, della riabilitazione respiratoria. Si parlerà anche delle implicazioni psicologiche correlate alla patologia e si farà il punto sui filoni in trappesi dalla ricerca in ordine alle opzioni terapeutiche e farmacologiche praticabili».

## Gli interventi

Il programma della sessione mattutina prevede, tra gli altri, gli interventi della biologa Milena Cau dell'ospedale Microcitemico di Cagliari, della pediatra Anna Lia Frongia del Policlinico Gemelli di Roma e della psicoterapeuta Emanuela Giulitti. Dopo la pausa, dalle 14.45, la cardiologa dell'ospedale pediatrico Bambino Gesù di Roma illustrerà gli aspetti legati alla gestione cardiaca dei pazienti Duchenne e Becker. A seguire, Fernanda De Angelis, responsabile della ricerca di **Parent Project**, relazionerà sui nuovi orizzonti della sperimentazione clinica. Sottolinea Francesca Ceradini: «I recenti progressi, frutto del lavoro dei gruppi di ricerca scientifica attivi in Italia e in tutto il mondo, hanno contribuito a offrire ai pazienti Duchenne e Becker e alle loro famiglie una ragione in più per vivere serenamente la propria vita, guardando con fiducia al futuro. Da qui - prosegue la biologa molecolare - l'impegno della nostra associazione, da un lato, nel facilitare il flusso di informazioni che riguardano la malattia, promuovendo anche network e incontri tra professionisti e, dall'altro, di farsi garante della loro correttezza e fondatezza».

**Fabio Marcello**

RIPRODUZIONE RISERVATA





## Testate web

9 novembre 2018 - Ilfont.it

<https://www.ilfont.it/salute/distrofia-di-duchenne-diagnosi-arrivano-in-ritardo-che-fare-85367/>

### **Distrofia di Duchenne, le diagnosi arrivano in ritardo: che fare?**

Distrofia di Duchenne, le diagnosi arrivano in ritardo: che fare? Isabella Lopardi 27 minuti ago Salute Leave a comment 3 Views Share Distrofia di Duchenne: colpisce più di duemila giovanissimi italiani, con un ritmo di circa 50 ogni anno. Una macchina da guerra che nuoce ai più piccoli. Che fare, al fine di contenere la malattia? E' necessaria una diagnosi precoce, che nella pratica non si raggiunge spesso. Sovente, la patologia si individua troppo tardi, anche dopo 6 anni dalla comparsa dei primi sintomi. Distrofia di Duchenne: che cos'è? Si tratta della più frequente e della meglio conosciuta tra le distrofie muscolari dell'infanzia. Si riconosce, solitamente, al terzo anno di vita, ma almeno la metà dei pazienti presenta i segni della malattia prima che inizi la deambulazione. Colpisce quasi esclusivamente gli individui di genere maschile. L'incidenza stimata è 1 su 3500 maschi. Le femmine sono soltanto portatrici della patologia, che si eredita come carattere recessivo legato al cromosoma X. Avviene, tuttavia, che le madri di una quota di pazienti affetti da distrofia di Duchenne siano non portatrici: è dunque possibile che nel paziente si sviluppi una mutazione ex novo. La distrofia di Duchenne costituisce il 50% di tutte le forme distrofiche. Il decorso è relativamente rapido e attivo. Essa determina la progressiva perdita delle capacità di muoversi autonomamente di un bambino e riduce drammaticamente l'aspettativa di vita (attualmente è pari a circa 30 anni). Con il progredire della malattia, è possibile osservare modificazioni comuni a tutti i tipi di distrofia muscolare: perdita di fibre muscolari, fibre residue di maggiore o minore diametro rispetto al normale e disposte casualmente, aumento degli adipociti (cellule del tessuto connettivo che sintetizzano, accumulano e cedono lipidi, ndr) e fibrosi (aumento della quantità del tessuto connettivo fibroso, ricco di fibre collagene e povero di cellule e vasi, ndr) Distrofia di Duchenne: aumentare le conoscenze del pediatra E' fondamentale, per diagnosticare prima la patologia, aumentare il livello di conoscenze del pediatra di famiglia: parliamo, infatti, del primo specialista che si occupa di assistere i pazienti. Come ha agito, in quest'ambito, la Federazione italiana medici pediatri (Fimp)? E' stato lanciato il primo progetto nazionale per la medicina del territorio dedicato a una patologia rara. Distrofia di Duchenne: Il progetto Peter Pan Il progetto PETER PaN (PEdiatria TErritoriale e Riconoscimento Precoce Malattie Neuromuscolari) è stato posto in essere con il supporto non condizionante di Ptc therapeutics. Riguarda la realizzazione di attività formative specifiche, come corsi e seminari, per i pediatri. Peter Pan: l'obiettivo Peter Pan, il bambino che vola, non poteva essere più appropriato come personaggio simbolo dell'iniziativa. Ci si propone di coinvolgere più di 5.000 pediatri di famiglia, il cui lavoro si svolge nell'intero territorio del Bel Paese. Un Position paper ufficiale della Fimp, inoltre, riguarderà le malattie neuro-muscolari. Saranno in esso contenute raccomandazioni utili, al fine della pratica clinica. Si aggiungerà materiale informativo di supporto, utile al medico per interfacciarsi con i genitori o gli altri caregiver. Distrofia di Duchenne: la parola agli esperti Il dottor Paolo Biasci, presidente nazionale Fimp, si è



espresso in questo modo: 'Il pediatra di famiglia deve ricominciare a prestare la giusta attenzione al problema delle malattie neuromuscolari. Esse, del resto, rientrano in quel processo di osservazione e monitoraggio del neurosviluppo che sta diventando una parte sempre più importante della nostra professione. La malattia di Duchenne è abbastanza rara (3-4 casi ogni 100.000 abitanti) ma nel loro complesso i problemi neuromuscolari interessano oltre 20.000 bambini residenti nel nostro Paese. E il loro numero risulta in crescita. E' dunque arrivato il momento di recuperare una cultura più accurata verso patologie forse troppo sottovalutate'. Queste le parole di Mattia Doria, segretario nazionale alle attività scientifiche ed etiche della Fimp: 'Oggi, nuove terapie specifiche iniziano a essere disponibili, grazie alla ricerca medico-scientifica. I dati a disposizione dimostrano che esse possono migliorare la traiettoria evolutiva della malattia. Esse riducono infatti l'impatto sulla qualità della vita dei giovani pazienti e ritardano l'esito fatale. Tutto ciò, a un patto: che tali terapie abbiano inizio quanto prima possibile, ovvero prima che il danno muscolare sia troppo avanzato. Noi pediatri di famiglia, quindi, ci sentiamo chiamati a migliorare ancora le nostre competenze nel riconoscimento precoce delle malattie neuromuscolari. A differenza di altre patologie rare il riconoscimento non è troppo difficile. Con il progetto Peter Pan, il nostro intento è sensibilizzare i pediatri di famiglia a prestare la giusta attenzione ad alcune condizioni e caratteristiche motorie, anche del bambino molto piccolo. Esse potrebbero rappresentare un segnale di allarme'. Distrofia di Duchenne: un caso Ecco quanto afferma Filippo Buccella, fondatore dell'associazione di pazienti Parent project onlus: 'Mio figlio da 28 anni è affetto da distrofia di Duchenne. Come genitore conosco quindi molto bene le complessità e le difficoltà che determina nella vita di tutti i giorni questa patologia neuromuscolare. Bisogna agire'. Patologie rare: più numerose di quanto si pensi Le patologie rare, del resto, sono più numerose di quanto non si pensi. Si tratta di più di 7.000 diversi disturbi. Nella maggioranza dei casi, esse hanno un'origine genetica. Sono colpiti due milioni di italiani in totale. Il 70% dei pazienti sono bambini e adolescenti. Carlo Minetti, presidente nazionale dell'Associazione italiana di Miologia ed esperto di distrofie muscolari dell'Istituto G. Gaslini e dell'Università di Genova, ha dichiarato: 'Si tratta di malattie estremamente complesse e in Italia esistono centri di riferimento che sono all'avanguardia nel mondo. L'individuazione di queste patologie è soprattutto, da sempre, un compito del pediatra di famiglia. Nel caso specifico della distrofia di Duchenne, se riusciamo ad anticipare le diagnosi e quindi anche la presa in carico del paziente possiamo ottenere esiti positivi, rallentando l'evoluzione della malattia per dei bimbi che sono altrimenti destinati, prima o poi, a perdere gradualmente la forza dei muscoli'. Diagnosi sempre più certe delle malattie neurologiche E' possibile riscontrare malattie neurologiche compiendo analisi direttamente sull'organismo e non prelevando sangue. Parliamo di 'Biochimica clinica in vivo': essa permette di scoprire diversi tipi di malattie neurodegenerative difficili da diagnosticare. In tal modo terapie mirate possono essere impostate. Ma quando sono iniziati gli studi in argomento? Negli ormai lontani anni Settanta, quando l'imprenditore Enzo Ferrari portò nel nostro Paese una spettroscopia di risonanza magnetica acquistata negli Stati Uniti. L'intento era sostenere i medici dell'ospedale di Modena. Essi erano attivi nel seguire l'evoluzione della patologia del figlio dell'imprenditore, colpito dalla malattia di Duchenne, che come detto è una miopatia ereditaria. Il macchinario è ancora operativo all'ospedale di Bologna, cui era stato donato. Si è espresso in merito il professor Marcello Ciaccio, presidente della Società italiana di Biochimica clinica e Biologia molecolare clinica (Sibioc): 'All'epoca rappresentava il primo esempio, avveniristico, di studio 'in vivo'. Oggi continuiamo a seguire questa strada con risultati sempre estremamente





promettenti. Lo studio diretto condotto sull'organismo di un paziente nella sua interezza e non su matrici biologiche consente alla medicina di laboratorio diagnosi differenziali prima impossibili. Ad esempio, si possono distinguere la malattia di Parkinson da sindromi simili o altre malattie neurologiche anche rare, con importanti ricadute cliniche sul paziente, che può ottenere rapidamente la cura più corretta. Oggi le apparecchiature che consentono le diagnosi 'in vivo' restano poco diffuse e costose. Siamo solo all'inizio, ma è questo il futuro per una medicina di laboratorio sempre più utile al paziente'.

13 novembre 2018 - Castellinotizie.it

<http://www.castellinotizie.it/2018/11/13/velletri-un-successo-levento-di-beneficenza-leemozione-di-mai-di-mauro-ingafu/>

## Velletri - Un successo l'evento di beneficenza 'L'Emozione di Mai ...



tweet Grande successo per l'evento di beneficenza "L'Emozione di Mai", tenutosi lo scorso sabato 10 novembre al "Teatro Artemisio - Gian Maria Volontè" di Velletri. L'iniziativa é nata da un'idea del cantautore Mauro Ingafù ed ha permesso di raccogliere 5.500 euro di fondi a favore delle associazioni "Viva la Vita onlus" e "Parent Project onlus", che si occupa di migliorare le condizioni di vita dei malati e delle famiglie dei malati di Sla. Radio Studio 93 è stata media partner dell'evento. La serata, che ha registrato il "tutto esaurito" - condotta da Tiziana Mammucari e Giancarlo Aluigi - ha visto salire sul palco ospiti d'eccezione: Erminia Manfredi (moglie del compianto Nino), Mauro Ingafù. Francesca Alotta, Luca Guadagnini, Antonio Delle Donne, Carlo Macari, Fabrizio Gaetani, il Magico Alivernini, Oscar Biglia, Stefano Vigilante e Paolo Pesce Nanna. Appreziate le danze orientali di Suheila Patrizia, i Belley Valley dance e gli Hearth Gospel in Music di Johanna Pezone.



14 novembre 2018 - QuotidianodiRagusa.it

<https://www.quotidianodiragusa.it/2018/11/14/appuntamenti/sviluppo-farmaci-corso-comiso/40212>

## Lo sviluppo di nuovi farmaci. Corso a Comiso



Dalla molecola agli studi clinici Lo sviluppo di nuovi farmaci. Corso a Comiso Rivolto a pazienti e figure professionali Redazione 14/11/2018 - 08:00 Mini corso di formazione sabato 17 novembre a Villa Orchidea a Comiso su: "Lo sviluppo dei nuovi farmaci. Dalla scoperta della molecola agli studi clinici", organizzato da Accademia dei Pazienti - EUPATI Italia e da **Parent Project** onlus, l'associazione di pazienti e genitori di bambini e ragazzi con distrofia muscolare di Duchenne e Becker. L'incontro formativo sarà dedicato ad un approfondimento sul percorso attraverso il quale avviene lo sviluppo di un farmaco: dalla scoperta in laboratorio alla fase preclinica, fino agli studi clinici. Uno spazio specifico sarà dedicato al tema del coinvolgimento del paziente esperto. Il paziente esperto è una persona che convive con una patologia (propria o, ad esempio, di un familiare) e che ha deciso di affrontare un solido percorso di approfondimento su temi legati alla ricerca, allo sviluppo, al percorso regolatorio dei farmaci. Gli obiettivi di questa formazione sono, da una parte, quello di poter mettere le proprie conoscenze a disposizione della comunità di pazienti; dall'altra, quello di rappresentare la comunità di pazienti stessa, interagendo con gli stakeholder ed i tavoli decisionali coinvolti nel processo di sviluppo di nuove terapie. L'iniziativa rientra nel percorso formativo "Il paziente al centro. Gestione clinica del paziente Duchenne e Becker" previsto nell'ambito del progetto "InFormAzioni", finanziato dal Ministero del Lavoro e delle Politiche Sociali- avviso n.1 annualità 2017, che ha come obiettivo generale quello di rinnovare ed a potenziare l'intera struttura associativa. Per l'iscrizione è necessario compilare un modulo, contattando il Centro Ascolto Duchenne Sicilia. Il mini corso è aperto a pazienti, familiari, figure professionali dell'ambito medico-sanitario, operatori del sociale, cittadini interessati ad approfondire le tematiche in oggetto.



15 novembre 2018 - Ragusaoggi.it

<https://www.ragusaoggi.it/analisi-dello-sviluppo-dei-nuovi-farmaci-in-un-corso-di-formazione-sabato-presso-villa-orchidea/>

## **Analisi dello sviluppo dei nuovi farmaci in un corso di formazione, sabato presso Villa Orchidea**



Analisi dello sviluppo dei nuovi farmaci in un corso di formazione, sabato presso Villa Orchidea di Redazione Attualità 15 novembre 2018 13:38 Sabato 17 novembre si terrà, presso Villa Orchidea a Comiso, il mini corso di formazione "Lo sviluppo dei nuovi farmaci. Dalla scoperta della molecola agli studi clinici", organizzato da Accademia dei Pazienti - EUPATI Italia e da **Parent Project** onlus, l'associazione di pazienti e genitori di bambini e ragazzi con distrofia muscolare di Duchenne e Becker. L'incontro formativo sarà dedicato ad un approfondimento sul percorso attraverso il quale avviene lo sviluppo di un farmaco: dalla scoperta in laboratorio alla fase preclinica, fino agli studi clinici. Uno spazio specifico sarà dedicato al tema del coinvolgimento del paziente esperto. Il paziente esperto è una persona che convive con una patologia (propria o, ad esempio, di un familiare) e che ha deciso di affrontare un solido percorso di approfondimento su temi legati alla ricerca, allo sviluppo, al percorso regolatorio dei farmaci. Gli obiettivi di questa formazione sono, da una parte, quello di poter successivamente mettere le proprie conoscenze a disposizione della comunità di pazienti; dall'altra, quello di rappresentare la comunità di pazienti stessa, interagendo con gli stakeholder ed i tavoli decisionali coinvolti nel processo di sviluppo di nuove terapie. L'iniziativa rientra nel percorso formativo "Il paziente al centro. Gestione clinica del paziente Duchenne e Becker" previsto nell'ambito del progetto "InFormAzioni", finanziato dal Ministero del Lavoro e delle Politiche Sociali- avviso n.1 annualità 2017, che ha come obiettivo generale quello di rinnovare ed a potenziare l'intera struttura associativa. Per l'iscrizione è necessario compilare un modulo, contattando il Centro Ascolto Duchenne Sicilia. Il mini corso è aperto a pazienti, familiari, figure professionali dell'ambito medico-sanitario, operatori del sociale, cittadini interessati ad approfondire le tematiche in oggetto.