



DESAFIAMOS AL DESTINO



Asociación
Duchenne Parent Project
España

contra la distrofia muscular de Duchenne y Becker



**Lorién,
cuatro días**

Alonso,
un año



**Adrián,
cinco años**



**Éstos son algunos casos de niños
que en apariencia están sanos.**

Niños que les gusta reír, jugar, saltar.

**Que tienen la ilusión de ser policías,
deportistas, cantantes...**

Niños que quieren seguir creciendo

Pero en la lotería genética de la vida les ha tocado un grave impedimento que truncará sus sueños:

La distrofia muscular de Duchenne

- **Enfermedad degenerativa**
- **Por ahora no tiene cura**
- **4.000 afectados en España**

Síntomas de Duchenne

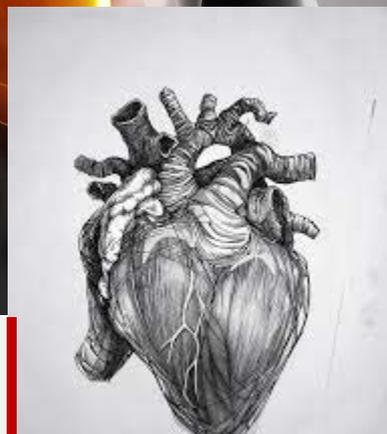
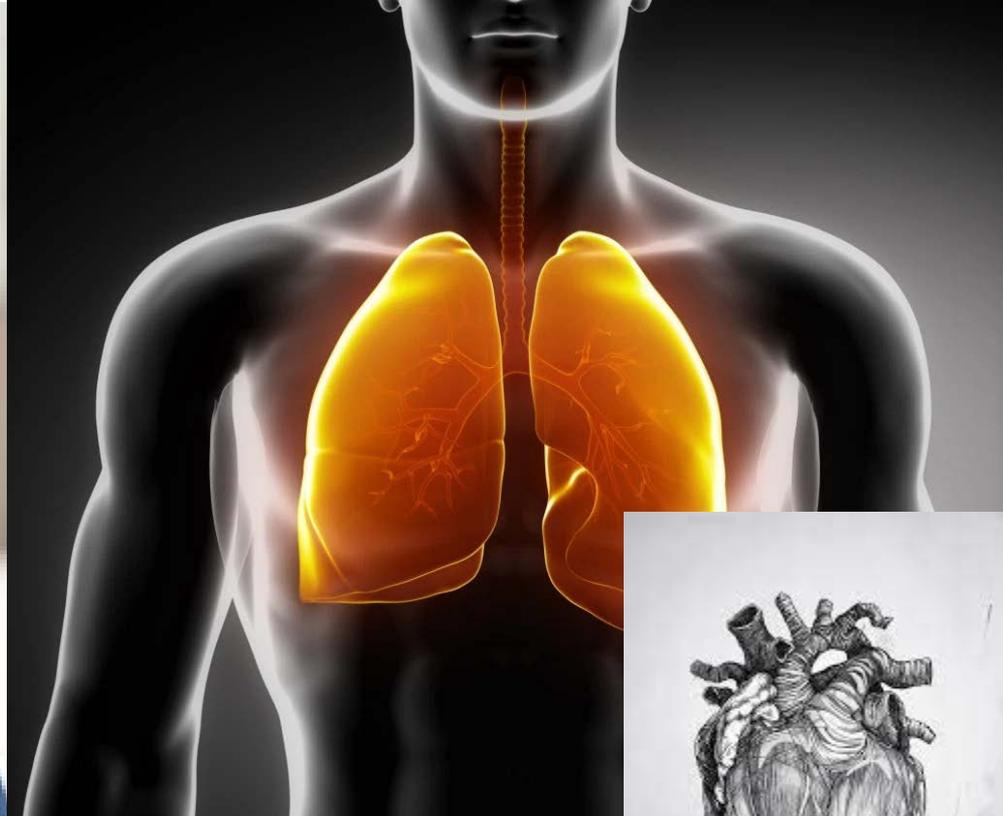


**Poco a poco,
pierden la movilidad
de las piernas**



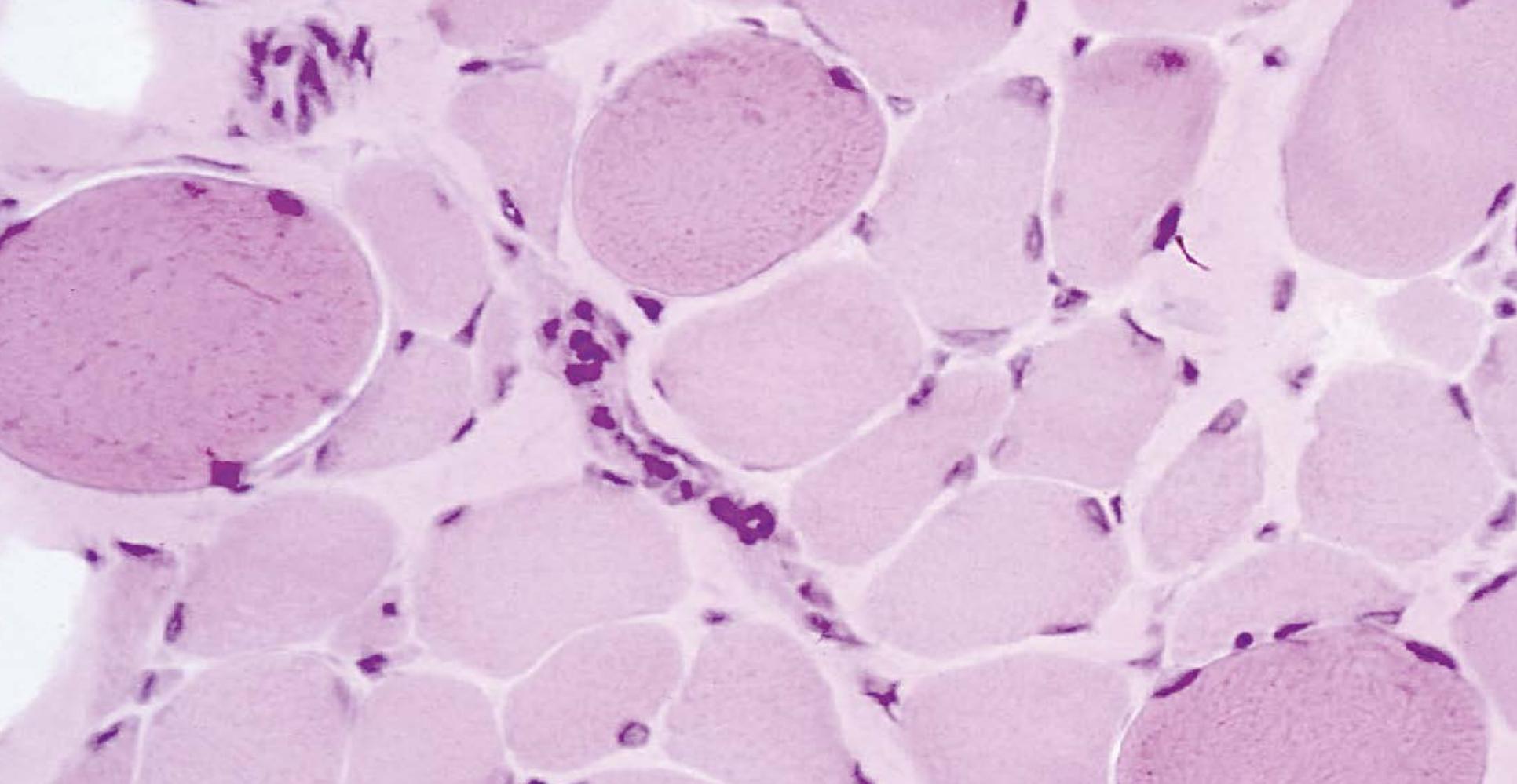
**Dejan de caminar
entre los 7 y los 12 años**





**En la última etapa
empiezan a fallar órganos
vitales, como el corazón o
los pulmones**

**Su esperanza de vida
se sitúa en torno a los
30 años**



La enfermedad se debe a la falta de una proteína, la distrofina. Su carencia destruye los músculos.

Encontrar un remedio está a nuestro alcance si hay voluntad

LARGO PLAZO

Conseguir la curación para estos niños

MEDIO PLAZO

Retrasar la aparición de los síntomas

CORTO PLAZO

Pasar de ensayos clínicos de animales a humanos

Proyectos financiados por Duchenne Parent Project

- Investigación y Atención a Familias -

Más de 800.000€ invertidos en proyectos de investigación

SOM
BIOTECH
The Drug Repurposing Company

Antal Genics

biocruces
osasun ikerketa institutua
instituto de investigación sanitaria

**sant Joan
de Déu**
HOSPITAL MATERNOINFANTIL
UNIVERSITAT DE BARCELONA

espeRare
foundation

biodonostia
osasun ikerketa institutua
instituto de investigación sanitaria

UPF UNIVERSITAT
POMPEU FABRA

Sagetis
BIOTECH

Prospera
BIOTECH

**Fundación
Ramón Domínguez**
I+D+i biosanitaria

**Vall d'Hebron
Hospital**

institut santpau



El Registro de Pacientes DMD España es un proyecto creado y dirigido por Duchenne Parent Project España (DPPE) con el fin de tener una **base de datos de pacientes** diagnosticados con Distrofia Muscular de Duchenne / Becker y Mujeres Portadoras que viven en España.

El registro está adaptado a los criterios establecidos en las normas internacionales de la base de datos GLOBAL DMD de TREAT-NMD (Investigación Translacional en Europa para la Evaluación y Tratamiento de Enfermedades Neuromusculares), una red de excelencia financiada por la Comisión Europea.

Con este registro pretendemos **ayudar a los médicos, investigadores y compañías biofarmacéuticas en el desarrollo de nuevos ensayos clínicos para la Distrofia Muscular de Duchenne / Becker**, identificando a los pacientes que viven en España y posibilitando un reclutamiento rápido y eficaz de pacientes que puedan beneficiarse de los nuevos ensayos clínicos.



PLATAFORMA DE CRIBADO

PRODUCCIÓN Y ALMACENAMIENTO DE CÉLULAS

BIOBANCOS

MODELOS DE RATONES

Duchenne Parent Project España busca acelerar activamente la investigación en las Distrofias Musculares de Duchenne y Becker.

Hemos identificado diferentes **recursos** necesarios para avanzar en la investigación como una forma clave de acelerar el desarrollo terapéutico. Por este motivo hacemos de las herramientas de investigación un área prioritaria.

Además, Duchenne Parent Project España promueve el intercambio de herramientas y recursos de investigación entre laboratorios creando **workshops** anuales que facilitan el intercambio de herramientas de investigación.

Todas estas herramientas críticas han sido generadas a través de alianzas con destacados expertos y empresas.

Atención psicosocial a enfermos y familiares

A todos los síntomas a nivel físico que caracteriza esta enfermedad, hay que unirle todas las **situaciones desafiantes**, a las que tanto el enfermo como los familiares, deben de enfrentarse diariamente, como por ejemplo, el largo proceso vivido hasta obtener un diagnóstico, la falta de información, la negación, en algunos casos, del sistema público de salud a dispensar el medicamento necesario por su elevado coste, así como las múltiples adaptaciones que se deben de llevar a cabo a medida que la enfermedad avanza.



Servicio de Información y Orientación (SIO):

Objetivo: mejorar la calidad de vida de afectados y sus familias a través de las siguientes actuaciones

- Información y orientación sobre las enfermedades de Duchenne y Becker.
- Información sobre ayudas técnicas, subvenciones, gestiones de discapacidad, tramitación de dependencia, recursos sociales, etc.
- Apoyo y seguimiento individualizado de casos.
- Intercambio de experiencias y creación de redes de apoyo mutuo.



Servicio de Atención Psicológica (SAP):

Objetivo: favorecer la normalización biopsicosocial de enfermos y familiares a través de las siguientes actuaciones

- Grupos de ayuda mutua.
- Talleres temáticos para niños, jóvenes y padres y madres.
- Atención psicológica individualizada y grupal.



Organización de Congreso Nacional y Encuentro de Familias:

Objetivo: facilitar el intercambio de información y experiencias entre afectados y familiares a fin de favorecer el apoyo mutuo.

- Ponencias sobre todos los aspectos de la distrofia muscular de Duchenne y Becker de la mano de expertos nacionales e internacionales.
- Asistencia de clínicos, terapeutas, investigadores, compañías farmacéuticas y familias que conviven con la distrofia muscular de Duchenne y Becker.
- Ludoteca y talleres de animación para niños y niñas asistentes.

25.26.27
MAYO 2018
MADRID
RAFAEL HOTELES
MADRID NORTE

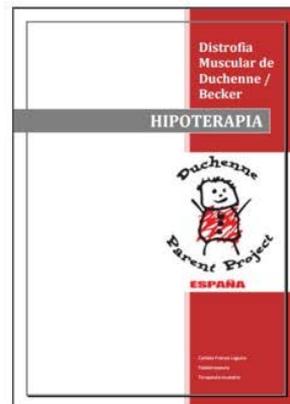
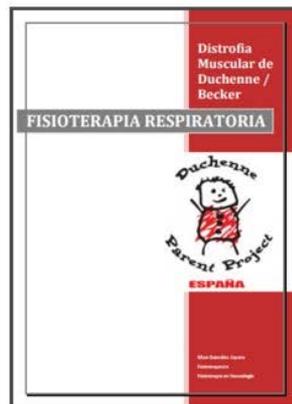
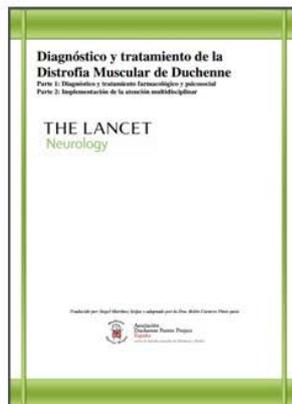


I CONGRESO
NACIONAL
DUCHENNE
PARENT PROJECT
ESPAÑA



Elaboración de guías y materiales didácticos:

Dirigidas a las familias y a los profesionales de recursos sociosanitarios y educativos para apoyar a afectados en los diferentes estadios de la enfermedad.



Actualidad científica-médica online:

Últimas noticias investigación, esquemas virtuales de posibilidades de tratamiento y ensayos clínicos, síntomas y tratamientos paliativos, congresos.

Síntomas

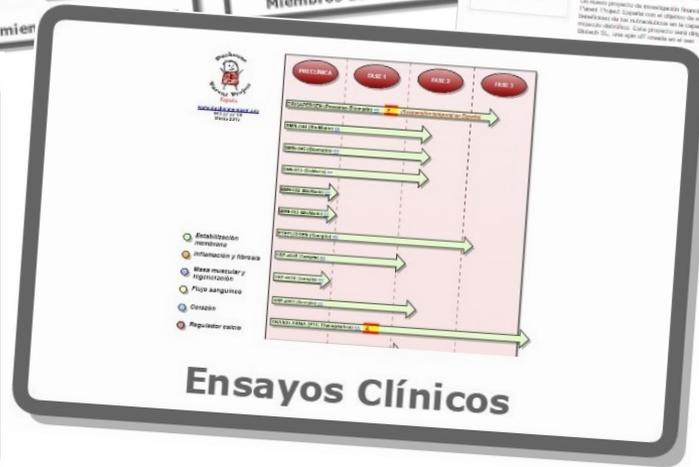
La Distrofina

¿Cómo es diagnosticada?

Congresos / Conferencias

Tratamiento

Miembros de la Familia



Asociación Duchenne Parent Project España

Noticias

- Revisión del impacto de Duchenne sobre el corazón, sugiriendo opciones de tratamiento
- Summit continúa con la fase de extensión del ensayo clínico PhasOUI DMD de Euroomid en pacientes con DMD
- Alabi Therapeutics recibe la autorización de la FDA para reanudar el desarrollo clínico de H1-100
- PTC Therapeutics anuncia el acuerdo para adquirir Enlaza para el tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne en EEUU
- Un nuevo proyecto de investigación apoyado por Duchenne Parent Project España

PROYECTOS DE INVESTIGACIÓN FINANCIADOS POR EPPA

REGISTRO DE PACIENTES DUCHENNE Y BUCKER ESPAÑA

HERRAMIENTAS DE INVESTIGACIÓN

Campañas de sensibilización de la enfermedad:

Realizamos campañas de sensibilización a la sociedad mayoritaria como la de “El sueño de Rafa” basada en una historia de vida de un joven afectado.

<http://elsueñoderafa.org/>



Ayúdanos a cambiar
el final de esta historia

Envía SMS

SUEÑO

al 28014*



“Por fin, alguien nos decía que no estaba todo perdido. Y lo más importante, no eran palabras vacías, había una realidad delante nuestra que no podíamos obviar. Varias líneas de investigación estaban en marcha”.

Testimonio de una madre

Sobre Asociación Duchenne Parent Project España

Duchenne Parent Project España es una asociación sin ánimo de lucro creada en 2008 y dirigida por padres y madres de niños con Distrofia Muscular de Duchenne (DMD) y de Becker (DMB).

Es la organización de referencia de estas enfermedades en España.

La misión es encontrar una cura o tratamiento para la Distrofia Muscular de Duchenne y Becker y mejorar la calidad de vida de los afectados y sus familias mediante la promoción y financiación de la investigación clínica, servicios de atención psicosocial, campañas de sensibilización y programas educativos.

Duchenne Parent Project en cifras

450 socios/as que con sus cuotas contribuyen al sostenimiento de la entidad.

4.000 niños y jóvenes afectados por la distrofia muscular de Duchenne y Becker en España y madres portadoras.

Más de 12.000 seguidores en redes sociales que apoyan la tarea de la organización.

Voluntarios/as que colaboran en la atención a las familias y la realización de eventos y campañas de sensibilización

Más de 800.000 € destinados a la investigación para la distrofia muscular de Duchenne y Becker.

DECLARADA DE
UTILIDAD PÚBLICA



El destino sólo existe para las personas
que se creen incapaces de cambiar el futuro.

¡Únete a nuestro desafío!



Asociación
Duchenne Parent Project
España

contra la distrofia muscular de Duchenne y Becker

www.duchenne-spain.org
eventos@duchenne-spain.org
657 310 081