



NUMÉRO 1

DUCHENNE PARENT PROJECT BELGIUM

FÉVRIER 2025

temps de lecture total: +-7min

Newsletter: Plus forts ensemble

Chers lecteurs,

Bonne année ! Ensemble, faisons de 2025 une année pleine d'espoir et de progrès.

C'est avec enthousiasme que nous lançons notre toute première newsletter, un nouvel outil pour renforcer les liens au sein de notre communauté. En tant qu'organisation de patients, notre mission est de tisser des relations solides entre médecins, scientifiques, entreprises, décideurs et familles. Ensemble, nous œuvrons pour améliorer la qualité de vie et favoriser l'avancement des recherches.

Dans cette newsletter, vous trouverez des mises à jour sur les avancées scientifiques, les prochaines activités, des conseils pratiques et des témoignages inspirants. N'hésitez pas à partager vos réflexions avec nous ou à poser vos questions ; nous serions ravis de vous entendre !

Cordialement,

L'équipe du Duchenne Parent Project Belgium



Dans cette newsletter

Une rétrospective de l'année 2024, un avant-goût de l'année 2025 et quelques annonces à ne pas manquer !

à ajouter dans votre agenda :

1. Ucom2Bike: 4 mai 2025
2. Tournoi de golf: 20 juin
3. Notre congrès: 27 septembre 2025

UCOM2BIKE

En partenariat avec Ucom2bike, nous avons organisé une magnifique journée familiale le 5 mai 2024. Le soleil était au rendez-vous, parfait pour une balade en fauteuil roulant. Outre la promenade, les enfants ont eu l'occasion de se faire maquiller et de profiter de jeux amusants, tandis que les participants ont pris part à des sorties en VTT, en Vespa et en moto.

[Regardez la vidéo de Ucom2bike 2024](#)



Nouveau site web

UN SITE PLUS ACCESSIBLE ET CONTENANT PLUS D'INFORMATIONS SUR LA DYSTROPHIE MUSCULAIRE DE BECKER.

Lors d'une enquête menée auprès de notre communauté, nous avons constaté un besoin important d'informations fiables et accessibles sur les dystrophies musculaires de Duchenne et de Becker. Pour répondre à cette demande, nous avons mis en place un comité consultatif réunissant des spécialistes belges de la dystrophie musculaire de Duchenne provenant de tous les Centres nationaux de réadaptation musculaire (CNRM). Ensemble, nous avons comparé plusieurs sites web et collaboré pour créer une structure claire et complète pour notre nouveau site.

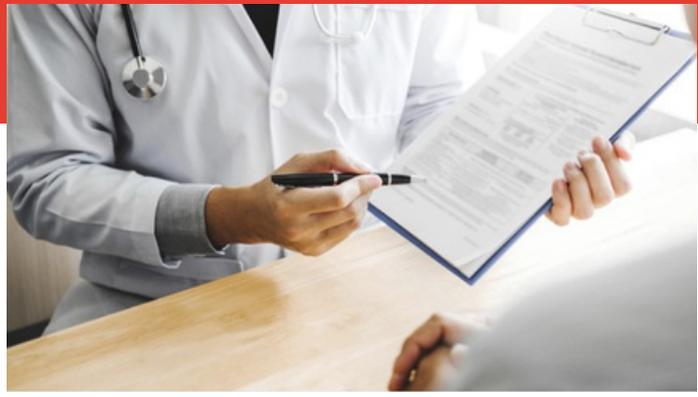
Le site ne se contente pas d'avoir un nouveau design, il propose également un contenu enrichi. En réponse à l'intérêt croissant pour la dystrophie musculaire de Becker, un centre d'information dédié à Becker a été lancé en parallèle de celui consacré à Duchenne. Pour la première fois, nous offrons ainsi des informations complètes à la communauté Becker, tout en maintenant le soutien déjà fourni à ceux touchés par la dystrophie musculaire de Duchenne.

[visiter notre nouveau site web](#)



Let's Race: deuxième édition

Le 14 octobre 2024, nous avons organisé notre seconde journée familiale sur le célèbre circuit de Spa-Francorchamps. Les garçons atteints de la myopathie de Duchenne et leurs familles ont été invités à vivre une journée excitante dédiée à la course. Ils ont eu l'opportunité de faire un tour de piste à bord de différentes voitures de course, une expérience unique pour beaucoup d'entre eux. La journée s'est conclue par un déjeuner convivial, offrant aux parents et aux enfants l'occasion de se rencontrer et d'échanger.



Développements scientifiques en 2024

1. Étude sur les patients adultes atteints de la myopathie de Becker en Belgique: une première

En 2024, le recrutement pour l'étude GRAND CANYON a commencé en Belgique, marquant une étape clé dans les options de traitement pour les patients atteints de la myopathie de Becker, pour lesquels il n'y a eu que peu d'essais cliniques jusqu'à présent. Cette étude teste Sevasemten, un inhibiteur de la myosine musculaire développé par Edgewise Therapeutics. L'objectif de ce médicament est de protéger les muscles fragiles des dommages causés par les contractions musculaires. Sevasemten est testé chez les adultes atteints de dystrophie musculaire de Becker (phase 3) et chez les enfants atteints de la myopathie de Duchenne (phase 2 aux États-Unis). Cette approche est innovante, car elle se concentre sur les premiers stades de la dystrophie musculaire, en particulier la prévention des dommages musculaires.

2. Thérapie génique : progrès et défis

En juin 2024, la FDA a approuvé Elevidys® pour les garçons âgés de quatre ans et plus atteints de la myopathie de Duchenne, malgré des résultats d'étude mixtes. Entre-temps, Pfizer a arrêté son étude de phase 3 après des résultats décevants.

Essais en cours :

Sarepta - Elevidys (phase 3, à Gand)
Généthon - GNT-0004 (phase I/II/III)
RegenXbio - RGX-202 (phase I/II/III)
Solid Biosciences - SGT-003 (phase I/II)

3. Saut d'exon: Résultats mitigés

- Wave Life Sciences - Résultats provisoires positifs de la phase I/II : augmentation de la production de dystrophine.
- Avidity Biosciences - AOC 1044 (exon 44) : Phase I/II : augmentation de 25 % de la dystrophine après quatre mois.
- Sarepta - SRP-5051 (exon 51) : Abandonné en raison de problèmes de sécurité et des retours de la FDA.

4. Autres développements prometteurs

Capricor - CAP-1002 : Résultats positifs dans l'étude HOPE-2, montrant des améliorations de la fonction musculaire et une stabilisation de la fonction cardiaque. De nouvelles données de l'étude de phase 3 sont attendues en 2025.

Givinostat (Duvyzat) : Approbation complète du traitement par la FDA (USA) fin 2024 pour les patients ambulatoires et non ambulatoires. Il a également été approuvé provisoirement au Royaume-Uni. Le givinostat agit en inhibant certaines enzymes qui contribuent à la dégradation des muscles, ralentissant ainsi la progression de la myopathie. Une décision des autorités européennes (EMA) est attendue pour 2025.

2025: à quoi on peut s'attendre

En ce début d'année, nous attendons avec impatience d'autres avancées concernant les traitements potentiels et espérons l'approbation du Givinostat par l'EMA. Le dossier du Vamorolone devrait également être soumis pour remboursement en Belgique en 2025. Par ailleurs, une demande pour un usage compassionnel du Givinostat a été soumise en Belgique, ce qui pourrait permettre un accès plus rapide au traitement.

Activités et événements à venir

En 2025, de nombreux événements passionnants sont à prévoir. Nous sommes déjà impatients de vous retrouver pour une nouvelle édition de Ucom2Bike, le dimanche 4 mai. Un tournoi de golf se tiendra le 20 juin ; les joueurs intéressés peuvent obtenir plus d'informations en contactant Luc (luc.meeus@duchenneparentproject.be).

Le 27 septembre 2025, nous vous donnons rendez-vous à notre congrès Duchenne et Becker, avec un programme riche de conférences et d'ateliers interactifs.

Nous organiserons aussi une journée de rencontre pour les parents d'enfants ayant été récemment diagnostiqués. Enfin, nous avons hâte de vivre une nouvelle édition de l'événement « Let's race » en octobre.

Des détails supplémentaires sur ces événements seront partagés prochainement. Restez connectés !



Saviez-vous que....

Certains fauteuils électriques accélèrent plus vite qu'une vieille mobylette ! Ce n'est pas du niveau de la Formule 1, mais c'est tout de même un départ fulgurant au passage piéton !

Saviez-vous que le gaming n'est pas juste un loisir, mais qu'il aide aussi à améliorer la coordination des mains et la réactivité ? Alors, si quelqu'un vous dit que vous passez trop de temps à jouer, répondez que c'est de la thérapie ! 😊



Ensemble, nous faisons la différence ! Soutenez-nous en organisant un événement ou en faisant un don. Chaque contribution permet d'accélérer la recherche et d'améliorer la qualité de vie des personnes atteintes des dystrophies de Duchenne et de Becker.