

Distrofia muscolare di Duchenne: sintomi, cure e aspettative di vita della malattia che affligge 1.500 bambini e giovani adulti in Italia di Maria Giovanna Faiella

La malattia genetica rara provoca la progressiva degenerazione dei muscoli scheletrici, respiratori, del cuore. «L'accesso cambia la vita» lo slogan della giornata mondiale. Parent Project: «Rimuovere le barriere architettoniche e non solo»

(Fonte: <https://www.corriere.it/> 7 settembre 2026)



(Parent Project: volontari dell'Associazione di pazienti e genitori durante un incontro)

Per chi convive con la [distrofia muscolare di Duchenne](#) - malattia genetica rara che provoca la **progressiva degenerazione dei muscoli scheletrici, respiratori, del cuore** - è fondamentale poter **accedere tempestivamente** a diagnosi, trattamenti, terapie innovative per cercare di **rallentare la progressione della malattia**.

«Accesso» vuol dire anche partecipazione e inclusione nella società, quindi poter studiare, lavorare, svolgere attività ricreative e culturali, avere una vita sociale.

Ecco perché il tema scelto quest'anno per la **giornata mondiale di sensibilizzazione sulla distrofia muscolare di Duchenne**, il 7 settembre, è «l'accesso cambia la vita», un invito a responsabili politici, operatori sanitari, ricercatori, comunità a collaborare per identificare ed eliminare le barriere ovunque esse siano.

Promossa a livello internazionale dalla **World Duchenne Organization**, rete di Associazioni di pazienti e familiari, la giornata è organizzata in Italia da [Parent Project aps](#), l'Associazione nazionale di riferimento per le persone e le famiglie che convivono con la distrofia muscolare di Duchenne e Becker.

La malattia e i sintomi, trattamenti

Si stima che in Italia siano circa 1.300 i bambini e giovani adulti che convivono con la distrofia muscolare di Duchenne, nel mondo circa 250mila. La malattia rara è di **origine genetica**, dovuta alla mutazione del gene che produce la [distrofina](#), una proteina chiave per la salute dei muscoli. Di solito i **sintomi si manifestano nei primi anni di vita**: i bambini hanno difficoltà a correre velocemente o a saltare. Man mano che la malattia avanza si perde la capacità di camminare in maniera autonoma e, progressivamente, sono coinvolti anche gli arti superiori, poi i muscoli respiratori e del cuore.

A oggi **non esiste una cura** risolutiva ma, grazie ai progressi scientifici, negli ultimi anni sono migliorate le condizioni generali di chi ne soffre. Ed è aumentata l'aspettativa di vita, che un tempo era in media intorno ai 18 anni, mentre oggi, secondo recenti dati, la sopravvivenza media è attorno ai 30 anni, e continua a migliorare (*si legga l'articolo qui sotto*).

Telefono verde ISS

In occasione della giornata mondiale della Duchenne, «il **Centro Nazionale Malattie Rare** dell'Istituto Superiore di Sanità - dice la dottoressa Maria Luisa Scattoni, direttore del CNMR - rinnova il proprio impegno a sostenere percorsi che consentano alle persone con Duchenne e alle loro famiglie di **orientarsi tra diagnosi, presa in carico, trattamenti e servizi disponibili**. Per una malattia complessa e progressiva come la Duchenne, la possibilità di arrivare in tempi adeguati ai centri e ai professionisti di riferimento, di ricevere informazioni corrette e di conoscere i propri diritti è parte integrante della presa in carico. Anche per questo il confronto con la comunità scientifica e con le associazioni dei pazienti è essenziale per individuare le criticità ancora presenti e contribuire a rendere i percorsi più accessibili e omogenei sul territorio».

Informazioni attendibili sui percorsi diagnostico-assistenziali, su diritti ed esenzioni, nonché sulle risorse e sui servizi disponibili sul territorio si possono avere chiamando il [Telefono verde Malattie rare](#) **800 896949** , servizio gratuito dell'Istituto Superiore di Sanità.

«Un'Italia più accessibile»

Nonostante i progressi compiuti negli ultimi decenni, permangono significative disparità di accesso tra i vari Paesi del mondo, ma anche in Italia troppe persone devono affrontare diversi ostacoli.

«L'**accesso non riguarda solo le cure** - dice Cristina Picciolo, direttrice generale di Parent Project -. Significa parlare di diritti e di possibilità concrete di vivere la propria vita; poter conoscere, scegliere, partecipare, essere ascoltati e costruire il proprio futuro; rimuovere le barriere che, ancora oggi, possono limitare il percorso delle persone che convivono con la distrofia muscolare di Duchenne e Becker».

Le **barriere architettoniche** sono un **ostacolo non solo fisico** poiché possono limitare la possibilità, per esempio, di entrare in un edificio o in un bar, di assistere a uno spettacolo o visitare una mostra, di utilizzare servizi e trasporti pubblici.

Da qui la campagna «**Un passo alla volta - Aiutaci a costruire un'Italia più accessibile**», promossa da Parent Project per contrastarle ([qui](#) le informazioni su come partecipare).

L'Associazione ricorda che l'accessibilità di tutti gli spazi urbani è sancita dalla [Convenzione delle Nazioni Unite sui diritti delle persone con disabilità](#), ratificata dal nostro Paese con la [legge n. 18/2009](#). A garantire l'effettiva applicazione della norma devono essere i Comuni, attraverso i **PEBA** - Piani di Eliminazione delle Barriere Architettoniche (l'obbligo di adottarli è sancito dalla Legge n. 41/1986 ma diversi Comuni ancora non l'hanno fatto *ndr*).

Società senza «abilismo»

Un'altra barriera da superare, meno visibile, è l'**abilismo** che induce a guardare prima alla disabilità e solo dopo alla persona, come spiega Picciolo: «Una **società realmente accessibile non si limita ad aggiungere una rampa o un servizio dedicato, ma riconosce ogni persona nella sua complessità**, nei suoi desideri, nelle sue capacità e nel suo diritto a partecipare. Quando viene meno l'abilismo, molte barriere iniziano a cadere ancora prima di essere costruite».

La campagna «Coltiviamo il futuro»

Fino al 13 settembre i volontari di Parent Project saranno presenti in 22 piazze italiane con la campagna di raccolta fondi «**Coltiviamo il futuro**» ([qui](#) l'elenco e altre informazioni).

A fronte di una donazione minima di 10 euro, sarà possibile ricevere il «**rosmarino** di Parent Project», per sostenere la ricerca e i servizi gratuiti che l'associazione offre alle persone con distrofia muscolare di Duchenne e Becker e alle loro famiglie.

Il rosmarino, pianta forte e resistente, capace di crescere e mettere radici anche in condizioni non semplici, è diventato il simbolo della comunità di Duchenne che continua a guardare avanti, nella speranza che si arrivi presto a una cura per questa malattia rara.

«Come il rosmarino - dice la presidente dell'Associazione, Daniela Argilli - anche quella di Parent Project è una rete che trova la sua forza nella comunità che si unisce, nella **resistenza quotidiana** alle difficoltà attraverso l'impegno collettivo, nella presenza costante accanto alle persone e alle famiglie che convivono con la Duchenne o la Becker, nella cura condivisa e diffusa che si traduce in ascolto, supporto e ricerca».

[Distrofia muscolare di Duchenne: la malattia, sintomi, nuove terapie per i bambini. Cosa sappiamo](#)