



NR 1

DUCHENNE PARENT PROJECT BELGIUM

FEBRUARI
2025

WELKOM BIJ ONZE

Totale leestijd: +-7min

Nieuwsbrief: samen sterker

Beste lezers,

Gelukkig nieuwjaar! Laten we samen van 2025 een jaar vol hoop en vooruitgang maken.

Met die intentie lanceren we trots onze allereerste nieuwsbrief, een extra manier om onze gemeenschap te verbinden. Als patiëntenorganisatie is dat immers ons doel; we bouwen bruggen tussen artsen, onderzoekers, bedrijven, beleidsmakers en families. Zo werken we **samen** aan een betere levenskwaliteit en snellere vooruitgang in onderzoek.

In deze nieuwsbrief vind je dan ook updates over wetenschappelijke ontwikkelingen, aankomende activiteiten, praktische tips en inspirerende verhalen. Wil je zelf iets delen, of heb je een vraag? We horen het graag!

Warme groetjes,

Het team van Duchenne Parent Project Belgium



In deze nieuwsbrief

Een terugblik op 2024,
voortuitblik op 2025 en
enkele belangrijke
aankondigingen!

Alvast toe te voegen aan je agenda:

1. Ucom2Bike: 4 mei 2025
2. Ons congres: 27 september 2025

UCOM2BIKE

In samenwerking met Ucom2bike organiseerden we een zeer geslaagde familiedag op 5 mei 2024. Het was een prachtige zonnige dag, ideaal voor een wandeling met een rolstoel. Naast de wandeling genoten de kinderen van een schminkbeurt en spelletjes, terwijl sympathisanten deelnamen aan mountainbike-, Vespa- en motortochten.

[bekijk de video van Ucom2bike 2024](#)

Nieuw!



Vernieuwde website

GEBRUIKSVRIENDELIJKER EN NU OOK INFORMATIE OVER BECKER SPIERDYSTROFIE

Uit een eerdere bevraging van onze community bleek de grote behoefte aan betrouwbare en tegelijkertijd brede informatie over Duchenne en Becker spierdystrofie. Om hieraan tegemoet te komen, organiseerden we een advisory board met Belgische Duchenne-specialisten van alle Nationale Musculaire Revalidatie Centra (NMRC's). We vergeleken verschillende websites en werkten samen om de meest volledige en duidelijke structuur voor onze vernieuwde website te ontwikkelen.

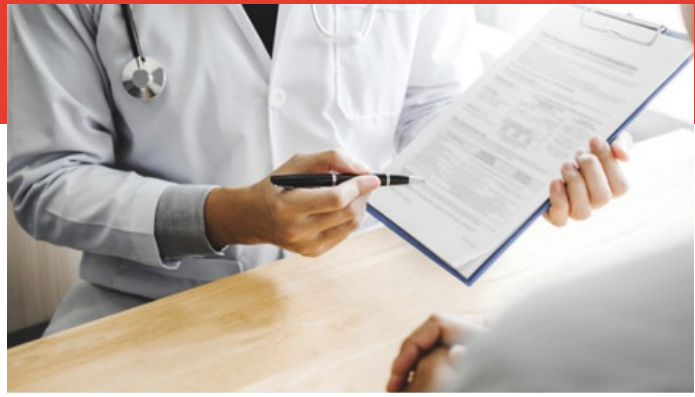
De website heeft niet alleen een frisse, nieuwe uitstraling, maar is ook inhoudelijk verrijkt. In reactie op de groeiende aandacht voor Becker spierdystrofie, werd er naast het Duchenne Informatiecentrum ook een Becker Informatiecentrum opgezet. Zo bieden we nu voor het eerst uitgebreide informatie voor de Becker-gemeenschap, naast de al bestaande ondersteuning voor Duchenne.

[Bekijk de vernieuwde website door hier te drukken](#)



Let's Race: editie 2

Op 14 oktober 2024 vond onze tweede familiedag plaats op het iconische circuit van Spa-Francorchamps. Jongens met Duchenne en hun ouders werden verwelkomd voor een spannende dag vol races. Ze kregen de kans om in verschillende racewagens over het parcours te rijden, wat voor velen een once-in-a-life-time ervaring was. De dag werd afgesloten met een lunch, waar ouders en kinderen elkaar beter leerden kennen.



Wetenschappelijke ontwikkelingen in 2024

1. Onderzoek voor volwassen Becker-patiënten in België: een primeur

In 2024 begon de werving in België voor de GRAND CANYON studie, een belangrijke mijlpaal voor de behandelmogelijkheden van Becker patiënten, voor wie er in het verleden nauwelijks klinische studies waren. Deze studie onderzoekt Sevasemten, een spiermyosineremmer van Edgewise Therapeutics. Het doel van het medicijn is om instabiele spieren te beschermen tegen schade als gevolg van spiercontracties. Sevasemten wordt getest bij zowel volwassen Becker-patiënten (fase 3) als bij kinderen met Duchenne (fase 2 in de VS). De aanpak is uniek omdat de behandeling zich richt op de vroege stadia van het ziekteproces, namelijk het voorkomen van spierschade.

2. Gentherapie: Vooruitgang en uitdagingen

In juni 2024 keurde de FDA Elevidys® goed voor jongens van vier jaar en ouder met Duchenne, ondanks gemengde studieresultaten. Ondertussen stopte Pfizer zijn fase 3-studie na teleurstellende resultaten.

Lopende proeven:

Sarepta - Elevidys (fase 3, in Gent)
Genethon - GNT-0004 (fase I/II/III)
RegenXbio - RGX-202 (fase I/II/III)
Solid Biosciences - SGT-003 (fase I/II)

3. Exon skipping: Wisselende resultaten

Wave Life Sciences - Positieve tussentijdse resultaten Fase I/II: verhoogde dystrofine productie.

Avidity Biosciences - AOC 1044 (exon 44): Fase I/II: 25% toename van dystrofine na vier maanden.

Sarepta - SRP-5051 (exon 51): Gestakt vanwege veiligheidsproblemen en feedback van de FDA.

4. Andere veelbelovende ontwikkelingen

Capricor - CAP-1002: Positieve resultaten in de HOPE-2 studie, met verbeteringen in de spierfunctie en stabilisatie van de hartfunctie. Verdere gegevens van de Fase 3-studie worden verwacht in 2025.

Givinostat (Duvyzat): Deze behandeling kreeg eind 2024 volledige goedkeuring van de Amerikaanse FDA voor zowel ambulante als niet-ambulante patiënten. Het werd ook voorlopig goedgekeurd in het Verenigd Koninkrijk voor dezelfde doelgroep. Givinostat werkt door het remmen van bepaalde enzymen die bijdragen aan de spierafbraak, waardoor de progressie van de ziekte wordt vertraagd. Een beslissing van de Europese autoriteiten (EMA) rond markttoelating wordt verwacht in 2025.

2025: vooruitblik

Nu 2025 is begonnen, kijken we uit naar verdere ontwikkelingen in potentiële behandelingen en hopen we op de goedkeuring van Givinostat door de EMA. Het dossier voor Vamorolone zal naar verwachting ook worden ingediend voor terugbetaling in België in 2025. In België is een dossier voor 'compassionate use' (CUP) ingediend voor Givinostat, wat indien goedgekeurd zal leiden tot snellere toegang.

Aankomende activiteiten en evenementen

Ook in 2025 zal er weer heel wat te beleven zijn. Zo kijken we al uit naar een nieuwe editie van Ucom2Bike op **zondag 4 mei**.

Op **27 september 2025** verwachten we u op ons Duchenne en Becker congres, waar we met een zeer gevarieerd programma van lezingen en interactieve workshops voor u klaar staan.

Ook zullen we nog een ontmoetingsdag organiseren voor ouders die recentelijk een diagnose gekregen hebben. Tot slot kijken we ook uit naar een nieuwe editie van het 'let's race' event in oktober.

Over al deze evenementen volgt later meer informatie, stay tuned dus!



Wist je dat....

Wist je dat... sommige elektrische rolstoelen sneller optrekken dan een oude brommer? Misschien geen Formule 1-materiaal, maar wel een vlotte start op het zebrapad!

✈ Wist je dat... beroemde zangers als Ed Sheeran en Elton John als kind ook moeite hadden met lopen? Niet vanwege Duchenne, maar het bewijst dat je met talent overal kunt komen - zittend of staand!

Wist je dat gamen niet alleen een hobby is, maar ook helpt bij handcoördinatie en reactietijd? Dus als iemand zegt dat je te veel speelt... zeg dan gewoon dat het therapie is! 😊



Samen maken we een verschil! Steun ons door een evenement te organiseren of een donatie te doen. Elke bijdrage helpt om onderzoek te versnellen en de levenskwaliteit van mensen met Duchenne en Becker dystrofie te verbeteren.