

WAS GIBT'S NEUES: ab 2012 finanzieren die Familien vom GFB ONLUS selbst die vorklinische Phase der Gentherapie von der Dystrophie vom Typ 2E beim National Children's Hospital von Columbus OHIO USA, die vom Team von Professor Jerry Mendell geführt wird.

SEIT WANN UND WIE: Im Jahr 2012 hat die GFB Prof. Cerletti Massimo aus Chiavenna, der seit 15 Jahren die Muskeldystrophien an der Harvard in Boston forscht und der zur Zeit Universitätsprofessor in London ist, wo er ein Zentrum über Staminalzellen vorsitzt, zu den amerikanischen Labors geschickt. Infolge der positiven von Prof. Cerletti gelieferten Auswertungen über die Labors haben die Familien von GFB ONLUS beschlossen, die ersten Finazierungen zu dem Gen-Therapie-Projekt für die LGMD2E zu leisten. Bis Datum sind drei Teilbeträge für insgesamt 900.000 Dollars geleistet worden. In diesen 3 Jahren hat die GFB 3 Reports bekommen mit den Ergebnissen der Phasen des Projekts und an 4 Fernkonferenzen mit amerikanischen Ärzten und mit der ärztlich-wissenschaftlichen Kommission des Vereins teilgenommen.



1. Nationaltreffen der GFB, 19. April 2013, Mailand

Von links Gonnella A., Dr.ssa Rodino Klapac L., Prof. Mendell J., Vola B., Dr.ssa Bonetti P., Perlini M

Im April 2013 haben die amerikanischen Ärzte am 1. Nationaltreffen der GFB in Mailand "What next" teilgenommen und im vergangenen Monat Juli hat die GFB die Genehmigung zur Anwendung der Therapie für die ersten Patienten seitens der amerikanischen FDA (amerikanische Arzneiagentur) bekommen. In diesen letzten Monaten sind die Labors dabei, die Erzeugung des menschlichen Vektors zu Ende zu führen, um dann der GFB den Report zu übersenden und zur nächsten Phase zu überzugehen.

Der Verein führt allein den Kampf gegen diese besondere Pathologie. Die grossen Vereine der seltenen Krankheiten, auf lokaler und nationaler Ebene haben nicht daran teilgenommen, weil sie im Moment andere Projekte weitertreiben. Die GFB hofft aber, dass diese auch mit der Zeit mitmachen können, da die LGMD2E einer der besten Kandidaten zur Anwendung dieser Therapie ist. Das Gen nämlich, das die Ursache dieser Pathologie ist, ist eines der kleinsten unter der bisher bekannten Genkrankheiten. Diese Therapie kann auch für andere ähnliche Genkrankheiten angewandt werden.

Die GFB ONLUS hat auch im Monat Januar an einem Meeting bei der Universität Mailand teilgenommen, auf dem eine italienische Ärztin, die letztes Jahr im amerikanischen Krankenhaus gearbeitet hat, über die laufenden Forschungen über Gentherapie einen Vortrag gehalten hat. Dabei hat man herausbekommen, dass das eine besonders schwierige Therapie ist, es Hindernisse gibt, die jetzt überwunden worden sind und alles scheint an einen Punkt gekommen zu sein, wo die Therapie selbst an konkreten Patienten angewandt werden kann.

FORSCHUNGSANLAGE: Die GFB hat 2015 ihr Rechnungssystem ändern müssen, um vorschriftsgemäss zum ersten Mal die amerikanischen Projekte finanzieren zu dürfen. Zu diesem Zweck hat sie eine besondere Forschungsanlage durch ihr Konto bei Banca Prossima geschaffen. Alle Beträge, die auf dieses Konto überwiesen werden, dienen zur Finanzierung der amerikanischen Projekte und zur wissenschaftlichen Forschung von LGMD2E.

Bankkonto: Gruppo Familiari Beta-sarcoglicanopatie Onlus

Codice IBAN: IT33X0335901600100000076500

Die GFB ONLUS ist der einzige Verein auf der Welt für die LGMD2E; dieses Gentherapie-Projekt ist das zur Zeit einzige Projekt für diese Pathologie und die einzige Hoffnung für diese Patienten.

LGMD-MEETING EURONET

Das zweite LGMD EuroNET-Meeting, wird in Neapel stattfinden. LGMD EuroNET ist im Monat Oktober in Vicenza entstanden. Das Treffen wird anlässlich des 15. AIM-Nationalkongresses

stattfinden. Auf folgendem Link kann das Programm des Treffens abgelesen werden:

<http://iscrizioni.fclass.it/eventi/msm-aim2015/pdf/ProgrammaAIM.pdf>

Das Treffen ist für Freitag den 22. Mai um 15.15, in der Sektion "Future Projects and Programs" vorgesehen. Ziel ist ein klarer Überblick auf CREST- und E-rare- Projekte und die weiteren Entwicklungen der Horizon 2020-Projekte zu beschliessen.

Weitere Auskünfte über das Sekretariat der GFB ONLUS unter: segreteria.gfbonus@gmail.com

oder unter:

http://www.beta-sarcoglicanopatie.it/index.php?option=com_content&view=article&id=168&Itemid=168