

GFB ONLUS HAT WEITERE 200.000 \$ NACH COLUMBUS GESCHICKT

Ein weiteres grosses Ergebnis für den Verein mit Sitz in Talamona, in der Provinz Sondrio. Am Freitag den 9. September hat edie GFB ONLUS einen weiteren Betrag von **202.500 \$**nach Columbus, Ohio, geschickt. Von 2012 bis heute hat sie insgesamt die amerikanischen Labors mit **1.300.000 \$**

finanziert. Durch diesen weiteren Beitrag wird Professor Mendell in der Lage sein, das Projekt für GENTHERAPIE DER LGMD2E weiterzutreiben. Die GFB ist zur Zeit der einzige Finanzierer dieses Projekts: ohne diesen Beitrag würde das Projekt gestoppt werden. Der geschickte Betrag wird für die Vorbereitung des klinisch-systemischen Trials mit hohen Dosierungen angewendet werden, das 2017 durchgeführt werden sollte.Dieser Betrag wird dazu nicht ausreichen. Eine weitere Überweisung seitens des Vereins nach Columbus ist bis Jahresende vorgesehen. Unter folgender Link können weitere

Informationen über das Projekt gewonnen werden:

http://www.beta-sarcoglicanopatie.it/index.php?option=com_content&view=article&id=166&Itemid=111

DIE GENTHERAPIE WIRD ZUM MEDIKAMENT WERDEN

Die Gentherapie bei Patienten mit SMA1 hat bei den ersten 15 in Columbus Ohio gepflegten Kindern sehr gute Besserungen erwiesen. Dank diesen Ergebnissen ist man jetzt in der Lage, in Kürze diese Therapie zum Medikament werden zu lassen. Folgende Prozedur darf angewendet werden, weil die Therapie zur Pflege einer schweren und lebensgefährlichen Krankheit entwickelt wird und eine grundsätzliche Besserung mit sich führt. Das gibt gute Hoffnungen auf der Anwendung dieser Therapie auch für unsere LGMD2E.

Unter folgender Link können Sie den auf der Web-Seite des amerikanischen Vereins Cure Sma veröffentlichten Artikel lesen.

<http://www.curesma.org/news/avexis-receives-breakthrough.html?referrer=https://www.facebook.com/>

HELFEN SIE UNS, DIE THERAPIE ZU FINANZIEREN

Die GFB ONLUS hat die Absicht, auch in der Zukunft dieses Projekt in Columbus zu unterstützen. Zur Finanzierung des Projekts der Gentherapie für die LGMD2E hat die GFB ONLUS einen speziellen Fond für die Forschung durch ihr Bankkonto bei Banca Prossima. Was auf dieses Konto überwiesen wird, wird zur Finanzierung der amerikanischen Projekte und der wissenschaftlichen Nachforschung über die LGMD2E angewendet werden. Machen Sie auch mit mit einer Spende auf das Bankkonto:

INTESTAZIONE FONDO PER LA RICERCA: Gruppo Familiari Beta-sarcoglicanopatie Onlus

Codice IBAN: IT33X0335901600100000076500

BIC /SWIFT code BCITITMX

DIE GFB ONLUS BITTET DIE BANKEN UM

HILFE DIE IN DIESEN JAHREN GESAMMELTEN

BETRÄGE REICHEN NICHT AUS, DIE

PROJEKTE DES VEREINS ZU UNTERSTÜTZEN

deshalb hat sich der Verein an die Banken gewandt und Darlehen aufgenommen. Als erstes hat GFB ONLUS das Darlehen "SUBITO 5x 1000" aufgenommen, durch das sie den diesjährigen Betrag 5x1000 als Vorschuss in Höhe von 8.048,46 Euro schon bekommen hat. Darüber hinaus will sie auch andere Darlehen aufnehmen, darunter "Terzo Valore": darüber wird in den nächsten Newlettern berichtet.

ANDERE PATIENTEN VON LGMD2C ZUR GFB

ONLUS HINZUGEKOMMEN

In den letzten Monaten hat die GFB ONLUS weitere 5 Patienten herausgefunden, die an Lgmd2c-2d-2e leiden. Diese Patienten kommen aus Tunesien, Philippinen, USA und Italien (Pescara). Insgesamt gehören zur Zeit der GFB 126 Patienten mit Sakoglykanopatie wie in der folgenden Tabelle an:

LGMD2C

LGMD2D

LGMD2E

2010

0

1

5

0

2013

4

15

14

1

2014

9

28

21

1

2015

12

54

28

1

2016

22

69

34

1

Auf der Web-Seite des Vereins wird die Liste der Patienten nach Herkunft angegeben unter link:

http://www.beta-sarcoglicanopatie.it/index.php?option=com_content&view=article&id=46&Itemid=54