

## DIE GFB ONLUS TRÄUMT WIEDER.

## DIE DYSTROPHIE IST BALD GESCHLAGEN

### Bis 2017 werden fünf neue Therapien fertig sein

Großes Aufatmen bei GFB onlus, die ein wichtiges Ziel in der wissenschaftlichen Forschung für die Kur der Raupenkettens-Dystrophie erreicht hat, eine seltene Form von Muskeldystrophie, die in kurzer Zeit das Gehen und das Atmen behindert bis dann das Herz stillsteht.

Am 15. Juni hat die Onlus ein wichtiges Abkommen mit einer amerikanischen Gesellschaft – der **Myonexus Therapeutics** - unterschrieben mit dem Ziel, innerhalb 2017 die Anerkennung von fünf neuen gezielten Therapien für verschiedene Formen von Kettenraupen – Dystrophien zu bekommen. Mit diesem Abkommen gehört jetzt die GFB Onlus offiziell zur Company und hat weitere **200.000 Euro** zur Unterstützung vom Projekt nach Columbus überwiesen.

Ab 2012 ist dieses Projekt – durchführt von Professor Jerry Mendell beim Nationwide Childrens Hospital von Columbus, Ohio in den USA – ausschließlich von der GFB Onlus finanziert worden, mit einem Gesamtbetrag von 1.322.500 Dollar. Die in diesen Jahren erfolgten Ergebnisse wurden in zwei wissenschaftlichen Magazinen veröffentlicht und die präklinische Phase, dank dem Streben von der GFB Onlus als einzigem Finanzierer, wurde zu Ende geführt.

„Aber gerade im letzten Jahr hat die GFB Onlus gefürchtet, es allein bei der Entwicklung dieser Therapie nicht zu schaffen – erzählt Beatrice Vola, Präsidentin von der GFB Onlus – die Zukunft sah düster aus...aber dieses Jahr ist die Wende gekommen und nach einem Jahr, wo uns der Mangel an Geld zu einem Stop gezwungen hatte, kann jetzt endlich das amerikanische Projekt wieder losgehen.“

So fängt es für die GFB Onlus eine neue Ära an, in der sie nicht mehr allein mit der Finanzierung dieses Projekts ist: weitere Gruppen von amerikanischen Familien haben sich diesem Projekt angeschlossen. Diese haben eine ähnliche Geschichte wie die GFB Onlus, das betont nämlich ,dass, was in Italien geschieht auch anderswo passiert, wo die Mittel grösser zu sein scheinen. Die Kinder von diesen Familien leiden an einer unbekannten Krankheit, es gibt keine Vereine, die die Forschung finanzieren und die Familien fühlen sich verlassen, so entscheiden sie sich selbst Vereine zu gründen, die in diesem Bereich tätig sind. Jetzt schließen sich diese Vereine mit der GFB Onlus in der Company Myonexus zusammen und zusammen werden sie stärker sein!

Die Company hat sich zur Suche immer zahlreicher Finanzierer aktiviert und schon eine wichtige amerikanische Gesellschaft ist dazu gekommen: es handelt sich um die REV 1 Ventures. Andere Vereine kommen außerdem mit dem Exekutivdirektor der Gesellschaft, Doktor Michael Triplett, in Kontakt. Weitere Informationen unter [www.myonexustx.com](http://www.myonexustx.com) .

“Das Programm der Company ist sehr ambitioniert, innerhalb 2017 werden fünf neue Therapien zur Behandlung der Kettenraupendystrophien (LGMD2B-2C-2D-2E-2L) erfolgen – erzählt Vola begeistert -. Dieses Jahr geht die Experimentierung an Patienten 2E los, gerade aus dem eigentlichen von der GFB Onlus finanzierten Projekt, um die nächsten vier Jahren zur Behandlung der anderen 4 Krankheiten überzugehen. Auf systemischem Weg werden die ersten 6 Patienten geimpft, mit viel größeren Dosierungen. Die Therapie wird sich in dem ganzen Körper erweitern, einschließlich des Herzens. 2017 werden fast 2.000.000 Millionen Dollar für die Versuche an der 2E ausgegeben. Im Jahr 2020 werden dann andere viel weitere Versuche, immer an der 2E, durchgeführt, die viel mehr Patienten interessieren werden.“

Die GFB Onlus engagiert sich, um andere Finanzierer zu finden, die sich der Company anschließen und um ein anderes wichtiges Ziel zu erreichen: **die Therapie innerhalb weniger Jahre nach Mailand zu bringen – im Jahr 2020**

. Mit dieser Perspektive hat die GFB ONlus die Kampagne „Pflegen wir sie 4.0“ gestartet, um die Lebensqualität der Patienten mit Kettenraupendystrophie zu verbessern.

“All das scheint nur noch ein Traum für die Mitglieder des Vereins zu sein – fährt Beatrice Vola fort - aber das hat sich dank der zahlreichen Unterstützer als möglich erwiesen, insbesondere derer, die am Darlehen „Terzo Valore“ teilgenommen haben und derer, die die erste Sms-Kampagne der GFB Onlus unterstützt haben, die im Mai erfolgt ist. Dank der gesammelten Beträge sind wir wahrscheinlich schon in der Lage, eine weitere Überweisung an die Company im nächsten Jahr zu unternehmen. Der Verein dankt den Freunden von Lucia Ciaponi, der Familien aus Rom, Ancona, Viareggio, Lecco, Como, Sondrio, einer französischen Familie und den teilnehmenden Vereinen, der Cooperativa Orizzonte, der Pro Loco von Paniga, der Gruppo Presepe Ca Giovanni, der Theatergruppe Amici Anziani, Tecnici Senza Barriere, den Skifreunden, dem Nuovo Pignone von Talamona, der Associazione Amici del Bambino, den Sektionen Uildm von Sondrio und Lecco, der Arbeitsgruppe des Vereins Amici degli Anziani“.

Weitere Informationen unter <http://beta-sarkoglykanopatie.de>

## 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 ZWEITE PHASE DES AMERIKANISCHEN PROJEKTS**

## **GFB ONLUS IST VERÖFFENTLICHT WORDEN**

Am 5. April 2017 hat das Magazin Molecular Therapy den Bericht "*Systemic AAV-Mediate  $\beta$ -Sarcoglycan Delivery Targeting and Skeletal/Muscle Ameliorates Histological and Functional Deficits in LGMD2E Mice*"  
eröffentlicht. Der Bericht informiert über den zweiten Teil der präklinischen Phase des Projekts der Gen-Therapie, das von der GFB Onlus finanziert worden ist.

Der Bericht ist unter <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/28284983> zu lesen

---

## **ANDERE PATIENTEN VON LGMD2C ZUR GFB**

## **ONLUS HINZUGEKOMMEN**

In den letzten Monaten hat die GFB ONLUS weitere Patienten herausgefunden, die an Lgmd2c-2d-2e leiden. Diese Patienten kommen aus Tunesien, Philippinen, USA und Italien (Pescara). Insgesamt gehören zur Zeit der GFB 203 Patienten mit Sarkoglykanopathie wie in der folgenden Tabelle an:



LGMD2C

LGMD2D

LGMD2E

LGMD2F

2010

0

1

5

0

SARKOGLICK

2013

4

15

14

1

2014

9

28

21

1

2015

12

54

28

1

2016

23

77

70

1



3

2017

28

85

86

1

3

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

## **DIE GFB ONLUS HAT AM WORKSHOP ENMC TEILGENOMMEN**

Im März hat Professor Yvan Torrente die GFB Onlus beim vom ENMC (European Neuro Muscular Centre) in Narden, Holland organisierten Workshop vertreten. Titel vom Workshop „Limb Girdle Muscular Dystrophies, Nomenclature and reformed Classification“. Auf dem Workshop wurde eine neue Nomenklatur für die Kettenraupen-Dystrophien definiert.

<http://www.enmc.org/publications/workshop-reports/limb-girdle-muscular-dystrophies-nomenclature-and-reformed-classification>

---

## **DIE GFB ONLUS HAT AN DER CONVENTION TELETHON TEILGENOMMEN**

Doktor Carles Sanchez Riera, Mitglied der ärztlich-wissenschaftlichen Kommission, hat im März die GFB Onlus bei der Convention in Riva del Garda vertreten. Er hat nämlich am Zusammentreffen der Vereine Freunde von Telethon und am Meeting del Coordinamento Associazioni Malattie Neuromuscolari CAMN teilgenommen.

---

## **DIE GFB ONLUS HAT WEITERE BEITRÄGE BEKOMMEN**

Die GFB Onlus hat folgende Beiträge bekommen:

2017

|       |               |
|-------|---------------|
| _____ | <b>82.435</b> |
|-------|---------------|

Quote prestito Terzo Valore,

Proloco di Paniga, Tecnici Senza Barriere,

sezione UILDM di Lecco, Amici Sciatori e 27privati

|               |          |
|---------------|----------|
| <b>51.565</b> | <b>€</b> |
|---------------|----------|

Donazioni Terzo Valore,

amici di Luca Ciaponi, Cooperativa Orizzonte,

compagnia teatrale Amici Anziani, gruppo Presepe

Cà Giovanni, associazione Amici del Bambino,

sezione Uildm di Sondrio e 34 privati

|                 |                                         |
|-----------------|-----------------------------------------|
| <b>65.600 €</b> | Prestito Banca Prossima                 |
| <b>18.526 €</b> | Biglietti lotteria GFB                  |
| 225 €           | Tessere sostenitori GFB                 |
| <b>9.872 €</b>  | Contributo 5x1000 relativo al 2015      |
| 50 €            | Donazione NN per la ricerca scientifica |

|                 |                                                                |
|-----------------|----------------------------------------------------------------|
| 100 €           | Donazione NN per la ricerca scientifica                        |
| 20 €            | Donazione NN per la ricerca scientifica                        |
| 150 €           | Donazione Coscritti 1941 di Talamona                           |
| 30 €            | Donazione NN per la ricerca scientifica                        |
| 50 €            | Donazione NN per la ricerca scientifica                        |
| 100 €           | Donazione NN per la ricerca scientifica                        |
| 1.200 €         | Donazione NN per la ricerca scientifica dalla Francia          |
| 100 €           | Donazione NN per la ricerca scientifica                        |
| 500 €           | Donazione NN per la ricerca scientifica                        |
| 200 €           | Coscritti 1949 di Talamona in memoria di Vito                  |
| 500 €           | Gruppo di lavoro Associazione Amici Anziani Talamona           |
| 1.300 €         | Donazione Nuovo Pignone GE                                     |
| <b>5.973,09</b> | € Bando Home Care Premium                                      |
| 20 €            | Donazione NN per la ricerca scientifica                        |
| 250 €           | Donazione NN per la ricerca scientifica                        |
| <b>11.530</b>   | € Convenzioni con Enti Pubblici                                |
| 500 €           | Donazione NN per la ricerca scientifica                        |
| 20 €            | Donazione NN per la ricerca scientifica                        |
| 50 €            | Donazione NN per la ricerca scientifica                        |
| <b>6.738 €</b>  | Campagna SMS maggio 2017 <a href="#">campagna SMS</a>          |
| 50 €            | Donazione NN per la ricerca scientifica                        |
| 15 €            | Donazione NN per la ricerca scientifica                        |
| 10 €            | Donazione NN per la ricerca scientifica                        |
| 879 €           | Donazione Torneo Cral Nuovo Pignone per la ricerca scientifica |
| 50 €            | Donazione NN per la ricerca scientifica                        |
| 20 €            | Donazione NN per la ricerca scientifica                        |
| 25 €            | Donazione NN per la ricerca scientifica                        |
| 4.000 €         | Donazione NUOVO PIGNONE SRL per la ricerca scientifica         |