

GFB

Gruppo Familiari Beta-sarcoglicanopatie

Via Civasca 112, 23018 Talamona (SO) Italia

Cell. 3280075986, email info@beta-sarcoglicanopatie.it

www.beta-sarcoglicanopatie.it



Newsletter n. 3 - Luglio 2012

Terapia genica per la LGMD2E

Il Dr. Jerry R. Mendell, conferma la sua disponibilità per effettuare uno studio di terapia genica per la cura della Distrofia dei Cingoli tipo 2E (deficit del Beta-sarcoglicano) o LGMD2E.

Abbiamo recentemente parlato (al telefono) con il Dr. Mendell, del Nationwide Children's Hospital di Columbus Ohio, il quale ci ha confermato il suo interesse e la sua disponibilità a replicare e riprodurre gli studi ed il trial già effettuati sulla terapia genica per il trattamento della Distrofia dei Cingoli tipo 2D (deficit dell'Alpha-sarcoglicano), concentrando questa volta le attenzioni e le ricerche sulla terapia genica per la cura della Distrofia dei Cingoli tipo 2E (deficit del Beta-sarcoglicano).

www.beta-sarcoglicanopatie.it

Gene therapy for LGMD2E

Dr. Jerry R. Mendell confirms his availability to perform a gene replacement therapy clinical trial to restore a normal copy of the human b-sarcoglycan gene to the muscle of patients with LGMD2E.

We recently spoke, by phone conference-call, with Dr. Mendell, MD nearby the Nationwide Children's Hospital, Columbus Ohio, U.S.A. He confirmed to us his interest and availability to duplicate researches and clinical trial already performed

on gene therapy approach for the clinical treatment of LGMD2D, focusing this time the attentions on LGMD2E gene therapy.

www.lgmd2e.org

Al via i progetti esplorativi sulle malattie genetiche più neglette

Da Telethon **nuovi fondi per la ricerca sulle malattie più trascurate anche tra quelle rare**: sono stati infatti finanziati undici progetti incentrati su malattie genetiche così neglette da essere di fatto poco o per nulla studiate finora, quali le sarcoglicanopatie.

<http://www.telethon.it/news-video/news/progetti-esplorativi-2012-tutti-ricercatori-finanziati>

At the start exploration projects on genetic diseases more neglected

From Telethon new funds for research on neglected diseases even among those rare: in fact, eleven projects that focus on genetic diseases so as to be neglected in fact little or no study to date, such as sarcoglycanopathy, have been funded.

<http://www.telethon.it/news-video/news/progetti-esplorativi-2012-tutti-ricercatori-finanziati>

Nuovo studio su staminali pluripotenti

Basato sulle iPSC, cellule staminali indotte alla pluripotenza, il nuovo lavoro del team guidato da Francesco Saverio Tedesco e Giulio Cossu, del Dipartimento di Biologia Cellulare e dello Sviluppo presso l'University College London, getta le basi per una nuova strategia per le distrofie muscolari.

<http://www.parentproject.org/italia/news-ricerca/nuovo-studio-su-staminali-pluripotenti.html>

New study of pluripotent stem

Based on the iPSC, the induced pluripotent stem cells, the new work of the team led by Francesco Saverio Tedesco and Giulio Cossu, Department of Cell and Developmental Biology at University College London, lays the groundwork for a new strategy for muscular dystrophies .

<http://www.parentproject.org/italia/news-ricerca/nuovo-studio-su-staminali-pluripotenti.html>

Dr. Thomas Voit discute la terapia genica per le gamma-sarcoglicanopatie.

Il Dr Thomas Voit, pediatra presso l'Università "Pierre e Marie Curie" di Parigi, ha rilasciato un'intervista presso il Centro di terapia genica "Nationwide Children's Hospital" di Columbus in Ohio, per parlare dei risultati di un trial clinico di fase I nella Sarcoglicanopatia LGMD2C, recentemente pubblicato nella rivista Brain, l'undici gennaio 2012.

<http://www.nationwidechildrens.org/dr-thomas-voit-discusses-gamma-sarcoglycan-gene-therapy-march-2012>

Dr. Thomas Voit discusses the gene therapy for the gamma-sarcoglycans.

Dr. Thomas Voit, pediatrician at the University "Pierre et Marie Curie" in Paris, gave an interview at the Center for Gene Therapy "Nationwide Children's Hospital" in Columbus, Ohio, to discuss the results of a clinical trial phase I in the sarcoglycanopathy LGMD2C, recently published in the journal Brain, the January 11, 2012.

<http://www.nationwidechildrens.org/dr-thomas-voit-discusses-gamma-sarcoglycan-gene-therapy-march-2012>

Il sito del GFB è stato completato.

Il GFB ha completato le versioni inglese e tedesca del sito www.beta-sarcoglicanopatie.it. Un immenso ringraziamento a tutti coloro che hanno lavorato alle traduzioni: Alice, Gianpiero, Paola, Annalisa, Milena, Luca, Andrea, Emanuela e al webmaster Cesare.

The website of the GFB has been completed.

The GFB has completed the English and German versions of site www.lgmd2e.org. A big thank you to everyone who worked on the translations: Alice, Gianpiero, Paola, Annalisa, Milena, Luca, Andrea, Emanuela and the webmaster Cesare.
