



GFB

## Gruppo Familiari Beta-sarcoglicanopatie Onlus

Via Civasca 112, 23018 Talamona (SO) Italia  
Cell. 3280075986, email [info@beta-sarcoglicanopatie.it](mailto:info@beta-sarcoglicanopatie.it)  
[www.gfbonlus.it](http://www.gfbonlus.it)

---

## Newsletter n. 1 - Gennaio 2018

### LA MYONEXUS THERAPEUTICS HA ANNUNCIATO LA CHIUSURA DEL PRIMO ROUND DI FINANZIAMENTO DI 2,5 MILIONI DI DOLLARI

Il 13 dicembre la Myonex Therapeutics ha pubblicato la chiusura del primo round di finanziamento, pari a 2,5 milioni di dollari. Tra i finanziatori è stato citato il GFB Onlus, unico ente europeo presente, molto onorato di partecipare con questi prestigiosi enti americani: CINCY TECH - LLC - Rev1 Ventures - JAIN FOUNDATION.

Il comunicato completo è disponibile al link: <https://www.businesswire.com/news/home/20171213005559/en>

---

### PRIMO PAZIENTE DUCHENNE TRATTATO CON LA TERAPIA GENICA

Il 4 gennaio scorso è stato trattato con la terapia genica a Columbus il primo paziente con distrofia di Duchenne, dall'equipe del prof. Jerry Mendell. Il trattamento è stato sistemico, per tutti i muscoli, compreso il muscolo cardiaco. Al seguente link l'articolo completo:

<http://community.parentprojectmd.org/m/blogpost?id=1187424%3ABlogPost%3A245554>



## IL CONSIGLIO DIRETTIVO DEL GFB ONLUS HA NOMINATO I SUOI PRIMI REFERENTI TERRITORIALI

Il GFB Onlus sta organizzando una rete territoriale di collaboratori, principalmente sul territorio italiano, ma sono partite due sezioni anche in Spagna e Francia. Il Consiglio Direttivo ha infatti nominato i primi referenti territoriali, 18 in Italia, ma molte province e regioni non hanno ancora alcun riferimento. E' possibile comunque candidarsi per le zone ancora prive di collaboratori. L'elenco completo e aggiornato dei referenti si può consultare al link:

[http://www.beta-sarcoglicanopatie.it/index.php?option=com\\_content&view=article&id=202&Itemid=116](http://www.beta-sarcoglicanopatie.it/index.php?option=com_content&view=article&id=202&Itemid=116)

### REFERENTE NAZIONALE:

**Vola Beatrice** [info@beta-sarcoglicanopatie.it](mailto:info@beta-sarcoglicanopatie.it) cell. 3280075986

### REFERENTI TERRITORIALI:

#### EMILIA ROMAGNA

MODENA **Pedroni Stefania** [stefania.pedroni@alice.it](mailto:stefania.pedroni@alice.it) cell. 3407971086

#### LAZIO

ROMA **Sanchez Carles Riera** (Ricercatore e membro della Commissione Medico-scientifica del GFB ONLUS) - [carles.sanchezr@gmail.com](mailto:carles.sanchezr@gmail.com) cell 3342813523

**Mizzon Amerigo** - [amerigomizzon@gmail.com](mailto:amerigomizzon@gmail.com) cell. 3471961365

#### LIGURIA

GENOVA **Silva Giorgia Alberta** - [giorgialbertasilva@gmail.com](mailto:giorgialbertasilva@gmail.com) cell 3297273993

**Toti Oliva Ercole** - [ercole.oliva.toti@gmail.com](mailto:ercole.oliva.toti@gmail.com) cell 3927292587

#### LOMBARDIA

LECCO **Rigoni Laura** - [larigoni@alice.it](mailto:larigoni@alice.it) cell 3482905705

MILANO **Gonella Andrea** - [aagonel@libero.it](mailto:aagonel@libero.it) cell. 3333785878

SONDRIO **Vola Beatrice** - [info@beta-sarcoglicanopatie.it](mailto:info@beta-sarcoglicanopatie.it) cell 3280075986

**Cerri Cristina** - [cricerri75@gmail.com](mailto:cricerri75@gmail.com) cell 3341372028 facebook Cerri Cristina

COMO **Marinoni Elena** - [marinoni.elena@alice.it](mailto:marinoni.elena@alice.it) - cell 3381318401 facebook elena marinoni

#### PIEMONTE

ALESSANDRIA **Ferrari Piemauro Orietta Olivieri** - [orietta.ovada@libero.it](mailto:orietta.ovada@libero.it)

#### PUGLIA

BRINDISI **Roberta** - 3343373227

#### SICILIA

CALTANISSETTA **Gallina Rosaria** - [gallina.rosaria@alice.com](mailto:gallina.rosaria@alice.com) [gallina.rosaria@outlook.it](mailto:gallina.rosaria@outlook.it)

#### TOSCANA

LUCCA **Lenci Alessia** - [lenci.alessia@gmail.com](mailto:lenci.alessia@gmail.com) cell. 349/6949325

#### VENETO

VENEZIA **Sandra Palma** - [menegao@virgilio.it](mailto:menegao@virgilio.it)

VICENZA **Pozzan Emanuela** [spadema@libero.it](mailto:spadema@libero.it) cell. 3474252996

TREVISO **Muraro Alessia** [muraroalessia92@gmail.com](mailto:muraroalessia92@gmail.com) cell. 3337230066

**Cavarzan Lucia** [cavarzanlucia@libero.it](mailto:cavarzanlucia@libero.it) cell. 3317751345

## ESTERO

**SPAGNA Sanchez Carles Riera** (Ricercatore e membro della Commissione Medico-scientifica del GFB ONLUS) - [carles.sanchezr@gmail.com](mailto:carles.sanchezr@gmail.com) cell 3342813523

**FRANCIA Olivier Mansour** - [omansour@gmail.com](mailto:omansour@gmail.com) cell +33621132384

---

## OMAR OSSERVATORIO MALATTIE RARE INTERVISTA IL GFB ONLUS

Il GFB Onlus ringrazia Enrico Orzes per l'attenzione dedicata alle attività del GFB Onlus nell'articolo pubblicato su OMAR Osservatorio Malattie Rare, dal titolo "Distrofie e atrofie muscolari, la terapia genica avanza a grandi passi". Al seguente link c'è l'articolo completo:

<https://www.osservatoriomalattierare.it/ricerca-scientifica/13085-distrofie-e-atrofie-muscolari-la-terapia-genica-avanza-a-grandi-passi>

---

## CONFERITO IL PREMIO "RICCI D'ORO 2017" AL GFB ONLUS

Il 22 dicembre l'amministrazione comunale di Talamona ha conferito al GFB Onlus il premio "Ricci d'Oro 2017" per gli importanti traguardi conseguiti attraverso il finanziamento della ricerca sulle Distrofie dei Cingoli che ha portato alla pubblicazione di importanti articoli su riviste scientifiche internazionali e all'ottenimento dell'autorizzazione da parte della FDA – Food and Drugs Administration (Agenzia Americana del Farmaco) alla somministrazione di una più completa ed efficace terapia genica per la cura delle distrofie.



## INTERVISTA SU FINESTRAPERTA.IT A CARLES SANCHEZ RIERA

Il Dr. Sanchez, membro della commissione medico-scientifica del GFB Onlus, ha parlato su FinestrAperta di terapia genica, in riferimento alle ottime notizie che recentemente sono giunte dall'Ohio. Ha spiegato di cosa si tratta, delle grandi prospettive dagli USA, del trattamento per la SMA1, delle altre malattie che potranno beneficiare di questa terapia. Infine Sanchez ha aggiunto qualche nota su sé stesso. Si può leggere l'intervista completa al link:

<http://www.finestraperta.it/terapia-genica-ottime-notizie-dallohio/>

---

## ALTRI CONTRIBUTI SONO GIUNTI AL GFB ONLUS

Il GFB Onlus ha ricevuto i seguenti contributi:

450 € Donazione NN per la ricerca scientifica da Lecco  
80 € Donazione NN per la ricerca scientifica  
80 € Donazione coscritti 1942 di Talamona  
75 € Donazione NN per la ricerca scientifica dalla Francia  
1000 € Contributo Fondazione Credito Valtellinese  
200 € Donazione NN per la ricerca scientifica dalla Francia  
500 € Donazione NN per la ricerca scientifica  
20 € Donazione NN per la ricerca scientifica  
1000 € Donazione NN per la ricerca scientifica dalla Francia  
20 € Donazione NN per la ricerca scientifica  
100 € Donazione NN per la ricerca scientifica dalla Francia  
200 € Donazione NN per la ricerca scientifica  
150 € Donazione NN per la ricerca scientifica  
50 € Donazione NN per la ricerca scientifica  
300 € Donazione NN per la ricerca scientifica  
200 € Donazione NN per la ricerca scientifica  
300 € Donazione NN per la ricerca scientifica  
100 € Donazione NN per la ricerca scientifica  
1500 € Donazione NN per la ricerca scientifica  
50 € Donazione NN per la ricerca scientifica dalla Francia  
1000 € Donazione NN per la ricerca scientifica  
70 € Donazione NN per la ricerca scientifica dalla Francia  
50 € Donazione NN per la ricerca scientifica dalla Francia  
350 € Donazione NN per la ricerca scientifica da Como

---

## ALTRI PAZIENTI AFFETTI DA DISTROFIA DEI CINGOLI AL GFB ONLUS

Nell'ultimo mese il GFB ONLUS ha individuato altri 20 pazienti affetti da Lgmd2c-2d-2e-2f. Questi pazienti provengono da Brasile, Spagna, USA e Iran. In totale il GFB conta ora 245 pazienti affetti da Sarcoglicanopatia, ripartiti secondo la seguente tabella:

	LGMD2C	LGMD2D	LGMD2E	LGMD2F	SARCOGL.
2010	0	1	5	0	
2013	4	15	14	1	
2014	9	28	21	1	
2015	12	54	28	1	
2016	23	77	70	1	3
2017	37	104	97	4	3

Sul sito dell'associazione è riportato l'elenco dei pazienti ordinato per provenienza geografica al 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)

---

## 5x1000 AL GFB ONLUS

Potete sostenere il GFB Onlus con il vostro 5x1000, nella dichiarazione dei redditi annuale basterà inserire il codice fiscale **91015450140** nel riquadro "onlus" e firmare nello spazio sottostante.

Contributi 5x1000 ricevuti dal GFB ONLUS:

relativo alle donazioni del 2013,	<b>3.691,70 €</b>
relativo alle donazioni del 2014,	<b>8.048,46 €</b>
relativo alle donazioni del 2015,	<b>9.872,00 €</b>

---

## UN COMPLEANNO DAVVERO PARTICOLARE

Norma è un genio, ecco cosa si è inventata per sostenere il GFB Onlus. Festeggia il suo compleanno in modo alquanto particolare, destinando tutti i suoi regali al GFB Onlus. Un'iniziativa davvero singolare, che grazie a internet e a BuonaCausa è molto semplice da realizzare.

Ecco come ha presentato l'iniziativa:

*Tra pochi giorni compiro' 26 anni e sarò ufficialmente piu' vicina ai 30 che ai 20. Questo però non mi turba minimamente perché sono ormai sempre piu' convinta che invecchiare sia un PRIVILEGIO.*

*Quest'anno è un compleanno veramente speciale per me poiché mi ritrovo a non volere piu' nulla: credo di avere veramente TUTTO ciò che una persona possa desiderare, se non di piu'.*

*Per questo chiedo a tutti gli amici che pensavano di farmi un regalo, di non farlo, o meglio: ho creato una raccolta fondi per una causa in cui credo molto.*

*Nell'estate 2016 ho conosciuto la famiglia Perlini, e da subito mi sono entrati e rimasti nel cuore. La super mamma [Beatrice Vola](#) si impegna da anni in prima persona per l'associazione [gfbonlus](#) a favore della ricerca per una rara forma di distrofia muscolare.*

*Se proprio ci tenete, vi chiedo di donare a favore di questo progetto; anche il piu' piccolo contributo mi renderà immensamente felice!*

<https://buonacausa.org/cause/beta-sarcoglicanopatie>



**Auguri** di Buon compleanno da tutti noi!

## **PROSSIMI APPUNTAMENTI DEL GFB ONLUS**

---

### **CONTINUA LA RACCOLTA DI GIOCHI E LIBRI USATI**

La maratona del GFB ONLUS continua con la raccolta di libri e giochi usati, che verranno esposti a vari mercatini solidali. Chi ha materiale da consegnarci lo può lasciare nei nostri punti di raccolta:

Oscar Cap, Erboristeria natura infinita, Grotta di sale - Morbegno

Pancaffe', Immagine acconciature, Intimo perlini, Il tempo delle mele – Talamona

Possibilità anche di ritiro a domicilio chiamando il 3484799225 (Marco)