



GFB

Gruppo Familiari Beta-sarcoglicanopatie Onlus

Via Civasca 112, 23018 Talamona (SO) Italia
Cell. 3280075986, email info@beta-sarcoglicanopatie.it
www.gfbonlus.it

Newsletter n. 4 - Maggio 2018

Questa è una newsletter davvero speciale, abbiamo il piacere di darvi questa incredibile comunicazione.

GFB Onlus annuncia che Myonexus, una società di biotecnologia in cui ha investito, ha firmato una partnership esclusiva con Sarepta Therapeutics per l'avanzamento dei programmi di terapia genica mirati al trattamento di diverse forme di distrofia muscolare dei cingoli

18 Maggio, 2018 – Sarepta Therapeutics, Inc. (NASDAQ: SRPT), una società biofarmaceutica in fase commerciale focalizzata sulla scoperta e lo sviluppo di una medicina genetica di precisione per il trattamento di malattie neuromuscolari rare e Myonexus Therapeutics, Inc., un'azienda biotecnologica in fase clinica che sviluppa terapie geniche per varie forme di distrofie muscolari dei cingoli (LGMD), sono entrate in una partnership esclusiva per far avanzare più programmi di terapia genica volti a trattare forme distinte di LGMD.

IL GFB ONLUS

Il GFB Onlus ha preso parte alla firma di questo accordo tra Sarepta e Myonexus, due società di biotecnologia con sede negli Stati Uniti. Il GFB Onlus ha finanziato la maggior parte del lavoro pre-clinico su MYO-101.

Lo scorso giugno, il GFB Onlus di Talamona, provincia di Sondrio, insieme ad altre quattro organizzazioni americane, si è unito a Myonexus Therapeutics per supportare lo sviluppo di terapie geniche per la LGMD. Per anni, il GFB Onlus ha lavorato per portare rapidamente la terapia genica in Europa, e in particolare a Milano. Attualmente, è l'unico ente europeo presente nella company.

L'ACCORDO

Secondo i termini dell'accordo con Myonexus, Sarepta effettuerà un pagamento anticipato di 60 milioni di dollari e ulteriori pagamenti legati allo sviluppo delle terapie e acquisisce un'opzione esclusiva per l'acquisto di Myonexus ad un prezzo fisso pre-negoziato con pagamenti contingenti correlati alle vendite. Se tutti i pagamenti intermedi relativi allo sviluppo sono stati raggiunti, Sarepta effettuerà pagamenti fino a 45 milioni di dollari in un periodo di valutazione di circa due anni. Sarepta ha inoltre la possibilità di acquistare Myonexus in qualsiasi momento, anche dopo aver esaminato i dati di verifica.

“Siamo entusiasti di questo accordo, che non ci aspettavamo. Il coinvolgimento della società biofarmaceutica americana – ha sottolineato **Beatrice Vola, presidente del GFB Onlus** – rappresenta

certamente un ulteriore passo avanti per il progetto di terapia genica sulla LGMD2E, finanziato in questi anni dalla nostra associazione. Con Sarepta i risultati potrebbero arrivare ancora più velocemente. Sono anni che lottiamo per dare ai nostri associati dei riscontri concreti e finalmente pensiamo di essere sulla strada giusta".

IL PROGRAMMA

Il programma è progettato, in caso di successo, per offrire i primi trattamenti correttivi per cinque diverse forme di LGMD. Il più avanzato di questi programmi è MYO-101, che è stato sviluppato per il trattamento della distrofia LGMD2E. MYO-101 ha generato interessanti dati pre-clinici di sicurezza ed efficacia utilizzando il sistema vettoriale AAVrh.74, lo stesso vettore utilizzato nel programma di terapia genica della micro-distrofia che Sarepta sta sviluppando con il "Nationwide Children's Hospital". Lo studio di fase 1 / 2 su MYO-101 è previsto per la metà del 2018. Le aziende prevedono di riportare i primi dati a fine 2018 o inizio 2019. Inoltre, Myonex sta promuovendo MYO-102 per LGMD2D, MYO-103 per LGMD2C, MYO-201 per LGMD2B e MYO-301 per LGMD2L. Come il MYO-101, tutti i programmi si basano sull'utilizzo di un gene restaurativo mediante il vettore AAVrh.74.

SAREPTA THERAPEUTICS

Citando il comunicato stampa diramato il 3 maggio, Doug Ingram, presidente e amministratore delegato di Sarepta, ha dichiarato: "Siamo molto entusiasti di entrare in una partnership che ci dà la possibilità di acquisire, attraverso il diritto di opzione, Myonex. Myonex e il suo focus sulla terapia genica utilizzando il vettore AAVrh.74 per trattare forme di LGMD si allineano brillantemente con la nostra visione di emergere come una delle aziende di medicina genetica di precisione più significative a livello globale, concentrandoci sull'uso della medicina genetica per migliorare la vita di chi ha malattie rare e incurabili. Siamo anche lieti di estendere la nostra collaborazione con la Dottoressa Rodino-Klapac, un famoso leader nel campo della terapia genica. Condividiamo la sua dedizione per portare rapidamente medicine che cambino la vita ai bambini che soffrono e muoiono a causa di malattie genetiche".

LA DR.SSA RODINO KLAPAC LOUISE

La Dottoressa Rodino-Klapac è direttore nel Centro di Terapia Genica presso il Nationwide Children's Hospital e professore associato presso la Ohio State University. Ha dedicato il suo programma di ricerca allo sviluppo di terapie geniche per il trattamento delle distrofie muscolari. È anche capo dell'ufficio scientifico di Myonex e ha lavorato in stretta collaborazione con il Dottor Jerry Mendell per oltre un decennio per portare avanti le terapie alla clinica.

LA FDA DESIGNA MALATTIA PEDIATRICA RARA PER MYO-101

A maggio la FDA ha designato il programma Myo-101 programma per malattia pediatrica rara e questo aiuterà ad accorciare i tempi di approvazione.

Ulteriori informazioni: https://www.eurekalert.org/pub_releases/2018-05/c-mtr051618.php

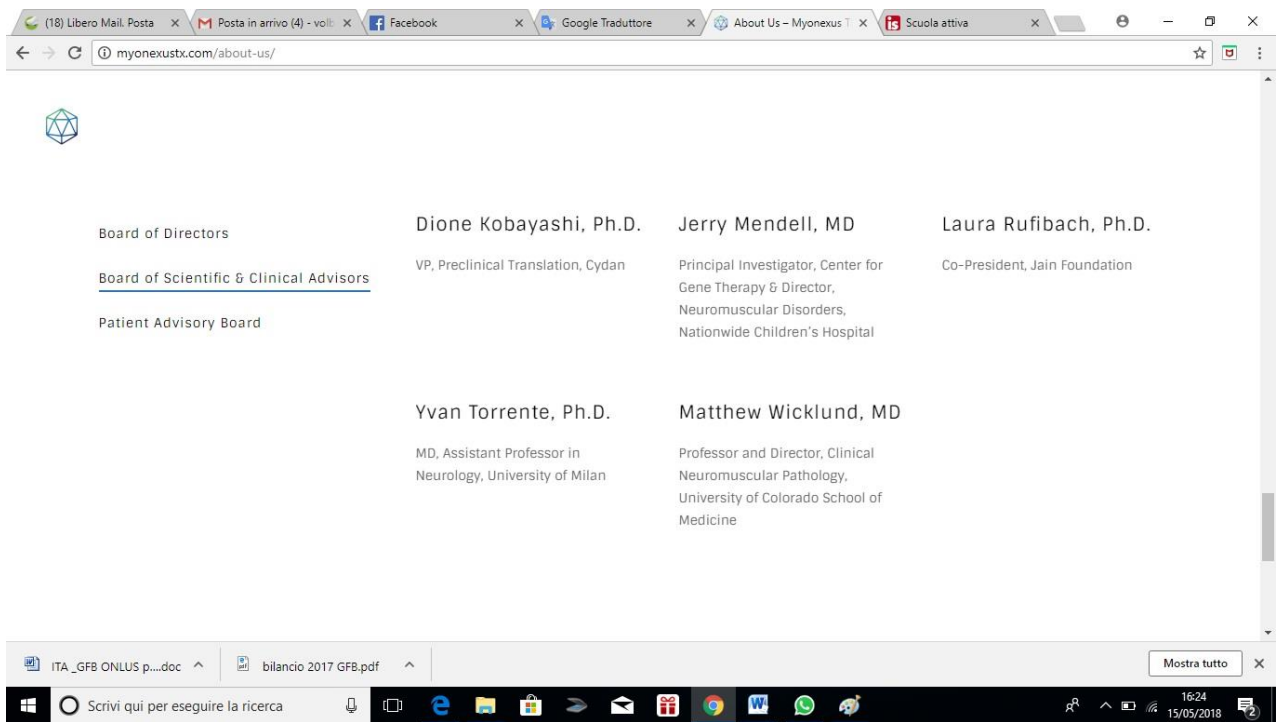
MYO-101 DESIGNATO FARMACO ORFANO PER LA LGMD2E

L'agenzia americana del farmaco FDA ha designato MYO-101 farmaco orfano per il trattamento della nostra distrofia dei cingoli 2E. La company Myonex Therapeutics ha ricevuto questa comunicazione nel mese di aprile.

Ulteriori informazioni al link: https://www.eurekalert.org/pub_releases/2018-04/c-mtr041918.php

IL GFB ONLUS E' NELLE COMMISSIONI DELLA MYONEXUS THERAPEUTICS

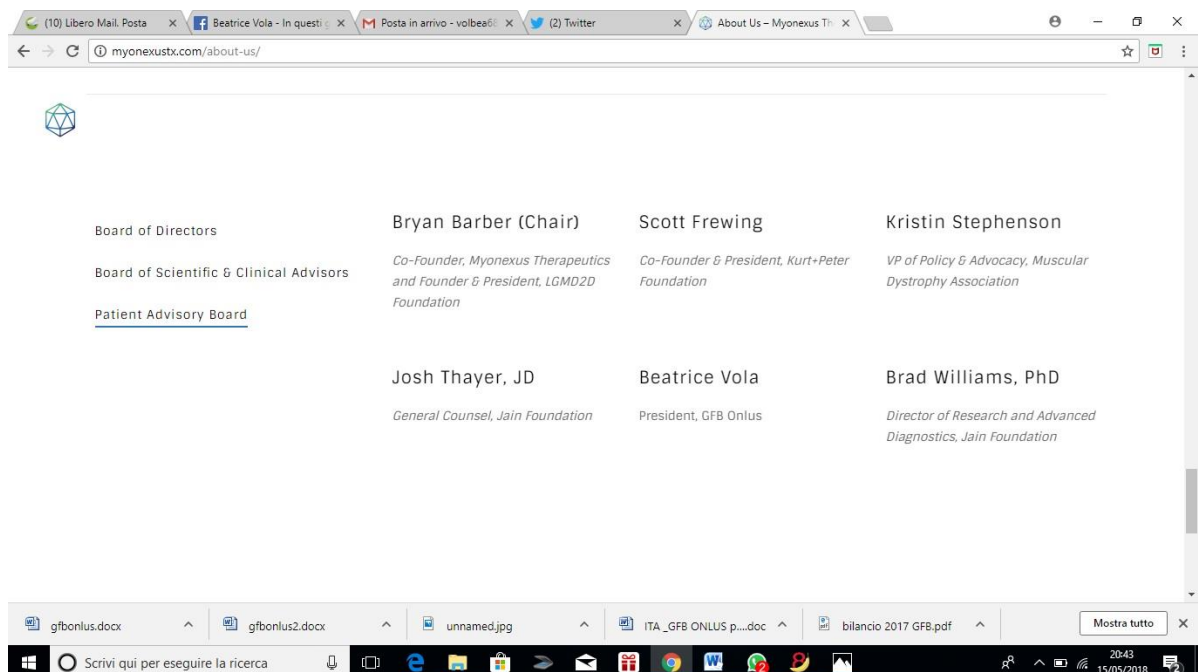
Sono state costituite le commissioni della Myonex Therapeutics. Nella commissione scientifica (SAB Scientific Advisor Board) il GFB è rappresentato dal prof. Yvan Torrente, membro della commissione medico-scientifica del GFB Onlus dal 2014.



The screenshot shows a web browser window displaying the 'About Us' page of Myonex Therapeutics. The page lists the following members of the Board of Scientific & Clinical Advisors:

Board of Directors	Dione Kobayashi, Ph.D.	Jerry Mendell, MD	Laura Rufibach, Ph.D.
Board of Scientific & Clinical Advisors	VP, Preclinical Translation, Cydan	Principal Investigator, Center for Gene Therapy & Director, Neuromuscular Disorders, Nationwide Children's Hospital	Co-President, Jain Foundation
Patient Advisory Board	Yvan Torrente, Ph.D.	Matthew Wicklund, MD	
	MD, Assistant Professor in Neurology, University of Milan	Professor and Director, Clinical Neuromuscular Pathology, University of Colorado School of Medicine	

La commissione dei pazienti (PAB Patient Advisor Board) ha come rappresentante Beatrice Vola, Presidente GFB.



The screenshot shows a web browser window displaying the 'About Us' page of Myonex Therapeutics. The page lists the following members of the Patient Advisory Board:

Board of Directors	Bryan Barber (Chair)	Scott Frewing	Kristin Stephenson
Board of Scientific & Clinical Advisors	Co-Founder, Myonex Therapeutics and Founder & President, LGMD2D Foundation	Co-Founder & President, Kurt+Peter Foundation	VP of Policy & Advocacy, Muscular Dystrophy Association
Patient Advisory Board	Josh Thayer, JD	Beatrice Vola	Brad Williams, PhD
	General Counsel, Jain Foundation	President, GFB Onlus	Director of Research and Advanced Diagnostics, Jain Foundation

A COLUMBUS E' PARTITO UNO STUDIO CLINICO SU 25 PAZIENTI 2E

E' stato pubblicato su clinicaltrials.gov uno studio di due anni, che verrà effettuato al Nationwide Children's Hospital di Columbus su 25 pazienti affetti da LGMD2E. Tutte le informazioni sul trial si possono consultare al link:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/results/NCT03492346>

IL GFB E' BENEFICIARIO DI UNA POLIZZA VITA

Un sostenitore del GFB Onlus in questi giorni ha nominato la nostra associazione come beneficiaria della sua polizza vita in caso di morte. La motivazione è di lasciare il fondo ai malati neuromuscolari. Ringraziamo questo nostro sostenitore per la fiducia dimostrata al nostro gruppo.

CORSO DI SCI PER DISABILI

Anche quest'anno alcuni disabili hanno partecipato al corso di sci per disabili, tenuto dal maestro Bernardi Mauro. Il corso si è tenuto domenica 25 marzo a Chiesa Valmalenco, località Palù (SO). I video della giornata si possono vedere al link <https://www.youtube.com/watch?v=f9gyoh5WzbU&feature=youtu.be>



5x1000 AL GFB ONLUS

Ottimo risultato quest'anno per il 5x1000 relativo al 2016, il GFB Onlus ha preso 11.441,47 €.

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.



GFB Onlus
www.beta-sarcoglianopatie.it

DEVOLVI IL 5X1000 AL GFB ONLUS

Nella prossima dichiarazione dei redditi indica il nostro codice fiscale:

91015450140

(inserire il codice nella casella delle Onlus)

Questo gesto, che non costa nulla, per noi vale molto!

Contributi 5x1000 ricevuti dal GFB ONLUS negli anni precedenti:

relativo alle donazioni del 2013, 3.691,70 €

relativo alle donazioni del 2014, 8.048,46 €

relativo alle donazioni del 2015, 9.872,00 €

relativo alle donazioni del 2016, 11.441,47 €

ALTRI CONTRIBUTI SONO GIUNTI AL GFB ONLUS

Il GFB Onlus ha ricevuto i seguenti contributi:

- 465 € Donazione NN per la ricerca scientifica da Milano
- 20 € Donazione NN per la ricerca scientifica
- 267,7 € Donazione NN per la ricerca scientifica
- 50 € Donazione NN per la ricerca scientifica dalla Francia
- 500 € Donazione NN per la ricerca scientifica
- 99,39 € Donazione Pancaffè di Gusmeroli Talamona per la ricerca scientifica
- 20 € Donazione NN per la ricerca scientifica dalla Francia
- 500 € Donazione Gruppo di lavoro Associazione Amici Anzani per la ricerca scientifica
- 50 € Donazione NN per la ricerca scientifica
- 50 € Donazione NN per la ricerca scientifica
- 100 € Donazione NN per la ricerca scientifica da Alessandria
- 20 € Donazione NN per la ricerca scientifica
- 50 € Donazione NN per la ricerca scientifica
- 100 € Donazione NN per la ricerca scientifica
- 170 € Donazione NN per la ricerca scientifica
- 50 € Donazione NN per la ricerca scientifica
- 1000 € Donazione NN per la ricerca scientifica

200 € Donazione NN per la ricerca scientifica
94,85 Donazione NN per la ricerca scientifica
25 € Donazione NN per la ricerca scientifica
50 € Donazione NN per la ricerca scientifica
150 € Donazione NN per la ricerca scientifica
50 € Donazione NN per la ricerca scientifica dalla Patagonia
500 € Donazione NN per la ricerca scientifica
1300 Donazione Cral Nuovo Pignone Talamona per la ricerca scientifica
2000 Donazione NN per la ricerca scientifica
20 € Donazione NN per la ricerca scientifica

ALTRI PAZIENTI AFFETTI DA DISTROFIA DEI CINGOLI AL GFB ONLUS

Nell'ultimo mese il GFB ONLUS ha individuato altri 147 pazienti affetti da Lgmd2c-2d-2e-2f. Questi pazienti provengono da Svizzera, Germania, Siria, Turchia, Finlandia, Canada, Svezia, USA, UK, India e Francia. In totale il GFB conta ora 395 pazienti affetti da Sarcoglicanopatia, ripartiti secondo la seguente tabella:

	LGMD2C	LGMD2D	LGMD2E	LGMD2F	SARCOGL.
2010	0	1	5	0	
2013	4	14	14	1	
2014	9	27	21	1	
2015	12	50	25	1	
2016	23	77	69	1	3
2017	37	104	97	4	3
2018	130	150	108	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