



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. 7 - Dicembre 2018

## CERCHIAMO VOLONTARI

Il Nationwide Children's Hospital a Columbus Ohio, USA sta reclutando pazienti affetti da LGMD2E (beta-sarcoglicanopatia) per un trial clinico di terapia genica.

Ci sono diversi criteri per l'ammissione al trial. I più significativi sono che i pazienti devono:

1. Avere mutazioni in entrambi i geni beta-sarcoglicani;
2. Avere almeno 4 anni, ma non più di 15 anni;
3. Avere una debolezza fisica che influenza le attività muscolari;
4. Essere in grado di camminare – deambulante.

I pazienti fuori dagli Stati Uniti possono partecipare.

La descrizione del trial clinico, la lista completa dei criteri di inclusione ed esclusione, e i contatti per i coordinatori dello studio sono disponibili al link:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03652259>

In aggiunta alla 2E, il Nationwide Children's Hospital e la Myonex Therapeutics stanno lavorando alle terapie geniche per altre forme genetiche di distrofie dei cingoli, che includono la 2B, 2C, 2D e 2L. Come nel corrente trial della LGMD2E, anche gli altri trial clinici per la distrofia muscolare richiedono una diagnosi genetica.

Se tu hai i sintomi di una distrofia dei cingoli ma non hai una diagnosi genetica, questa pagina ha una lista di siti che offrono diagnosi genetiche per le distrofie dei cingoli:

[https://www.jain-foundation.org/patient-physician-resources/diagnostic-resources/diagnostic-testing-options?fbclid=IwAR3F1N000J2mEvIVJbCTAasfs5cuOCMez\\_nSI5hfVOW49jzoT4t217874](https://www.jain-foundation.org/patient-physician-resources/diagnostic-resources/diagnostic-testing-options?fbclid=IwAR3F1N000J2mEvIVJbCTAasfs5cuOCMez_nSI5hfVOW49jzoT4t217874)

---

## MYONEXUS THERAPEUTICS HA ANNUNCIATO L'INIZIO DEL PRIMO TRIAL CLINICO PER LA BETA-SARCOGLICANOPATIA O DISTROFIA DEI CINGOLI DI TIPO 2E

Myonex Therapeutics, una società di terapia genica in stadio clinico che sviluppa le prime terapie geniche correttive per le distrofie muscolari dei cingoli (LGMD), in collaborazione con il Nationwide Children's Hospital Center for Gene Therapy e Sarepta Therapeutics, ha annunciato l'avvio di una sperimentazione clinica per valutare MYO-101, un nuovo candidato alla terapia genica per la beta-sarcoglicanopatia, nota anche come LGMD2E. L'obiettivo è quello di fornire al muscolo scheletrico e cardiaco un gene che codifica e consente un'espressione robusta e

funzionale della proteina beta-sarcoglicano, la cui mancanza causa l'LGMD2E. Il primo paziente nella corte 1 dello studio è stato somministrato all'inizio di ottobre e tutti i pazienti nella corte 1 sono stati somministrati nel 2018, con dati attesi all'inizio del 2019.

Ulteriori informazioni al link:

[https://www.businesswire.com/news/home/20181108005462/en/Myonex-Therapeutics-Announces-Initiation-Trial-First-Ever-Gene?fbclid=IwAR0fT59Cq1EYXeja6InDM-vBE-3P8a3I21Fm\\_VltclNwa8WU8feDPCFFXAg](https://www.businesswire.com/news/home/20181108005462/en/Myonex-Therapeutics-Announces-Initiation-Trial-First-Ever-Gene?fbclid=IwAR0fT59Cq1EYXeja6InDM-vBE-3P8a3I21Fm_VltclNwa8WU8feDPCFFXAg)

---

## 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-sarcoglicanopatie.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 €

---

*Buon Natale  
e  
Felice Anno Nuovo*

