



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. 1 - Marzo 2019

OTTIMI RISULTATI PRELIMINARI PUBBLICATI QUESTA SETTIMANA SUL PROGETTO DI TERAPIA GENICA FINANZIATO DA GFB ONLUS

Il 27 febbraio la società Sarepta ha pubblicato i risultati preliminari sul primo trial di terapia genica effettuato sui pazienti affetti da LGMD2E a Columbus Ohio, USA. Programma in cui i primi tre pazienti trattati hanno dimostrato l'espressione robusta e diffusa della proteina beta-sarcoglicano. In seguito a questi promettenti risultati Sarepta ha annunciato che acquisirà Myonex Therapeutics .

Qui i risultati pubblicati

http://investorrelations.sarepta.com/static-files/cc8c9c7f-89e0-4d2a-b9e0-5a8f0da3aa8b?fbclid=IwAR3kS6lfeWKP_pfAtZWfNnDhH2mfMFoUQgjpMumSYI5QkTULUX1qCKDOb3A

Qui l'acquisizione di Myonex

<https://myonexustx.com/2019/02/27/myonex-therapeutics-receives-fda-rare-pediatric-drug-designation-pioneering-treatment-limb-girdle-muscular-dystrophy-type-2e-2-2-2/>

SAREPTA: è 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.

MYONEXUS THERAPEUTICS: è un'azienda di terapia genica in stadio clinico che sviluppa terapie geniche correttive di primo livello per distrofia muscolare dei cingoli (LGMD). Gfb Onlus è membro di Myonex.

MYONEXUS THERAPEUTICS HA OTTENUTO LA DESIGNAZIONE DI FARMACO ORFANO PER MYO-102, LA TERAPIA GENICA PER LA DISTROFIA DEI CINGOLI LGMD2D.

New Albany , Ohio, 2 gennaio 2019 - Myonex Therapeutics ha annunciato che la FDA americana ha concesso la designazione di farmaco orfano per Myo-102, un nuovo candidato per la terapia genica sulla distrofia dei cingoli LGMD2D.

"La designazione di farmaco orfano da parte della FDA è un'importante pietra miliare nel percorso di sviluppo di MYO-102 e riflette il suo potenziale per affrontare una notevole esigenza medica insoddisfatta nel trattamento della LGMD2D", ha dichiarato Michael Triplett, Ph.D., Presidente e Amministratore delegato di Myonex. "Mentre pianifichiamo la nostra prima sperimentazione clinica umana sistemica, puntiamo a costruire i risultati promettenti

della nostra ricerca fino ad oggi e speriamo che i nostri candidati alla terapia genica possano un giorno essere in grado di trasformare la vita dei pazienti e delle famiglie che si prendono cura di loro."

<https://myonexustx.com/2019/01/02/myonexus-therapeutics-receives-fda-rare-pediatric-drug-designation-pioneering-treatment-limb-girdle-muscular-dystrophy-type-2e-2-2/>

#CAPIAMOCI - E' IN CORSO LA SECONDA EDIZIONE DEL CORSO DI FORMAZIONE

Terminerà martedì 5 marzo la seconda edizione del corso di formazione #capiamoci organizzato da GFB Onlus. Sono aperte le iscrizioni alla terza edizione, scrivendo a capiamoci.formazione@gmail.com.

Per ulteriori informazioni consultare il sito www.capiamoci.it

QUINTA INTERVISTA DEL GFB ONLUS SU RAI 3

Il 15 gennaio Rai 3 ha trasmesso il quinto servizio di #spaziolibero, interamente dedicato al GFB Onlus, un servizio autentico, concreto, in cui traspare la vera natura dell'associazione e il sogno di queste famiglie, che da fantascienza diventa via via sempre più concreto.

Al seguente link si può rivedere l'intero servizio: http://www.rai.it/dl/RaiTV/programmi/media/ContentItem-9b7b0b6c-7e60-4b62-add0-71b9d13d8e14.html?fbclid=IwAR2SerbcGywx4yx5vwD1yqBggiATEeFrS1Su5I9-GgMtjQJR_LcCAnKOkg



PROSSIMI APPUNTAMENTI DEL GFB ONLUS

25-28 marzo 2019 – Il Dr. Carles Sanchez Riera, membro della commissione medico-scientifica del GFB Onlus, rappresenterà l'associazione al congresso Myology 2019 a Bordeaux (Francia), organizzato dall'associazione francese AFM Telethon.

29 aprile – 2 maggio 2019 – Il prof. Yvan Torrente, membro della commissione medico-scientifica del GFB Onlus, parteciperà al secondo incontro del SAB (Scientific Advisor Board) di Myonex, al congresso ASGCT di Washington.

16 maggio 2019 ore 21 – Il GFB Onlus sarà presente alle Manifestazioni Nazionali Uildm di Lignano Sabbiadoro. Al termine dell'incontro sullo sport e la disabilità, i delegati del GFB Onlus incontreranno i pazienti interessati agli ultimi aggiornamenti sulle attività dell'associazione. Si consiglia di confermare la partecipazione a info@beta-sarcoglicanopatie.it

31 agosto – 2 settembre 2019 – Beatrice Vola (Presidente GFB Onlus) e Marco Perlini (Vicepresidente) parteciperanno al congresso "National Limb Girdle Muscular Dystrophy Conference" di Chicago, il primo congresso interamente dedicato alle distrofie dei cingoli.

IL 9 MARZO SI TERRA' LA GIORNATA DELLE MALATTIE NEUROMUSCOLARI GMN 2019

E' possibile iscriversi alla giornata delle malattie neuromuscolari, che si terrà sabato 9 marzo in 17 città italiane. A Milano è prevista presso la Sala Pirelli – Regione Lombardia - Palazzo Pirelli Via Fabio Filzi 22 Milano, dalle ore 8.30 alle 13. Iscrizione gratuita ma obbligatoria su www.giornatamalattieneuromuscolari.it

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 €
