

GFB ONLUS GRUPPO FAMILIARI BETA-SARCOGLICANOPATIE

CHI SIAMO: Siamo un gruppo di famiglie con persone affette da beta-sarcoglicanopatia e altre distrofie dei cingoli, rare forme di distrofia muscolare. Il gruppo è partito da alcune famiglie residenti in Lombardia, poi si è esteso a persone residenti in Italia e all'estero.

I NOSTRI OBIETTIVI: IL GFB ONLUS nasce per finanziare progetti di ricerca mirati alla cura della malattia. Vuole rispondere alla carenza di informazioni e attività di ricerca specifiche per questa particolare patologia. La nostra missione è rappresentare le persone affette da Beta-sarcoglicanopatia, di fronte alle istituzioni, agli enti di ricerca, alle altre associazioni, ai pazienti. Questo ruolo per ora è solo "nostro", perchè non esistono altri gruppi con questa finalità, nè in Italia nè all'estero.

Questo sito e il relativo gruppo di auto-mutuo-aiuto GFB ONLUS sono nati dal desiderio di conoscere altre famiglie coinvolte da questa patologia (sul territorio italiano ce ne sono una cinquantina), per condividere i vari aspetti del dover vivere ogni giorno con questa malattia, aspetti clinici, legislativi, logistici, organizzativi, legati alla ricerca scientifica e all'utilizzo dei vari ausili. Abbiamo intenzione di realizzare una nostra prima raccolta di dati su questi pazienti, in vista di un futuro registro pazienti e di specifici trial clinici.

LA MALATTIA E LA RICERCA: In questi anni che abbiamo vissuto la malattia dei nostri figli ci siamo resi conto non esistevano studi scientifici precisi, finalizzati ad approcci terapeutici mirati per questa malattia (fino al 2012). Praticamente eravamo nel deserto dei Tartari. La malattia, secondo la definizione della Unione Europea e della associazione europea malattie rare

(E-RARE) era da considerarsi negletta (neglected), a riflettere una pesante assenza sia di ricerca che di diagnostica sul territorio Europeo.

Il nostro gruppo GFB ONLUS (gruppo familiari beta-sarcoglicanopatie onlus) è attivo dal 2011 per finanziare ricerca scientifica specifica su questa patologia.

Dal mese di Agosto 2012 le famiglie del GFB hanno deciso di partire coi primi finanziamenti al [progetto di terapia genica per la LGMD2E](#) del Prof. J. Mendell a Columbus Ohio. Ad ora sono state versate *sei rate per un ammontare complessivo di 1.500.000 dollari*. In questi 6 anni il GFB ha ricevuto 7 report, con i risultati delle [fasi del progetto](#) e partecipato a 8 conferenze telefoniche coi medici americani e la commissione medico-scientifica dell'associazione.

LA REGISTRAZIONE: Il 27 febbraio 2013 si è costituito ufficialmente il GFB Onlus come organizzazione di volontariato, registrato alla sezione provinciale del registro regionale delle organizzazioni di volontariato della Lombardia n. SO-81.

Nel 2014 è stato registrato anche al registro regionale delle Associazioni di Solidarietà Familiare n. 947.

2019

[Malattie neuromuscolari: la sfida della ricerca](#) - Spazio Libero - Rai Parlamento 15 gennaio Rai3



[Beta-sarcoglicanopatia: l'importanza della ricerca](#) - Spazio Libero Rai Parlamento 23 ottobre Rai3



2018

2017

[Una luce sulle Distrofie](#) - Spazio Libero Rai Parlamento 30 gennaio Rai 3



[Una luce sulle Distrofie](#) - Spazio libero Rai Parlamento 18 maggio Rai 3



[Una teca sulle Distrofie](#) - Spazio Libero Rai Parlamento 1 dicembre Rai 3



[Una teca sulle Distrofie](#) - Spazio Libero - Rai Parlamento 29 Giugno Rai 2



2015