

## GFB torna per l'ottava intervista a Rai3 – Spazio Libero

*Si parlerà del progetto Quality che GFB ha avviato per i pazienti internazionali*

Dal 2016 GFB ha partecipato ogni anno a Spazio Libero su Rai3 per parlare di terapia genica sulla distrofia dei cingoli di tipo 2E. Anche quest'anno la diretta è prevista per lunedì 14 giugno alle ore 11 su Rai3.

“Quest'anno ci vengono i brividi – spiega Beatrice Vola, Presidente di GFB – la terapia genica arriverà presto in Italia, forse entro fine anno avremo il primo paziente trattato nel nostro paese, dopo i 6 bambini curati a Columbus Ohio, negli ultimi due anni.

Dopo un lungo percorso iniziato 10 anni fa, la terapia genica ci ha dato ottimi risultati negli ultimi due anni, a marzo ci è stato comunicato che i pazienti, trattati a basso dosaggio, dopo due anni dal trattamento, continuano ancora a migliorare”.

Per supportare questi studi di terapia genica, GFB ha avviato all'inizio del 2021 l'ambizioso progetto Quality, per meglio definire i dati raccolti negli anni passati di oltre 600 pazienti, sparsi in tutto il mondo e in vari gruppi. Lo staff è composto da vari interpreti, che comunicano in molte lingue, dal giapponese all'arabo, dal persiano al russo, dal turco all'Hindi e in ogni lingua a seconda delle necessità. Mappare la malattia LGMD, e la sua gestione ai fini della raccolta dati e per la ricerca scientifica è una priorità di Quality.

Gli obiettivi del progetto Quality , interamente finanziato da GFB, sono studiare la qualità di vita dei pazienti e l'impatto delle nuove terapie sulla stessa. “Con questo progetto vogliamo anche favorire l'accesso dei pazienti ad eventuali trial clinici” spiega Beatrice Vola. Al progetto partecipano i pazienti del GFB, di gruppi internazionali, di associazioni in Europa e Usa, il professor Yvan Torrente e la dottoressa Villa Chiara del Policlinico di Milano, altri centri clinici in Europa e internazionali.

Per raggiungere gli obiettivi del progetto Quality, viene proposto un questionario mediante un form online sul sito di GFB, [www.gfbonus.it](http://www.gfbonus.it)

La misura della qualità di vita dei pazienti può aiutare a capire come evolverà la malattia e quale sarà la risposta alle terapie.

Il progetto Quality, in tutte le sue fasi di progettazione, pone ancora una volta l'attenzione sull'importanza della qualità di vita nella risposta alle terapie geniche e in più, come si può perfezionare un metodo di standardizzazione scientifica dei dati di qualità di vita.

Perché standardizzare? Rendere leggibili , uniformi e soprattutto misurabili dal punto di vista scientifico, le informazioni sulla qualità della vita, è al

centro del progetto- è può aiutare i servizi sanitari a comprendere le esigenze dei pazienti. Può essere utile anche a realizzare una mappatura della qualità di vita dei pazienti in Paesi diversi. E naturalmente, può avere un impatto sulla politica sanitaria e sulle scelte dei governi.

E' possibile aiutare l'associazione in questo percorso internazionale con la donazione del 5x1000 nella prossima dichiarazione dei redditi, inserendo il codice fiscale 91015450140 nella casella della ricerca scientifica. Da quest'anno GFB è diventato un ente di ricerca riconosciuto dal MIUR. Ricordiamo che ancor oggi GFB è l'unica associazione al mondo ad occuparsi di questa patologia. Per informazioni è possibile scrivere all'indirizzo e-mail [galloni.chiara@gmail.com](mailto:galloni.chiara@gmail.com) o telefonare al 3493374060  
GFB ringrazia tutti coloro che hanno sostenuto l'associazione in questi anni e che hanno reso possibile tutto questo.

*Lucica Bianchi*

*Ufficio Stampa GFB Onlus*  
[info@beta-sarcoglicanopatie.it](mailto:info@beta-sarcoglicanopatie.it)

[39 328 0075986](tel:393280075986)  
[39 331 6209207](tel:393316209207)