

Comitato Telethon
Fondazione ONLUS
e Fondazione Telethon

Bilancio di utilità sociale al 30 giugno 2003

COMITATO TELETHON FONDAZIONE ONLUS

	Susanna Agnelli Omero Toso Carlo Ferdinando Carnacini	Presidente Vice Presidente Segretario Generale
IL COMITATO DI AMMINISTRAZIONE	Susanna Agnelli Omero Toso Carlo Ferdinando Carnacini Salvatore Di Mauro Pietro Spirito	
LA COMMISSIONE MEDICO-SCIENTIFICA	Renato Dulbecco Robertson Parkman Stefano Schiaffino Stylios E. Antonarakis M. Flint Beal D. Timothy Bishop John Blangero Kate Bushby Xavier Estivill Riccardo Fodde Philippe Froguel Filippo Giancotti J. Timothy Greenamyre Robert C. Griggs Michio Hirano Karin Jurkat-Rott Daniel Louvard Lucio Luzzatto Thomas Meitinger Jeffrey Noebels Ben A. Oostra Ruggero Pardi Alain Prochiantz Camillo Ricordi Paul Robbins Sangram S. Sisodia Michele Solimena Veronica van Heyningen Catherine M. Verfaillie Marino Zerial	Presidente Onorario Presidente Vice Presidente
IL COLLEGIO DEI REVISORI DEI CONTI	Guglielmo Carducci Guglielmo Marengo Massimo Pagani	
SOCIETÀ DI REVISIONE	KPMG SpA	

FONDAZIONE TELETHON

	Susanna Agnelli Carlo Ferdinando Carnacini	Presidente Segretario Generale
IL CONSIGLIO DI AMMINISTRAZIONE	Susanna Agnelli Omero Toso Carlo Ferdinando Carnacini Salvatore Di Mauro Pietro Spirito	
LA COMMISSIONE MEDICO-SCIENTIFICA*	Renato Dulbecco Robertson Parkman Stefano Schiaffino Stylianos E. Antonarakis M. Flint Beal D. Timothy Bishop John Blangero Kate Bushby Xavier Estivill Riccardo Fodde Philippe Froguel Filippo Giancotti J. Timothy Greenamyre Robert C. Griggs Michio Hirano Karin Jurkat-Rott Daniel Louvard Lucio Luzzatto Thomas Meitinger Jeffrey Noebels Ben A. Oostra Ruggero Pardi Alain Prochiantz Camillo Ricordi Paul Robbins Sangram S. Sisodia Michele Solimena Veronica van Heyningen Catherine M. Verfaillie Marino Zerial	Presidente Onorario Presidente Vice Presidente
IL COLLEGIO DEI REVISORI DEI CONTI	Guglielmo Carducci Guglielmo Marengo Massimo Pagani	
SOCIETÀ DI REVISIONE	KPMG SpA	

* «La Fondazione si avvale della Commissione Medico-Scientifica del Comitato Telethon Fondazione ONLUS, fintantoché la Fondazione stessa non deliberi la nomina di una propria Commissione». (art. 9 dello Statuto della Fondazione Telethon)

Ogni anno Telethon fa un rendiconto delle proprie attività redigendo bilanci che documentano tutti gli impegni e i risultati dell'esercizio. Il bilancio di utilità sociale che state leggendo vuole dare la massima divulgazione ai principali risultati e impegni dei due enti che costituiscono la "macchina Telethon", il Comitato Telethon Fondazione ONLUS e la Fondazione Telethon.

Al termine di ciascun anno finanziario vengono pubblicati i bilanci del Comitato Telethon Fondazione ONLUS e della Fondazione Telethon. L'esercizio finanziario di entrambi gli enti riguarda il periodo dal 1° luglio al 30 giugno dell'anno successivo, coerentemente con il ciclo di attività di preparazione e gestione della manifestazione Telethon, che si svolge nel mese di dicembre.

Oltre ad esprimere gli aspetti contabili dei risultati economico-finanziari, i due bilanci contengono anche una relazione sulla gestione delle attività svolte per il conseguimento degli obiettivi statutari: le relazioni di Missione di Telethon.

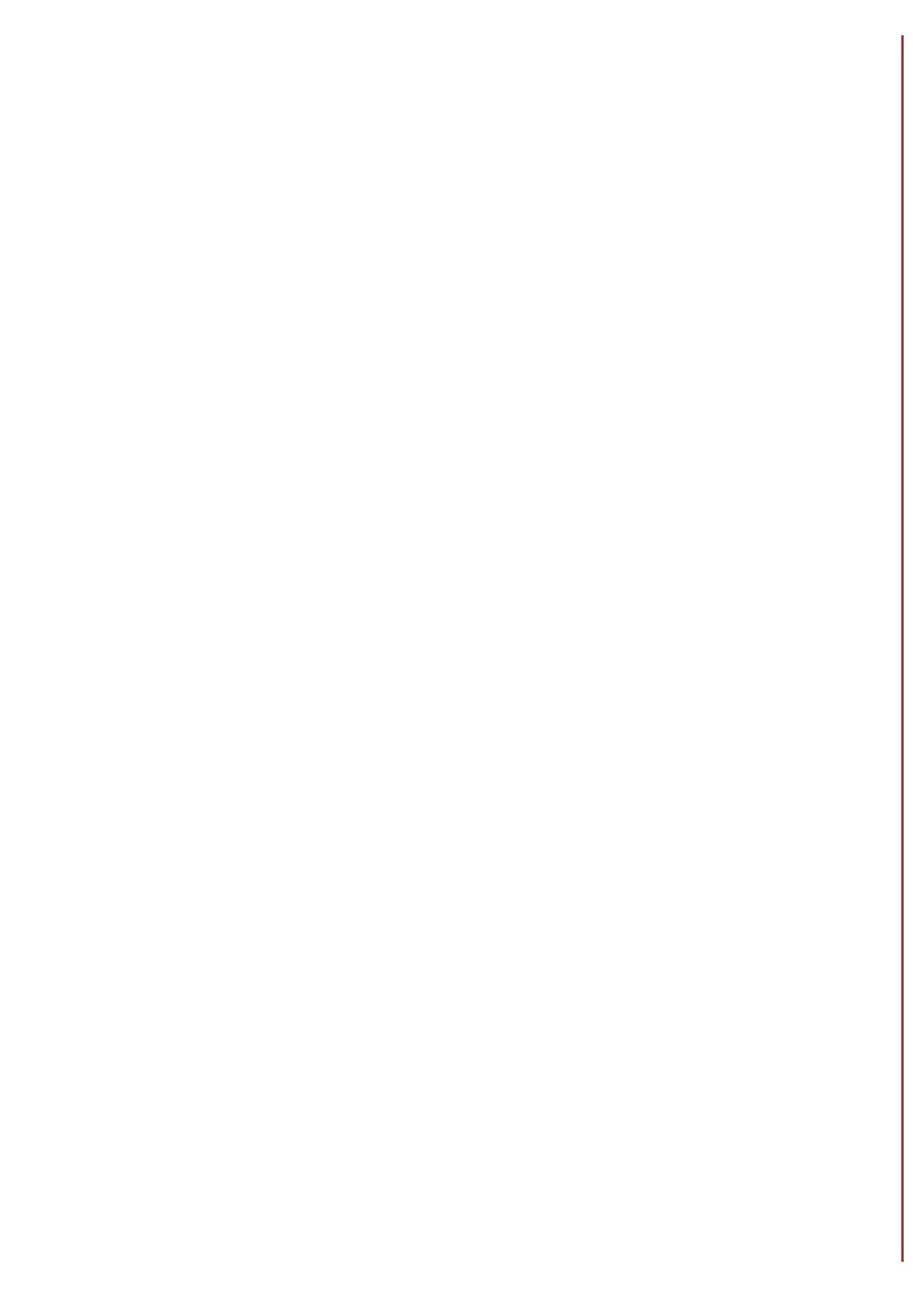
La KPMG, società internazionale di revisione dei conti, effettua la revisione contabile dei bilanci di Telethon.

Nel bilancio che state leggendo sono inserite le principali informazioni presenti nei rendiconti dei due enti.

La volontà è quella di esplicitare il collegamento tra i fini istituzionali declinati nella missione e le attività poste in essere e di permettere il controllo dei risultati di utilità sociale e dei risultati economico-finanziari. Dopo una presentazione di che cosa è Telethon, la relazione distingue tra attività istituzionali e attività di supporto e utilizza questo schema per rendicontare un anno di lavoro.

IL BILANCIO DI UTILITÀ SOCIALE

1. Che cos'è Telethon	1.1 Gli obiettivi	10
	1.2 Il Comitato e la Fondazione	12
	1.3 La struttura	13
	1.4 La missione e i valori	14
	1.5 Gli <i>stakeholder</i>	15
	1.6 Il controllo di gestione e la <i>policy</i> di investimento	16
	1.7 Le attività	17
2. Le attività istituzionali	2.1 La ricerca biomedica	20
	2.2 La ricerca esterna	26
	2.2.1 La Gestione Diretta	33
	2.3 La ricerca interna	36
	2.3.1 Le attività del TIGEM	37
	2.3.2 Le attività dell'HSR-TIGET	41
	2.3.3 Le attività del DTI	44
	2.3.4 La ricerca tecnologica del Tecnothon	49
3. Le attività di supporto	3.1 La valutazione dei progetti e il controllo dei risultati	54
	3.2 La raccolta dei fondi	59
	3.3 La comunicazione sociale	65
	3.4 La gestione delle risorse umane e finanziarie	69
	3.5 Il funzionamento della struttura	71
I principali prospetti di Bilancio	Stato patrimoniale del Comitato	74
	Rendiconto della gestione a proventi ed oneri del Comitato	76
	Stato patrimoniale della Fondazione	78
	Rendiconto della gestione a proventi ed oneri della Fondazione	80
Le delibere assunte	L'elenco delle delibere di finanziamento	84
Forme di dialogo con gli <i>stakeholder</i>	Il questionario di valutazione del Bilancio Telethon (2001-2002)	94
	Il questionario di valutazione sul <i>Telethon Notizie</i>	95



IL BILANCIO DI UTILITÀ SOCIALE - **Che cos'è Telethon**

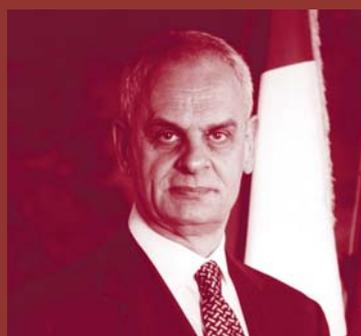
DICONO DI TELETHON

«La lotta alle malattie genetiche esempio di civiltà»



«Una nazione ricca di intelligenza e di risorse umane quale è la nostra deve considerare la ricerca scientifica come l'impresa più importante. Sappiano bene che il progresso scientifico è affidato soprattutto al genio dei singoli; ma essi hanno bisogno di un ambiente di base, che è il frutto di un'opera sistematica, di una visione di lungo periodo. Voi di Telethon date un buon esempio anche in termini di metodo: concentrarsi su pochi progetti sui quali si ritiene si possano raggiungere risultati di eccellenza, su quelli concentrare le risorse e mettere al lavoro giovani ricercatori»

Carlo Azeglio Ciampi,
Presidente della Repubblica Italiana



«Dagli investimenti nella ricerca dipendono il benessere e il futuro di un Paese. L'Italia e l'Europa sono impegnate in questa operazione di investimenti perchè da questa dipende gran parte del nostro benessere e del nostro futuro. Investire in ricerca con atti di generosità individuali consente di aumentare il fondo complessivo per la ricerca e quindi di attrarre nei nostri laboratori cervelli che altrimenti sarebbero destinati a emigrare. Donare a Telethon non è quindi solo un

Molto più che una maratona televisiva: Telethon è composta da due strutture, il Comitato Telethon Fondazione ONLUS e la Fondazione Telethon, che lavorano tutto l'anno per sostenere la lotta alle malattie genetiche, coinvolgendo le imprese, le istituzioni e i cittadini. Raccolgono fondi, individuano i progetti di ricerca più validi, finanziano l'attività dei migliori ricercatori e gestiscono direttamente i propri istituti

1.1 Gli obiettivi

Telethon è un'organizzazione senza fini di lucro che ha come obiettivo il finanziamento della ricerca sulle distrofie muscolari e le altre malattie genetiche in Italia. Le malattie genetiche sono causate da un'alterazione del patrimonio genetico di una persona, il suo DNA. Possono provocare difetti fisici, talvolta molto gravi, e si dicono ereditarie quando i difetti del DNA si trasmettono dai genitori ai figli. Per questo coinvolgono spesso più individui della stessa famiglia. Oggi se ne conoscono oltre seimila, alcune rarissime - e per questo trascurate dalla ricerca - altre relativamente frequenti.

L'attività di Telethon culmina, ogni anno nella prima metà di dicembre, nella maratona televisiva realizzata in collaborazione con la RAI. L'attività non si ferma alla raccolta dei fondi, ma prosegue con la loro assegnazione a ricercatori attivi presso enti di ricerca pubblici o privati non profit (ricerca esterna) che garantiscano un livello di eccellenza scientifica.

Telethon, inoltre, gestisce direttamente gli istituti nati dall'impulso dei suoi finanziamenti (ricerca interna).

In tredici anni di attività in Italia, Telethon ha coinvolto enti pubblici e privati, gente comune e persone famose in una grande gara di solidarietà, che ha contribuito a far avanzare la ricerca scientifica e ha fatto partecipare gli italiani alla lotta contro le malattie genetiche.

LE DATE PRINCIPALI DI TELETHON

1966 L'attore americano Jerry Lewis inventa negli USA una maratona televisiva per raccogliere fondi a favore della ricerca sulla distrofia muscolare. E' un successo senza precedenti sia in termini di spettatori sia in termini di solidarietà.

1987 L'Associazione francese contro le distrofie (AFM) ripete l'esperienza in Francia.

1990 Un gruppo di famiglie di malati di distrofia si appella a Susanna Agnelli per portare anche in Italia l'iniziativa Telethon. Nasce il Comi-

tato Promotore sotto l'egida dell'Unione Italiana Lotta alla Distrofia Muscolare (UILDM). Il 7 e 8 dicembre va in onda su Rai1 la prima maratona televisiva che raccoglie oltre 22 miliardi di lire.

1991 Viene pubblicato il primo bando di concorso Telethon per finanziare i progetti di ricerca sui diversi tipi di distrofia muscolare.

1992 Il Comitato Telethon estende i propri finanziamenti alla ricerca su tutte le malattie ereditarie di origine genetica.

1994 Nasce a Napoli il TIGEM, l'Istituto Telethon di Genetica e Medicina che studia i difetti genetici che stanno alla base di alcune malattie ereditarie e viene istituito a Sarcedo (VI) il Tecnothon, laboratorio di ricerca tecnologica che si occupa della realizzazione di strumenti per migliorare la qualità della vita dei disabili.

1995 In collaborazione con la Fondazione San Raffaele nasce l'HSR-TIGET, l'Istituto Telethon di Terapia Genica. Con sede a Milano, studia terapie geniche per la cura delle malattie genetiche. Per gestire gli istituti di ricerca nati dall'iniziativa e dai finanziamenti di Telethon, nello stesso anno, nasce la Fondazione Telethon.

1998 Il Comitato Promotore diventa Comitato Telethon Fondazione Onlus, modificando il suo statuto sulla base della normativa del 1997 che regolamenta gli enti non lucrativi di utilità sociale. Ottiene così le agevolazioni previste dalla legge, tra le quali la parziale detraibilità fiscale delle offerte per i donatori.

1999 Viene creato il DTI, l'Istituto Telethon Dulbecco, un istituto virtuale nato per fornire a ricercatori qualificati la possibilità di una carriera indipendente. Il Comitato Telethon riceve l'Alto Patronato della Presidenza della Repubblica.

2001 Telethon riceve il premio Oscar di Bilancio e della Comunicazione delle Organizzazioni Non Profit.

2002 Per la prima volta al mondo due bambine affette dalla malattia di ADA-SCID, una grave immunodeficienza ereditaria, guariscono in modo definitivo grazie a un intervento di terapia genica svolto nei laboratori Telethon.

atto di solidarietà, non ha soltanto uno scopo umanitario; ha anche la funzione di richiamare l'attenzione sul fatto che investire in ricerca scientifica significa riuscire a curare malattie importanti e fino a poco tempo fa difficili da domare e da prevenire. Investire in Telethon vuol dire anche riportare a casa ricercatori molto bravi e competenti. L'Italia è dotata di grandi cervelli e chi va all'estero sente sempre dire che i nostri ricercatori hanno grande fortuna perché sono ben preparati»

Marcello Pera
Presidente del Senato della Repubblica



«Un paese senza ricerca dove si è costretti ad emigrare è un paese senza futuro. È necessario che gli altri capiscano che Telethon svolge un lavoro di solidarietà straordinario, una supplenza di fronte alle difficoltà che obiettivamente ci sono oggi di reperire risorse pubbliche per la ricerca. Il grande volontariato crea una sinergia e ha una ricaduta vera e immediata. Tanti ricercatori ottengono risultati grazie al concorso di tutti gli italiani, la ricerca ha una possibilità in più grazie a Telethon. È per questa ragione che noi come istituzioni crediamo fortemente in questa iniziativa e la sosteniamo. È una goccia nel mare, forse, ma sono gocce capaci di creare torrenti impetuosi. L'importanza di questa iniziativa è anche quella di coinvolgere il mondo dell'impresa. La ricerca non può essere lasciata allo Stato e alle strutture pubbliche che hanno diritto di cittadinanza nel nostro ordinamento. Ogni risorsa pubblica e privata destinata alla ricerca è una scommessa per il futuro dei nostri figli e per l'Italia di domani»

Pier Ferdinando Casini
Presidente della Camera dei Deputati

Telethon è: Comitato Telethon Fondazione ONLUS (il Comitato) e Fondazione Telethon (la Fondazione). Due organismi che garantiscono la ripartizione fra attività di promozione, raccolta fondi e assegnazione a progetti di ricerca e attività di gestione dei progetti di ricerca e degli istituti Telethon.

1.2 Il Comitato e la Fondazione

Questi due enti privati non profit, distinti e complementari, sono riconosciuti dal Ministero dell'Istruzione, dell'Università e della Ricerca.

La divisione alla quale si è giunti otto anni fa, è dovuta alla volontà da parte di Telethon di separare le attività "grant making" (attività erogative esterne) da quelle "operative" di gestione interna dei fondi di ricerca.

Il Comitato si occupa, della promozione dell'evento televisivo annuale, della raccolta dei fondi e della loro assegnazione a programmi di ricerca rigorosamente valutati e approvati da una Commissione Medico-Scientifica internazionale e indipendente, il cui presidente onorario è il premio Nobel Renato Dulbecco.

La Fondazione si occupa principalmente della gestione operativa degli istituti di ricerca interni fondati da Telethon (TIGEM, HSR-TIGET, DTI e Tecnothon); il Comitato trasferisce risorse alla Fondazione solo sotto forma di fondi vincolati per specifici progetti di ricerca.

Qualora venga richiesto, la Fondazione si occupa anche della gestione dei fondi di ricerca assegnati dal Comitato a istituti esterni. In questo caso i ricercatori esterni finanziati da Telethon possono usufruire di un servizio di Gestione Diretta, un'attività di supporto grazie alla quale gli scienziati affidano alla Fondazione l'acquisto dei prodotti e servizi necessari ai loro progetti di ricerca e l'assegnazione delle borse di studio ai ricercatori.



Figura 1. La ripartizione funzionale tra i due enti Telethon

Per garantire una gestione armonica del Comitato e della Fondazione, alcune disposizioni nei loro statuti fanno sì che i due Consigli di Amministrazione siano composti dalle stesse persone. Questi due enti distinti hanno quindi lo stesso organigramma

1.3 La struttura

La struttura di Telethon è composta da un organo politico (il Consiglio di Amministrazione) e da una struttura operativa.

Susanna Agnelli è presidente di entrambi i Consigli di Amministrazione. I consiglieri sono Salvatore Di Mauro, Pietro Spirito, Omero Toso e Carlo Ferdinando Carnicini. Quest'ultimo è il segretario generale di entrambi gli enti; Omero Toso ha la carica di vicepresidente nel Comitato Telethon Fondazione ONLUS. Tutti i membri del Consiglio di Amministrazione svolgono la loro importante opera nei confronti di Telethon in maniera gratuita.

La struttura operativa è suddivisa in tre direzioni:

- la direzione comunicazione e raccolta fondi
- la direzione scientifica
- la direzione amministrativa, finanziaria e risorse umane.

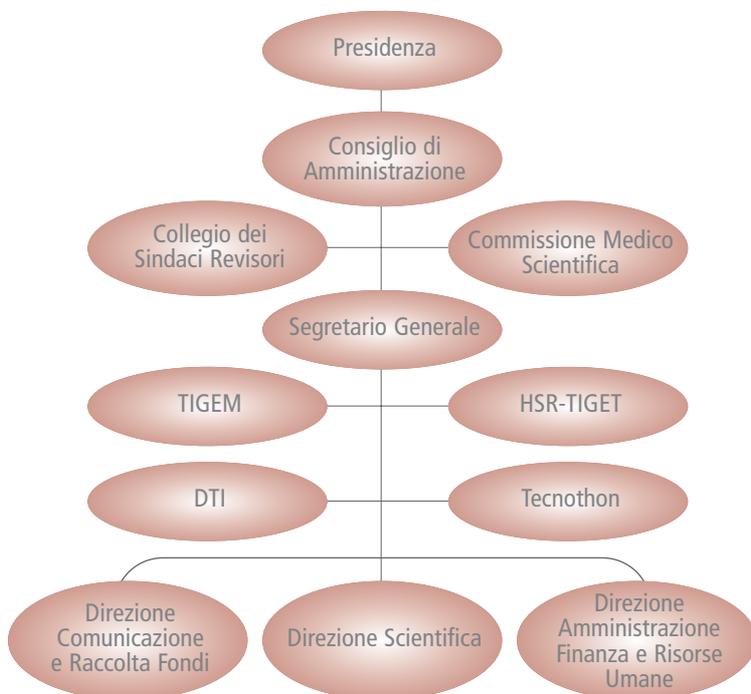


Figura 2. La struttura operativa di Telethon



IL PRESIDENTE

«Noi e la ricerca italiana»

«La ricerca italiana vive una forte contraddizione, perché abbiamo gli uomini, i talenti ma non esistono le condizioni per farli maturare. Mancano, cioè le fondamenta: i finanziamenti innanzitutto e poi la loro corretta gestione, che significa anche meritocrazia, accesso facilitato ai fondi solo per chi davvero se lo merita. Viceversa, non ci sono - o quasi - finanziamenti pubblici, non ci sono facilitazioni per quelli privati, ci sono molte carenze e disfunzioni. Eppure l'Italia quando vuole sa arrivare al top.

In questa realtà tutta italiana Telethon continua ad essere un'eccezione: per i grandi risultati raggiunti dai suoi scienziati, per la trasparenza nel controllo dei fondi, ma soprattutto perché esiste solo grazie agli italiani. Sono loro, con la loro costante fiducia, che permettono alla ricerca genetica di progredire. E bisogna continuare su questa strada, investire nel futuro, dare speranza e respiro alla ricerca, ma per farlo servono molti soldi. E i malati non possono aspettare»

Susanna Agnelli
Presidente Comitato Telethon
Fondazione ONLUS
e Fondazione Telethon

La missione e i valori di Telethon finalizzano le attività e i comportamenti dell'organizzazione.

Ecco come sono state esplicitate dagli amministratori di Telethon

1.4 La missione e i valori

LA MISSIONE DI TELETHON

- Vogliamo far avanzare la ricerca scientifica verso la cura della distrofia muscolare e delle altre malattie genetiche.
- Vogliamo dare priorità a quelle malattie che per la loro rarità sono trascurate dai grandi investimenti pubblici e industriali.
- Vogliamo dare fondi a eccellenti progetti di ricerca e ai migliori ricercatori in Italia.
- Vogliamo che gli italiani partecipino a questa la lotta contro le malattie genetiche.
- Vogliamo far sapere a chi ci aiuta come vengono spesi i soldi che raccogliamo.

I VALORI DI TELETHON

- L'**utilità sociale** è il valore intorno al quale si costruiscono le nostre attività. Significa lavorare senza scopo di lucro con l'intento di raggiungere un obiettivo: portare vantaggi e migliorare la qualità di vita di tutti coloro che beneficiano e beneficeranno della ricerca di Telethon. La condivisione di questo valore crea, inoltre, un forte senso di gruppo e di appartenenza.
- L'**attenzione alla persona** è intesa come attenzione al singolo portatore di interessi. In particolare, le persone a cui rivolgiamo attenzione sono: i malati, cioè coloro ai quali è destinata la ricerca scientifica di Telethon; i ricercatori, cioè coloro che beneficiano dei fondi di Telethon per sviluppare la ricerca scientifica; tutti coloro che contribuiscono alla raccolta dei fondi (donatori, partner, volontari) e tutti coloro che lavorano nella nostra organizzazione (amministratori, dirigenti, dipendenti e collaboratori).
- La **trasparenza**, cioè la responsabilità nel fornire informazioni veritiere, corrette e facilmente accessibili a nostri interlocutori, si esplica principalmente nelle modalità di gestione dei fondi raccolti e nelle metodologie di approvazione dei progetti di ricerca.
- Telethon tende alla qualità delle attività svolte e alla professionalità di tutti coloro che lavorano nell'organizzazione attraverso una tensione al **miglioramento continuo**. Individuare e costruire le "buone pratiche" è un orientamento che intendiamo sviluppare attraverso modelli e strumenti di gestione in modo da crescere continuamente.
- Lavorare in Telethon implica una **motivazione** al lavoro basata sulla condivisione forte della missione, sull'esercizio della professionalità e sul raggiungimento dell'utilità sociale. Il **senso di appartenenza** si manifesta nella coesione, nello spirito di squadra e nella presenza di un clima interno informale e propositivo.

I bilanci Telethon si rivolgono a tutti i soggetti che hanno un interesse nell'attività dei due enti e senza il cui appoggio l'organizzazione non è in grado di realizzare compiutamente i propri fini: gli *stakeholder*

1.5 Gli *stakeholder*

Il principale stakeholder di Telethon, come di ogni attività non profit, è la collettività: solo l'utilità prodotta verso la collettività ne legittima l'esistenza. All'interno della collettività è possibile individuare gruppi più specifici gli *stakeholder* in base al ruolo che essi svolgono nei confronti di Telethon (Figura 3).

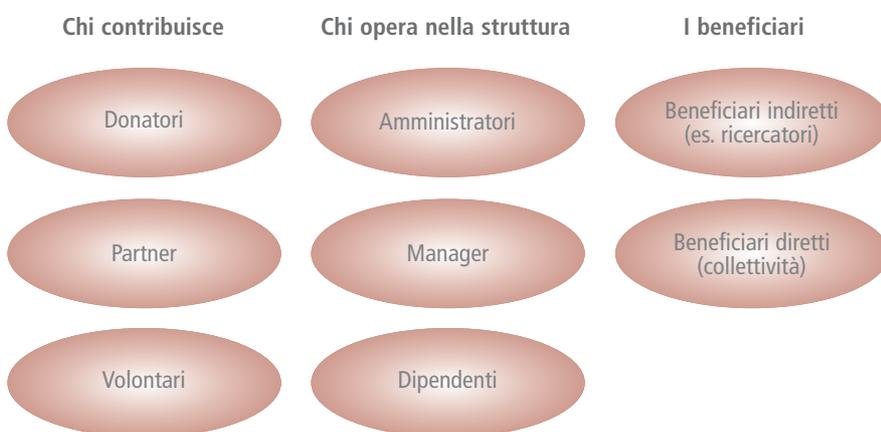


Figura 3. La mappa dei principali stakeholder di Telethon

Telethon intende sviluppare sempre più nel tempo le relazioni con questi soggetti, consapevole che riconoscere e governare le relazioni interne ed esterne con i suoi interlocutori rappresenta una delle principali dimensioni della creazione di valore e di qualità sociale.

Per una descrizione più dettagliata delle attività di relazione con gli stakeholder svolte nel corso del 2002-2003 si rimanda al capitolo 6.



LA GESTIONE

«La cultura del risultato»

«Buona gestione significa avere sempre chiaro che le risorse sono scarse e che dunque devono essere impiegate nel migliore dei modi.

Crediamo nella cultura del risultato. Non è sufficiente avere un buon fine per cui battersi: è necessario dimostrare di riuscire a formulare degli obiettivi che si traducano in risultati effettivi.

La nostra organizzazione, divenuta sempre più articolata e complessa in questi anni, ci impone una sfida professionale. Dobbiamo crescere nelle nostre capacità di gestione ponendo sempre attenzione a che queste siano il motore del miglioramento continuo nei nostri valori fondamentali: utilità sociale, attenzione alla persona, trasparenza»

Angelo Maramai
direttore amministrativo
finanziario e delle risorse umane
di Telethon

Attento controllo di gestione, trasparenza della rendicontazione, politica di investimento improntata a principi etici. Così i valori di Telethon si traducono in pratica nella gestione dei fondi, documentata ogni anno dai bilanci contabili e di utilità sociale.

1.6 Il controllo di gestione e la *policy* di investimento

IL CONTROLLO DI GESTIONE

Il controllo di gestione di Telethon si svolge su un doppio binario: il controllo dei risultati economico-finanziari e il controllo dei risultati di utilità sociale. Il controllo dei risultati economico-finanziari ha come indicatori la quantità di risorse messe a disposizione per le attività istituzionali e l'economicità delle attività di supporto e si avvale dell'impostazione di strumenti di budget e contabilità; il controllo dei risultati di utilità sociale si basa su strumenti per la qualità e la quantità degli interventi realizzati durante l'anno e sulla rilevazione della utilità sociale prodotta. Nel rispetto di una coerente politica di responsabilità informativa (*accountability*) Telethon si impegna a rendere noti i risultati economico-finanziari e di utilità sociale attraverso la pubblicazione dei bilanci.

I BILANCI

Dopo la chiusura di ciascun esercizio (al 30 giugno di ogni anno) e prima della campagna di raccolta pubblica dei fondi, Telethon pubblica sui principali quotidiani italiani un estratto dei propri bilanci in una versione sintetica e divulgativa. Successivamente alla approvazione dei Consigli di Amministrazione di Telethon e alla revisione contabile della società di revisione KPMG vengono pubblicati i rendiconti del Comitato e della Fondazione e il bilancio di utilità sociale che state leggendo, con la relazione sulle principali attività svolte da Telethon. Questi documenti vengono distribuiti ai principali stakeholder Telethon, sono disponibili a richiesta e sono pubblicati sul sito istituzionale.

E LA *POLICY* DI INVESTIMENTO

In attesa di assegnare ed erogare i fondi raccolti, Telethon si ispira a sistemi di investimento del proprio patrimonio improntati a principi etici di responsabilità sociale.

La gestione delle risorse finanziarie avviene attraverso diversi oggetti di investimento tra cui il fondo BNL per Telethon e si basa sulle linee guida indicate dal Comitato Etico di tale fondo.

Le attività di Telethon, come quelle di ogni organizzazione non profit, si distinguono in attività istituzionali, che sono le attività immediatamente dirette a realizzare gli scopi indicati dallo statuto, (finanziamento e avanzamento della ricerca scientifica), e attività di supporto, che hanno la caratteristica di porsi obiettivi strumentali rispetto al raggiungimento dei fini istituzionali

1.7 Le attività

LE ATTIVITÀ ISTITUZIONALI

In particolare il Comitato finanzia:

- progetti di ricerca scientifica esterna, nel caso di fondi erogati a ricercatori che lavorano presso enti di ricerca italiani pubblici o privati non profit.
- progetti di ricerca scientifica interna, coordinati da ricercatori che operano all'interno di uno degli istituti Telethon.

La Fondazione gestisce:

- la ricerca biomedica sulle malattie genetiche
- la ricerca tecnologica di ausili per le persone colpite da disabilità motorie.

Il capitolo seguente di questo volume contiene una relazione dettagliata sulle attività istituzionali relative all'esercizio 2002/2003, soffermandosi in modo particolare sui finanziamenti e sui risultati scientifici della ricerca esterna ed interna di Telethon.

LE ATTIVITÀ DI SUPPORTO

Rientrano tra queste attività:

- la valutazione dei progetti e il controllo dei risultati, in cui ha un ruolo centrale la Commissione Medico-Scientifica. Perché la ricerca vada avanti è infatti necessario dare priorità a progetti eccellenti, efficaci in termini di risultati; al fine di garantire la massima indipendenza e competenza di giudizio, la Commissione è composta, principalmente, da esperti stranieri o italiani residenti all'estero, che non restano in carica più di quattro anni;
- la raccolta dei fondi, che culmina nella maratona televisiva e si avvale del supporto di numerosi sostenitori; nel caso della Fondazione i fondi provengono, principalmente, da fonti diverse dalla maratona televisiva, in particolare le Fondazioni di origine bancaria e alcune grandi aziende;
- la comunicazione sociale che contribuisce a informare il largo pubblico sulle attività di Telethon e sulle malattie genetiche: dalle pubblicazioni al sito internet, all'attività dell'ufficio stampa, alla produzione televisiva; dal Telefono Scienza, al Filo Diretto, alle Tavole Rotonde;
- la gestione delle risorse umane e finanziarie necessarie alla vita dell'ente;
- il funzionamento della struttura, che comprende le attività amministrative e organizzative generali degli uffici di Telethon.

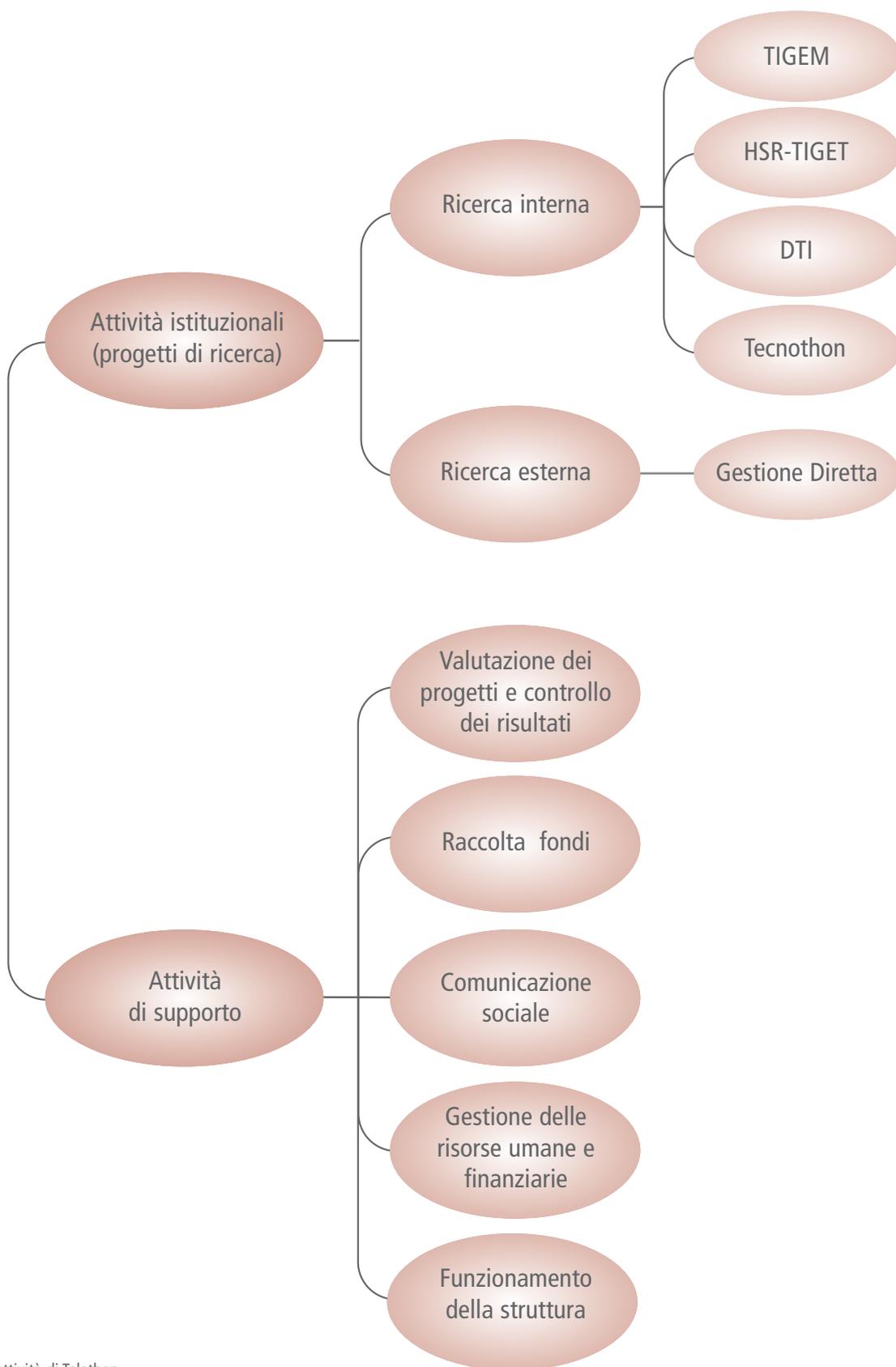


Figura 4. Le attività di Telethon

IL BILANCIO DI UTILITÀ SOCIALE - Le attività istituzionali



LA SELEZIONE DELLA RICERCA
«Eccellenza riconosciuta in tutto il mondo»

«Credo molto nella missione di Telethon: per questo dal 1991 ho accettato di far parte della Commissione Medico-Scientifica di cui oggi sono Presidente Onorario. La Commissione composta in gran parte da scienziati stranieri si occupa di valutare i progetti di ricerca da finanziare e lo fa attraverso un rigoroso sistema di selezione che premia esclusivamente la qualità scientifica. L'eccellenza della ricerca italiana è riconosciuta in tutto il mondo anche grazie a Telethon che, tra l'altro, ha permesso a numerosi e capaci giovani ricercatori italiani di rientrare in Italia, finanziandone la carriera. A Telethon vale solo il criterio della merito-crazia»

Renato Dulbecco
 Premio Nobel per la Medicina
 e Presidente Onorario della
 Commissione-Medico Scientifica
 di Telethon

L'attività di ricerca scientifica è alla base di tutto il lavoro dell'organizzazione. Ogni anno le ricerche Telethon permettono di avanzare nel percorso della conoscenza delle malattie genetiche.

2.1 La ricerca biomedica

La raccolta fondi operata da Telethon è finalizzata a finanziare la ricerca scientifica più efficace dal punto di vista dei risultati. Per rispettare il suo impegno verso la cura delle malattie genetiche, i finanziamenti vengono diretti in via preferenziale alle ricerche:

- che rispondano alle caratteristiche di innovazione e capacità effettiva di contribuire all'avanzamento delle conoscenze scientifiche biomediche, con l'obiettivo di abbreviare il processo che conduce dallo studio della patologia alla scoperta del sistema terapeutico più efficace;
- che abbiano come priorità le malattie neuromuscolari e monogeniche.

D'altra parte, il fatto di incentivare in Italia una ricerca scientifica basata su questi due parametri attraverso progetti di ricerca, borse di studio e programmi di rientro per giovani e validi ricercatori significa porre nel nostro paese le basi per una crescita delle potenzialità cliniche e terapeutiche di medio e lungo periodo.

Le tappe della ricerca biomedica

La ricerca sulle malattie genetiche deve affrontare diverse tappe per poter offrire al paziente una cura, come è schematicamente illustrato in figura. Partendo dagli studi genetici (prima tappa), si procede a studi sui meccanismi patologici alla base dei sintomi della malattia (seconda tappa). I risultati di queste ricerche permettono di individuare strategie terapeutiche, che vengono dapprima messe alla prova in modelli di laboratorio (terza tappa), per poi passare alla ricerca clinica vera e propria sui pazienti (quarta tappa). Solo allora sarà possibile procedere allo sviluppo della terapia per la cura della malattia. Nel promuovere la ricerca biomedica, Telethon finanzia progetti che si collocano su ciascuno dei gradini di questo percorso. Questo è evidenziato anche dai risultati della ricerca ottenuti nell'anno corrente riportati di seguito.



Figura 5. Le tappe della ricerca biomedica.

Anche in questo esercizio la ricerca biomedica di Telethon ha dato prova di qualità dei progetti e di merito del lavoro dei ricercatori. Presentiamo i principali risultati pubblicati su riviste scientifiche internazionali, a riprova della efficacia della ricerca finanziata da Telethon. I risultati sono stati collocati secondo l'ordine delle tappe di ricerca individuate dalla Figura 5.

I PRINCIPALI RISULTATI DELLA RICERCA TELETHON (2002-2003)

1. Identificazione del difetto genetico

Individuazione di geni-malattia

Gennaio 2003

Individuato il secondo gene che causa una rara forma ereditaria di emicrania, chiamata emicrania emiplegica familiare di tipo 2. La scoperta potrebbe rivelarsi preziosa anche per comprendere i meccanismi dell'emicrania comune.

Responsabile della ricerca: *Giorgio Casari*, DIBIT, Istituto Scientifico San Raffaele, Milano

De Fusco M. et al. Nat. Genet. 2003 Feb; 33(2): 192-6. Epub 2003 Jan 21

Maggio 2003

Scoperto il gene responsabile del deficit multiplo di solfatasi e risolto l'enigma legato a numerose malattie metaboliche ereditarie.

Ricerca interna: TIGEM

Responsabile della ricerca: *Andrea Ballabio*

Cosma MP. et al. Cell 2003 May 16; 113: 445-456

Giugno 2003

Identificato il 5° gene legato ad alcune forme di sordità ereditaria.

Ricerca interna: TIGEM

Responsabile della ricerca: *Paolo Gasparini*

Donaudy F. et al. Am. J. Hum. Genet. 2003 Jun; 72(6): 1571-7

Diagnostica e altri studi clinici

Gli studi genetici hanno come ricaduta immediata sul paziente la possibilità di diagnosticare precocemente la malattia e di indirizzare il paziente verso prevenzione o terapia, se disponibili.

Maggio 2003

Grazie a una ricerca tutta italiana diventa possibile prevedere il rischio di incorrere in aritmie cardiache nei primi 40 anni di vita per chi è affetto da sindrome del QT lungo o morte improvvisa giovanile.

Responsabile della ricerca: *Silvia Priori*, Università di Pavia

Priori SG. et al. N. Engl. J. Med. 2003 May 8; 348(19): 1866-74

2. Studio del meccanismo

Funzione dei geni-malattia e loro alterazioni

Febbraio 2003

Scoperti i meccanismi responsabili della sindrome dell'X fragile: la malattia è causata da alterazioni nella trasmissione dei segnali nervosi necessari per memoria e apprendimento.

Responsabile della ricerca: *Claudia Bagni*, Università di Roma Tor Vergata

Zalfa F. et al. Cell 2003 Feb 7; 112(3): 317-327

Aprile 2003

Ricercatore dell'Istituto Telethon Dulbecco scopre che senza il gene Dlx5 i topolini perdono l'olfatto.

Ricerca interna: DTI

Responsabile della ricerca: *Giorgio Merlo*

Levi G. et al. Mol. Cell. Neurosci. 2003 Apr; 22 (4): 530-43.

Luglio 2003

Svelato il "trucco" dell'huntingtina, la proteina che se difettosa provoca la corea di Huntington.

Responsabile della ricerca: *Elena Cattaneo*, Università di Milano

Zuccato C. et al. Nature Genetics 2003; 35: 76-83. Epub 2003 July 27

Meccanismi di base patologici e fisiologici

Si tratta di meccanismi molecolari normalmente presenti in una cellula sana e alterati in una malata. Conoscerli e capirli a fondo rappresenta il primo, fondamentale passo verso la comprensione di che cosa non funziona in una malattia genetica

Novembre 2002

Identificato un meccanismo che consente alle cellule di riparare le le-

sioni che colpiscono la propria membrana, salvandole così dalla morte.
Responsabile della ricerca: *Jacopo Meldolesi*, DIBIT, Istituto Scientifico San Raffaele, Milano
Borgonovo B. et al. Nat. Cell. Biol. 2002 Dec; 4(12): 955-62

Dicembre 2002

Evidenziati tutti i geni del cromosoma 21, implicato nella sindrome di Down, che risultano accesi o spenti nei diversi tessuti e nelle diverse fasi dello sviluppo.
Ricerca interna: TIGEM
Responsabile della ricerca: *Andrea Ballabio*
Reymond et al. Nature 2002 Dec 5; 420 (6915): 582-6

Febbraio 2003

Individuata la funzione dell'oscurina, una proteina della cellula muscolare che serve a mantenerla intatta, facendo da ponte tra le fibre che permettono la contrazione e i "tubi" che avvolgono le fibre stesse
Responsabile della ricerca: *Vincenzo Sorrentino*, Università di Siena
Bagnato P. et al. J. Cell. Biol. 2003 160: 245-253

Aprile 2003

Scoperto un nuovo punto di controllo del processo che porta alla morte cellulare programmata: si tratta di uno scomparto della cellula fino a oggi insospettato, il cosiddetto reticolo endoplasmatico.
Ricerca interna: DTI
Responsabile della ricerca: *Luca Scorrano*
Scorrano L. et al. Science 2003, Apr 4; 300 (5616): 135-9.

Aprile 2003

Un altro risultato sulla morte cellulare programmata. Si tratta della comprensione di un nuovo meccanismo di reclutamento di una proteina già nota per essere coinvolta nella morte cellulare e chiamata c-Abl, che in risposta a un danno al DNA scatena una serie di eventi a cascata che portano la cellula al suicidio.
Ricerca interna: DTI
Responsabile della ricerca: *Daniela Barilà*
Barilà D. et al. Mol. Cell. Biol. 2003. 23: 2790-2799.

Aprile 2003

Localizzata la "maniglia" per chiudere la porta per il cloruro, uno ione

essenziale per mantenere l'equilibrio salino di molte cellule e per garantire la normale attività elettrica delle cellule nervose e muscolari.
 Responsabile della ricerca: *Michael Pusch*, Università di Genova
 Estévez R. et al. *Neuron* 2003 April 10; Vol 38: 47-59.

Maggio 2003

Da oggi si è a conoscenza di una nuova funzione, utile nella formazione dell'embrione, di una proteina chiave nella protezione contro la trasformazione tumorale, la proteina p53.

Responsabile della ricerca: *Stefano Piccolo*, Università di Padova
 Cordenonsi M. et al. *Cell* 2003 May 2; 113(3): 301-14

Giugno 2003

Chiariti l'origine e i meccanismi delle malattie da prioni familiari.

Ricerca interna: DTI

Responsabile della ricerca: *Roberto Chiesa*

Drisaldi B. et al. *Biol. Chem.* 2003 Jun 13; 278 (24): 21732-43;

Chiesa R. et al. *J. Virol.* 2003 Jul 1; 77 (13): 7611-7622

Luglio 2003

Chiarito il meccanismo attraverso cui agiscono le proteine responsabili, quando difettose, di almeno due forme della malattia di Charcot-Marie-Tooth.

Ricerca interna: DTI

Responsabile della ricerca: *Alessandra Bolino*

Previtali SC. et al. *Hum. Mol. Genet.* 2003 Jul 15; 12 (14): 1713-1723

Luglio 2003

Il 17beta-estradiolo, l'ormone femminile, agisce anche nel cervello, dove frena l'avanzare dei processi infiammatori e degenerativi a carico delle cellule nervose.

Responsabile della ricerca: *Elisabetta Vegeto*, Università di Milano

Vegeto E. et al. *PNAS USA* 2003 Aug 5; 100(16): 9614-19. Epub July 23

Agosto 2003

Scoperto come rendere più loquace la cellula nervosa, contribuendo a capire il ritardo mentale in alcune malattie genetiche come la sindrome di Down e quella dell'X fragile.

Ricerca interna: DTI

Responsabile della ricerca: *Maria Passafaro*

Passafaro M. et al. *Nature* 2003 Aug. 7; 424: 677-81

3. Correzione del difetto in modelli di laboratorio

Terapia genica e cellulare

Aprile 2003

In uno studio multicentrico sulla sicurezza della terapia genica, ricercatori HSR-TIGET dimostrano l'assenza di rischio nell'utilizzare un particolare gene "marcatore", che permette di rintracciare le cellule in cui è stato inserito il gene "sano", necessario per la terapia.

Ricerca interna: HSR-TIGET

Bonini et al, Nat Med. 2003 Apr;9(4):367-9

Maggio 2003

Importante studio di messa a punto di una nuova strategia di terapia genica applicata al tumore che potrà trovare un utilizzo anche per la cura delle malattie genetiche.

Responsabile della ricerca: *Luigi Naldini*, Università di Torino

De Palma M. et al. Nat Med. 2003 Jun;9(6):789-95. Epub 2003 May 12

Luglio 2003

Per la prima volta un modello animale che mima una forma di distrofia muscolare, quella dei cingoli, è stato curato con la terapia cellulare basata sull'impiego di cellule staminali.

Responsabile della ricerca: *Giulio Cossu*, Istituto Cellule Staminali, Istituto Scientifico San Raffaele, Milano

Sampaolesi M. et al. Science 2003 Jul 10

Cellule staminali

Maggio 2003

In laboratorio è possibile "risvegliare" in loco le cellule bambine del cervello per indurle a riparare aree lesionate che mimano quelle provocate dal morbo di Alzheimer

Responsabile della ricerca: *Laura Calzà*, Università di Bologna

Calzà L. et al. PNAS USA 2003 Jun 10; 100(12): 7325-30. Epub 2003

May 30

L'attività di ricerca esterna di Telethon si concentra sul finanziamento a enti di ricerca pubblici o privati non profit attraverso bandi di concorso. Una Commissione Medico-Scientifica valuta la validità e la competitività a livello internazionale di ogni progetto proposto. Il rigore nella valutazione dei progetti presentati garantisce la qualità degli investimenti effettuati da Telethon nello studio delle malattie genetiche

2.2 La ricerca esterna

Possono candidarsi, di norma, a ricevere finanziamenti Telethon:

- i ricercatori residenti in Italia che presentino progetti di ricerca;
- i giovani ricercatori italiani che aspirino a una borsa di studio all'estero.

In tutti i casi, per essere ammessi alla valutazione della Commissione Medico-Scientifica di Telethon, i progetti di ricerca devono corrispondere ai requisiti indicati nei bandi di concorso.

Inoltre, il Comitato Telethon Fondazione ONLUS ha la facoltà di accettare o sollecitare progetti di ricerca non rispondenti a bandi specifici, ma che rivestano particolare rilevanza strategica per le finalità di Telethon. Anche in questo caso, i progetti di ricerca biomedica sono assoggettati ai parametri di valutazione della Commissione Medico-Scientifica, descritti nel capitolo 3 di questo bilancio.

L'*impact factor* dei lavori Telethon

I risultati della ricerca esterna di Telethon sono apprezzabili anche considerando il valore di *impact factor* delle pubblicazioni dei suoi scienziati. L'*impact factor* è un indice di qualità della rivista sulla quale viene pubblicato uno studio: rappresenta il rapporto tra il numero di citazioni ottenute da una rivista e il numero di articoli pubblicati in un determinato periodo di tempo. Dai dati riportati nella Figura 6, è possibile constatare come, anche per l'anno in corso confrontato con l'anno precedente, la ricerca esterna Telethon abbia prodotto un elevato numero di pubblicazioni scientifiche cui corrisponde un alto valore di *impact factor*.

Ricerca esterna Telethon	2001-2002	2002-2003
numero di pubblicazioni	198	208
<i>impact factor</i> totale	1347,486	1480,643
<i>impact factor</i> medio	6,805	7,118

Figura 6. Le pubblicazioni scientifiche della ricerca esterna nell'anno 2002-2003 rispetto a quelle dell'anno precedente.

I BANDI TELETHON 2002-2003 PER LA RICERCA ESTERNA

Durante l'esercizio 2002-2003, Telethon ha emesso due bandi per il finanziamento alla ricerca esterna:

- il secondo bando 2002 per i servizi alla ricerca e le borse di studio all'estero;
- il primo bando 2003 per i progetti di ricerca e i progetti Telethon-UILDM.

I progetti presentati sono stati valutati nel corso di due riunioni della Commissione Medico-Scientifica.

Il secondo bando 2002

Durante la riunione della Commissione Medico-Scientifica del novembre 2002, la Commissione ha valutato i progetti che rispondevano ai seguenti bandi:

- bando per banche di materiale biologico e altri servizi alla ricerca (GTF - *Grant Telethon Facilities*) cui possano accedere i ricercatori che usufruiscono di fondi Telethon, ma anche la comunità scientifica in generale;
- bando per le borse di studio all'estero (GFP - *Grant Fellowship Project*).

Inoltre, la Commissione Medico-Scientifica ha approvato la conversione del progetto CP017/01: "Basi molecolari dell'immunodeficienza umana da aumento di IGM", afferente al Dulbecco Telethon Institute, nel progetto di ricerca GSP02476; la titolare del progetto aveva infatti rinunciato alla posizione di *Associate Telethon Scientist*, in seguito all'assunzione a tempo indeterminato presso il suo Istituto ospitante. I fondi stanziati per questo progetto ammontano a 80.000 Euro.

I risultati della valutazione della Commissione sono riassunti nella Figura 7 e illustrati nella Figura 8.

Tipi progetto	Importo (Euro)	Valutati	Approvati
Servizi alla ricerca (GTF)	621.234	12	8
Borse di studio per l'estero (GFP)	405.000	10	6
Progetto GSP02476	80.000		1
	1.106.234		15

Figura 7. Le valutazioni della Commissione Medico-Scientifica nel novembre 2002.

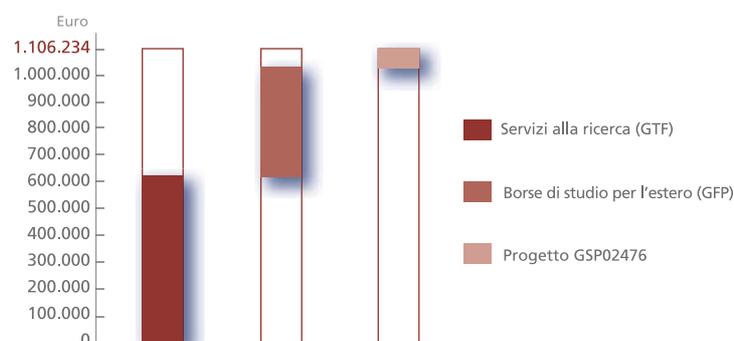


Figura 8. Importi deliberati per i progetti approvati dalla Commissione Medico-Scientifica nel novembre 2002



LA SFIDA ALLE MALATTIE
«Ce la stiamo mettendo tutta»

«Già nel 1972 era nell'aria l'idea di curare la distrofia muscolare iniettando nel paziente cellule capaci di rigenerare il tessuto muscolare: i mioblasti. Il problema era come farlo. Nell'estate del 2002 ho visto un topolino malato ricominciare a camminare ed è stata un'emozione fortissima. Era la prima volta che accadeva. Prima di passare ad una sperimentazione clinica sui malati dobbiamo però risolvere dei problemi. La cura della distrofia muscolare è ancora fantascienza. Nessuno può azzardarsi a fare previsioni sulla pelle della gente. Ma ce la stiamo mettendo tutta»

Giulio Cossu
 direttore dello SCRI
 (Stem Cell Research Institute)
 Dibit, San Raffaele

Ricercatore di punta nella ricerca genetica italiana, finanziato da Telethon fin dal 1990, per primo nel mondo ha fatto camminare dei topolini distrofici

Il primo bando 2003

Nella riunione della Commissione Medico-Scientifica svoltasi nel giugno 2003, sono stati valutati i progetti presentati in risposta al primo bando 2003, i progetti Telethon-UILDM e un progetto speciale sulla distrofia muscolare.

Nei primi mesi del 2003 si è chiuso il bando per progetti di ricerca Telethon GGP (*Grant General Projects*).

Fra i 249 progetti validi presentati, 170 hanno superato la selezione preliminare della valutazione, denominata *Triage* (applicata quando si riceve un alto numero di proposte da vagliare). Secondo questa procedura, ogni progetto viene assegnato dall'Ufficio Scientifico di Telethon a tre componenti della Commissione Medico-Scientifica, che lo valutano in termini di valore scientifico e competitività. Sulla base dei giudizi pervenuti si stila una graduatoria e si eliminano i progetti meno validi, che non ricevono alcun commento scritto. Questa procedura costituisce un primo giudizio di finanziabilità.

Effettuata questa prima analisi, la Commissione procede a un ulteriore e approfondito esame dei rimanenti progetti.

Nel rispetto dei rigidi criteri di selezione, la Commissione ha individuato 48 progetti meritevoli di finanziamento, per i quali il Comitato di Amministrazione ha deliberato una disponibilità finanziaria di 6.862.127 Euro (Figura 9).

Tipi di progetto deliberati	Importo deliberato (Euro)	Numero di progetti approvati (Euro)	Finanziamento medio (Euro)
Malattie neuromuscolari (GGP)	2.505.341	18	139.186
Altre malattie genetiche (GGP)	4.356.786	30	145.226
Subtotale	6.862.127	48	
Progetti Telethon-UILDM (GUP)	370.759	6	61.793
Progetto Speciale sulla Distrofia Muscolare (GSP)	1.302.310	1 progetto multicentrico (6 sottoprogetti)	217.052 (per sottoprogetto)
	8.535.196	55	

Figura 9. I progetti approvati dalla Commissione Medico-Scientifica nel giugno 2003
 Nota: ai progetti multicentrici possono partecipare, in qualità di responsabili di centri satelliti, anche i ricercatori degli istituti Telethon (ricerca interna). Nelle assegnazioni riportate sopra sono inclusi anche gli importi destinati a tali centri di ricerca interna (pari a 435.000 Euro).

PROGETTI STRATEGICI SULLE MALATTIE NEUROMUSCOLARI

Nell'anno in corso, Telethon ha promosso due progetti strategici che rispondono alla sua missione originaria di sostenere progetti volti alla cura della distrofia muscolare: i progetti Telethon-UILDM e un progetto speciale sulla distrofia muscolare (Figura 9).

I progetti Telethon-UILDM

A partire dal 2002, la UILDM ha chiesto a Telethon di poter dedicare i fondi raccolti dai propri volontari a progetti di ricerca mirati al miglioramento della qualità della vita dei malati di patologie neuromuscolari che fanno riferimento ai centri UILDM.

Sono stati così istituiti i bandi Telethon-UILDM, cui sono ammessi progetti clinici che propongano di sviluppare le aree della prevenzione, della diagnosi, della terapia e della riabilitazione delle malattie neuromuscolari. Come per tutti gli altri progetti, il processo di revisione segue le regole del *peer review*, e coinvolge esclusivamente esperti clinici.

Nel primo bando congiunto Telethon-UILDM (2002) erano stati finanziati due progetti su tredici; nel secondo bando (2003, di competenza di questo esercizio) sono stati finanziati sei progetti sui quattordici che avevano superato il *Triage* (tra i diciannove progetti valutati inizialmente).

Progetto speciale sulla distrofia muscolare

Un altro progetto strategico riguarda un articolato programma di ricerca coordinato da Giulio Cossu, che si propone, grazie al contributo di sei centri di ricerca, di mettere a punto una strategia terapeutica per la distrofia muscolare. Anche questo progetto è stato sottoposto al rigoroso processo di revisione scientifica.

Riassumendo i risultati delle valutazioni della seconda riunione della Commissione Medico-Scientifica, le Figure 9 e 10 evidenziano come, confrontati agli studi sulle altre malattie genetiche, gli studi sulle malattie neuromuscolari continuano a costituire un'area di ricerca strategica, là dove la tradizione di Telethon fonda le sue radici.



LE PROSPETTIVE

«I dati sono incoraggianti»

«Combattere la distrofia muscolare è il mandato che i malati e le loro famiglie hanno affidato a Telethon. E' la sua ragione d'essere e noi che ci lavoriamo l'abbiamo sempre ben presente. Sebbene con gli anni abbiamo esteso il campo alle altre malattie genetiche, alle distrofie muscolari abbiamo comunque riservato un'attenzione e uno sforzo speciali. In dodici anni è stato destinato alla ricerca sulle distrofie il 40 per cento del denaro speso: più di 40 milioni di euro. Una cifra veramente importante e i risultati si vedono. I dati finora ottenuti sono estremamente incoraggianti, ma occorre convalidare la capacità di queste cellule (i mioblasti) di riparare muscoli malati e di ripristinare la funzionalità in patologie muscolari diverse. E' proprio su questo che si concentra il nuovo lavoro di Giulio Cossu e di alcuni tra i più brillanti ricercatori italiani. Un progetto multidisciplinare e complesso, costituito da sei studi complementari, per una durata di tre anni e un costo totale di 1.302.310 euro. Come a dire che nella battaglia Telethon punta sull'alleanza di forze di prim'ordine. Combattere una malattia significa tante cose, la cura però è la missione che ci è stata data. Non sappiamo se gli sforzi di Telethon andranno a segno. Promettere la vittoria non sarebbe onesto. Vere sono la garanzia dell'impegno e l'adesione al nostro mandato»

Francesca Pasinelli
direttore scientifico di Telethon.

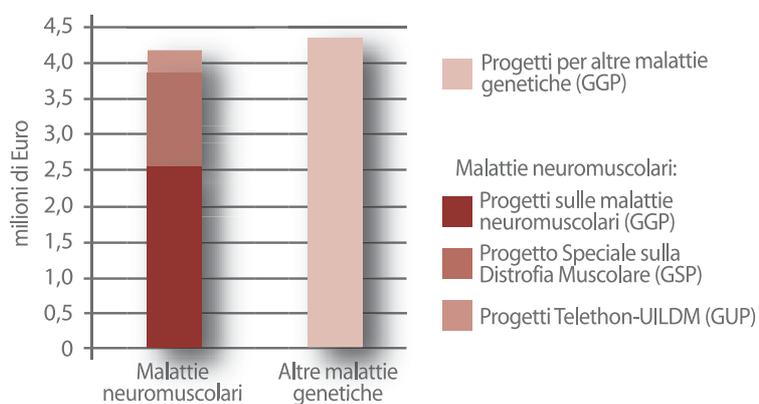


Figura 10. I finanziamenti erogati in risposta al primo bando 2003

Complessivamente, nel primo bando 2003, sono stati approvati per il finanziamento il 20% dei progetti presentati. Questo dato, in linea con quello dello scorso anno, mostra l'elevata selettività del processo di revisione (Figura 11).

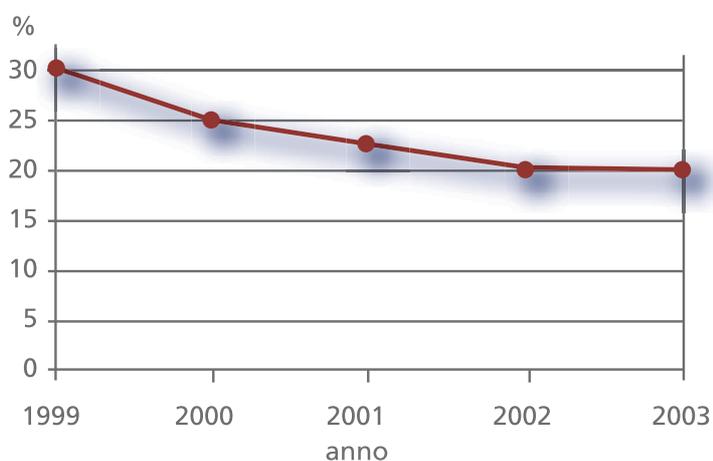


Figura 11. Percentuale di progetti approvati sul totale dei progetti presentati

In generale, la percentuale di successo dei progetti che concorrono ad un finanziamento è determinata da due importanti fattori: la qualità della ricerca proposta e la disponibilità di fondi per il finanziamento. L'uno o l'altro fattore può prevalere di anno in anno; Telethon comunque finanzia esclusivamente i progetti giudicati meritevoli dalla Commissione Scientifica, anche nel caso in cui i fondi disponibili eccedano le richieste approvate per il finanziamento dalla Commissione.

COFINANZIAMENTI TELETHON ALLA RICERCA ESTERNA

Durante questo esercizio sono stati anche deliberati i fondi destinati ai progetti finanziati in base all'accordo tra il Comitato Telethon e l'**Associazione Francese contro le Miopatie (AFM)**. Nel corso del 2001 era stato infatti emesso un bando congiunto tra i due enti per il cofinanziamento di studi clinici multicentrici per la terapia di malattie genetiche rare. A differenza dei bandi tipici di Telethon, l'ulteriore scopo di questo bando era di stabilire relazioni internazionali tra gruppi di ricerca europei, che comprendessero almeno un centro francese ed uno italiano. La Commissione di valutazione dei progetti presentati a questo bando si era riunita il 26 giugno 2002 ed era composta da alcuni membri selezionati dalla Commissione Medico-Scientifica di Telethon e alcuni selezionati dalla Commissione Medico-Scientifica di AFM. La delibera di questo esercizio riguarda i tre progetti che, tra i cinque valutati nel corso della riunione, avevano ricevuto le migliori votazioni (Figura 12).

Numero progetto	Coordinatore	Costo totale progetto (Euro)	Importo a carico Comitato Telethon (Euro)
GAT0201	Michele De Luca	1.142.425,00	571.212,50
GAT0203	Alain Fisher	987.160,00	493.580,00
GAT0205	Maria Grazia Roncarolo	1.261.295,00	630.647,50
		3.390.880,00	1.695.440,00

Figura 12. Assegnazioni della Commissione Medico-Scientifica relativi ai progetti finanziati in base all'accordo tra il Comitato Telethon e l'Associazione Francese contro le Miopatie (AFM).

Nel corso del presente anno finanziario è stato ancora una volta rinnovato l'accordo tra Telethon e **Juvenile Diabetes Research Foundation (JDRF)**, con l'obiettivo di finanziare in Italia progetti sul diabete giovanile. Il bando congiunto si è aperto a novembre 2002. La valutazione dei progetti è stata effettuata da una Commissione di esperti appositamente nominati da entrambi gli enti. A differenza dei bandi precedenti, che richiedevano la presentazione di programmi di ricerca multicentrici, questo bando è stato aperto anche a progetti singoli. Nel corso della riunione della Commissione sono stati approvati due nuovi progetti tra i 22 progetti valutati, per un importo totale di 466.300 Euro di cui 233.150 Euro a carico di Telethon.

È stata inoltre deliberata la terza annualità del finanziamento alla Fondazione Centro San Raffaele per i progetti congiunti Telethon-JDRF approvati nel corso dell'esercizio 2000-2001, per un importo pari a 262.518 Euro.

IL FINANZIAMENTO COMPLESSIVO ALLA RICERCA ESTERNA

Esaminando una panoramica del finanziamento alla ricerca esterna negli ultimi sette anni (Figure 13 e 14), è evidente l'ingente impegno di Telethon in questa direzione, nel corso del tempo.

Analizzare le variazioni degli importi complessivi da un anno all'altro non è semplice e richiede di considerare una complessità di fattori quali la disponibilità di fondi, la qualità dei progetti proposti, l'avvio di nuove iniziative di finanziamento interno (come, nel 1999, il Progetto Carriere, sfociato nel Dulbecco Telethon Institute). Resta comunque interessante notare come il finanziamento medio per progetto abbia subito un netto aumento negli ultimi anni, ad indicare il sostegno di Telethon a ricerche sempre più complesse ed impegnative (organizzate anche in progetti multicentrici), che offrono quindi ai ricercatori una maggiore competitività e a Telethon una migliore speranza di successo.

	96/97	97/98	98/99	99/00	00/01	01/02	02/03
Importo assegnato ai progetti di ricerca esterna (migliaia di Euro)*	10.805	11.998	16.440	11.197	10.758	8.182	11.519
Numero dei progetti	151	150	172	84	63	69	75

(*) Dati di delibera non comprensivi degli eventi successivi quali rinunce, interruzioni, ecc.

Figura 13. La comparazione delle assegnazioni a progetti di ricerca esterna effettuate nell'esercizio 2002-2003 con quelle degli esercizi precedenti.



Figura 14. Le assegnazioni di fondi ai progetti di ricerca esterna: importi complessivi (barre) e valori medi per progetto (punti) negli ultimi sette anni.

La Fondazione Telethon supporta anche programmi di ricerca che si svolgono al di fuori dei suoi istituti: oltre all'attività erogativa, fornisce gratuitamente ai ricercatori finanziati dal Comitato Telethon veri e propri servizi, orientati a massimizzare l'efficienza e l'economicità della loro attività.

Il principale servizio aggiuntivo che la Fondazione offre ai ricercatori Telethon è la cosiddetta "Gestione Diretta" dei fondi. Secondo tale criterio di gestione i ricercatori, afferenti ad istituzioni di ricerca italiane pubbliche o private non profit, che abbiano ricevuto assegnazioni per propri programmi di ricerca dal Comitato Telethon, possono, facendone semplice richiesta, ricorrere agli uffici della Fondazione Telethon (Figura 15) per provvedere agli acquisti di prodotti e servizi, alle assegnazioni di borse di studio e a quant'altro necessario per il lavoro di ricerca (nei limiti del fondo di ricerca assegnato). La Fondazione non addebita alcun costo per questa attività, né al ricercatore né al Comitato: in questo modo il 100% del fondo concesso al progetto può essere effettivamente impiegato per la ricerca scientifica. Le regole cui si ispira la conduzione amministrativa di questa attività sono quelle del mandato senza rappresentanza, in modo che la gestione rappresenti sempre l'interesse del titolare del fondo. I ricercatori, grazie a questo sistema, possono evitare le rigidità burocratiche e gli *overhead* (quote percentuali dei fondi di ricerca trattenute a titolo di copertura dei costi strutturali) imposti dalle istituzioni di appartenenza.

2.2.1 La Gestione Diretta

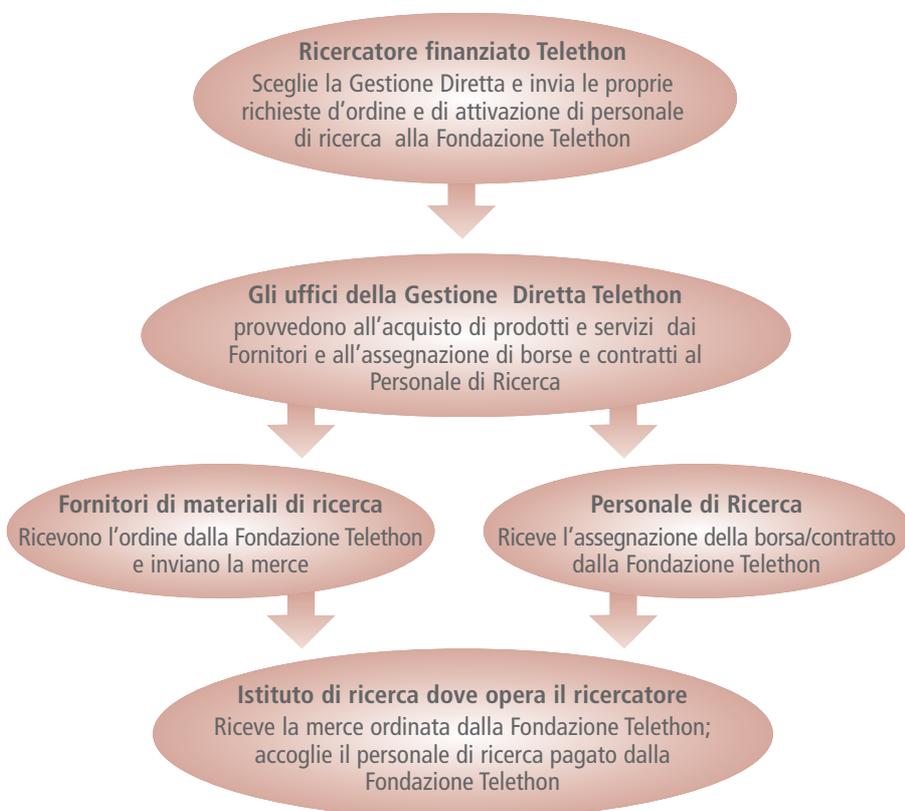


Figura 15. Schema generale di funzionamento della Gestione Diretta dei fondi Telethon

La Gestione Diretta dei *grant* di ricerca è svolta da personale specificamente addetto. Il ricercatore invia la propria richiesta di materiali, di accensione di contratti o borse di studio, di iscrizione a congressi, o di quant'altro sia inscrivibile nella vita gestionale di un progetto di ricerca. La persona incaricata che segue il suo progetto si attiva per procedere con l'impegno di spesa, una volta verificato che la richiesta sia economica e inerente al progetto di ricerca. Il ricercatore può in ogni momento riferirsi agli uffici della Fondazione Telethon per conoscere la situazione dei suoi fondi in gestione. Alla fine del progetto il ricercatore riceve un rendiconto dettagliato delle spese sostenute.

Le gestioni dirette sono divenute un grosso impegno per la Fondazione: nella struttura opera un apposito ufficio (i cui costi gravano sugli oneri di supporto generale) esclusivamente dedicato a questa attività, che oramai coinvolge il 66% dei progetti attivi assegnatari di fondi Telethon. Al 30 giugno 2003 dei 258 progetti in corso di finanziamento ben 171 erano in Gestione Diretta.

Anche in questo esercizio le domande di accesso alla Gestione Diretta sono state molto numerose.

Lo svolgimento della Gestione Diretta garantisce ai ricercatori la rapidità, la puntualità nell'applicare gli aggiornamenti in materia fiscale, e un punto di riferimento in merito a questioni di natura amministrativa. L'efficacia di tale servizio è dimostrata dalle percentuali di scelta della Gestione Diretta negli anni (Figura 16).

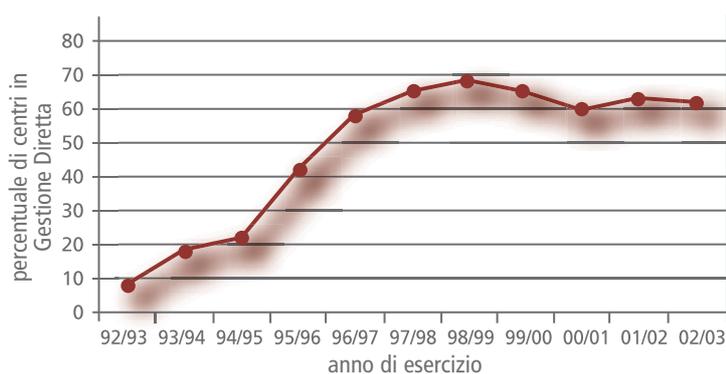


Figura16. L'andamento della percentuale di scelta della Gestione Diretta rispetto al totale dei progetti approvati nei vari esercizi finanziari

L'elevato numero di progetti in gestione ha comportato un ulteriore apporto ai budget di ricerca affidati alla Fondazione; gli uffici della Gestione Diretta hanno quindi continuato ad affrontare un volume significativo di attività, come dimostra la Figura 17.

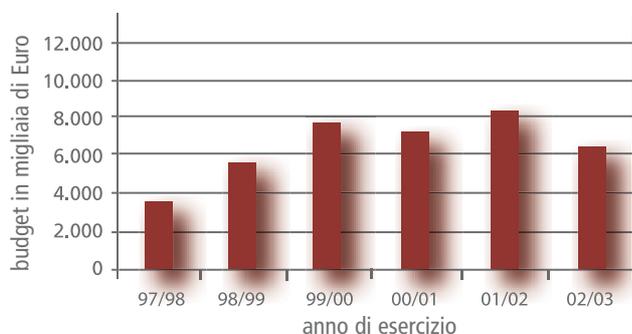


Figura 17. L'andamento degli utilizzi/erogazioni nella gestione dei fondi su progetti in Gestione Diretta

L'UFFICIO COORDINAMENTO ACQUISTI

Creata per supportare le attività di gestione, l'Ufficio Coordinamento Acquisti ha consentito di raggiungere ottimi risultati in termini di risparmio di energie e di risorse finanziarie.

La centralizzazione amministrativa consente infatti di operare una contrattazione unitaria con le maggiori società fornitrici di prodotti per la ricerca (reagenti, attrezzature, ecc.); l'Ufficio Coordinamento Acquisti (UCA) della Fondazione riesce in molti casi a ottenere condizioni contrattuali vantaggiose sia per gli istituti Telethon che per tutti coloro che si sono affidati alla Gestione Diretta.

Secondo una stima effettuata dal sistema informatico utilizzato per la gestione dei budget dei progetti in Gestione Diretta, emerge che gli uffici della Fondazione, nell'ambito dell'ultimo esercizio finanziario, sono riusciti a far realizzare 756.000 Euro di risparmio attraverso l'applicazione degli speciali sconti Telethon, attivati dalle aziende che hanno sottoscritto un accordo di fornitura con Telethon. Nel corso degli ultimi anni, questo dato sta riscontrando degli incrementi significativi (Figura 18).

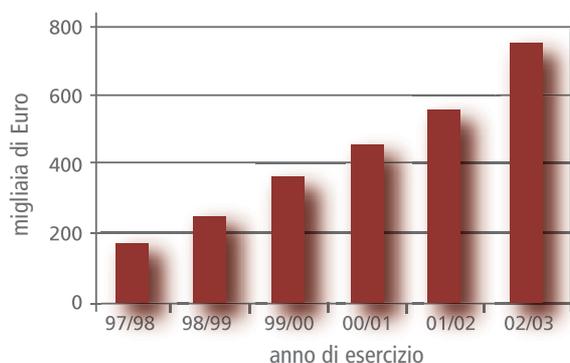


Figura 18. L'incremento del risparmio dei fondi in gestione diretta, realizzato tramite l'ufficio Coordinamento Acquisti

La ricerca interna di Telethon è composta da quattro istituti che fanno capo alla Fondazione Telethon: TIGEM, HSR-TIGET, DTI e Tecnothon

2.3 La ricerca interna

La finalità principale della Fondazione Telethon è la gestione degli istituti di ricerca nati su impulso dei finanziamenti Telethon. La Fondazione è una vera e propria azienda non profit, composta da strutture amministrative e di ricerca, che punta a ottenere la maggiore utilità sociale possibile dall'impiego controllato ed economizzato delle risorse a disposizione.

La decisione di creare un istituto interno di ricerca fu presa dal Comitato Promotore Telethon (oggi Comitato Telethon Fondazione ONLUS) nel 1994 per rispondere alla sempre più rilevante esigenza di dare vita in Italia a un centro di eccellenza nella ricerca biomedica sulle malattie genetiche.

L'obiettivo era di creare un istituto che operasse nel campo della ricerca che si occupa dell'individuazione dei geni responsabili delle malattie genetiche umane. Nel novembre di quello stesso anno fu inaugurato l'Istituto Telethon di Genetica e Medicina, TIGEM (Telethon Institute of Genetics and Medicine).

Parallelamente, la necessità di divenire operativi in un settore particolarmente nuovo e promettente della ricerca scientifica, quello della terapia genica, portò alla creazione, in collaborazione con la Fondazione Centro San Raffaele del Monte Tabor di Milano, dell'Istituto Telethon di Terapia Genica, HSR-TIGET (San Raffaele Telethon Institute of Gene Therapy). Nel 1995, grazie all'accordo con la Fondazione che gestisce l'Ospedale San Raffaele, fu creato questo nuovo centro di ricerca.

L'iniziativa più recente (novembre 2001) è l'Istituto Telethon Dulbecco, DTI (Dulbecco Telethon Institute) un istituto virtuale nato dal programma di finanziamento Progetto Carriere intrapreso dal Comitato Telethon Fondazione ONLUS nel 1999.

Alla ricerca biomedica si affianca la ricerca tecnologica di Telethon grazie a Tecnothon (nato nel 1994), l'istituto che provvede a sviluppare e implementare ausili tecnologici per le persone disabili.

Il TIGEM (Telethon Institute of Genetics and Medicine), nato come centro dedicato all'identificazione dei geni responsabili di malattie genetiche nell'uomo, è ormai diventato uno dei punti di riferimento per la ricerca internazionale sulle malattie genetiche, studiando anche i processi biologici alla base di queste patologie

Nel corso degli anni, e con il progredire delle conoscenze in questo settore, l'interesse dei ricercatori TIGEM si è progressivamente ampliato verso lo studio del loro funzionamento. Infatti, il passo successivo all'individuazione di un gene malattia è quello dello studio del meccanismo attraverso il quale questo gene difettoso porta alla manifestazione della patologia. Soltanto attraverso la conoscenza dei processi biologici sottesi alle malattie genetiche si potrà giungere allo sviluppo di nuove strategie per la terapia e la cura.

Il TIGEM, sotto la direzione scientifica del Prof. Andrea Ballabio, è diventato in pochi anni un punto di riferimento non solo per la ricerca italiana ma anche per quella internazionale. Da tre anni ha sede a Napoli ed è ospitato presso l'Area della Ricerca Napoli 1 del CNR.

Nel corso dell'esercizio 2002-2003 sono stati raggiunti alcuni importanti risultati scientifici, confermati dal numero di lavori pubblicati su riviste con un alto impatto scientifico (Figura 19).

2.3.1 Le attività del TIGEM

Esercizi Finanziari	97-98	98-99	99-00	00-01	01-02	02-03
N° pubblicazioni	42	31	30	63	35	36
Impact factor totale	327,6	300,7	257,4	437,2	186,9	252,8
Impact factor medio	7,8	9,7	8,6	7,7	5,3	7,0

Figura 19. Le pubblicazioni scientifiche originate da progetti di ricerca condotti all'interno del TIGEM

Dalla Figura 2 emerge la produttività dell'Istituto anche in termini di *impact factor*.

L'impact factor è uno dei più diffusi e condivisi indici di valore delle riviste scientifiche; esso si riferisce sostanzialmente alla qualità della rivista poiché rappresenta il rapporto tra il numero di citazioni ottenute da una rivista ed il numero di articoli pubblicati in un determinato periodo di tempo. Ovviamente quanto più alto sarà il valore di impact factor della rivista, tanto maggiore sarà l'impatto sulla comunità scientifica internazionale dell'articolo pubblicato e quindi del progetto di ricerca nel suo complesso.

Sin dalla sua creazione il TIGEM ha ricevuto *grant* triennali sia per il finanziamento dei progetti condotti al suo interno che per i costi della struttura. Alla fine di ogni triennio TIGEM presenta, quindi, alla Commissione i risultati ottenuti nel periodo passato e il programma per il nuovo triennio. Nel corso di questo esercizio il TIGEM è stato sottoposto ad una nuova ses-



IL DIRETTORE DEL TIGEM
«Prevedo un'esplosione di scoperte»

«Per me tutto è cominciato nel 1983. Mi stavo specializzando in pediatria, a Napoli, e conobbi una famiglia colpita dall'ittiosi, una malattia della pelle, non grave, che provoca scaglie brune sulla pelle. Mi misi a studiarla, in laboratorio. E dopo qualche anno riuscii ad identificare il gene responsabile. Era il mio primo gene. Scoprimmo che produceva un enzima della famiglia delle solfatasi. Oggi le cose sono cambiate. Questi sono gli anni della genetica sono sicuro che ci sarà un'esplosione di scoperte»

Andrea Ballabio
 direttore scientifico del TIGEM

Il 23 dicembre 2002 ha identificato Smf1, gene responsabile del deficit multiplo di solfatasi. La scoperta è stata pubblicata in prima pagina dalla rivista Cell

sione di valutazione da parte della Commissione Medico-Scientifica per il **rinnovo del finanziamento relativo al triennio che va da luglio 2003 a giugno 2006**. La valutazione è stata effettuata sui seguenti aspetti:

- a) l'istituto nella sua interezza, le strategie, la gestione e la sua competitività internazionale;
- b) i singoli progetti di ricerca e le proposte per i servizi interni;
- c) il budget richiesto.

Allo scopo di valutare quanto detto è stata organizzata una commissione di *site visit* (composta sia da alcuni dei membri della Commissione Medico-Scientifica che da scienziati esterni a questa e competenti sugli argomenti di ricerca del TIGEM) che ha esaminato il documento di richiesta del *grant*, ha visitato gli spazi occupati dall'istituto, ha intervistato il direttore dell'istituto ed i ricercatori responsabili dei singoli progetti e servizi ed infine, dopo una discussione plenaria in cui sono state condivise le valutazioni finali, ha preparato un documento riepilogativo degli esiti della valutazione, che riporta i commenti sia sull'istituto sia sui singoli progetti. Gli esiti di questa valutazione sono stati poi riportati alla Commissione Medico-Scientifica che ha espresso il giudizio finale. Il giudizio sul TIGEM è stato positivo, in considerazione soprattutto degli importanti risultati scientifici raggiunti e dell'elevato rilievo assunto a livello internazionale. Dalla revisione sono anche emersi suggerimenti sui futuri sviluppi dell'istituto. Per la quasi totalità i progetti presentati sono stati ritenuti eccellenti e meritevoli di finanziamento, mentre alcuni sono stati giudicati non competitivi e quindi sono stati esclusi dal finanziamento dell'istituto. Nel complesso per il TIGEM sono stati deliberati 2.500.000 Euro per il primo anno con l'indicazione di rinnovare il finanziamento anche per i due anni successivi (Figura 30) a un tasso di una rivalutazione annua che mantenga inalterato il valore reale dello stesso finanziamento.

Dal punto di vista **amministrativo**, il TIGEM ha concluso al 30 giugno 2003 il suo nono anno di esistenza.

Nel corso di questo esercizio il TIGEM, grazie al finanziamento del Piano Operativo Regionale Campania, ha ulteriormente dotato i suoi laboratori di attrezzature scientifiche all'avanguardia ed ha iniziato a lavorare per l'allestimento dei nuovi spazi presso il CNR.

Nel corso del prossimo esercizio è infatti previsto il trasferimento dagli spazi occupati attualmente (1.500 mq) ai nuovi locali. Questi ultimi in totale coprono una superficie di 2.000 mq e sono sempre messi a disposizione dal CNR che li consegnerà non appena sarà ultimata la ristrutturazione. Per questi locali il CNR non richiede il pagamento dell'affitto e al TIGEM vengono addebitati solo i costi delle utenze di sua pertinenza.

L'ampliamento dell'istituto è reso possibile anche dagli importanti contributi ricevuti dalla Regione Campania che si è impegnata dal 1999 a contribuire a questa iniziativa con più di 1 milione di euro all'anno e che anche quest'anno ha confermato il suo impegno.

La **posizione geografica** del TIGEM porta con sé anche altri significati. Sono sempre più forti le collaborazioni scientifiche con gli altri gruppi partenopei impegnati nella ricerca genetica allo scopo di creare un grande polo dedicato a questo settore scientifico, così da attirare ulteriori finanziamenti e creare nuovi posti di lavoro, invertendo la tendenza dei ricercatori di emigrare da sud a nord.

Attualmente sono presenti 6 laboratori che ospitano in tutto 14 gruppi di ricerca e 100 persone (Figura 20). Al momento sono 35 i progetti di ricerca su patologie umane di origine genetica che vengono svolti presso l'Istituto e sono 11 i servizi comuni ai quali possono accedere i ricercatori.

Di questi ultimi almeno due sono gestiti e utilizzati in comune dal TIGEM e dall'Istituto Internazionale di Genetica e Biofisica (IIGB) del CNR.

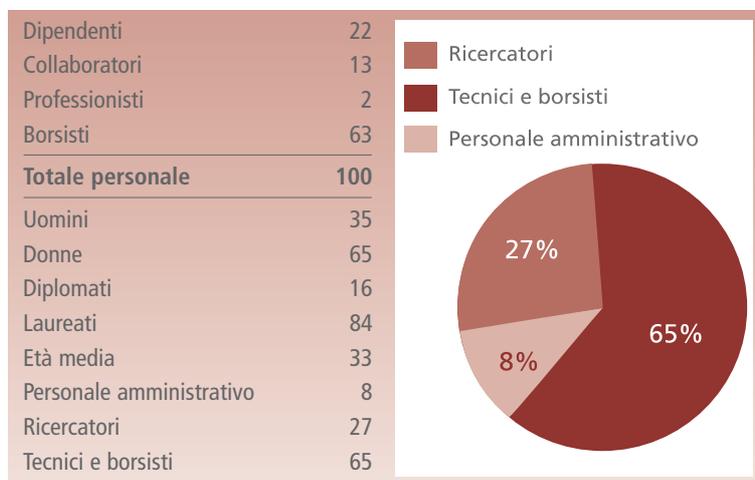


Figura 20. Il personale del TIGEM

Nello stesso periodo, il TIGEM ha continuato ad essere riconosciuto come sede di svolgimento di **Dottorati di Ricerca** sia da parte dell'Università di Napoli "Federico II" che da parte della Seconda Università di Napoli; presso l'istituto sono state attivate nuove posizioni. Oggi, 17 persone stanno svolgendo presso il TIGEM il loro corso di Dottorato di Ricerca in Genetica. Sono anche proseguiti i dottorati della **Open University**, una università inglese che ha riconosciuto il TIGEM come sede di svolgimento di PhD: attualmente 4 ricercatori sono stati inseriti in questo programma.

Finanziamenti da Enti Esterni. Oltre al rinnovo dei fondi ottenuti negli anni passati da finanziamenti esterni a Telethon, nel presente esercizio il TIGEM ha ottenuto altri nuovi finanziamenti da enti esterni: Ministero dell'Istruzione Università e Ricerca - FIRB; Associazione Italiana per la Ricerca sul Cancro - AIRC; National Institute of Health (USA); Ministero della Salute; CNR; Compagnia di San Paolo; Regione Campania; Transkaryotic Therapies attraverso l'Università di Göttingen; Ruth and Milton Steinbach Foundation (USA).

Per quel che riguarda la gestione di budget, vengono utilizzati degli strumenti che permettono di attribuire i costi alle singole linee di ricerca con una sempre maggiore precisione.

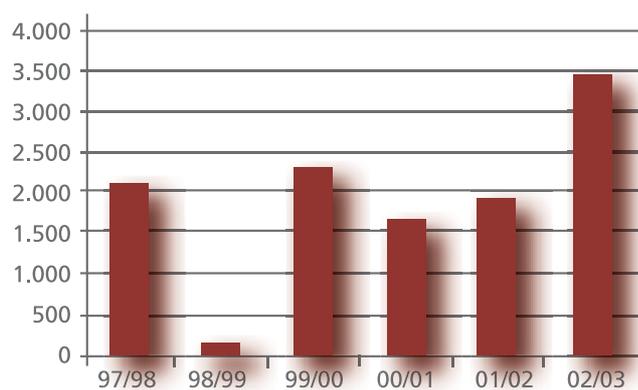


Figura 21. I fondi esterni di TIGEM, in migliaia di Euro, negli ultimi sei anni

Sulla frontiera della ricerca in merito alla terapia genica lavora l'HSR- TIGET (San Raffaele Telethon Institute of Gene Therapy), ottenendo grandi successi.

Lo scorso anno due bambine affette da una grave forma di immunodeficienza congenita sono state guarite grazie a una procedura di terapia sviluppata dai suoi ricercatori

L'istituto HSR-TIGET, diretto da Maria Grazia Roncarolo, rappresenta il più grande investimento di Telethon in terapia genica, l'area di ricerca che mira alla immissione nelle cellule dei pazienti affetti da malattie genetiche di parti del DNA "sano" in grado di sopperire al funzionamento del gene malato. Una prima strategia è quella di individuare dei "vettori" idonei che riescano ad effettuare il trasporto di tali porzioni di genoma umano all'interno della cellula. Si cerca così di contrastare l'effetto patologico dei geni malattia e di intervenire direttamente sul paziente.

A questo proposito, nel corso del 2003 l'HSR-TIGET si è arricchito dell'esperienza di Luigi Naldini che, chiamato all'istituto in veste di condirettore, ha portato progetti d'avanguardia che riguardano lo studio e la messa a punto di vettori lentivirali, dei "proiettili biologici" capaci di portare all'interno delle cellule il gene sano, particolarmente efficienti e versatili per la terapia genica.

Nel contempo, è proseguito lo studio clinico per la terapia genica di una grave forma di immunodeficienza ereditaria: dopo aver guarito nello scorso anno due piccole pazienti, l'HSR-TIGET ha intrapreso la cura di due nuovi casi. Le attività riguardanti la terapia genica di questa immunodeficienza ereditaria hanno anche ottenuto un finanziamento congiunto di Telethon e AFM (l'Associazione Francese contro le Miopatie) dedicato a studi clinici per la cura di malattie genetiche ereditarie.

L'HSR-TIGET nel corso dell'esercizio 2002-2003 ha dato ottimi risultati in termini di pubblicazioni scientifiche (Figura 22).

Esercizi finanziari	99-00	00-01	01-02	02-03
N° pubblicazioni	20	21	12	19
Impact factor totale	174,2	232,4	104,6	124,2
Impact factor medio	8,7	11,1	8,7	7,7

Figura 22. Le pubblicazioni scientifiche di HSR-TIGET nell'esercizio di competenza e nei tre anni precedenti

L'HSR-TIGET opera all'interno del Dipartimento di Biotecnologie dell'Istituto scientifico San Raffaele. Il personale dell'istituto HSR-TIGET è composto da circa 60 persone tra ricercatori, tecnici e personale amministrativo.

I progetti attivi sono 13; presso l'HSR-TIGET vengono svolti anche corsi di dottorato e tirocini formativi.

Nel corso di questo esercizio anche l'HSR-TIGET è stato sottoposto alla valutazione della Commissione Medico-Scientifica per il rinnovo del finanziamento relativo al triennio che va da gennaio 2003 a dicembre 2005. Anche per l'HSR-TIGET i finanziamenti sono su base triennale. Il pro-

2.3.2 Le attività dell'HSR-TIGET

cedimento utilizzato è stato simile a quello illustrato per il TIGEM. Le valutazioni dovevano essere espresse:

- a) sull'istituto;
- b) sui progetti di ricerca e sulle *facility* interne;
- c) sul budget.

Anche per questo istituto è stata costituita una Commissione di *site visit* composta da alcuni membri della Commissione Medico-Scientifica e da membri esterni a questa. Il lavoro della Commissione di *site visit* è stato, quindi, quello di valutare il documento di richiesta del *grant* presentato dall'istituto, visitare gli spazi occupati dall'istituto, procedere alle interviste con il direttore e il co-direttore dell'istituto e con i singoli ricercatori responsabili dei progetti e poi esprimere un parere complessivo riportato in un documento finale e condiviso. La valutazione sull'istituto è stata eccellente. Nel triennio precedente l'HSR-TIGET ha raggiunto dei risultati molto importanti affermandosi come un centro di riferimento internazionale per la terapia genica.

Nel complesso per l'HSR-TIGET sono stati deliberati 2.582.000 Euro per il primo anno con l'indicazione di rinnovare il finanziamento anche per i due anni successivi (Figura 30).

UN IMPEGNO DECENNALE DI TELETHON: LA TERAPIA GENICA DELLE CELLULE STAMINALI CONSENTE LA CURA DI UNA GRAVE IMMUNODEFICIENZA

La scoperta

Lo scorso anno, nel giugno 2002, Science pubblica il primo successo al mondo di terapia genica effettuata su cellule staminali emopoietiche per correggere i difetti dell'ADA-SCID, una grave forma di immunodeficienza ereditaria. Per la prima volta al mondo, due bambine affette dalla malattia guariscono in modo definitivo grazie a un intervento di terapia genica.

Lo studio è stato realizzato dall'Istituto Telethon per la Terapia Genica delle malattie genetiche (HSR-TIGET), guidato da Maria Grazia Roncarolo e con la collaborazione di Claudio Bordignon. Il team è composto da Alessandro Aiuti, che ha svolto un ruolo cruciale sia nella ricerca di base sia nell'applicazione clinica, Francesca Ficara, Sara Deola, Alessandra Mortellaro, Grazia Andolfi, Federica Cattaneo, Sergio Vai e Paolo Servida.

L'avvio dello studio è stato reso possibile dalla collaborazione con Shimon Slavin, del Hadassah University Hospital di Gerusalemme, dove il primo paziente è stato trattato. Del team del Prof. Slavin fanno anche parte Memet Aker e Shoshana Morecki.

Un contributo fondamentale è stato fornito da Antonella Tabucchi, Filippo Carlucci, e Enrico Marinello dell'Università di Siena e Roberto Miniero dell'Università di Torino.

Questo studio non sarebbe stato possibile senza l'ingente contributo di Telethon (8 milioni di euro in una decina di anni) che partecipa al finanziamento, alla gestione ed allo sviluppo del HSR-TIGET e che ha in gran parte finanziato questo progetto.

Le prospettive future.

L'aspetto forse più rilevante di questo studio è la dimostrazione che le cellule staminali geneticamente corrette sono in grado di produrre, a 2 anni di distanza, tutti i diversi tipi di cellule del sangue geneticamente ingegnerizzate. Questo traguardo permette di aprire prospettive di applicazione di questo metodo ad altre malattie del sangue sia genetiche, che acquisite. L'HSR-TIGET ha come prossimo obiettivo l'utilizzo di questa tecnologia nella correzione di altri difetti genetici del sistema immunitario umano e delle malattie lisosomiali (un gruppo di malattie genetiche del metabolismo).

L'obiettivo del DTI (Dulbecco Telethon Institute) è quello di sostenere la ricerca biomedica sulle malattie genetiche creando nel nostro Paese delle valide posizioni professionali per ricercatori di grande qualità

2.3.3 Le attività del DTI

Il DTI è un istituto virtuale nato grazie al Progetto Carriere Telethon ed è composto da scienziati direttamente ingaggiati dalla Fondazione Telethon e attivi presso istituti di ricerca italiani pubblici e privati non profit. Il progetto si propone l'obiettivo di sostenere la ricerca biomedica sulle malattie genetiche creando nel nostro Paese delle valide posizioni professionali per ricercatori di grande qualità. Nato con l'obiettivo di puntare più sul ricercatore che sul solo progetto, il programma si poneva l'obiettivo di sostenere ricercatori operanti in diverse zone di Italia, ma accomunati dalla stessa filosofia, dagli stessi schemi di selezione e di revisione, dalle stesse procedure di gestione. Questa condivisione ha permesso di fondare un vero e proprio istituto, intitolato a Renato Dulbecco che decise, nel 1999, di devolvere a Telethon per questa iniziativa il proprio compenso per la partecipazione al Festival di Sanremo.

Oggi 59 persone lavorano all'interno dell'istituto virtuale del DTI e vengono pagate da Telethon. I Telethon Scientist sono 20, 4 sono i collaboratori e 35 i borsisti (Figura 23).

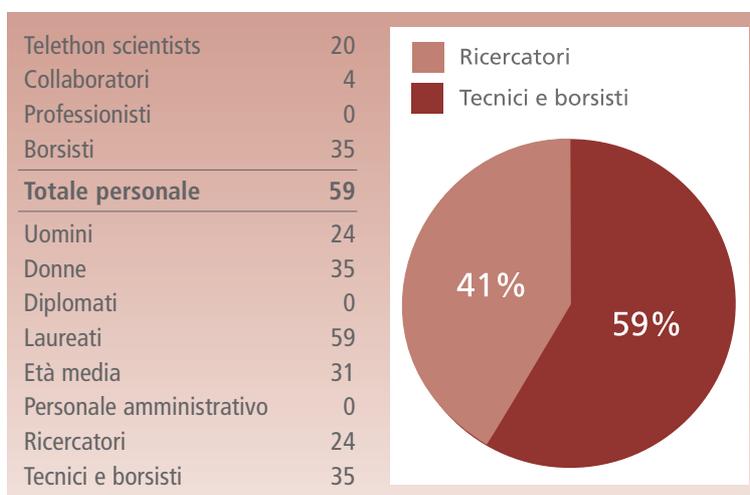


Figura 23. Il personale del DTI

Il programma prevede 3 livelli di carriera (Figura 24): *Assistant*, *Associate* e *Senior Telethon Scientist*, a seconda dell'esperienza e del merito dei candidati valutati attraverso un sistema di *peer review*.

La Fondazione considera i ricercatori del Progetto Carriere Telethon come parte integrante della propria struttura di ricerca e stipula con loro un contratto di tipo professionale.

Parallelamente, gli enti ospitanti sottoscrivono una convenzione di collabo-

razione con la Fondazione Telethon che permette al ricercatore ospitato di condurre al meglio la propria attività di ricerca e di avere i suoi spazi, il suo gruppo di ricerca e un adeguato accesso alle infrastrutture di laboratorio. L'ente di ricerca ospitante conferisce spazi ed attrezzature di base trattando un *overhead* (il 10% della assegnazione per il progetto di ricerca) per la copertura dei costi generali di struttura.

Il DTI ha acquisito, nel corso del presente esercizio, nuovi ricercatori. La selezione di questi scienziati si è conclusa durante la sessione valutativa della Commissione Medico-Scientifica di Telethon nel novembre 2002. In tale occasione sono state valutate le domande di finanziamento per accedere ad uno dei tre livelli su cui è strutturato il Programma Carriere Telethon (Figura 24).

Tipologia	Importo assegnato (Euro)	Durata	Importo totale per ciascun tipo di posizione (Euro)
Assistant Telethon Scientists (con esperienze di ricerca post-laurea)	<ul style="list-style-type: none"> •32.000 (salario annuo) •40.000/anno (grant di ricerca) •25.000 (starting grant) •42.000 (pagamento di personale aggiuntivo: posizioni di dottorato o post-doc) 	5 anni	427.000
Associate Telethon Scientists (per scienziati con esperienze non inferiore a 5-10 anni ed in grado di condurre ricerca indipendente)	<ul style="list-style-type: none"> • 58.000 (salario annuo) •90.000/anno (grant di ricerca) •25.000 (starting grant) •42.000 (pagamento di personale aggiuntivo: posizioni di dottorato o post-doc) 	5 anni	807.000
Senior Telethon Scientists (scienziati al più alto livello della produzione scientifica)	<ul style="list-style-type: none"> • 85.000 (salario annuo) •250.000/anno (grant di ricerca) 	5 anni	1.675.000

Figura 24. Lo schema del Progetto Carriere Telethon

I RICERCATORI DEL DTI
«Così gli scienziati italiani tornano dall'estero»



«Siamo professionisti, noi andiamo dove ci sono opportunità legate a una mission. Con Telethon ci sono. È un'esperienza entusiasmante avere a che fare con una struttura che appoggia il tuo lavoro e in più fa cultura. Tutto ciò allarga il senso della nostra attività»

Valerio Orlando



«Telethon è lungimirante. Non ci si può fermare ai risultati clinici, andare avanti sempre con gli stessi protocolli e terapie. Bisogna pensare al futuro, dare tanto spazio alla ricerca di base, per arrivare fino alla terapia genica. E Telethon è, in Italia, l'unico che lo fa»

Francesco Cecconi

RICERCATORI DTI ATTIVI AL 30 GIUGNO 2003

Associate Telethon Scientist

Valerio Orlando
 Epigenetica e Riprogrammazione del Menoma

Assistant Telethon Scientists

- Daniela Barilà*
 Malattie neurodegenerative (ataxia telangectasia)
- Stefano Bertuzzi*
 Sviluppo embrionale dell'occhio (coloboma)
- Alessandra Boletta*
 Rene policistico
- Alessandra Bolino*
 Malattie neuromuscolari (Charcot Marie Tooth)
- Valentina Bonetto*
 Malattie neurodegenerative (sclerosi laterale amiotrofica, malattia di Huntington)
- Francesco Cecconi*
 Malattie neurodegenerative
- Roberto Chiesa*
 Malattie neurodegenerative (malattie famigliari da prioni)
- Andrea Daga*
 Malattie neurodegenerative (dystonia da torsione, sindrome di Leigh, paraplegia spastica)
- Francesca Fanelli*
 Studi strutturali di proteine
- Manolis Fanto*
 Atrofia dentatorubropallidoluisiana (malattie neurodegenerative)
- Margherita Maffei*
 Obesità
- Giorgio Merlo*
 Sviluppo embrionale (malformazioni congenite craniofacciali e degli arti)
- Giovanna Musco*
 Studi strutturali di proteine
- Maria Passafaro*
 Malattie neurodegenerative (ritardo mentale legato al cromosoma X)
- Livio Pellizzoni*
 Atrofia muscolare spinale
- Pier Lorenzo Puri*
 Malattie neuromuscolari
- Luca Scorrano*
 atrofia ottica dominante (malattie mitocondriali)

Maria Pia Sperandeo
Intolleranza alle proteine con lisinuria
Manuela Zaccolo
Malattie neuromuscolari (cardiomiopatia ipertrofica)

Nel bando 2002, tre candidature sono state ritenute all'altezza del progetto ed il Comitato Telethon Fondazione ONLUS ha deliberato l'assegnazione totale di 1.281.000 Euro (Figura 25). La Fondazione ha avviato, quindi, le procedure per l'insediamento di questi ricercatori nelle istituzioni di ricerca da loro prescelte.

I ricercatori finanziati in questo esercizio dal Progetto Carriere svolgono la loro attività presso i seguenti Istituti di ricerca:

- la Fondazione San Raffaele del Monte Tabor di Milano (1 *Assistant Telethon Scientist*);
- l'Istituto Veneto di Medicina Molecolare VIMM di Padova (1 *Assistant Telethon Scientist*);
- il Campus Adriano Buzzati Traverso, EMBL, CNR di Monterotondo (1 *Assistant Telethon Scientist*).

Tipologia	N° Progetti stanziati	N°Progetti presentati	N° progetti scartati	N° progetti approvati	Valore (migliaia di Euro)
Assistant Telethon Scientist	5	16	13	3	1.281
Associate Telethon Scientist	1	2	2	0	0
Telethon Scientist	1	0	0	0	0
Totale	7	18	15	3	1.281

Figura 25. I Progetti Carriere Telethon - bando 2002

Queste posizioni sono state selezionate dalla Commissione Medico-Scientifica utilizzando la nuova procedura che prevede l'intervista con il candidato nel corso della riunione plenaria. Infatti, tra tutti i progetti che pervengono in risposta al bando la Commissione seleziona i candidati che hanno inviato le proposte più meritevoli e li invita a discutere i vari aspetti della loro ricerca e del loro reinserimento nella realtà italiana. In questa sessione 11 dei 16 candidati sono stati inviati al colloquio e di questi solo 3 sono stati ritenuti idonei alla posizione di Assistant Telethon Scientist. Si segnala, inoltre, che l'impegno del DTI nel presentare progetti per ottenere **fondi aggiuntivi**, che già era iniziato nel corso del precedente eser-



«Telethon parla la lingua della scienza vera. Senza Telethon perderemmo un pezzo fondamentale della ricerca italiana, che appartiene a tutti quelli che così generosamente ci aiutano. Penso che nei prossimi 5 anni riusciremo a capire molto meglio come i geni interagiscono tra di loro e a decifrare il complicatissimo network genetico che permette alle cellule di funzionare. Un risultato fondamentale per la nostra battaglia contro le malattie»

Stefano Bertuzzi



«La cosa più importante è che grazie a Telethon ho finalmente potuto mettere su il mio gruppo di ricerca. È ancora piccolo, ma è già una prima fondamentale prova di indipendenza scientifica»

Manuela Zaccolo

cizio, si è fortemente ampliato portando all'Istituto un notevole incremento di fondi per un totale di 1.577.444 Euro.

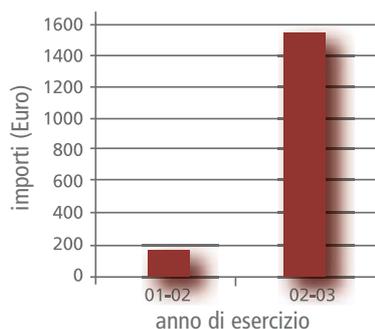


Figura 26. I finanziamenti esterni del DTI negli ultimi due anni

Tra questi, di particolare rilievo sono il finanziamento ottenuto dalla Fondazione Cariplo di Milano (200.000 Euro), per i Telethon Scientist che operano in Lombardia, e dalla Compagnia di San Paolo di Torino (450.000 Euro), per tutti gli altri, che hanno supportato progetti di collaborazione tra i vari laboratori del DTI coinvolti, allo scopo di creare linee di ricerca trasversali.

Altri finanziamenti sono stati ottenuti dalla Commissione Europea, dalla European Molecular Biology Organization, dal Ministero dell'Istruzione Università e Ricerca all'interno del programma FIRB, dalla Newron, dall'Associazione Italiana per la Ricerca sul Cancro, dalla fondazione americana Fight for Sight, dalla fondazione tedesca Volkswagen, dall'Istituto Superiore di Sanità. Altri fondi ancora sono stati ottenuti tramite la partecipazione dei ricercatori del DTI, come responsabili di centri satelliti di progetti multicentrici presentati a Telethon ed approvati dalla Commissione Medico-Scientifica.

Un altro risultato di rilievo del DTI è il riconoscimento di molti dei suoi laboratori come sede di svolgimento di **dottorati di ricerca**. In particolare sono state attivate convenzioni con l'Università degli Studi di Milano e la seconda Università di Roma "Tor Vergata".

La produzione scientifica dei ricercatori del DTI si può anche desumere dal numero complessivo di pubblicazioni e dal relativo valore di *impact factor* (Figura 27)

Esercizi finanziari	02-03
N° pubblicazioni	13
<i>Impact factor</i> totale	171,8
<i>Impact factor</i> medio	13,2

Figura 27. Le pubblicazioni del DTI nell'esercizio di competenza

Tecnothon, il centro della ricerca tecnologica di Telethon, provvede all'invenzione, alla progettazione e alla realizzazione di ausili tecnologici per le persone disabili

Se la ricerca biomedica di Telethon si concentra sullo studio delle malattie genetiche, la ricerca tecnologica vuole aiutare le persone disabili (non solo a causa di malattie genetiche, ma ovviamente anche di altre cause patologiche) nella loro vita quotidiana, privata e sociale.

Il laboratorio dove vengono sviluppati e implementati i progetti di ausilio tecnologico per l'handicap ha sede a Sarcedo (Vicenza); al suo interno lavorano 9 persone, di cui 3 ricercatori, 4 tecnici e 2 amministrativi (Figura 28).

2.3.4 La ricerca tecnologica del Tecnothon

Dipendenti	6
Collaboratori	1
Professionisti	1
Borsisti	1
Totale personale	9
Uomini	7
Donne	2
Diplomati	6
Laureati	3
Età media	40
Personale amministrativo	2
Ricercatori	3
Tecnici di laboratorio	4

Figura 28. Il personale del Tecnothon

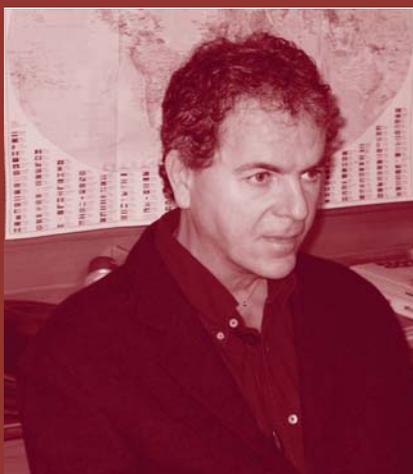
Una volta brevettati, e corredati dello studio di industrializzazione e dei disegni costruttivi, i progetti vengono ceduti gratuitamente alle imprese, che si impegnano a produrre e vendere l'ausilio a un prezzo "etico" pattuito con Telethon (Figura 29). Questo Laboratorio, come gli istituti TIGEM e HSR-TIGET, è entrato a far parte delle attività gestite dalla Fondazione Telethon.



Figura 29. Il processo applicato per rendere disponibili gli ausili progettati da Tecnothon

A novembre 2002, dopo aver ricevuto il piano di attività per l'anno 2003, il Consiglio di Amministrazione della Fondazione ha deliberato lo stanziamento di 360.000 Euro a copertura di tutto l'anno 2003.

La ristrutturazione organizzativa del Tecnothon, avvenuta negli ultimi anni, ha portato anche all'acquisizione di fondi esterni. A dicembre 2002, infatti, la Giunta Regionale del Veneto, con provvedimento n. 4010 del 30/12/02, ha provveduto allo stanziamento di 300.000 Euro per il Piano di



IL DIRETTORE DI TECNOTHON
«Riacquistare le capacità perdute»

«Molte malattie progressive accelerano la vita. Quindi si vive meno e si perdono prima del tempo molte capacità.

A Tecnothon, il laboratorio di ricerca tecnologica della Fondazione Telethon, per merito di buoni progettisti e con l'aiuto della tecnologia si può viaggiare indietro nel tempo, a quando si era più giovani. E si riacquistano capacità perdute»

Francesco Miotto
 direttore di Tecnothon

Attività triennale presentato dal laboratorio. Tale stanziamento verrà utilizzato a partire dal prossimo esercizio (2003-2004).

LA MISSIONE DEL TECNOTHON

- Agevolare e migliorare la qualità della vita delle persone affette da malattie genetiche e dei loro familiari, favorendo l'autonomia, in ogni situazione, ventiquattro ore su ventiquattro;
- Anticipare soluzioni innovative e in grado di stimolare dibattiti culturali, sensibilizzando sulla realtà e le esigenze dell'handicap e di orientare la cultura industriale, finalizzandola ad una progettazione che sia realmente per tutti;
- Sviluppare le idee e i progetti nati dalle esigenze delle singole persone affette da disabilità, realizzando prototipi che non saranno prodotti su larga scala ma che danno la priorità all'utenza solitamente trascurata dai mercati.

I RISULTATI DEL TECNOTHON (2002-2003)

- È stata conclusa la tesi di Laurea (Università di Padova - Facoltà di Ingegneria Meccanica) per testare la carrozzina **Rampega**. Sulla base dei risultati numerici e sperimentali della tesi sono state apportate alcune modifiche per irrobustire il telaio. Prima che la carrozzina possa essere usata come sedile di guida si attende l'esito del crash test da parte del Centro Sicurezza Fiat.
- È stata assegnata la produzione e la distribuzione del letto **Nontikiamo** alla ditta Favero HealthProjects, che realizza letti per degenza e rianimazione. Il laboratorio Tecnothon affiancherà la ditta Favero per l'industrializzazione del prodotto. Il letto Nontikiamo permette di riposare in modo confortevole, anche a chi non è in grado di mutare autonomamente la propria posizione. Infatti una geometria innovativa rende possibile, oltre al sollevamento del tronco e degli arti inferiori, lo spostamento su di un fianco.
- Sono proseguite le sperimentazioni sugli adattamenti per la guida di veicoli, in particolare sul riconoscimento vocale per azionamento servizi (luci, frecce, clacson, etc.) e robotizzazione del cambio automatico

- Su sollecitazione della UILDM, si è intrapreso lo studio di una speciale mazza per il gioco dell'hockey in carrozzina. E' in via di sviluppo il prototipo, che una volta ultimato, verrà affidato ad un atleta affinché lo cominci a testare nel campionato italiano.
- In linea con la propria mission, Tecnothon ha diffuso la filosofia di progettazione che la contraddistingue: progettazione per tutti e centrata sull'utente. Inoltre, nell'anno della disabilità, Tecnothon ha promosso dibattiti relativamente agli aspetti sociali della disabilità e all'abbattimento delle barriere culturali oltre a quelle architettoniche partecipando a numerose manifestazioni e incontri e ottenendo pubblicazioni su carta intestata (Newton, Famiglia Cristiana, Il Corriere della Sera, L'Unità).

I PRINCIPALI IMPEGNI FUTURI DEL COMITATO TELETHON ALLA RICERCA

Come è stato in parte descritto nelle pagine precedenti, il Comitato Telethon finanzia la ricerca esterna attraverso l'emissione di 2 bandi per ogni singolo esercizio. Il Comitato Telethon assegna i fondi ai progetti di ricerca esterna presentati solo dopo la valutazione positiva della Commissione Medico-Scientifica e compatibilmente alla disponibilità di fondi. L'impegno finanziario per i progetti viene deliberato e sostenuto dal Consiglio di Amministrazione del Comitato in un'unica soluzione anche qualora il progetto ricopra più annualità.

Per quanto riguarda invece la ricerca interna, quest'anno la Commissione Medico-Scientifica ha valutato positivamente le richieste di finanziamento dell'HSR-TIGET e di TIGEM rispettivamente di 7.376.391 Euro e di 7.650.000 Euro per un periodo complessivo di tre anni ma il Comitato Telethon ha assegnato l'importo solo della prima annualità come indicato in Figura 30.

Nei prossimi 2 anni, il Comitato dovrà erogare ai due istituti ancora 9.945.000 Euro.

Al 30 giugno 2003 i fondi disponibili del Comitato ammontano a 5.698.000 Euro. Questi fondi servono proprio a garantire continuità alle attività di finanziamento della ricerca interna ed esterna e alle attività organizzative e di funzionamento generale dell'ente.

Istituto	Importo deliberato dal Comitato nel 2002-2003 (Euro)	Importo approvato dalla CMS per il 2003-2004 (Euro)	Importo approvato dalla CMS per il 2004-2005 (Euro)
TIGEM	2.500.000	2.550.000	2.600.000
HSR-TIGET	2.582.000	2.326.000	2.469.000
DTI	1.549.000		

Figura 30. Assegnazioni del Comitato ai tre istituti di ricerca interna e approvazioni della Commissione Medico-Scientifica (CMS) per i finanziamenti di TIGEM e HSR-TIGET nei due prossimi esercizi

LA XI CONVENTION SCIENTIFICA DI TELETHON

Ogni anno tutti i ricercatori in corso di finanziamento Telethon si danno appuntamento per l'annuale Convention Scientifica. Oltre ad essere momento di intenso scambio intellettuale sullo stato della ricerca genetica più avanzata e sui risultati più significativi raggiunti nei diversi settori, questo evento rappresenta anche l'occasione di dare la massima visibilità e trasparenza all'impiego del denaro raccolto in occasione della maratona televisiva dell'anno precedente.

Dal 24 al 26 novembre 2002, presso il Palazzo dei Congressi di Riva del Garda si è tenuta la XI Convention di Telethon. Per la seconda volta, la Provincia autonoma di Trento ha offerto il proprio generoso contributo per sostenere l'organizzazione di questo importante appuntamento scientifico e per la stampa degli atti, un volume che raccoglie il resoconto dei risultati più recenti di tutti i progetti di ricerca in corso di finanziamento Telethon.

IL BILANCIO DI UTILITÀ SOCIALE - Le attività di supporto

Per statuto, il Comitato Telethon Fondazione ONLUS deve valutare in modo rigoroso i progetti di ricerca sulle malattie genetiche. A tale scopo il Comitato si avvale di una Commissione Medico-Scientifica e del meccanismo di *peer review*

3.1 La valutazione dei progetti e il controllo dei risultati

La finalità istituzionale del Comitato Telethon Fondazione ONLUS, assegnare ed erogare i fondi per la ricerca, viene raggiunta attraverso l'adozione di rigorosi meccanismi di valutazione; infatti, perché la ricerca proceda con successo, è necessario finanziare progetti d'eccellenza, che garantiscano la massima efficacia in termini di risultati.

A questo scopo, ogni anno Telethon emette bandi di concorso per la presentazione di progetti di ricerca. Una volta ricevuti i progetti, si mette in moto il processo di valutazione *ex ante*, che si avvale di mezzi e metodi utilizzati a livello internazionale, e cioè di una Commissione Medico-Scientifica e del sistema di *peer review*, illustrati più avanti.

Nel suo complesso, il processo di valutazione dei progetti non può dirsi completo senza una fase di valutazione *ex post*, come illustrato nella Figura 31.



Figura 31. Il processo di valutazione dei progetti di ricerca.

La valutazione *ex post* è stata finora effettuata da Telethon per i progetti conclusi da ricercatori che concorrano a nuovi finanziamenti. Infatti, in questo caso, i ricercatori devono presentare un accurato resoconto scientifico del lavoro svolto e dei risultati ottenuti, unitamente alla nuova proposta di progetto. Tale resoconto deve essere approvato dalla Commissione Medico-Scientifica perché il nuovo progetto possa essere considerato finanziabile.

Anche il calcolo del valore di *impact factor* delle pubblicazioni scientifiche risultanti dai progetti finanziati da Telethon costituisce una misura di valutazione *ex post*.

Attualmente, Telethon si sta dotando di mezzi più sofisticati per attuare una più accurata valutazione *ex post* della ricerca finanziata. Tra questi, segnaliamo l'imminente adozione del *citation index*, quale metodo più preciso, rispetto all'*impact factor*, per valutare l'effettivo impatto delle pubblicazioni scientifiche sulla comunità scientifica internazionale.

Telethon si propone di investire risorse in mezzi idonei ad eseguire un'ancora più approfondita valutazione *ex post* della ricerca finanziata, allo scopo di indirizzare i propri finanziamenti a quelle aree che siano meglio in grado di rispondere alle proprie finalità.

LA COMPOSIZIONE DELLA COMMISSIONE MEDICO-SCIENTIFICA

AL 30 GIUGNO 2003

President

Robertson Parkman
Childrens Hospital Los Angeles
Division of Research Immunology
Bone Marrow Transplantation
Los Angeles (Stati Uniti)

Vice President

Stefano Schiaffino
Centro CNR per la Biologia
e Fisiopatologia Muscolare
Dip. di Scienze Biomediche
Università di Padova
Padova (Italia)

Members

Stylianos. E. Antonarakis
Centre Médical Universitaire (CMU)
Division de Génétique Médicale
Ginevra (Svizzera)

M. Flint Beal

Chairman / Neurologist-in-Chief
Weill Medical College of Cornell University
New York Presbyterian Hospital
Dept. of Neurology and Neuroscience
New York (Stati Uniti)

D. Timothy Bishop

ICRF Genetic Epidemiology Laboratory
Cancer Genetics Building
St. James's University Hospital
Leeds (Gran Bretagna)

John Blangero

Southwest Foundation
Dept. of Genetics
San Antonio (Stati Uniti)

Kate Bushby

Institute of Human Genetics
International Centre for Life
Newcastle upon Tyne (Gran Bretagna)

Xavier Estivill

Senior Investigator and Program
Coordinator
Genes & Disease Program
Genomic Regulation Center
Barcelona (Spagna)

Riccardo Fodde

Chair of Cancer Genetics
Department of Human and
Clinical Genetics
University Medical Center
Leida (Olanda)

Philippe Froguel

Directeur du département
de Génétique Humaine
Institut de Biologie Institut Pasteur de Lille
Lille (Francia)

Filippo Giancotti

Cellular Biochemistry and Biophysics Program
Memorial Sloan-Kettering Cancer Center
New York (Stati Uniti)

J. Timothy Greenamyre

Emory University
Center for Neurodegenerative
Diseases
Atlanta (Stati Uniti)

Robert C. Griggs

Professor and Chair of Neurology
University of Rochester Medical Center
Rochester (Stati Uniti)

Michio Hirano

Assistant Professor of Neurology
Columbia-Presbyterian Medical Center
New York (Stati Uniti)

Karin Jurkat-Rott

Current Genetics Group
University of Ulm
Ulm (Germania)

Daniel Louvard

Director of the Research Division
Insitut Curie
Parigi (Francia)

Lucio Luzzatto

Scientific Director
Istituto Nazionale per la Ricerca sul Cancro
Genova (Italia)

Thomas Meitinger

GSF- National Research Centre for
Environment and Health
Institute of Human Genetics
Monaco (Germania)

Jeffrey Noebels

Department of Neurology
Baylor College of Medicine
Houston (Stati Uniti)

Ben A. Oostra

Erasmus University
Dept. of Clinical Genetics
Rotterdam (Olanda)

Ruggero Pardi

Head, Unit of Leukocyte Biology
Vita-Salute University
School of Medicine
DIBIT-Scientific Institute San Raffaele
Milano (Italia)

Alain Prochiantz

CNRS UMR 8542
Ecole Normale Supérieure
Parigi (Francia)

Camillo Ricordi

Division of Cellular Transplantation
Diabetes Research Institute
University of Miami
School of Medicine
Miami (Stati Uniti)

Paul Robbins

Department of Molecular Genetics
and Biochemistry
University of Pittsburgh
School of Medicine
Pittsburgh (Stati Uniti)

Sangram S. Sisodia

Thomas Reynolds Sr. Family
Professor of Neurosciences
Director, Center for Molecular
Neurobiology
University of Chicago
Chicago (Stati Uniti)

Michele Solimena

Professor of Experimental Diabetology,
Medizinisch Theoretisches Zentrum
Medical School,
Technical University Dresden
Dresda (Germania)

Veronica van Heyningen

Cell Genetics Section
MRC Human Genetics
Western General Hospital
Edinburgh (Gran Bretagna)

Catherine M. Verfaillie

University of Minnesota
Dept. of Medicine
Minneapolis (Stati Uniti)

Marino Zerial

Max Planck Institute
for Molecular Cell
Biology and Genetics (MPI-CBG)
Dresda (Germania)

LA COMMISSIONE MEDICO-SCIENTIFICA E IL PROCESSO DI *PEER REVIEW*

Per esplicita determinazione dello Statuto del Comitato Telethon Fondazione ONLUS le assegnazioni dei fondi Telethon a progetti di ricerca biomedica possono avvenire solamente «sulla base del parere vincolante della Commissione Medico-Scientifica...» (Statuto del "Comitato Telethon Fondazione ONLUS", estratto da art. 2).

Fin dalla sua prima composizione, la Commissione è stata il massimo attore delle attività valutative. Il Consiglio di Amministrazione del Comitato si è sempre impegnato affinché la commissione avesse le seguenti caratteristiche:

- massima indipendenza di giudizio;
- massima competenza tecnica sugli oggetti di valutazione.

Affinché queste condizioni siano effettivamente realizzate, il Comitato Telethon Fondazione ONLUS fa in modo che:

- la maggioranza dei membri della Commissione sia rappresentata da esperti stranieri o italiani stabilmente operanti all'estero presso istituzioni di primo rilievo internazionale;
- l'avvicendamento dei membri in carica avvenga con periodicità;
- la scelta dei nuovi membri non sia lasciata alla stessa Commissione (anche se ovviamente i pareri da questa provenienti sono estremamente preziosi e ben accetti).

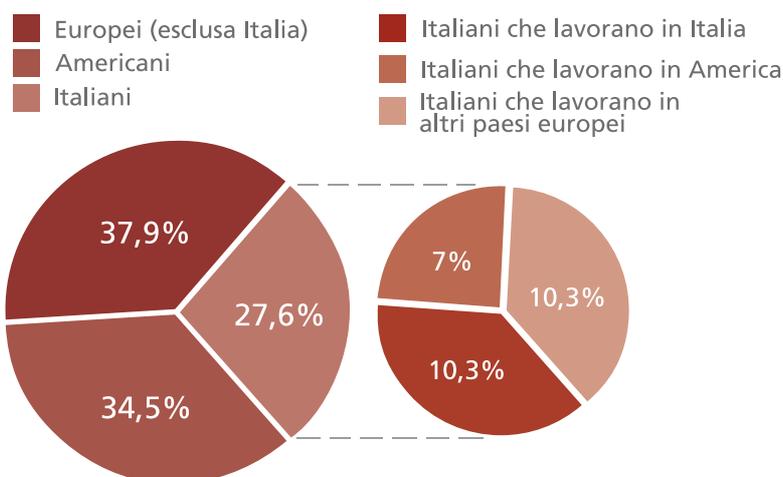


Figura 32. La composizione della Commissione Medico-Scientifica alla fine dell'esercizio 2002-2003.

Per la valutazione dei progetti la Commissione Medico-Scientifica si avvale anche di revisori esterni provenienti da centri di ricerca internazionali, che analizzano i vari progetti e inviano il proprio giudizio scientifico.

Il processo di *peer review* ("revisione da parte dei pari") adottato da Telethon prevede quindi che ciascun progetto proposto venga assegnato a tre membri della Commissione Medico-Scientifica e ad almeno due revisori esterni (*external referee*) che risultino altamente competenti sull'argomento del progetto.

Il compito di individuare i revisori e accertarsi che non abbiano alcun rapporto diretto o indiretto con il ricercatore titolare del progetto spetta ai *Grant Review Manager*, ricercatori di lunga esperienza, che hanno lasciato l'attività di laboratorio per occuparsi esclusivamente del processo di valutazione della ricerca. La loro attività è coordinata dal Direttore Scientifico di Telethon.

Ai revisori viene chiesto di valutare la domanda, in base a criteri di originalità del progetto, fattibilità, attinenza alla missione di Telethon, curriculum vitae dei partecipanti e adeguatezza della richiesta di finanziamento, e di presentare una valutazione scritta.

La decisione finale sul finanziamento dei progetti avviene in una riunione plenaria della Commissione Medico-Scientifica, in cui le valutazioni dei membri stessi della commissione e dei revisori esterni vengono discusse approfonditamente anche per giungere a una votazione finale di ciascun progetto.

Il voto, risultante dalla media matematica dei giudizi espressi dai commissari, va da un minimo di 1, per i progetti il cui contenuto è definito "*poor*", ad un massimo di 5, per i progetti, particolarmente promettenti di risultati scientifici di rilievo, che vengono definiti "*outstanding*", secondo la seguente scala:

- *outstanding* (eccellente) 5
- *very good* (molto buono) 4
- *good* (buono) 3
- *fair* (discreto) 2
- *poor* (scarso) 1

In base ai voti espressi, la Commissione Medico-Scientifica stabilisce una graduatoria dei progetti di ricerca, secondo la quale il Consiglio di Amministrazione assegna i fondi disponibili.

Anche le assegnazioni di fondi alla ricerca interna seguono i criteri sopra descritti e sono soggette al parere della Commissione Medico Scientifica ma, proprio per l'importanza di tali impegni economici, si utilizzano degli strumenti di valutazione aggiuntivi

LA VALUTAZIONE DELLA RICERCA INTERNA

In particolare, gli istituti di ricerca TIGEM e HSR-TIGET preparano un documento molto esteso e dettagliato che riporta la descrizione dell'intero istituto e dei suoi piani strategici, come anche i singoli progetti di ricerca condotti. Tale documento viene inviato a tutti i membri della Commissione Medico-Scientifica per le loro valutazioni; inoltre, per i singoli progetti vengono individuati tre revisori esterni. Preliminarmente alla riunione della Commissione viene organizzata una *site-visit* presso l'istituto stesso, alla quale partecipano alcuni membri della Commissione stessa insieme ad altri ricercatori internazionali di uguale calibro, non appartenenti alla Commissione Medico-Scientifica ma con competenze specifiche relative agli ambiti di ricerca dell'istituto. Tale Commissione di *site-visit* passa quindi al vaglio il progetto generale dell'istituto e i singoli progetti condotti al suo interno e discute personalmente con il direttore scientifico e con i vari responsabili di progetto gli aspetti scientifici e gestionali che risultano particolarmente critici. Tale gruppo di esperti dà quindi una valutazione finale sulla proposta di rinnovo dell'istituto che viene poi presentata nel corso della sessione plenaria della Commissione Medico-Scientifica. La valutazione dei singoli progetti dell'istituto segue lo stesso iter dei progetti di ricerca esterna.

Per quanto riguarda la selezione dei ricercatori del DTI, nel corso di questo esercizio è stato introdotto un nuovo strumento di valutazione, che è l'intervista con il candidato. La Commissione Medico-Scientifica, prima della riunione plenaria, valuta le proposte arrivate in seguito al bando e seleziona quelle più meritevoli. I candidati responsabili di tali progetti vengono invitati a presentare vari aspetti del loro lavoro di ricerca a tutti i membri della Commissione. Tale meccanismo ha consentito di selezionare con migliore accuratezza i candidati per le posizioni di Telethon Scientist che più rispondono ai criteri richiesti da bando.

Per assicurare continuità al finanziamento e competitività alla ricerca italiana nel mondo, Telethon si rivolge a cittadini, imprese e istituzioni coinvolgendoli in un gara di solidarietà e di impegno sociale

3.2 La raccolta dei fondi

LA RACCOLTA FONDI DEL COMITATO

Nel mese di dicembre 2002, il Comitato ha realizzato un'ampia campagna di sensibilizzazione pubblica per la raccolta di fondi a favore della ricerca medico-scientifica sulle malattie genetiche. La campagna, che ha trovato il suo culmine nella maratona televisiva di oltre 36 ore trasmessa il 13 e il 14 dicembre sulle reti Rai, ha dato ottimi risultati grazie all'eccellente organizzazione di diversi canali di raccolta e al generoso contributo dei cittadini italiani.

Principali canali di raccolta nel 2002	Totale raccolta (migliaia di Euro)
AIA (Associazione Italiana Arbitri)	121
Autogrill	320
AVIS (Associazione Volontari Italiani del Sangue)	381
BNL (Banca Nazionale del Lavoro)	13.058
Carte di credito	1.928
Ferrovie dello Stato	348
Poste italiane	3.879
Pubbliche Amministrazioni	453
RCS Media Group	186
UILDM (Unione Italiana Lotta alla Distrofia Muscolare)	948
Altre operazioni nell'ambito della maratona	463
Totale proventi da maratona	22.085

LA RACCOLTA FONDI DELLA FONDAZIONE

Contestualmente alla raccolta fondi del Comitato, anche la Fondazione effettua una raccolta fondi attraverso quei partner e - con il contributo di - quei donatori che sono interessati a sostenere lo sforzo di gestione degli istituti di ricerca fondati da Telethon.

Inoltre, tanto il Comitato quanto la Fondazione pongono in essere ulteriori attività di raccolta fondi non connesse alla maratona televisiva.

L'attività di raccolta fondi della Fondazione Telethon ha riguardato fondazioni di origine bancaria e grandi aziende che hanno permesso l'adozione di alcuni importanti progetti di ricerca interna e contribuito alla vita dell'ente per un importo totale di 3.460.000 Euro.

Principali entrate nel 2002	Totale raccolta (migliaia di Euro)
da maratona televisiva	
Autogrill	432
Fiat Auto Japan	49
Lottomatica	75
Microsoft	26
Omnitel	106
SMA	711
Tamoil	100
Telecom	551
Altre entrate	52
da fondazioni di origine bancaria per adozioni progetti e da altre entrate	
Fondazioni di origine bancarie	262
FIT (Federazione Italiana Tabaccai) donazione 1° premio Lotteria di Viareggio	1.000
Fondo etico	96
Totale proventi	3.460

EFFICIENZA NELLA RACCOLTA FONDI DEL COMITATO TELETHON FONDAZIONE ONLUS E DELLA FONDAZIONE TELETHON

Al fine di valutare la disponibilità per gli impieghi istituzionali, e dunque la quantità di denaro che effettivamente viene erogata alla ricerca scientifica, vengono presi in considerazione i proventi e gli oneri di raccolta fondi, sia del Comitato che della Fondazione e gli oneri di supporto del Comitato che si assumono essere tutti riferibili alle stesse attività di raccolta fondi (Figura 33). Il risultato così ottenuto (Figura 34) esprime l'indice di efficienza nella raccolta fondi di Telethon.

RENDICONTO DELLA GESTIONE RICLASSIFICATO/1 – Le attività di supporto (Euro)			
	Comitato Telethon	Fondazione Telethon	Aggregato Proventi
Proventi da "Maratona Televisiva "	22.084.706	2.101.199	24.185.905
Proventi da altre raccolte	248.843	1.358.875	1.607.718
Totale proventi raccolta fondi	22.333.549	3.460.074	25.793.624
Oneri			
Oneri per la raccolta fondi	(3.356.081)	(258.060)	(3.614.141)
Oneri di supporto			
Strutturali	(166.707)		
Servizi	(770.988)		
Godimento beni di terzi	(225.730)		
Personale	(451.611)		
Ammortamenti	(273.186)		
Oneri diversi di gestione (incluso Commissione Medico-Scientifica)	(470.759)		
Totale oneri di supporto	(2.358.981)		(2.358.981)
Totale oneri raccolta fondi	(5.715.062)	(258.060)	(5.973.122)
Disponibilità generate nell'esercizio per gli impieghi istituzionali	16.618.487	3.202.015	19.820.502

Figura 33. Proventi ed oneri riferibili alle attività della raccolta fondi 2002

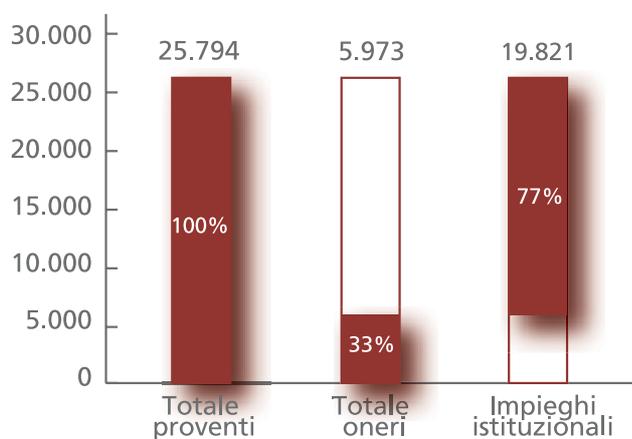


Figura 34. L'efficienza della raccolta fondi di Telethon (migliaia di Euro)



LA RACCOLTA FONDI

«La fiducia degli italiani fa bene alla ricerca»

«I 224 milioni di euro raccolti in 13 anni sono la testimonianza della relazione positiva che esiste tra le nostre fondazioni e la comunità italiana. Il popolo di Telethon è composto da oltre 600.000 cittadini e circa 22.000 imprese che, con il loro contributo, tengono acceso il motore della ricerca scientifica italiana sulle malattie genetiche.

Il nostro dovere è quello di fornire a chi ci sostiene tutte le informazioni disponibili sulla destinazione dei fondi e sui risultati che abbiamo prodotto.

Il nostro stimolo più forte deriva dalla fiducia che ci dimostrano i malati in attesa di cure ed i donatori fedeli negli anni.

Il nostro obiettivo è quello di allargare il più possibile la squadra della raccolta fondi, per agevolare la donazione dei nostri sostenitori e per favorire le occasioni di incontro e di scambio di informazioni sulla nostra missione.

La nostra più grande soddisfazione è quella di mostrare a chi ci sostiene il sorriso delle famiglie che hanno già beneficiato del progresso scientifico»

Niccolò Contucci
direttore comunicazione
e raccolta fondi di Telethon

LA SQUADRA DI TELETHON

Imprese, istituzioni, associazioni di volontariato che ogni anno si mobilitano per Telethon. Nessuno si limita a mettere i soldi. Tutti si adoperano offrendo le proprie strutture e la propria rete. Bancari, postini, ferroviari, cassiere e volontari che sensibilizzano gli italiani in nome della ricerca di Telethon. È questa la squadra che anche quest'anno ha permesso di superare le raccolte precedenti.

LE TESTIMONIANZE DEI PARTNER PRINCIPALI



«Il 2003 è stato un anno di importante innovazione nella nostra partnership con Telethon. Di solito la nostra squadra si ritrovava a settembre per pianificare gli eventi e la raccolta in vista della maratona televisiva di metà dicembre. Quest'anno è come se la maratona non fosse mai finita. Abbiamo lavorato tutto l'anno con grande continuità e sempre con lo stesso entusiasmo, coinvolgendo i nostri clienti e partner storici nell'organizzazione di eventi speciali e momenti di incontro e dialogo su tutto il territorio. BNL per Telethon rappresenta sempre più un'iniziativa positivamente contagiosa, in cui il gioco di squadra è la vera ragione del successo. Oramai è un dato di fatto: il sostegno a Telethon non significa più solo raccolta, ma un impegno costante di creatività ed energia che si diffonde a tutti i nostri interlocutori, sia interni sia esterni».

Mario Girotti
Direttore Generale BNL



«La maratona Telethon ci fa sentire parte di una grande squadra in cui tutti cercano di dare il meglio per il successo di un'idea, per l'avverarsi di un sogno».

Marco Tronchetti Provera
Presidente Telecom Italia



«Con una presenza capillare sul territorio, con almeno un ufficio postale in ogni comune e grazie alla fiducia che da sempre gli Italiani le riservano, Poste Italiane può dare un contributo fondamentale alla raccolta di donazioni per Telethon».

Massimo Sarmi
Amministratore Delegato Poste Italiane



«L'impegno nelle iniziative di solidarietà è una vocazione naturale per una grande azienda come la nostra».

Giancarlo Cimoli
Presidente e Amministratore Delegato
Gruppo Ferrovie dello Stato



«Riteniamo che Autogrill in viaggio con Telethon sia un'iniziativa importante nell'interesse di tutti. Ogni anno serviamo numerosissimi clienti, il numero dei contatti supera i 260 milioni, e siamo orgogliosi di poter portare a tutti loro il messaggio di Telethon».

Livio Buttignol

Amministratore Delegato Autogrill



«Mettere in moto la rete vendita di SMA-Gruppo Rinascente, presente su tutto il territorio nazionale significa coinvolgere i 2.000.000 di clienti ogni settimana acquistano da noi. Grazie al lavoro dei nostri 10.000 dipendenti ci impegniamo a rendere più capillare ed efficiente il coinvolgimento delle persone sulla ricerca delle malattie genetiche».

Benoix Lheureux

Amministratore Delegato Gruppo Rinascente
Settore Alimentare



«Le cifre raccolte in questi anni sono di per sé certamente rilevanti e tuttavia crediamo che il vero valore aggiunto di CartaSi sia stato quello di aver contribuito a diffondere una nuova sensibilità e attenzione verso i temi della responsabilità sociale presso milioni di italiani».

Maurizio Cartocci

Amministratore Delegato CartaSi



«"Nella ricerca la certezza", questo era il motto scelto da Federico Milcovich, fondatore nel 1961 della UILDM. Egli ebbe il merito di capire che solo con grandi iniziative si sarebbe potuta finanziare la ricerca nel nostro Paese. La UILDM lavora a fianco di Telethon con tutto l'impegno e la determinazione delle proprie sezioni provinciali, presenti in numerose piazze d'Italia. Sapere che la ricerca sulle malattie neuromuscolari può continuare a progredire è un primo fondamentale obiettivo e costituisce anche un ulteriore stimolo per combattere con più forza ogni giorno la battaglia per vedere garantito il diritto a una vita dignitosa e condizioni di autonomia e libertà alle persone disabili di oggi».

Enrico Lombardi

Presidente Nazionale UILDM



«Telethon rappresenta un modello di efficienza e trasparenza nel non profit italiano, con caratteristiche di assoluta eccellenza nel campo della ricerca scientifica internazionale. L'AVIS, con la sua rete di volontari radicata su tutto il territorio nazionale, vuole testimoniare solidarietà alle persone affette dalle malattie genetiche e alle loro famiglie

e partecipare alla lotta di Telethon promuovendo un concetto comune: la donazione di qualità».

Andrea Tieghi
Presidente AVIS Nazionale



«Sono orgoglioso che la l'Associazione Italiana Arbitri partecipi a Telethon coinvolgendo i trentaduemila tesserati italiani per raccogliere fondi con le telethon card. Noi crediamo fortemente nella ricerca e questo è uno dei modi più impegnativi ma anche belli e gratificanti di "scendere in campo"».

Tullio Lanese
Presidente AIA



«Vogliamo esprimere la gratitudine del nostro gruppo a Telethon per il ruolo fondamentale che riveste nella ricerca biomedica italiana e internazionale e siamo lieti di testimoniarlo dando spazio all'informazione sui progressi della ricerca e coinvolgendo i lettori delle nostre testate nella raccolta dei fondi».

Maurizio Romiti
Amministratore Delegato
e Direttore Generale RCS Media Group

LA TELETHON CARD

Alle classiche modalità di donazioni (tramite promesse telefoniche, SMS, carte di credito, banca e posta) Telethon ha aggiunto una modalità specifica ideata per i canali di raccolta territoriali: la Telethon Card. È una ricevuta di donazione, una forma di garanzia per il donatore. Tramite questa card, infatti, Telethon è in grado di controllare la raccolta con un preciso sistema di rendicontazione. La Telethon Card, prodotta in diversi tagli (2, 5, 10, 20 Euro), dà diritto a ricevere, inviando la cartolina stampata sul retro, il *Telethon Notizie*, la rivista di informazione scientifica. Nell'anno 2002-2003 sono stati 15.948 i cittadini che hanno rispedito le cartoline compilate, pari al 6% delle 239.932 Telethon Card rilasciate su tutto il territorio nazionale dai vari canali di raccolta.



La maratona televisiva, evento culminante della campagna di raccolta fondi, è anche un'importante occasione per sensibilizzare e informare il pubblico sulle malattie genetiche, sugli sviluppi della ricerca e sulle condizioni di vita dei malati nelle loro famiglie e nella società.

3.3 La comunicazione sociale

Il Comitato Telethon Fondazione ONLUS affida alla RAI la direzione della maratona televisiva, che va in onda ogni anno per 2 giornate consecutive nella prima metà di dicembre. La collaborazione della Rai è fondamentale: oltre a coprodurre l'evento, coinvolge nella maratona moltissimi personaggi noti e amati dal pubblico, i quali prestano gratuitamente la loro immagine per la causa di Telethon.

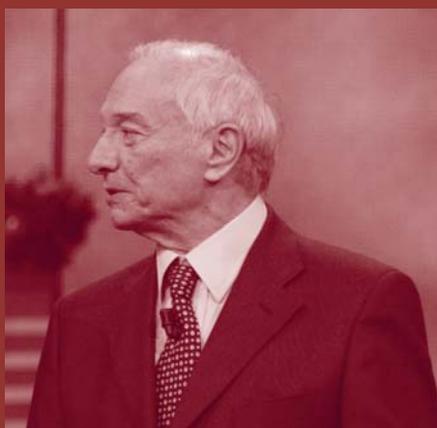
La maratona 2002 è durata complessivamente 36 ore, di cui 28 ore e 11 minuti di trasmissione effettiva, realizzata per il 75% in studio e per il 25% in esterne. La varietà di generi diversi ospitati all'interno della maratona permette di raggiungere molte tipologie di spettatori: nell'edizione 2002, i tempi sono stati così ripartiti:

- 17 ore circa dedicate all'intrattenimento, grazie alla presenza di 40 ospiti vip invitati e 31 atleti;
- oltre 5 ore dedicate all'informazione scientifica, di cui il 66% con il racconto di casi malattia, il 22% con ricercatori e il 12% con la presenza di personaggi famosi. Nel complesso sono state trattate 22 patologie;
- oltre 4 ore dedicate alla musica;
- quasi 2 ore dedicate all'informazione istituzionale sul Comitato Telethon Fondazione ONLUS.

Da una analisi sul gradimento della trasmissione commissionato alla società AC Nielsen CRA risulta che la maratona sia un evento molto ricordato dai telespettatori e che, in particolare, risulti molto gradita al pubblico la parte di trasmissione dedicata all'informazione scientifica.

Durante la maratona televisiva viene istituito il servizio **Telefono Scienza**: un numero verde dedicato all'informazione sulle malattie genetiche, a cui rispondono direttamente ricercatori, borsisti e collaboratori dei progetti Telethon (tutti medici o biologi con esperienza post laurea nel campo della genetica). Lo scopo è fornire ai malati e alle famiglie, in modo essenziale e comprensibile, quelle informazioni che la trasmissione, per esigenze televisive, non può fornire in modo esauriente.

Nel corso dell'edizione 2002 gli operatori del servizio hanno risposto a oltre 4000 telefonate, di cui il 28% per domande sui centri diagnostici, il 54% per informazioni sullo stato della ricerca e sui progetti finanziati da Telethon, il 12% sulle associazioni di malattia, il 6% sulla diagnosi prenatale (Figura 35).



IL VALORE DI TELETHON

«Donare per fertilizzare la ricerca»

«Conosco Telethon da ormai molto tempo e so bene quali sono i punti di forza più importanti. Voglio far sapere agli italiani che donare a Telethon significa fertilizzare la ricerca, darle vigore. Penso che gli italiani debbano capire bene che di Telethon ci si può fidare: per la trasparenza e la correttezza nella gestione di fondi, ma anche per i sistemi di selezione e controllo sui progetti di ricerca che finanzia. Siamo arrivati nella stanza dei bottoni; finita la fase della conoscenza del genoma umano siamo ad un passo dal poter intervenire. Ma per farlo la ricerca ha un sostanziale bisogno di finanziamenti. Vorrei che gli italiani sapessero che donare a Telethon significa investire nella ricerca quindi investire per il futuro dei propri figli»

Piero Angela
conduttore televisivo

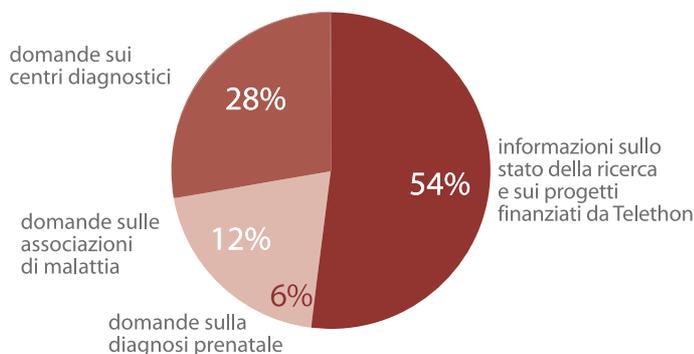


Figura 35. L'attività del Telethon Scienza nella maratona 2002

Il Comitato Telethon Fondazione ONLUS utilizza diversi canali di comunicazione per sensibilizzare l'opinione pubblica sul problema delle malattie genetiche, informare i sostenitori sull'impiego dei fondi raccolti, divulgare i progressi della ricerca.

L'INFORMAZIONE SCIENTIFICA

L'informazione scientifica contribuisce a sensibilizzare le persone sull'importanza della ricerca e a sostenere così le attività di raccolta fondi.

Due tra i principali strumenti di comunicazione sviluppati dal Comitato Telethon Fondazione ONLUS in questo campo sono Filo Diretto e il sito Informagene.

Filo diretto è un servizio informativo che fornisce risposte alle richieste telefoniche, via fax o lettera, che giungono al Comitato Telethon: riferimenti utili per la diagnosi e le ultime notizie riguardanti la ricerca sulle patologie genetiche.

I dati personali e le tipologie di richieste vengono inseriti in un database in ottemperanza alle vigenti leggi sulla privacy.

Da dicembre 1999 a maggio 2003 Filo Diretto ha risposto a quasi 1600 telefonate, 200 fax e oltre 350 fra lettere ed e-mail.

Le tipologie di richieste hanno riguardato per la maggior parte informazioni su malattie genetiche e, in misura minore ma significativa, informazioni su patologie non di origine genetica e richieste/commenti sulle attività del Comitato.

Informagene è un sito di divulgazione sulla genetica, nato per fornire a tutti informazioni comprensibili e aggiornate sul genoma e sulla ricerca,

accessibile attraverso il sito web di Telethon. Informagene offre on line informazioni facili e utili su tutte le malattie ereditarie, anche su quelle più rare per le quali è spesso difficilissimo reperire notizie.

Comprende:

- le Guide di Informagene, pagine divulgative che aggiornano sui progressi della ricerca, dalla terapia genica ai farmaci del futuro;
- l'ABC della genetica e un dizionario interattivo;
- 108 schede malattia scritte con la collaborazione di esperti che informano sulle patologie genetiche e sullo stato della ricerca;
- il servizio **Scrivi a Informagene**, attraverso cui gli esperti rispondono direttamente alle richieste del pubblico riguardanti le malattie ereditarie. Il sito mette inoltre a disposizione 250 link a siti italiani e stranieri, 230 indirizzi di centri diagnostici. Nel 2002 Informagene ha registrato una media di 27 mila hits e 7 mila visitatori al mese, rispondendo ad oltre 500 e-mail.

Informagene, che viene realizzato anche grazie al sostegno dell'azienda Kellogg's, è riconosciuto dalla *Health on the Net Foundation*, il principale organismo internazionale per la qualità dell'informazione medica on-line.

Telethon tutto l'anno

Il Comitato Telethon promuove l'organizzazione di Tavole Rotonde (a ingresso libero) di sensibilizzazione sul territorio nazionale diretti ad un pubblico adulto ed eterogeneo, allo scopo di diffondere informazioni sulle malattie genetiche e sul ruolo di Telethon nella ricerca scientifica nazionale ed internazionale. Protagonisti principali di questi eventi sono gli scienziati in corso di finanziamento Telethon che, in maniera semplice e divulgativa, spiegano cosa sono le malattie genetiche ed illustrano i risultati della propria attività di ricerca.

Per la realizzazione delle Tavole Rotonde, Telethon si avvale della preziosa collaborazione di numerosi partner che da anni sostengono volontariamente queste iniziative su tutto il territorio nazionale. Tra questi, i Club Femminili AIDM, AMMI, FIDAPA, Soroptimist International e Zonta International rappresentano i partner che per primi hanno promosso questi eventi. Dal 2002, anche la UILDM, la BNL, e l'AVIS contribuiscono all'organizzazione di questi appuntamenti.

Tra settembre 2002 e giugno 2003 sono stati organizzati 56 incontri con una media di 100-120 partecipanti.

LETTERA DI UNA MADRE

«Continuerò a partecipare nel nome di mio figlio»

«Da qualche anno Nicola partecipava alla raccolta fondi di Telethon. Anche quest'anno è arrivato il bollettino ed è stata una pugnalata al cuore quando ho visto il suo nome stampato. Perché purtroppo nell'ottobre 2003 il nostro adorato Nicola ci ha lasciati. Era un ragazzo splendido provato dalla vita per ben due volte. Alla nascita per la sindrome di Down e a vent'anni per la leucemia che non gli ha dato la possibilità di vivere. Nel mio piccolo ci tengo ancora a partecipare a questa importante campagna e la porterò avanti a nome della mia famiglia»

Bruna

Telethon Young

È un'iniziativa che il Comitato Telethon Fondazione ONLUS promuove in collaborazione con i Club femminili e la UILDM per informare i ragazzi delle scuole primarie e secondarie sulle malattie genetiche e sensibilizzarli all'impegno della ricerca scientifica. Nel corso dell'anno scolastico 2002-2003 sono stati realizzati 43 incontri nelle scuole primarie (7960 studenti) e 30 nelle scuole secondarie (4450 studenti).

GLI ALTRI STRUMENTI DI COMUNICAZIONE

Altri strumenti completano il quadro delle attività di comunicazione del Comitato Telethon Fondazione ONLUS

TELETHON.IT: il sito internet di Telethon, accoglie circa cento mila visitatori l'anno. Nato nel 1996, è continuamente aggiornato. Comprende notizie e informazioni per i ricercatori, le associazioni e le famiglie dei malati, i giornalisti.

TELETHON COMUNICAZIONE: si occupa dell'ideazione e della produzione di programmi radiofonici e televisivi, utilizzando in modo gratuito gli spazi delle emittenti private italiane, regionali, nazionali e satellitari. È uno strumento, a disposizione tutto l'anno, attraverso cui il Comitato può promuovere e far conoscere la propria attività al grande pubblico anche al di fuori della maratona televisiva. Nel corso dell'esercizio, sono state realizzate 210 puntate di programmi televisivi e 182 spazi tv acquisiti per la comunicazione istituzionale di telethon, 480 messe in onda dello spot istituzionale, per un totale di oltre 310 ore, senza repliche (raggiunti oltre 8 milioni e mezzo di spettatori*), e 70 puntate e 250 interviste per un totale di circa 58 ore di produzioni radiofoniche.

** dati AGB-Auditel*

TELETHON NOTIZIE: è la rivista di informazione scientifica che arriva ad oltre due milioni e mezzo di persone l'anno. Costituisce inoltre uno strumento di informazione finanziaria ai donatori, documentando i risultati di gestione e gli indici di efficienza e di efficacia dell'attività di Telethon.

L'UFFICIO STAMPA: ha il compito di fornire informazioni ai giornalisti, sia delle testate specializzate che di quelle generaliste. Grazie all'attività dell'ufficio stampa, Telethon ha un grande riscontro sulla stampa che gli dedica oltre cinquemila citazioni l'anno.

Telethon ha cura di gestire le proprie risorse ispirandosi ai principi generali - tracciati dagli amministratori - che costituiscono il sistema di traguardi e limiti della organizzazione. Nello specifico: attenzione alla persona e trasparenza

3.4 La gestione delle risorse umane e finanziarie

LE RISORSE UMANE

Lavorare in Telethon implica una motivazione al lavoro basata sulla condivisione forte della missione, sulla collaborazione delle diverse professionalità e sulla tensione comune al raggiungimento degli obiettivi di utilità sociale.

Particolare attenzione è posta al clima di lavoro, alla formazione del personale e alla valutazione delle loro capacità, competenze e conoscenze in linea con le proprie potenzialità e con gli obiettivi di Telethon.

Le risorse umane impegnate nei due enti Telethon, senza considerare il personale direttamente impegnato negli istituti di ricerca interna (per il quale si rimanda alla pagine dedicate a TIGEM, HSR-TIGET, DTI e Tecnothon) sono 87 di cui 57 dipendenti, 24 collaboratori e 6 professionisti. Il personale è suddiviso secondo le 3 direzioni: comunicazione e raccolta fondi (39), amministrativa (37) e scientifica (9).

ATTIVITÀ FORMATIVE (1 luglio 2002 - 30 giugno 2003)		
Tipo di corso	N° beneficiari	N° giornate formative
Attività specialistica	12	32
Attività generale	76	26
Totale beneficiari	88	
Totale giornate formative		58

Figura 36. Schema riepilogativo delle attività formative svolte da Telethon nel periodo di competenza del Bilancio

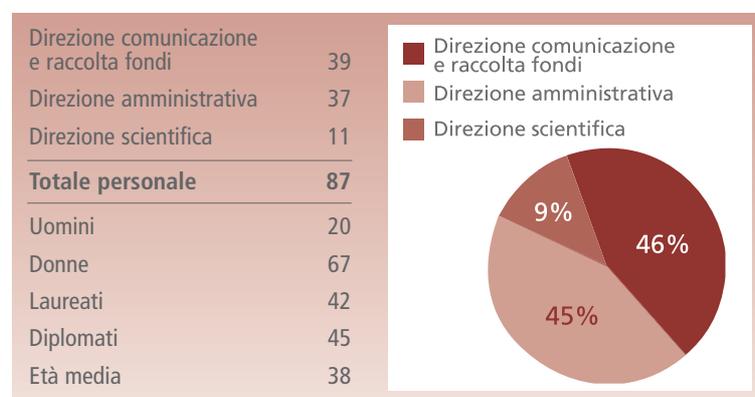


Figura 37. Il personale del Comitato e della Fondazione

LE RISORSE FINANZIARIE

Telethon, in attesa erogare i fondi (che per loro natura sono vincolati essendo destinati al finanziamento della ricerca), si ispira a sistemi di investimento del patrimonio improntati a principi di responsabilità sociale. La gestione delle risorse finanziarie avviene attraverso diversi oggetti di investimento caratterizzati da una bassa rischiosità e che prevedono impieghi prevalentemente in titoli di stato. Parte del patrimonio confluisce nel fondo BNL per Telethon la cui gestione si basa sulle linee guida indicate dal Comitato Etico di tale fondo.

Gli aspetti di merito della gestione patrimoniale vengono trattati nell'ambito di un Comitato degli Investimenti, cui partecipano soggetti esterni dotati di adeguata professionalità, il cui fine è quello di vigilare sul conseguimento di un equilibrato compromesso tra redditività ed eticità degli investimenti.

Di seguito si propone una sintesi dei risultati degli investimenti obbligazionari (GPM), tratti dalle rendicontazioni del gestore, sia per il Comitato (Figura 38) che per la Fondazione (Figura 39).

	Patrimonio (Keuro)	Rend. Lordo (%)	Benchmark (%)
luglio-settembre 2002	13.741	2.61	3.96
ottobre-dicembre 2002	13.408	1.79	2.31
gennaio-marzo 2003	18.443	1.23	1.28
aprile-giugno 2003	19.269	1.84	2.46

Figura 38. I risultati degli investimenti obbligazionari dei fondi gestiti dal Comitato Telethon

	Patrimonio (Keuro)	Rend. Lordo (%)	Benchmark (%)
luglio-settembre 2002	15.138	2.06	3.96
ottobre-dicembre 2002	10.147	1.88	2.31
gennaio-marzo 2003	22.422	1.21	1.28
aprile-giugno 2003	18.343	1.98	2.46

Figura 39. I risultati degli investimenti obbligazionari dei fondi gestiti dalla Fondazione Telethon

Nell'attività di funzionamento Telethon fa rientrare tutto lo sforzo amministrativo ed organizzativo generale dei propri uffici, finalizzato a una corretta amministrazione e alla riduzione dei costi di struttura

3.5 Il funzionamento della struttura

La massima parte dell'attività di gestione amministrativa degli istituti Telethon è svolta, in modo centralizzato, dagli uffici di Roma con criteri di economicità e di rigorosa organizzazione interna. Gli stessi criteri vengono adottati per le attività di gestione diretta dei progetti esterni.

Se consideriamo tutte le attività di carattere erogativo per la ricerca, sia essa interna ("Oneri da attività istituzionali") che esterna ("Utilizzi per gestione diretta") gli uffici amministrativi e finanziari della Fondazione hanno provveduto a gestire 15.021.000 Euro (Figura 40).

	99-00	00-01	01-02	02-03
Oneri da attività istituzionali	4.679	5.506	8.166	8.716
Utilizzi per Gestione Diretta	7.671	7.156	8.260	6.305
Totali (migliaia di Euro)	12.350	12.662	16.426	15.021

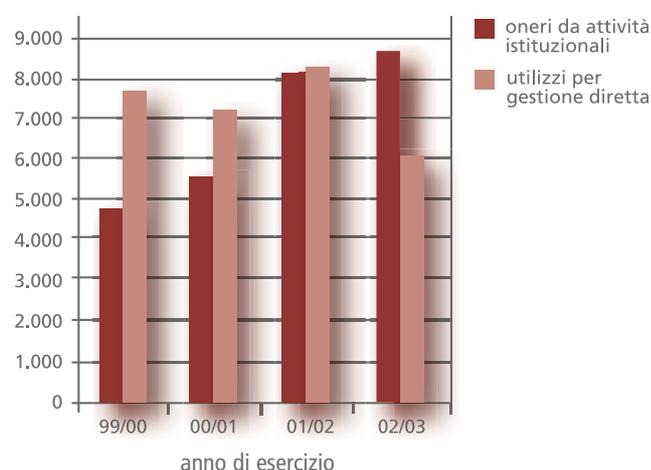


Figura 40. L'insieme delle attività di carattere erogativo (migliaia di Euro)

L'EVOLUZIONE DEGLI STRUMENTI

Nel corso di questo esercizio, il Comitato Telethon Fondazione ONLUS ha continuato ad affinare gli strumenti che gli permettono di raggiungere:

- il controllo dei budget: ogni attività viene intrapresa solo dopo la specificazione e l'approvazione di un budget previsionale.
- la correttezza amministrativa: viene svolto un attento monitoraggio amministrativo dei progetti di ricerca e un'impostazione del rapporto con i diversi partner che assicuri una corretta gestione della raccolta fondi da parte di tutti i canali.
- la correttezza e adeguatezza fiscale: il Comitato si impegna costantemente per una piena rispondenza alle norme fiscali per il settore non profit.

Roma, 2 dicembre 2003
Comitato Telethon Fondazione ONLUS
Fondazione Telethon

IL BILANCIO DI UTILITÀ SOCIALE - I principali prospetti di Bilancio

COMITATO TELETHON FONDAZIONE ONLUS

Stato patrimoniale

(unità di Euro)

ATTIVO	30 giugno 2003	30 giugno 2002
B) Immobilizzazioni		
I) - <i>Immobilizzazioni immateriali</i>		
3) Diritti di brevetto industriale e diritti di utilizzazione delle opere dell'ingegno	181.309	149.640
7) Altre	107.043	121.371
Totale	288.352	271.011
II) - <i>Immobilizzazioni materiali</i>		
2) Impianti e attrezzature	0	0
3) Altri beni	132.371	125.180
Totale	132.371	125.180
III) - <i>Immobilizzazioni finanziarie, con separata indicazione, per ciascuna voce dei crediti degli importi esigibili entro l'esercizio successivo</i>		
2) Crediti	52.054	44.054
Totale	52.054	44.054
C) Attivo circolante		
II) - <i>Crediti, con separata indicazione, per ciascuna voce dei crediti degli importi esigibili entro l'esercizio successivo</i>		
2) Verso altri	342.232	426.910
Totale	342.232	426.910
III) - <i>Attività finanziarie che non costituiscono immobilizzazioni</i>		
2) Altri titoli	23.076.439	22.710.372
Totale	23.076.439	22.710.372
IV) - <i>Disponibilità liquide</i>		
1) Depositi bancari e postali	415.679	202.033
2) Liquidità presso società di gestione del risparmio	129.438	35.009
3) Denaro e valori in cassa	84	947
Totale	545.201	237.990
D) Ratei e risconti attivi	251.994	290.499
TOTALE ATTIVO	24.688.643	24.106.016

PASSIVO	30 giugno 2003	30 giugno 2002
A) Patrimonio netto		
I) - <i>Patrimonio libero</i>		
1) Risultato gestionale esercizio in corso	(253.278)	4.391.666
2) Utilizzo/(Incremento) del Patrimonio Vincolato	0	0
3) Risultato gestionale da esercizi precedenti	5.951.395	1.559.729
Totale	5.698.117	5.951.395
III) - <i>Patrimonio vincolato</i>		
1) Fondi vincolati destinati da terzi	7.331	7.331
2) Fondi vincolati per decisione degli organi istituzionali	16.945.844	16.582.264
Totale	16.953.175	16.589.594
Totale patrimonio netto	22.651.292	22.540.989
B) Fondi per rischi ed oneri		
2) Altri	17.479	17.456
Totale	17.479	17.456
C) Trattamento di fine rapporto di lavoro subordinato	45.795	29.348
D) Debiti, con separata indicazione per ciascuna voce degli importi esigibili oltre l'esercizio successivo		
5) Debiti vs./fornitori	1.445.727	1.283.332
6) Debiti tributari	133.708	54.710
7) Debiti vs./istituti di previdenza e di sicurezza sociale	24.338	21.336
8) Altri debiti	370.304	158.844
Totale	1.974.077	1.518.223
E) Ratei e risconti passivi	0	0
TOTALE PASSIVO	24.688.643	24.106.016

COMITATO TELETHON FONDAZIONE ONLUS

Rendiconto della gestione a proventi ed oneri sezioni divise e contrapposte

(unità di Euro)

ONERI	30 giugno 2003	30 giugno 2002
1) Oneri da attività istituzionali		
1.1.1) Delibere di assegnazione ricerca interna	6.631.129	6.555.788
1.1.2) Delibere di assegnazione ricerca esterna	11.518.706	8.182.200
Subtotale	18.149.835	14.737.988
1.2) <i>Organizzazione Convention</i>	210.758	166.509
1.3) <i>Altri istituzionali</i>	109.284	88.216
Totale	18.469.877	14.992.713
2) Oneri promozionali e di raccolta fondi		
2.1) <i>Maratona Telethon</i>		
2.1.1) Raccolta Fondi	1.120.874	850.132
2.1.2) Coproduzione televisiva: RAI	774.685	774.685
2.1.3) Coproduzione televisiva: Eventi	474.883	411.678
2.1.4) Comunicazione Istituzionale, Sensibilizzazione e Promozione	948.617	1.140.403
Subtotale	3.319.059	3.176.898
2.2) <i>Altre raccolte</i>		
2.2.1) Raccolta Fondazioni Bancarie	37.022	35.436
2.2.2) Altre	0	0
Subtotale	37.022	35.436
Totale	3.356.081	3.212.334
4) Oneri finanziari e patrimoniali		
4.1) <i>Da operazioni bancarie e postali</i>	60.372	43.874
4.2) <i>Da altri beni patrimoniali</i>	233.986	51.184
Totale	294.358	95.058
5) Oneri straordinari		
5.3) <i>Da altre attività</i>	17.551	0
Totale	17.551	0
6) Oneri di supporto generale		
6.1) <i>Spese di struttura</i>	166.707	99.086
6.2) <i>Servizi</i>	770.988	761.098
6.3) <i>Godimento beni di terzi</i>	225.730	223.158
6.4) <i>Personale</i>	451.611	255.979
6.5) <i>Ammortamenti</i>	273.186	178.320
6.6) <i>Oneri diversi di gestione (incluso CMS e costi organizzativi per ricerca)</i>	470.759	359.117
Totale	2.358.981	1.876.758
TOTALE ONERI	24.496.848	20.469.749
Avanzo gestionale	0	4.391.666

PROVENTI	30 giugno 2003	30 giugno 2002
1) Proventi da attività istituzionali e rettifiche ad assegnazioni di fondi vincolati per la ricerca		
1.1.1) Rettifiche a delibere ricerca interna	0	0
1.1.2) Rettifiche a delibere ricerca esterna	267.120	319.943
Subtotale	267.120	319.943
1.3) <i>Altri istituzionali</i>	0	0
Totale	267.120	319.943
2) Proventi da raccolta fondi		
2.1) <i>Maratona Telethon</i>	22.084.706	21.800.715
2.2) <i>Altre raccolte:</i>		
2.2.1) Da Fond. bancarie per adozione progetti	130.000	324.056
2.2.2) Da altri enti	118.843	37.288
Subtotale	248.843	361.344
Totale	22.333.549	22.162.059
4) Proventi finanziari e patrimoniali		
4.1) <i>Da depositi bancari e postali</i>	13.282	2.860
4.2) <i>Da altri beni patrimoniali</i>	1.205.541	442.527
Totale	1.218.823	445.387
5) Proventi straordinari		
5.3) <i>Da altre attività</i>	423.981	1.622.724
Totale	423.981	1.622.724
6) Proventi straordinari di supporto generale		
6.1) <i>Proventi straordinari</i>	97	18.416
Totale	97	18.416
TOTALE PROVENTI	24.243.570	24.861.415
Disavanzo gestionale	253.278	0

FONDAZIONE TELETHON

Stato patrimoniale

(Unità di Euro)

ATTIVO	30 giugno 2003	30 giugno 2002
B) Immobilizzazioni		
I) - <i>Immobilizzazioni immateriali</i>		
3) Diritti di brevetto industriale e diritti di utilizzazione delle opere dell'ingegno	75.412	53.567
7) Altre	14.959	19.946
Totale	90.371	73.513
II) - <i>Immobilizzazioni materiali</i>		
1) Fabbricati	141.612	146.793
2) Impianti e attrezzature	315.570	442.359
3) Altri beni	243.455	533.726
Totale	700.637	1.122.878
III) - <i>Immobilizzazioni finanziarie, con separata indicazione, per ciascuna voce dei crediti degli importi esigibili entro l'esercizio successivo</i>		
1) Partecipazioni	7.230	7.230
2) Crediti	9.239	13.686
Totale	16.469	20.917
C) Attivo circolante		
II) - <i>Crediti, con separata indicazione, per ciascuna voce dei crediti degli importi esigibili entro l'esercizio successivo</i>		
2) Verso altri	5.137.926	3.216.498
Totale	5.137.926	3.216.498
III) - <i>Attività finanziarie che non costituiscono immobilizzazioni</i>		
2) Altri titoli	23.320.292	19.821.739
Totale	23.320.292	19.821.739
IV) - <i>Disponibilità liquide</i>		
1) Depositi bancari e postali	640.243	372.115
2) Liquidità presso società di gestione del risparmio	819.071	214.982
3) Denaro e valori in cassa	2.434	5.112
Totale	1.461.748	592.209
D) Ratei e risconti attivi	224.287	192.449
TOTALE ATTIVO	30.951.730	25.040.202

PASSIVO	30 giugno 2003	30 giugno 2002
A) Patrimonio netto		
I) - <i>Patrimonio libero</i>		
1) Risultato gestionale esercizio in corso	7.436.001	716.954
2) Utilizzo/(Incremento) del Patrimonio Vincolato	(5.484.487)	(1.216.940)
3) Delibere dell'esercizio per la ricerca interna	(360.000)	0
4) Risultato gestionale da esercizi precedenti	291.651	791.637
Totale	1.883.165	291.651
II) - <i>Fondo di dotazione e fondi permanentemente vincolati per decisione degli organi istituzionali</i>	348.610	348.608
III) - <i>Patrimonio vincolato</i>		
1) fondi vincolati destinati da terzi	25.106.673	20.650.249
2) fondi vincolati per decisione degli organi istituzionali	295.448	163.852
Totale	25.402.121	20.814.101
Totale patrimonio netto	27.633.896	21.454.361
C) Trattamento di fine rapporto di lavoro subordinato	461.830	350.784
D) Debiti, con separata indicazione per ciascuna voce degli importi esigibili oltre l'esercizio successivo		
5) debiti vs./fornitori	1.250.882	1.400.858
6) debiti tributari	181.639	157.345
7) debiti vs./istituti di previdenza e di sicurezza sociale	152.126	111.926
8) altri debiti	1.271.357	1.564.928
Totale	2.856.004	3.235.057
E) Ratei e risconti passivi	0	0
TOTALE PASSIVO	30.951.730	25.040.202

FONDAZIONE TELETHON

Rendiconto della gestione a proventi ed oneri Sezioni divise e contrapposte

(Unità di Euro)

ONERI	30 giugno 2003	30 giugno 2002
1) Oneri da attività istituzionali		
1,1) <i>Oneri da attività deliberativa:</i>		
1.1.1) Delibere di assegnazione ricerca esterna	0	45.000
Subtotale	0	45.000
1,2) <i>Oneri da attività di gestione laboratori:</i>		
1.2.1) Personale di ricerca dei laboratori	3.022.293	2.615.449
1.2.2) Ammortamenti Immobilizzazioni	428.407	509.523
1.2.3) Costi di funzionamento istituti di ricerca	5.012.322	4.903.479
1.2.4) Altri costi istituzionali	253.403	92.769
Subtotale	8.716.425	8.121.220
Totale	8.716.425	8.166.220
2) Oneri promozionali e di raccolta fondi		
2.1) <i>Oneri di raccolta</i>	258.060	94.776
Totale	258.060	94.776
4) Oneri finanziari e patrimoniali		
4.1) <i>Da operazioni bancarie e postali</i>	15.302	17.210
4.2) <i>Da altri beni patrimoniali</i>	222.485	137.571
4.3) <i>Da altre operazioni</i>	0	0
Totale	237.787	154.781
5) Oneri straordinari		
5.1) <i>Da attività finanziarie</i>	0	2.512
5.2) <i>Da attività immobiliari</i>	0	0
5.3) <i>Da altre attività</i>	16.229	8.915
Totale	16.229	11.428
6) Oneri di supporto generale		
6.1) <i>Spese di struttura</i>	69.300	83.795
6.2) <i>Servizi</i>	355.484	477.565
6.3) <i>Godimento beni di terzi</i>	65.064	73.960
6.4) <i>Personale</i>	1.303.509	1.112.933
6.5) <i>Ammortamenti</i>	134.312	119.782
6.6) <i>Oneri diversi di gestione</i>	50.186	43.765
Totale	1.977.855	1.911.799
TOTALE ONERI	11.206.356	10.339.004
Avanzo gestionale	7.436.001	716.954

PROVENTI	30 giugno 2003	30 giugno 2002
1) Proventi da attività istituzionali		
1,1) <i>Rettifiche da attività deliberativa:</i>		
1.1.1) Rettifiche a delibere	0	15.090
Subtotale	0	15.090
1,2) <i>Proventi da attività di gestione laboratori:</i>		
1.2.1) Contributi vincolati destinati da terzi	13.947.509	9.219.568
1.2.2) Altri proventi	0	25.823
Subtotale	13.947.509	9.245.391
Totale	13.947.509	9.260.482
2) Proventi da raccolta fondi		
2.1) <i>Maratona Telethon</i>	2.101.199	612.306
2.2) <i>Altre raccolte:</i>		
2.2.1) Da Fondazioni Bancarie e Altri Enti per adozione progetti	1.262.400	409.063
2.2.2) Altri Enti	96.475	102.886
Subtotale	1.358.875	511.949
Totale	3.460.074	1.124.255
4) Proventi finanziari e patrimoniali		
4.1) <i>Da depositi bancari e postali</i>	6.476	3.095
4.2) <i>Da altri beni patrimoniali</i>	1.222.771	654.396
4.3) <i>Da altre operazioni</i>	0	0
Totale	1.229.247	657.491
5) Proventi straordinari		
5.1) <i>Da attività finanziarie</i>	5.527	8.489
5.2) <i>Da attività immobiliari</i>	0	0
5.3) <i>Da altre attività</i>	0	5.242
Totale	5.527	13.731
6) Proventi diversi di supporto generale		
6.1) <i>Proventi diversi</i>	0	0
Totale	0	0
TOTALE PROVENTI	18.642.357	11.055.958
Disavanzo gestionale	0	0

IL BILANCIO DI UTILITÀ SOCIALE - Le delibere assunte

Elenco delle delibere di finanziamento
dal 1° luglio 2002 al 30 giugno 2003

RICERCATORE PRINCIPALE	TITOLO DEL PROGETTO
ANGELINI CORRADO	NEUROMUSCULAR BANK OF TISSUES AND DNA SAMPLES
ARGENTON FRANCESCO	IDENTIFICATION AND CHARACTERIZATION OF GENETIC MECHANISMS DRIVING PANCREAS DIFFERENTIATION IN ZEBRAFISH
BALDINI ANTONIO	TBX1 FUNCTIONS IN EAR DEVELOPMENT
BARSACCHI RICO	MOLECULAR PATHWAYS OF MUSCLE DE-DIFFERENTIATION
BAZZICALUPO PAOLO	KALLMANN SYNDROME GENES IN CAENORHABDITIS ELEGANS AND DROSOPHILA MELANOGASTER
BERARDI NICOLETTA	DEVELOPMENT OF NON INVASIVE THERAPEUTICAL STRATEGIES TO AMELIORATE MEMORY DEFICITS, SYNAPTIC PLASTICITY AND NEURODEGENERATION IN A COMPREHENSIVE MOUSE MODEL FOR ALZHEIMER'S DISEASE
BERTINI ENRICO	VALIDATION OF OUTCOME MEASURES FOR SPINAL MUSCULAR ATROPHY USING THE HAMMERSMITH FUNCTIONAL MOTOR SCALE FOR CHILDREN, AND ABDUCTOR DIGITI MINIMI CMAP AMPLITUDE
BERTUZZI STEFANO	REGULATION OF PROLIFERATION AND SELF-RENEWAL OF RODENT AND HUMAN NEURAL STEM CELLS BY VAX1
BIANCHI MARCO E.	SAN RAFFAELE-TELETHON CORE FACILITY FOR CONDITIONAL MUTAGENESIS
BIANCHI MARIA LUISA	BONE MASS AND BONE METABOLISM IN DUCHENNE MUSCULAR DYSTROPHY
BLANDINO GIOVANNI	P53 FAMILY MEMBERS AS TRANSCRIPTIONAL TARGETS OF DELTAEF1 REPRESSORS
BONIFACIO EZIO	A. AUTO - AND ALLO-IMMUNITY FOLLOWING ISLET TRANSPLANTATION
BORGONOVO BARBARA	ICA512 AND RECEPTOR TYROSINE PHOSPHATASES IN GENE EXPRESSION AND ADHESION OF PANCREATIC BETA CELLS
BOZZONI IRENE	RNA-BASED GENE THERAPY OF PRIMARY MYOPATHIES
BRAHE CHRISTINA	SPINAL MUSCULAR ATROPHY: STUDY OF THE IN VIVO AND IN VITRO EFFECT OF PHENYL BUTYRATE ON SMN2 GENE EXPRESSION
BRANCACCIO ANDREA	ANALYSIS AT THE MOLECULAR LEVEL OF THE INTERACTION BETWEEN ALPHA-DYSTROGLYCAN AND BETA-DYSTROGLYCAN
BRUSCIA EMANUELA	DEVELOPMENT OF A NOVEL THERAPY FOR SPINAL MUSCULAR ATROPHY
BUFFELLI MARIO	ROLE OF ACTIVITY IN SYNAPSE COMPETITION STUDIED IN GENETIC ENGINEERED MICE
CABIB SIMONA	BRAIN SEROTONIN IN PHENYLKETONURIA
CARRI' MARIA TERESA	SOD1-LINKED FAMILIAL AMYOTROPHIC LATERAL SCLEROSIS: UNDERSTANDING THE TOXIC FUNCTION OF THE MUTANT ENZYMES
CASARI GIORGIO	HEREDITARY SPASTIC PARAPLEGIA DUE TO MITOCHONDRIAL DEFECTS. DEVELOPMENT OF ANIMAL AND CELLULAR MODELS OF PATHOGENESIS

ISTITUTO DI RICERCA	CITTA'	DURATA DEL PROGETTO	IMPORTO ASSEGNATO
"DIPARTIMENTO DI SCIENZE NEUROLOGICHE E PSICHIATRICHE UNIVERSITA' DI PADOVA"	PADOVA	3	93.000,00
"DIPARTIMENTO DI BIOLOGIA UNIVERSITA' DI PADOVA"	PADOVA	3	83.150,00
"CEINGE BIOTECNOLOGIE AVANZATE UNIVERSITA' DI NAPOLI"	NAPOLI	3	267.300,00
"MAX PLANCK INSTITUTE OF MOLECULAR CELL BIOLOGY AND GENETICS CELLULAR MECHANISMS OF VERTEBRATE REGENERATION"	DRESDEN, D	3	81.000,00
ISTITUTO INTERNAZIONALE DI GENETICA E BIOFISICA "A. BUZZATI TRAVERSO"	NAPOLI	3	224.500,00
ISTITUTO DI NEUROSCIENZE DEL CNR	PISA	3	368.500,00
OSPEDALE BAMBINO GESU'	ROMA	1	67.000,00
DULBECCO TELETHON INSTITUTE CNR-ITB	SEGRATE (MI)		105.500,00
SCIENCE PARK RAF S.P.A.	MILANO	1	100.000,00
ISTITUTO AUXOLOGICO ITALIANO IRCCS	MILANO	1	59.405,00
"DIPARTIMENTO DI ONCOLOGIA SPERIMENTALE ISTITUTO REGINA ELENA PER LA CURA E LO STUDIO DEI TUMORI"	ROMA	3	105.000,00
"DIPARTIMENTO DI MEDICINA 1 DIBIT- FONDAZIONE CENTRO SAN RAFFAELE DEL MONTE TABOR"	MILANO	1	262.518,00
"MEDICAL FACULTY OF THE TECHNICAL UNIVERSITY OF DRESDEN EXPERIMENTAL DIABETOLOGY"	DRESDEN, D	3	79.575,00
"DIPARTIMENTO DI BIOLOGIA GENETICA E MOLECOLARE UNIVERSITA' DI ROMA LA SAPIENZA"	ROMA	3	115.000,00
"ISTITUTO DI GENETICA MEDICA UNIVERSITA' CATTOLICA DEL SACRO CUORE"	ROMA	2	126.000,00
"ISTITUTO DI CHIMICA DEL RICONOSCIMENTO MOLECOLARE DEL CNR • UNIVERSITA' CATTOLICA DEL SACRO CUORE"	ROMA	2	80.000,00
"YALE UNIVERSITY SCHOOL OF MEDICINE LABORATORY OF MEDICINE"	NEW HAVEN, USA	2	54.000,00
"DIPARTIMENTO DI SCIENZE NEUROLOGICHE E DELLA VISIONE SEZIONE DI FISILOGIA • UNIVERSITA' DI VERONA"	VERONA	3	141.040,00
"FONDAZIONE SANTA LUCIA • DIPARTIMENTO DI PSICOLOGIA UNIVERSITA' DI ROMA LA SAPIENZA"	ROMA	2	35.750,00
FONDAZIONE SANTA LUCIA IRCCS	ROMA	3	175.500,00
DIBIT - ISTITUTO SCIENTIFICO OSPEDALE SAN RAFFAELE	MILANO	3	220.480,00

CASONATO SANDRA	DECREASED VON WILLEBRAND FACTOR SURVIVAL AS CAUSE OF VON WILLEBRAND DISEASE: ROLE OF MUTATIONS IN VON WILLEBRAND FACTOR GENE AND OF ABO BLOOD GROUPS
CESARENI GIANNI	MINT A MOLECULAR INTERACTION DATABASE
CICARDI MARCO	IDENTIFICATION OF VARIABLES CAUSING DIFFERENT CLINICAL EXPRESSION OF THE INHERITED C1-INHIBITOR DEFICIENCY (HEREDITARY ANGIOEDEMA)
CONSALEZ GIAN GIACOMO	A STUDY OF CEREBELLAR MALFORMATIONS AND BRAIN WIRING IN EBF2 NULL MICE: A NEW MODEL OF MOTOR AND COGNITIVE DEFICITS
CORDA DANIELA	THE GLYCEROPHOSPHOINOSITOLS IN THE MODULATION OF THE RHO GTPASES, ACTIN DYNAMICS, AND ACTIN-RELATED DISEASES
COSSU GIULIO	A NOVEL THERAPEUTIC PROTOCOL TO CORRECT MUSCULAR DYSTROPHIES BY ENGINEERED MESOANGIOBLASTS: FROM CHROMATIN SIGNALS TO MUSCLE REGENERATION
CUCCA FRANCESCO	A SEARCH FOR T1D GENES IN SARDINIA
DE LUCA MICHELE	GENE THERAPY OF JUNCTIONAL EPIDERMOLYSIS BULLOSA
FANIN MARINA	AN IMPROVED BIOCHEMICAL-GENETIC APPROACH IN EARLY DIAGNOSIS OF LGMD2A: NEW FUNCTIONAL PROTEIN TEST AND RAPID GENE MUTATION ANALYSIS
FANTO MANOLIS	A DROSOPHILA MODEL TO STUDY THE NEURODEGENERATIVE DISEASE DENTATORUBRALPALLIDOLUYSIAN ATROPHY
FERRARI SIMONA	MOLECULAR BASIS OF HUMAN HYPER IgM IMMUNODEFICIENCY
FILOCAMO MIRELLA	CELL LINE AND DNA BANK FROM PATIENTS AFFECTED BY GENETIC DISEASES
FISCHER ALAIN	PRECLINICAL AND CLINICAL INVESTIGATIONS OF GENE THERAPY OF SEVERE COMBINED IMMUNO-DEFICIENCY (SCID) CAUSED BY V(D)J RECOMBINATION DEFECTS
FOIANI MARCO	MODEL SYSTEMS TO IDENTIFY GENES AND FACTORS IN THE SIGNAL TRANSDUCTION PATHWAY DEFECTIVE IN ATAXIA TELANGIECTASIA PATIENTS
FRONTALI LAURA	YEAST AS A TOOL FOR IN VIVO STUDY OF HUMAN MITOCHONDRIAL TRNA MUTATIONS
FRUSTACI ANDREA	FABRY CARDIOMYOPATHY: METABOLIC IMPACT OF ENZYME-REPLACEMENT THERAPY
FURIA MARIA	DROSOPHILA MELANOGASTER MINIFLY MUTANTS: A MODEL SYSTEM FOR THE STUDY OF THE MOLECULAR BASIS OF THE X-LINKED DYSKERATOSIS CONGENITA
GALIMI FRANCESCO	GENE THERAPY OF FANCONI ANEMIA BY LENTIVIRAL VECTORS
GRASSI BRUNO	NEW TOOLS OF FUNCTIONAL EVALUATION OF PATIENTS WITH METABOLIC MYOPATHIES
GRAZIANI ANDREA	ROLE OF GHRELIN IN SKELETAL MUSCLE DIFFERENTIATION AND HYPERTROPHY: CHARACTERIZATION OF ITS BIOLOGIC ACTIVITY IN VITRO, IDENTIFICATION OF THE RECEPTOR AND IN VIVO PATHO-PHYSIOLOGICAL IMPLICATION
GRITTI ANGELA	REGULATION OF PROLIFERATION AND SELF-RENEWAL OF RODENT AND HUMAN NEURAL STEM CELLS BY VAX1
LA MANTIA GIROLAMA	A MOLECULAR AND FUNCTIONAL STUDY OF P63 MUTANT PROTEINS OCCURRING IN EEC, AEC AND OTHER HUMAN HEREDITARY ECTODERMAL SYNDROMES
MAESTRINI ELENA	IDENTIFICATION OF AN AUTISM SUSCEPTIBILITY LOCUS ON CHROMOSOME 2Q
MAFFEI LAMBERTO	EXPANSION OF ENDOGENOUS ADULT NEURAL PRECURSOR CELL POPULATIONS

"DIPARTIMENTO DI MEDICINA E SCIENZE CHIRURGICHE UNIVERSITA' DI PADOVA"	PADOVA	3	176.000,00
"DIPARTIMENTO DI BIOLOGIA UNIVERSITA' DI ROMA TOR VERGATA"	ROMA	2	89.000,00
UNIVERSITA' DEGLI STUDI DI MILANO	MILANO	3	139.000,00
DIBIT - FONDAZIONE CENTRO SAN RAFFAELE DEL MONTE TABOR	MILANO	2	83.600,00
CONSORZIO MARIO NEGRI SUD	SANTA MARIA IMBARO (CH)	3	244.310,00
DIBIT - ISTITUTO SCIENTIFICO OSPEDALE SAN RAFFAELE "OSPEDALE REGIONALE PER LE MICROCITEMIE"	MILANO	3	972.810,00
UNIVERSITA' DI CAGLIARI"	CAGLIARI	3	150.000,00
FONDAZIONE BANCA DEGLI OCCHI DEL VENETO ONLUS	MESTRE (VENEZIA)	3	571.212,50
"DIPARTIMENTO DI SCIENZE NEUROLOGICHE E PSICHIATRICHE UNIVERSITA' DI PADOVA"	PADOVA	1	37.500,00
"DIBIT- FONDAZIONE SAN RAFFAELE MONTE TABOR DIPARTIMENTO DI BIOLOGIA MOLECOLARE AND FUNCTIONAL GENOMICS"	MILANO	5	427.000,00
"U.O. GENETICA MEDICA PADIGLIONE 11 POLICLINICO S. ORSOLA-MALPIGHI"	BOLOGNA	2	80.000,00
"LABORATORIO DIAGNOSI PRE-POSTNATALE MALATTIE METABOLICHE • U.O. PEDIATRIA III ISTITUTO GIANNINA GASLINI"	GENOVA	2	46.000,00
"UNITE' INSERM 429 MINISTERES DE LA RECHERCHE ET DE LA SANTE' "	PARIS	3	493.580,00
FONDAZIONE ITALIANA PER LA RICERCA SUL CANCRO "DIPARTIMENTO DI BIOLOGIA CELLULARE E DELLO SVILUPPO"	MILANO	3	170.900,00
UNIVERSITA' DI ROMA LA SAPIENZA"	ROMA	2	56.100,00
"DIPARTIMENTO DI CARDIOLOGIA UNIVERSITA' CATTOLICA DEL SACRO CUORE"	ROMA	1	11.000,00
"DIPARTIMENTO DI GENETICA, BIOLOGIA GENERALE E MOLECOLARE • UNIVERSITA' DI NAPOLI FEDERICO II"	NAPOLI	1	38.500,00
"UNITA' DI BIOLOGIA CELLULARE ISTITUTO NAZIONALE BIOSTRUTTURE E BIOSISTEMI (INBB)"	SASSARI	2	143.000,00
"DIPARTIMENTO DI SCIENZE E TECNOLOGIE BIOMEDICHE UNIVERSITA' DEGLI STUDI DI MILANO"	SEGRATE (MI)	2	73.975,00
"DIPARTIMENTO DI SCIENZE MEDICHE • UNIVERSITA' DEGLI STUDI DEL PIEMONTE ORIENTALE A. AVOGADRO"	NOVARA	3	133.000,00
DIBIT - FONDAZIONE CENTRO SAN RAFFAELE DEL MONTE TABOR	MILANO	2	91.300,00
"DIPARTIMENTO DI GENETICA, BIOLOGIA GENERALE E MOLECOLARE • UNIVERSITA' DI NAPOLI FEDERICO II"	NAPOLI	3	171.600,00
"DIPARTIMENTO DI BIOLOGIA EVOLUTIVA UNIVERSITA' DI BOLOGNA"	BOLOGNA	2	124.800,00
ISTITUTO DI NEUROSCIENZE DEL CNR	PISA	2	94.600,00

	TO ACHIEVE NEURONAL REPLACEMENT AND FUNCTIONAL RECOVERY IN ALZHEIMER-LIKE CHOLINERGIC DEGENERATION
MANNUCCI PIER MANNUCCIO	RARE INHERITED COAGULATION DISORDERS: CLINICAL AND MOLECULAR CHARACTERIZATION TO DEVELOP A NATIONAL REGISTRY AND MOLECULAR TESTS FOR PRENATAL DIAGNOSIS
MARTINUZZI ANDREA	PILOT STUDY OF ACE INHIBITOR IN MCARDLE'S DISEASE
MELDOLESI JACOPO	THE NASU-HAKOLA DISEASE (PLOS1): CELLULAR MECHANISMS OF NEURODEGENERATION
MELLI MARIALUISA	THE MOLECULAR BASIS OF PROGRESSIVE MYOCLONUS EPILEPSY: A MULTIPROTEIN COMPLEX WITH CYSTATIN B
MINETTI CARLO	VALIDATION OF A GAIT ANALYSIS METHOD TO QUANTIFY LOCOMOTION IN MUSCULAR DYSTROPHY
MOGGIO MAURIZIO	BANK OF DNA CELL LINES AND NERVE-MUSCLE CARDIAC TISSUES
MOI PAOLO	ISOLATION AND CHARACTERIZATION OF EMBRYONIC AND FETAL GLOBIN REGULATORS
MORA MARINA	MYOBLASTS FROM PATIENTS WITH NEUROMUSCULAR DISEASES
MOSTACCIUOLO MARIA LUISA	HOMOZYGOSITY MAPPING OF A NEW LOCUS FOR AN AUTOSOMAL RECESSIVE FORM OF DISTAL HEREDITARY MOTOR NEUROPATHY (dHMN)
MUZI FALCONI MARCO	XERODERMA PIGEMENTOSUM AND ATAXIA TELANGIECTASIA: A MOLECULAR CONNECTION BETWEEN NUCLEOTIDE EXCISION REPAIR AND DNA DAMAGE CHECKPOINT
NERI GIOVANNI	THE FRAGILE X SYNDROME: PHARMACOLOGICAL REACTIVATION OF THE FMR1 GENE AND STUDY OF THE EPIGENETIC FACTORS REGULATING ITS EXPRESSION
NERLOV CLAUS	IN VIVO PROTEOMICS OF THE HUNTINGTIN PROTEIN
NOVELLI GIUSEPPE	CHARACTERISATION OF MANDIBULOACRAL DYSPLASIA (MAD) GENES
NOVIELLO CRISTIANA	THE AUTOSOMAL RECESSIVE HYPERCHOLESTEROLEMIA (ARH) ADAPTOR PROTEIN IS A POSSIBLE LINKER BETWEEN APP PROCESSING AND CHOLESTEROL METABOLISM IN ALZHEIMER'S DISEASE
NUSDORFER GASTONE GIOVANNI	BIOARTIFICIAL SYSTEM COMPOSED BY MUSCLE ACELLULAR MATRIX, MUSCLE CELLS, AND VEGF-LOADED POROUS SILICA GEL FOR THE TREATMENT OF CONGENITAL DIAPHRAGMATIC HERNIA
ORLACCHIO ANTONIO	SEARCH FOR NEW GENES CAUSING DEMENTIA: TARGETS FOR NOVEL DIAGNOSTICS AND THERAPEUTICS
PATERLINI MARTA	CNS CHARACTERIZATION OF PRO/RE HYPERPROLINAEMIC MICE, A MODEL FOR A CANDIDATE SCHIZOPHRENIA SUSCEPTIBILITY GENE
PELLIZZONI LIVIO	CHARACTERIZATION AND FUNCTIONS OF THE SURVIVAL OF MOTOR NEURONS (SMN) COMPLEX
PESSIA MAURO	FUNCTIONAL DETERMINANTS OF EPISODIC ATAXIA/MYOKYMIA SYNDROME
PIETRANGELO ANTONELLO	A NEW HEREDITARY IRON OVERLOAD DISEASE DUE TO MUTATIONS OF THE SLC11A3 GENE
POLA ENRICO	GENE THERAPY AND OSTEOGENESIS IMPERFECTA: USE OF THE NOVEL PROTEIN LMP TO ENHANCE BONE HEALING IN CONGENITAL DISEASES
PREVITALI STEFANO CARLO	SCHWANN CELL-AXON INTERACTION IN NERVE REGENERATION, ROLE OF ADHESION AND CYTOSKELETON
PROTASI FELICIANO	THE ROLE OF CALSEQUESTRIN IN EXCITATION-CONTRACTION COUPLING AND ITS POSSIBLE CONTRIBUTION TO SKELETAL MUSCLE DISEASES

"DIPARTIMENTO DI MEDICINA INTERNA UNIVERSITA' DI MILANO"	MILANO	3	267.000,00
IRCCS E. MEDEA ASSOCIAZIONE LA NOSTRA FAMIGLIA	CONEGLIANO (TV)	1	42.879,00
UNIVERSITA' VITA SALUTE SAN RAFFAELE	MILANO	3	198.700,00
"DIPARTIMENTO DI BIOLOGIA EVOLUZIONISTICA SPERIMENTALE UNIVERSITA' DI BOLOGNA"	BOLOGNA	3	155.500,00
"U.O. MALATTIE NEUROMUSCOLARI ISTITUTO G. GASLINI"	GENOVA	2	90.000,00
"DIPARTIMENTO DI SCIENZE NEUROLOGICHE OSPEDALE MAGGIORE POLICLINICO IRCCS"	MILANO	3	77.334,00
"OSPEDALE REGIONALE PER LE MICROCITEMIE UNIVERSITA' DI CAGLIARI"	CAGLIARI	2	96.000,00
"DIVISIONE MALATTIE NEUROMUSCOLARI LABORATORIO DI BIOLOGIA CELLULARE ISTITUTO NAZIONALE NEUROLOGICO C. BESTA"	MILANO	3	75.900,00
"DIPARTIMENTO DI BIOLOGIA UNIVERSITA' DI PADOVA"	PADOVA	1	34.650,00
"DIPARTIMENTO DI SCIENZE BIOMOLECOLARI E BIOTECNOLOGIE UNIVERSITA' DEGLI STUDI DI MILANO"	MILANO	3	193.200,00
"ISTITUTO DI GENETICA MEDICA • FACOLTA' DI MEDICINA UNIVERSITA' CATTOLICA DEL SACRO CUORE"	ROMA	2	86.000,00
EMBL	MONTEROTONDO (RM)	2	112.200,00
UNIVERSITA' DI ROMA TOR VERGATA	ROMA	2	112.074,00
"ALBERT EINSTEIN COLLEGE OF MEDICINE MICROBIOLOGY AND IMMUNOLOGY"	NEW YORK, USA	3	81.000,00
"DIPARTIMENTO DI ANATOMIA E FISILOGIA UMANA UNIVERSITA' DI PADOVA"	PADOVA	2	78.002,00
"LABORATORIO DI NEUROGENETICA IRCCS FONDAZIONE SANTA LUCIA"	ROMA	1	29.000,00 *
"ROCKEFELLER UNIVERSITY DEPARTMENT OF HUMAN NEUROGENETICS"	NEW YORK, USA	2	54.000,00 *
"CAMPUS ADRIANO-BUZZATI-TRAVERSO, EMBL, EMMA, IBC INSTITUTE OF CELL BIOLOGY, CONSIGLIO NAZIONALE DELLE RICERCHE, CNR"	MONTEROTONDO SCALO (RM)	5	427.000,00 *
"DIPARTIMENTO DI MEDICINA INTERNA SEZIONE DI FISILOGIA UMANA UNIVERSITA' DI PERUGIA"	PERUGIA	3	145.570,00
"DIPARTIMENTO DI MEDICINA INTERNA UNIVERSITA' DI MODENA E REGGIO EMILIA"	MODENA	3	251.350,00
"UNIVERSITY OF PITTSBURGH SCHOOL OF MEDICINE DEPARTMENT OF BIOCHEMISTRY AND GENETICS"	PITTSBURGH, USA	2	54.000,00
DIBIT - FONDAZIONE CENTRO SAN RAFFAELE DEL MONTE TABOR	MILANO	3	147.950,00
UNIVERSITA' DI CHIETI G. D'ANNUNZIO	FRANCAVILLA A MARE (CH)	2	87.875,00

PURI PIER LORENZO	A NOVEL THERAPEUTIC PROTOCOL TO CORRECT MUSCULAR DYSTROPHIES BY ENGINEERED MESOANGIOBLASTS: FROM CHROMATIN SIGNALS TO MUSCLE REGENERATION
RAGNINI IN WILSON ANTONELLA	CHARACTERIZATION OF THE ORGANELLE-ANCHORING MACHINERY ACTING IN HUMAN GENETIC DISORDERS BASED ON DEFECTS IN ORGANELLE MOTILITY USING AN YEAST MODEL SYSTEM
RENIERI ALESSANDRA	CELL LINE AND DNA BANK OF RETT SYNDROME AND OTHER X-LINKED MENTAL RETARDATION
RIZZUTO ROSARIO	TELETHON CENTER FOR CELL IMAGING
ROBERTI RITA	TARGETED DISRUPTION OF DELTA14-STEROL REDUCTASE GENE AS A MOUSE MODEL FOR GREENBERG SKELETAL DYSPLASIA AND REGULATION OF GENE EXPRESSION
RONCAROLO MARIA GRAZIA	GENE TRANSFER INTO PBL AND HEMATOPOIETIC STEM/PROGENITOR CELLS FOR THE TREATMENT OF ADA-DEFICIENT SCID
SCORRANO LUCA	MITOCHONDRIAL APOPTOTIC PATHWAYS AND MITOCHONDRIAL REMODELLING IN DOMINANT OPTIC ATROPHY
SERIO ROSA	FUNCTIONAL ANALYSIS OF THE DIGESTIVE TRACT IN MDX MICE
TAGLIALATELA MAURIZIO	KCNQ2/3 POTASSIUM CHANNELS AS MOLECULAR GATEWAYS FOR NEURONAL EXCITABILITY: FROM SCREENING AND FUNCTIONAL ANALYSIS OF BENIGN FAMILIAL NEONATAL CONVULSIONS-CAUSING MUTATIONS TO ANIMAL MODELS OF IDIOPATHIC EPILEPSIES
TIGEM	
HSR-TIGET	
TONIOLO DANIELA	GENETIC STUDIES OF MENTAL RETARDATION
WRABETZ LAWRENCE	P0 GLYCOPROTEIN TRAFFICKING AND QUALITY CONTROL IN CHARCOT MARIE TOOTH 1B NEUROPATHY
ZEVIANI MASSIMO	IDENTIFICATION AND CHARACTERIZATION OF NUCLEAR GENES RESPONSIBLE FOR HUMAN MITOCHONDRIAL DISORDERS
ZOLLINO MARCELLA	CHARACTERIZING THE BASIC GENETIC DEFECT IN WOLF-HIRSCHHORN SYNDROME WITH RESPECT TO PHENOTIPIC IMPLICATIONS

"LABORATORIO DI ESPRESSIONE GENICA I CLINICA MEDICA FONDAZIONE ANDREA CESALPINO UNIVERSITA' DI ROMA LA SAPIENZA"	ROMA	2	163.000,00
"DIPARTIMENTO DI BIOLOGIA UNIVERSITA' DI ROMA TOR VERGATA"	ROMA	3	119.900,00
"DIPARTIMENTO DI BIOLOGIA MOLECOLARE UNIVERSITA' DI SIENA"	SIENA	2	52.000,00
"DIPARTIMENTO DI MEDICINA SPERIMENTALE E DIAGNOSTICA UNIVERSITA' DI FERRARA"	FERRARA	2	88.000,00
"DIPARTIMENTO DI MEDICINA INTERNA SEZIONE DI BIOCHIMICA UNIVERSITA' DI PERUGIA"	PERUGIA	2	83.476,00
DIBIT- FONDAZIONE CENTRO SAN RAFFAELE DEL MONTE TABOR	MILANO	3	630.647,50
"VIMM MITOCHONDRIAL CELL DEATH PATHWAYS SECTION"	PADOVA	5	427.000,00
"DIPARTIMENTO DI BIOLOGIA CELLULARE E DELLO SVILUPPO UNIVERSITA' DI PALERMO"	PALERMO	2	68.000,00
"DIPARTIMENTO DI NEUROSCIENZE • FACOLTA' DI MEDICINA UNIVERSITA' DI NAPOLI FEDERICO II"	NAPOLI	2	61.200,00
TELETHON INSTITUTE OF GENETICS AND MEDICINE	NAPOLI		2.500.000,00
TELETHON INSTITUTE FOR GENE THERAPY	MILANO		2.581.629,00
DIBIT - ISTITUTO SCIENTIFICO OSPEDALE SAN RAFFAELE	MILANO	3	180.000,00 *
DIBIT- FONDAZIONE CENTRO SAN RAFFAELE DEL MONTE TABOR	MILANO	3	265.650,00
ISTITUTO NAZIONALE NEUROLOGICO C. BESTA	MILANO	3	347.550,00
"GENETICA MEDICIA U.C.S.C. FACOLTA' DI MEDICINA E CHIRURGIA UNIVERSITA' CATTOLICA DEL SACRO CUORE"	ROMA	2	99.000,00
* Gli importi sono al netto di successive rettifiche			18.027.242,00

IL BILANCIO DI UTILITÀ SOCIALE - **Forme di dialogo con gli *stakeholder***

Nel corso dell'esercizio economico-finanziario 2002-2003 il Comitato, al fine di approfondire la relazione con i propri stakeholder ha svolto specifiche indagini utilizzando lo strumento del questionario. In particolare, i questionari hanno avuto come oggetto il Bilancio Telethon 2001-2002 e il *Telethon Notizie*, la rivista di informazione scientifica di Telethon

Il questionario di valutazione del Bilancio Telethon (2001-2002)

Il questionario di valutazione del Bilancio Telethon è stato distribuito unitamente al Bilancio a circa 1500 soggetti scelti principalmente tra i partner della raccolta, i ricercatori degli Istituti Telethon e vari opinion leader. Scopo del questionario era di valutare l'efficacia del Bilancio Telethon come strumento di comunicazione e come possibile strumento di controllo delle attività svolte e dei risultati raggiunti.

Il questionario è stato accolto positivamente dai destinatari (ciò è dimostrato dall'elevata percentuale di risposte: 10%).

Inoltre, la quasi totalità dei questionari pervenuti indica il Bilancio Telethon come un importante strumento di valutazione e controllo dei risultati (131 risposte positive su 151) e uno strumento di trasparenza delle organizzazioni (141).

Infatti, 108 soggetti su 151 dichiarano di averlo letto con attenzione, 39 di averlo letto distrattamente e solo 4 dichiarano di non averlo letto.

Nella maggior parte delle risposte la documentazione ricevuta è considerata molto o abbastanza utile (138) e completa (112). Per una minoranza di soggetti è invece poco utile (4); per qualcuno è poco completa (10).

Per quanto concerne le informazioni sulle attività di raccolta dei fondi: 120 sono le valutazioni molto (35) o abbastanza (85) positive; 24 sono le valutazioni sufficienti e 3 quelle insufficienti.

Riguardo alle informazioni sull'utilizzo dei fondi: 108 sono le valutazioni molto (36) o abbastanza (71) positive; 32 sono le valutazioni sufficienti e 6 quelle insufficienti.

Telethon ha, inoltre, colto l'occasione del questionario sul bilancio per chiedere ai propri stakeholder la loro opinione sul livello di risultati conseguiti in base alla missione dichiarata. È emerso un giudizio complessivamente lusinghiero che riconosce merito all'impegno di Telethon, secondo quanto riportato nella tabella riepilogativa della pagina seguente.

Le aree nelle quali si è ritenuto necessario dedicare più risorse e impegno risultano, quindi, quelle legate alla divulgazione dei temi scientifici e sociali e al coinvolgimento degli italiani nella ricerca delle malattie genetiche.

A suo parere, qual è il livello raggiunto da Telethon rispetto ai seguenti risultati	Ottimo	Buono	sufficiente	insufficiente	non so
Avanzamento della ricerca scientifica verso la cura della distrofia muscolare e delle altre malattie genetiche	45	80	12	4	5
Selezione di eccellenti progetti di ricerca	33	82	20	3	6
Efficienza nella gestione dei fondi (il rapporto tra i fondi raccolti e i costi sostenuti)	45	64	29	1	4
Divulgazione dei temi scientifici e sociali	25	49	30	11	3
Coinvolgimento degli italiani nella lotta alle malattie genetiche	46	59	27	14	2

Il questionario di valutazione sul *Telethon Notizie*

Il questionario di valutazione sul *Telethon Notizie* è stato compilato per raccogliere le opinioni e il gradimento dei lettori in merito alla rivista di informazione scientifica e per ottenere suggerimenti utili a migliorarne la versione sia dal punto di vista grafico che contenutistico.

Il questionario è stato sottoposto a un campione, ancorché non statisticamente individuato di lettori-donatori, (170 mila soggetti scelti tra i donatori di Telethon che ricevono abitualmente la rivista).

Sono pervenute 4501 risposte, pari al 3% delle persone coinvolte: dai risultati delle risposte al questionario, emerge un elevato gradimento del *Telethon Notizie*.

Le indicazioni più significative, in termini di miglioramento, sembrano venire ancora dalla richiesta di una maggiore divulgazione dei temi scientifici, dei temi legati alla struttura Telethon e alla gestione dei fondi raccolti. In particolare:

- La rivista è stata giudicata positivamente sia sotto l'aspetto grafico (89% di risposte positive) che della periodicità (76%);
- La rivista viene letta tutta (59%) o quasi tutta(38%) anche da altri componenti della famiglia;
- Risultano molto gradite le informazioni sulle malattie genetiche (58%), sull'organizzazione della struttura Telethon (20%) rispetto a quelle sulla gestione dei fondi raccolti (16%) e sulle modalità di donazione (6%);
- Emerge un'esigenza di maggiori informazioni sulla ricerca scientifica (44%), sulle storie di malati (18%), sulla raccolta e gestione dei fondi (17%) e sulle associazioni (10%).

- Viene giudicata utile (60%) e molto utile (21%) l'organizzazione di tavole rotonde, convegni e incontri scientifici sul territorio per informare sui progressi della ricerca di Telethon (il 14% la giudica poco utile e il 5% inutile).
- Viene, infine, ritenuta equilibrata la rappresentazione di associazioni di volontariato (76%) ed aziende (82%) all'interno della rivista.