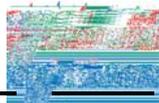


**Comitato Telethon
Fondazione ONLUS
e Fondazione Telethon**

Bilancio di missione al 30 giugno 2004

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 Marino Zerial M. Flint Beal Jacques Beckman D. Timothy Bishop John Blangero Kate Bushby Gino A. Cortopassi Xavier Estivill Riccardo Fodde Philippe Froguel Filippo Giancotti J. Timothy Greenamyre Robert C. Griggs Grazia Isaia Dimitri M. Kullmann Frank McKeon Jeffrey Noebels Ben A. Oostra Ruggero Pardi Tullio Pozzan Alain Prochiantz Gudrun A. Rappold Paul Robbins Sangram S. Sisodia Michele Solimena Catherine M. Verfaillie	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 Marino Zerial M. Flint Beal Jacques Beckman D. Timothy Bishop John Blangero Kate Bushby Gino A. Cortopassi Xavier Estivill Riccardo Fodde Philippe Froguel Filippo Giancotti J. Timothy Greenamyre Robert C. Griggs Grazia Isaia Dimitri M. Kullmann Frank McKeon Jeffrey Noebels Ben A. Oostra Ruggero Pardi Tullio Pozzan Alain Prochiantz Gudrun A. Rappold Paul Robbins Sangram S. Sisodia Michele Solimena Catherine M. Verfaillie	Presidente Onorario Presidente Vice Presidente
IL COLLEGIO DEI REVISORI DEI CONTI	Guglielmo Carducci Guglielmo Marengo Massimo Pagani G. Bonaiuti	
SOCIETÀ DI REVISIONE	KPMG SpA	

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

Letteradi Susanna Agnelli

Premessa Metodologica

Ogni anno Telethon elabora un rendiconto delle proprie attività redigendo bilanci che documentano gli impegni e i risultati dell'esercizio.

Al termine di ciascun anno finanziario vengono, infatti, pubblicati i Bilanci del Comitato Telethon Fondazione ONLUS e della Fondazione Telethon, i due enti che si occupano rispettivamente della raccolta ed erogazione dei fondi e della gestione dei fondi di ricerca.

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.

La società internazionale KPMG effettua la revisione contabile.

Nel Bilancio di missione che state leggendo la volontà è quella di rendere esplicito 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, che esprimono l'efficacia e l'efficienza dell'organizzazione.

A tal fine, i contenuti della relazione del Bilancio di missione sono stati organizzati in sei sezioni:

- la prima sezione "che cos'è Telethon" descrive il contesto organizzativo con particolare riferimento agli obiettivi, alla missione, alla struttura di governo e alle attività di Telethon;
- la seconda sezione "le attività istituzionali", si sofferma sui criteri di valutazione e finanziamento dei fondi raccolti, sulla gestione della ricerca e sui risultati scientifici raggiunti;
- la terza sezione "le attività di supporto" è dedicata alle attività che danno un importante contributo alla vita di Telethon: la raccolta dei fondi che assicura la continuità della ricerca, la comunicazione sociale che permette di sensibilizzare e informare la società civile sulle malattie genetiche, la gestione delle risorse umane e finanziarie necessarie alla vita dell'ente e il funzionamento della struttura in cui rientra l'impegno amministrativo ed organizzativo generale di Telethon
- la quarta sezione "I principali prospetti di bilancio", contiene le principali tabelle contabili del Comitato e della Fondazione (stato patrimoniale e rendiconto della gestione) per consentire una verifica dei risultati economico-finanziari e per permettere un confronto con i numeri indicati all'interno della relazione.
- la quinta sezione "le delibere di finanziamento alla ricerca" presenta l'elenco completo di tutte le delibere di finanziamento alla ricerca nel periodo 1 luglio 2003 – 30 giugno 2004;
- la sesta ed ultima sezione "I numeri di Telethon" ripropone sinteticamente i più significativi numeri di Telethon nel tempo: l'andamento della raccolta fondi negli anni, il finanziamento complessivo alla ricerca interna ed esterna, il numero di ricercatori finanziati, l'elenco delle principali malattie studiate e il numero di pubblicazioni scientifiche prodotte fino al 30 giugno 2004.

Indice

IL BILANCIO DI MISSIONE

Che cos'è Telethon	Gli obiettivi	10
	Il Comitato e la Fondazione	12
	La struttura di governo	13
	La missione	14
	Gli stakeholder	15
	Il controllo di gestione e la politica di investimento	16
	Le attività	17
Le attività istituzionali	La ricerca biomedica	
	La valutazione dei progetti	
	I finanziamenti alla ricerca esterna	20
	I finanziamenti alla ricerca interna	26
	I risultati della ricerca biomedica	33
	La ricerca tecnologica	36
Le attività di supporto	La raccolta dei fondi	54
	La comunicazione sociale	59
	La gestione delle risorse umane e delle risorse finanziarie	65
	Il funzionamento della struttura	69
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 di finanziamento alla ricerca	L'elenco delle delibere di finanziamento dal 1°luglio 2003 al 30 giugno 2004	84
I principali numeri di Telethon	I numeri di Telethon dal 90 al 30 giugno 2004	

IL BILANCIO DI MISSIONE - **Che cos'è Telethon**

In questa prima sezione
Telethon presenta ai suoi lettori
gli obiettivi, la struttura
istituzionale, la missione e le
attività al fine di inquadrare il
contesto organizzativo nel quale
si muove ed opera

Gli obiettivi

Telethon è un'organizzazione senza fini di lucro che ha come obiettivo generale l'avanzamento della ricerca verso la cura delle distrofie muscolari e delle altre malattie genetiche in Italia.

Molto più che una maratona televisiva. Telethon lavora tutto l'anno: raccoglie i fondi, individua i progetti più validi, finanzia i migliori ricercatori e gestisce i propri istituti

La maratona televisiva, in onda sulle reti Rai per trentasei ore nel mese di dicembre, è l'evento più noto di Telethon, ma rappresenta solo una delle attività strategiche dell'organizzazione: quella finalizzata a coinvolgere cittadini, imprese e istituzioni nella raccolta dei fondi.

Altrettanto strategico è il lavoro, svolto durante tutto l'anno, di valutazione e di finanziamento dei progetti di ricerca più meritevoli: quelli che garantiscono a Telethon un livello di eccellenza scientifica.

A beneficio dei ricercatori attivi presso gli enti di ricerca pubblica e privati non profit, Telethon garantisce massima trasparenza e competenza di giudizio.

Per svolgere un ruolo attivo e propositivo nella ricerca scientifica, Telethon ha anche creato propri istituti. L'obiettivo in questo caso è quello di rispondere a una doppia esigenza: avere centri d'avanguardia nell'ambito della ricerca biomedica sulle malattie genetiche e ottenere la maggiore utilità sociale possibile dall'impiego controllato ed efficiente delle risorse a disposizione.

LE MALATTIE GENETICHE

Le **malattie genetiche** sono causate da alterazioni nel patrimonio genetico di un individuo, il DNA situato all'interno di ogni cellula. A oggi se ne contano oltre 6.000, alcune rarissime e sconosciute, altre relativamente frequenti, come le distrofie muscolari, la fibrosi cistica, la retinite pigmentosa e la talassemia; insieme, colpiscono circa il 5% della popolazione.

Si definiscono sporadiche, quando la malattia si manifesta per la prima volta in una famiglia, o ereditarie, se l'alterazione del DNA viene trasmessa alle generazioni successive.

Le malattie causate da difetti in un solo gene si dicono **monogeniche**, mentre se i geni alterati sono più di uno e a causare la malattia intervengono anche fattori ambientali si parla di malattie **multifattoriali**. Se invece sono i cromosomi a essere alterati in numero o struttura, la malattia si dice **cromosomica**.

Telethon finanzia la ricerca sulle malattie genetiche ereditarie principalmente monogeniche. Queste patologie sono, nella maggior parte dei casi, rare.

E per questo motivo sono trascurate dai principali finanziatori pubblici e industriali, che non hanno "interesse" ad occuparsi di malattie che riguardano a volte solo poche decine di persone.

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. È un successo senza precedenti sia in termini di spettatori sia in termini di solidarietà.

1987 L'Associazione Francese contro le Miopatie (AFM) ripete l'esperienza in Francia.

1990 L'associazione che riunisce le famiglie di malati di distrofia si appella a Susanna Agnelli per portare anche in Italia l'iniziativa Telethon. Nasce il Comitato 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 genetiche.

1994 Nasce 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 delle persone 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 regola 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.

2004 Il Comitato Telethon Fondazione ONLUS ottiene la certificazione ISO 9001 per le attività di "Programmazione, valutazione iniziale, attivazione, monitoraggio e valutazione finale dei progetti" a conferma del rigore con cui viene svolto il lavoro di valutazione della ricerca biomedica.

Il Comitato e la Fondazione

Telethon è composta da due enti: il Comitato Telethon Fondazione ONLUS e la Fondazione Telethon. 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 nel 1995, è dovuta alla volontà di separare le attività di promozione, raccolta e assegnazione dei fondi da quelle di gestione degli istituti e dei progetti di ricerca (Figura 1).

Telethon è composta da due enti che si occupano, rispettivamente, della raccolta ed erogazione dei fondi (Comitato) e della gestione dei fondi di ricerca (Fondazione)

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

Il Comitato trasferisce le risorse alla Fondazione sotto forma di fondi vincolati per specifici progetti di ricerca.

La Fondazione si occupa principalmente della gestione operativa degli istituti di ricerca interni (TIGEM, HSR-TIGET, DTI e Tecnothon). 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 del servizio di Gestione Diretta, un'attività di supporto di grande rilevanza, 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.

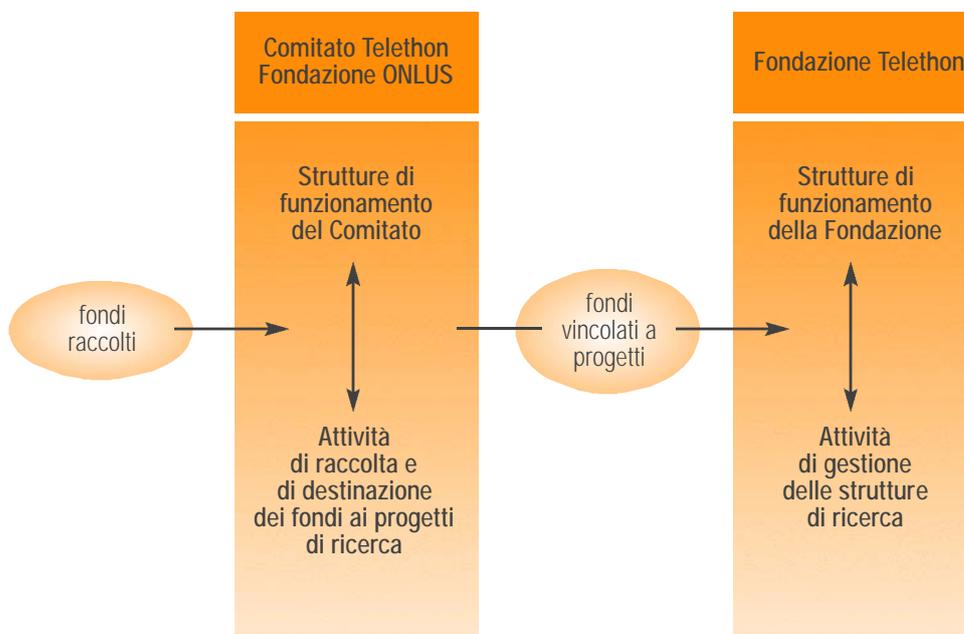


Figura 1. La ripartizione funzionale di Telethon

La struttura di governo

Susanna Agnelli è il Presidente di entrambi i Consigli di Amministrazione. Carlo Ferdinando Carnacini è il Segretario Generale. I Consiglieri sono: Salvatore Di Mauro, Pietro Spirito, Omero Toso (quest'ultimo è anche Vice Presidente del Comitato Telethon Fondazione ONLUS). Tutti i membri del Consiglio di Amministrazione svolgono la loro importante opera nei confronti di Telethon in maniera gratuita.

Al Consiglio di amministrazione rispondono tre organi consultivi, una struttura operativa quattro istituti di ricerca interna (Figura 2). Gli organi consultivi sono costituiti da: la Commissione Medico-Scientifica nel ruolo chiave di valutazione dei progetti di ricerca; il Collegio dei Revisori dei Conti che vigila sull'osservanza della legge e dell'atto costitutivo, sul rispetto dei principi di corretta amministrazione e sul sistema amministrativo contabile; il Consiglio di Indirizzo Scientifico che supporta le scelte di indirizzo e gestione della ricerca biomedica del Consiglio di Amministrazione.

La struttura operativa è composta dalle tre direzioni: Direzione Comunicazione e Raccolta Fondi, Direzione Scientifica e Direzione Amministrativa. Le loro attività sono coordinate dal Comitato di Direzione che svolge un ruolo di direzione generale.

Gli Istituti di Ricerca Interna sono: il TIGEM, l'HSR-TIGET, il DTI e il Tecnothon. I prime tre si occupano di sviluppare la ricerca biomedica sulla distrofia muscolare e le altre malattie genetiche. Il Tecnothon si occupa, invece, di ricerca tecnologica finalizzata a progettare ausili tecnologici per disabili.

Le principali novità introdotte al sistema di governance riguardano:

- l'istituzione del Consiglio di Indirizzo Scientifico che, con riferimento alla missione di Telethon, offre una consulenza specifica su alcuni temi di rilevanza per l'indirizzo della ricerca Telethon (tra cui la valutazione dell'attuale concentrazione degli investimenti e la modalità di gestione del portafoglio progetti);
- le relazioni tra gli Istituti di Ricerca, il Consiglio di Amministrazione e le direzioni. Per le questioni inerenti le politiche di allocazione degli investimenti istituzionali e per la consulenza-indirizzo in merito a nuovi ambiti di ricerca viene mantenuto il riferimento diretto degli istituti di ricerca con il Segretario Generale, che si avvale del parere del Consiglio di Indirizzo Scientifico. Gli istituti sono, invece, in contatto con la Direzione Scientifica per assicurare il coordinamento e il dialogo scientifico tra gli istituti stessi e i vertici di Telethon; e si relazionano alla Direzione Amministrativa per le erogazioni e il controllo sull'utilizzo dei fondi e per la gestione del personale;
- l'istituzione del Comitato di Direzione, composto dai singoli direttori operativi, che ha una forte valenza organizzativa elaborando e implementando le decisioni prese e condivise con il CdA.

Per garantire una gestione armonica, il Comitato e la Fondazione hanno lo stesso organigramma e un unico governo. In questo esercizio sono state, inoltre, realizzate importanti modifiche a sostegno della struttura di Telethon

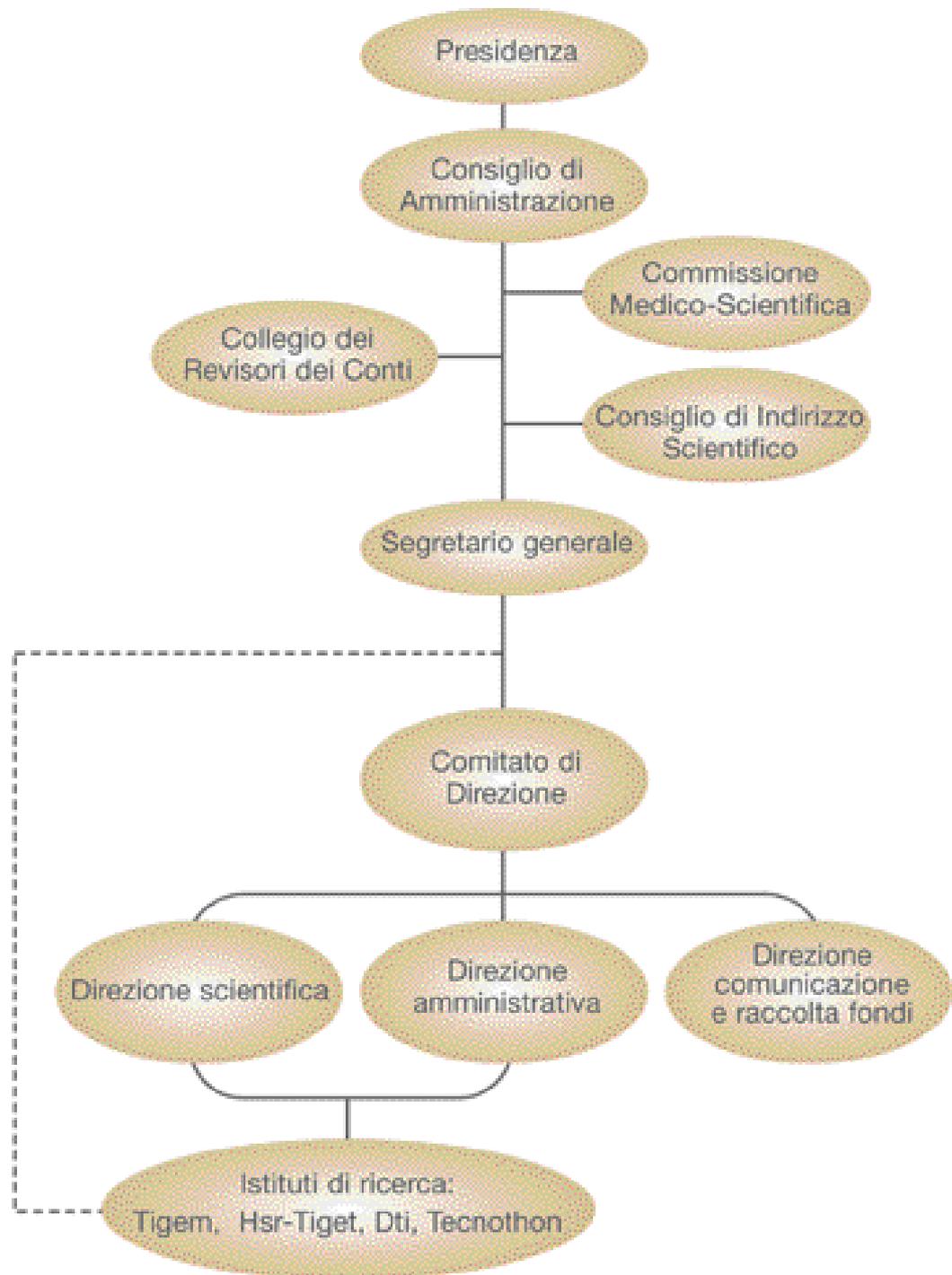


Figura 2. L'organigramma Telethon

La missione

La missione collega gli obiettivi perseguiti da Telethon alle strategie attraverso le quali raggiungerli e fornisce il supporto fondamentale per comprendere l'orientamento di fondo dell'organizzazione.

Attraverso l'enunciazione della missione, Telethon traccia i punti di riferimento per impostare il percorso, facilitare e guidare le scelte, realizzare le finalità statutarie e allo stesso tempo fornire le linee guida per dare conto dei risultati ottenuti.

Telethon misura i progressi e i risultati raggiunti rispetto alla missione, permettendo ai propri interlocutori di verificare la coerenza e il valore dell'operato svolto

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 lotta contro le malattie genetiche
- Vogliamo far sapere a chi ci aiuta come vengono spesi i soldi che raccogliamo

Nel bilancio che state leggendo, Telethon vuole esprimere la coerenza delle sue "Attività istituzionali" (si veda la sezione così definita) con i primi tre punti della missione, quelli più direttamente connessi alla ricerca biomedica; nelle "Attività di supporto" vuole, invece, descrivere il proprio operato rispetto agli altri due punti della missione, riferiti alla partecipazione della società civile alla lotta contro le malattie genetiche e alle modalità di impiego dei fondi raccolti. Telethon crede in questo modo di contribuire responsabilmente alla propria trasparenza istituzionale e gestionale a beneficio di tutti i suoi interlocutori.

Gli stakeholder

Il principale stakeholder di Telethon è la collettività: solo l'utilità prodotta verso la collettività legittima l'esistenza di un'organizzazione non profit.

All'interno della collettività è possibile individuare gruppi più specifici, in base al ruolo che essi svolgono nei confronti di Telethon (Figura 3).

Il Bilancio di missione si rivolge a tutti i soggetti che hanno un interesse nell'attività dell'organizzazione e che contribuiscono con il loro appoggio alla realizzazione dei propri fini istituzionali: gli stakeholder di Telethon

Telethon intende sviluppare le relazioni con questi soggetti, consapevole del fatto 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.

Lo scorso anno Telethon ha distribuito 2300 Bilanci a molti destinatari (giornalisti, opinion leader e testimonial di Telethon, dipendenti e collaboratori, partner di raccolta, pubbliche amministrazioni e volontari, principali ricercatori interni, associazioni di malattia ed emittenti televisive e radiofoniche) e in diversi momenti istituzionali (eventi, tavole rotonde, conferenze). In occasione della maratona 2003 Telethon ha anche pubblicato, gratuitamente, un estratto del bilancio sui principali quotidiani nazionali con una diffusione di oltre 2.370.000 copie.

Telethon considera questo coinvolgimento un obiettivo strategico di medio-lungo termine fondamentale per lo sviluppo dei propri obiettivi di trasparenza e responsabilità sociale.

Quest'anno Telethon propone un questionario di valutazione del bilancio quale strumento di feed-back che può contribuire a migliorare i rapporti tra Telethon e il suo contesto di riferimento.

Le attività

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. Questa suddivisione permette il controllo dei risultati di utilità sociale e dei risultati economico-finanziari.

L'organizzazione delle attività di Telethon è coerente ai fini istituzionali declinati nella missione. Per esprimere il collegamento tra i fini istituzionali e le attività svolte, il Bilancio di missione di Telethon distingue tra attività istituzionali e attività di supporto e utilizza questo schema per rendicontare un anno di lavoro.

LE ATTIVITÀ ISTITUZIONALI

Le attività istituzionali svolte dal Comitato riguardano:

- la valutazione e la selezione dei progetti di ricerca, attraverso il ruolo centrale della Commissione Medico-Scientifica. Perché la ricerca vada avanti è, infatti, necessario dare priorità a progetti eccellenti, promettenti 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;
- il finanziamento di progetti di ricerca scientifica esterna - nel caso di fondi erogati a ricercatori che lavorano presso enti di ricerca italiani, pubblici o privati, non profit - e progetti di ricerca scientifica interna, coordinati da ricercatori che operano all'interno di uno degli istituti Telethon.

Le attività istituzionali svolte dalla Fondazione riguardano:

- la ricerca biomedica sulle malattie genetiche; in particolare la ricerca svolta presso gli istituti Telethon (TIGEM, HSR-TIGET e DTI) e i progetti di ricerca svolti in istituti esterni ma che si avvalgono del servizio di gestione della Fondazione;
- la ricerca tecnologica di ausili per le persone colpite da disabilità motorie (Tecnothon).

LE ATTIVITÀ DI SUPPORTO

Rientrano tra queste attività:

- la raccolta dei fondi, che culmina nella maratona televisiva e si avvale del supporto di numerosi sostenitori;
- la comunicazione sociale, che contribuisce a informare il largo pubblico sulle attività di Telethon e sulle malattie genetiche. In particolare la comunicazione sociale viene svolta attraverso le pubblicazioni del sito internet, le attività dell'ufficio stampa, la produzione televisiva, le tavole rotonde, il "Telefono Scienza" e il "Filo Diretto" che forniscono notizie riguardanti la ricerca sulle malattie genetiche e riferimenti utili per la diagnosi;
- la gestione delle risorse umane e delle risorse finanziarie necessarie alla vita dell'ente;
- il funzionamento della struttura, che comprende le attività amministrative e organizzative generali degli uffici di Telethon.

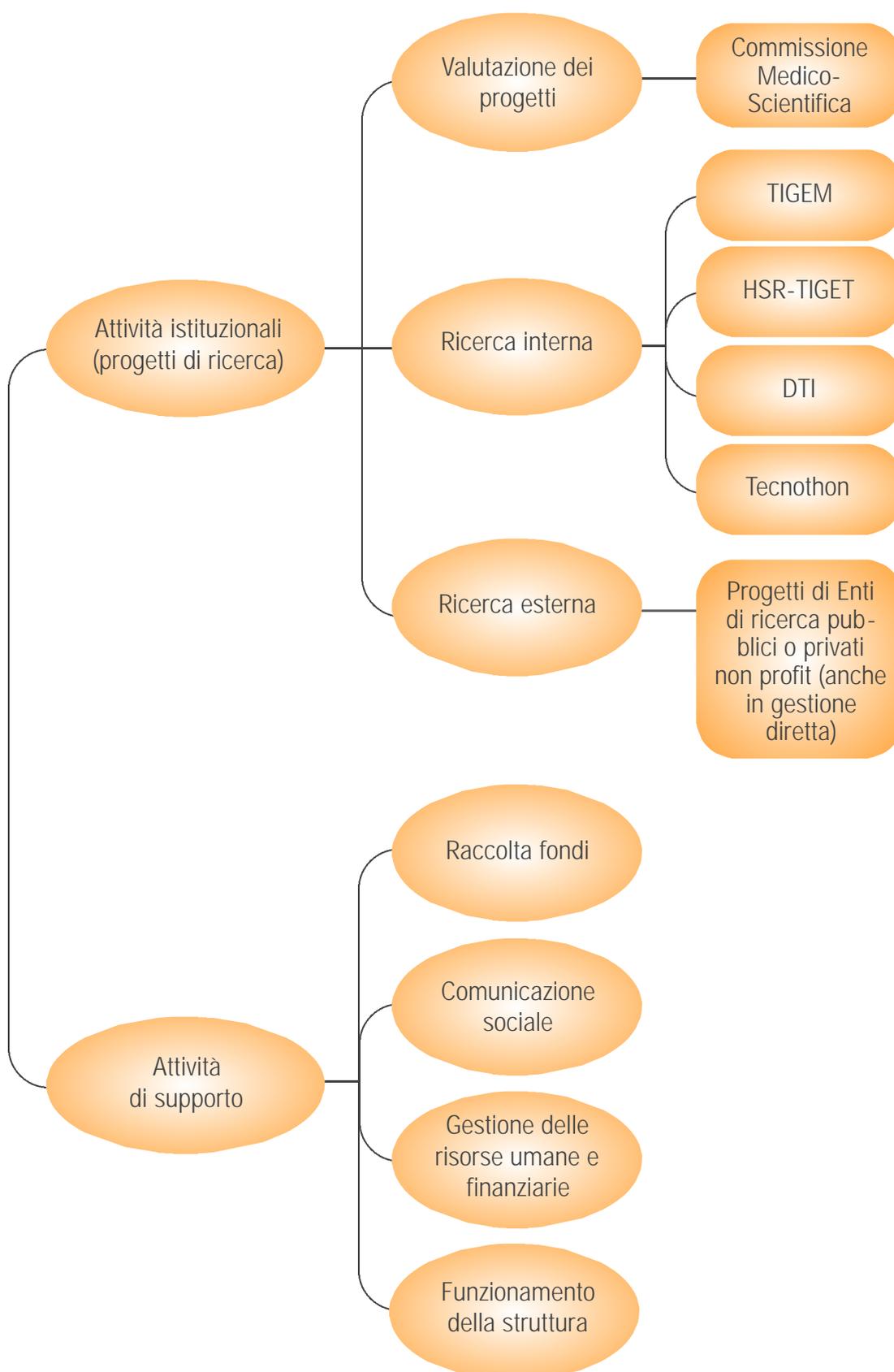


Figura 4. Le attività di Telethon

IL BILANCIO DI MISSIONE - **Le attività istituzionali**

In questa sezione Telethon si sofferma in modo particolare sui criteri di valutazione e finanziamento dei fondi raccolti, sulla gestione della ricerca e sui risultati scientifici di Telethon.

La ricerca biomedica

La raccolta fondi operata da Telethon è finalizzata a finanziare la ricerca scientifica più efficace. Per rispettare l'impegno di Telethon verso la cura delle malattie genetiche, i finanziamenti vengono diretti in via preferenziale alle ricerche che:

L'attività di ricerca scientifica rappresenta il fulcro dell'organizzazione di Telethon. Particolare attenzione è dedicata al processo di valutazione dei progetti da finanziare

- 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;
- abbiano come priorità le malattie neuromuscolari e monogeniche.

Incentivare in Italia una ricerca scientifica basata su questi due criteri, attraverso progetti di ricerca, borse di studio e programmi di sviluppo della carriera scientifica 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.

Ogni anno le ricerche degli scienziati finanziati da Telethon consentono, così, di avanzare verso la cura delle malattie genetiche.

Il percorso ideale di avanzamento della ricerca, dalla malattia alla cura, segue le "tappe della ricerca biomedica" rappresentate da Telethon con una scala che indica, per ogni malattia, la strada compiuta e quella ancora da fare (Figura 5).

La "scala" rappresentata in figura 5 non costituisce solo una metafora di comunicazione della ricerca biomedica per i non addetti ai lavori; è anche un utile strumento di analisi che Telethon

LE TAPPE DELLA RICERCA BIOMEDICA

Dalla scoperta di una nuova malattia genetica alla sua cura il percorso è molto lungo. Le tappe da affrontare e superare sono schematizzate nella Figura 2 nella pagina a fianco. Una volta individuata la malattia, il punto di partenza è l'identificazione del difetto genetico responsabile (1).

Si procede poi verso la comprensione dei meccanismi molecolari alla base della patologia (2), che permettono di ideare molecole e strategie terapeutiche da sperimentare innanzitutto su cellule (*in vitro*) (3) e poi su modelli animali in laboratorio (*in vivo*) (4); queste tappe costituiscono la cosiddetta ricerca preclinica.

Se tutto funziona si può finalmente passare alla ricerca clinica vera e propria, in cui la terapia viene applicata all'uomo (5). Solo al termine di questa fase, se i risultati lo consentono, si potrà dire di aver ottenuto una cura per una malattia genetica.

Oltre al percorso qui descritto verso la cura, esiste anche un filone di ricerca (non rappresentato sulla scala) che si occupa di studiare la storia naturale della malattia e di mettere a punto diagnosi e terapie palliative, per migliorare la qualità della vita dei pazienti.

usa per valutare le proprie attività di ricerca. Quando nelle pagine successive si parlerà di risultati della ricerca Telethon, la scala verrà, infatti, riproposta per capire dove si collocano i risultati dell'ultimo anno.

Nel corso del prossimo Bilancio di missione, Telethon utilizzerà la scala anche per rappresentare la distribuzione dei finanziamenti alla ricerca interna ed esterna .

LE ATTIVITÀ SCIENTIFICHE FINANZIATE DA TELETHON

La finalità istituzionale del Comitato Telethon Fondazione ONLUS, valutare e selezionare i progetti e assegnare ed erogare i fondi per la ricerca, riguarda diversi tipi di attività scientifiche (per una descrizione più approfondita si rimanda alle sezioni dedicate alla ricerca esterna e alla ricerca interna):

ricerca esterna	ricerca interna (istituti di ricerca Telethon)
<ul style="list-style-type: none"> progetti di ricerca servizi alla ricerca borse di studio 	<ul style="list-style-type: none"> TIGEM HSR-TIGET DTI Tecnothon

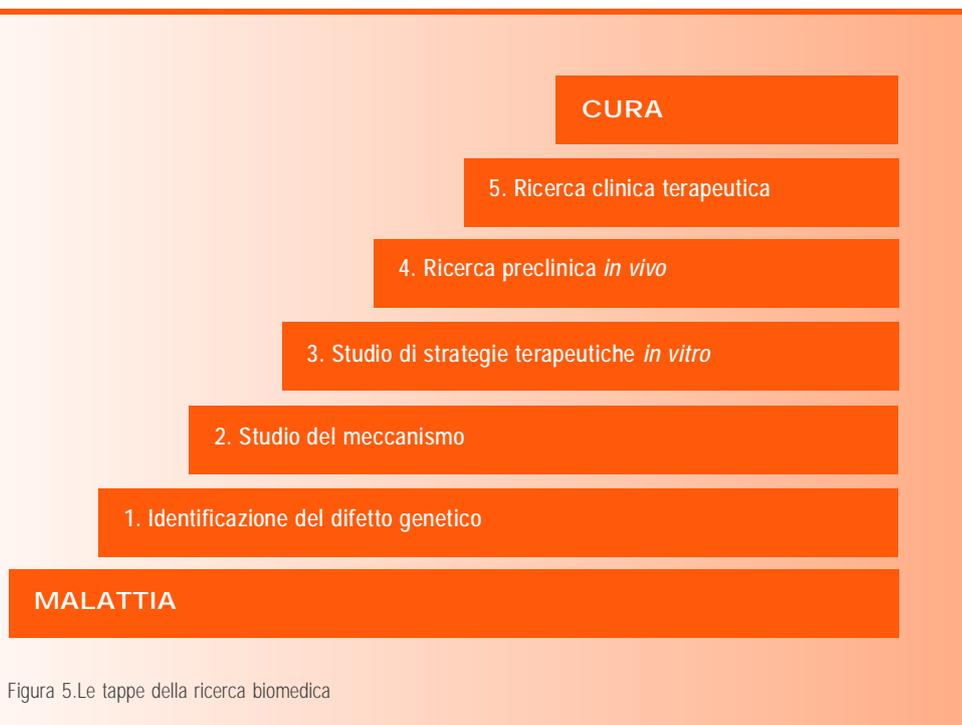


Figura 5. Le tappe della ricerca biomedica

Tipo di finanziamento	Accessibile a	Presso	Durata, anni	Cadenza	Bando	Approvazione progetti
Progetti di ricerca (ricerca esterna)	Ricercatori italiani e stranieri residenti in Italia	Istituti di ricerca italiani	1-3	Annuale	Gennaio	Giugno
Servizi alla ricerca (ricerca esterna)	Ricercatori italiani e stranieri residenti in Italia	Istituti di ricerca italiani	1-3	Annuale	Settembre	Novembre
Borse di studio (ricerca esterna)	Ricercatori italiani	Istituti di ricerca stranieri	1-3	Annuale	Settembre	Novembre
“Progetto Carriere” (ricerca interna)	Ricercatori italiani e stranieri	Istituti di ricerca italiani	5	Annuale	Settembre	Novembre

Figura 6.1 bandi periodici di Telethon

Altri finanziamenti esterni

I finanziamenti Telethon riguardano anche progetti finanziati in collaborazione con altri enti non profit di ricerca biomedica, quali il JDRF (la Fondazione Americana per la Ricerca sul Diabete Giovanile), l'AFM (l'Associazione Francese contro le Miopatie) e la UILDM (l'Unione Italiana Lotta alla Distrofia Muscolare). I relativi bandi non seguono cadenze regolari. Saltuariamente, Telethon finanzia anche altri progetti di ricerca esterna incentrati su attività di particolare interesse per Telethon.

I finanziamenti interni

Oltre al “Progetto Carriere” del Dulbecco Telethon Institute, Telethon finanzia i propri istituti di ricerca interna TIGEM, HSR-TIGET, per i quali attua revisioni periodiche di valutazione della qualità del lavoro svolto, al fine di approvare la prosecuzione dei finanziamenti.

Prima di passare a relazionare sui finanziamenti erogati e sui risultati della ricerca biomedica, il bilancio si sofferma sul processo di valutazione e selezione dei progetti di ricerca che vengono presentati a Telethon dai ricercatori; è questo, infatti, il primo e fondamentale passo per una valida ricerca scientifica.

La valutazione dei progetti

Perché la ricerca proceda con successo, è necessario finanziare progetti d'eccellenza, che garantiscano la massima efficacia in termini di risultati; a tal fine, Telethon adotta un rigoroso processo di valutazione schematizzato nella figura sottostante.



Figura 7. Il processo di valutazione dei processi di ricerca

La valutazione ex ante riguarda i progetti ricevuti in risposta ai bandi di concorso e si avvale di mezzi e metodi utilizzati a livello internazionale, e cioè del sistema di peer review e in particolare di una Commissione Medico-Scientifica.

La valutazione ex post è effettuata da Telethon per i progetti conclusi dai ricercatori, ai quali è richiesto un accurato resoconto scientifico del lavoro svolto e dei risultati ottenuti. In particolare, quando un ricercatore concorre a nuovi finanziamenti, l'approvazione del resoconto scientifico da parte della Commissione Medico-Scientifica è uno dei requisiti fondamentali per la finanziabilità del nuovo progetto.

Anche la determinazione della qualità delle pubblicazioni scientifiche realizzate da progetti finanziati da Telethon costituisce una misura di valutazione ex-post, e permette di avere una visione globale dei risultati del finanziamento. Ulteriori considerazioni in proposito sono riportate nelle pagine dedicate ai risultati della ricerca Telethon (pag. xx e seguenti).

Nella valutazione dei progetti di ricerca il Comitato si avvale di una Commissione Medico-Scientifica internazionale e indipendente che garantisce la qualità dei finanziamenti

LA COMMISSIONE MEDICO-SCIENTIFICA E IL SISTEMA 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 istituzione, la Commissione rappresenta il principale attore delle attività valutative di Telethon. Il Consiglio di Amministrazione del Comitato si è sempre impegnato affinché la Commissione rispetti le seguenti caratteristiche:

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

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

- la maggioranza dei membri della Commissione sia composta 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 suggerimenti da questa provenienti sono estremamente preziosi e ben accetti).

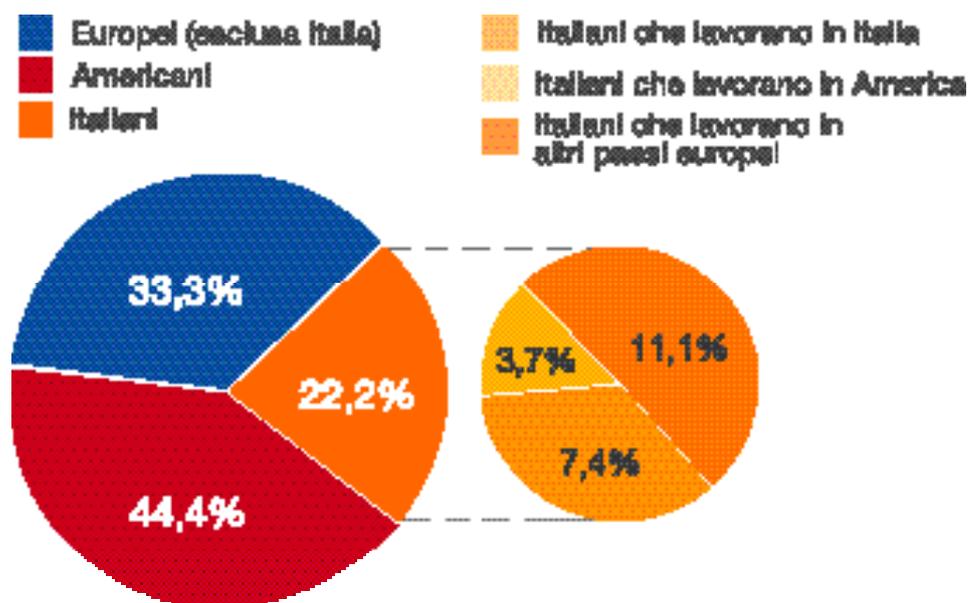


Figura 8. La composizione (per nazionalità) della Commissione Medico-Scientifica al 30 giugno 2004.

I COMPONENTI DELLA COMMISSIONE MEDICO-SCIENTIFICA al 30 giugno 2004

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

Vice President
Marino Zerial
Max Plank Institute for Molecular Cell
Biology and Genetics (MPI-CBG)
Dresden (Germania)

Members
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)
Jacques Beckmann
Departement de Genetique Medicale
Losanna (Svizzera)

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)
Gino A. Cortopassi
Department of Molecular Biosciences
University of California
Davies (Stati Uniti)

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

Riccardo Fodde
Chair of Experimental Pathology
Department of Pathology
Josephine Nefkens Institute
Erasmus University Medical Center
Rotterdam (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)

Grazia Isaya
Mayo Clinic
Rochester (Stati Uniti)

Dimitri M. Kullmann
Department of Clinical and
Experimental Epilepsy
Institute of Neurology
London (Inghilterra)

Frank McKeon
Department of Cell Biology
Baylor College of Medicine
Houston (Stati Uniti)

Jeffrey Noebels
Department of Neurology
Harvard Medical School
Boston (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)

Tullio Pozzan
Department of Biomedical Sciences
University of Padova
Padova (Italia)

Alain Prochiantz
CNRS UMR 8542
Ecole Normale Supérieure
Paris (Francia)
Gudrun A. Rappold
Institute of Human Genetics
University of Heidelberg
Heidelberg (Germania)

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
Dresden (Germania)

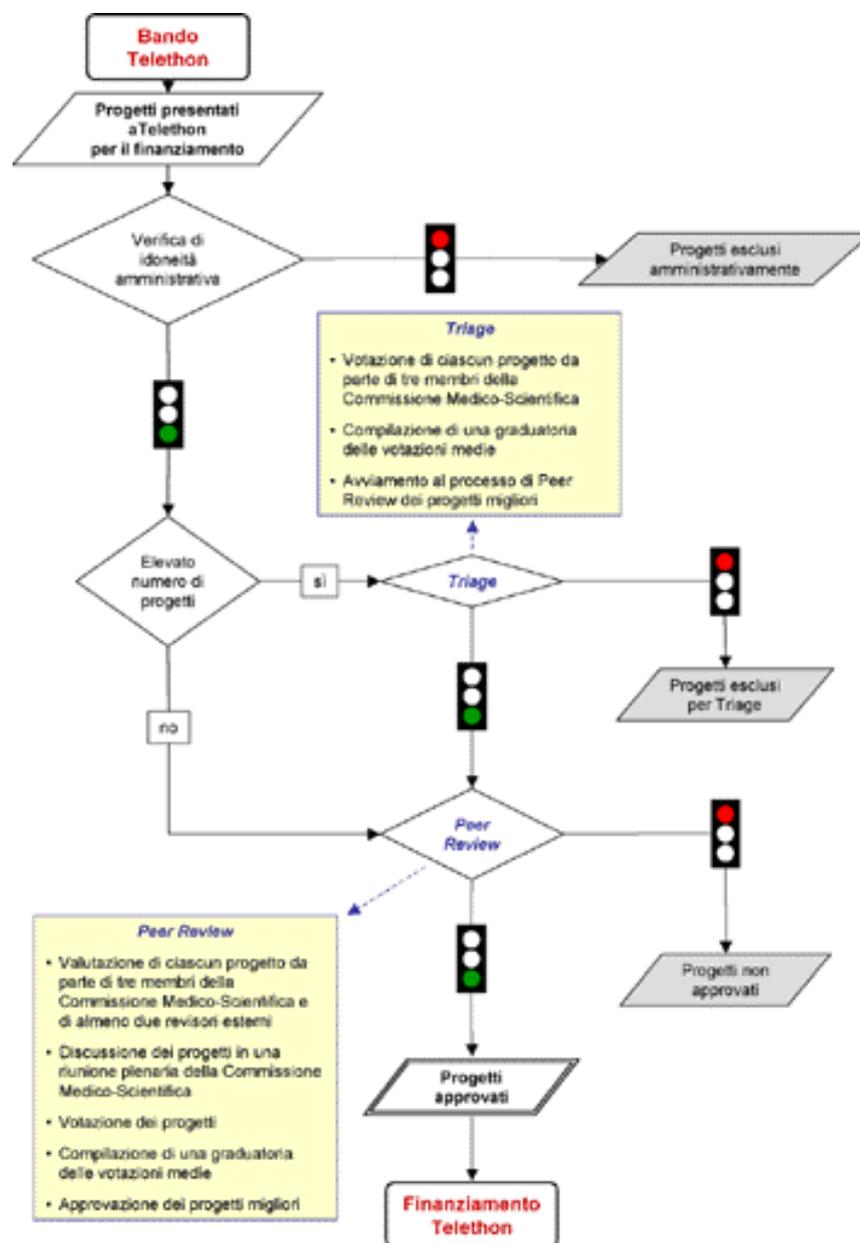
Catherine M. Verfaillie
University of Minnesota
Dept. of Medicine
Minneapolis (Stati Uniti)

Il processo di valutazione dei progetti di ricerca

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 che risultino altamente competenti sull'argomento del progetto.

Le valutazioni dei progetti si articola in diverse fasi, schematizzate nella figura 9



Il processo di *peer review* dei servizi alla ricerca e delle borse di studio non si avvale dell'apporto di revisori esterni, in considerazione della minore complessità delle relative proposte di progetto.

Per quanto riguarda invece la selezione dei ricercatori del "Progetto Carriere" da inserire presso il DTI (Dulbecco Telethon Institute), viene adottato un ulteriore strumento di valutazione: 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 titolari di tali progetti vengono invitati a presentare vari aspetti del loro lavoro di ricerca a tutti i membri della Commissione. Tale meccanismo consente di selezionare con accuratezza i candidati per le posizioni di *Telethon Scientist* che più rispondono ai criteri richiesti da bando (si veda la Figura 27).

Il compito di gestire il processo di valutazione dei progetti è affidato 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.

I *Grant Review Manager* assegnano ogni progetto a tre membri della Commissione Medico-Scientifica, in base alle competenze scientifiche di ciascuno, ed individuano, ove previsto, i revisori esterni: scienziati stranieri o italiani che lavorino all'estero che siano in grado di fornire una valutazione esperta di ogni progetto e che non abbiano alcun rapporto diretto o indiretto con il ricercatore titolare del progetto. I dati di tutti i revisori esterni contattati da Telethon sono raccolti in una banca dati che registra ad oggi più di 5.000 scienziati. In occasione di ogni bando, vengono interpellati sia revisori già inseriti nella banca dati, sia nuovi scienziati. I dati dei revisori coinvolti nella valutazione dei progetti di ricerca e delle carriere scientifiche 2003-2004 sono riassunti nella Figura 10.

Bando	N. progetti sottoposti a peer review	N. revisori contattati	N. revisori contattati per progetto	N. revisioni esterne	N. revisioni esterne per progetto	N. progetti approvati
Progetti di ricerca	175	997	5,57	381	2,13	54
"Progetto Carriere" (DTI)	17	113	6,65	44	2,59	3

Figura 10. La revisione esterna dei progetti di ricerca e delle carriere scientifiche 2003-2004

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.

La valutazione degli istituti di ricerca interna TIGEM e HSR-TIGET

Anche le assegnazioni dei fondi agli istituti Telethon TIGEM e HSR-TIGET 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

Gli istituti preparano un documento esaustivo che riporta la descrizione dell'istituto, dei suoi piani strategici e dei singoli progetti di ricerca condotti. Questo documento viene inviato a tutti i membri della Commissione Medico-Scientifica perché esprimano le loro valutazioni; inoltre, per ogni singolo progetto 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 ed 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 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 tecnici e gestionali che risultano particolarmente critici. Questo gruppo di esperti elabora, infine, una valutazione complessiva 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.

LA VALUTAZIONE DEI PROGETTI UN PROCESSO DI RICONOSCIUTA QUALITÀ

Nel corso del 2003-2004, il metodo di valutazione dei progetti utilizzato da Telethon ha ricevuto importanti riconoscimenti. Per le attività di programmazione, valutazione iniziale, attivazione, monitoraggio e valutazione finale di progetti di ricerca, il Comitato Telethon Fondazione ONLUS ha ottenuto la certificazione ISO 9001, a riprova del rigore con cui viene svolta ogni fase della valutazione.

Inoltre, in un articolo pubblicato da una rivista scientifica internazionale, dedicato ai problemi del sistema di peer review per la selezione dei manoscritti scientifici e dei progetti proposti per i finanziamenti alla ricerca, gli autori hanno citato Telethon come unico esempio di ente in grado di condurre questa selezione con correttezza ed efficacia, oltre al prestigioso NIH, l'Istituto Nazionale della Sanità statunitense (Jurkat-Rott, K. and F. Lehmann-Horn - 2004. "Reviewing in science requires quality criteria and professional reviewers." *European Journal of Cell Biology* 83(3):93-5).



Il certificato di qualità ISO 9001 che il Comitato Telethon Fondazione ONLUS ha ottenuto nel febbraio 2004

I FINANZIAMENTI ALLA RICERCA BIOMEDICA 2003-2004

Nell'esercizio 2003-2004, grazie all'attività di valutazione della Commissione Medico-Scientifica, Telethon ha assegnato fondi alla ricerca biomedica per **20.132.931 Euro**.

Il finanziamento è stato ripartito tra ricerca interna ed esterna; in particolare sono andati alla ricerca interna **6.670.664 Euro** (pari al 33% del finanziamento totale) e **13.462.267 Euro** (pari al 67%) alla ricerca esterna.

Nelle pagine seguenti, il bilancio analizza nel dettaglio l'attività di finanziamento alla ricerca esterna e successivamente quella relativa alla ricerca interna.

Il finanziamento alla ricerca esterna

I finanziamenti dei progetti di ricerca esterna per l'esercizio 2003-2004, hanno riguardato i seguenti bandi:

- Bando 2004 per progetti di ricerca
- Bando 2003 per borse di studio all'estero
- Bando 2003 per progetti di servizi alla ricerca
- Il Bando 2003 per progetti Telethon-UILDM

LE DELIBERE 2003-2004 PER LA RICERCA ESTERNA

I progetti presentati a Telethon in risposta ai bandi per progetti di ricerca, borse di studio all'estero e servizi alla ricerca sono stati valutati durante le riunioni della Commissione Medico-Scientifica in sessione plenaria, in due occasioni: a novembre del 2003 ed a giugno del 2004. Inoltre, a febbraio del 2004, si è riunita la Commissione Medico Scientifica costituita ad hoc per la valutazione dei progetti Telethon-UILDM.

I progetti di ricerca

I progetti di ricerca costituiscono la modalità tipica di finanziamento alla ricerca da sempre utilizzato da Telethon. Il bando è incentrato sui settori di interesse per Telethon con particolare riferimento alle patologie neuromuscolari o ai difetti monogenici.

L'attività di ricerca esterna di Telethon si concentra sul finanziamento di ricercatori che lavorano presso enti di ricerca pubblici o privati non profit

Dei 291 progetti validi presentati, 175 hanno superato la selezione preliminare denominata Triage (applicata quando si riceve un alto numero di proposte da vagliare; si veda la figura 9).

Nel rispetto dei rigidi criteri di selezione, la Commissione Medico-Scientifica ha individuato 54 progetti meritevoli di finanziamento, per i quali il Consiglio di Amministrazione del Comitato ha deliberato una disponibilità finanziaria di 10.333.500 Euro (Figura 12).

Nel bando 2004 per i progetti di ricerca, la soglia di selezione si è mantenuta ad un livello elevato, simile a quelli degli anni precedenti, escludendo dal finanziamento l'80% dei progetti presentati. (Figura 12). Telethon ha, quindi, scelto per il finanziamento solo i progetti più meritevoli. Questo dato mostra l'elevata selettività del processo di revisione: sono stati infatti approvati per il finanziamento solo il 20% dei progetti presentati (Figura 11).

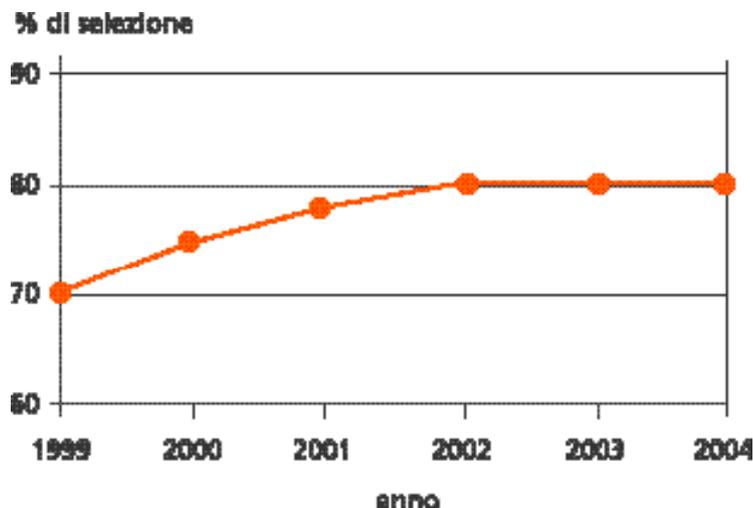


Figura 11. Soglia di selezione dei progetti di ricerca esterna negli ultimi 6 anni: indica la percentuale di progetti esclusi dal finanziamento rispetto a tutti i progetti validi ricevuti

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 Medico-Scientifica, anche nel caso in cui i fondi disponibili eccedano le richieste approvate per il finanziamento.

Le borse di studio all'estero

Le borse di studio per l'estero sono rivolte a giovani ricercatori italiani che ancora non hanno una posizione permanente in Italia e che desiderano fare un'esperienza di ricerca presso una istituzione estera per un periodo di due o tre anni lavorando nei settori di ricerca di interesse per Telethon. Quest'anno sono state bandite 8 posizioni. La Commissione Medico-Scientifico ha valutato, nel corso della riunione di novembre, 17 candidature approvandone 8. Successivamente 2 borsisti hanno rinunciato alla posizione portando a 6 il numero delle borse attivate (Figura 12).

I servizi alla ricerca

Questa tipologia di finanziamento è rivolta alle banche di materiale biologico e ad altri servizi alla ricerca, come servizi di microscopia elettronica, di bioinformatica ecc. (denominati Telethon Facilities) a cui possano accedere i ricercatori che usufruiscono di fondi Telethon, ma anche la comunità scientifica in generale. Nell'anno di competenza del bilancio, la Commissione ha valutato 12 progetti approvandone 8 (Figura 12).

I progetti Telethon-UILDM

I progetti Telethon-UILDM sono stati oggetto di valutazione da parte di un'apposita Commissione costituita ad hoc formata da esperti di patologie neuromuscolari come anche di studi clinici. Infatti la finalità di questi progetti di ricerca è quella di sviluppare aspetti dia-

gnostici, terapeutici e riabilitativi relativi a patologie neuromuscolari. In risposta al bando sono arrivati 11 progetti, uno dei quali è stato escluso d'ufficio in quanto non pertinente all'argomento del bando. Sono quindi, stati valutati 10 progetti dei quali 4 sono stati ammessi al finanziamento (Figura 12).

Altri progetti di ricerca esterna

Telethon finanzia anche altri progetti che non vengono presentati necessariamente in risposta a specifici bandi. Anche questi progetti vengono valutati secondo la procedura del peer review e vengono discussi nel corso delle riunioni della Commissione Medico-Scientifica. Durante la riunione di giugno è stato sottoposto al rinnovo della Commissione il finanziamento al CRIBI (Centro Ricerche Interdipartimentale Biotecnologie Innovative) dell'Università di Padova. Il CRIBI è finanziato da Telethon da molti anni e opera in Italia come centro di ricerca genomica sul muscolo. Al CRIBI è stato assegnato un finanziamento di 380.500 Euro. Un altro finanziamento valutato sempre nel corso della stessa riunione, dell'importo di 384.000 Euro, è stato quello relativo all'accordo da stipulare con l'Università di Bologna la quale ha dichiarato il suo interesse ad accogliere una posizione di professore associato finanziata da Telethon per i primi sei anni da integrare poi nell'organico universitario. Infine a questi importi si aggiunge una delibera di 39.395 Euro per finanziare la prosecuzione del progetto in collaborazione con il Memorial Sloan Kettering Center (NY, USA) sulla β -Talassemia

LE DELIBERE ALLA RICERCA ESTERNA

Tipologia di progetto	progetti presentati alla valutazione	progetti ammessi	progetti approvati	Finanziamento totale (unità di euro)	Finanziamento medio (unità di euro)
Progetti di ricerca	291	175	54	10.333.500	Euro 187.882
Borse di studio all'estero	17	17	6	459.000	Euro 76.500
Servizi alla ricerca	13	12	8	1.103.900	Euro 137.988
Progetti Telethon-UILDM (*)	11	10	4	508.443	Euro 127.111
Altri Progetti (**)			3	803.895	267.965
Progetto Telethon-JDRF (4° anno)			1	253.529	
Totale generale	332	214	76	13.462.267	177.135

(*)Le delibere dei progetti Telethon-UILDM provengono per 364.443 Euro dal Comitato e per 144.000 Euro dalla Fondazione. La delibera totale alla ricerca esterna del Comitato è, quindi, pari a 13.278.872

(**) Le delibere degli altri progetti provengono per 764.500 Euro dal Comitato e per 39.395 Euro dalla Fondazione.

Per un confronto si vedano i Prospetti di "Rendiconto della gestione a proventi ed oneri" del Bilancio del Comitato e della Fondazione alla voce "Delibera di assegnazione alla ricerca esterna"

Figura 12. Prospetto riepilogativo delle delibere alla ricerca esterna

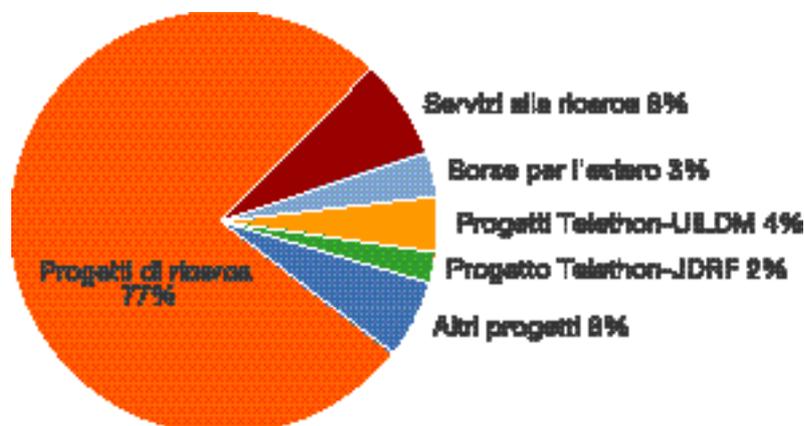


Figura 13. Le delibere alla ricerca esterna in percentuale rispetto alla tipologia di finanziamento

LE MALATTIE FINANZIATE

La figura successiva illustra, in percentuale, l'entità dei fondi che Telethon ha destinato nel corso del 2003-2004 a ciascuna categoria di malattie genetiche: neuromuscolari (3,1 milioni di Euro), neurologiche (2,0 milioni di Euro), altre malattie genetiche (6,0 milioni di Euro). Sono inoltre stati assegnati 1,2 milioni di Euro a quei progetti che, pur non essendo riconducibili a malattie genetiche specifiche, affrontano lo studio di meccanismi fisiologici e patologici (studi di base) che sottendono a tali malattie. Sono stati esclusi dal conteggio i servizi alla ricerca, pari a 1,1 milioni di Euro, che riguardano attività trasversali e quindi non classificabili in base al tipo di patologia.

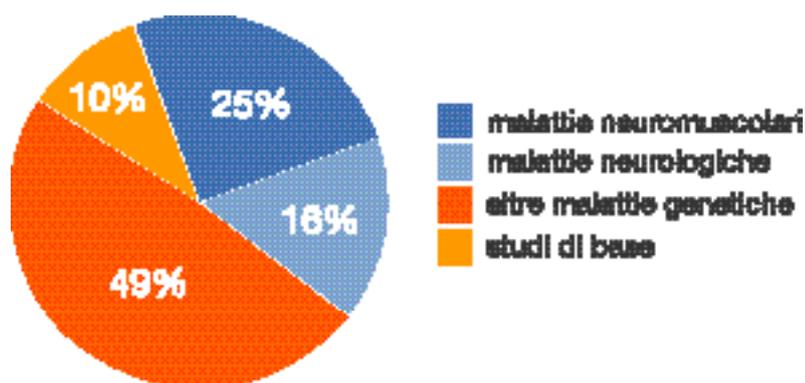


Figura 14. La distribuzione dei finanziamenti ai progetti di ricerca esterna per categorie di malattia (in percentuale)

I fondi stanziati riguardano per il 72% malattie monogeniche e per il 10% malattie multifattoriali; il 18% dei fondi riguarda progetti che non possono essere ricondotti all'una o all'altra categoria perché studiano meccanismi di base o affrontano malattie diverse.

COFINANZIAMENTI TELETHON ALLA RICERCA ESTERNA

Durante questo esercizio sono proseguiti i progetti finanziati in base all'accordo tra 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. Nel corso del presente esercizio, i direttori dei tre progetti multicentrici finanziati hanno inviato a Telethon ed AFM il resoconto scientifico ed amministrativo delle attività del primo anno. I resoconti sono stati vagliati da una commissione scientifica ad hoc e dagli uffici amministrativi, prima di procedere alla conferma del finanziamento per il secondo anno di ricerche.

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 di ricerca sul diabete giovanile.

È stata inoltre deliberata la quarta 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 253.529 Euro.

IL FINANZIAMENTO ALLA RICERCA ESTERNA DI TELETHON NEGLI ANNI

Da una panoramica del finanziamento alla ricerca esterna negli ultimi 8 anni (Figura 15), è evidente l'ingente impegno di Telethon in questa direzione, nel corso del tempo.

	96/97	97/98	98/99	99/00 (**)	00/01	01/02	02/03	03/04
Importo assegnato ai progetti di ricerca esterna (migliaia di Euro)*	10.805	11.998	16.440	11.197	10.758	8.182	11.519	13.462
Numero dei progetti	151	150	172	84	63	69	75	76
Finanziamento medio (migliaia di Euro)	71,6	80,0	95,6	133,3	170,8	118,6	153,6	176,1

(*) Dati di delibera non comprensivi degli eventi successivi quali rinunce, interruzioni, ecc.
 (***) A partire dal 2000 è stato fatto un unico bando all'anno per progetti di ricerca. Precedentemente al 2000 venivano, invece, pubblicati due bandi per ciascun anno.

Figura 15. La comparazione delle assegnazioni a progetti di ricerca esterna effettuate nell'esercizio 2003-2004 con quelle degli esercizi precedenti.

Analizzare le variazioni degli importi complessivi da un anno all'altro non è semplice e richiede di valutare 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). Considerando i dati della Figura 15 raggruppati secondo finestre mobili di un triennio, si riesce a fotografare l'andamento dei finanziamenti alla ricerca esterna con più continuità, riducendo le variazioni da un anno all'altro. Risulta, così, interessante notare come il finanziamento medio per progetto abbia ottenuto un netto aumento negli ultimi anni (Figura 16), 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.

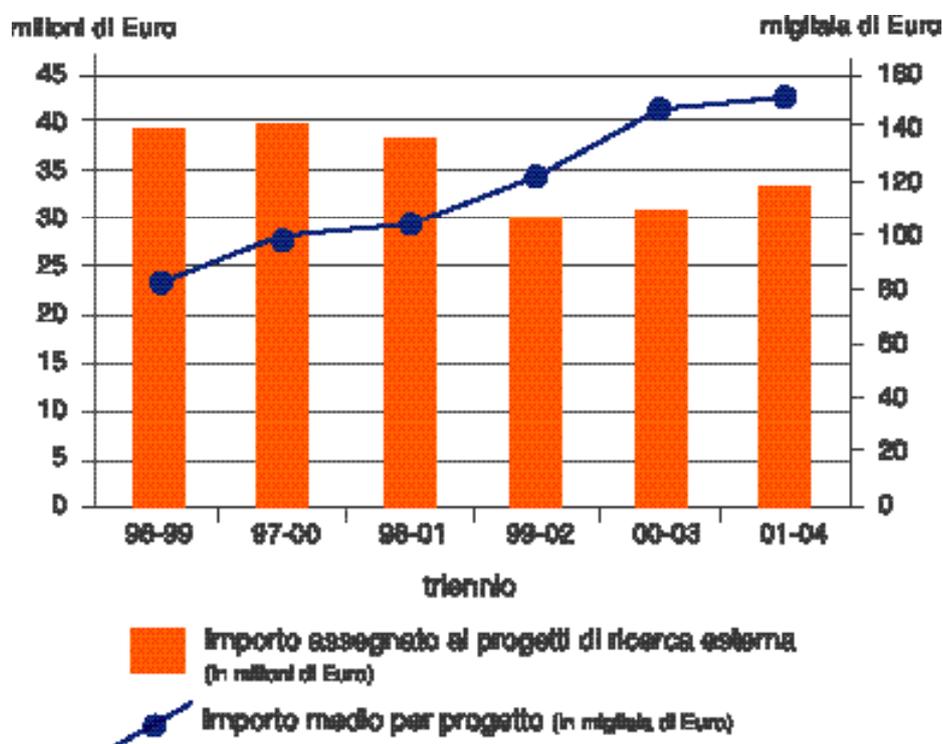


Figura 16. Le assegnazioni di fondi ai progetti di ricerca esterna: importi complessivi per triennio (barre) e valori medi per progetto (punti) negli ultimi otto anni

La Gestione Diretta

Il principale servizio aggiuntivo che la Fondazione offre ai ricercatori titolari di progetti di ricerca estrena di Telethon è la cosiddetta Gestione Diretta dei fondi. Secondo tale criterio di gestione i ricercatori, afferenti ad istituzioni italiane, pubbliche o private, non profit, che abbiano ricevuto dal Comitato Telethon assegnazioni per propri progetti di ricerca, possono richiedere di ricorrere agli uffici della Fondazione Telethon (Figura 17) per provvedere agli impegni di spesa necessari 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 usufruire di una gestione snella e flessibile ed evitare le quote percentuali dei fondi di ricerca trattenute dagli istituti ospitanti a titolo di copertura dei costi strutturali, i cosiddetti overhead.

La Gestione Diretta è un servizio gratuito della Fondazione Telethon orientato a massimizzare l'efficienza e l'economicità dell'attività amministrativa dei ricercatori esterni

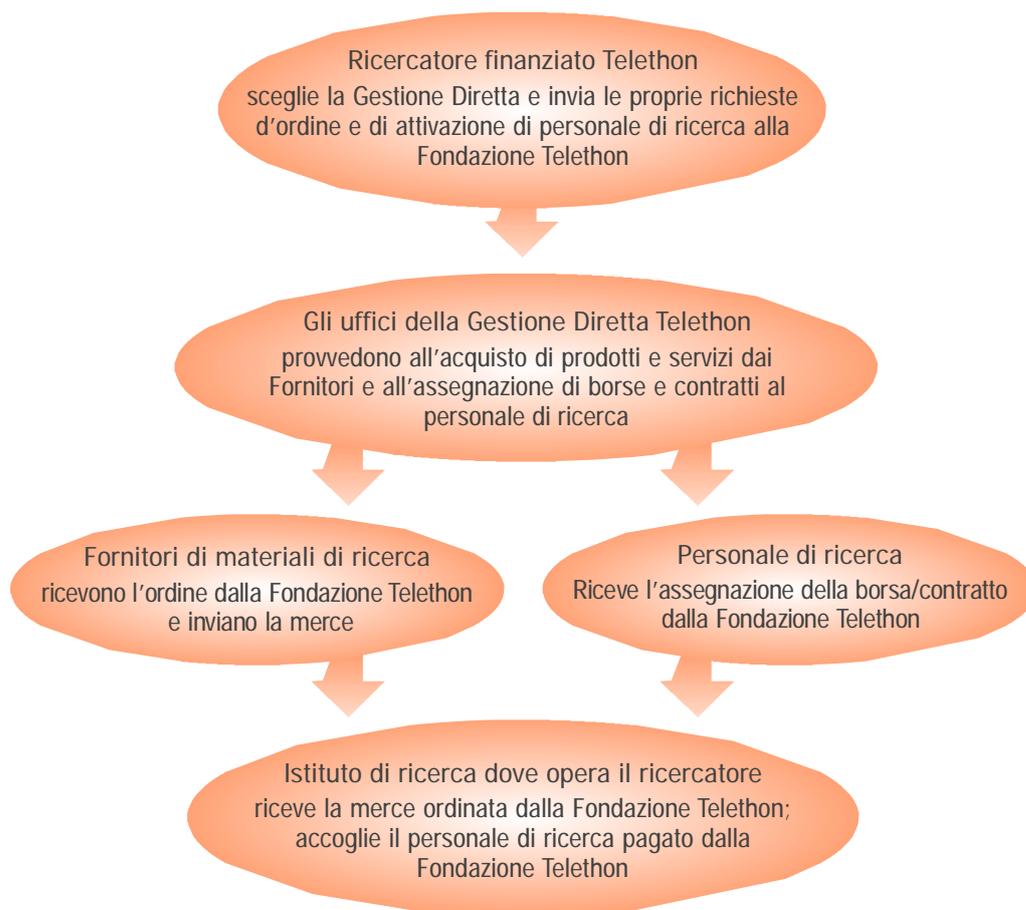


Figura 17. Schema generale di funzionamento della Gestione Diretta dei fondi Telethon

La Gestione Diretta dei grant di ricerca è svolta da personale assunto ad hoc. 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 di seguire il progetto si attiva per procedere con l'impegno di spesa, una volta verificato che la richiesta risponda ai criteri di economicità e sia 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 impegno notevole per la Fondazione: al 30 giugno 2004 dei 263 progetti in corso di finanziamento 161 erano in Gestione Diretta pari al 61% dei progetti attivi assegnatari di fondi Telethon.

Anche in questo esercizio le domande di accesso alla Gestione Diretta sono state numerose e si confermano stabili nel tempo.

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 18).

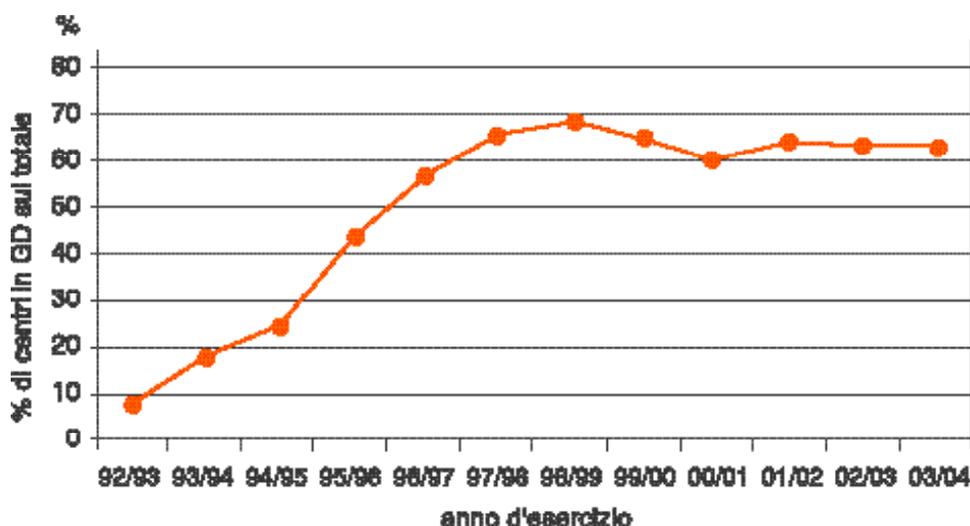


Figura 18. L'andamento della percentuale di scelta della Gestione Diretta rispetto al totale dei progetti approvati nei vari esercizi finanziari

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 19.

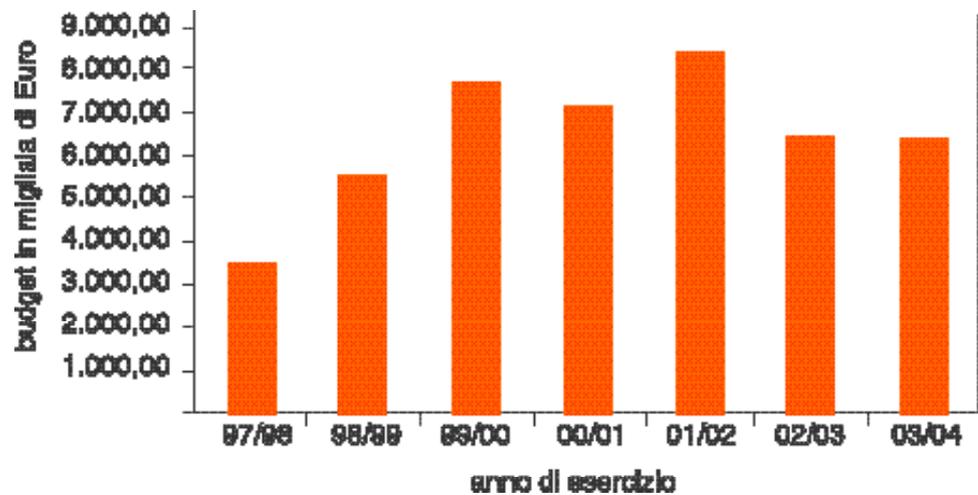


Figura 19. L'andamento degli utilizzi/erogazioni nella gestione dei fondi su progetti in Gestione Diretta

L'UFFICIO COORDINAMENTO ACQUISTI

Creato per supportare le attività di gestione, l'Ufficio Coordinamento Acquisti (UCA) ha consentito di raggiungere ottimi risultati in termini di risparmio di energie e di risorse finanziarie. L'UCA sfrutta la centralizzazione degli acquisti che la Fondazione Telethon opera sia per i progetti in Gestione Diretta che per gli istituti di ricerca interna per ottenere condizioni contrattuali vantaggiose dalle aziende che forniscono materiale per ricerca.

Secondo una stima effettuata internamente (attraverso il sistema informatico utilizzato per la gestione dei budget dei progetti in Gestione Diretta) emerge che la gestione centralizzata degli acquisti ha prodotto un risparmio di 756.000 Euro realizzato grazie all'applicazione di sconti da parte delle aziende che hanno sottoscritto un accordo di fornitura con Telethon. Nel corso degli ultimi anni, questo dato sta riscontrando degli incrementi significativi (Figura 20).

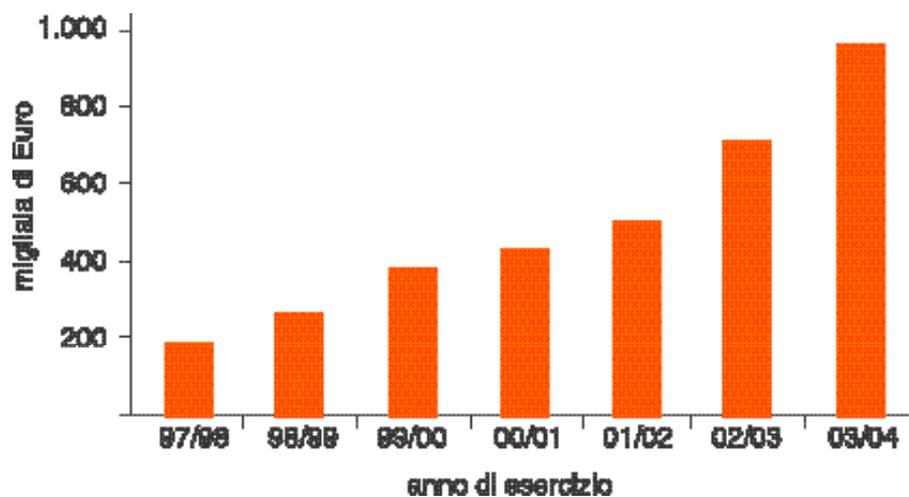


Figura 20. L'incremento del risparmio dei fondi, realizzato tramite l'ufficio Coordinamento Acquisti

Il finanziamento alla ricerca biomedica interna

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

L'obiettivo era quello di creare un istituto di ricerca per l'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 promettente della ricerca scientifica, quello della terapia genica, portò nel 1995 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).

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

Gli istituti di Telethon sviluppano progetti di ricerca altamente competitivi, favorendo un ambiente di ricerca adeguato alla formazione e alla carriera di giovani scienziati

LE DELIBERE TELETHON ALLA RICERCA BIOMEDICA INTERNA

Istituto	Importo deliberato (2003-2004) (unità di Euro)
TIGEM	2.693.346
HSR-TIGET	2.492.318
DTI	1.485.000
Totale	6.670.664

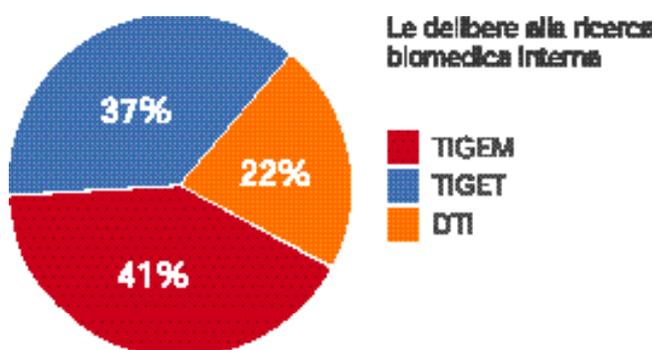


Figura 21. Le delibere 2003-2004 alla ricerca biomedica interna per ogni istituto (in percentuale)

Alla ricerca biomedica si affianca la ricerca tecnologica di Telethon grazie al Tecnothon (nato nel 1994), l'istituto che provvede a sviluppare e implementare ausili tecnologici per le persone disabili. Nell'anno 2003-2004 il Tecnothon ha ricevuto un finanziamento di 400.000 Euro (si veda la sezione dedicata alla ricerca tecnologica a pagina XXX)

Le attività del TIGEM

Nel corso degli anni e con il progredire delle conoscenze in questo settore, l'interesse dei ricercatori TIGEM, inizialmente focalizzato sulla identificazione dei geni, 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 cui questo gene difettoso porta alla manifestazione della patologia. Soltanto attraverso la conoscenza dei processi biologici alla base delle malattie genetiche si potrà giungere allo sviluppo di nuove strategie per la terapia e la cura.

Il TIGEM (Telethon Institute of Genetics and Medicine), il centro dedicato all'identificazione dei geni responsabili di malattie genetiche nell'uomo, è uno dei punti di riferimento per la ricerca nazionale ed internazionale sulle malattie genetiche

Il TIGEM, sotto la direzione scientifica del professor Andrea Ballabio, è un punto di riferimento affermato non solo per la ricerca italiana ma anche per quella internazionale. Precedentemente situato presso il San Raffaele di Milano, da quattro anni ha sede a Napoli ed è ospitato presso l'Area della Ricerca Napoli 1 del CNR occupando uno spazio pari a circa 1.500 mq. Per questi locali il CNR non richiede il pagamento dell'affitto e al TIGEM vengono addebitati solo i costi delle utenze di sua pertinenza.

La posizione geografica del TIGEM ha reso 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.

TIGEM, da quando si è stabilito a Napoli, è stato riconosciuto sede di svolgimento di dottorati di ricerca sia da parte dell'Università di Napoli "Federico II" che da parte della Seconda Università di Napoli. Durante l'ultimo anno, presso l'istituto, sono state attivate nuove posizioni. Oggi, 17 persone svolgono presso il TIGEM il loro corso di Dottorato di Ricerca in Genetica. Anche la Open University, un'università inglese, ha riconosciuto il TIGEM come sede di svolgimento di PhD: 4 ricercatori sono stati inseriti in questo programma.

Attualmente sono presenti 6 laboratori che ospitano in tutto 17 gruppi di ricerca e 127 persone (Figura 22). Vengono svolti 40 progetti di ricerca su patologie umane di origine genetica e sono 10 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.

Seguendo una specifica indicazione della Commissione di site visit, il TIGEM si è dotato di un organo di indirizzo scientifico, l'External Advisory Board (EAB) composto principalmente da ricercatori stranieri di eccellente livello scientifico, esperti nei settori di interesse per l'istituto. L'EAB si riunisce con cadenza annuale ed è di ausilio alla direzione scientifica dell'istituto nelle scelte strategiche e nella programmazione scientifica di medio e lungo termine.

Il TIGEM ha concluso al 30 giugno 2004 il suo decimo anno di esistenza. 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 il TIGEM presenta, quindi, alla Commissione Medico-Scientifica di Telethon i risultati ottenuti nel periodo passato e il programma per il nuovo triennio.

TIGEM	
Dipendenti	24
Collaboratori	29
Professionisti	3
Borsisti	71
Totale personale	127
Uomini	46
Donne	81
Diplomati	42
Laureati	85
Età media	33
Group leader	17
Ricercatori junior e tecnici	98
Personale amministrativo	12

TIGEM: funzioni del personale

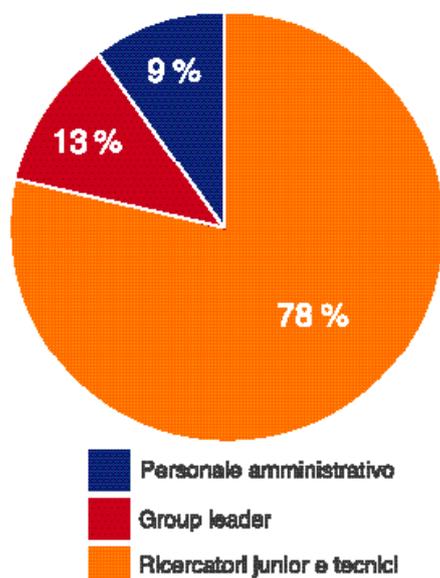


Figura 22. Il personale del TIGEM

L'ultimo processo di revisione è avvenuto a giugno 2003 (quindi nel corso dell'esercizio precedente) per il triennio che va da luglio 2003 a giugno 2006. Nel corso del presente esercizio è stato deliberato l'importo relativo all'annualità luglio 2004 – giugno 2005 pari a 2.550.000 Euro. Sempre nel corso di questo esercizio sono stati deliberati ulteriori fondi per progetti presentati al di fuori del finanziamento triennale: 88.600 Euro per il progetto denominato: "TRAP-FLIP: A novel gene trap approach that allows allelic exchange", il cui responsabile scientifico è il Professore A. Ballabio, e 54.742 Euro per il progetto "Non-muscle myosin IIA: from gene mutations to illnesses" progetto multicentrico a cui la Dottoressa A. Savoia partecipa in qualità di responsabile di un centro satellite.

Finanziamenti da Enti Esterni. Da molti anni TIGEM riceve finanziamenti anche da altri enti principalmente per lo svolgimento di progetti di ricerca, ma anche come supporto ai costi della struttura (figura 23). Nel presente esercizio, oltre al rinnovo dei fondi ottenuti negli anni passati, il TIGEM ha ottenuto altri nuovi contributi da:

National Institute of Health (NIH, USA), Associazione Italiana per la Ricerca sul Cancro (AIRC), Muscular Dystrophy Association (MDA, USA), Commissione Europea attraverso il 6° Programma Quadro, European Molecular Biology Organisation (EMBO), Ministero dell'Istruzione Università e Ricerca attraverso i fondi FIRB, National Mucopolysaccharidoses Society (MPS Society, USA), European Science Foundation, Fondazione Mariani, Fondazione Berlucci e Regione Campania sia attraverso la legge regionale 5/2002 che all'interno del Piano Operativo Regionale (POR).

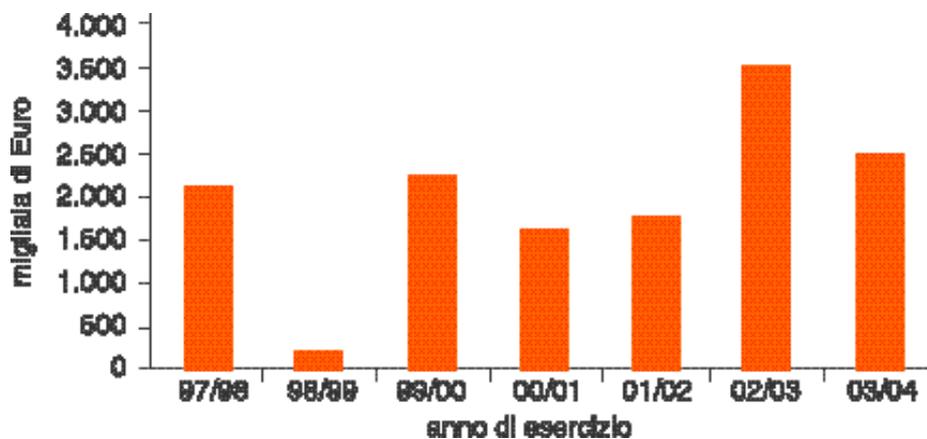


Figura 23. I fondi esterni del TIGEM, in migliaia di Euro, negli ultimi 7 anni

I fondi così ottenuti dagli enti esterni hanno costituito un volano di crescita per l'istituto TIGEM permettendo la copertura dei relativi costi. Dalla figura 24 si può notare, infatti, come tali oneri siano aumentati nel tempo e come si sia fatto fronte per la loro copertura ai finanziamenti esterni, mantenendo allo stesso tempo stabili gli impieghi di Telethon

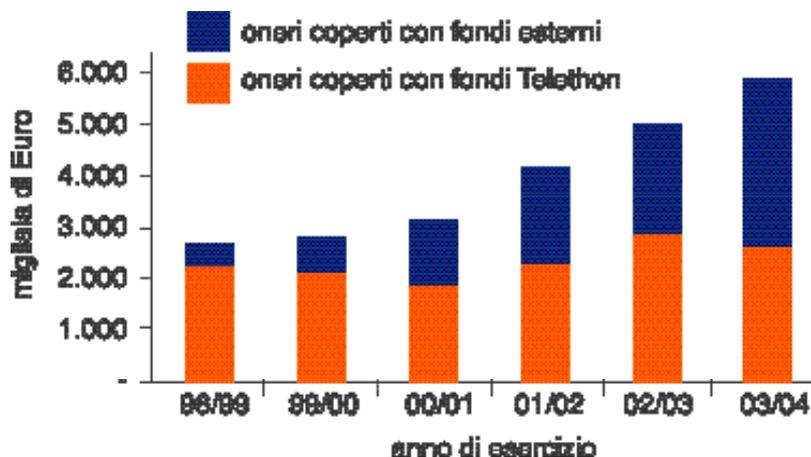


Figura 24. Gli oneri di funzionamento del TIGEM negli anni e loro copertura attraverso fondi Telethon e fondi esterni.

Per quel che riguarda la gestione del budget, ogni singolo progetto costituisce un centro di costo. L'ottimizzazione degli strumenti informatici permette di svolgere questa attività in modo corretto ed economico e permette di attribuire i costi alle singole linee di ricerca con una sempre maggiore precisione.

I ricercatori responsabili dei progetti sono, così, informati periodicamente dello stato dei loro fondi.

Le attività dell'HSR-TIGET

L'istituto HSR-TIGET, sotto la co-direzione di Maria Grazia Roncarolo e Luigi Naldini, rappresenta il più grande investimento di Telethon in terapia genica, l'area di ricerca che mira all'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, i ricercatori sono impegnati in progetti d'avanguardia che riguardano lo studio e la messa a punto di vettori lentivirali, "proiettili biologici" capaci di portare all'interno delle cellule il gene sano, particolarmente efficienti e versatili per la terapia genica.

L'HSR-TIGET è composto da due unità. La prima, da sempre attiva, è dedicata ai progetti di ricerca preclinica per la terapia genica di malattie genetiche. L'altra, nata nel 2000, è l'Unità di Ricerca Clinica (CRU) ha l'obiettivo di effettuare studi clinici per testare l'efficacia delle terapie. È proprio all'interno di quest'ultima che sono stati trattati i primi 5 pazienti. Questo trattamento ha consentito la correzione del difetto genetico alla base della grave immunodeficienza congenita di cui erano portatori.

L'HSR-TIGET è un'iniziativa congiunta di Telethon e della Fondazione San Raffaele del Monte Tabor ed è situato all'interno del Dipartimento di Biotecnologie dell'Istituto scientifico San Raffaele occupando uno spazio di 765 mq.

L'Istituto Scientifico San Raffaele rappresenta l'ambiente ideale per questa iniziativa in quanto struttura particolarmente focalizzata sullo sviluppo della medicina molecolare e dove operano importanti gruppi di ricerca sulle cellule staminali.

Il personale dell'istituto HSR-TIGET è composto da 66 persone tra ricercatori, tecnici e personale amministrativo. Ad eccezione del Direttore e del Co-Direttore, tutto il personale è pagato direttamente dalla Fondazione San Raffaele del Monte Tabor. I progetti attivi sono 13; presso l'HSR-TIGET vengono svolti anche corsi di dottorato e tirocini formativi.

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

HSR-TIGET	
Direttori e group leader	7
Ricercatori junior, tecnici e dottoranti	55
Personale amministrativo	4
Totale	127

HSR-TIGET: funzioni del personale

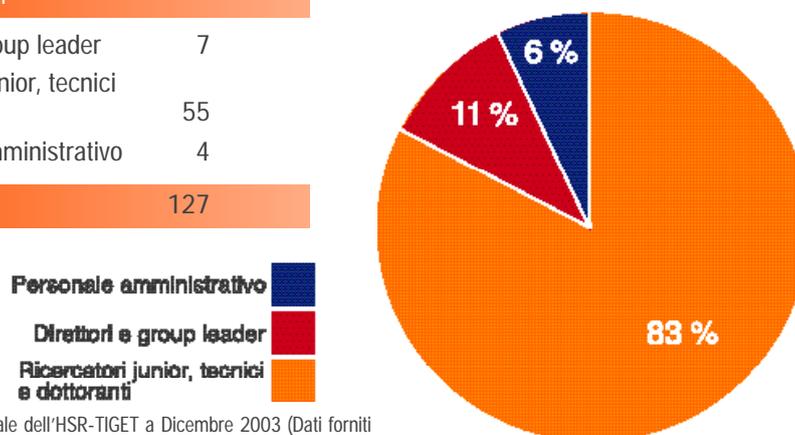


Figura 25. Il personale dell'HSR-TIGET a Dicembre 2003 (Dati forniti dalla direzione scientifica dell'HSR-TIGET)

A gennaio del 2004 l'HSR-TIGET ha iniziato il suo 10° anno di esistenza.

Dalla sua nascita l'istituto HSR-TIGET ha ottenuto da Telethon finanziamenti triennali secondo la procedura di revisione descritta nella sezione relativa alla valutazione degli istituti di ricerca interna (pag. 27). L'ultima valutazione è avvenuta a novembre 2002 per il triennio che è iniziato a gennaio 2003 e termina a dicembre 2005. Nel corso di questo esercizio è stato deliberato l'importo relativo alla seconda annualità sia relativamente ai progetti di ricerca, 1.384.548 Euro, che all'unità di ricerca clinica, 1.107.770 Euro, per un totale di 2.492.318 Euro.

Secondo l'accordo, ormai consolidato, tra Telethon e il San Raffaele di Milano i fondi di cui usufruisce l'HSR-TIGET per lo svolgimento dei progetti di ricerca sono ripartiti a metà tra i due enti. Questo vuol dire che il San Raffaele mette a disposizione per questo scopo una cifra equivalente a quanto disposto da Telethon. Per quanto riguarda l'unità di ricerca clinica, la situazione è differente in quanto Telethon si fa carico di più del 60% dei fondi richiesti.

In aggiunta l'HSR-TIGET riceve anche finanziamenti esterni da altri enti. Tra questi figurano: la Commissione Europea, il Ministero dell'Istruzione, Università e Ricerca attraverso i fondi FIRB e l'Istituto Superiore di Sanità (dati forniti dalla direzione scientifica dell'HSR-TIGET). Inoltre l'HSR-TIGET ha ottenuto finanziamenti attraverso i programmi congiunti di Telethon e la Juvenile Diabetes Research Foundation (JDRF) e di Telethon e la Association Francaise contre le Miopathyes (AFM) (per i dettagli su queste tipologie di finanziamenti si veda "Cofinanziamenti Telethon alla ricerca Esterna", pag. 33).

I fondi di cui dispone l'HSR-TIGET sono gestiti dalla Fondazione San Raffaele che periodicamente sottopone a Telethon il rendiconto sull'utilizzo dei fondi.

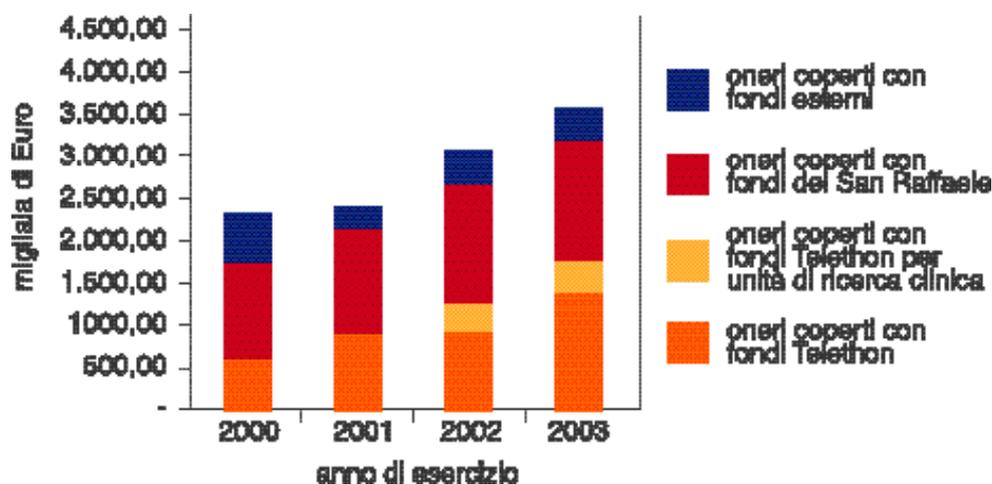


Figura 26.(*) Gli oneri di funzionamento dell'HSR-TIGET negli anni e loro copertura sia attraverso i fondi Telethon che fondi esterni (dati forniti dalla Direzione Scientifica dell'HSR - TIGET)

Le attività del DTI

Il Progetto Carriere Telethon

Ha come obiettivo la creazione, nel nostro Paese, di posizioni di carriera potenzialmente a lungo termine per ricercatori di grande qualità che svolgano la loro attività scientifica nel campo delle malattie genetiche. Nato con lo scopo di puntare più sul ricercatore che sul solo progetto, il programma sostiene dunque numerosi ricercatori operanti in diverse zone d'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, il Dulbecco Telethon Institute (DTI), il cui nome è stato dato in onore del Premio Nobel Renato Dulbecco. Il professor Dulbecco, infatti, decise nel 1999 di devolvere a Telethon il proprio compenso per la partecipazione al Festival di Sanremo proprio per iniziative di questo tipo.

Il Dulbecco Telethon Institute (DTI) è il frutto del “Progetto Carriere Telethon” ed è un istituto virtuale composto da ricercatori di grande qualità che svolgono la loro attività scientifica nel campo delle malattie genetiche

Il Dulbecco Telethon Institute

Il Dulbecco Telethon Institute è quindi il frutto del Progetto Carriere Telethon, ed è un istituto virtuale composto da scienziati direttamente ingaggiati dalla Fondazione Telethon e attivi presso istituti di ricerca italiani pubblici e privati non profit

I livelli di carriera all'interno del DTI sono 3 (Figura 27): Assistant, Associate e Senior Telethon Scientist, a seconda dell'esperienza e del merito dei candidati valutati attraverso un sistema di peer review.

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 di salario annuo • 282.000 totali di grant di ricerca 	5 anni	467.000
Associate Telethon Scientists (per scienziati con esperienza non inferiore a 5-10 anni ed in grado di condurre ricerca indipendente)	<ul style="list-style-type: none"> • 58.000 di salario annuo • 532.000 totali di grant di ricerca • 25.000 totali come starting grant • 	5 anni	847.000
Senior Telethon Scientists (scienziati al più alto livello della produzione scientifica)	<ul style="list-style-type: none"> • 85.000 di salario annuo • 1.250.000 totali di grant di ricerca 	5 anni	1.675.000

Figura 27. Lo schema del Progetto Carriere Telethon

La Fondazione considera i ricercatori del Dulbecco Telethon Institute 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 collaborazione 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 trattenendo un overhead (il 10% dell'assegnazione per il progetto di ricerca) per la copertura dei costi generali di struttura.

La valutazione delle candidature, che pervengono a Telethon attraverso un bando di concorso specifico, avviene secondo i criteri del peer review. A partire dal bando del 2002, oltre alla revisione scritta da parte di almeno 4 revisori, è stato introdotto un colloquio personale con i candidati più meritevoli, che sono invitati a discutere dei vari aspetti della loro ricerca e del loro inserimento nell'istituto ospitante.

Il DTI ha acquisito, nel corso del presente esercizio, tre nuovi ricercatori. La selezione di questi scienziati si è conclusa durante la sessione valutativa della Commissione Medico-Scientifica di Telethon nel novembre 2003 ed il Comitato Telethon Fondazione ONLUS ha deliberato l'assegnazione totale di 1.401.000 Euro.

La Fondazione ha avviato, quindi, le procedure per l'insediamento di questi ricercatori nelle istituzioni di ricerca da loro prescelte:

- la Fondazione San Raffaele del Monte Tabor di Milano (1 Assistant Telethon Scientist);
- il Dipartimento di Medicina Interna, Cardioangiologia e Epatologia dell'Università di Bologna (1 Assistant Telethon Scientist);
- il Dipartimento di Biologia Cellulare e dello Sviluppo dell'Università degli Studi di Palermo (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	17	14	3	1.401
Associate Telethon Scientist	1	0	0	0	0
Telethon Scientist	1	0	0	0	0
Totale	7	17	14	3	1.401

Figura 28. Il Progetto Carriere Telethon - bando 2003

Altri fondi ancora, per un importo totale di 84.000 Euro, 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.

Ad oggi i Telethon Scientist sono 23, come indicato nella tabella qui di seguito. La tabella indica anche le aree di ricerca di ciascuno di loro (Figura 29).

RICERCATORI DTI ATTIVI AL 30 GIUGNO 2004

Associate Telethon Scientis

Valerio Orlando Epigenetica e Riprogrammazione del Menoma

Assistant Telethon Scientists

Daniela Barilà	Malattie neurodegenerative (atassia 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)
Maria Capovilla	Cardiopatie congenite
Francesco Cecconi	Malattie neurodegenerative
Roberto Chiesa	Malattie neurodegenerative (malattie famigliari da prioni)
Davide Corona	Sindrome di Williams Beuren e rimodellamentodella cromatina
Andrea Daga	Malattie neurodegenerative (distonia da torsione, sindrome di Leigh, paraplegia spastica)
Francesca Fanelli	Studi strutturali di proteine
Manolis Fanto	Atrofia dentatorubropallidoluisiana (malattie neurodegenerative)
Margherita Maffei	Obesità
Giorgio Merlo S	viluppo 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 Rampoldi	Malattie cistiche renali
Luca Scorrano	Atrofia ottica dominante (malattie mitocondriali)
Maria Pia Sperandeo	Intolleranza alle proteine con lisinuria
Manuela Zaccolo	Malattie neuromuscolari (cardiomiopatia ipertrofica)

Figura 29. L'elenco dei ricercatori del DTI attivi al 30 giugno 2004 .

In totale 67 persone lavorano all'interno dell'istituto virtuale del DTI (Figura 30) e vengono tutte pagate da Telethon.

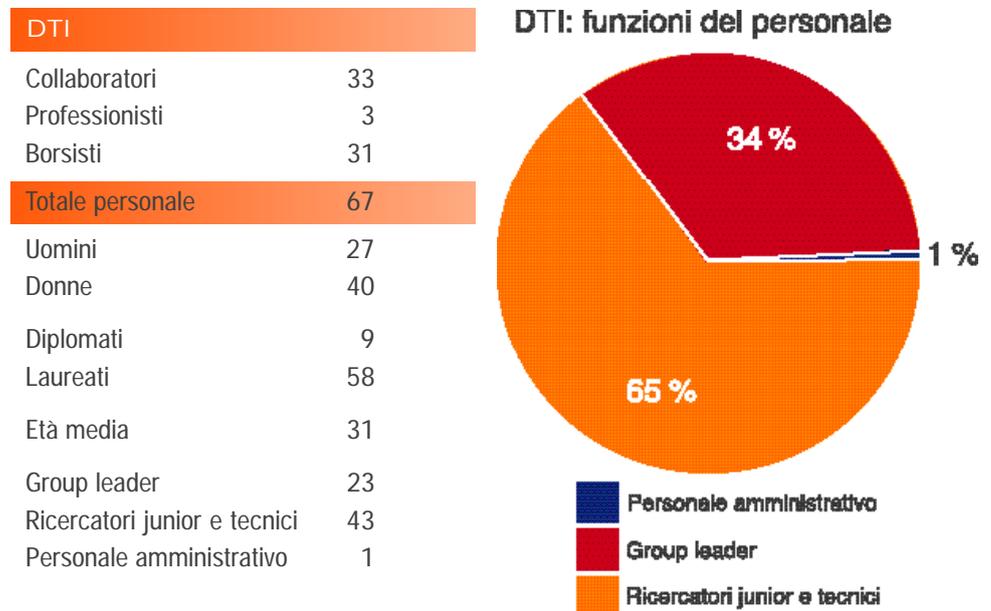


Figura 30 .La suddivisione del personale del DTI per funzione

Si segnala, inoltre, che l'impegno del DTI nel presentare progetti per ottenere fondi aggiuntivi - iniziato nel corso del precedente esercizio - si è fortemente ampliato portando all'istituto un notevole incremento di fondi per un totale di 3.048.218 Euro.

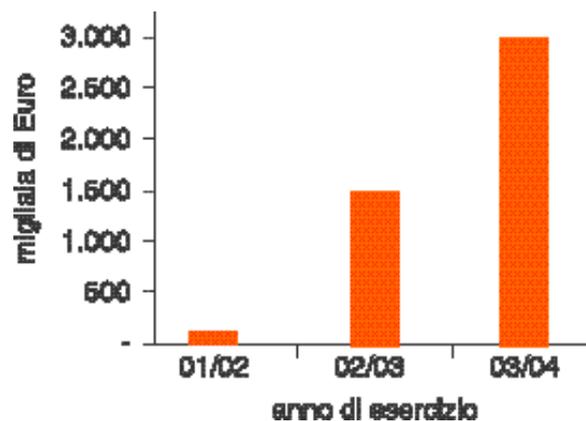


Figura 31. Il finanziamento esterno del DTI negli ultimi tre anni

Tra questi di particolare rilievo è il finanziamento della Compagnia di San Paolo (732.000 Euro) che supporta progetti di collaborazione tra i vari laboratori del DTI allo scopo di creare una sempre maggior coesione attraverso linee di ricerca trasversali.

Un altro finanziamento molto importante (1.307.005 Euro) è stato ottenuto dalla Commissione

Europea attraverso l'azione Maire Curie – Excellence Grants; altri ancora vengono dal Ministero dell'Istruzione Università e Ricerca all'interno del programma FIRB, dalla Fondazione Cariplo, dalla Muscular Dystrophy Association (MDA, USA), dall'Associazione Italiana per la Ricerca sul Cancro (AIRC), dalla European Molecular Biology Organization (EMBO), dal National Institute of Health (NIH, USA), dalla Newron, dall'Istituto Superiore di Sanità.

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 36).

La crescita dell'istituto ed il crescente impegno dedicato dagli uffici amministrativi della Fondazione Telethon sono testimoniati anche dall'aumento degli oneri sostenuti nel corso degli anni (figura 32).

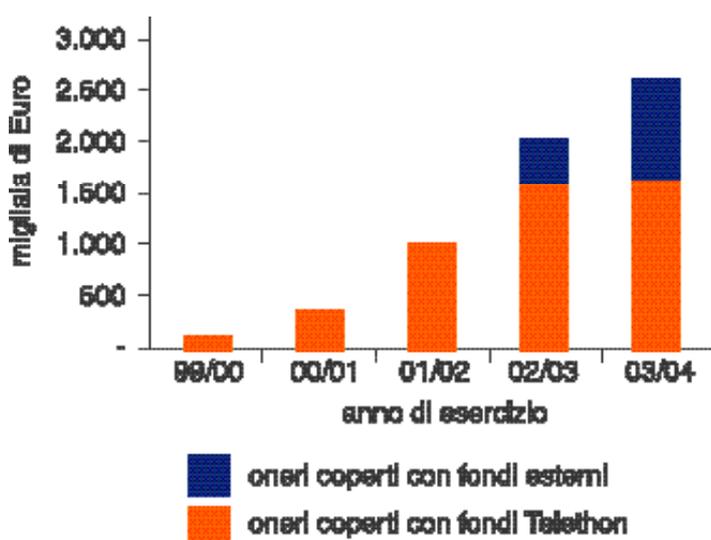


Figura 32. Gli oneri di funzionamento del DTI negli anni e loro copertura attraverso i fondi Telethon e i fondi esterni.

La ricerca tecnologica

Se la ricerca biomedica di Telethon si concentra sullo studio delle malattie genetiche, la ricerca tecnologica vuole aiutare le persone disabili (non solo a seguito di malattie genetiche, ma anche di altre cause patologiche) nella loro vita quotidiana, privata e sociale. Tecnothon è il laboratorio dove vengono sviluppati e implementati i progetti di ausilio tecnologico per l'handicap e ha sede a Sarcedo (Vicenza).

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

LA MISSIONE DEL TECNOTHON

Vogliamo agevolare e migliorare la qualità della vita delle persone anziane o in difficoltà e dei loro familiari, favorendo l'autonomia, in ogni situazione, ventiquattro ore su ventiquattro;

La nostra ricerca vuole anticipare soluzioni innovative, in grado di stimolare dibattiti culturali, sensibilizzando sulla realtà e le esigenze della persona con disabilità, e di orientare la cultura industriale, finalizzandola ad una progettazione che sia realmente per tutti.

All'interno del laboratorio lavorano 9 persone, di cui 3 ricercatori, 4 tecnici e 2 amministrativi (Figura 33).

TECNOTHON	
Dipendenti	6
Collaboratori	1
Professionisti	2
Borsisti	0
Totale personale	9
Uomini	7
Donne	2
Diplomati	5
Laureati	4
Età media	40
Personale amministrativo	2
Personale di ricerca	5
Tecnici	2

TECNOTHON: funzioni del personale

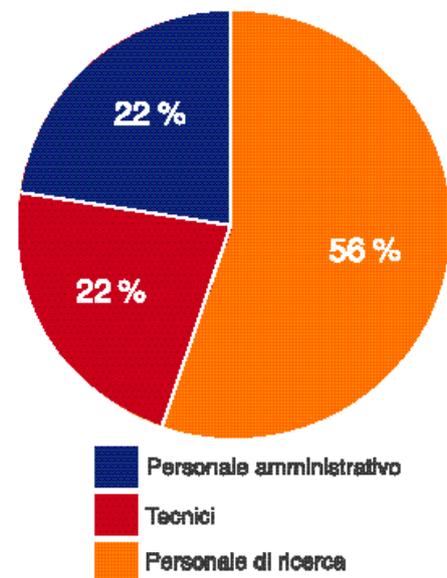


Figura 22. Il personale del TIGEM

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 34). Questo laboratorio, come gli isti-

tuti TIGEM e HSR-TIGET, è entrato a far parte delle attività gestite dalla Fondazione Telethon.



A dicembre 2003, il Consiglio di Amministrazione della Fondazione ha deliberato lo stanziamento di 400.000 Euro per le attività del laboratorio da gennaio 2004 a giugno 2005. Tecnothon riceve anche finanziamenti da enti 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 Attività del laboratorio a partire da luglio 2003. Al 30 giugno 2004 la Regione Veneto ha stanziato il 50% del finanziamento assegnato.

I RISULTATI DEL TECNOTHON (2003-2004)

La carrozzina elettronica Rampega è stata sottoposta ad un crash test presso il Centro Sicurezza Fiat. I riscontri sono stati molto positivi. Attualmente la carrozzina è in produzione presso la ditta Vassilli di Padova, corredata di attacco a terra per ancorarla al pianale di un autoveicolo.

Il letto Nontikiamo, che permette lo spostamento su di un fianco per chi non sia in grado di mutare autonomamente la propria posizione durante il riposo, è stato migliorato nella sua funzionalità ed è stato depositato un nuovo brevetto. La ditta Favero Health Projects sta provvedendo alla industrializzazione dell'ausilio e mira ad apporre al prodotto il marchio IMQ (Istituto del Marchio di Qualità).

I vertici della ditta SEA - Elnagh (leader europeo nella produzione di Camper) hanno contattato il Laboratorio Tecnothon chiedendo una consulenza per la progettazione di un Camper per Tutti. Tecnothon ha presentato un progetto che Elnagh ha realizzato ed esposto in varie occasioni (Exposanità a Bologna, manifestazione Plein Air a Roma, Mondo Natura a Rimini e REHA a Dusseldorf). Nel 2005 sarà possibile acquistare il Camper per Tutti.

WELL-TECH seleziona annualmente sessanta prodotti che si sono distinti per innovazione tecnologica che migliora la qualità della vita, con particolare attenzione agli aspetti di sostenibilità e accessibilità. Il sistema di guida progettato da Tecnothon è stato selezionato ed esposto al Museo della Scienza e della Tecnologia a Milano.

I risultati della ricerca di Telethon

Ogni persona affetta da malattia genetica curata grazie alle ricerche Telethon costituisce il miglior risultato atteso. La messa a punto nei laboratori HSR-TIGET della prima terapia genica efficace e sicura ha permesso di curare cinque bambini affetti da una rara forma di immunodeficienza e rappresenta il risultato che meglio risponde alla missione di Telethon.

LA TERAPIA GENICA DELLE CELLULE STAMINALI CURA UNA GRAVE IMMUNODEFICIENZA

Successo di Telethon

Telethon ha finanziato studi di terapia genica sin dagli inizi e per oltre 10 anni ha seguito e sostenuto questa ricerca anche quando la terapia genica veniva messa in discussione dubitando che avrebbe mai portato ad un successo terapeutico.

Nel 2002, tuttavia, Telethon ha raggiunto il primo successo al mondo per la terapia genica di una immunodeficienza combinata grave, chiamata ADA-SCID.

Da allora cinque bambini affetti sono stati sottoposti al trattamento e oggi godono di ottima salute.

Gli studi, nati dalle ricerche di Claudio Bordignon, sono stati realizzati dall'Istituto Telethon per la Terapia Genica (HSR-TIGET), guidato da Maria Grazia Roncarolo.

Questo risultato non sarebbe stato possibile senza l'ingente contributo di Telethon (12 milioni di Euro in dieci anni) che partecipa al finanziamento, alla gestione ed allo sviluppo dell'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 tre anni di distanza, tutti i diversi tipi di cellule del sangue. 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).

Moltissimi progetti Telethon riguardano studi che permettono l'avanzamento verso la cura, ma non coinvolgono ancora i pazienti. In questi casi, una valutazione accurata e attendibile della qualità della produzione scientifica deve essere affidata a scienziati esperti nel campo specifico di ogni ricerca in esame. Poiché questo processo non è sempre possibile, è abitudine ricorrere ad indicatori della qualità delle pubblicazioni scientifiche chiamati indici bibliometrici, che tengono conto del prestigio delle riviste scientifiche su cui sono pubblicati i risultati delle ricerche, o dell'impatto sulla comunità scientifica della singola pubblicazione; i rispettivi indici sono il fattore di impatto (impact factor) e l'indice di citazione (citation index) (vedi box). Telethon applica questi parametri alle pubblicazioni delle ricerche che ha finanziato.

GLI INDICI BIBLIOMETRICI: IMPACT FACTOR E CITATION INDEX PER UNA VALUTAZIONE PIÙ OGGETTIVA DELLA RICERCA

Gli indici bibliometrici si basano principalmente sul conteggio delle citazioni degli articoli scientifici riportate in altre pubblicazioni scientifiche.

La citazione scientifica, ossia il richiamo ad un risultato pubblicato in precedenza, rappresenta una misura dell'impatto che quel risultato ha avuto sulla comunità scientifica. In altri termini, tanto più un articolo viene citato, tanto più è verosimile che quell'articolo abbia prodotto un effetto nel mondo scientifico, rappresentando la base di ricerche successive.

L'indice bibliometrico più rinomato ed utilizzato è l'impact factor, un numero che rappresenta quanto gli articoli di una rivista scientifica sono stati citati in media in un determinato periodo di tempo. L'impact factor dunque qualifica la rivista e non la singola pubblicazione. I valori di impact factor per tutte le riviste scientifiche sono pubblicati ogni anno sul Journal of Citation Research.

Poiché in genere tanto più una rivista gode di alto impact factor tanto più è stringente la selezione degli articoli ivi accettati per la pubblicazione, nella comunità scientifica si usa transitivamente l'impact factor come indice del valore dei singoli lavori pubblicati su quella rivista. Tuttavia, per misurare correttamente l'impatto di un singolo articolo, occorre utilizzare il citation index, cioè il numero di citazioni ottenute da quel lavoro. Il calcolo del citation index deve però essere commissionato all'Institute for Scientific Information (Thomson ISI); per questo motivo, questo indice bibliometrico è usato con minore frequenza.

I risultati scientifici delle ricerche finanziate da Telethon sono frutto di studi a tutti i livelli della ricerca sulle malattie genetiche, dall'identificazione e studio di funzione del gene-malattia, alla sperimentazione preclinica di nuove terapie (figura 5.).

Questi risultati sono documentati dalle numerose pubblicazioni su riviste internazionali: più di 4.500 lavori dalla nascita di Telethon ad oggi.

Nell'anno in esame, i ricercatori finanziati da Telethon hanno pubblicato quasi 500 lavori con un valore medio di impact factor pari a 6.5. La distribuzione delle pubblicazioni è riportata nella tabella successiva .

Tipo di progetto	numero di pubblicazioni	impact factor totale	impact factor medio
Ricerca esterna (progetti di ricerca, servizi alla ricerca, borse di studio)	411	2652,078	6,453
TIGEM	36	217,898	6,053
HSR-TIGET	15	82,285	5,486
DTI	31	247,976	7,999

Figura 35. Le pubblicazioni Telethon, luglio 2003 – giugno 2004

Per avere una valutazione complessiva delle pubblicazioni 2003-2004, possiamo prendere in considerazione il valore soglia di impact factor che separa il 5% delle riviste più prestigiose dalle rimanenti. Per il 2003, questo valore è pari a 4,629. Il 60% delle pubblicazioni Telethon 2003-2004 si attesta al di sopra di tale soglia, secondo la distribuzione illustrata nella figura 36.

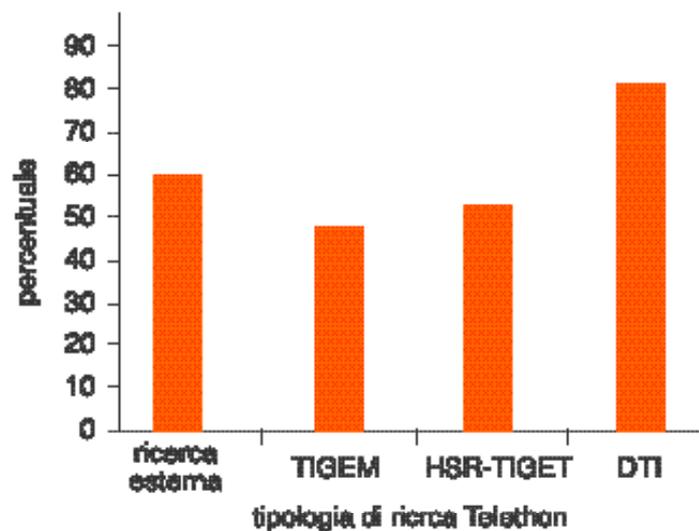


Figura 36. Percentuali delle pubblicazioni Telethon tra il luglio 2003 e il giugno 2004 pubblicate in riviste con impact factor nella fascia del 5% più elevato.

Telethon ha chiesto all'istituto ISI-Thomson di fornire i citation index delle pubblicazioni dei propri ricercatori. Questo ha richiesto la compilazione di una banca dati che raccogliesse tutte le referenze bibliografiche dei lavori Telethon. La banca dati è stata completata di recente e sarà corredata dai valori di citation index nei primi mesi del 2005; Telethon li pubblicherà nella prossima edizione del Bilancio di missione.

I PRINCIPALI RISULTATI 2003-2004

Alcuni dei risultati più rilevanti dei progetti Telethon per l'anno in corso, pubblicati su prestigiose riviste scientifiche internazionali, sono riassunti qui sotto, raggruppati a seconda dell'ordine delle tappe della ricerca illustrate nella figura 5 a pagina xx.

1. Identificazione del difetto genetico

- Trovato il secondo gene i cui difetti sono responsabili di alcuni casi di sindrome emolitica uremica ereditaria (SEU), una rara forma di insufficienza renale acuta nel bambino. Si chiama MCP e i pazienti che portano alterazioni in questo gene hanno la possibilità di fare un trapianto di rene in grado di correggere definitivamente il difetto genetico e curare i sintomi della malattia.

Noris M et al. *The Lancet*, November 8th 2003; 362:1542-1547
 Titolare del progetto: Jessica Caprioli, Istituto di ricerche farmacologiche Mario Negri, Bergamo
- Scoperto il sesto gene responsabile della sordità ereditaria da parte dello stesso team di scienziati il cui impegno, da tempo, è volto alla comprensione dei meccanismi della perdita di udito, e che ha portato negli ultimi anni alla scoperta degli altri 5 geni legati alla patologia che colpisce un individuo ogni 1.500 nati. Il gene questa volta si chiama MYH14 o miosina 2c ed è localizzato sul cromosoma 19 in una regione identificata come responsabile di alcune forme di sordità a eredità cosiddetta dominante.

Donaudy et al. *Am J Hum Genet.* 2004 Apr;74(4):770-6
 Ricerca interna: TIGEM; responsabile della ricerca: Paolo Gasparini
- Scoperto un nuovo gene responsabile di una forma di malattia di Parkinson a esordio giovanile e trasmissione recessiva. Si chiama PINK1 e potrebbe svolgere un ruolo rilevante nel mantenere una corretta funzione mitocondriale e nel proteggere i neuroni da condizioni di stress, come ad esempio lo stress ossidativo

Valente EM et al. *Science.* 2004 May 21;304(5674):1158-60
 Titolare del progetto: Enza Maria Valente, Istituto CSS Mendel, Roma
- Trovato il gene che se difettoso è responsabile di una malattia ereditaria chiamata EE, che sta per ethylmalonic encephalopathy, o encefalopatia etilmalonica, una grave malattia metabolica scoperta e caratterizzata più di 10 anni fa da pediatri italiani. Si chiama ETHE1 e produce una proteina localizzata nei mitocondri, le "centrali energetiche" all'interno della cellula.

Tiranti V et al. *Am J Hum Genet.* 2004 Feb;74(2):239-52
 Titolare del progetto: Massimo Zeviani, Istituto Nazionale Neurologico "Carlo Besta". Milano

- Identificata la causa genetica della sindrome del QT lungo di tipo 4, la malattia caratterizzata da aritmie cardiache che a causa di un guasto nel circuito elettrico del cuore provoca un ritardo nel processo di ripolarizzazione, cioè di “ricarica” delle cellule cardiache dopo ogni battito. Si tratta di una proteina chiamata anchirina-B che, se difettosa, impedisce il corretto funzionamento di altre proteine-canali per gli ioni sodio, calcio e potassio nelle cellule cardiache.

Mohler PJ et al. Proc Natl Acad Sci U S A. 2004 Jun 15;101(24):9137-42

Titolare del progetto: Silvia Priori, IRCCS Fondazione Salvatore Maugeri, Pavia

2. Studio del meccanismo

- Nel muscolo scheletrico alcune sostanze note come “inibitori delle deacetilasi” favoriscono il reclutamento e la fusione delle cellule muscolari immature perché si organizzino in fibre muscolari mature attraverso l’attivazione di follistatina. Sfruttando tali sostanze diventa così possibile indurre e promuovere la rigenerazione muscolare.

lezzi S et al. Dev Cell. 2004 May;6(5):673-84

Ricerca interna: DTI; Titolare del progetto: Pier Lorenzo Puri

- Più chiari i meccanismi alla base di malattie genetiche dovute alla mancata riparazione dei danni al DNA. Grazie al contributo di Telethon oggi si conosce meglio come i “meccanici” della cellula (le proteine) riparano i guasti della “macchina” (il DNA) e come interagiscono con le “sentinelle” che ne controllano l’integrità. Ci sono situazioni in cui scarseggiano i meccanismi, le “officine di riparazione” del DNA non funzionano in modo corretto e le lesioni restano come nel caso di alcune malattie genetiche rare: lo xeroderma pigmentosum (XP), la sindrome di Cockayne (CS) e la tricotiodistrofia.

Giannattasio M et al., EMBO J. 2004 Jan 28;23(2):429-38

Titolare del progetto: Marco Muzi-Falconi, Università degli Studi di Milano, Milano

- La degenerazione degli assoni che precede la morte delle cellule nervose, come succede nella paraplegia spastica ereditaria, dipende da anomalie dei mitocondri, le “centrali energetiche” della cellula, e da errori nel trasporto lungo l’assone stesso. Una terapia farmacologica messa in atto per tempo potrebbe prevenire i danni alle cellule nervose che collegano i muscoli al cervello.

Ferreirinha F et al. J Clin Invest. 2004 Jan;113(2):231-42

Ricerca interna: TIGEM; titolare del progetto: Elena Rugarli.

- Muscoli resi più forti e potenti grazie a un vero e proprio “megafono molecolare”, un segnale biochimico che chiama a raccolta le cellule staminali in circolazione nel sangue, perché queste rigenerino il tessuto muscolare. A due anni dalla scoperta che il gene *mlgf1* può trasformare topi anziani in topi Schwarzenegger, restituendo tonicità ai loro muscoli, adesso si è scoperto perché, grazie al fattore *mlgf1*, i muscoli invecchiati ritrovano vigore e quelli indeboliti dalla distrofia si rigenerano.

Musarò A et al. Proc Natl Acad Sci U S A. 2004 Feb 3;101(5):1206-10

Titolare del progetto: Antonio Musarò, Università di Roma "La Sapienza", Roma

- La scoperta di nuovi meccanismi legati al "traffico intracellulare" aiuterà a comprendere i meccanismi della sindrome oculo-cerebro-renale di Lowe. L'interesse del gruppo di ricercatori guidato dalla De Matteis per la Sindrome di Lowe non si ferma agli aspetti strettamente scientifici: grazie al sostegno di Telethon e insieme alle famiglie italiane con bambini affetti dalla malattia, sono riusciti a creare l'Associazione Italiana della Sindrome di Lowe (AISLO) che dal maggio 2002 raccoglie famiglie, specialisti e ricercatori di base.

Godi A et al. Nature Cell Biology 2004 May;6(5):393-404; De Matteis MA

Godi A. Nature Cell Biology 2004 June;6(6):487-492

Titolari dei progetti: M. Antonietta De Matteis e Anna Godi, Consorzio Mario Negri Sud, Santa Maria Imbaro, Chieti

4. Ricerca preclinica in vivo

- Un farmaco utilizzato nel modello animale della distrofia muscolare di Duchenne è in grado di fermare gli "spazzini" della cellula mantenendo la versione alterata della distrofina che può così contribuire al funzionamento della fibra muscolare ed evitare i danni provocati dalla sua totale assenza.

Bonuccelli G et al. 2003. Am. J. Pathol., Vol. 163, 1663-1675

Titolare del progetto: Carlo Minetti, Istituto pediatrico G. Gaslini, Università di Genova, Genova

- Curate in modelli animali altre due forme di distrofia. Si tratta della miopatia di Bethlem e della distrofia di Ullrich, entrambe dipendenti dall'assenza di collagene. Somministrando ai topolini un farmaco già utilizzato per altri scopi i ricercatori sono riusciti a curare le lesioni ai muscoli impedendo la morte delle fibre muscolari.

Irwin WA et al. Nat Genet. 2003 Dec;35(4):367-71

Titolari dei progetti: Paolo Bonaldo e Paolo Bernardi, Università di Padova

- Messa a punto presso l'HSR-TIGET una nuova strategia terapeutica per la leucodistrofia metacromatica, una malattia genetica che colpisce il sistema nervoso centrale e periferico causata dalla mancanza di un enzima, l'arilsolfatasi A (ARSA). Il nuovo metodo per il trasferimento del gene mancante nell'animale malato sfrutta le cellule staminali del sangue. Tali cellule infatti generano una progenie che trasporta il gene ai vari tessuti tra cui anche il cervello e i nervi. Una volta raggiunti questi tessuti, l'enzima prodotto compensa il difetto e previene lo sviluppo della malattia.

Biffi et al. J Clin Invest. 2004 Apr;113(8):1118-29

Ricerca interna:TIGET; titolare del progetto: Luigi Naldini

LA XII 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.

La XII Convention di Telethon si è tenuta presso il Palazzo dei Congressi di Riva del Garda nei giorni 23-25 novembre 2003, con la partecipazione di oltre 600 ricercatori. I lavori si sono alternati tra simposi di aggiornamento in seduta plenaria su malattie metaboliche, citogenetica, ritardo mentale e patologie del motoneurone, con coinvolgimento di alcuni ospiti stranieri e ricercatori Telethon esperti dell'argomento, e sessioni di presentazione di poster. A tutti i ricercatori titolari di progetti in corso di finanziamento è richiesto, infatti, di presentare lo stato di avanzamento del proprio lavoro attraverso l'utilizzo di poster che ne riassumano gli aspetti fondamentali, e di dedicare parte della giornata alla discussione dei risultati con i colleghi.

Si ringrazia la Provincia autonoma di Trento che, anche quest'anno, ha offerto il proprio generoso contributo per sostenere l'organizzazione di questo importante appuntamento scientifico.

Gli atti del convegno, ovvero i temi trattati nei simposi ed il resoconto dei risultati più recenti di tutti i progetti in corso di finanziamento (circa 350) sono stati come sempre raccolti in un volume pubblicato da Telethon. Queste informazioni sono anche accessibili online alla pagina dedicata del sito web di Telethon (<http://www.telethon.it/ilmotoredellaricerca/>), progetti di ricerca in corso di finanziamento (circa 350), sono stati come sempre raccolti in un volume.

IL BILANCIO DI MISSIONE - Le attività di supporto

In questa sezione il bilancio si sofferma in modo particolare sulle attività di raccolta fondi e di comunicazione sociale, due attività “di supporto” perché strumentali al raggiungimento degli obiettivi istituzionali. Si tratta di attività che danno un importantissimo contributo alla vita di Telethon: la raccolta dei fondi assicura la continuità della ricerca e la comunicazione sociale sensibilizza e informa la collettività sul tema delle malattie genetiche. Ad essi si aggiungono la gestione delle risorse umane e finanziarie necessarie alla vita dell'ente e il funzionamento della struttura in cui rientra l'impegno amministrativo ed organizzativo generale di Telethon

La raccolta dei fondi

LA RACCOLTA FONDI DI TELETHON al 30 giugno 2004

La raccolta fondi di Telethon (operata in gran parte dal Comitato e in misura minore anche dalla Fondazione) risulta al 30 giugno 2004 di 27.841.135 Euro, con un incremento dell'8% rispetto all'anno precedente (25.793.624 Euro). I donatori di Telethon sono:

Privati cittadini	17.111.661 (di cui 294.049 Euro per disposizioni testamentarie)
Aziende	9.559.151
Pubbliche Amministrazioni	672.897
Fondazioni	365.000
Altro	132.426
<hr/>	
Totale (in Euro)	27.841.135

La raccolta fondi si compone ogni anno delle donazioni di cittadini, imprese e istituzioni. I risultati dimostrano la fiducia che la comunità civile ripone in Telethon

Totale entrate raccolta fondi al 30 giugno 2004

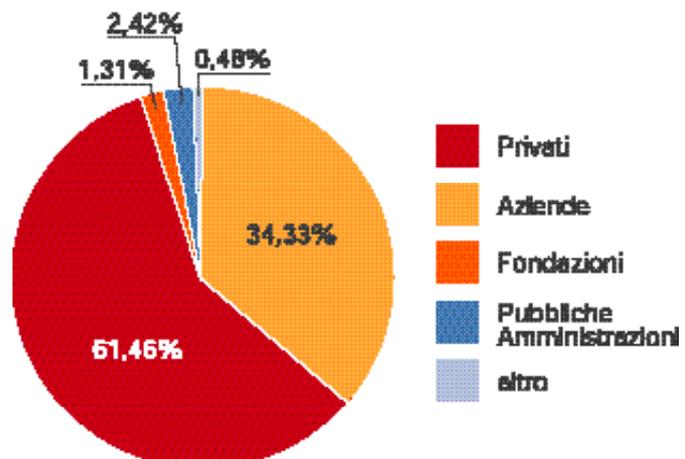


Figura 37. La ripartizione delle entrate complessive della raccolta fondi Telethon al 30 giugno 2004

LA RACCOLTA FONDI DEL COMITATO

Nel mese di dicembre 2003, 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 12 e il 13 dicembre sulle reti Rai, ha dato ottimi risultati grazie all'eccellente organizzazione di diversi canali di raccolta e al generoso contributo dei cittadini italiani.

In particolare:

Il totale delle entrate del Comitato Telethon Fondazione ONLUS al 30 giugno 2004 ammonta 24.365.129 Euro e rappresenta un aumento, rispetto all'anno precedente, dell'8%.

Totale delle entrate della raccolta fondi della Fondazione 30 giugno 2004

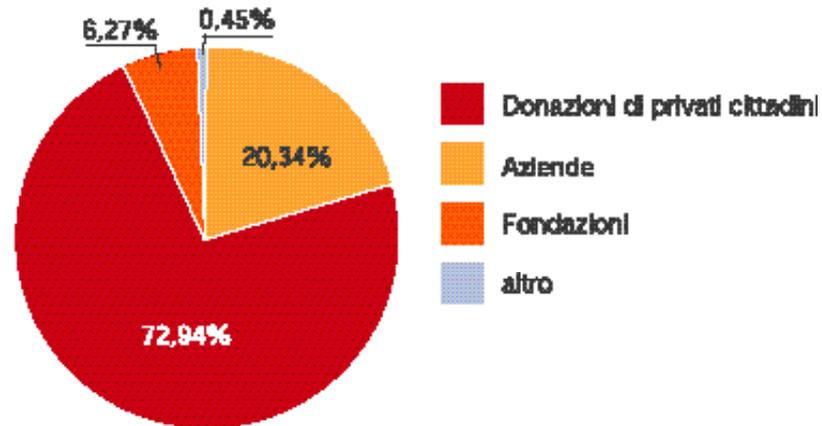


Figura 39. La ripartizione delle entrate della raccolta fondi della Fondazione al 30 giugno 2004

Donazioni da Privati cittadini	Euro 2.535.490 (di cui 294.049 Euro per disposizioni testamentarie)
Aziende	Euro 707.138
Fondazioni	Euro 217.807
Altro*	Euro 15.571
Totale	Euro 3.476.006

L'EFFICIENZA DELLA RACCOLTA FONDI DI TELETHON

Il risultato ottenuto dal rapporto tra oneri e proventi di raccolta fondi (Figura 40) esprime l'indice di efficienza della raccolta fondi di Telethon (Figura 41).

Proventi	Comitato Telethon	Fondazione Telethon	Aggregati
Proventi da "Maratona Televisiva"	23.881.035	2.876.311	26.757.346
Proventi da altre raccolte	484.094	599.695	1.083.789
Totale proventi raccolta fondi	24.365.129	3.476.006	27.841.135
Oneri			
Oneri maratona Telethon	(4.848.313)	(406.146)	(5.254.459)
Oneri altre raccolte	(98.280)		(98.280)
Totale oneri promozionali e di raccolta fondi	(4.946.593)	(406.146)	(5.352.739)

Figura 41. Proventi ed oneri della raccolta fondi al 30 giugno 2004 (in Euro)

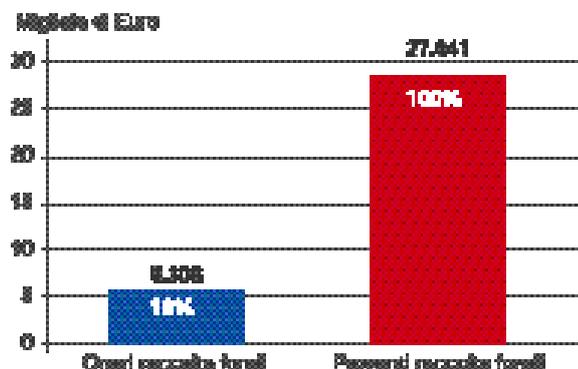


Figura 42. L'efficienza della raccolta fondi al 30 giugno 2004

I CONTRIBUTI DA ENTI ESTERNI

Per lo svolgimento di progetti, ma anche per il supporto ai costi di struttura degli istituti di ricerca interna, Telethon riceve contributi da parte di altri enti finanziatori come il National Institute of Health (NIH, USA), la Commissione Europea, il Ministero dell'istruzione, Università e Ricerca, ecc. Quest'anno il totale dei finanziamenti esterni ricevuti da Telethon ammonta a 4.162.856 Euro e costituisce un'entrata molto importante per sostenere le attività di Telethon.

GLI IMPIEGHI DI TELETHON

I proventi ottenuti, sia dal Comitato che dalla Fondazione, vengono utilizzati per sostenere gli oneri da attività istituzionali, promozionali e di raccolta fondi e gli oneri di funzionamento di Telethon.

Il totale degli oneri ammonta a 34.364.662 Euro e in esso non sono considerate le delibere di assegnazione alla ricerca interna del Comitato, già incluse tra gli oneri di gestione degli istituti interni della Fondazione. L'incidenza di ogni categoria di oneri è descritta nella figura 43. In particolare si può notare come il 79% dei proventi sia stato impegnato per le attività istituzionali, attività direttamente correlate al raggiungimento degli scopi statutari e costitutivi.

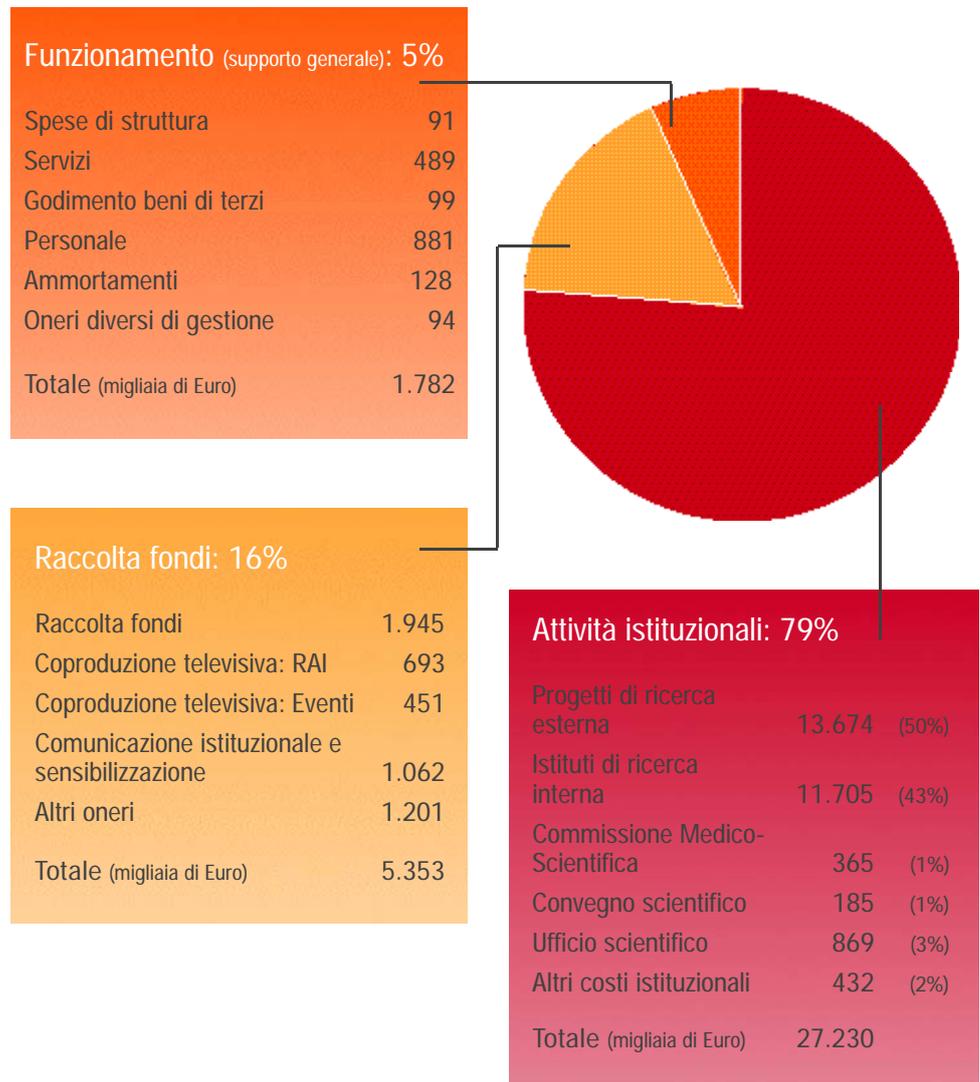


Figura 43. La ripartizione degli oneri al 30 giugno 2004

I quasi 28 milioni di Euro raccolti sono la testimonianza della relazione positiva che esiste tra Telethon e la comunità italiana.

Questa relazione è cresciuta nel tempo e oggi conta su centinaia di migliaia di cittadini e migliaia di aziende che tengono acceso il motore della ricerca scientifica italiana sulle malattie genetiche.

Un ruolo fondamentale lo svolge la squadra della raccolta fondi: aziende, istituzioni, associazioni di volontariato che ogni anno si mobilitano per sostenere la ricerca Telethon.

LA SQUADRA DI RACCOLTA FONDI DI TELETHON

Partner Aziendali

Si tratta di soggetti che collaborano con Telethon attivando le proprie strutture organizzative in azioni di raccolta rivolte ai propri clienti, dipendenti o fornitori e che si impegnino con contributi diretti nell'adozione di progetti di ricerca scientifica.

BNL (logo). BNL è partner della raccolta fondi di Telethon dal 1992. In occasione della maratona di dicembre, la rete ha celebrato 12 anni di partnership organizzando all'interno delle proprie agenzie manifestazioni ed eventi di sensibilizzazione della clientela e della cittadinanza: 700 sedi sul territorio che eccezionalmente lasciano aperti i loro sportelli anche fuori dagli orari consueti. Grazie all'entusiasmo dei suoi 17.000 dipendenti e alla generosità di oltre 130.000 clienti, anche quest'anno la BNL ha raccolto una cifra record: 14.037.381 Euro

CARTASì (logo) Grazie alla sua sensibilità e attenzione ai temi della responsabilità sociale ha permesso ai possessori di carta di credito del suo circuito di effettuare una donazione a favore di Telethon. Ha raccolto complessivamente 2.044.433 Euro.

TELECOM (logo). Oltre a una propria donazione di 35.000 Euro, la principale compagnia di telecomunicazione italiana ha incrementato gli sforzi per raccogliere le promesse di donazione a Telethon fatte al numero 412. Nel corso del 2003 le promesse di donazioni sono state XXXXX

POSTE (logo) Le Poste Italiane assicurano una copertura capillare sul territorio con gli uffici postali in ogni comune e in questo modo contribuiscono a far partecipare gli italiani alla lotta contro le malattie genetiche. In 3.000 uffici erano presenti i bollettini preintestati e campagne di sensibilizzazione a favore di Telethon. I versamenti effettuati dai donatori Telethon attraverso il canale postale ammontano a 3.903.812 Euro.

SMA (logo). SMA mobilita la rete di vendita presente su tutto il territorio nazionale e grazie ai suoi 10.000 dipendenti sensibilizza e coinvolge sulla ricerca di Telethon i clienti che ogni settimana acquistano presso gli oltre 1200 punti vendita Sma, Cityper e Punto Sma. SMA ha raccolto complessivamente 889.435 Euro.

AUCHAN (logo). Auchan, nel 2003, ha partecipato per la prima volta alla raccolta fondi di Telethon. Attraverso la rete di 35 ipermercati, Auchan ha organizzato animazioni ed eventi creati ad hoc sui punti vendita per sensibilizzare sul tema delle malattie genetiche e per promuovere le donazioni alle casse. La raccolta complessiva è stata di 801.000 Euro.

FS (logo). Le Ferrovie dello Stato sono un partner storico di Telethon con 14 anni di partnership. Nel 2003 la raccolta ha coinvolto i viaggiatori di 468 stazioni e i dipendenti di FS. In totale, considerando anche la donazione del gruppo FS sono stati raccolti 432.598 Euro

INASSITALIA (logo). La nota compagnia assicurativa del Gruppo Generali con 206 agenzie e oltre 3.000 punti vendita ha partecipato per il primo anno alla raccolta dei fondi e ha sostenuto attivamente la ricerca di Telethon con una donazione complessiva di 408.045 Euro

Infine durante la giornata Telethon negli stadi e all'operazione concomitante degli sms "in favore della ricerca", sono stati raccolti 896.000 Euro. Le tre società di telefonia mobile grazie alle quali è stato possibile ricevere questo contributo sono:

TIM (logo) 436.000 Euro

VODAFONE (logo) 347.000 Euro

WIND (logo) 113.000 Euro

Partner di volontariato e della comunità civile

Pubbliche amministrazioni

Sono tanti i Comuni, le Province e le Regioni che hanno partecipato alla sfida di Telethon. Sparsi sul territorio nazionale, hanno raccolto oltre 600.000 Euro proponendosi come soggetto attento e sensibile alla lotta contro le malattie genetiche. Sono stati 805 le Pubbliche Amministrazioni coinvolte da Telethon su tutto il territorio nazionale. L'importanza del loro contributo è documentata dalla Figura 37. L'importo raccolto è frutto delle donazioni che le Pubbliche Amministrazioni hanno fatto al Comitato anche tramite i delegati territoriali dei canali AVIS, BNL e UILDM che le hanno sensibilizzate.

Le associazioni di volontariato

Telethon, grazie ad un collaudato rapporto di partnership, affida la propria opera di informazione e di raccolta sul territorio ai volontari di due importanti realtà del mondo non profit: UILDM e AVIS.

UILDM (logo). L'Unione Italiana Lotta alla Distrofia Muscolare lavora a fianco di Telethon da sempre. Nel corso della maratona 2003 si è attivata con molti punti di raccolta e coinvolgendo circa 1.000 volontari. Ha raccolto la cifra record di 1.183.361 Euro.

AVIS (logo). Nel suo terzo anno di collaborazione alla raccolta fondi di Telethon, l'Associazione Volontari Italiani del Sangue ha partecipato con 245 delle sue sedi e migliaia di volontari su tutto il territorio superando le raccolte degli anni precedenti e raggiungendo i 453.432 Euro.

Alle Pubbliche Amministrazioni e alle Associazioni di Volontariato si affiancano altri soggetti pubblici o privati che aderiscono alle proposte di donazione, raccolta fondi o a progetti di informazione sul territorio nazionale promossi da Telethon, organizzando spontaneamente iniziative di raccolta fondi. Tra questi, nella raccolta fondi 2003 segnaliamo i canali Fitness e Sport, Aia e Anga.

FITNESS E ALTRI EVENTI SPORTIVI (logo da definire). Il canale principale è quello del Fitness che può contare su una rete di 300 palestre distribuite su tutto il territorio italiano sensibili

alla causa di Telethon e sulla generosità di 10.000 atleti che partecipano alle iniziative di raccolta fondi. La maggior parte dei centri sportivi organizza "Una Master Class per la ricerca" con un numero di atleti compreso tra le 30 e le 60 persone. Al canale del Fitness si aggiungono altre varie iniziative sportive di raccolta fondi (le associazioni dilettantistiche di calcio, il golf ecc.). La cifra complessiva di raccolta ha raggiunto complessivamente di 206.064 Euro.

AIA (logo). L'Associazione Italiana Arbitri "è scesa in campo", a favore di Telethon, per il secondo anno consecutivo con i suoi 32.000 tesserati e 212 sezioni. La raccolta degli arbitri ha coinvolto, atleti, tifosi e amici e ha fruttato complessivamente 74.910 Euro.

ANGA (logo). L'Associazione Nazionale Giovani Agricoltori è il settore giovanile della Confederazione Generale dell'Agricoltura Italiana e associa agricoltori tra i 16 e i 40 anni. Nell'edizione della raccolta fondi del 2003, i giovani agricoltori si sono fatti anche loro ambasciatori di Telethon: centinaia di loro sono usciti dalle aziende e hanno messo a disposizione i loro prodotti, e il loro tempo, a favore di un grande progetto di solidarietà. Da Siracusa a Savona, da Treviso a Taranto, da Firenze a Frosinone, il contributo di Anga è giunto da tutto il territorio nazionale consegnando alla ricerca 39.248 Euro, grazie all'adesione e alla preziosa collaborazione dei soci di 30 sezioni locali.

Grandi Donatori

Si tratta di aziende e fondazioni che offrono a Telethon una donazione in denaro di rilevante entità per l'adozione e il finanziamento di progetti a favore della ricerca scientifica contro le malattie genetiche.

Aziende

Sono aziende che offrono una donazione anche attraverso le raccolte promosse nei confronti del personale o di clienti. Quest'anno si sono distinte per il loro contributo:

TAMOIL (logo) Dal 23 novembre al 21 dicembre 2003 Tamoil ha devoluto a Telethon 1 Euro per ogni 1.000 litri di carburante riforniti ai gestori delle stazioni di servizio per un totale di 420.000 Euro.

GLAXO SMITH KLINE (logo). Il 23 e 24 giugno 2004 la multinazionale farmaceutica ha ospitato a Verona, nel suo prestigioso centro di ricerca internazionale, la Commissione Medico-Scientifica di Telethon, riunitasi per votare i progetti di ricerca da finanziare. La donazione di GSK a Telethon è stata di 200.000 Euro.

RCS Media Group (logo). Il gruppo editoriale ha coinvolto le principali testate (Corriere della Sera e Gazzetta dello Sport) in occasione della maratona e ha sensibilizzato i suoi lettori a contribuire alla raccolta fondi di telethon. Complessivamente RCS ha raccolto 143.500 Euro.

Lilly (logo). Lilly ha erogato a Telethon la prima annualità (pari a 100.000 Euro) per un progetto formativo della durata di 3 anni per la creazione di borse di studio a favore di ricercatori cli-

nici che verranno selezionati attraverso bando pubblico.

Kellogg's (logo). Dopo il finanziamento del Telefono Scienza, durante la maratona del 2002, Kellogg's ha adottato Infomagene, il portale italiano della genetica, consultabile all'indirizzo www.informagene.it offrendo un contributo di oltre 50.000 Euro per informare e sensibilizzare il pubblico sulle malattie genetiche.

Fondazioni

Si tratta principalmente, anche se non esclusivamente, di fondazioni di origine bancaria che sostengono le attività di Telethon per il raggiungimento di un mutuo scopo di utilità sociale. I finanziamenti che Telethon riceve da questi soggetti appartengono a due principali tipologie:

La prima, che fa parte della raccolta del Comitato e della Fondazione, è relativa all'adozione di progetti già esistenti. Rientrano in questa categoria le donazioni di:

Monte dei Paschi di Siena	250.000 Euro
Piacenza e Vigevano	20.000 Euro
Cento	15.000 Euro
Fondazione Medioloanum	80.000 Euro

La seconda tipologia riguarda invece i fondi addizionali che le fondazioni di origine bancaria deliberano per i nuovi progetti di ricerca degli istituti Telethon sulla base di una propria commissione di valutazione. Nel corso di questo esercizio la Compagnia di San Paolo e la Fondazione Cariplo hanno deliberato fondi rispettivamente per 732.000 Euro e per 130.000 Euro.

Tali fondi vengono assunti da Telethon sulla base del criterio di competenza economica, cioè, in misura pari agli oneri sostenuti per i nuovi progetti.

I privati cittadini

La mobilitazione di aziende, istituzioni e associazioni di volontariato amplifica il coinvolgimento e la partecipazione attiva di centinaia di migliaia di privati cittadini. E sono proprio i privati cittadini i veri protagonisti delle donazioni di Telethon, come dimostra la figura 35. Attraverso i tanti canali messi a disposizione in tutta Italia per contribuire, i privati cittadini hanno donato il 61% della raccolta fondi della maratona Telethon 2003. In particolare, alcuni privati cittadini hanno eseguito disposizioni testamentarie a favore di Telethon per un importo complessivo di oltre 290.000 Euro.

LA TELETHON CARD

Alle classiche modalità di donazioni (tramite promesse telefoniche, SMS, carte di credito, banca e posta) Telethon ha aggiunto ormai da qualche anno, 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 2003-2004 sono stati 22.298 i cittadini che hanno rispedito le cartoline compilate pari al 4.9% delle 451.359 Telethon Card rilasciate su tutto il territorio nazionale dai vari canali di raccolta.



TELETHON NEL TERRITORIO

Attraverso la partecipazione della squadra della raccolta fondi, Telethon è presente su tutto il territorio nazionale con migliaia di eventi e di soggetti pubblici e privati coinvolti nella raccolta dei fondi. Una vera e propria rete diffusa di volontari e "ambasciatori" che nei prossimi anni dovrebbe crescere e rafforzarsi con la presenza di un coordinatore Telethon in ogni provincia. Nel corso del 2003-2004 Telethon è stata presente in tutte le province italiane se pur con un diverso tasso di penetrazione della propria squadra di raccolta fondi.

Nelle figure seguenti viene rappresentata Telethon sul territorio italiano.

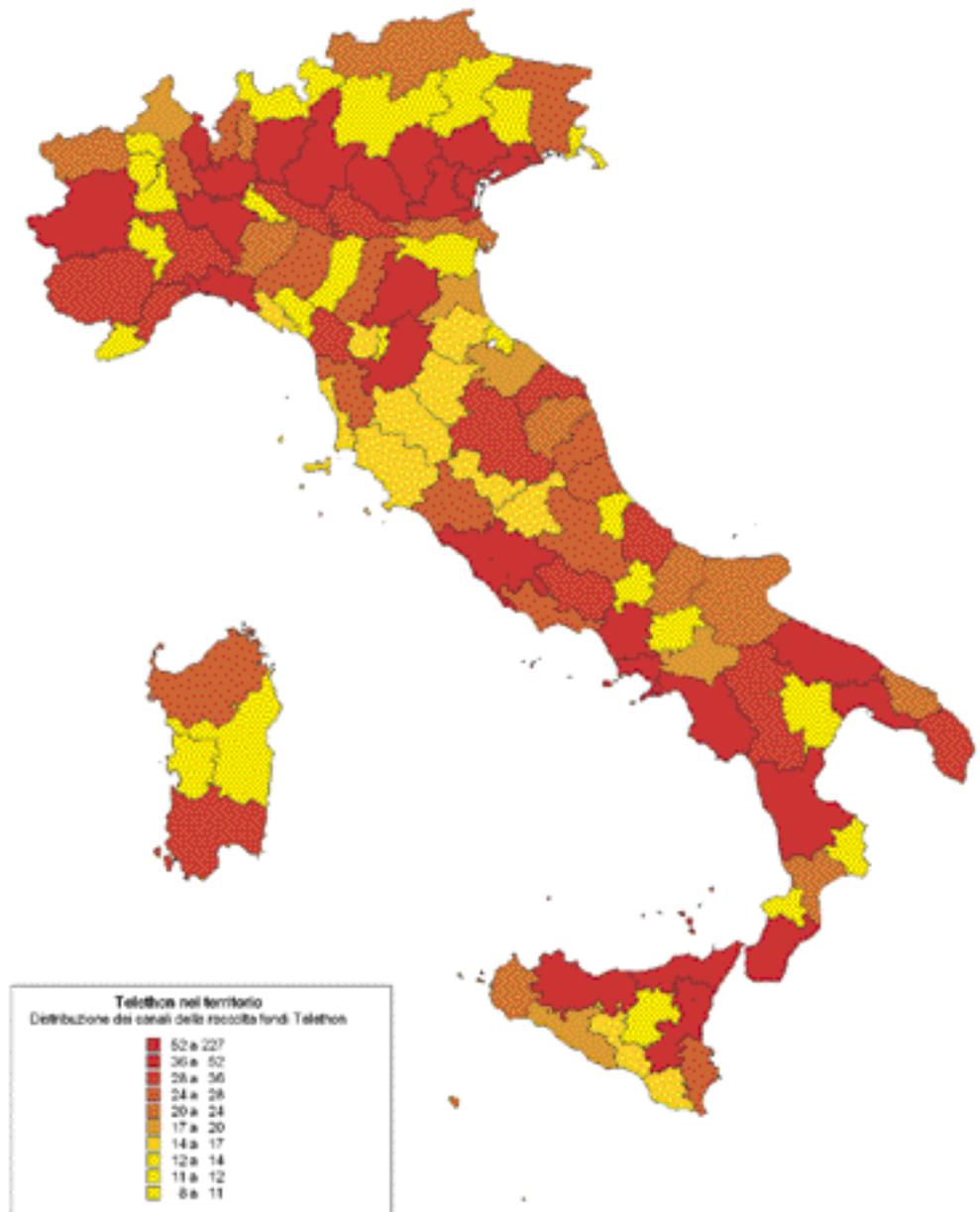


Figura 44. Volontari, imprese e istituzioni attivi durante l'edizione Telethon 2003: la distribuzione provinciale dei canali di raccolta territoriali coinvolti per fasce di numerosità.

Un altro indicatore che esprime il rapporto diretto di Telethon con il territorio italiano, è la distribuzione delle donazioni a Telethon su scala regionale.

In particolare, per quanto riguarda le donazioni ricevute dalle regioni, Telethon ha escluso quelle donazioni che non possono essere ricondotte a una regione in particolare, trattandosi spesso di grandi donatori con una valenza nazionale.

Complessivamente quindi, dei quasi 28 milioni di Euro raccolti oltre 24 milioni risultano distribuiti secondo la tabella seguente.

La comunicazione sociale

LA MARATONA TELEVISIVA

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

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

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 2003 è durata complessivamente 36 ore, di cui 28 ore e 15 minuti di trasmissione effettiva, realizzata per l'82 % in studio e per il 18 % in esterne. Nell'edizione 2003, sono stati dedicate :

- oltre 4 ore all'informazione scientifica, durante le quali sono state trattate 21 patologie, con il racconto di casi malattia (58%), e le interviste ai ricercatori finanziati da Telethon (42)%.
- quasi 2 ore all'informazione istituzionale sul Comitato Telethon Fondazione ONLUS.

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 2003 gli operatori del servizio hanno risposto a oltre 6.400 telefonate, riguardanti per il 23% domande sui centri diagnostici, per il 62% informazioni sullo stato della ricerca e sui progetti finanziati da Telethon, per il 10% domande sulle associazioni di malattia, per il 5% sulla diagnosi prenatale (Figura 47).

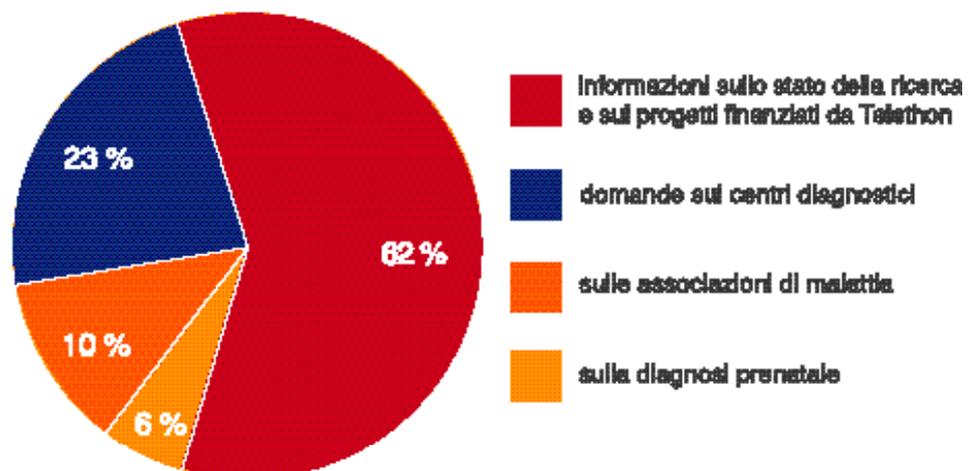


Figura 47. L'attività del Telefono Scienza nella maratona 2003

GLI ALTRI STRUMENTI DI COMUNICAZIONE ISTITUZIONALE E DI RACCOLTA

Gli altri strumenti che completano il quadro delle attività di comunicazione del Comitato Telethon Fondazione ONLUS sono:

Telethon.it

È il sito internet di Telethon che accoglie circa 100.000 visitatori l'anno. Nato nel 1996, è continuamente aggiornato. Comprende notizie e informazioni per i ricercatori, le associazioni, le famiglie dei malati e i giornalisti. E ovviamente, è un strumento utile per conoscere meglio Telethon e per sapere come fare una donazione.

Telethon Comunicazione (in TV e alla radio)

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 236 puntate di programmi televisivi e 116 spazi tv acquisiti per la comunicazione istituzionale di Telethon, 4.366 minuti di messe in onda dello spot istituzionale, (raggiunti oltre 8 milioni e mezzo di spettatori*), e 40 puntate e 2.210 di minuti di interviste radio. *dati AGB-Auditel

Telethon Notizie

È la rivista di informazione scientifica con una copertura media di 310.000 persone l'anno. Costituisce anche uno strumento di informazione finanziaria ai donatori, documentando i risultati di gestione e gli indici di efficienza e di efficacia dell'attività di Telethon.

Le Imprese di Telethon

È un supplemento del Telethon Notizie, indirizzato a circa 18.000 imprese.

L'ufficio Stampa

Ha il compito di fornire informazioni ai giornalisti, sia delle testate specializzate che di quelle generaliste. Nel periodo 1 luglio 2003 31 agosto 2004, ha realizzato oltre 70 comunicati. Grazie all'attività di quest'ufficio, Telethon ha un notevole riscontro sulla stampa che gli dedica oltre 5.000 citazioni l'anno.

L'INFORMAZIONE SCIENTIFICA

L'informazione scientifica contribuisce a sensibilizzare le persone sull'importanza della ricerca e a sostenere 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 In-formagene.

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 giugno 2004 Filo Diretto ha risposto a 2690 richieste totali di cui 1.990 telefonate, 340 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 informazione scientifica creato e gestito da Telethon per rendere accessibili al pubblico notizie chiare e aggiornate sulla genetica e sulle malattie genetiche. Informagene comprende diverse sezioni:

- le Guide di Informagene, pagine divulgative che riassumono in modo semplice ed esauriente i concetti principali della genetica e delle tematiche correlate, per esempio terapia genica, diagnosi prenatale e sperimentazione di nuovi farmaci;
- l'Indice Malattie, che conta attualmente 102 schede aggiornate su malattie genetiche per le quali è spesso difficile reperire informazioni. Le schede sono redatte in collaborazione con esperti ricercatori e clinici scelti ad hoc per ciascuna malattia, e contengono riferimenti aggiornati a centri diagnostici specializzati.
- i servizi Scrivi a Informagene e Filo Diretto, attraverso cui il pubblico può richiedere informazioni generali sulle malattie genetiche e ricevere i riferimenti di centri per la diagnosi e/o la consulenza genetica.

Informagene mette inoltre a disposizione numerosi collegamenti ad altri siti italiani e stranieri che si occupano di malattie rare, medicina, divulgazione scientifica e così via.

Nel 2003 il sito ha registrato una media mensile di oltre 28.000 pagine viste, 9.340 visite e quasi 7.000 visitatori, rispondendo a 600 e-mail (100 in più rispetto all'anno precedente).

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

Telethon tutto l'anno (le tavole rotonde)

Il Comitato Telethon promuove sul territorio nazionale l'organizzazione di Tavole Rotonde (a ingresso libero) di sensibilizzazione dirette ad un pubblico 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 finanziati da Telethon che, in maniera semplice e divulgativa, spiegano cosa sono le malattie genetiche, illustrano i risultati della propria attività di ricerca e danno conto di come hanno speso i finan-

ziamenti ricevuti da Telethon.

Nell'anno 2003-2004 sono stati organizzati 36 incontri con una media di 100 partecipanti a incontro.

Per la realizzazione delle Tavole Rotonde, Telethon si avvale della preziosa collaborazione di numerosi partner che negli ultimi anni hanno sostenuto volontariamente queste iniziative su tutto il territorio nazionale. In particolare sono stati coinvolti la BNL (7 eventi), la UILDM (3), l'AVIS (3); una citazione speciale meritano i Club Femminili AIDM (1), AMMI (4), FIDAPA (3), Soroptimist International (7) e Zonta International (1) che per primi hanno promosso questi eventi. Altre 7 tavole rotonde di Telethon sono state ospitate all'interno di vari eventi come il Festival della Scienza di Genova, lo Smau di Milano ecc.

Telethon Young

Il Progetto Telethon Young è un'iniziativa didattica sorta nel 2003, promossa dal Comitato Telethon Fondazione ONLUS con lo scopo di informare i bambini del secondo biennio delle Scuole Primarie e del primo biennio delle scuole secondarie di 1° grado sulla missione di Telethon. Il progetto ha ottenuto un ottimo riscontro: 575 scuole aderenti, 1340 classi partecipanti, 20.000 bambini e famiglie coinvolte).

Il Progetto Telethon Young si avvale di un kit di materiali didattici utili ai docenti come supporto per lo sviluppo di un percorso educativo ad integrazione delle unità di apprendimento. Mediante il kit i ragazzi, aiutati dai loro insegnanti, possono avvicinarsi alle problematiche legate alle malattie genetiche utilizzando in maniera chiara e semplice mappe concettuali, giochi ed esercizi divertenti.

Due gli obiettivi dell'iniziativa: diffondere informazioni scientifiche sulle malattie genetiche negli Istituti scolastici pubblici e privati e sensibilizzare i giovani e le famiglie al sostegno della ricerca scientifica, attraverso iniziative di raccolta fondi, al fine di attivare una rete di supporto, intesa come vero e proprio impegno sociale.

La gestione delle risorse umane e delle risorse finanziarie

LE RISORSE UMANE

Telethon ha cura di gestire le proprie risorse ispirandosi ai principi generali individuati dagli amministratori: attenzione alla persona e trasparenza

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.

Le persone che lavorano in Telethon sono 311, di cui 203 - pari al 65% del totale - è composto da personale degli istituti (Figura 48).

Direzione raccolta fondi	54
Direzione amministrativa	40
Direzione scientifica	14
Personale degli istituti	203
Totale generale	311
Dipendenti	94
Collaboratori	94
Professionisti	21
Borse di studio	102
Uomini	109
Donne	202
Diplomati	115
Laureati	196
Età media	38

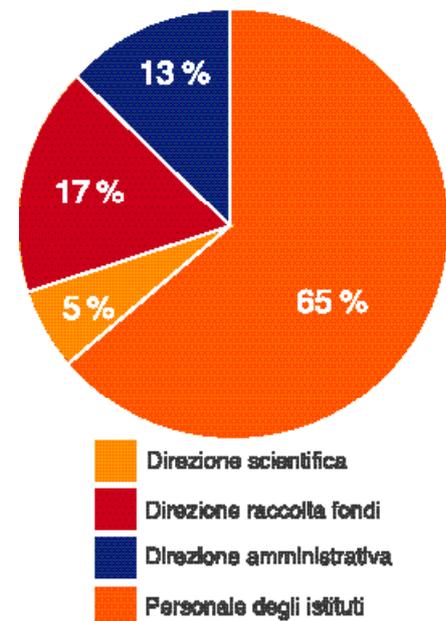


Figura 48. Tutto il personale Telethon, suddiviso per area di appartenenza

Per quanto riguarda gli istituti di ricerca Telethon, la figura successiva ripropone un profilo sintetico e d'insieme del personale di ricerca.

Totale personale istituzionale	204
Personale amministrativo	15
Group leader	45
Ricercatori junior e tecnici	144

Dipendenti	30
Collaboratori	61
Professionisti	11
Borsisti	102
Uomini	82
Donne	122
Diplomati	57
Laureati	147
Età media	38

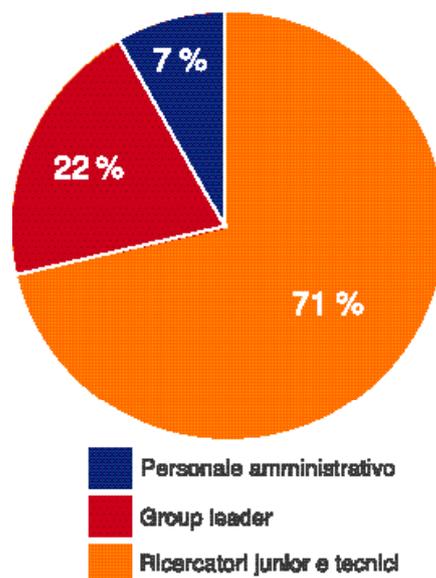


Figura 49. Suddivisione del personale degli istituti di ricerca della Fondazione Telethon per funzione.

Senza considerare il personale direttamente impegnato negli istituti di ricerca interna, le risorse umane impegnate nei due enti Telethon, sono 108 con le caratteristiche evidenziate nella figura successiva.

Direzione raccolta fondi	54
Direzione amministrativa	40
Direzione scientifica	14
Totale generale	311

Dipendenti	64
Collaboratori	33
Professionisti	11
Uomini	28
Donne	80
Diplomati	58
Laureati	50
Età media	38

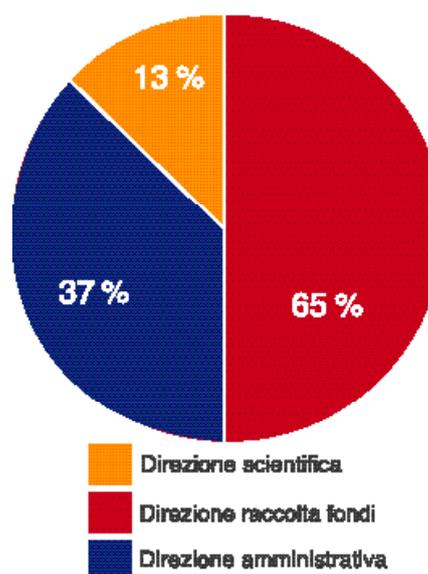


Figura 50. La suddivisione del personale del Comitato e della Fondazione per funzione

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.

In particolare, nel periodo 1 luglio 2003 – 30 giugno 2004, senza considerare il personale degli istituti, Telethon ha erogato 79 giornate di formazione a 59 beneficiari sostenendo un costo di formazione di 29.680 Euro.

ATTIVITÀ FORMATIVE (1 luglio 2002 - 30 giugno 2004)	
Totale beneficiari	59
Totale giornate formative	79
Totale costo di formazione	29.680

Figura 51. Schema riepilogativo delle attività formative svolte da Telethon nel periodo di competenza del Bilancio

Nel corso dell'anno Telethon ha iniziato lo sviluppo di un proprio sistema di comunicazione interna.

Le dimensioni attuali raggiunte richiedono, infatti, processi e strumenti che supportino l'efficienza organizzativa.

La comunicazione interna risulta una leva fondamentale per dare notorietà ai fatti che riguardano l'azienda, per far comprendere la sua struttura, per migliorare l'efficienza dei flussi di lavoro e per diffondere una cultura generata da valori condivisi. Sono state condotte interviste in profondità a un campione "ragionato" del personale Telethon, composto dai referenti di specifiche aree di attività al fine di evidenziare i fabbisogni di comunicazione interni dell'organizzazione e di cogliere idee e suggerimenti utili a migliorare la comunicazione e l'organizzazione del lavoro. I passi successivi saranno l'ottimizzazione degli strumenti di comunicazione interna già esistenti e la progettazione di un portale di comunicazione (Intranet) attivo entro giugno 2005.

LE RISORSE FINANZIARIE

Telethon, in attesa di 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 da un comitato degli investimenti - composto da 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 52) che per la Fondazione (Figura 53).

	Patrimonio (Keuro)	Rend. Lordo (%)	Benchmark (%)
luglio-settembre 2003	13.901	0.35	0.08
ottobre-dicembre 2003	19.005	0.06	0.03
gennaio-marzo 2004	20.927	1.20	2.65
aprile-giugno 2004	19.474	-0.09	-1.02

Figura 52.I risultati degli investimenti obbligazionari dei fondi gestiti dal Comitato Telethon Fondazione ONLUS

	Patrimonio (Keuro)	Rend. Lordo (%)	Benchmark (%)
luglio-settembre 2003	16.587	0.28	0.08
ottobre-dicembre 2003	18.454	0.17	0.03
gennaio-marzo 2004	19.597	1.65	2.65
aprile-giugno 2004	17.864	-0.31	-1.02

Figura 53.I risultati degli investimenti obbligazionari dei fondi gestiti dalla Fondazione Telethon

Il funzionamento della struttura

L'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") e i connessi oneri di supporto alla stessa attività erogativi, gli uffici amministrativi e finanziari della Fondazione hanno provveduto a gestire 19.160.197 Euro (Figura 54).

anno di esercizio	02-03*	03-04
Oneri da attività istituzionali	9.657	12.856
Utilizzi per Gestione Diretta	6.305	6.304
Totali (migliaia di Euro)	15.962	19.160

*a partire da questo esercizio, al fine di rappresentare con maggiore coerenza la pertinenza degli oneri alle proprie aree funzionali, nella voce "Oneri da attività istituzionali" sono stati comprese alcune categorie di oneri precedentemente rappresentate nell'area "Oneri di supporto generale"

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.

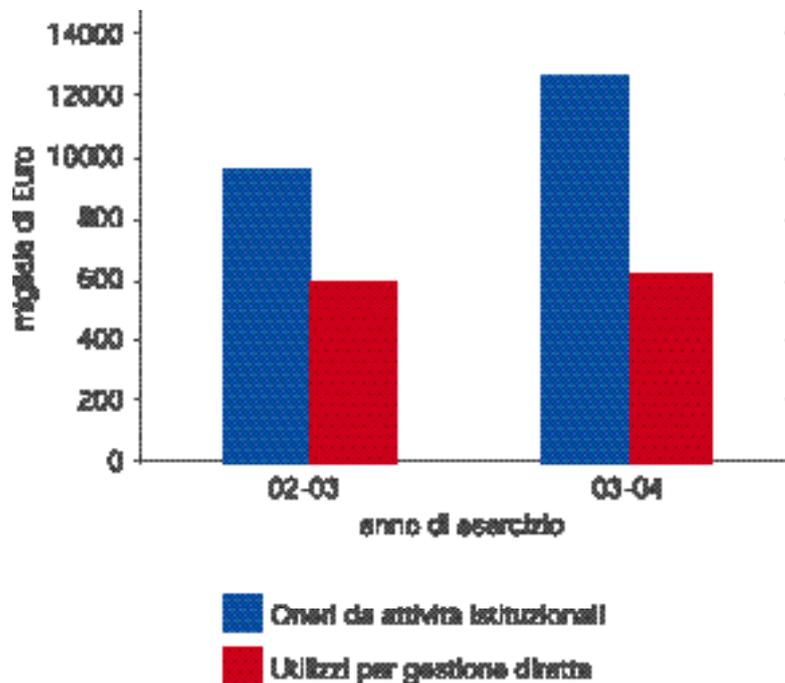


Figura 54. L'insieme delle attività di carattere erogativi.

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 rendicontazione 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, 24 novembre 2004

Comitato Telethon Fondazione ONLUS

Fondazione Telethon

IL BILANCIO DI MISSIONE - I principali prospetti di bilancio

COMITATO TELETHON FONDAZIONE ONLUS

Stato patrimoniale al 30 giugno 2004

(unità di Euro)

ATTIVO	30 giugno 2004	30 giugno 2003
B) Immobilizzazioni		
I) - Immobilizzazioni immateriali		
3) Diritti di brevetto industriale e diritti di utilizzazione delle opere dell'ingegno	93.561	181.309
7) Altre	90.470	107.043
Totale	184.031	288.352
II) - Immobilizzazioni materiali		
2) Impianti e attrezzature	0	0
3) Altri beni	123.660	132.371
Totale	123.660	132.371
III) - Immobilizzazioni finanziarie, con separata indicazione, per ciascuna voce dei crediti, degli importi esigibili entro l'esercizio successivo		
2) Crediti	52.054	52.054
Totale	52.054	52.054
C) Attivo circolante		
II) - Crediti, con separata indicazione, per ciascuna voce dei crediti, degli importi esigibili entro l'esercizio successivo		
2) Verso altri	378.473	342.232
Totale	378.473	342.232
III) - Attività finanziarie che non costituiscono immobilizzazioni		
2) Altri titoli	24.253.705	23.076.439
Totale	24.253.705	23.076.439
IV) - Disponibilità liquide		
1) Depositi bancari e postali	745.222	415.679
2) Liquidità presso società di gestione del risparmio	55.403	129.438
3) Denaro e valori in cassa	2.414	84
Totale	803.039	545.201
D) Ratei e risconti attivi	308.196	251.994
TOTALE ATTIVO	26.103.158	24.688.643

PASSIVO	30 giugno 2004	30 giugno 2003
A) Patrimonio netto		
I) - Patrimonio libero		
1) Risultato gestionale dell'esercizio in corso	(1.743.170)	(253.278)
2) Utilizzo/(Incremento) del Patrimonio Vincolato	0	0
3) Risultato gestionale da esercizi precedenti	5.698.117	5.951.395
Totale	3.954.947	5.698.117
III) - Patrimonio vincolato		
1) Fondi vincolati destinati da terzi	0	7.331
2) Fondi vincolati per decisione degli organi istituzionali	20.400.479	16.945.844
Totale	20.400.479	16.953.175
Totale patrimonio netto	24.355.426	22.651.292
B) Fondi per rischi ed oneri		
2) Altri	17.479	17.479
Totale	17.479	17.479
C) Trattamento di fine rapporto di lavoro subordinato	72.616	45.795
D) Debiti, con separata indicazione, per ciascuna voce, degli importi esigibili oltre l'esercizio successivo		
5) Debiti verso fornitori	1.131.630	1.445.727
6) Debiti tributari	100.866	133.708
7) Debiti verso istituti di previdenza e di sicurezza sociale	39.088	24.338
8) Altri debiti	398.532	370.304
Totale	1.974.077	1.974.077
TOTALE PASSIVO	26.103.158	24.688.643

COMITATO TELETHON FONDAZIONE ONLUS

Rendiconto della gestione a proventi ed oneri
sezioni divise e contrapposte al 30 giugno 2004
(unità di Euro)

ONERI	30 giugno 2004	30 giugno 2003
1) Oneri da attività istituzionali		
1.1.1) Delibere di assegnazione ricerca interna	6.670.664	6.631.129
1.1.2) Delibere di assegnazione ricerca esterna	13.278.872	11.518.706
Subtotale	19.949.536	18.149.835
1.2) Organizzazione Convention	184.874	210.758
1.3) Altri istituzionali	910.504	109.284
Totale	21.044.917	18.469.877
2) Oneri promozionali e di raccolta fondi		
2.1) Maratona Telethon		
2.1.1) Raccolta Fondi	1.441.012	1.120.874
2.1.2) Coproduzione televisiva: RAI	693.085	774.685
2.1.3) Coproduzione televisiva: eventi	450.981	474.883
2.1.4) Comunicazione istituzionale, sensibilizzazione e promozione	1.061.886	948.617
2.1.5) Altri oneri Maratona	1.201.349	995.120
Subtotale	4.848.313	4.302.719
2.2) Altre raccolte		
2.2.1) Oneri altre raccolte	98.280	48.482
Subtotale	98.280	48.482
Totale	4.946.593	4.351.201
4) Oneri finanziari e patrimoniali		
4.1) Da operazioni bancarie e postali	48.208	60.372
4.2) Da altri beni patrimoniali	471.747	233.986
Totale	519.955	294.358
5) Oneri straordinari		
5.3) Da altre attività	24.613	17.551
Totale	24.613	17.551
6) Oneri di supporto generale		
6.1) Spese di struttura	53.064	59.657
6.2) Servizi	262.146	254.955
6.3) Godimento beni di terzi	79.554	75.545
6.4) Personale	212.462	202.531
6.5) Ammortamenti	76.865	77.805
6.6) Oneri diversi di gestione (incluso CMS e costi organizzativi per ricerca)	45.144	52.665
Totale	729.235	723.158
TOTALE ONERI	27.265.313	24.496.848
Avanzo gestionale	0	0

PROVENTI	30 giugno 2004	30 giugno 2003
1) Proventi da attività istituzionali e rettifiche ad assegnazioni di fondi vincolati per la ricerca		
1.1.1) Rettifiche a delibere ricerca interna	18.063	0
1.1.2) Rettifiche a delibere ricerca esterna	192.972	267.120
Subtotale	211.035	267.120
1.3) Altri istituzionali	0	0
Totale	211.035	267.120
2) Proventi da raccolta fondi		
2.1) Maratona Telethon	23.881.035	22.084.706
2.2) Altre raccolte		
2.2.1) Da fondazioni di origine bancaria per adozione progetti	147.193	130.000
2.2.2) Da altri enti	336.901	118.843
Subtotale	484.094	248.843
Totale	24.365.129	22.333.549
4) Proventi finanziari e patrimoniali		
4.1) Da depositi bancari e postali	5.323	13.282
4.2) Da altri beni patrimoniali	602.695	1.205.541
Totale	608.018	1.218.823
5) Proventi straordinari		
5.3) Da altre attività	337.961	423.981
Totale	337.961	423.981
6) Proventi straordinari di supporto generale		
6.1) Proventi straordinari	0	97
Totale	0	97
TOTALE PROVENTI	25.522.143	24.243.570
Disavanzo gestionale	1.743.170	253.278

FONDAZION TELETHON
 Stato patrimoniale al 30 giugno 2004
 (unità di Euro)

ATTIVO	30 giugno 2004	30 giugno 2003
B) Immobilizzazioni		
I) - Immobilizzazioni immateriali		
3) Diritti di brevetto industriale e diritti di utilizzazione delle opere dell'ingegno	68.380	75.412
7) Altre	24.776	14.959
Totale	93.156	90.371
II) - Immobilizzazioni materiali		
1) Fabbricati	136.431	141.612
2) Impianti e attrezzature	482.654	315.570
3) Altri beni	186.249	243.455
Totale	805.334	700.637
III) - Immobilizzazioni finanziarie, con separata indicazione, per ciascuna voce dei crediti, degli importi esigibili entro l'esercizio successivo		
1) Partecipazioni	7.230	7.230
2) Crediti	9.239	9.239
Totale	16.469	16.469
C) Attivo circolante		
II) - Crediti, con separata indicazione, per ciascuna voce dei crediti, degli importi esigibili entro l'esercizio successivo		
2) Verso altri	7.808.356	5.137.926
Totale	7.808.356	5.137.926
III) - Attività finanziarie che non costituiscono immobilizzazioni		
2) Altri titoli	22.693.991	23.320.292
Totale	22.693.991	23.320.292
IV) - Disponibilità liquide		
1) Depositi bancari e postali	865.579	640.243
2) Liquidità presso società di gestione del risparmio	17.866	819.071
3) Denaro e valori in cassa	3.486	2.434
Totale	886.931	1.461.748
D) Ratei e risconti attivi	244.160	192.449
TOTALE ATTIVO	32.548.397	25.040.202

PASSIVO	30 giugno 2004	30 giugno 2003
A) Patrimonio netto		
I) - Patrimonio libero		
1) Risultato gestionale esercizio in corso	538.912	7.436.001
2) Utilizzo/(Incremento) del patrimonio vincolato	0	(5.484.487)
3) Delibere dell'esercizio per la ricerca interna	0	(360.000)
4) Risultato gestionale da esercizi precedenti	291.651	291.651
Totale	1.883.165	1.883.165
II) - Fondo di dotazione e fondi permanentemente vincolati per decisione degli organi istituzionali	348.610	348.610
III) - Patrimonio vincolato		
1) Fondi vincolati destinati da terzi	25.768.431	25.106.673
2) Fondi vincolati per decisione degli organi istituzionali	455.057	295.448
Totale	26.223.488	25.402.121
Totale patrimonio netto	28.994.175	27.633.896
C) Trattamento di fine rapporto di lavoro subordinato	519.160	461.830
D) Debiti, con separata indicazione, per ciascuna voce, degli importi esigibili oltre l'esercizio successivo		
5) Debiti verso fornitori	1.441.072	1.250.882
6) Debiti tributari	178.640	181.639
7) Debiti verso istituti di previdenza e di sicurezza sociale	109.110	152.126
8) Altri debiti	1.306.240	1.271.357
Totale	3.035.062	2.856.004
TOTALE PASSIVO	32.548.397	30.951.730

FONDAZIONE TELETHON

Rendiconto della gestione a proventi ed oneri
sezioni divise e contrapposte al 30 giugno 2004

(unità di Euro)

ONERI	30 giugno 2004	30 giugno 2003
1) Oneri da attività istituzionali		
1,1) Oneri da attività deliberativa		
1.1.1) Delibere di assegnazione ricerca interna	400.000	0
1.1.21) Delibere di assegnazione ricerca esterna	183.395	0
Subtotale	538.395	40
1.2) Oneri da attività di gestione degli istituti di ricerca		
1.2.1) Personale degli istituti di ricerca	3.502.243	3.022.293
1.2.2) Ammortamenti immobilizzazioni	383.989	428.407
1.2.3) Costi di funzionamento istituti di ricerca	7.259.531	5.012.322
1.2.4) Altri costi istituzionali	1.126.419	1.057.479
Subtotale	12.272.182	9.520.501
Totale	12.272.182	9.520.501
2) Oneri promozionali e di raccolta fondi		
2.1) Oneri di raccolta	406.146	477.197
Totale	406.146	477.197
4) Oneri finanziari e patrimoniali		
4.1) Da operazioni bancarie e postali	15.542	15.302
4.2) Da altri beni patrimoniali	430.252	222.485
4.3) Da altre operazioni	0	0
Totale	445.794	237.787
5) Oneri straordinari		
5.1) Da attività finanziarie	0	2.512
5.2) Da attività immobiliari	0	0
5.3) Da altre attività	11.486	16.229
Totale	11.486	16.229
6) Oneri di supporto generale		
6.1) Spese di struttura	37.817	33.815
6.2) Servizi	226.626	240.257
6.3) Godimento beni di terzi	19.491	19.295
6.4) Personale	669.216	561.392
6.5) Ammortamenti	50.850	49.697
6.6) Oneri diversi di gestione	48.857	50.186
Totale	1.052.857	954.642
TOTALE ONERI	11.206.356	10.339.004
Avanzo gestionale	7.436.001	716.954

PROVENTI	30 giugno 2004	30 giugno 2003
1) Proventi da attività istituzionali		
1,1) Rettifiche da attività deliberativa		
1.1.1) Rettifiche a delibere ricerca interna	0	0
1.1.1) Rettifiche a delibere	0	0
Subtotale	0	0
1,2) Proventi da attività di gestione laboratori		
1.2.1) Contributi vincolati destinati da terzi	11.145.763	13.947.509
1.2.2) Altri proventi	0	0
Subtotale	11.145.763	13.947.509
Totale	11.145.763	13.947.509
2) Proventi da raccolta fondi		
2.1) Maratona Telethon	2.876.311	2.101.199
2.2) Altre raccolte:		
2.2.1) Da fondazioni di origine bancaria e altri enti per adozione progetti	511.856	1.262.400
2.2.2) Altri enti	87.839	96.475
Subtotale	599.695	1.358.875
Totale	3.476.006	3.460.074
4) Proventi finanziari e patrimoniali		
4.1) Da depositi bancari e postali	397	6.476
4.2) Da altri beni patrimoniali	634.619	1.222.771
4.3) Da altre operazioni	0	0
Totale	635.016	1.229.247
5) Proventi straordinari		
5.1) Da attività finanziarie	2.719	5.527
5.2) Da attività immobiliari	0	0
5.3) Da altre attività	51.268	0
Totale	53.987	5.527
6) Proventi diversi di supporto generale		
6.1) Proventi diversi	0	0
Totale	0	0
TOTALE PROVENTI	15.310.772	18.642.357
Disavanzo gestionale	0	0

IL BILANCIO DI MISSIONE - Le delibere assunta

ELENCO DELLE DELIBERE DI FINANZIAMENTO

Dal 1° luglio 2003 al 30 giugno 2004

RICERCATORE PRINCIPALE	TITOLO DEL PROGETTO	IST
Altruda Fiorella TORINO	Role of the plasma proteins Haptoglobin and hemopexin in the pathogenesis of Type 1 Hemochromatosis	2
Bacchetta Rosa 184.500,00	From Foxp3 Mutation to Ipx: genotype-phenotype, pathogenetic mechanisms and therapeutic options.	
Balestrino Maurizio	Creatine administration in Creatine Deficiency Syndromes	Dip
Barbetti Fabrizio	Validation of a Putative New Mody Gene: Transglutaminase 2 (Tgase 2)	Pa
Barsacchi Giuseppina PISA	How to drive embryonic stem cells toward a retinal fate: role of eye specific transcription factors	La
Beguino Francesco 189.200,00	The control of Beta-Cell Function by pcd gene: its abnormality in type 2 diabetes	Dip
Beltrame Monica di Milano	Introducing Zebrafish as a model system for studying Sox18, a transcription factor linked to human Hypc	2
Bianco Paolo	MILANO	
Bonaldo Paolo	Polyostotic Fibrous Dysplasia/McCune Albright Syndrome: models of disease, models of intervention	Pa
763.000,00	Collagen VI Myopathies: from mouse therapy to human trials	Dip
Borgese Nica Sezione di Farmacologia Cellulare e Molecolare	Mechanism of insertion of Tail-Anchored proteins into the endoplasmic reticulum membrane: characteriz	MI
Briata Paola 195.000,00	Molecular mechanisms underlying the function of Pitx2, a gene central to the transcriptional and post-tr	
Brini Marisa	Calcium atpase defects and congenital hearing loss: in Vitro and in Vivo studies	Dip
Broccoli Vania 148.500,00	Unravelling the pathogenetic mechanisms of arx mutations leading to several forms of mental retardation	
Brunetti Antonio Catanzaro "Magna Græcia"	Genetic Syndromes of Extreme Insulin resistance and Diabetes Mellitus due to defects in insulin recepto	3
Brusco Alfredo Universita' di Torino	CATANZARO Identification Of The Gene Responsible For A Novel Form Of Autosomal Dominant Spinocerebellar Ataxia.	
"	TORINO	2
Caleo Matteo	Anti-Epileptic effects of botulinum toxins in rodent models of temporal lobe epilepsy	Isti
Cavallaro Ugo 183.000,00	Novel functions of the neural cell adhesion molecule L1 and implications for the pathogenesis Of L1 Syn	
Ceccherini Isabella 173.500,00	Pathogenetic mechanisms underlying two inherited disorders of Neural Crest Development: hirschsprung	
Conte Camerino Diana Universita' di Bari- Sezione di Farmacologia	Pharmacological evaluation of prompt-to-use drugs selectively targeting sodium and potassium channel:	BA
Cremonesi Laura 180.400,00	Analysis of fetal nucleic acids in maternal plasma for noninvasive prenatal diagnosis of genetic diseases	
Crestani Maurizio Farmacologiche Universita' degli Studi di Milano Facolta' di Farmacia	Inhibition Of Histone Deacetylases As A Novel Approach For The Therapy Of Monogenic Familial Hyperch	MI
Dianzani Umberto Orientale	Search for genetic alterations of the fas system in the autoimmune/lymphoproliferative syndrome (Alps)	3
NOVARA		
Faulkner Georgine for Genetic Engineering and Biotechnology)	Characterisation and functional analysis of proteins involved in neuromuscular diseases and hereditary c	TR
Federici Massimo	Timp-3: a new candidate gene for the common soil between type 2 diabetes and atherosclerosis	Dip
Feltri Maria Laura 406.900,00	Laminins and their receptors in hereditary neuropathies	Fo
Foresta Carlo 58.000,00	Investigations on the molecular bases of genetic Asthenozoospermia	Di
Gulino Alberto Sapienza"	Regulation of the Hedgehog signaling in neural development and disease: characterization of the role of	3
ROMA		
Gustincich Stefano	A Yeast two-hybrid approach to study the role of Dj-1 in Parkinson's disease	Scu
Helmer - Citterich Manuela	A bioinformatic approach for the identification of interactors of proteins involved in genetic diseases	Dip
Iacoviello Licia	Genetic regulation of Inflammation-Mediated Haemostasis Activation: a Family-Based approach.	Ur
Formazione ad alta tecnologia nelle Scienze Biomediche		CA
La Volpe Adriana	Model Studies of the fanconi/Brca/Recombination pathway	Is
Luini Alberto	The Bars-dependent membrane fission machinery in the Golgi Complex. Relevance in membrane transp	
SANTA MARIA IMBARO - CHIETI	3	
Matteoli Michela	Role of Snap25 in the control of calcium dynamics: implications for Schizophrenia	Dip
Melino Gerry 225.000,00	Function Of P63 in normal skin and Eec-Like Syndromes	Di
Minetti Carlo	Modulation of membrane proteins expression in pathological and experimental conditions in muscular dy	
Dipartimento di Neuroscienze e Riabilitazione dell'istituto Pediatrico G. Gaslini		
"	GENOVA	2
Nistri Andrea	Role of Atp As Transmitter of pain in migraine	Sc
Pasparakis Manolis	A Conditional Mouse model for anhidrotic ectodermal dysplasia with immunodeficiency	Pr
Pastore Lucio	Helper-dependent adenoviral vectors for gene therapy of familial hypercholesterolemia	Ce
Piccolo Stefano	The Control of Tgf-Beta Signals in P63-Linked genetic diseases and muscle atrophy: Unexpected effect	
Padova	PADOVA	2
Pichierri Pietro	Role of the Werner Syndrome Helicase in Genome stability	Isti
Pusch Michael	Investigation of Transporter and channel activity of Clc proteins involved in human genetic diseases	Isti

ISTITUTO DI RICERCA	CITTA'	DURATA DEL PROGETTO (anni)	IMPORTO
is	Dipartimento di Genetica,, Biologia e Biochimica - Universita' di Torino		
100.000,00	Fondazione Centro San Raffaele del Monte Tabor -Hsr Tiget	MILANO	2
ipartimento di Neuroscienze, Oftalmologia e Genetica	GENOVA	3	124.000,00
arco Scientifico Biomedico San Raffaele Roma	ROMA	2	105.600,00
laboratori di Biologia Cellulare e Dello Sviluppo Dipartimento di Fisiologia e Biochimica Universita' degli Studi di Pisa			GHEZZANO-
194.500,00			
ipartimento di Biologia e Patologia Cellulare e Molecolare - Universita' di Napoli Federico II		NAPOLI	3
otrichosis-Lymphedema-Telangiectasia	Dipartimento di Scienze Biomolecolari e Biotecnologie Universita' degli Studi		
	96.000,00		
arco Scientifico Biomedico San Raffaele Roma	ROMA	3	204.000,00
partimento di Istologia, Microbiologia e Biotecnologie Mediche - Universita' di Padova		PADOVA	2
ation of a novel translocation system and its implications for er physiology and pathology		Cnr Istituto di Neuroscience,	
MILANO	3	185.600,00	
ranscriptional regulation exerted by want signaling.	Istituto Nazionale per la Ricerca sul Cancro	GENOVA	3
partimento di Scienze Sperimentali Veterinarie	PADOVA	3	230.000,00
n, epilepsy and Xlag.	San Raffaele Scientific Institute	MILANO	2
or gene transcription	Dipartimento di Medicina Sperimentale e Clinica "G. Salvatore", Universita' di		
	203.000,00		
i.	"Dipartimento di Genetica Biologia e Biochimica		
	95.000,00		
tituto di Neuroscienze del C.N.R	PISA	2	111.100,00
rdrome	Fondazione IFOM - Firc Institute of Molecular Oncology	MILANO	3
js disease and congenital central Hypoventilation Syndrome	Istituto Giannina Gaslini	GENOVA	3
Is of excitable tissues for therapeutic use in skeletal muscle, heart, and brain channelopathies		Dipartimento Farmacobiologico-	
ARI	3	147.000,00	
s and monitoring of pregnancy Complications	Fondazione Centro San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	2
olesterolemia And The Prevention Of The Associated Premature Coronary Artery Disease		Dipartimento di Scienze	
MILANO	2	141.300,00	
	Dipartimento di Scienza Medica "A. Avogadro" - Universita' del Piemonte		
	149.000,00		
ardiomyopathy	UNITA' DI BIOLOGIA MOLECOLARE DEL MUSCOLO ICGB (International Centre		
RIESTE	3	180.000,00	
partimento di Medicina Interna - Universita' di Roma "Tor Vergata"	ROMA	3	126.000,00
ndazione Centro San Raffaele del Monte Tabor San Raffaele Scientific Institute Dibit		MILANO	3
ipartimento di Istologia, Microbiologia e Biotecnologia Medica - Universita' di Padova		PADOVA	2
ren, a novel suppressor of Gli function	Dipartimento di Medicina Sperimentale e Patologia - Universita' di Roma "La		
	182.000,00		
uola Internazionale di Studi Avanzati (Sissa)	TRIESTE	1	42.900,00
partimento di Biologia - Universita' di Roma "Tor Vergata"	ROMA	2	53.900,00
iversita' Cattolica del Sacro Cuore - Laboratorio di Epidemiologia Genetica e Ambientale, Laboratori di Ricerca Centro di Ricerca e			
AMPOBASSO	3	237.700,00	
stituto di Genetica e Biofisica CNR "Adriano Buzzati-Traverso"	NAPOLI	3	220.000,00
ort-related diseases.	Dipartimento di Biologia Cellulare ed Oncologia Consorzio Mario Negri Sud		
284.300,00			
partimento di Farmacologia Istituto di Neuroscienze - Universita' di Milano	MILANO	2	93.500,00
ipartimento di Medicina Sperimentale e Scienze Biochimiche - Universita' di Roma "Tor Vergata"		ROMA	3
ystrophies	"Unita' Operativa Malattie Neuro-Muscolari dell'universita' di Genova		
	140.000,00		
cuola Internazionale di Studi Avanzati (Sissa)	TRIESTE	2	183.000,00
rogramme On Mouse Biology European Molecular Biology Laboratory	MONTEROTONDO	3	181.500,00
inge-Biotecnologie Avanzate S.C.A R.L.	NAPOLI	3	171.500,00
ors, novel modulators and fresh pathogenetic mechanisms.	Dipartimento di Istologia, Microbiologia e Biotecnologia Medica - Universita' di		
	176.000,00		
tituto Superiore di Sanita' - Sezione di Carcinogenesi Chimica	ROMA	3	191.400,00
tituto di Biofisica Cnr	GENOVA	3	166.000,00

IL BILANCIO DI MISSIONE - I numeri di Telethon

In questa sezione Telethon ripropone sinteticamente i più significativi numeri di Telethon nel tempo:

l'andamento della raccolta fondi negli anni, il finanziamento complessivo alla ricerca interna ed esterna, il numero di ricercatori finanziati, l'elenco delle principali malattie studiate e il numero di pubblicazioni scientifiche prodotte al 30 giugno 2004.

