

Comitato Telethon  
Fondazione Onlus  
e Fondazione Telethon



**2011**

Bilancio di missione  
al 30 giugno

Abbiamo il coraggio di chiamarli eroi.

Sono i bambini che lottano, le famiglie che li sostengono, i ricercatori, i volontari e la società civile. Uno straordinario sistema di energie dirette verso una missione ardua ma non impossibile: sconfiggere definitivamente le malattie genetiche.

Determinati e concentrati sull'obiettivo, pronti a confrontarsi con la frustrazione della sconfitta e a superare ogni ostacolo, con la certezza che la cura sia possibile, i nostri protagonisti stanno contribuendo a costruire, tutti insieme, il mondo che meritiamo.

Un mondo i cui valori portanti sono l'eccellenza, la solidarietà, la trasparenza e l'impegno. Gli stessi che hanno permesso alla ricerca Telethon di conquistare la leadership mondiale in alcune aree della ricerca biomedica, individuando la via corretta per sconfiggere una grave malattia e aprendo nuovi orizzonti di applicazione per un gruppo di altre patologie, con ricadute importanti che favoriscono una migliore qualità di vita per molte persone.

Un mondo dove i nostri eroi del quotidiano stanno scrivendo un futuro possibile. Per tutti.



# Comitato Telethon Fondazione Onlus e Fondazione Telethon

## **Il Consiglio di Amministrazione**

Luca di Montezemolo | *Presidente*  
Omero Toso | *Vice Presidente*  
Francesca Pasinelli | *Direttore Generale*  
Carlo Ferdinando Carnacini  
Salvatore Di Mauro  
Alberto Fontana  
Luca Garavoglia  
Carlo Pontecorvo

---

## **La Commissione Medico-Scientifica\***

Renato Dulbecco | *Presidente Onorario*  
Michael Caplan | *Presidente*  
Daniel Bertrand  
Carmen Birchmeier  
Nica Borgese  
Patrik Brundin  
Stephen Cannon  
Marco Colonna  
Beverly Davidson  
Daniel Garry  
Gregory Germino  
Angela Giangrande  
Leslie Griffith  
Susan Hayflick  
Katherine High  
Bernard Hoflack

Gail Johnson  
Lynn Jorde  
Michel Koenig  
Barry London  
Jeffrey Molkentin  
Michael Murphy  
Harry Orr  
Josef Penninger  
Mani Ramaswami  
Tomas Rando  
Micheal Rudnicki  
Stephen Tapscott  
Maarten van Lohuizen  
Nick Wood

---

## **Il Consiglio di Indirizzo Scientifico**

Salvatore Di Mauro  
Pietro De Camilli  
Robert Goldstein  
Michio Hirano  
Robertson Parkman  
Paul Robbins

---

## **Il Collegio dei Revisori**

Tommaso di Tanno  
Gerardo Longobardi  
Paolo Omodeo Salè

---

## **La Società di Revisione**

Kpmg Spa

\* 'La Fondazione si avvale della Commissione Medico-Scientifica del Comitato Telethon Fondazione Onlus, fintantoché la Fondazione stessa non delibera la nomina di una propria Commissione' (art. 9 dello Statuto della Fondazione Telethon).

# La cura, un obiettivo realizzabile



**di Luca di Montezemolo**  
Presidente di Telethon

Ci sono molte buone notizie nel bilancio dell'ultimo anno di lavoro di Telethon, che pubblichiamo a pochi mesi dalla chiusura del nostro esercizio finanziario e mettiamo a disposizione dei nostri 'azionisti' prima della tradizionale maratona televisiva di dicembre.

C'è, innanzitutto, un dato: +12 per cento. Una crescita a doppia cifra, rispetto all'anno passato, dei fondi che mettiamo a disposizione della ricerca sulle malattie genetiche. In valori assoluti si tratta di 28,5 milioni di Euro, la somma più alta, nei nostri ventuno anni di storia. Quel dato, per noi di Telethon, rappresenta né più né meno quello che in qualunque azienda viene chiamato 'profitto'. Con la differenza che, nel nostro caso, non esiste lucro, non ci sono dividendi. Tutto viene speso per mandare avanti i progetti di ricerca attraverso il parere vincolante della nostra commissione scientifica internazionale che, dopo averli esaminati, ci indica quali studi sovvenzionare.

Altre buone notizie arrivano dai nostri laboratori. Nell'introdurre la passata edizione di questo documento ricordo di aver scritto che, a vent'anni dalla sua nascita, la ricerca di Telethon entrava finalmente nel vivo perché dopo il successo ormai acquisito del protocollo di terapia genica messo a punto per curare l'immunodeficienza congenita Ada-Scid – terapia che, negli anni, ha salvato la vita a 14 bambini provenienti da tutto il mondo – altri studi clinici erano in partenza e per altre malattie la cura diventava un obiettivo realizzabile. Erano, quelli, i giorni in cui annunciavamo un accordo che non abbiamo esitato a definire 'storico': l'alleanza con la multinazionale farmaceutica GlaxoSmithKline per sviluppare gli approcci terapeutici che gli scienziati di Telethon avevano messo a punto in anni di lavoro e arrivare, alla fine, a rendere fruibile a tutti i pazienti del mondo la cura per sette malattie genetiche. Affinché ciò si realizzi è necessario che tutti gli obiettivi di un programma molto articolato siano centrati con impegno ed efficacia. È passato un anno, da allora, e possiamo dire che gli studi intrapresi vanno avanti secondo i piani. Tutto senza sottrarre risorse alla ricerca di base, che continua a costituire una fucina che, negli anni, ha fatto emergere approcci terapeutici che si stanno avvicinando al letto del paziente per un numero crescente di patologie.

Da segnalare, riguardando l'agenda dell'anno passato, la partenza di uno studio clinico per testare la terapia cellulare della distrofia muscolare di Duchenne; si tratta di una pietra miliare nella lotta alla malattia per combattere la quale Telethon nacque, nel 1990, e un ulteriore passo avanti per una linea di ricerca che sosteniamo fin dai primi esperimenti in laboratorio. Più in generale mi piace ricordare il peso della nostra Fondazione nell'ambito della ricerca mondiale sulle malattie genetiche, con quasi cinquecento patologie studiate – che corrispondono a circa la metà delle mille affrontate dagli scienziati di tutto il mondo fino ad oggi – con riconoscimenti da parte della comunità scientifica internazionale e con le performance della nostra ricerca, misurate dagli indicatori bibliometrici, che ci vedono in vetta alla classifica mondiale, più in alto di Europa e Stati Uniti.

Tutti dati che troverete riportati nel nostro bilancio di missione, che vi invito a leggere e a far circolare tra i vostri conoscenti. Perché la forza di Telethon coincide con quella dei suoi sostenitori e i progressi della ricerca non esisterebbero senza il contributo della società civile.

# Nota metodologica

## **IL BILANCIO DI MISSIONE: FINALITÀ E STRUTTURA**

Il bilancio di missione nasce per verificare che tutte le attività siano in linea con le finalità previste dallo statuto e per consentire ai lettori di valutare il lavoro svolto da Telethon nel 2011.

Il periodo di riferimento è compreso tra il primo luglio 2010 e il 30 giugno 2011 e corrisponde all'esercizio contabile sia del Comitato Telethon Fondazione Onlus sia della Fondazione Telethon, i due enti a cui fa riferimento questo documento e i cui bilanci di esercizio sono soggetti alla certificazione della società di revisione Kpmg e all'approvazione del Consiglio di Amministrazione di Telethon.

Il presente documento riferisce anche di eventi successivi alla chiusura dell'esercizio che occorrono fino ai tre mesi successivi (30 settembre 2011, data entro cui il CdA ha approvato i bilanci contabili) e che riguardano informazioni istituzionali rilevanti.

La struttura del documento si articola in 6 sezioni ognuna delle quali contiene utili elementi di approfondimento della realtà Telethon:

- l'identità
- la ricerca
- la comunicazione
- la raccolta fondi
- la gestione delle risorse
- gli impegni per il futuro

## **I PRINCIPALI RIFERIMENTI DELLA RENDICONTAZIONE TELETHON**

Come nelle scorse edizioni, per la redazione di questo rapporto:

- sono state applicate le raccomandazioni contabili inserite nel 'Codice Unico delle aziende non profit 2007', redatte dal Consiglio nazionale dei dottori commercialisti;
- è stato utilizzato il sistema di elaborazione di indici di performance elaborato in Usa da Charity Navigator: Tali indici sono adottati anche da Airc, Aism, Cesvi, Comitato Italiano Unicef, Lega del Filo d'Oro, Save the Children Italia e Wwf Italia, che dal 2008 li pubblicano sui rispettivi bilanci.

# Indice

6	<b>L'IDENTITÀ</b>
8	Le malattie rare
10	Missione, visione e valori
12	Il modello organizzativo
14	Il sistema Telethon
18	La storia
20	I principali avvenimenti 2010-2011

---

22	<b>LA RICERCA</b>
24	La ricerca biomedica
26	Le scoperte 2010-2011
28	Gli indicatori della qualità scientifica
30	La valutazione dei progetti
32	I finanziamenti alla ricerca
36	Gli istituti Telethon
40	I servizi ai ricercatori

---

42	<b>LA COMUNICAZIONE</b>
44	L'informazione scientifica e istituzionale
46	Il filo diretto con i pazienti

---

48	<b>LA RACCOLTA FONDI</b>
50	La squadra della raccolta fondi
54	La Maratona Telethon
55	La Campagna di primavera
56	Tutto l'anno insieme agli Italiani

---

58	<b>LA GESTIONE DELLE RISORSE</b>
60	Il funzionamento della struttura
64	Le risorse umane

---

66	<b>GLI IMPEGNI PER IL FUTURO</b>
68	L'alleanza per la cura
70	Una progettualità di ampio respiro

---

72	<b>Prospetti di bilancio</b>
74	Stato patrimoniale del Comitato
76	Rendiconto della gestione del Comitato
78	Stato patrimoniale della Fondazione
80	Rendiconto della gestione della Fondazione

82	<b>Elenco dei progetti finanziati al 30 giugno 2011</b>
84	Delibere del Comitato
94	Delibere della Fondazione
94	Impieghi della Fondazione





L'IDENTITÀ

# La cura, per non escludere nessuno dalla speranza

Le malattie rare

Missione, visione e valori

Il modello organizzativo

Il sistema Telethon

La storia

I principali avvenimenti 2010-2011

# Le malattie rare

*Neglette e trascurate, colpiscono oltre il 3% dei bambini europei*

## ALCUNI DATI SULLE MALATTIE RARE

In generale, i dati epidemiologici sulla diffusione delle malattie rare sono molto scarsi e frammentari perché, a causa della difficoltà di diagnosi, le stime disponibili sono spesso per difetto. Per fare una fotografia realistica delle dimensioni del problema è importante considerare che, secondo la definizione corrente, in Europa si definisce rara una malattia che colpisce meno di 5 persone ogni 10.000, ragione per cui queste patologie sono spesso trascurate dai grandi investimenti pubblici e industriali. Il numero delle malattie rare oscilla tra 5.000 e 8.000, ma ogni settimana nelle pubblicazioni scientifiche ne vengono descritte di nuove. Le malattie rare colpiscono tra il 6 e l'8% della popolazione totale. In valore assoluto, si stima che le persone affette siano tra i 27 e i 36 milioni in Europa, 3 milioni in Italia e 20 milioni negli Usa. Nell'80 per cento dei casi le malattie rare sono di origine genetica, sono cioè causate da alterazioni del Dna e si trasmettono per via ereditaria. Possono colpire qualsiasi organo e manifestarsi a qualunque età, ma in particolare nei primi anni di vita (70% dei casi). Questo vuol dire che il 3-4% dei bambini nati in Europa è affetto da una malattia rara e il 30% di loro muore prima del quinto anno di età. La maggior parte delle malattie rare è grave o letale e senza terapie disponibili. Spesso, in mancanza di una diagnosi certa, i pazienti sono costretti a confrontarsi mediamente con 10 diversi specialisti nel corso della loro vita.

Il livello della conoscenza medico-scientifica sulle malattie rare è piuttosto carente. Per quanto il numero di pubblicazioni scientifiche sia in continuo aumento, sono meno di 1.000 le malattie rare (principalmente quelle che compaiono più di frequente) su cui esiste una conoscenza scientifica minima. Questo si traduce in grossi ritardi e inaccuratezze nella diagnosi. Secondo una indagine effettuata su 6.000 pazienti, il 25% ha dovuto aspettare da 5 a 30 anni per ottenere una diagnosi precisa.

Fonti: Orphanet, Eurordis, rapporto Cerm 2009



# Il volto dietro la malattia

*A Francesco servono 9 anni per avere una diagnosi. Samuel si sta sottoponendo alla terapia genica e per la madre è come se fosse nato una seconda volta. Pina continua a combattere, anche se suo figlio non c'è più. Tre storie per raccontare il mondo delle malattie rare*

## **SINDROME DI NOONAN – La storia di Francesco**

Francesco nasce il 27 agosto 1999. A 4 mesi viene ricoverato in ospedale per una bronchiolite e in quell'occasione i medici, che notano in lui delle difficoltà a seguire gli stimoli luminosi e un irrigidimento degli arti inferiori, gli diagnosticano una "leggera dilatazione degli spazi sub-aracnoidei". In realtà la cosa che continua a preoccupare maggiormente la mamma di Francesco, Antonella, è che il piccolo non cresce e, ogni volta che viene alimentato, dopo poco rigetta tutto. A dieci mesi pesa appena 5 Kg. Una successiva ecografia rivela che Francesco non riesce a digerire perché affetto dalla sindrome di Costello o di Berardinelli. A seguito di ulteriori accertamenti queste ipotesi vengono però smentite da una nuova diagnosi, questa volta per "leggera intolleranza al lattosio". Francesco però non migliora: ormai è scheletrico e con addome prominente.

Soffre di apnee notturne frequenti e viene operato per la rimozione delle tonsille e delle adenoidi ipertrofiche, e anche se i problemi respiratori migliorano, continua ad essere fortemente sottopeso. Nel 2002 gli viene diagnosticata la celiachia e, grazie a una dieta priva di glutine, Francesco acquista peso, ma la sua statura e la corporatura rimangono comunque ben al di sotto della media. Dopo un'infinita serie di accertamenti, nel 2008 giunge la diagnosi definitiva: sindrome di Noonan, una patologia per la quale fino a oggi, purtroppo, non esistono cure definitive. L'esattezza della diagnosi consente però di sottoporre il bambino a una terapia specifica che rallenta gli sviluppi della malattia e gli garantisce una migliore qualità di vita. Oggi Francesco frequenta la quinta elementare e di lui la mamma dice: "È piccolino, magro magro, ma ha carisma da vendere".

## **SINDROME DI WISKOTT-ALDRICH – La storia di Samuel**

Quando ha 4 mesi, Samuel si riempie di macchioline rosso porpora che coinvolgono pelle e mucose, un episodio che preoccupa e insospettisce i genitori e dà il via ai controlli medici. La prima diagnosi è il morbo di Werlhof, ma quando Samuel ha 3 anni viene modificata in "disturbo pervasivo dello sviluppo". Lo stato di salute continua a peggiorare e, dopo 5 anni di calvario, un campione di sangue del piccolo viene finalmente inviato all'istituto Telethon per la terapia genica di Milano, dove il professor Aiuti arriva alla diagnosi corretta: sindrome di Wiskott-Aldrich. Qui, ad aprile 2010, Samuel inizia il percorso della terapia genica con l'infusione del gene corretto e tra tre anni si potrà dire con certezza se la terapia ha avuto esito positivo. "È stato bellissimo – dice Nicoletta, la mamma – come fosse nato una seconda volta".

## **SINDROME DI MELAS – La storia di Francesco e Pina**

Il 20 marzo 2011, a soli 12 anni, muore Francesco Bellomo a causa della sindrome di Melas, una malattia mitocondriale multisistemica con forte coinvolgimento neurologico. Alla vigilia della maratona 2010, Pina scrive a Telethon questa lettera: "Carissimi amici di Telethon, sono passati 8 mesi da quando Francesco se ne è andato, ma la mia promessa di continuare a lottare per lui e per tutti i bambini che soffrono ancora e lottano, ad armi impari, contro le terribili malattie mitocondriali, continua e si traduce in fatti concreti. Come già saprete, il direttivo

dell'associazione Mitocon (di cui sono membro) ha deciso di devolvere 30.000 Euro a Telethon, adottando il Program Project sulla terapia delle malattie mitocondriali del professor Zeviani e della sua équipe. L'avevo detto nel mio saluto a Francesco sul vostro bollettino che avrei continuato il mio impegno con Telethon e sono felice di essere riuscita, insieme agli amici di Mitocon, a mantenere questa promessa. È un piccolo gesto, per ora, ma spero che potrà diventare nel tempo sempre più grande. Un abbraccio a tutti. Grazie per la vostra dedizione".

# Missione, visione e valori

## LA NOSTRA MISSIONE

**Far avanzare la ricerca biomedica verso la cura della distrofia muscolare e delle altre malattie genetiche**

Dal 1990, anno della fondazione di Telethon, il nostro compito è quello di sostenere la ricerca scientifica italiana di eccellenza per lo studio e la cura delle malattie genetiche, con l'obiettivo di sviluppare terapie efficaci contro queste gravi patologie. Alla base del perseguimento della nostra missione ci sono le seguenti condizioni che ispirano tutte le nostre attività:

- dare priorità a quelle malattie che per la loro rarità sono trascurate dai grandi investimenti pubblici e industriali
- dare fondi ad eccellenti progetti di ricerca e ai migliori ricercatori in Italia
- far partecipare gli Italiani alla lotta contro le malattie genetiche
- far sapere a chi ci aiuta come vengono spesi i soldi che raccogliamo



## LA NOSTRA VISIONE

**Rendere fruibili come terapie i risultati della ricerca eccellente, selezionata e sostenuta nel tempo**

Trovare la cura non è più il punto di arrivo, ma diventa un nuovo punto di partenza. Dobbiamo fare ogni sforzo possibile per garantire che le terapie di successo, messe a punto grazie alla ricerca da noi finanziata, siano disponibili a tutti e non si fermino all'ambito della sperimentazione clinica. Per questo in futuro, mentre continuiamo a sostenere eccellente ricerca, vogliamo lavorare tenacemente anche per sviluppare collaborazioni con le istituzioni pubbliche sanitarie e le industrie farmaceutiche, secondo le competenze e le responsabilità di ciascuno, per tradurre i risultati della ricerca in trattamenti e farmaci fruibili da tutti i pazienti nel mondo.

## I NOSTRI VALORI

### Eticità

Lavorare con l'intento prioritario di migliorare la qualità di vita di coloro che beneficiano e beneficeranno della ricerca Telethon nel rispetto di tutti i soggetti coinvolti nel nostro lavoro.

### Trasparenza

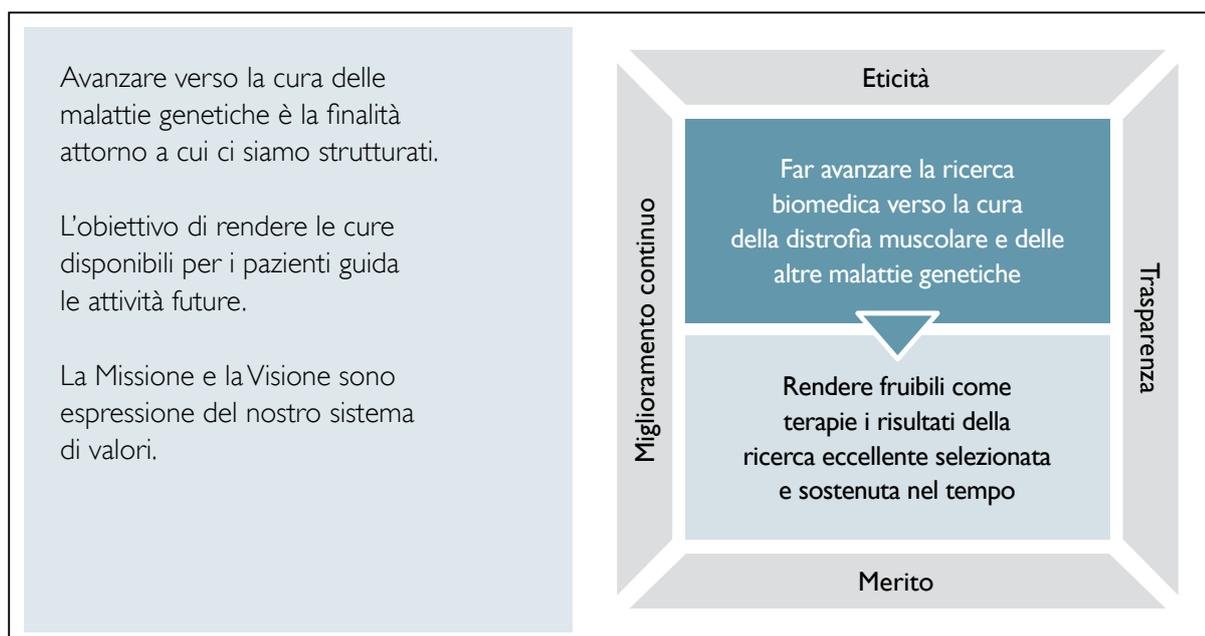
Rendere accessibili a tutte le persone interessate – in modo chiaro e corretto – le informazioni utili per valutare il nostro operato.

### Miglioramento continuo

Interrogarsi sempre su come fare meglio il proprio lavoro, confrontarsi apertamente con gli altri prendendo spunto dai casi di successo per crescere giorno dopo giorno.

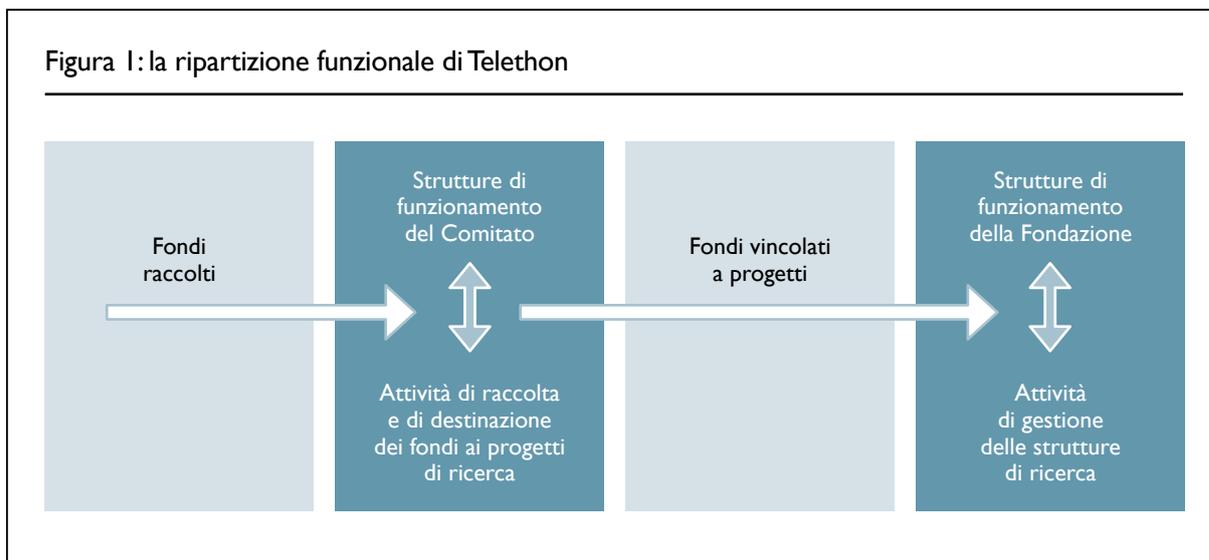
### Merito

Promuovere modalità e criteri di scelta rigorosi e competitivi, con la finalità di premiare e valorizzare il talento e la competenza.



# Il modello organizzativo

Telethon è composto dal Comitato Telethon Fondazione Onlus e dalla Fondazione Telethon, due enti privati non profit, distinti e complementari, riconosciuti dal Ministero dell'Università e della Ricerca. Questa divisione, risalente al 1995, è dovuta alla volontà, che allora si sentiva, di separare le attività di promozione, raccolta e assegnazione fondi da quelle di gestione degli istituti e dei progetti di ricerca.



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

La Fondazione si occupa principalmente della gestione di propri istituti di ricerca (Tigem, Hsr-Tiget, Dti e Tecnothon). 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 dall'impiego controllato ed efficiente delle risorse a disposizione. A richiesta, la Fondazione si occupa della Gestione diretta e gratuita dei fondi di ricerca assegnati dal Comitato a istituti esterni: i ricercatori finanziati affidano alla Fondazione l'assegnazione delle borse di studio e l'acquisto di prodotti e servizi necessari ai loro progetti.

Per garantire una gestione armonica del Comitato e della Fondazione sono state previste alcune disposizioni negli statuti dei due enti che permettono ai rispettivi Consigli di Amministrazione (CdA) di essere composti dalle stesse persone e di avere quindi una stessa struttura di governo.

Nel corso dell'esercizio si sono succeduti i seguenti avvenimenti:

- il 23 febbraio 2011 il Consiglio di Amministrazione ha nominato, in un'ottica di rinnovamento, un nuovo Collegio dei Revisori – composto dai sindaci Tommaso Di Tanno, Gerardo Longobardi e Paolo Omodeo Salè – il cui mandato scadrà alla data del CdA convocato per l'approvazione di bilancio relativo al terzo esercizio della carica; nella stessa seduta il CdA ha anche deliberato la nomina di due nuovi consiglieri di amministrazione: Luca Garavoglia e Carlo Pontecorvo. Garavoglia, milanese, classe 1969, è presidente di Davide Campari – Milano spa, capogruppo del Gruppo Campari e membro dell'Italian Council dell'Insead di Fontainebleau. Pontecorvo, nato a

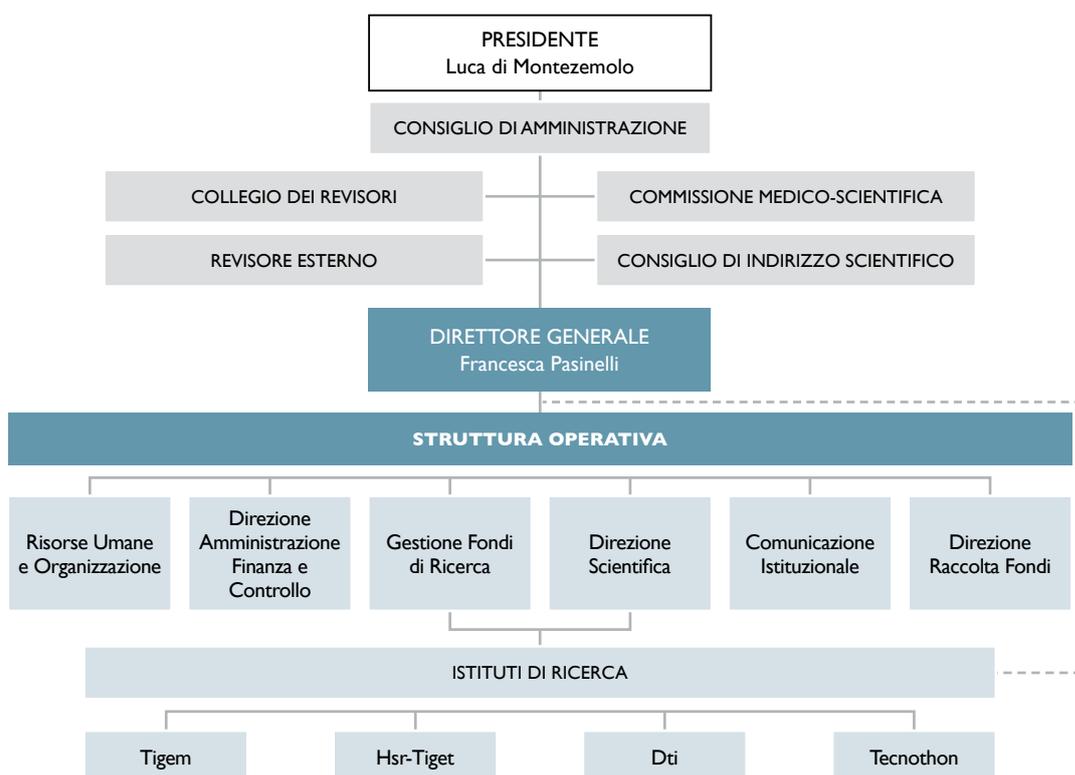
Napoli nel 1951, medico chirurgo e cavaliere del lavoro, è amministratore unico di LGR Holding Spa, holding familiare a cui fa capo anche Ferrarelle Spa;

- Il 19 luglio 2011 si è spento, all'età di 80 anni, Boris Biancheri, diplomatico d'eccellenza, che ha rappresentato l'Italia in sedi importanti come Tokyo, Londra e Washington e che dal novembre 2004, coinvolto da Susanna Agnelli, aveva accettato di ricoprire il ruolo di consigliere di amministrazione di Telethon portando il proprio contributo alla sfida contro le malattie genetiche con la passione, la competenza e il garbo che gli erano propri.

Al 30 settembre 2011 il CdA di Telethon è composto da Luca di Montezemolo, in qualità di presidente, Omero Toso (vice presidente), Francesca Pasinelli (direttore generale), Carlo Ferdinando Camacini, Salvatore Di Mauro, Alberto Fontana, Luca Garavoglia e Carlo Pontecorvo: 8 membri che rappresentano il mondo imprenditoriale, della ricerca e delle associazioni di malattia.

Al Consiglio di Amministrazione rispondono gli organi consultivi, la struttura operativa e gli istituti interni di ricerca (Figura 2). Gli organi consultivi sono: il Collegio dei Revisori, che vigila sull'osservanza della legge e dello statuto, sul rispetto dei principi di corretta amministrazione e sull'adeguatezza organizzativa del sistema amministrativo e contabile; il Revisore Esterno, che accerta la regolare tenuta della contabilità sociale e delle scritture contabili e verifica la conformità del bilancio alle norme che lo disciplinano; la Commissione Medico-Scientifica, nel ruolo chiave di valutazione dei progetti di ricerca; il Consiglio di Indirizzo Scientifico, che supporta le scelte di indirizzo e gestione del Consiglio di Amministrazione nell'ambito della ricerca biomedica. La struttura operativa è gestita dalla Direzione Generale che coordina le attività di 6 aree funzionali attraverso il Comitato Esecutivo, composto dai suoi primi riporti, con il compito di elaborare le proposte per il vertice e di implementare le decisioni condivise con il CdA.

**Figura 2: l'organigramma di Telethon al 30 giugno 2011**



# Il sistema Telethon

*Tre protagonisti, uniti in un grande progetto*

*Telethon ha costruito un sistema che si fonda sulla relazione fra i pazienti, la società civile e il mondo della ricerca. L'obiettivo è quello di garantire l'equilibrio tra queste realtà, affinché i pazienti si sentano garantiti da una ricerca di qualità, i donatori sappiano con certezza come sono stati investiti i loro soldi e i ricercatori si sentano sostenuti e apprezzati per l'eccellenza delle loro competenze e per la qualità del loro impegno*

Telethon si fonda sull'**associazione** di tre grandi portatori d'interesse, i pazienti e le loro famiglie, la società, il mondo della ricerca. Per sviluppare questa relazione e mantenere l'equilibrio di questo sistema, Telethon ha stabilito regole chiare e condivise da tutti: l'autonomia di ciascuno di questi soggetti rispetto agli altri e la trasparenza.

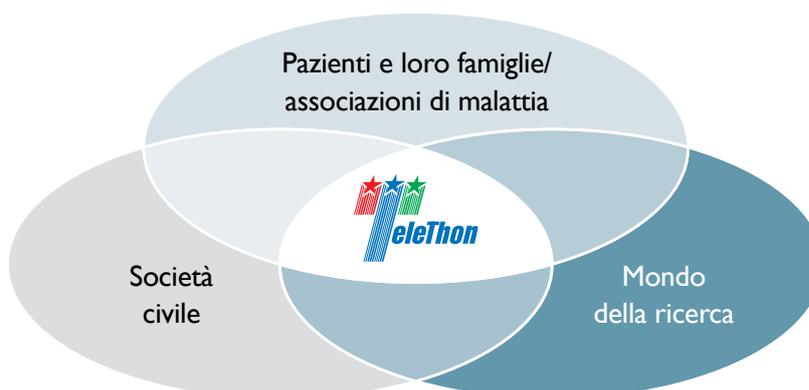
## **Autonomia**

- nel sistema di finanziamento, che assicura la giusta distanza fra chi chiede, chi decide e chi eroga;
- nelle strategie operative, dove nessuna pressione politica o commerciale deve condizionare scelte, obiettivi e funzioni;
- nel rispetto delle regole della scienza, che impongono qualità, rigore, pazienza e costante confronto internazionale, evitando le promesse di soluzioni miracolose e immediate.

## **Trasparenza**

- sugli obiettivi che vogliamo raggiungere e che stiamo perseguendo;
- sui progetti che selezioniamo, premiando in primo luogo il merito scientifico e le potenzialità della ricerca;
- sulla rigorosa valutazione da parte di una commissione indipendente composta da esperti di tutto il mondo, all'avanguardia in campo scientifico;
- sulla destinazione delle risorse che abbiamo a disposizione, pubblicando cifre e dati aggiornati con un rendiconto attento e preciso.

Figura 3: il sistema Telethon



## I PAZIENTI E LE LORO ASSOCIAZIONI

Tutto il lavoro di Telethon è finalizzato a portare benefici ai pazienti e alle loro famiglie, garantendo una ricerca di qualità per le malattie di loro interesse. Telethon, oltre a sostenere la ricerca, si occupa anche di informare sulle malattie genetiche e sullo stato della ricerca scientifica, indirizzare ai centri di riferimento e agli specialisti, favorire il contatto e lo scambio tra persone che condividono situazioni simili, anche attraverso le associazioni di malattia.



### **Unione italiana lotta alla distrofia muscolare (Uildm)**

Telethon è nato nel 1990 su iniziativa della Uildm. Il forte legame si è consolidato negli anni. La distrofia e le altre malattie neuromuscolari rivestono un ruolo centrale nella missione di Telethon, espresso principalmente attraverso impieghi in ricerca e servizi al paziente che hanno come obiettivo il miglioramento della qualità della vita. Nel 2011 Uildm ha festeggiato il 50° anniversario della sua fondazione (1961).

## I SOGGETTI DELLA RICERCA

**Enti esterni finanziati** – Università, Irccs, Cnr, ospedali

Telethon finanzia enti pubblici e privati non profit, approvando progetti condotti da ricercatori afferenti a questi enti che hanno risposto a un bando pubblico e superato il rigoroso processo di peer-review.

**Istituti interni di ricerca** – Tigem, Hsr-Tiget, Dti, Tecnothon

Sono istituti creati e gestiti dalla Fondazione Telethon per garantire progetti di ricerca eccellente, un ambiente di ricerca adeguato e un luogo di lavoro propositivo e fertile.

**Alleanze di ricerca** – Fondazione Serena, Fondazione Aurora, Arisla

Sono soggetti costituiti ad hoc con altri enti partecipanti in aree dedicate alla ricerca biomedica, per far crescere l'attenzione, la sensibilità e l'impegno verso la cura della distrofia e delle altre malattie genetiche.

## LA SOCIETÀ CIVILE

Cittadini, imprese, enti e istituzioni scelgono ogni anno di investire responsabilmente tempo e risorse economiche per un futuro libero dalle malattie genetiche, facendo parte di un grande progetto di valore etico e sociale. Anche i media (stampa, tv, radio, web) svolgono un ruolo molto importante nel diffondere i principi e i contenuti della missione di Telethon, promuovendo la partecipazione ai suoi valori, al sostegno delle sue attività, all'avanzamento scientifico del nostro Paese e alla condivisione di una idea di società più partecipativa. In particolare la Rai, con la quale Telethon ha realizzato la prima maratona italiana di raccolta fondi e con cui collabora ininterrottamente da oltre 20 anni, svolge un ruolo primario nell'informare il pubblico sulle malattie genetiche, sugli sviluppi della ricerca e sulle condizioni di vita delle persone affette da malattie genetiche.

# Esempi virtuosi del sistema

*L'impegno nell'ambito della lotta alle malattie neuromuscolari si articola in diverse iniziative nate da forme di collaborazione, partenariato e alleanza con associazioni di pazienti, mondo della ricerca e società civile*

## **I progetti clinici Telethon-Uildm**

Dal 2001 i fondi raccolti dai volontari Uildm durante la maratona Telethon vengono dedicati ad un bando speciale per progetti di ricerca clinica che hanno come obiettivo il miglioramento della qualità della vita dei malati di patologie neuromuscolari. Complessivamente, al 30 giugno 2011, sono stati istituiti 10 bandi e approvati 38 progetti – per un importo complessivo di 6.080.905 Euro – che hanno coinvolto oltre 35 centri clinici e più di 4.000 pazienti con malattie neuromuscolari.

## **Fondazione Serena e Centro Nemo**

Nemo (NeuroMuscular Omnicentre) è il centro multispecialistico dedicato esclusivamente a chi è affetto da patologie neuromuscolari. Si tratta della prima struttura in Italia nata con l'obiettivo della presa in carico globale del malato attraverso l'attivazione di un piano clinico-assistenziale basato sulla multidisciplinarietà, che pone il paziente al centro dell'attenzione per restituirgli la migliore qualità di vita possibile. Un punto di riferimento in Italia per i pazienti affetti da distrofia muscolare e sclerosi laterale amiotrofica, la cui gestione è affidata alla Fondazione Serena, onlus nata dalla collaborazione tra Uildm, Fondazione Telethon e Azienda Ospedaliera Niguarda. Al suo interno lavora uno staff di 44 professionisti, pronti a prendersi cura del malato per tutte le sue esigenze fisiche, psichiche e relazionali. Una struttura con 20 posti letto – il 30% dei quali è destinato ad adolescenti – più 4 posti nel day hospital che eroga servizi a circa 1.300 pazienti l'anno (il 30% riguarda malati di distrofia; il 60% malati di Sla; il 10% altre patologie neuromuscolari). Il 10% ha meno di 18 anni. Al 30 giugno 2011, il contributo complessivo di Telethon alla Fondazione Serena è di 800.000 Euro.

## **Fondazione Aurora e Centro Nemo Sud**

Per replicare il progetto dei Centro Nemo nel meridione, l'11 luglio 2011 è nata a Messina la Fondazione Aurora Onlus, ente senza scopo di lucro che curerà la gestione del Centro clinico Nemo Sud, nuovo punto di riferimento per le persone con malattie neuromuscolari e le loro famiglie che sorgerà presso il Policlinico 'G. Martino' entro il 2011. Il Centro sarà dotato di 20 posti letto, 2 di day hospital, e di alcuni ambulatori e utilizzerà una metodologia di intervento di tipo multidisciplinare in sinergia con il Dipartimento di neurologia e malattie neuromuscolari del Policlinico. Soci fondatori del nuovo ente sono Uildm, Aisla (Associazione italiana sclerosi laterale amiotrofica), Policlinico G. Martino, Università di Messina e Fondazione Telethon che, in data 16 giugno 2011, ha deliberato il conferimento di 143.000 Euro per questa iniziativa.

## **Arisla**

Arisla (Agenzia di ricerca per la sclerosi laterale amiotrofica) è un'iniziativa costituita il 14 novembre 2008, nata dalla collaborazione tra Fondazione Cariplo, Fondazione Telethon, Fondazione Vialli e Mauro per la ricerca e lo sport e Aisla. L'obiettivo è quello di offrire ai malati di Sla più speranze di cura e migliore qualità di vita, moltiplicando gli investimenti su questa malattia grazie al contributo dei vari fondatori. Telethon, oltre ad aver conferito un contributo complessivo ad Arisla di 1.200.000 Euro negli ultimi tre anni, fornisce anche un importante sostegno alla sua gestione, mettendo a disposizione gratuitamente sia la consulenza sui sistemi di valutazione e selezione dei progetti, sia il supporto operativo per la loro gestione amministrativa.

## **Il Network Telethon di biobanche genetiche**

Le biobanche sono strutture che preservano campioni biologici estremamente rari e rilevanti per la ricerca sulle malattie genetiche, rendendoli disponibili alla comunità scientifica. Questi campioni sono molto preziosi anche per i pazienti, che spesso riescono a ricevere una diagnosi proprio grazie al servizio offerto dalle biobanche. Nel 2007 Telethon ha promosso la realizzazione di una rete di biobanche con l'obiettivo di valorizzare la loro finalità presso



la comunità nazionale e internazionale. Ben 5 delle 10 biobanche del network sono focalizzate sulle patologie neuromuscolari costituendo l'intera componente italiana dell'EuroBioBank, la rete europea delle biobanche di ricerca in ambito neuromuscolare. Ad oggi il network ha collezionato 25 mila campioni biologici provenienti da più di 500 malattie genetiche. Inoltre in questi anni il network ha raggiunto una notevole reputazione ed una visibilità di livello internazionale, come dimostra il fatto che più di 15 mila campioni sono già stati richiesti da ricercatori coinvolti in studi di malattie genetiche e circa il 15% delle richieste provengono da laboratori situati al di fuori del territorio italiano. Al 30 giugno 2011 il contributo della Fondazione Telethon per questa iniziativa ammonta a 1.701.660 Euro.

### **Il registro dei pazienti neuromuscolari**

Nel marzo 2009 è stata istituita la Consulta delle malattie neuromuscolari e dopo pochi mesi è nato il Registro dei pazienti neuromuscolari per raccogliere dati anagrafici, genetici e clinici di pazienti affetti da distrofia muscolare di Duchenne-Becker, atrofia muscolare spinale (Sma) e sclerosi laterale amiotrofica (Sla). Il registro è nato dall'alleanza tra Aisla, Asamsi, Famiglie Sma, Uildm e Fondazione Telethon a cui si è unito nel 2011 un altro partner, l'Associazione Acmt Rete dei pazienti con malattia di Charcot-Marie-Tooth (Cmt). Grazie al registro sarà possibile avere informazioni su dove vivono le persone affette da queste malattie neuromuscolari, qual è il loro difetto genetico e lo stato di salute, offrire ai pazienti e alle famiglie la possibilità di essere informati direttamente su eventuali trial clinici in sviluppo, e potervi partecipare qualora vi sia corrispondenza con le caratteristiche di reclutamento previste dal protocollo clinico. Il registro è parte di quello internazionale coordinato dal Treat-Nmd, il network europeo sulle malattie neuromuscolari e, per la parte relativa alla malattia Cmt, al registro americano affiliato al Rare Diseases Clinical Research Network (Università della Florida).

### **La rete europea Treat-Nmd**

Il network Treat-Nmd è la rete di ricerca traslazionale per lo studio e il trattamento delle malattie neuromuscolari in Europa. Questa rete di eccellenza riunisce 21 organizzazioni di 11 paesi europei e ha in Telethon il rappresentante italiano. Il network Treat-Nmd permette la collaborazione dei principali specialisti europei in malattie neuromuscolari grazie a fondi dell'Unione Europea. La rete include anche associazioni di pazienti e aziende farmaceutiche attive in questo settore. I partner sono impegnati in una serie di attività di integrazione come lo sviluppo di criteri comuni per la diagnosi e la gestione clinica attraverso l'implementazione di standard di cura condivisi e aggiornati, la realizzazione di registri internazionali di pazienti, la creazione di un centro di coordinamento internazionale per gli studi clinici e la definizione di procedure standardizzate di valutazione della tossicità, della qualità e della sicurezza delle nuove terapie.

# La storia

## Le date principali

L'associazione che riunisce le famiglie di malati di distrofia muscolare (Uildm) si appella a Susanna Agnelli per portare anche in Italia l'iniziativa Telethon. **Nasce il Comitato Promotore** sotto gli auspici della Uildm. Il 7 e 8 dicembre va in onda su Rai 1 la prima maratona televisiva che raccoglie quasi 20 miliardi di lire.

Il Comitato Telethon estende i propri **finanziamenti alla ricerca su tutte le malattie genetiche.**

In collaborazione con la Fondazione San Raffaele **nasce l'Hsr-Tiget**, l'istituto San Raffaele Telethon per la terapia genica. Con sede a Milano, dispone di una avanzata struttura ospedaliera che consente di sviluppare una ricerca integrata tra laboratorio e sperimentazione clinica.

Per gestire gli istituti di ricerca nati dall'iniziativa e dai finanziamenti di Telethon, **nasce la Fondazione Telethon.**

**Viene creato il Dti**, l'istituto Telethon Dulbecco, un istituto virtuale nato per offrire a ricercatori qualificati la possibilità di una carriera indipendente all'interno di istituzioni scientifiche italiane.

**Il Comitato Telethon riceve l'Alto Patronato della Presidenza della Repubblica.**

1990

1992

1995

1999

1991

1994

1998

2001

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

**Nasce il Tigem**, l'istituto Telethon di genetica e medicina che studia i difetti genetici che stanno alla base di alcune malattie ereditarie.

Nello stesso anno **viene istituito il Tecnothon**, laboratorio di ricerca tecnologica che si occupa della realizzazione di ausili per migliorare la qualità della vita delle persone disabili.

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

**Telethon vince il premio 'Oscar di Bilancio e della Comunicazione delle Organizzazioni Non Profit'** per completezza, chiarezza e rigore della sua rendicontazione e per la sua efficienza organizzativa.

Per la prima volta al mondo, grazie a un intervento di terapia genica svolto presso l'**Hsr-Tiget**, **guariscono in modo definitivo due bambine affette dalla malattia Ada-Scid**, una grave immunodeficienza ereditaria.

2002

L'ente governativo americano che autorizza le terapie, **la Food and Drug Administration, riconosce il protocollo clinico dell'Ada-Scid adottato dall'Hsr-Tiget** come quello più valido, imponendone l'adozione anche negli Stati Uniti. **La ricerca italiana è competitiva a livello mondiale.**

2005

Grazie a uno studio finanziato principalmente da Telethon, **curati cani affetti da una forma spontanea di distrofia muscolare di Duchenne** mediante il trapianto di cellule staminali adulte chiamate mesangioblasti. Il trattamento ha migliorato nettamente la loro forza e deambulazione. Si lavora per trasferire la sperimentazione sull'uomo.

2007

Il 15 maggio a Roma **muore Susanna Agnelli, presidente Telethon dal 1990**. Il 7 luglio, nominato dal Consiglio di Amministrazione Telethon, **le succede Luca di Montezemolo.**

La prestigiosa rivista scientifica **Science indica tra le 10 scoperte più importanti del 2009 'il ritorno della terapia genica'** con la descrizione di studi che portano la firma Telethon.

2009

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.

2006

Con la consulenza del suo Consiglio di Indirizzo Scientifico, **la Fondazione Telethon realizza il primo piano strategico della ricerca** per guidare la ricerca biomedica fino al 2010.

2008

**Primo intervento al mondo di terapia genica di una malattia ereditaria dell'occhio, l'amaurosi congenita di Leber**, iniettando nello spazio sottoretinico dell'occhio un 'virus navicella' contenente la versione sana del gene alterato. Grazie ai progressi nella messa a punto di questi virus navicella la ricerca sta progredendo verso la terapia di altre malattie genetiche dell'occhio.

2010

Ad aprile, **Telethon avvia la sperimentazione della terapia genica nei confronti di due malattie genetiche** (leucodistrofia metacromatica e sindrome di Wiskott-Aldrich).

A ottobre **Telethon, San Raffaele e GlaxoSmithKline siglano un accordo per lo sviluppo e la messa a disposizione ai pazienti della terapia genica per 7 diverse malattie genetiche**. Per Telethon significa realizzare la visione indicata nel piano strategico della ricerca: essere una charity riconosciuta internazionalmente che trasforma ricerca eccellente in terapie disponibili ai pazienti.

# I principali avvenimenti 2010-2011

Dicembre 2010 – **Inaugurato un laboratorio Telethon a Houston.** Ospitato presso il Texas Children's Hospital e gestito in partnership con il Baylor College of Medicine, incentra le proprie attività sullo studio delle malattie lisosomiali. Alla guida è nominato Andrea Ballabio, direttore dell'istituto Telethon di genetica e medicina di Napoli (Tigem).

Dicembre 2010 – **Il 19 dicembre, al termine della Maratona Tv, il numeratore segna 32 milioni 100 mila Euro.** Il numeratore rappresenta il senso della sfida e del miglioramento continuo. Nel computo sono considerati i fondi raccolti dal 1° luglio fino all'inizio della trasmissione, la stima prudenziale dei fondi raccolti dalla squadra dei partner e le donazioni-promesse raccolte in diretta Tv.

Febbraio 2011 – **Luca Garavoglia e Carlo Pontecorvo entrano nel CdA.** Il Consiglio di Amministrazione di Telethon si arricchisce e diventa ancora più rappresentativo della società italiana.

Marzo 2011 – **La sedicesima edizione della Convention Scientifica Telethon** vede partecipare 670 scienziati provenienti da tutta Italia e 140 rappresentanti delle associazioni di malattie rare. La Convention è l'occasione per presentare progressi e prospettive dei progetti di ricerca alla comunità scientifica e dei pazienti.

Marzo 2011 – **Avviato trial per la terapia cellulare della distrofia muscolare di Duchenne.** Il trial è solo all'inizio e ha come obiettivo principale la dimostrazione della sicurezza della terapia cellulare che ha funzionato nel modello animale. Per ora non ci si aspetta una cura definitiva, si auspica piuttosto che la terapia si dimostri sicura e che porti a un miglioramento nella forza muscolare dei bambini trattati.

Maggio 2011 – Per accrescere le opportunità di conoscenza della missione Telethon, e favorire nuove attività di raccolta fondi, viene avviata la **Campagna di primavera.** La manifestazione *Walk of Life* organizzata in 90 parchi naturali coinvolge, accanto alle guide, numerosi ricercatori Telethon che illustrano ai partecipanti i progressi della ricerca. Grande impatto di pubblico ottiene anche la Partita del Cuore, giunta alla ventesima edizione e trasmessa in diretta su Rai Uno in prima serata.

Giugno 2011 – **Da Telethon oltre 28 milioni di Euro per la ricerca scientifica sulle malattie genetiche rare, il 12% in più rispetto all'anno passato.** Di questi, quasi 15 milioni sono destinati al supporto di programmi e progetti svolti in laboratori distribuiti sull'intero territorio nazionale. Con l'assegnazione dei fondi da parte della Commissione Medico-Scientifica, riunitasi a Roma, sono complessivamente 101 i laboratori finanziati. 14 milioni sono destinati al sostegno dell'attività degli istituti Telethon.

Luglio 2011 – **Telethon riunisce a Torino i suoi volontari nell'evento 'Merito loro'.** La presentazione dei risultati dell'anno è l'occasione per far conoscere al grande pubblico coloro che prestano volontariamente la loro opera sul territorio, i familiari di bambini malati, i volontari d'impresa e i revisori scientifici.

Luglio 2011 – **Nasce la Fondazione Aurora Onlus** che curerà la gestione del Centro clinico Nemo Sud nuovo punto di riferimento per le persone con malattie neuromuscolari e le loro famiglie. Soci fondatori del nuovo ente sono Uildm, Aisla, Fondazione Telethon, Policlinico e Università di Messina.



Settembre 2011 – Approda per la prima volta in Italia **Elephant Parade**. L'iniziativa internazionale, nata per sensibilizzare il pubblico sulla salvaguardia dei cuccioli di elefante indiano, quest'anno sceglie anche Telethon come beneficiario della raccolta. Alla manifestazione partecipano artisti internazionali attivi nella creazione di 80 elefantini, due dei quali – uno di Medath Shafik e l'altro firmato Ferrari – sono dedicati a Telethon. A fine novembre, le 80 opere realizzate vengono battute all'asta e una parte del ricavato è destinata a Telethon.

### Premi e riconoscimenti

**Alessandra Biffi**, ricercatrice dell'istituto Telethon di Milano, nell'ambito della Conferenza Women & Technologies, riceve la **Medaglia del Presidente della Repubblica e il Premio 'Tecnovisionarie'** alla carriera, per il lavoro condotto sulla terapia genica per la cura della leucodistrofia metacromatica.

**Davide Corona**, ricercatore dell'istituto Telethon Dulbecco presso l'Università di Palermo, è uno dei 21 giovani ricercatori europei, l'unico italiano, premiati quest'anno dall'Organizzazione europea per la biologia molecolare (Embo), prestigioso ente che, attraverso il programma **'Young Investigators'**, sceglie i più promettenti ricercatori europei giunti a un punto di svolta della loro carriera scientifica.

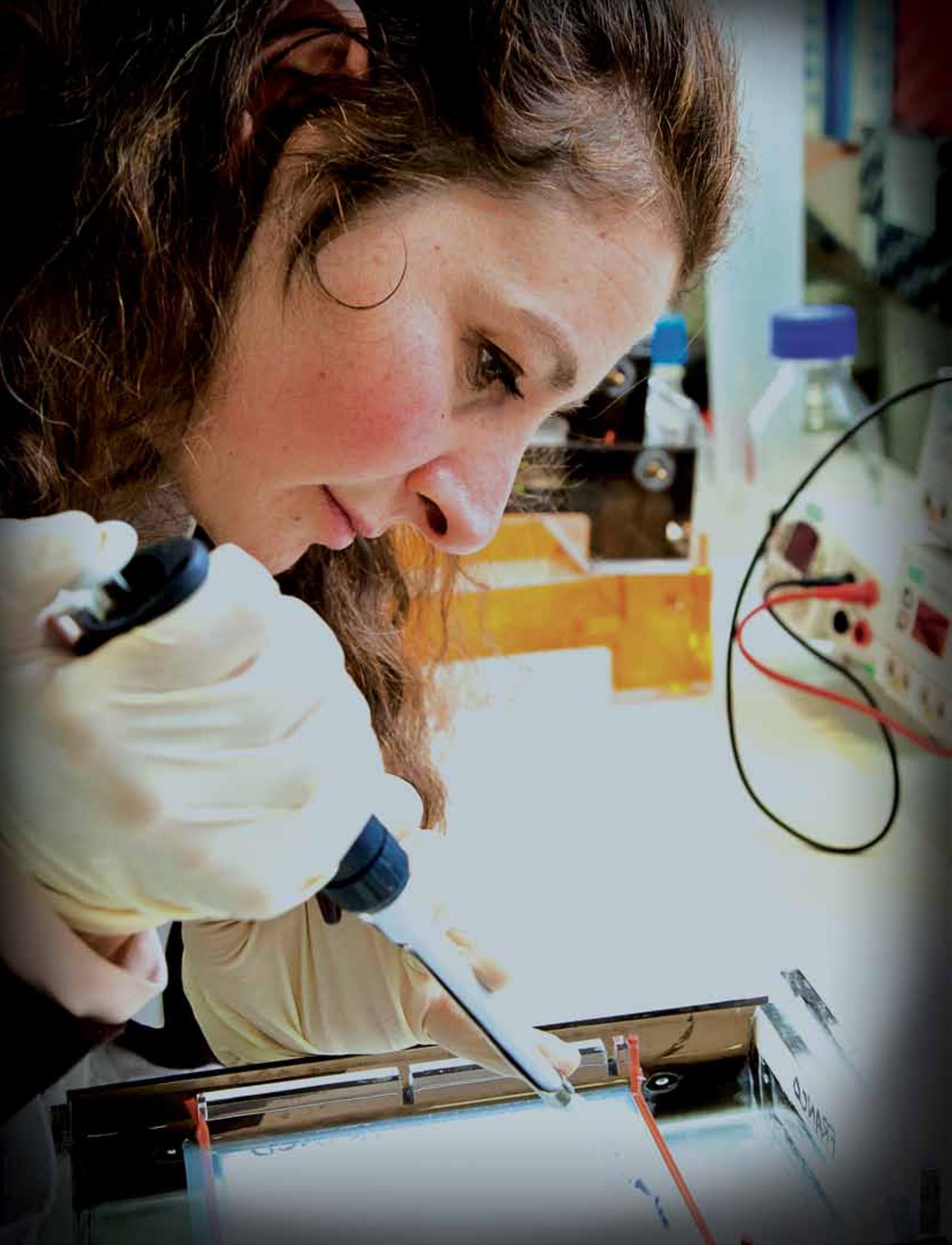
**Alberto Fontana**, presidente Uildm e dal 2009 membro del Consiglio di Amministrazione di Telethon, viene insignito del **Premio 'Milano Lavora'**, istituito in onore di Marco Biagi.

**Nicoletta Landsberger**, ricercatrice presso l'istituto San Raffaele di Milano, è nominata **Commendatore al Merito della Repubblica Italiana** dal Presidente Giorgio Napolitano, in occasione della Giornata internazionale della donna. La professoressa dedica l'onorificenza a Telethon e all'associazione ProRett: 'Perché – dichiara – mi hanno insegnato il valore del mio lavoro'.

**Omero Toso**, vicepresidente Telethon, in occasione del decimo Congresso internazionale della società mediterranea di miologia, riceve il **Premio Gaetano Conte**, come riconoscimento al suo impegno in ambito sociale.

A Telethon, l'**Assobiotec Award 2011**, come riconoscimento al ruolo di primissimo piano svolto da Telethon nella promozione dell'innovazione, della ricerca scientifica e del trasferimento tecnologico nel settore delle biotecnologie.

La giuria del **Premio Compasso d'oro**, istituito dall'Associazione per il disegno industriale (Adi), conferisce la **menzione d'onore** al laboratorio di ricerca tecnologica **Tecnothon** per il progetto Molekola, un prototipo di sollevatore ideato per trasferire, da una seduta all'altra, una persona che non sia in grado di farlo in modo autonomo.





LA RICERCA

# Il metodo, per guidare il talento verso obiettivi ambiziosi

La ricerca biomedica

Le scoperte 2010-2011

Gli indicatori della qualità scientifica

La valutazione dei progetti

I finanziamenti alla ricerca

Gli istituti Telethon

I servizi ai ricercatori

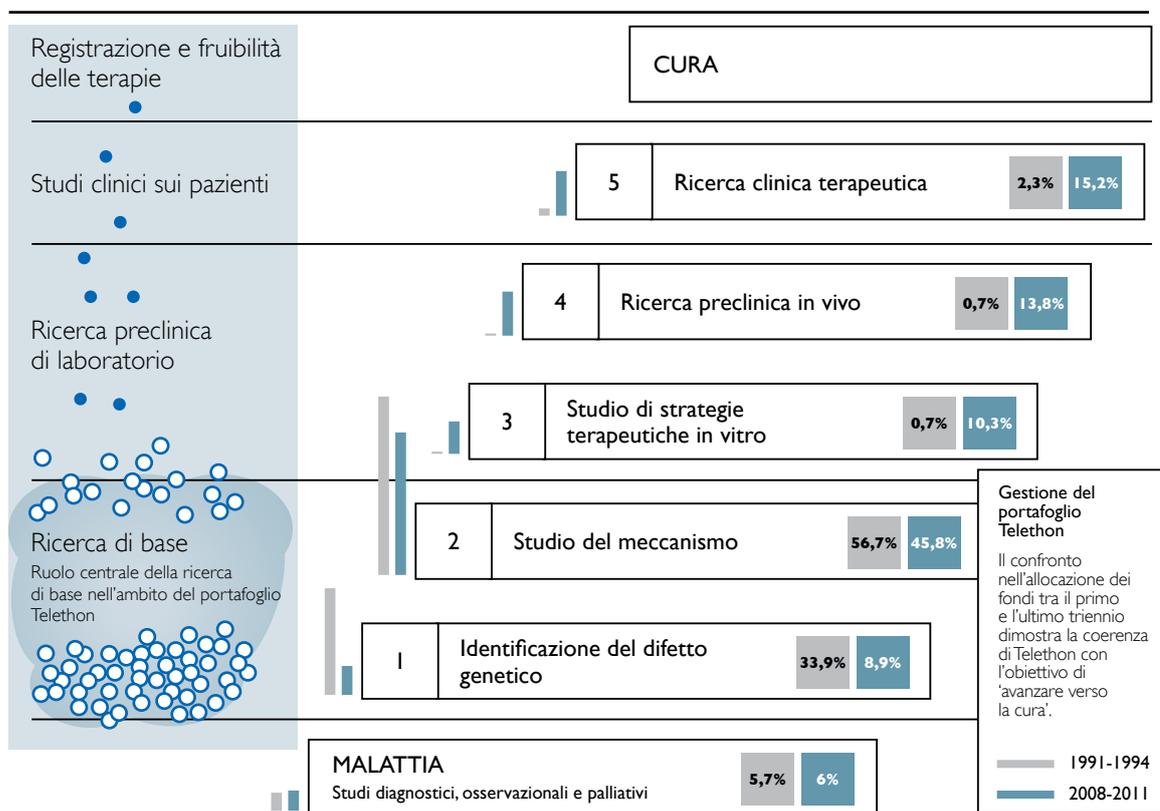
# La ricerca biomedica

## Lo sviluppo delle terapie verso la fruibilità

*Dopo più di venti anni, circa il 40% dei fondi è dedicato ai progetti di ricerca traslazionale contro il 3,5% dei primi anni, in coerenza con la nostra missione di far avanzare la ricerca biomedica verso la cura*

Dal 1990 ad oggi, i ricercatori finanziati da Telethon hanno contribuito a far progredire la conoscenza delle cause e le possibili terapie per le malattie genetiche. Il percorso di avanzamento verso la cura di ogni malattia genetica è lungo e graduale. Potremmo immaginarlo come una scala i cui gradini indicano l'andamento e il progresso della ricerca, a partire dagli studi di laboratorio fino all'applicazione clinica. Nell'ambito della ricerca di base, il primo gradino rappresenta la fase dell'individuazione del difetto genetico che causa la malattia e il secondo indica il passaggio allo studio approfondito dei geni-malattia individuati, con l'obiettivo di comprenderne il loro funzionamento normale e le cause che ne determinano l'alterazione, con conseguente insorgere della malattia. Grazie a queste informazioni si passa alla ricerca preclinica di laboratorio che prevede lo sviluppo di strategie terapeutiche in grado di compensare il difetto individuato e testarne l'efficacia in modelli cellulari (terzo gradino) o animali (quarto gradino). Solo quando una terapia si dimostra efficace negli animali, si può salire al quinto gradino della scala, quello della fase clinica, in cui la cura viene testata sui pazienti, per valutarne sicurezza ed efficacia.

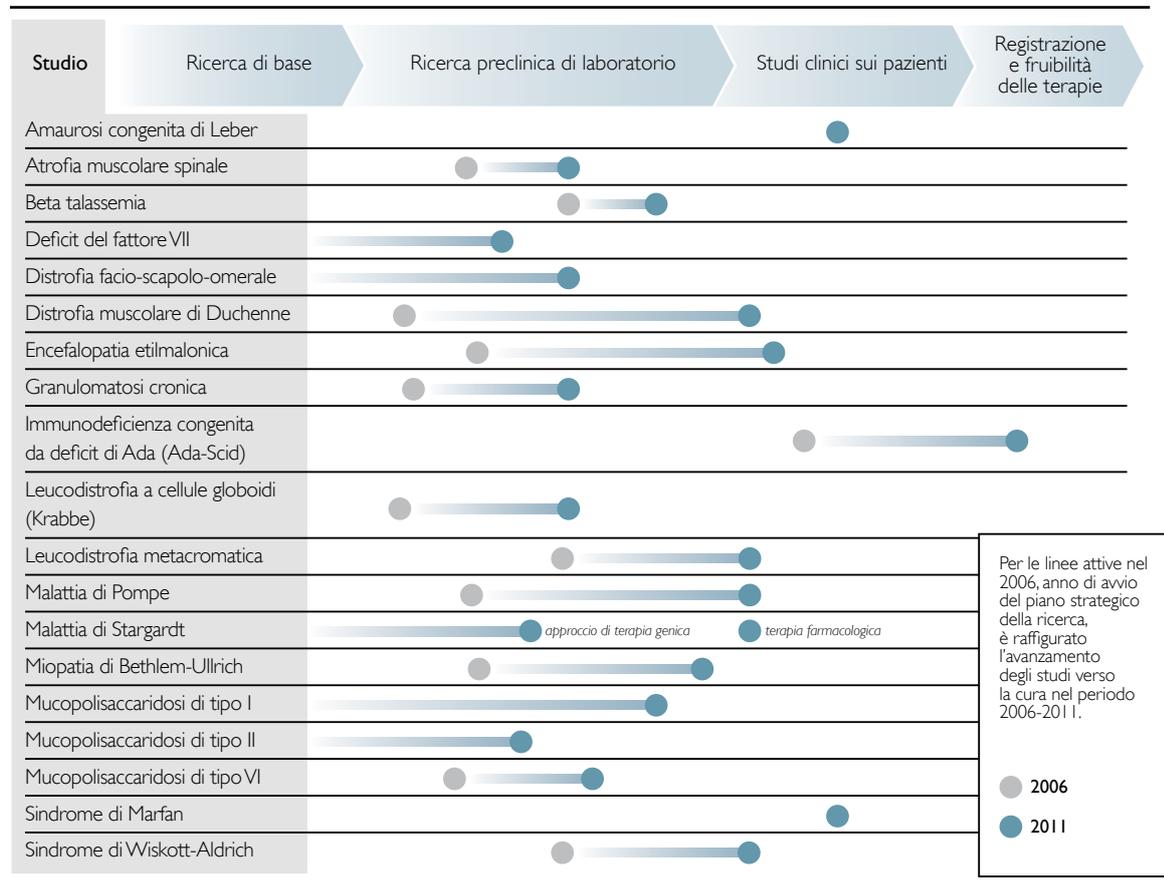
**Figura 4: progressione verso la cura – il modello esemplificativo di sviluppo, la scala della ricerca Telethon e l'attribuzione comparata dei fondi**





Anni di sostegno alla ricerca più competitiva, hanno consentito di sviluppare la terapia genica che ha permesso di curare definitivamente l'Ada-Scid. Il risultato Ada-Scid costituisce un vero e proprio cambiamento epocale, perché ha confermato la validità della terapia genica e perché, grazie alle competenze acquisite, ha reso possibile far avanzare verso la sperimentazione clinica la ricerca per altre malattie, e ha favorito l'avvio di accordi dedicati alla fruibilità delle future terapie.

**Figura 5: le malattie più in alto sulla scala della ricerca e i progressi dal 2006 al 2011**



# Le scoperte 2010-2011

Oggi 366 laboratori di ricerca in tutta Italia studiano le malattie genetiche grazie ai fondi Telethon. Da loro, in un anno, sono stati pubblicati 571 articoli su riviste internazionali

Chiariti i meccanismi con cui si formano i neuroni GABAergici, particolari cellule nervose che hanno normalmente un ruolo inibitorio, sono addette cioè a spegnere attività troppo intense o prolungate di altri neuroni o gruppi di neuroni: alterazioni nella quantità e qualità di questi neuroni, oppure nel processo con cui vengono prodotti a partire dalle cellule staminali neurali, sono state associate a svariate malattie, tra cui la **corea di Huntington**, la **sindrome di Rett** e l'**epilessia**. Giorgio Merlo, Università di Torino. *Journal of Neuroscience*, febbraio 2011.

Identificato il primo gene responsabile di una rara malattia mitocondriale, il **deficit del complesso I** della catena respiratoria, grazie a un'innovativa e potente tecnica di sequenziamento del genoma, l'*exome sequencing*. Si tratta della prima dimostrazione dell'efficacia di questa tecnica, che apre prospettive importanti per lo studio delle malattie genetiche rare in modo più veloce ed economico. Massimo Zeviani, Istituto neurologico 'Carlo Besta' di Milano. *Nature Genetics*, novembre 2010.

Ideata una nuova strategia di terapia genica per la **malattia di Krabbe**, grave patologia genetica che colpisce il sistema nervoso: grazie alla terapia genica con cellule staminali emopoietiche è stato possibile trattare per la prima volta la malattia nel modello animale. Luigi Naldini e Alessandra Biffi, Istituto San Raffaele-Telethon per la terapia genica di Milano. *Science Translational Medicine*, novembre 2010.

Identificato un gene responsabile di una grave **malattia mitocondriale** umana, grazie al sequenziamento esomico, una nuova tecnica che in poco tempo permette di conoscere la porzione di Dna in cui risiedono i geni e identificare difetti comuni a pazienti con gli stessi sintomi. Massimo Zeviani, Fondazione Irccs Istituto Neurologico C. Besta di Milano. *Nature Genetics*, dicembre 2010.

Individuato un nuovo possibile bersaglio terapeutico per la **sindrome di Rett**: opportunamente stimolata, questa via metabolica potrebbe contribuire a ripristinare un corretto 'dialogo' tra le cellule nervose che appare rallentato in questa grave malattia neurologica di origine genetica. Maurizio Giustetto, Università di Torino e Vania Broccoli, Istituto San Raffaele di Milano. *Human Molecular Genetics*, marzo 2011.

Sperimentata con successo in laboratorio una nuova terapia farmacologica per le **malattie mitocondriali**: grazie a un particolare farmaco è stato possibile aumentare numero e attività dei mitocondri, le centrali energetiche delle cellule, in un modello animale di malattia mitocondriale. Massimo Zeviani, Istituto neurologico Carlo Besta di Milano. *Cell Metabolism*, luglio 2011.

Curata per la prima volta in laboratorio la **distrofia muscolare facio-scapolo-omerale**: grazie a una tecnica chiamata 'interferenza a Rna' i ricercatori sono riusciti a ridurre l'eccesso della proteina FRG1 responsabile di questa malattia e a ottenere un significativo miglioramento dei sintomi. Davide Gabellini, Istituto Telethon Dulbecco presso l'Istituto San Raffaele di Milano. *Molecular Therapy*, agosto 2011.

Identificato per la prima volta il difetto genetico responsabile di un raro **deficit ereditario di piastrine**, che permetterà d'ora in avanti di diagnosticare correttamente la malattia e di evitare trattamenti non solo inadatti, ma anche dannosi come una massiccia terapia a base di cortisone o l'asportazione della milza. Carlo Balduini, Policlinico San Matteo di Pavia. *American Journal of Human Genetics*, gennaio 2011.

Individuato un 'legame genetico' tra **epilessia** e **autismo**: per la prima volta sono stati individuati casi in cui queste due gravi malattie neurologiche sono dovute a difetti in una proteina chiamata sinapsina-1, responsabile della corretta comunicazione tra cellule nervose. Fabio Benfenati, Istituto italiano di tecnologia, Genova. *Human Molecular Genetics*, aprile 2011.

Chiarito il meccanismo con cui la bassa temperatura può ripristinare la funzione della proteina alterata nei pazienti affetti da **fibrosi cistica**, malattia genetica tra le più frequenti e studiate. Comprendendo questo meccanismo, i ricercatori contano di individuare un farmaco capace di fare la stessa cosa che fa il freddo. Luis Galletta, Istituto Gaslini di Genova. *American Journal of Physiology*, agosto 2011.

Partendo dallo studio di rare forme ereditarie di **resistenza all'insulina**, identificata un'anomalia genetica associata al 10% delle forme di **diabete mellito di tipo 2**, tale da aumentare di sedici volte il rischio di sviluppare la patologia nel corso della vita. Antonio Brunetti, Università di Catanzaro. *Journal of American Medical Association*, marzo 2011.

Mappati per la prima volta tutti i siti di accesso al Dna della proteina ISWI, fondamentale per rendere 'leggibili' le informazioni contenute nel patrimonio genetico. Grazie a questo strumento si potranno andare a cercare tutti i geni umani controllati da ISWI e coinvolti in svariate patologie, genetiche ma non solo. Davide Corona, Istituto Telethon Dulbecco presso l'Università di Palermo. *EMBO Journal*, marzo 2011.



Luce sui meccanismi che causano il 'suicidio programmato' delle cellule nervose in pazienti affetti da **corea di Huntington**, grave malattia neurodegenerativa ancora incurabile. Alla base c'è un cambiamento di forma dei mitocondri, le centrali energetiche cellulari, che si traduce in segnali di morte per i neuroni. Luca Scorrano, Istituto veneto di medicina molecolare di Padova. *EMBO Molecular Medicine*, dicembre 2010.

Dimostrata nel modello animale l'efficacia di una nuova strategia per ricostruire i muscoli danneggiati da **malattie neuromuscolari**, ma anche da incidenti, traumi, tumori: si tratta della miscela di cellule staminali con un particolare biomateriale a base di acido ialuronico, chiamato hydrogel. Paolo De Coppi, Fondazione Città della Speranza di Padova. *FASEB Journal*, aprile 2011.

Dimostrato per la prima volta al mondo un meccanismo biologico fondamentale con cui le cellule rispondono alla mancanza di nutrienti: l'allungamento dei mitocondri, le centrali energetiche presenti in ogni cellula, che permettono così la sopravvivenza anche in caso di digiuno forzato. Luca Scorrano, Istituto Telethon Dulbecco presso l'Istituto veneto di medicina molecolare di Padova. *Nature Cell Biology*, aprile 2011.

Scoperta la via che permette al calcio di entrare rapidamente negli 'orologi' della vita cellulare, i mitocondri: questo meccanismo potrebbe rivelarsi importante in chiave terapeutica, per preservare le cellule dalla morte nell'ambito di svariate malattie, genetiche ma non solo. Rosario Rizzuto, Università di Padova. *Nature*, luglio 2011.

Agire sull'interleuchina 6, molecola già coinvolta in vari processi biologici, potrebbe rivelarsi la chiave vincente per preservare la salute delle ossa e quindi dei muscoli nei pazienti affetti da **distrofia muscolare di Duchenne**. Anna Maria Teti, Università dell'Aquila, e Fabrizio De Benedetti, Ospedale pediatrico Bambin Gesù di Roma. *Journal of Bone and Mineral Research*, aprile 2011.

Una terapia farmacologica associata alla classica dieta può contribuire a migliorare i sintomi della **fenilchetonuria**. Il risultato, ottenuto sul modello animale della malattia, potrebbe almeno parzialmente aiutare i pazienti ad affrontare il regime alimentare molto restrittivo a cui devono sottoporsi per evitare i problemi neurologici associati alla patologia. Tiziana Pascucci, Fondazione Santa Lucia e Sapienza Università di Roma. *International Journal of Neuropsychopharmacology*, novembre 2010.

Nuova luce sulle cause biologiche del declino cognitivo associato alla **malattia di Alzheimer**: studiando una rara forma ereditaria è emerso che la proteina caspasi-3 è alla base della mancata comunicazione fra le cellule nervose che nel tempo causa perdita della memoria e deterioramento mentale. Francesco Cecconi, Fondazione Santa Lucia e Università Tor Vergata di Roma. *Nature Neuroscience*, dicembre 2010.

Individuata una molecola in grado di inibire la produzione di distrofina, la proteina assente nei pazienti affetti da **distrofia muscolare di Duchenne**: controllare farmacologicamente i livelli di questa sostanza, chiamata miR-31, potrebbe rivelarsi utile per migliorare l'efficacia di altri approcci terapeutici in fase di studio. Irene Bozzoni, Università La Sapienza di Roma. *EMBO Reports*, gennaio 2011.

Dimostrate nel modello animale efficacia e stabilità nel tempo della terapia genica per la **mucopolisaccaridosi di tipo 6**, rara malattia genetica causata dall'accumulo di rifiuti cellulari. Per la prima volta i ricercatori sono riusciti a effettuare la terapia senza indurre alcun rigetto. Alberto Auricchio, Istituto Telethon di genetica e medicina di Napoli. *Molecular Therapy*, dicembre 2010.

Primo passo verso lo sviluppo della terapia genica per la **retinite pigmentosa**, la più frequente forma ereditaria di cecità: per la prima volta è stato possibile spegnere il gene della rodopsina, quello maggiormente alterato in questa malattia. Enrico Surace, Istituto Telethon di genetica e medicina di Napoli. *EMBO Molecular Medicine*, gennaio 2011.

Nuova luce sulla 'squadra molecolare' che ripulisce le nostre cellule da sostanze di scarto e ne permette lo smaltimento e il riciclo: poter controllare la gestione cellulare dei rifiuti può rappresentare la chiave per evitare i danni legati a **malattie** come quelle **da accumulo lisosomiale**, ma anche a patologie molto più diffuse come quelle di Alzheimer e di Parkinson o all'invecchiamento. Andrea Ballabio, Istituto Telethon di genetica e medicina di Napoli. *Science*, maggio 2011.

Realizzata per la prima volta nel modello animale l'espulsione dei rifiuti cellulari grazie alla stimolazione farmacologica del gene TFEB: questa strategia potrebbe essere applicata alle **malattie genetiche da accumulo lisosomiale**, ma anche a malattie neurodegenerative come **Alzheimer e Parkinson**. Andrea Ballabio, Istituto Telethon di genetica e medicina di Napoli. *Cell Development*, settembre 2011.

# Gli indicatori della qualità scientifica

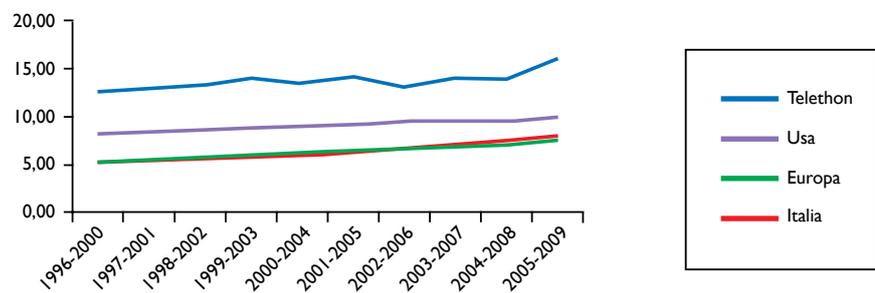
*La misurazione oggettiva del merito. Il confronto con paesi e istituti stranieri*

*La competitività internazionale della ricerca finanziata da Telethon è confermata dall'analisi bibliometrica dei lavori scientifici pubblicati*

## I DATI BIBLIOMETRICI, L'IMPATTO SULLA COMUNITÀ SCIENTIFICA

Un indicatore universalmente riconosciuto che dimostra la qualità della ricerca finanziata è il 'citation index' ovvero il numero medio di citazioni ottenute da un singolo articolo nella letteratura scientifica, presumendo che al numero delle citazioni corrisponda il grado di interesse da parte della comunità di ricerca. Telethon affida il calcolo del 'citation index' a Thomson Reuters, l'agenzia internazionale specializzata nella misurazione degli indici bibliometrici. I risultati espressi nella figura 6 dimostrano che il numero medio di citazioni per articolo delle pubblicazioni scientifiche Telethon è maggiore rispetto alla media italiana, europea e statunitense.

Figura 6: confronto del numero medio di citazioni per lavoro delle pubblicazioni Telethon rispetto alle medie italiana, europea e statunitense sulle riviste scientifiche biomediche



Fonte: Thomson Reuters

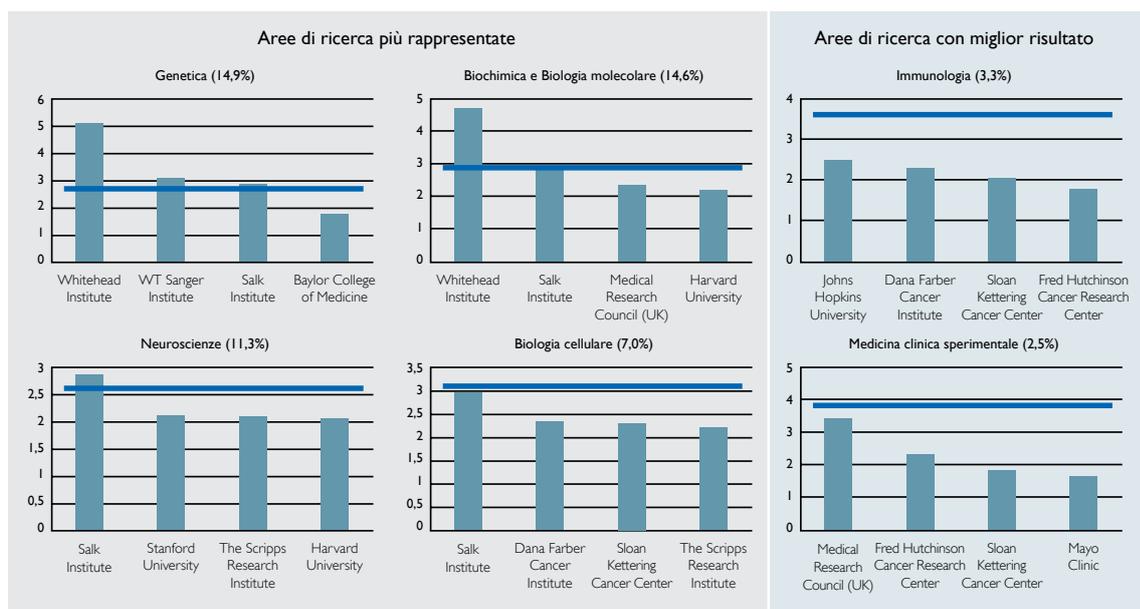


Tre esempi di articoli scientifici pubblicati nell'anno da ricercatori finanziati Telethon, su prestigiose riviste internazionali

La qualità della produzione scientifica della ricerca Telethon è stata anche analizzata per aree tematiche (Figura 7). Le aree prese in considerazione sono quelle abbinata al maggior numero di pubblicazioni Telethon e quelle che presentano un dato qualitativo particolarmente alto. L'indicatore del rapporto tra citazioni effettive e citazioni attese, è una elaborazione del 'citation index', dove un valore superiore ad 1 sta a indicare un esito superiore alle attese. Riferimento di questa analisi è la produzione scientifica di istituti di ricerca accreditati come *leader* nelle diverse aree tematiche.

**Figura 7: pubblicazioni Telethon, confronto con altre istituzioni di ricerca**

Citazioni effettive/citazioni attese per aree di ricerca, 1991-2009 percentuale degli studi per area di ricerca sul totale delle pubblicazioni Telethon



Fonti: Thomson Reuters e database di ricerca Telethon, febbraio 2011

— Telethon — Migliori istituti del settore



# La valutazione dei progetti

## *Peer-review: merito e rigore garantiti*

*Al fine di sostenere soltanto ricerca eccellente e coerente con la propria missione, Telethon adotta un rigoroso processo di valutazione noto come peer-review – letteralmente ‘revisione da parte dei pari’ – del quale si avvalgono tutte le principali agenzie mondiali di finanziamento alla ricerca*

### **GLI ELEMENTI FONDAMENTALI DEL PEER-REVIEW**

Il processo di valutazione adottato da Telethon ha come modello di riferimento il sistema in uso presso i National Institutes of Health (Nih), l'Agenzia federale di ricerca biomedica degli Stati Uniti. Il modello di Telethon poggia sui seguenti elementi:

- i Research Program Manager;
- la Commissione Medico-Scientifica (con il supporto di revisori esterni);
- la sessione di valutazione plenaria.

### **I RESEARCH PROGRAM MANAGER**

Al 30 giugno 2011, sono 7 i Research Program Manager stabilmente arruolati da Telethon presso la direzione scientifica. Sono figure professionali con una solida esperienza nella ricerca biomedica. Si occupano di gestire il processo di valutazione dei progetti, nonché di salvaguardarne i principi fondamentali di efficienza, terzietà (garantendo la separazione tra chi valuta e chi è valutato a beneficio di entrambi) e trasparenza, senza mai entrare nel merito della valutazione, svolgendo le seguenti attività:

- verifica dei progetti presentati;
- loro assegnazione ai revisori più competenti (selezionati tra i membri della Commissione Medico-Scientifica interna e i revisori esterni);
- organizzazione delle sessioni di valutazione.

### **LA COMMISSIONE MEDICO-SCIENTIFICA**

La Commissione Medico-Scientifica rappresenta il principale attore delle attività valutative di Telethon, perché esprime un parere vincolante per l'assegnazione dei fondi (art. 2 dello statuto del Comitato Telethon). Per questo Telethon si è sempre impegnato affinché la Commissione rispetti le seguenti caratteristiche:

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

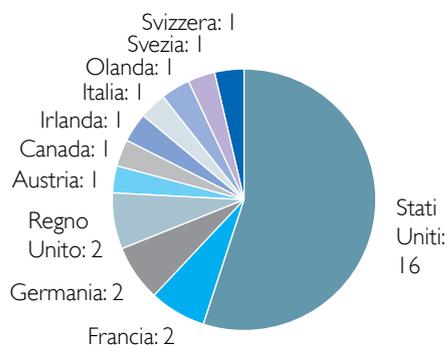
Al 30 giugno 2011 la Commissione è composta da 29 scienziati di fama internazionale (Figura 8). Le presenze italiane sono volutamente ridotte per limitare possibili conflitti di interesse (attualmente, dei 3 scienziati italiani in Commissione, solo uno lavora in Italia). Ciascun membro della Commissione resta in carica per quattro anni. Per la valutazione delle proposte, la Commissione Medico-Scientifica si avvale anche del giudizio di revisori esterni e indipendenti, competenti sull'argomento del progetto in esame. Scelti tra i migliori esperti al mondo, i revisori sono scienziati stranieri o italiani che lavorano all'estero, privi di evidenti conflitti di interesse rispetto al progetto da esaminare. Il giudizio sul merito scientifico tiene conto di criteri come l'originalità e la fattibilità del progetto, l'adeguatezza della richiesta di finanziamento rispetto agli obiettivi proposti. Il processo di peer-review adottato da Telethon prevede che ciascun progetto proposto venga assegnato a tre membri della Commissione Medico-Scientifica e ad almeno due revisori esterni prima della discussione plenaria.

## LA DISCUSSIONE PLENARIA

La decisione finale sul finanziamento dei progetti avviene in una riunione plenaria della Commissione Medico-Scientifica, durante la quale le valutazioni dei membri della commissione e dei revisori esterni vengono discusse approfonditamente prima di giungere alla votazione di ciascun progetto. Le finalità della discussione tra esperti sono principalmente due:

- garantire a ciascun progetto una discussione approfondita, anche nel confronto con tutti gli altri progetti in gara;
- ridurre al minimo il rischio di un errore nella valutazione, poiché il giudizio di ogni scienziato è sottoposto alla valutazione degli altri illustri colleghi e, in caso di posizioni contrapposte, permette di giungere ad un consenso ragionato sulla bontà della decisione finale.

**Figura 8: composizione della Commissione Medico-Scientifica per paese di provenienza (al 30 giugno 2011)**



## I BANDI E I CRITERI DI SELEZIONE DEI PROGETTI

Le chiamate a presentare le richieste di finanziamento devono contenere tutte le informazioni necessarie e sufficienti per la richiesta e relative all'iter che il progetto presentato dovrà affrontare, con la certezza che le regole non saranno cambiate in corso d'opera. Al voto sul merito scientifico si affianca un'altra valutazione che riguarda la prossimità alla cura (cioè lo stadio in cui il progetto si situa lungo la scala della ricerca). Questo criterio incide sulla valutazione finale in percentuale minoritaria rispetto al voto sul merito scientifico, che rimane perciò il parametro fondamentale per l'assegnazione dei fondi. La Commissione Medico-Scientifica stabilisce una graduatoria dei progetti di ricerca in base ai voti espressi. Il CdA delibera quindi il finanziamento dei progetti seguendo la graduatoria, fino ad esaurimento dei fondi allocati per il bando. Nell'ultimo anno la soglia di selezione dei progetti si è attestata al 15,9% in lieve flessione rispetto all'anno precedente (17,5%) a causa dell'aumento del costo medio dei progetti e della numerosità, tra questi, dei progetti multicentrici. Quest'anno infatti sono stati finanziati 76 laboratori contro i 73 dell'anno precedente.

## L'ESITO DELLA VALUTAZIONE

Per ogni progetto sottoposto a revisione, la direzione scientifica di Telethon stila un documento che riassume in maniera chiara e dettagliata il processo di selezione svolto e comprende i commenti scritti dei revisori e il riassunto della discussione. Si tratta di uno strumento importante perché, oltre a testimoniare la trasparenza del sistema, costituisce un rilevante riscontro per il ricercatore che ha presentato la domanda. I commenti contenuti nelle valutazioni sono nella maggior parte dei casi elementi costruttivi e contribuiscono alla messa a punto di progetti migliori in futuro.

# I finanziamenti alla ricerca

+12%, per oltre 28 milioni di Euro

Il portafoglio di ricerca Telethon prevede il finanziamento:

- **alla ricerca biomedica esterna** attraverso bandi competitivi ai quali possono partecipare ricercatori che operano in istituti pubblici e non profit in Italia e riguarda unicamente i costi vivi di ricerca, inclusi i salari del personale non strutturato che lavora nei laboratori;
- **alla ricerca biomedica interna** operata da Telethon attraverso i propri istituti (Tigem, Hsr-Tiget e Dti). Il finanziamento riguarda le spese vive di ricerca e, in alcuni casi, salari e spese strutturali. A differenza della ricerca esterna e del Dti, il finanziamento agli istituti Tigem e Hsr-Tiget non avviene attraverso bandi competitivi, ma è comunque soggetto a uno stringente processo di peer-review. Gli istituti di ricerca ricevono importanti contributi anche da parte di enti esterni dedicati espressamente al finanziamento di progetti di ricerca biomedica; tali fondi entrano in bilancio poiché gestiti dalla Fondazione Telethon.

Accanto agli istituti di ricerca biomedica, la Fondazione Telethon finanzia e gestisce anche un proprio laboratorio di **ricerca tecnologica**, il Tecnothon, che si propone di favorire l'autonomia delle persone con disabilità attraverso lo studio, lo sviluppo e l'implementazione di progetti di ausili tecnologici per l'handicap. Nell'esercizio 2010-2011 l'impiego di fondi in ricerca è stato di 33.150.637 Euro (32.609.425 per la ricerca biomedica e 536.212 per la ricerca tecnologica) con un incremento complessivo del 10% rispetto all'anno precedente. In particolare, considerando le risorse che Telethon assegna direttamente ai progetti di ricerca – al netto dunque dei contributi ricevuti da altri enti – **la crescita rispetto al 2009-2010 è stata di oltre il 12%**.

Rispetto agli ultimi tre anni la figura 9 evidenzia anche un incremento medio annuo del 9,8% nel finanziamento alla ricerca esterna e del 5,9% alla ricerca interna. Si osserva parallelamente una progressiva riduzione dei finanziamenti agli istituti Telethon da parte degli enti finanziatori esterni (Ministero dell'Università e della Ricerca, fondazioni di origine bancaria, Commissione europea, ecc.), probabilmente a causa della crisi

**Figura 9: andamento dei finanziamenti totali alla ricerca nell'ultimo triennio: finanziamenti diretti e contributi da enti esterni (in migliaia di Euro)**



economica che ha ridotto progressivamente la loro disponibilità di risorse. Dal 2009 al 2011 questi contributi sono infatti diminuiti a un tasso medio annuo del 9% circa. Nonostante questo, l'andamento dei finanziamenti complessivi alla ricerca Telethon nell'ultimo triennio è aumentato in media del 5%.

Il prospetto seguente riepiloga gli impegni per la ricerca esterna e interna distinti per ente erogatore e tipologia di finanziamento nell'anno 2010-2011.

**Figura 10: prospetto riepilogativo dei fondi alla ricerca esterna e interna in Euro (2010-2011)**

Tipologia di progetti/finanziamenti	Importi deliberati dal Comitato		Importi deliberati dalla Fondazione	Impieghi sostenuti dalla Fondazione		Contributi da enti esterni	Totale finanziamento
	Ricerca Esterna	Ricerca Interna	Ricerca Esterna	Ricerca Interna	Ricerca Interna		
Progetti di ricerca	11.973.800	308.100					12.281.900
Program Project	675.750	213.900					889.650
Progetti Telethon-Uildm			762.675				762.675
Biobanche			366.700				366.700
Servizi alla ricerca	90.000						90.000
Open Access	215.000						215.000
Progetti speciali			643.000				643.000
Progetti di ricerca collaborativa				52.800	517.829		570.629
Hsr-Tiget		3.515.500		3.556.281			7.071.781
Tigem		4.756.133		686.598	3.145.378		8.588.109
Dti		*200.000		31.154	903.827		1.134.981
Tecnothon				528.762	7.450		536.212
<b>Totale ricerca</b>	<b>12.954.550</b>	<b>8.993.633</b>	<b>1.772.375</b>	<b>4.855.595</b>	<b>4.574.484</b>		<b>33.150.637</b>

\* Il valore complessivo delle delibere Comitato al Dti è di 722.000 Euro vista la partecipazione dei ricercatori dell'istituto ai Progetti di ricerca (308.100 Euro) e ai Programmi di ricerca (213.900 Euro)

## LA RICERCA ESTERNA

Il finanziamento Telethon alla ricerca esterna nel 2010-2011 è stato complessivamente di 14.726.925 Euro con un aumento del 5,4% rispetto all'anno precedente e ha riguardato le seguenti iniziative:

### Progetti di ricerca

Dal 1991 il principale bando di ricerca consente di coinvolgere i migliori scienziati italiani nello studio e nella cura di malattie rarissime. Il bando è dedicato principalmente a ricercatori che operano in istituti pubblici e non profit in Italia e prevede il finanziamento dei costi vivi di ricerca, che nel 2011 è stato di 12.281.900 Euro. Di questi, 308.000 Euro sono stati imputati alla ricerca interna poiché assegnati a ricercatori del Dti.

### Program project

Per sfruttare il potenziale terapeutico della ricerca di base e promuovere la sperimentazione clinica dei progetti più promettenti, nel maggio 2009 Telethon ha aperto un nuovo bando dedicato al finanziamento di Program Project, programmi di ricerca svolti grazie all'azione sinergica e complementare di diversi gruppi di ricerca (da un minimo di 3 a un massimo di 6). Il bando prevede che le domande di finanziamento presentate abbiano una chiara componente di ricerca translazionale, ossia si collochino nel campo della ricerca clinica o preclinica avanzata. Nel 2011, il finanziamento è stato di 889.650 Euro, di cui 213.900 assegnati a ricercatori del Dti.

### **Progetti Telethon-Uildm**

Dal 2001, Telethon e Uildm hanno deciso di dedicare i fondi raccolti dai volontari Uildm ad un bando speciale per progetti di ricerca clinica che abbiano come obiettivo il miglioramento della qualità della vita dei malati neuromuscolari. Al bando sono ammessi esclusivamente studi clinici mirati alla prevenzione, diagnosi, terapia e riabilitazione nel campo delle malattie neuromuscolari. Sono stati finanziati 4 progetti per un totale di 762.675 Euro.

### **Network delle Biobanche e servizi alla ricerca**

Le biobanche sono strutture che preservano campioni biologici estremamente rari e rilevanti per la ricerca sulle malattie genetiche, rendendoli disponibili alla comunità scientifica. Sul sito [www.biobanknetwork.org](http://www.biobanknetwork.org), è possibile effettuare la consultazione approfondita di tutte le banche genetiche facenti parte della rete Telethon. Nel 2010-2011 il finanziamento relativo al quarto anno del network di biobanche è stato di 366.700 Euro. Telethon ha inoltre assegnato 90.000 Euro ai servizi alla ricerca, o cosiddette facility, le infrastrutture create per mettere a disposizione della comunità scientifica servizi, tecnologie e tecniche di analisi particolari.

### **Open Access**

È il progetto nato grazie all'accordo siglato nel marzo del 2010 con UK PubMed Central (Ukpm), l'archivio digitale ad accesso gratuito fondato nel 2007 da otto enti non profit inglesi che finanziano ricerca scientifica, tra cui Wellcome Trust. Finalizzato a rendere disponibili, liberamente e in versione completa, tutte le pubblicazioni scientifiche scaturite dai progetti di ricerca finanziati, contiene già quasi 2 milioni di articoli scientifici e ha l'obiettivo di diventare la principale fonte di informazione per la comunità medico-scientifica dell'intera Europa. Telethon è una delle prime organizzazioni non profit europee che ha aderito all'iniziativa ed è l'unica italiana. Tutti i ricercatori Telethon saranno d'ora in poi invitati a depositare copia delle pubblicazioni scientifiche frutto dei loro progetti nell'archivio e a favorire questo grande progetto di condivisione. Per realizzare questa iniziativa Telethon ha deliberato un finanziamento per il secondo anno di 215.000 Euro.

### **Progetti speciali**

Nel corso dell'anno Telethon ha finanziato tre importanti iniziative con l'obiettivo di far crescere la sensibilità, l'attenzione e la cooperazione in una rete di alleanze sul tema della ricerca e della cura sulle malattie genetiche:

- Arisla (Agenzia di ricerca per la sclerosi laterale amiotrofica), che si propone di offrire ai malati di Sla concrete speranze di cura e di migliore qualità di vita. Nell'esercizio 2010-2011, Telethon ha conferito a questa iniziativa 400.000 Euro;
- Fondazione Serena, è l'ente che gestisce il Centro clinico Nemo, un centro multispecialistico dedicato a chi è affetto da patologie neuromuscolari. La Fondazione Telethon ha sostenuto nell'anno la Fondazione Serena con un finanziamento di 100.000 Euro.
- Fondazione Aurora Onlus, l'ente senza scopo di lucro con sede a Messina, che curerà la gestione del Centro Clinico Nemo Sud, nuovo punto di riferimento per le persone con malattie neuromuscolari del Sud Italia. La Fondazione Telethon, in data 16 giugno 2011, ha deliberato il conferimento di 143.000 Euro per questa iniziativa.

### **Progetti di ricerca collaborativa**

Si tratta di progetti di ricerca già avviati dai ricercatori degli istituti Telethon e adottati da parte da aziende che operano nel campo biomedico. Tali aziende individuano i nostri ricercatori come esperti in determinati settori scientifici e richiedono loro la conduzione di una programma di ricerca allo scopo di sviluppare un risultato scientifico potenzialmente trasferibile al mercato. Attraverso questi progetti Telethon contribuisce a tradurre i risultati di ricerca in trattamenti fruibili da tutti. I fondi destinati a queste attività nel corso dell'anno ammontano a 570.629 Euro.

## LA RICERCA INTERNA

Il finanziamento agli istituti interni di ricerca, nel 2010-2011 è stato complessivamente di 18.423.712 Euro (quasi il 15% in più rispetto all'anno precedente), suddiviso tra le delibere del Comitato (8.993.633 Euro), gli impegni della Fondazione (4.855.595 Euro) e i contributi ricevuti da enti esterni (4.574.484).

### Tigem

Nel corso dell'esercizio si è svolta la sessione di valutazione dell'istituto, che ha presentato il proprio nuovo piano scientifico quinquennale indicando strategie, progetti di ricerca da svolgere e budget associato. Il Comitato, sulla base del parere vincolante della Commissione Medico-Scientifica, ha deliberato il finanziamento di 4.756.133 Euro per il primo anno del piano. Il Tigem ha anche ottenuto dalla Fondazione Telethon 686.598 Euro per consentire a un gruppo di esperti nel campo della biologia cellulare, entrato in ruolo nel 2008, di sviluppare ulteriormente la ricerca già svolta all'interno dell'istituto negli anni passati. Infine l'istituto ha utilizzato fondi vincolati esterni per 3.145.378 Euro.

### Hsr-Tiget

Come il Tigem, anche l'Hsr-Tiget è stato sottoposto, nel 2010-2011, alla revisione scientifica per il rinnovo dei propri finanziamenti 2011-2015. In seguito alla valutazione, il Comitato ha deliberato a favore dell'istituto un finanziamento di 2.590.000 Euro. Allo scopo di allineare i finanziamenti del core grant dell'istituto a quelli dell'esercizio finanziario di Telethon, si è proceduto anche a un finanziamento di transizione, 925.500 Euro, in modo da permettere il proseguimento delle attività di ricerca dell'istituto nel periodo compreso tra il 1° gennaio e il 30 giugno 2011; il core grant precedente si è chiuso infatti il 31 dicembre 2010. Hsr-Tiget ha utilizzato 3.556.281 Euro come impieghi derivanti dalla partnership con GlaxoSmithKline che nell'esercizio è entrata a pieno regime e che prevede di rendere utilizzabile il farmaco per la terapia Ada-Scid – produrlo cioè con gli standard di sicurezza richiesti dalle autorità regolatorie e renderlo disponibile sul mercato – e di sostenere lo sviluppo terapeutico di altre 6 malattie genetiche.



### Dti

Il Comitato ha deliberato il finanziamento di 200.000 Euro per la copertura economica di due anni di salario di un ricercatore dell'istituto che da Associate Telethon Scientist è stato promosso alla posizione di Senior Telethon Scientist (ossia il più alto livello della produzione scientifica). Nell'anno la Commissione Medico-Scientifica di Telethon ha assegnato a ricercatori del Dti due finanziamenti per i Progetti di ricerca (308.100) e due per i Program Project (213.900). Infine il Dti ha ricevuto dalla Fondazione Telethon 31.154 Euro per gli adeguamenti salariali di tre ricercatori dell'istituto e ha utilizzato 903.827 Euro di fondi vincolati esterni per lo svolgimento di progetti di ricerca.

### Tecnothon

Nel periodo 2010-2011, per le attività del Tecnothon, Telethon ha impiegato fondi con un incremento del 12% rispetto all'anno precedente (528.762 Euro contro i 473.064 del 2009-2010). Il maggiore impiego di fondi si è reso necessario per sostenere lo sviluppo progettuale di ausili per disabili e per implementare quelli messi a punto negli anni precedenti. Il laboratorio ha anche utilizzato un contributo esterno di 7.450 Euro finalizzato allo sviluppo di un ausilio tecnologico a comando vocale.

# Gli istituti Telethon

Centri di eccellenza riconosciuti nel mondo



## TIGEM

*Svolge un ruolo di primo piano nella ricerca sulle malattie metaboliche e dell'occhio e attualmente è impegnato con successo nello studio delle malattie dovute all'accumulo di sostanze tossiche all'interno delle cellule*

Anno di nascita: 1994

Sede: Napoli

Group Leader: 9

Staff di ricerca: 142

(ricercatori junior e tecnici)

Amministrativi: 8

Progetti finanziati da Telethon: 113

Totale finanziamenti Telethon:

50.565.936 Euro

## TIGEM (ISTITUTO TELETHON DI GENETICA E MEDICINA)

*La parola ad Andrea Ballabio, direttore dell'istituto Telethon di genetica e medicina (Tigem) di Napoli*



“Trovare una terapia per il maggior numero possibile di malattie genetiche, grazie a una ricerca scientifica d'avanguardia: ecco l'obiettivo del Tigem, un istituto che negli anni ha acquisito un'impronta sempre più traslazionale. Questo si traduce innanzitutto in un rafforzamento della ricerca di base, che ci consente di capire come e perché un difetto genetico provoca una certa patologia.

Grazie a una sofisticata piattaforma tecnologica, tra cui un microscopio elettronico di nuova generazione e un microscopio automatizzato che permette di testare migliaia di farmaci sulle cellule, oltre a nuove competenze acquisite nel campo della biologia cellulare contiamo di capire a fondo i meccanismi alla base di malattie genetiche che colpiscono i tessuti più diversi: dalle malattie da accumulo lisosomiale, dovute a difetti nello smaltimento di rifiuti cellulari a varie forme di cecità ereditaria, dalla fibrosi cistica a difetti della funzionalità renale.

Un ventaglio di malattie già molto ampio, che speriamo cresca ancora di più. Una volta individuati i meccanismi molecolari più adatti a fare da bersaglio terapeutico andiamo alla ricerca di farmaci potenzialmente efficaci: grazie anche alle partnership con la biotech Biomarin e l'azienda farmaceutica Genzyme, abbiamo acquisito le risorse necessarie per effettuare analisi su larga scala e testare su modelli di

laboratorio l'efficacia di migliaia di composti alla volta. In questo senso, una linea di ricerca molto promettente è quella che riguarda TFEB, un gene che abbiamo scoperto nel 2009 e che funziona come un 'direttore d'orchestra' del processo cellulare di smaltimento delle sostanze tossiche: individuando farmaci in grado di modularne l'attività potremmo sviluppare terapie efficaci contro varie malattie degenerative, non solo genetiche e rare come quelle studiate da Telethon, ma anche diffuse come Parkinson e Alzheimer. Un importante contributo alla ricerca farmacologica su larga scala viene anche dal gruppo di bioinformatica del Tigem, che con l'aiuto del computer è in grado di fornire ulteriori informazioni non solo sui meccanismi molecolari alla base delle malattie, ma anche sulle probabilità di efficacia dei farmaci individuati.

Infine, se la ricerca farmacologica rappresenta la nuova frontiera dell'istituto, la terapia genica e molecolare si conferma una strada da continuare a percorrere. Forti dei risultati già ottenuti su una rara forma di cecità ereditaria, contiamo di applicare la stessa piattaforma di trasferimento genico anche ad altre malattie, in particolare ai difetti ereditari del metabolismo, per cui il nostro istituto è un riferimento a livello internazionale. All'inseguimento dell'obiettivo finale di tutti noi, la cura”.

## **HSR-TIGET (ISTITUTO SAN RAFFAELE TELETHON PER LA TERAPIA GENICA)**

*Il bilancio dell'anno: il parere di Luigi Naldini, direttore dell'istituto San Raffaele-Telethon per la terapia genica (Hsr-Tiget) di Milano*



“La missione del nostro istituto (Hsr-Tiget) è già racchiusa nel suo nome: rendere la terapia genica un'opportunità concreta di cura per chi è affetto da una malattia genetica rara. Tecnologia innovativa e complessa, la terapia genica ha vissuto anni turbolenti, in cui non godeva del consenso unanime della comunità scientifica internazionale. Grazie all'investimento lungimirante di Telethon, però, è stato possibile creare nel corso degli anni una squadra multidisciplinare di ricercatori e clinici che hanno avuto a disposizione tempo e risorse per mettere a punto non solo una terapia, ma una vera e propria piattaforma terapeutica applicabile a più malattie.

Il primo e tutt'ora più convincente successo della terapia genica nei confronti di una malattia genetica – l'Ada-Scid, una rara immunodeficienza da cui sono guariti ad oggi 14 bambini – porta la firma dell'Hsr-Tiget e ad oggi è un riferimento per i ricercatori di tutto il mondo. Questa strategia, perfezionata alla luce delle nuove conoscenze sviluppate all'Hsr-Tiget, è ora potenzialmente applicabile a molte altre malattie genetiche tra cui immunodeficienze primarie, difetti ereditari del metabolismo, malattie del sangue. Per sei di queste siamo già al lavoro: due sono già oggetto di una sperimentazione clinica, mentre per le altre quattro abbiamo solidi dati di laboratorio e contiamo di testare l'efficacia della terapia genica sui pazienti entro pochi anni.

L'accordo con la multinazionale farmaceutica GlaxoSmithKline ci ha permesso di “mettere in sicurezza” questa parte della nostra attività e di liberare le risorse da destinare alla ricerca di base, che nel frattempo va avanti per aiutarci a rendere questo approccio terapeutico sempre più efficace e sicuro per i pazienti. In questo senso nell'ambito del programma di finanziamento appena rinnovato studieremo ancora più a fondo il comportamento dei vettori virali, i “mezzi di trasporto” che utilizziamo per somministrare i geni terapeutici, aumentandone ulteriormente l'efficacia e la sicurezza e svilupperemo un approccio rivoluzionario che ci permette di “riscrivere” il genoma e correggere direttamente le mutazioni causa di malattia nelle cellule dei pazienti, ripristinandone così tutte le funzioni. In parallelo, studieremo anche le reazioni del sistema immunitario nei confronti di questi veicoli esterni che introduciamo nell'organismo a scopo terapeutico. È soltanto conoscendone a fondo i meccanismi molecolari d'azione e le risposte dell'organismo che possiamo aumentare l'efficacia della terapia e al tempo stesso minimizzarne i potenziali rischi. Infine, alcuni gruppi del nostro istituto lavoreranno alla messa a punto di nuove strategie terapeutiche, come la somministrazione diretta dei vettori nei tessuti dell'organismo e il trapianto di cellule staminali, da affiancare alla terapia genica per potenziarne l'effetto, soprattutto nel caso di patologie particolarmente difficili da trattare.”



### **HSR-TIGET**

*È riconosciuto come centro di eccellenza mondiale nel suo campo. A ricercatori dell'Hsr-Tiget si deve lo sviluppo di una terapia che ha permesso, per la prima volta al mondo, di curare definitivamente l'Ada-Scid, una grave immunodeficienza congenita*

Anno di nascita: 1995

Sede: Milano

Group Leader: 11

Staff di ricerca: 65 (ricercatori junior e tecnici)

Staff clinico: 18

Amministrativi: 6

Progetti finanziati da Telethon: 72

Totale finanziamenti Telethon:

42.835.831 Euro

## **DTI (ISTITUTO TELETHON DULBECCO)**

*Creato con lo scopo di permettere a promettenti giovani ricercatori di poter svolgere la propria carriera nel nostro Paese, in modo indipendente*



L'Istituto Telethon Dulbecco (Dti) è un istituto virtuale creato nel 1999 dalla Fondazione Telethon per fornire a un gruppo selezionato di ricercatori la possibilità di una carriera indipendente. Questo programma è intitolato al premio Nobel per la medicina Renato Dulbecco, che nel 1999 decise di devolvere a Telethon il compenso ricevuto per la partecipazione al Festival di Sanremo, ponendo le basi per questa importante iniziativa. L'obiettivo dell'istituto è la ricerca scientifica sulle malattie genetiche rare (tra cui, per esempio, la distrofia muscolare, l'atrofia ottica, il rene policistico) e ha come caratteristica portante l'altissimo livello di professionalità e di competenza dei ricercatori.

Attraverso un bando annuale, Telethon seleziona giovani e brillanti scienziati, assegnando loro uno stipendio per 5 anni e fondi per l'attività di ricerca da svolgere nell'istituto che lo scienziato stesso ha scelto. Dopo il primo quinquennio la conferma della posizione avviene nuovamente a seguito di un rigoroso processo di revisione. Ad oggi il Dti ha costituito gruppi di lavoro di grande qualità in tutta Italia nel campo delle malattie genetiche, coinvolgendo molti altri giovani ricercatori e borsisti di ricerca, e tra loro, 15 Telethon Scientist si sono già integrati con successo negli enti di ricerca italiana.

Attualmente il Dti conta 20 laboratori: 10 a Milano, 3 a Roma, 2 a Padova e uno a Torino, Ferrara, Pisa, Modena e Palermo. Il programma dell'istituto prevede tre livelli di carriera in funzione dell'esperienza dei candidati: Assistant Telethon Scientist, Associate Telethon Scientist, Senior Telethon Scientist. Al 30 giugno, l'istituto conta 2 Senior, 13 Associated e 5 Assistant. La Fondazione considera i ricercatori dell'istituto Telethon Dulbecco 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, 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. In totale, il personale del Dti conta 109 unità, tutte remunerate dalla Fondazione Telethon.



# Tecnothon e la ricerca tecnologica



*Nato per sviluppare una ricerca tecnologica che favorisca l'autonomia, in tutte le attività del vivere quotidiano, delle persone con disabilità motoria. E per anticipare soluzioni innovative, in grado di stimolare dibattiti culturali, sensibilizzando sulla realtà e sulle esigenze della persona con disabilità, attraverso una progettazione che sia realmente per tutti*

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 a causa di altre patologie) nella loro vita quotidiana. Il Tecnothon è il laboratorio dove vengono sviluppati ausili tecnologici per la disabilità e ha sede a Sarcedo (Vicenza), dove sono impiegate 11 persone.

Il Tecnothon progetta e realizza prototipi di ausili che possono trasformarsi in prodotti vendibili a prezzi vantaggiosi ed accessibili poiché privi del costo della ricerca. I progetti Tecnothon vengono ceduti gratuitamente a imprese che si impegnano a produrre e vendere l'ausilio a un prezzo, pattuito con la Fondazione Telethon, che garantisca una remunerazione equa all'azienda e l'accessibilità ai pazienti. Tecnothon offre anche consulenza affiancando aziende, enti e istituzioni che vogliono iniziare un cammino di progettazione per tutti.

---

## I principali risultati di Tecnothon (2010-2011)

### Paki – Poltrona

**Obiettivo:** sviluppare una poltrona che risulti comoda quando si trascorre molto tempo seduti e che consenta di respirare bene.

**Risultati raggiunti:** proseguiti gli approfondimenti posturali per individuare la soluzione ottimale, verificata l'accessibilità in carrozzina, realizzato un prototipo finale curato nella funzione e nell'estetica. Depositato un modello di design.

---

### Molekola

**Obiettivo:** sfruttando l'esperienza di Akuakalda, sviluppare un piccolo ausilio per i trasferimenti delle persone disabili da una seduta ad un'altra. Leggero, smontabile e adatto anche in viaggio. **Risultati raggiunti:** seguito il partner nell'industrializzazione del prodotto. Molekola è stato presentato alla fiera Reha di Dusseldorf ed è in vendita.

---

### Kuattro

**Obiettivo:** sviluppare una carrozzina a quattro ruote motrici che assicuri trazione sicura su terreni difficili come spiaggia, ghiaia e pavè.

**Risultati raggiunti:** seguito il partner nell'industrializzazione del prodotto. Kuattro è stata presentata alla fiera Reha di Dusseldorf ed è stata provata da molti visitatori.

---

### KDR/2

**Obiettivo:** realizzare una carrozzina motorizzata, pieghevole ed in grado di 'fare le scale' con l'aiuto di un accompagnatore. **Risultati raggiunti:** realizzato e testato il prototipo finale. Iniziata la ricerca del partner industriale.

---



# I servizi ai ricercatori

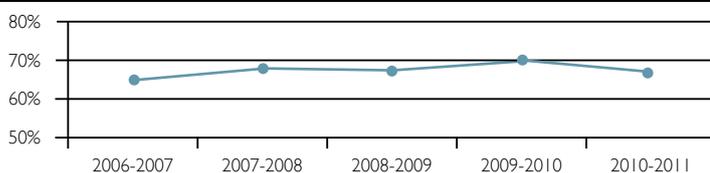
*Per una gestione dei fondi sempre più efficiente*

La Fondazione Telethon pone molta attenzione alle attività di gestione dei fondi assegnati alla ricerca. Le attività di controllo vengono svolte da un ufficio che si occupa principalmente di verificare la pertinenza dei fondi con il progetto in esame e l'economicità degli impegni sostenuti. Un attento controllo di gestione ottimizza i budget degli istituti Tigem e Dti sia nel caso in cui i progetti finanziati usufruiscano di fondi Telethon, sia nel caso in cui i fondi provengano da altri enti. Ogni spesa è fatta nel rispetto del criterio di economicità e per acquisti di rilievo vengono valutate più offerte. I fondi destinati all'Hsr-Tiget sono invece gestiti dall'istituto San Raffaele che periodicamente ne rendiconta l'utilizzo alla Fondazione Telethon. Per i progetti esterni, i ricercatori, in accordo con la propria istituzione, possono decidere se far gestire i fondi Telethon presso l'ente dove operano (in questo caso l'ente è tenuto a presentare una rendicontazione annuale delle spese) o se affidarne la gestione alla Fondazione Telethon attraverso il servizio di Gestione diretta.

## LA GESTIONE DIRETTA

La Gestione diretta dei fondi è un servizio offerto gratuitamente dalla Fondazione ai ricercatori titolari di progetti di ricerca esterna per ottimizzare l'amministrazione dei fondi a loro assegnati. In questo caso è la Fondazione stessa che provvede agli impegni di spesa necessari per il lavoro di ricerca (nei limiti del fondo di ricerca assegnato). I ricercatori, grazie a questo sistema, possono usufruire di una gestione snella e flessibile ed ottenere risparmi economici e di tempo sulle forniture di materiali per la ricerca. Il successo di tale servizio è dimostrato dalle percentuali di scelta della Gestione diretta che è andata consolidandosi negli anni (Figura 11). Dei 167 progetti in corso di finanziamento, il 66,5% (pari a 111 progetti) è gestito dalla Fondazione Telethon almeno per una parte del budget approvato. Tale dato, leggermente in flessione rispetto al 2010, non considera i progetti di ricerca esterna valutati positivamente dalla Commissione Medico-Scientifica di Telethon in data 22 giugno 2011 per i quali – al momento della scrittura del presente bilancio – non sono ancora note le scelte di gestione.

**Figura 11: andamento della percentuale di scelta della Gestione diretta rispetto al totale dei progetti in corso di finanziamento**



## IL TRASFERIMENTO TECNOLOGICO DELLA RICERCA TELETHON

Telethon ha istituito un proprio ufficio di trasferimento tecnologico (Ttto, Telethon technology transfer office) che si avvale di un comitato tecnico internazionale di esperti in materia brevettuale, scientifica e industriale. Si tratta di un servizio per tutti i ricercatori Telethon e si occupa di tutelare le invenzioni scaturite dalla loro ricerca e di trasferirle all'industria. Il suo scopo è permettere lo sviluppo di farmaci e terapie e renderli disponibili sul mercato, in linea con la missione di Telethon, reinvestendo le risorse per finanziare ulteriore ricerca scientifica d'eccellenza. La Fondazione Telethon, al 30 giugno 2011, è titolare di 22 brevetti, 6 dei quali sono già stati trasferiti allo sviluppo di terapie prossime all'ingresso in studi clinici.







LA COMUNICAZIONE

# L'apertura, per coinvolgere tutti in una missione importante

L'informazione scientifica e istituzionale

Il filo diretto con i pazienti

# L'informazione scientifica e istituzionale



## IL 'TELETHON NOTIZIE'

È la rivista informativa di Telethon. Uno strumento dinamico di comunicazione istituzionale e di raccolta fondi che nel 2010-2011 ha rinnovato la propria veste grafica per rispondere sempre di più alle esigenze dei lettori. Pubblicato 4 volte l'anno – a marzo, giugno, ottobre e dicembre – ha una tiratura media di oltre 400.000 copie, con punte fino a 700.000 per il numero di dicembre. Viene inviato ai donatori Telethon e rappresenta la testimonianza concreta del rapporto costante che la Fondazione mantiene con i malati e la loro realtà, attraverso l'impegno dei ricercatori e i progressi della ricerca che, grazie alla solidarietà degli Italiani, avanza ogni giorno di più verso la cura. Telethon Notizie contiene sezioni e rubriche che informano su: ultime scoperte scientifiche, campagne di comunicazione, manifestazioni, iniziative e

modalità di raccolta, con notizie e servizi speciali dedicati ai malati, ricercatori, volontari e partner.

## IL SITO TELETHON.IT

Dopo il restyling di grafica e di contenuti realizzato a cavallo degli ultimi due esercizi, il sito Telethon è diventato un vero e proprio portale della ricerca sulle malattie genetiche. Un'intera sezione è dedicata ai progetti di ricerca finanziati e alle malattie oggetto di studio da parte dei ricercatori Telethon. Nell'ultimo anno è aumentata in modo significativo la comunicazione scientifica (48 notizie pubblicate contro le 24 pubblicate del 2009-10). Ampio spazio è stato dedicato anche alla comunicazione multimediale: complessivamente sono stati realizzati e caricati 154 contributi video. Cumulando i dati relativi a news e video pubblicati, la forza informativa del sito è aumentata, rispetto allo scorso anno, del 71%. I visitatori unici sono stati 367 mila contro i 265 mila dell'anno precedente (+38%) e anche le pagine viste sono aumentate di oltre il 30% (1.646.394 contro 1.251.862 del 2009-2010). Sono migliorate le visite generate dai motori di ricerca, passate dal 56% al 62% nell'ultimo anno. Nel 2010 il record di visitatori unici è stato raggiunto nei 3 giorni di maratona (17-18-19 dicembre) con 51 mila contatti. Negli stessi giorni le pagine viste sono oltre 270 mila contro le 162 mila dell'anno precedente. A conferma di questo generale incremento delle attività del sito si è anche registrata una significativa crescita della raccolta on line che è passata dai 97.687 Euro del 2009-2010 ai 212.660 Euro del 2010-2011 (+117%).

## L'UFFICIO STAMPA

L'ufficio stampa di Telethon è l'interfaccia istituzionale con il mondo della comunicazione. Si occupa di produrre e veicolare le informazioni sulle attività istituzionali, scientifiche e di raccolta, che provengono dal mondo Telethon e diffonderle attraverso gli organi di informazione, in particolare quotidiani, periodici, radio, tv, internet. Nel periodo dal primo luglio 2010 al 30 giugno 2011, l'ufficio stampa di Telethon ha realizzato 44 comunicati di cui 29 a carattere scientifico e 15 a carattere istituzionale. Tra le attività dell'ufficio stampa, rientra anche il monitoraggio quotidiano degli argomenti trattati. Da un'analisi relativa alla rassegna stampa, nel 2010-2011 risultano essere 605 gli articoli apparsi sui media nazionali che parlano di Telethon.

## LA CONVENTION SCIENTIFICA

“Creatività, eccellenza, impegno: oggi qui abbiamo concentrato il meglio della ricerca italiana per la lotta alle malattie genetiche. Una squadra formidabile, che con i suoi risultati tiene alto il nome dell'Italia nel mondo”: ne è convinto il presidente Luca di Montezemolo, che ha aperto i lavori della sedicesima edizione della Convention Scientifica Telethon, che ha visto la partecipazione di 670 scienziati provenienti da tutta Italia. La Convention è stata per i ricercatori l'occasione per presentare progressi e prospettive di 252 progetti di ricerca agli altri colleghi e ai portatori di interesse: all'evento hanno partecipato infatti anche i rappresentanti di 85 associazioni di malattie rare, per i quali era previsto non solo un convegno dedicato, ma anche la possibilità di incontrare personalmente gli scienziati.

“La ricerca Telethon ha ottenuto in questi ultimi anni risultati entusiasmanti, non solo dal punto di vista del prestigio delle pubblicazioni scientifiche ma, soprattutto, per quanto riguarda il suo complessivo avvicinamento al letto del paziente” ha commentato Lucia Monaco, direttore scientifico di Telethon. Il programma ha infatti toccato argomenti di punta della ricerca, come per esempio l'autofagia, un meccanismo cellulare di degradazione che si sta rivelando la chiave per affrontare malattie degenerative rare e di origine genetica ma anche diffuse come l'Alzheimer o il Parkinson. Si sono approfondite, tra l'altro, le prospettive terapeutiche offerte dalle cellule staminali e dalla terapia genica, ma anche gli scenari futuri aperti dalle più moderne tecniche di analisi genomica, che consentono di analizzare enormi quantitativi di Dna grazie a piattaforme tecnologiche e informatiche molto avanzate.

La Convention ha visto la partecipazione di diversi ospiti stranieri, tra cui Lynn Jorde, presidente della Società americana di genetica umana e membro della Commissione Medico-Scientifica di Telethon. Infine, per una digressione sui rapporti tra scienza e società, il filosofo Giulio Giorello, ha invitato i ricercatori a riflettere su come, per mantenere la promessa della cura, sia necessaria una visione partecipata della scienza.



## UN EVENTO CHE 'MERITA'

Il 15 luglio, in occasione dell'anno del volontariato, si è svolta a Torino la manifestazione 'Merito loro, le persone che fanno Telethon'. Nella sede della Galleria civica d'arte moderna e contemporanea, la Fondazione Telethon ha voluto presentare al grande pubblico una rappresentanza simbolo di coloro che prestano volontariamente la loro opera a sostegno del modello di ricerca stimato in tutto il mondo. Il cuore della manifestazione è racchiuso negli interventi di quattro esperti di settore, che hanno permesso al pubblico di conoscere il contesto economico e professionale nel quale la ricerca opera. Le storie emblematiche di Alberto Fontana, Domenico Schettino, Leonardo ed Enrico Valentini, Francesca Pasinelli, dimostrano come anche in Italia sia possibile costruire un modello positivo di sussidiarietà, al centro del dibattito sul Welfare State in numerosi paesi europei. Nell'occasione, il presidente Montezemolo ha presentato i risultati raggiunti nell'ultimo anno di lavoro e prendendo ad esempio il mondo del volontariato e il modello di ricerca Telethon ha inoltre dichiarato: "Se l'Italia fosse capace di fare squadra, vincerebbe tutti i campionati del mondo".



# Il filo diretto con i pazienti

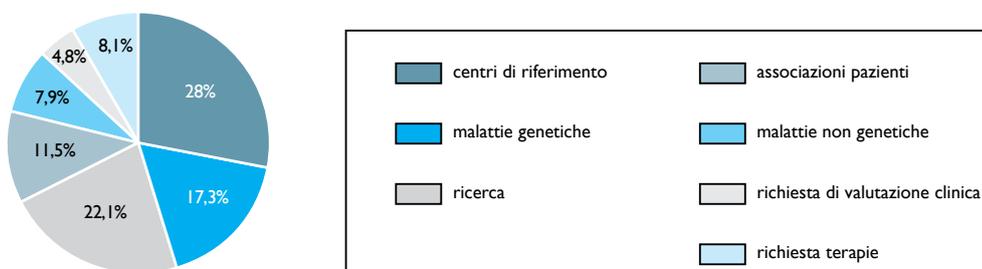
Filo diretto con i pazienti è l'ufficio dedicato ai malati e alle loro associazioni. Creato nel 2004 svolge un ruolo prezioso per:

- informare sulle malattie genetiche e sullo stato della ricerca scientifica;
- indirizzare i pazienti, secondo le loro patologie, ai centri di riferimento specialistici;
- favorire il contatto e lo scambio tra persone che condividono le stesse problematiche;
- collaborare con le associazioni dei pazienti affinché la ricerca, attraverso le loro esperienze e i loro contributi, progredisca ogni giorno di più verso la cura.

Per rispondere con sempre maggior puntualità alla specificità delle richieste, Filo diretto con i pazienti utilizza strumenti diversi:

- sul sito Telethon, la sezione **Ricerca e Progetti** contiene notizie chiare e aggiornate sulla ricerca scientifica e sulle malattie genetiche;
- **Infoline**, il servizio specializzato grazie alla consulenza di due medici genetisti, fornisce risposte dedicate alle esigenze di informazione che ogni giorno pervengono a Telethon via e-mail, fax o lettera. Nel periodo dal primo luglio 2010 al 30 giugno 2011 l'Infoline ha ricevuto 411 richieste.
- la **Bacheca**, il punto di incontro virtuale creato per favorire occasioni d'incontro e scambio tra persone colpite da malattie genetiche. Dedicato non solo ai pazienti, ma anche ai loro familiari ed amici, alle associazioni di malattia e a tutte le persone interessate al tema delle malattie genetiche e della ricerca scientifica, il blog ospita appelli, annunci e informazioni utili.

Figura 12: tipologia delle richieste ricevute da Infoline, in valori percentuali (2010-2011)



## LA RETE DELLE ASSOCIAZIONI AMICHE DI TELETHON

Sono un punto di riferimento importante per i pazienti e le loro famiglie facendosi portavoce autorevoli delle loro richieste ed esigenze: sono 130 le associazioni dei malati che si occupano di una o più malattie genetiche e che, insieme a Telethon, costituiscono un network che le riunisce e le rende compartecipi di un unico obiettivo: far progredire la ricerca scientifica verso la cura. Grazie alla Bacheca, le associazioni possono far conoscere le loro attività, pubblicizzare i loro eventi, e sollevare discussioni su temi di interesse comune. Dagli appelli pubblicati da genitori e malati alla ricerca di contatti con altre famiglie sono nate, con la consulenza e l'appoggio di Telethon, 12 associazioni (l'elenco completo nella pagina a fianco). L'ultima, creata a giugno 2011 è stata l'Associazione I.p.ass.i – Associazione italiana incontinenza pigmenti. Per domande e approfondimenti è stato attivato il servizio online Filo diretto con i pazienti, contattabile all'indirizzo e-mail [associazioni@telethon.it](mailto:associazioni@telethon.it)

# Le associazioni nate grazie a Telethon

Aislo – Associazione italiana sindrome di Lowe onlus (maggio 2002)

Airp – Associazione italiana rene policistico (dicembre 2005)

Aisjac – Associazione italiana sindrome di Joubert e atassie congenite (dicembre 2005)

Aisnaf – Associazione italiana sindromi neurodegenerative da accumulo di ferro (marzo 2006)

Aisa – Associazione sindrome di Aicardi (marzo 2007)

A.i.s.st. – Associazione italiana sindrome di Stargardt (maggio 2007)

Associazione il Cigno – craniostenosi (maggio 2007)

Angeli Noonan – Associazione italiana sindrome di Noonan onlus (novembre 2007)

Albinit – (maggio 2008)

Aiecc – Associazione italiana sindrome Eec (maggio 2009)

Vi.p.s. – Vivere la paraparesi spastica (ottobre 2009)

I.p.ass.i – Associazione italiana incontinenza pigmenti (giugno 2011)

## IL CONVEGNO DELLE ASSOCIAZIONI AMICHE DI TELETHON

A partire dal 2009, la Convention Scientifica ospita al suo interno un evento dedicato alle associazioni di malattia amiche di Telethon. In parallelo con lo svolgimento delle sessioni scientifiche indirizzate ai ricercatori, il convegno con i rappresentanti delle associazioni è pensato per facilitare l'incontro e il confronto tra i ricercatori e i pazienti nel contesto di un evento scientifico classicamente dedicato agli 'addetti ai lavori'. L'obiettivo dell'iniziativa è duplice: da una parte informare i pazienti sulla ricerca, dall'altra favorire il confronto tra pazienti e ricercatori affinché l'urgenza degli uni e il rigore degli altri trovino terreno comune in una proficua collaborazione verso il traguardo condiviso della terapia. Sono circa ottanta le associazioni che hanno aderito anche quest'anno inviando un proprio rappresentante. Le testimonianze di Alberto Fontana, presidente di Uildm, e di Terkel Andersen, presidente di Eurordis, hanno consentito a tutta la platea di riflettere sulle modalità con cui le associazioni di pazienti possono coordinare le proprie istanze e incidere maggiormente sulle politiche di finanziamento della ricerca a livello nazionale ed europeo.







LA RACCOLTA FONDI

# Il sostegno, per scoprire il valore dell'arricchimento reciproco

La squadra della raccolta fondi

La Maratona Telethon

La Campagna di primavera

Tutto l'anno insieme agli Italiani

# La squadra della raccolta fondi

## *L'impegno di tutti contro le malattie genetiche*

La partecipazione di ognuno è indispensabile e fa la differenza. Si può partecipare alla raccolta in tanti modi, tutti essenziali per costruire insieme un futuro libero dalle malattie genetiche: scendere in campo con la propria rete aziendale creando veri e propri canali di raccolta, fare una semplice donazione diretta o mettere a disposizione il proprio tempo e le proprie energie per informare, sensibilizzare e raccogliere il sostegno della comunità.

La squadra che sostiene Telethon è la linfa vitale della raccolta. Sono aziende, istituzioni pubbliche e private, associazioni di volontariato, singoli cittadini che condividono con determinazione motivazioni e obiettivi. È l'impegno condiviso dei nostri partner, in prima linea a favore della ricerca, a creare il flusso di energia e la consapevolezza che, insieme, anche i progetti più ambiziosi possono diventare possibili. Svolgono un ruolo fondamentale nella diffusione di una 'coscienza sociale' che consideri responsabilità di ognuno la partecipazione per costruire un futuro libero dalle malattie genetiche.

### I PARTNER PRINCIPALI



Una collaborazione preziosa che continua da 19 anni. Un riconoscimento al partner

storico di Telethon non solo per la rilevanza del supporto offerto ma anche per aver costruito negli anni un esempio di partecipazione meritevole, realizzando un modello di responsabilità sociale d'impresa, caratterizzato dalla attività volontaria del personale e dall'impegno continuo di tutta la rete. La sua raccolta, che dura tutto l'anno, ma che viene celebrata in particolare durante la Maratona Tv, nel 2010-2011, ha raggiunto il traguardo di 12.016.301 Euro.



Da un'idea e un atto di amore dell'Unione italiana lotta alla distrofia muscolare, nel 1990

è nato Telethon. Da quel momento, centinaia di volontari Uildm ogni anno scendono in piazza in tutte le città d'Italia per informare, sensibilizzare e favorire la raccolta fondi a favore della ricerca sulle malattie rare. Un supporto insostituibile per mantenere vivo il contatto diretto tra gli Italiani e Telethon. Nel 2010-2011, la raccolta Uildm è stata di 1.053.545 Euro.

### I PARTNER ISTITUZIONALI



Dal 2005 l'Amministrazione autonoma dei monopoli di Stato sostiene Telethon, coinvolgendo nel suo

progetto di raccolta i suoi principali operatori e concessionari come Bwin, Codere, Cogetech, Intralot, Merkur e Jamma. Una collaborazione resa ancora più efficace grazie anche ai suoi principali provider come Lottomatica, Sisal e Snai. La raccolta complessiva per il 2010 è stata di 521.096 Euro.



Dal 2003 l'obiettivo di Auchan è quello di contribuire all'avanzamento della ricerca Telethon

verso la cura. Ogni anno la sua rete di ipermercati si attiva in occasione della maratona per supportare la raccolta fondi. Il coinvolgimento e la generosità dei suoi dipendenti hanno permesso di sensibilizzare la clientela e di raccogliere, grazie anche alle donazioni interne, la somma di 1.002.592 Euro.



Il suo obiettivo è quello di far raggiungere alla ricerca Telethon sempre nuovi traguardi. Un

obiettivo che, insieme alla passione e alla determinazione, l'Associazione volontari italiani sangue ha ereditato direttamente da Susanna Agnelli. È un impegno ambizioso che si rinnova ogni anno a partire dal 2001 e richiede energia e grande partecipazione. Nel 2010 il totale delle somme raccolte è stato 305.460 Euro.



Giunti al Punto sostiene per il terzo anno consecutivo la raccolta fondi di Telethon alla

quale partecipano da quest'anno due nuovi partner (che fanno parte insieme a Giunti al Punto della società Giunti&Messaggerie): Melbookstore e Ubik. Nelle librerie Giunti al Punto, Melbookstore e Ubik presenti sul territorio nazionale sono state promosse varie iniziative a favore della ricerca Telethon che hanno coinvolto molti dei loro clienti. Giunti ha così offerto un contributo di raccolta pari a 155.474 Euro.



Il Gruppo Poste Italiane è tornato a sostenere la ricerca di Telethon attivando

l'iniziativa 'dona il resto' presso tutti i 14mila uffici postali. Anche PosteMobile, l'operatore di telefonia mobile del Gruppo, ha partecipato alla campagna consentendo ai propri clienti di inviare sms solidali al 45505. La raccolta complessiva ha superato i 140.000 Euro.



Partner di Telethon dal 2002, Simply ha sempre creato modalità di raccolta a favore della

ricerca, per sensibilizzare la clientela e tenerne alta l'attenzione sui risultati e sugli sviluppi futuri nell'ambito della lotta alle malattie genetiche. Grazie ai suoi punti vendita – Punto Simply, Ipersimply, Sma, Cityper – ha raccolto complessivamente 1.198.096 Euro.

## CON IL CONTRIBUTO DI



I titolari di carte di credito Visa, Mastercard e American Express hanno effettuato donazioni a favore della ricerca grazie all'intervento di CartaSi che ha semplificato le procedure sia di raccolta che di accredito. Il risultato è stato pari a 565.000 Euro. A questo importo va aggiunta anche la donazione CartaSi di 50.000 Euro.



La filiale italiana della multinazionale farmaceutica per molti anni ha ospitato nel suo prestigioso centro di ricerca a Verona gli scienziati della Commissione Medico-Scientifica di Telethon, coprendo i costi di questo importante evento di ricerca. Nel corso del 2010-2011 ha contribuito a sostenere la ricerca a favore di Telethon con una donazione di 475.000 Euro. Si tratta di un contributo liberale ricevuto da Telethon nell'ambito delle attività di raccolta fondi e non rientra nella partnership siglata nell'ottobre del 2010 con la sede internazionale di Gsk per lo sviluppo di nuovi studi clinici di terapia genica.



Il concessionario di Stato per la gestione dei giochi, concorsi a pronostico e scommesse, ha realizzato una schedina dedicata e invitato la clientela ad effettuare, tramite versamenti dal terminale SuperEnalotto, una raccolta a favore della ricerca Telethon. Grazie a questa iniziativa, la cifra realizzata è stata di 112.335 Euro.



In 6.000 punti Snai, nel 2010-2011, l'Associazione di concessionari e gestori per la raccolta di scommesse ha realizzato una serie di importanti iniziative a favore della ricerca Telethon richiedendo la partecipazione diretta degli associati, ognuno dei quali si è attivato per coinvolgere e invitare alla donazione la propria clientela. La risposta è stata positiva e ha consentito di raggiungere la cifra di 163.015 Euro.



Al Gruppo Telecom Italia si deve la realizzazione di attività fondamentali nello svolgimento della Maratona Tv 2010: dal sofisticato supporto tecnologico relativo all'alimentazione ed elaborazione dati del numeratore, alla presa in carico dei relativi costi tecnici pari a 160.000 Euro. A quest'importante contributo si è aggiunta anche una donazione liberale di 75.000 Euro.



In tutta Italia la rete Upim è stata al fianco di Telethon favorendo la raccolta di fondi per la ricerca con iniziative dedicate e rivolte alla propria clientela nei punti vendita Upim, Upim Pop, Upim Mercatone Uno e Blu kid. Attraverso diverse modalità di raccolta, l'iniziativa ha consentito di raccogliere donazioni per un totale di 160.555 Euro.

## I PARTNER TECNICI



Con l'attivazione comune del numero unico 45505, queste importanti compagnie telefoniche hanno consentito ai loro clienti, chiamando da rete fissa, di sostenere la ricerca sulle malattie genetiche con donazioni di 5 o 10 Euro. La raccolta complessiva è stata di 5.121.379 Euro.



I gestori di telefonia mobile hanno messo a disposizione il numero 45505 che ha consentito di effettuare, ad ogni sms, una donazione di 2 Euro esente da Iva e quindi completamente devoluta alla ricerca. Grazie alla adesione dei loro clienti il contributo alla raccolta è stato di 3.188.393 Euro.

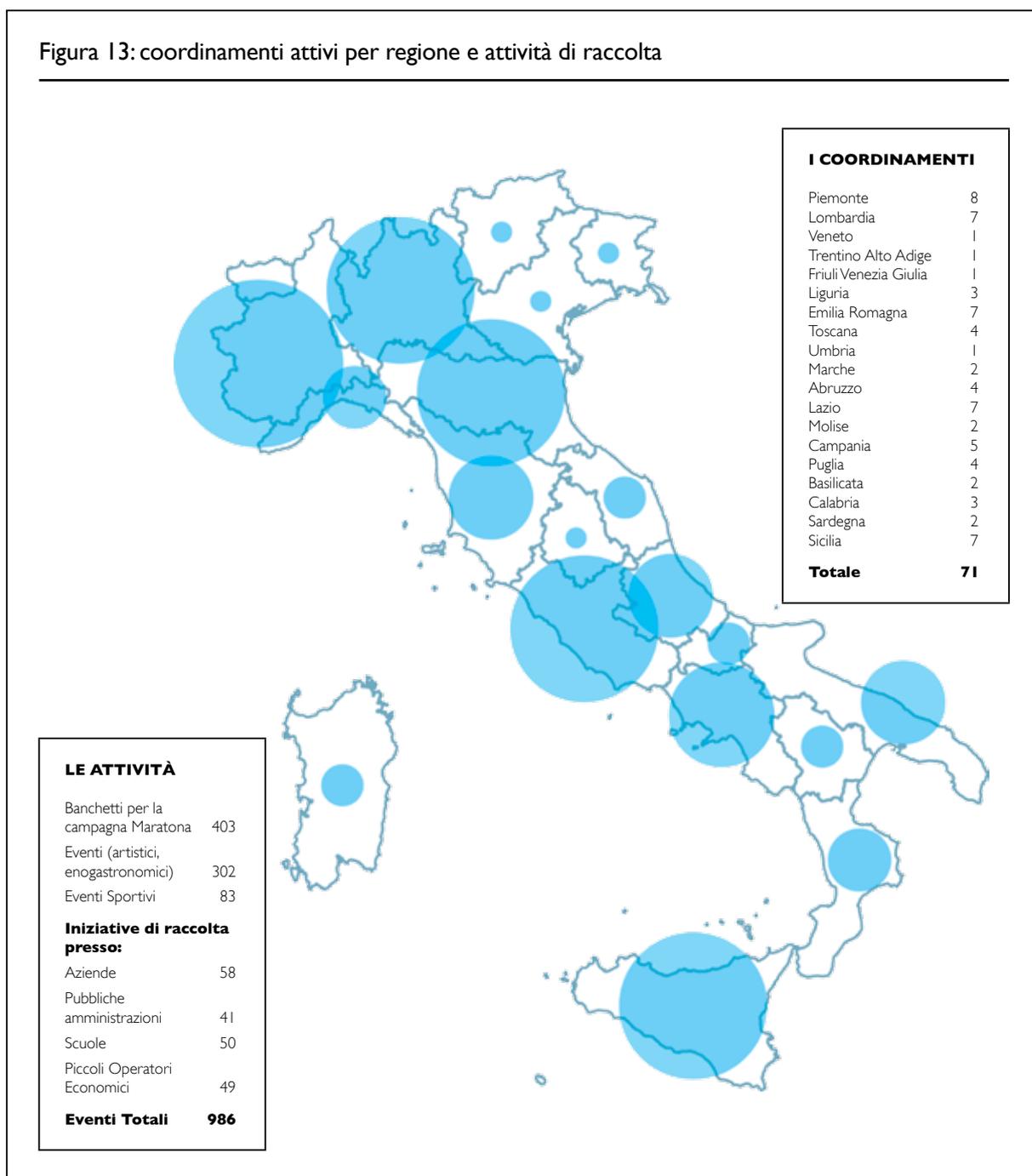
### Un ringraziamento particolare a chi nell'anno ha sostenuto Telethon con una donazione pari o superiore a 10 mila Euro

ACI	Cogeroma	Figc-Lega Nazionale Dilettanti	Maggiore Rent
Agenzia del territorio	Co.La.Ri.	Filmauro	Maxcom Petroli
Albatross Entertainment	Coldiretti e Fondazione	Findomestic	My Shapes
Abarth & C	Campagna Amica	Finleonardo	O.M.A.
Amministrazione Provincia	Coni Servizi	Finsibi	Parsitalia
Avellino	Crai	Fogliata	Pricewaterhousecoopers
Amministrazione Senato	Credifarma	Fondazione Cariverona	Profumerie Douglas
della Repubblica	Cva - Compagnia Valdostana	Fondazione Carnevale	SCT
Amuchina	delle Acque	di Viareggio	SEA
Artigiancassa	Decima Costruzioni	Fondazione Cassa di Risparmio	Selex Sistemi Integrati
Arval Service Lease Italia	Dompé Farmaceutici	di Alessandria	Seli
Aquilsport	Dott. A. Giuffrè Editore	Funivie Piccolo San Bernardo	S&G
Barili	Ducati Motor	di La Thuile	Siae
Basilichi	Dytech Dynamic Fluid	Gascom	Si.Di.Gas
Bnp Paribas Investment	Technologies	Genzyme	Sipal
Partners Sgr	Ecofim	Idromeccanica Bertolini	Società Agricola Laquilana
Carbofin	Edimo Metallo	Impresa	Società Agricola Lieta
Carpisa & Yamamay	E. Giovi	Italiana Costruzioni	Spaziale Splendy
Casa di cura Tortorella	Fandango	Las Mobili	Speia
Cattleya	Ferrarelle	Lear Corporation Italia	Tamoil
Celva	Ferrari	Luxottica	Technip
Clace	Fiaip	Manutencoop Facility	Vitali

## LA RETE DEI COORDINATORI

I coordinatori provinciali sono persone motivate e disponibili che, a titolo gratuito, si attivano in prima persona per sensibilizzare la comunità sociale, dalle aziende, alle istituzioni pubbliche e private, dagli enti locali alle associazioni. È una rete di persone generose e particolarmente attive localmente che contribuisce a creare presso l'opinione pubblica la consapevolezza che Telethon significa ricerca di eccellenza e merita il sostegno dei cittadini durante tutto il periodo dell'anno. Il progetto della rete territoriale di Telethon risponde alla necessità di ottimizzare le attività dei volontari e, parallelamente, diffondere le informazioni sullo stato della ricerca e promuovere le attività di raccolta fondi. Attualmente sono 71 i coordinatori attivi (erano 52 nel 2009 e 61 nel 2010), ciascuno con un proprio staff, per un totale di circa 200 volontari e 1.000 iniziative di raccolta organizzate sul territorio nel 2011. L'arruolamento dei coordinatori continua tutto l'anno, perché la lotta contro le malattie genetiche merita sempre maggior attenzione e richiede la massima capillarità.

Figura 13: coordinamenti attivi per regione e attività di raccolta



## **I VOLONTARI TELETHON, LA GIOIA DI ESSERCI**

Ai volontari di impresa e ai coordinatori provinciali, ogni anno si uniscono centinaia di persone che prestano gratuitamente la loro opera per condividere e sostenere le attività di ricerca Telethon. Persone disposte a trasformare il loro impegno e la loro determinazione in energia vitale in grado di portare avanti con efficacia un grande progetto etico e sociale: costruire un futuro libero dalle malattie genetiche. Nel corso del 2010-2011 sono stati circa 1.500 i volontari scesi in piazza.



# La Maratona Telethon

*La prima e più importante raccolta fondi televisiva in Italia*

La tradizionale maratona, giunta nel 2010 alla ventunesima edizione, è andata in onda il 17, 18 e 19 dicembre e ha registrato trentadue milioni centomila Euro di raccolta. Dal 1990, il successo di pubblico e di risultati è cresciuto. Il suo format, che concilia le esigenze dello spettacolo con una rigorosa informazione medico-scientifica e con le testimonianze reali di ricercatori e malati, ha creato negli anni un forte legame con il pubblico, riuscendo a diventare per gli Italiani il punto di riferimento nell'ambito della beneficenza televisiva.



A condurre la diretta è stato Fabrizio Frizzi che, con Arianna Ciampoli e Paolo Belli e la sua band, è stato affiancato da personaggi noti della tv italiana, tra cui Pippo Baudo, Bruno Vespa ed Enrico Mentana. Il gruppo degli autori è stato guidato da Claudio Fasulo e la regia è stata firmata da Marco Brigliadori. Il numeratore della raccolta è partito giovedì 16 dicembre durante il Tg1 delle 20. La diretta si è snodata per 60 ore in molte trasmissioni del palinsesto Rai e si è conclusa la sera di domenica, con una puntata speciale de 'L'eredità'.

Oltre a RaiUno, RaiDue e RaiTre, un contributo significativo è stato offerto da Rai Storia, che ha realizzato uno 'speciale' sui venti anni di Telethon dalla grande forza evocativa e con immagini di importante valore documentale. Significativa anche la collaborazione di Rai International, che ha diffuso sul satellite la Maratona Tv, e di Rai Cinema, produttrice come ogni anno di uno dei cortometraggi Telethon realizzati per testimoniare la realtà attraverso storie vissute.

Le testate giornalistiche Rai hanno offerto aggiornamenti in tempo reale sull'andamento della raccolta, contribuendo alla realizzazione della lunga non stop televisiva, mentre i palinsesti radio hanno ospitato tanti protagonisti legati a Telethon a partire dal lunedì 13 dicembre. E per la prima volta sul sito Rai.tv è stato trasmesso il backstage della Maratona, curato da Fabrizio Gatta, Francesco Rapetti Mogol e Claudia Andreatti.

Il *leitmotiv* della 21<sup>a</sup> edizione è stato sintetizzato nella frase "si può fare". Dopo anni di difficile e paziente ricerca di base, Telethon ha annunciato infatti l'avvio di sperimentazioni cliniche sull'uomo per alcune gravi patologie.



## I NUMERI DEL SUCCESSO: LA 21<sup>ma</sup> MARATONA IN CIFRE

**32 milioni e 100 mila Euro**, è il dato di chiusura del numeratore alla fine della maratona

**60** ore di trasmissione televisiva

**29** ore di 'studio Telethon'; la trasmissione condotta da Fabrizio Frizzi

**18** trasmissioni coinvolte per un totale di **31** ore con **26** conduttori impegnati

**35** ricercatori Telethon presenti

**10** i cortometraggi (uno prodotto da RaiCinema) che raccontano le esperienze di persone affette da una patologia genetica

**27** le patologie di cui si è parlato, per un totale di **3** ore

**32** le famiglie coinvolte

**13** spazi di informazione istituzionale per un totale di **2** ore di trasmissione

# La Campagna di primavera

## La raccolta si apre a nuove strade

Per avvicinare il pubblico a Telethon in un momento diverso da quello della maratona di dicembre e proporre innovative modalità di donazione, Telethon ha lanciato nel mese di maggio 2011 un'importante iniziativa di sensibilizzazione e raccolta fondi che si è articolata sia sul territorio, sia in televisione.

Nel primo caso, attraverso **Walk of life**: 200 passeggiate in 90 parchi naturali il 28 e il 29 maggio. In ogni parco è stata organizzata una speciale 'passeggiata per Telethon', durante la quale una guida illustrava le meraviglie naturalistiche del luogo e un ricercatore raccontava il proprio lavoro. I partecipanti ricevevano, a fronte della donazione, un laccio blu che ha legato simbolicamente tutti i camminatori delle passeggiate alla missione di Telethon. Testimonial d'eccezione è stato Neri Marcorè, protagonista anche di un video che ha lanciato una passeggiata virtuale tra gli utenti del web. Importante è stato anche il contributo di alcune aziende. Tra i partner storici Bnl che ha distribuito i coupon che davano diritto alla partecipazione all'evento, e Simply che ha attivato i punti vendita a insegna Punto, Simply, IperSimply. Tra le aziende che hanno sostenuto l'iniziativa si segnalano Ferrarelle, Dompé Farmaceutici, Amuchina, Blu Vacanze e Vivere & Viaggiare, mentre Rds è stata la radio partner. Walk of life ha rappresentato in modo metaforico ed efficace il lungo e difficile cammino della ricerca verso la cura delle malattie genetiche e allo stesso tempo ha permesso di avvicinarsi alla ricerca in modo nuovo e nei luoghi più incantevoli del nostro Paese.



Parallelamente a Walk of Life, la Campagna di primavera si è sviluppata anche con una diretta su Rai Uno. Il 30 maggio, a Parma, si è svolta la tradizionale **Partita del Cuore**, che per il secondo anno ha raccolto fondi anche per Telethon. Sul campo del Tardini, il Telethon team ha sfidato la Nazionale italiana cantanti e la Nazionale italiana parlamentari in un triangolare il cui calcio d'inizio è stato dato da Gabriele Sereni, bambino affetto da distrofia muscolare. La Campagna di primavera ha raccolto complessivamente oltre 900 mila Euro.

A promotional poster for 'WALK OF LIFE'. On the left, there is a stylized blue DNA double helix. The main text reads 'WALK OF LIFE' in large blue letters, with 'IL CAMMINO PER LA RICERCA' below it. At the bottom, it says '28-29 MAGGIO 2011 NEI PARCHI ITALIANI'. Logos for Telethon, Federparchi, BNL, Dompé, Simply, Ferrarelle, and RDS are displayed. The website 'www.walkoflife.it' is also present. The text 'Sostieni Telethon e il cammino per la ricerca. Il 28 e 29 maggio partecipa a Walk of Life. 200 passeggiate nei parchi più belli d'Italia.' and 'Scegli l'itinerario più vicino a te, scoprirai che camminare fa bene alla ricerca.' is included.

# Tutto l'anno insieme agli Italiani

## Per dare continuo sostegno alla ricerca

*Le attività di ricerca non si fermano mai. Molti Italiani lo sanno e ci sono vicini durante tutto l'arco dell'anno. Un numero crescente di persone dedica alla raccolta momenti personali come matrimoni, compleanni e lasciti, o trasforma in un atto di generosità anche la propria dichiarazione dei redditi. Sul sito telethon.it sono indicati tutti i modi per contribuire alla lotta contro le malattie genetiche*

### 5XMILLE, CONTRIBUIRE IN PRIMA PERSONA

La scelta di destinare il 5xmille alla ricerca finanziata dalla Fondazione Telethon è un modo concreto di aderire ad una missione. Chi fa questa scelta dimostra di sostenere la ricerca eccellente, di avere fiducia in una gestione trasparente delle risorse e soprattutto di condividere l'impegno Telethon a trasformare le ricerche genetiche in terapie fruibili da tutti.

Nel 2009, 53.000 Italiani hanno scelto Telethon nella propria dichiarazione dei redditi, con una raccolta di 2.360.291 Euro. I contributi ricevuti nelle precedenti edizioni del 5xmille sono stati rispettivamente di 1.378.165 Euro nel 2006 (prima edizione), 1.747.873 Euro nel 2007 e 2.488.146 Euro nel 2008. I fondi del 5xmille costituiscono un contributo molto significativo per continuare a sostenere il lavoro di ricerca sulle malattie genetiche.



### IL LASCITO TESTAMENTARIO, UN'EREDITÀ PER LA RICERCA

Telethon da anni promuove la possibilità di fare testamento a favore della Fondazione. Il lascito rappresenta un gesto di grande valore a sostegno della ricerca, perché destinare parte della propria eredità a Telethon, anche attraverso piccole somme o con un qualsiasi bene, mobile o immobile, significa garantire un sostegno costante alla ricerca e la volontà di impegnarsi a lasciare alle generazioni future un mondo libero dalle malattie genetiche. È un modo generoso di guardare lontano, oltre se stessi, per contribuire alla felicità di chi verrà dopo di noi. Nell'ultimo anno, la raccolta fondi da lascito testamentario a favore della Fondazione è stata di oltre 650.000 Euro.

### IL TOTALE DEI FONDI RACCOLTI

Complessivamente i fondi raccolti al 30 giugno 2011 ammontano a 35.551.560 Euro, il 5% in meno rispetto all'anno precedente. Lo scostamento tra i due esercizi è motivato principalmente dall'iscrizione nell'esercizio precedente di due quote del 5xmille (rispettivamente relative all'edizione 2007 e 2008). Normalizzandone gli effetti – ossia scorporando dal totale della raccolta 2009-2010 il valore del 5xmille del 2007 – emerge una raccolta in linea con quella dello scorso esercizio.







LA GESTIONE DELLE RISORSE

La chiarezza,  
per garantire  
la fiducia di chi vede  
lontano

Il funzionamento della struttura

Le risorse umane

# Il funzionamento della struttura

*Un attento monitoraggio dei costi per l'ottimale funzionamento di tutte le attività*

## IL RENDICONTO DELLA GESTIONE

Ogni anno sottoponiamo ad un rigoroso processo di controllo le spese sostenute per la raccolta dei fondi e per il funzionamento generale dell'organizzazione, al fine di garantire la maggior parte dei fondi alle attività di ricerca. Dal 2005 utilizziamo indici di efficienza riconosciuti a livello internazionale e proposti da Charity Navigator, l'organizzazione che valuta gli enti non profit statunitensi e che offre una guida consapevole ai donatori. La validità di questi indici è confermata in Italia dal Consiglio nazionale dei dottori commercialisti.

Nel seguente prospetto sono sintetizzate le informazioni contenute nei bilanci contabili del Comitato e della Fondazione, certificati dalla società di revisione Kpmg e approvati dal Consiglio di Amministrazione di Telethon. La tabella fornisce, attraverso stabiliti principi di aggregazione, la base di calcolo dei principali indici di efficienza organizzativa.

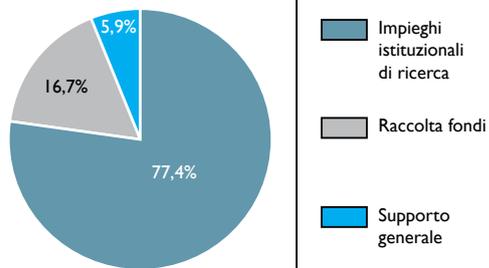
Figura 14: Comitato Telethon Fondazione Onlus e Fondazione Telethon  
Rendiconto della gestione – Aggregato di sintesi al 30 giugno 2011 (in Euro)

	Comitato	Fondazione	Aggregato 2010-2011	Aggregato 2009-2010
<b>Proventi</b>				
proventi da raccolta fondi	28.063.057	7.488.503	<b>35.551.560</b>	37.429.307
proventi istituzionali e contributi vincolati	610.341	11.086.076	<b>11.696.417</b>	5.034.984
proventi finanziari e straordinari netti	1.333.124	1.217.854	<b>2.550.978</b>	1.406.763
<b>Totale proventi</b>	<b>30.006.522</b>	<b>19.729.433</b>	<b>49.798.955</b>	<b>43.871.054</b>
<b>Impieghi</b>				
impieghi istituzionali	24.591.479	12.747.035	<b>37.338.514</b>	33.463.110
• <i>fondi per progetti</i>	21.948.183	11.202.454	<b>33.150.637</b>	30.049.823
• <i>altri istituzionali</i>	2.643.296	1.544.581	<b>4.187.877</b>	3.413.287
oneri raccolta	4.967.813	3.102.543	<b>8.070.356</b>	7.138.006
oneri supporto generale	1.186.613	1.632.800	<b>2.819.413</b>	2.624.778
<b>Totale impieghi</b>	<b>30.745.905</b>	<b>17.482.378</b>	<b>48.228.283</b>	<b>43.225.894</b>
<b>Risultato gestionale fondi disponibili</b>	<b>-739.383</b>	<b>2.310.055</b>	<b>1.570.672</b>	<b>645.160</b>

## I PROVENTI

Nel corso del 2010-2011, il totale dei proventi di Telethon, al netto degli oneri finanziari e straordinari, è stato di 49.798.955 Euro, con una crescita del 13,5% rispetto all'anno precedente. L'incremento più significativo deriva dai proventi istituzionali, in particolare dai fondi derivanti da partnership con aziende e istituzioni per finanziare e finalizzare lo sviluppo delle terapie in portafoglio. Questi rappresentano circa il 23% del totale dei proventi e costituiscono un'entrata sempre più strategica per sostenere adeguatamente le attività di ricerca di Telethon legate alla sperimentazione clinica dei progetti più promettenti. La raccolta dei fondi – che rappresenta il 71% del totale (era l'85% nel 2009-2010) – segna una flessione del 5 per cento, imputabile principalmente alla contabilizzazione nell'esercizio precedente di due differenti quote del 5xmille.

**Figura 15: nel 2010-2011, su 100 Euro, Telethon ne ha impiegati oltre 77 per le attività istituzionali**



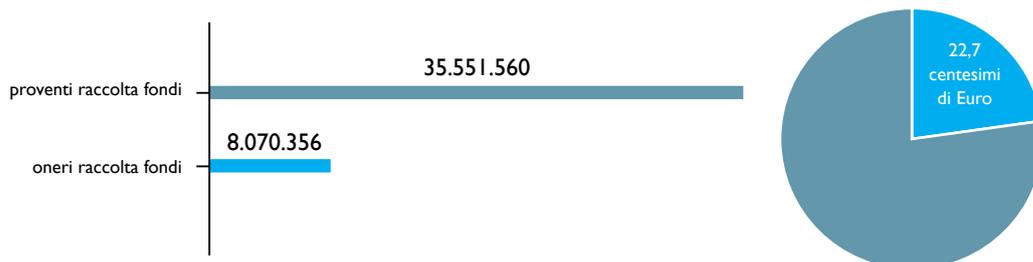
## L'IMPIEGO DEI FONDI

Nel 2010-2011 Telethon ha destinato il 77,4% degli impieghi a favore delle attività istituzionali e in particolare 33.150.637 per i progetti di ricerca scientifica e 4.187.877 Euro per altri impieghi istituzionali riferiti alle attività della Commissione Medico-Scientifica, dell'ufficio scientifico, della gestione dei fondi di ricerca e per le attività di sensibilizzazione e informazione scientifico-istituzionale. Il restante 22,6% delle spese totali dell'anno è stato impiegato per le attività di raccolta fondi (8.070.356 Euro) e del funzionamento della struttura (2.819.413).

## L'EFFICIENZA DELLA RACCOLTA

L'efficienza della raccolta fondi indica quanto costano le iniziative di fund raising nel loro complesso. L'indice di efficienza è dato dal rapporto tra il totale degli oneri della raccolta fondi (ossia tutte le spese connesse alle iniziative di raccolta fondi) e il totale dei proventi correlati a tali oneri. L'incidenza di questi oneri, più alta in confronto al passato, si spiega con il maggiore ricorso a modelli di raccolta integrativi rispetto a quello televisivo e indirizzati a segmenti sempre più ampi della popolazione, che richiedono significativi investimenti di comunicazione per essere efficaci e permettere la crescita della raccolta nei prossimi anni, in modo da riportare l'efficienza a valori più tipici della nostra organizzazione a partire dal 2014-2015.

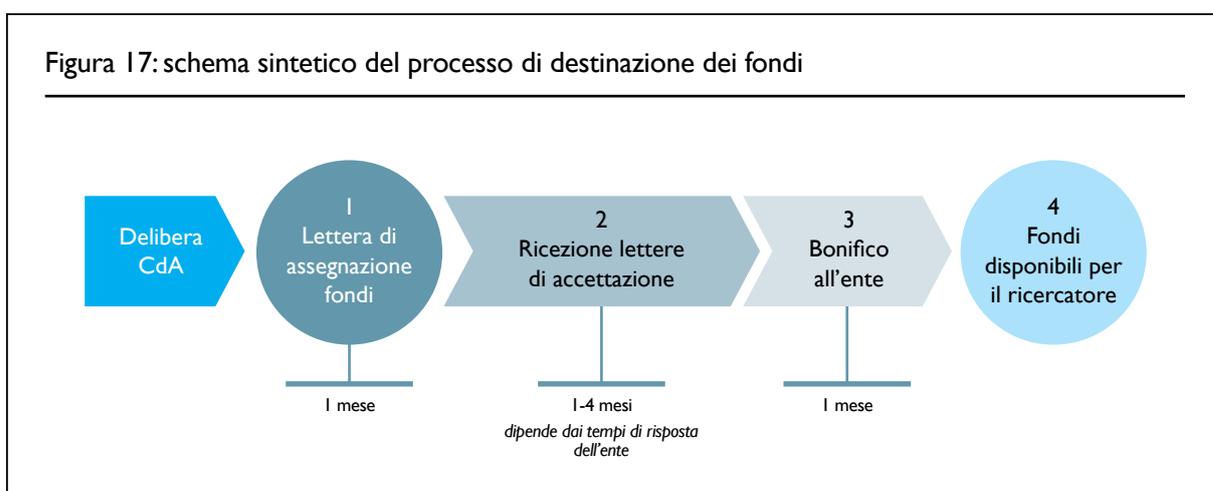
**Figura 16: nel 2010-2011, per raccogliere un Euro, Telethon ha speso 22,7 centesimi**



## LA RAPIDITÀ NELLA DESTINAZIONE DEI FONDI

Un ulteriore indicatore di efficienza è rappresentato dal tempo che intercorre tra la delibera dei progetti finanziati e la messa a disposizione dei fondi per i progetti stessi. Il processo prevede che dopo la delibera del Consiglio di Amministrazione, l'Ufficio di Gestione dei Fondi di Telethon invii ai ricercatori le comunicazioni amministrative contenenti i moduli di accettazione e il regolamento di gestione del finanziamento. I ricercatori assegnatari del finanziamento hanno quattro mesi di tempo per rispondere. Una volta ricevuta la risposta del ricercatore, Telethon procede ad una serie di controlli amministrativi volti a verificare la corretta compilazione, confrontando i dati con quelli riportati nel bando e, in seguito all'esito positivo dei suddetti controlli, effettua il bonifico.

Questo processo può essere sintetizzato nello schema seguente che evidenzia tra l'altro come la rapidità nella destinazione dei fondi dipende anche dai tempi di risposta dell'ente presso cui lavora il ricercatore:



Entro 6 mesi dalla delibera, tutti gli enti di ricerca ricevono i bonifici relativi ai fondi loro assegnati. In media, oltre il 50% entro i primi 4 mesi.



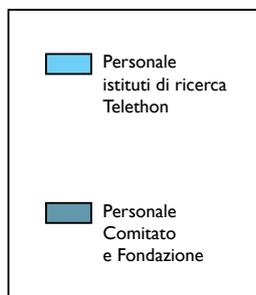
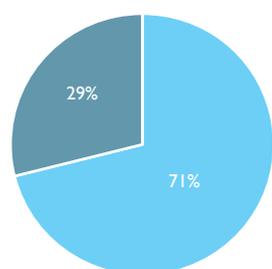


# Le risorse umane

## Motivazione, impegno e professionalità al servizio della missione

Lavorare in Telethon implica una motivazione al lavoro basata sulla forte condivisione della missione, sulla collaborazione tra diverse professionalità e sull'impegno comune volto al raggiungimento degli obiettivi statuari. Le persone che lavorano in Telethon sono 390, di cui 279 – oltre il 70% del totale – compongono il personale degli istituti

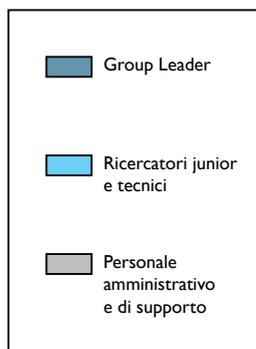
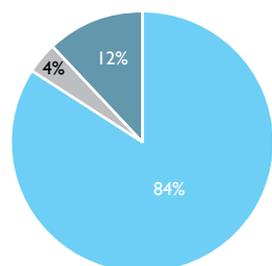
Figura 18: il personale Telethon impiegato negli istituti di ricerca e negli uffici generali, al 30 giugno 2011



Personale istituti di ricerca Telethon	279
Personale Comitato e Fondazione	111
<b>Totale generale</b>	<b>390</b>
Dipendenti	126
Collaboratori	134
Professionisti	40
Borsisti	90
<b>Uomini</b>	<b>129</b>
<b>Donne</b>	<b>261</b>

Per quanto riguarda gli istituti di ricerca Telethon, la figura 19 rappresenta in sintesi il profilo professionale del personale di ricerca.

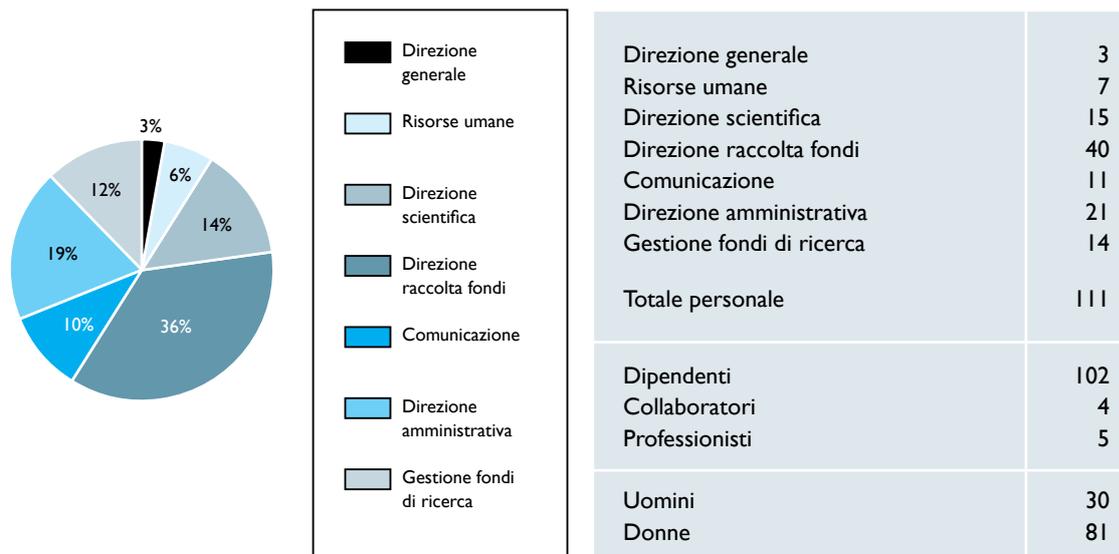
Figura 19: il personale degli istituti di ricerca al 30 giugno 2011



Group Leader	34
Ricercatori junior e tecnici	234
Personale amministrativo e di supporto	11
<b>Totale personale di ricerca</b>	<b>279</b>
Dipendenti	24
Collaboratori	130
Professionisti	35
Borsisti	90
<b>Uomini</b>	<b>99</b>
<b>Donne</b>	<b>180</b>

Senza considerare il personale direttamente impegnato negli istituti di ricerca interna, sono 111 le persone che lavorano nei due enti Telethon (Comitato e Fondazione) al 30 giugno 2011, nelle aree evidenziate nel grafico successivo.

**Figura 20: il personale del Comitato e della Fondazione, al 30 giugno 2011**



Al 30 giugno 2011 l'età media del personale è di 39,7 anni; i dipendenti (92% della popolazione lavorativa) hanno un'anzianità media di servizio di 7,5 anni, i professionisti di 6,4 e i collaboratori di 3,7.

Grazie ai finanziamenti ricevuti dal Forte (Fondo paritetico interprofessionale nazionale per la formazione continua del terziario), da Quadrifor (istituto bilaterale per lo sviluppo della formazione dei quadri del terziario) e da Cegos (gruppo leader nella formazione e consulenza per lo sviluppo del Capitale Umano), nel 2010-2011 sono stati erogati 17 corsi di formazione (di cui 12 tecnico-professionali e 5 manageriali e trasversali) per un totale di 307 ore per 94 partecipanti. Sono state inoltre organizzate iniziative che hanno consentito di vivere l'ambiente di lavoro in maniera 'nuova', come la giornata del 23 giugno 2011, dedicata alla festa 'Bimbi in ufficio', che ha aperto le porte a tutti i figli dei dipendenti, di età compresa tra 1 e 15 anni.





GLI IMPEGNI PER IL FUTURO

Il coraggio,  
per costruire  
insieme il mondo  
che meritiamo

L'alleanza per la cura

Una progettualità di ampio respiro

# L'alleanza per la cura

*Alimenta la speranza, conferma l'eccellenza*

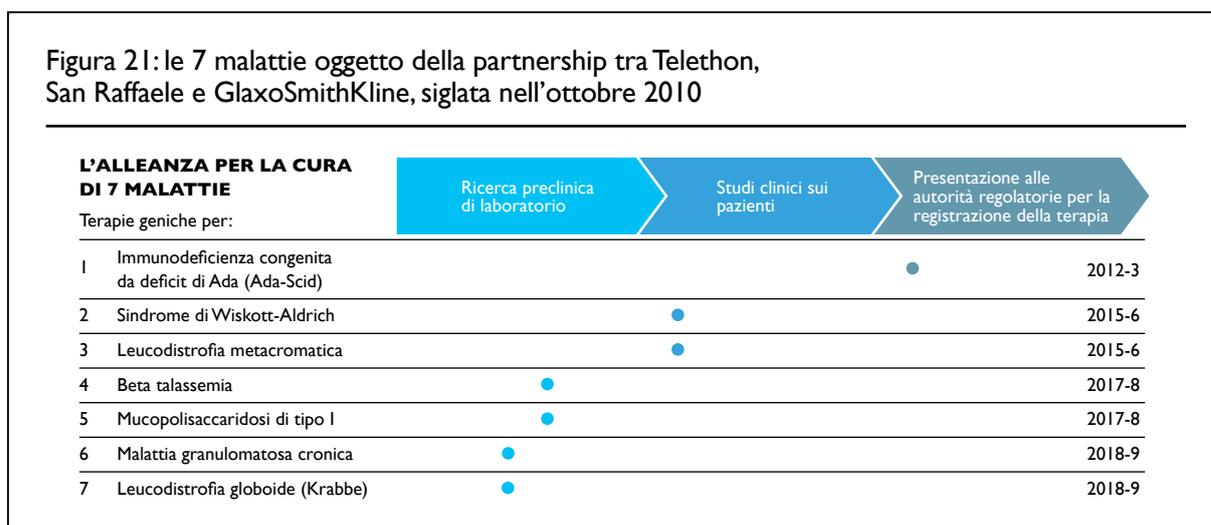
***A un anno dall'importante accordo con la multinazionale farmaceutica GlaxoSmithKline, prosegue il programma di terapia genica dell'Hsr-Tiget. Per due malattie va avanti la sperimentazione sull'uomo, mentre la ricerca in laboratorio ha compiuto ulteriori passi verso il letto del paziente***

La partnership con GlaxoSmithKline riguarda lo sviluppo e la messa a disposizione dei pazienti della terapia genica per sette diverse malattie genetiche. In base all'accordo, la multinazionale farmaceutica ha ottenuto la licenza esclusiva di sviluppare e mettere in commercio, rendendola fruibile a tutti i malati, la terapia genica per l'Ada-Scid, su cui i ricercatori dell'Hsr-Tiget hanno messo a punto un protocollo di terapia genica efficace e sicuro, già sperimentato con successo su 14 bambini affetti. Perché questa terapia possa effettivamente diventare un farmaco utilizzabile da chi ne faccia richiesta occorrono infatti una serie di passaggi ulteriori, di natura sia produttiva sia regolatoria, che Gsk si è impegnata a portare avanti nei prossimi anni. In tale fase sono fondamentali, infatti, le risorse economiche e di know-how proprie dell'industria.

L'Hsr-Tiget ha ricevuto un primo finanziamento di 10 milioni di euro per avviare e sviluppare la sperimentazione clinica della terapia genica per altre sei malattie genetiche. Su due di queste – la leucodistrofia metacromatica e la sindrome di Wiskott-Aldrich – lo studio clinico era già partito nell'aprile 2010. Nel complesso, i due trial prevedono il trattamento di 14 pazienti: al 30 settembre 2011 si sono già sottoposti alla terapia genica quattro bambini affetti da leucodistrofia metacromatica e tre da sindrome di Wiskott-Aldrich. Per quanto riguarda invece la beta talassemia e la mucopolisaccaridosi di tipo I, la ricerca è già in fase di preclinica avanzata e si stanno portando a termine una serie di validazioni necessarie per avviare la sperimentazione sull'uomo. Infine, gli esperimenti effettuati su modelli animali di leucodistrofia globoide e granulomatosi cronica hanno dimostrato l'efficacia dell'approccio terapeutico.

In base ai termini dell'accordo, l'erogazione di successivi finanziamenti è condizionata dal raggiungimento di specifici obiettivi intermedi che consentono di valutare in itinere l'avanzamento del programma. L'accordo prevede inoltre che le eventuali ricadute di questa ricerca su un gruppo ancora più ampio di patologie, rispetto alle sette incluse nell'accordo, siano esplorate e sostenute da Gsk.

**Figura 21: le 7 malattie oggetto della partnership tra Telethon, San Raffaele e GlaxoSmithKline, siglata nell'ottobre 2010**





# Una progettualità di ampio respiro

*Da risultati concreti, la visione di un futuro possibile*

*Intervista a Francesca Pasinelli, Direttore Generale di Telethon*

*Il bilancio dell'anno passato si chiudeva con la notizia dello storico accordo con l'azienda farmaceutica GlaxoSmithKline. Si può dire che quest'anno sia stato il primo di una nuova fase per Telethon?*

È stato il primo di un piano strategico quinquennale progettato proprio per portare l'organizzazione verso una nuova fase della sua storia.

Abbiamo costruito un piano strategico che mette al centro i pazienti come principali portatori d'interesse e che intende far fronte alle esigenze crescenti di una ricerca che per diverse malattie si sta avvicinando alla cura. L'accordo con GSK costituisce il primo risultato di questa impostazione. La partnership realizza uno dei pilastri del piano: reperire le risorse per lo sviluppo delle nostre attività anche dal coinvolgimento degli attori rilevanti nel sistema in cui operiamo. Per perseguire lo sviluppo degli approcci terapeutici fino alla piena fruibilità delle cure è fondamentale mettere in campo anche le risorse economiche e di know how proprie dell'industria farmaceutica. Analogamente non si può prescindere dalle istituzioni, per esempio per gli aspetti regolatori del processo.

*Ma così qualcuno potrebbe pensare che si stanno svendendo all'industria le fasi più importanti della ricerca?*

Niente affatto. Tengo a dire che queste partnership costituiscono la messa in pratica di un modello, di cui molti parlano ancora a un livello più che altro progettuale. Soggetti complementari tra loro – non profit, privati e istituzioni – possono contribuire, ciascuno per le proprie competenze, a una cooperazione efficace nel perseguire obiettivi comuni. In quest'ottica, aver “portato” una delle principali aziende farmaceutiche mondiali a investire in un campo a limitato margine di ricavi come quello delle malattie rare, costituisce un risultato significativo che arricchisce un patrimonio *pubblico* nel vero senso della parola, accessibile a tutti.

Quella con GSK è la prima di una serie di collaborazioni che, auspicabilmente, ci consentiranno di sviluppare al meglio la nostra ricerca. Interessante in questo senso è anche la partnership con la biotech Biomarin nell'ambito degli studi dell'istituto TIGEM sul meccanismo di accumulo nei lisosomi, ricerca di potenziale impatto su diverse malattie metaboliche e neurodegenerative.

*Tornando al piano strategico, quali sono gli altri assi portanti del programma?*

È chiaro che il percorso dagli studi di base alla messa a disposizione delle cure richiede la mobilitazione di risorse cospicue. È altrettanto chiaro che questa tendenza si va rafforzando perché nel tempo la nostra ricerca si avvicina alla cura per un numero sempre maggiore di patologie. Il piano strategico risponde a questa forte esigenza di crescita tramite l'impostazione di una raccolta fondi che riesca ad ampliare la nostra base donatori e tramite il potenziamento della nostra dimensione internazionale.

### ***Si tratta di un cambio di marcia per una raccolta tradizionalmente incentrata sulla maratona tv?***

Con questo piano strategico ci riproponiamo di coinvolgere e avvicinare alla nostra missione una platea ancora più ampia di quella che ci sostiene da vent'anni.

La maratona tv rimane un caposaldo della nostra raccolta a cui continuiamo a dedicare grande cura; l'ultima edizione ha visto il rinnovamento della squadra autorale, maggiore spazio ai contenuti scientifici e alla presentazione più diretta dei pazienti e dei loro familiari. Questa linea è stata premiata dall'ascolto.

L'elemento di innovazione che ci porterà nei prossimi anni all'attenzione di fasce di pubblico meno coinvolte dalla tv generalista – ad esempio i giovani – è stato impostato quest'anno con l'organizzazione di una campagna di primavera che, pur includendo un evento televisivo di grande popolarità come la Partita del Cuore, ci ha permesso di uscire dal nostro ambito tradizionale di raccolta tramite le passeggiate benefiche dell'iniziativa Walk of Life, Il cammino della ricerca.

### ***Dopo il primo “esperimento” proseguirete in questa direzione?***

Sicuramente sì. La prima edizione di Walk of Life ha avuto un esito molto incoraggiante in termini di visibilità, fondamentale se consideriamo che si tratta di un'iniziativa inedita per l'Italia e diretta a interlocutori in gran parte nuovi per Telethon. Intendiamo adesso capitalizzare su questo risultato per centrare, nel medio-lungo periodo obiettivi di raccolta ancora più ambiziosi, perché ambiziosi sono gli obiettivi della ricerca che dobbiamo e vogliamo sostenere. Trovo che questo sia il valore aggiunto del lavorare con il supporto di una visione complessiva delle nostre attività.



### ***E sul fronte internazionale come vi state muovendo?***

Anche in questo caso partiamo da una base molto solida, la reputazione internazionale di Telethon come ente che finanzia ricerca competitiva nell'ambito delle malattie rare. In più parti di questo documento emerge il contributo che la nostra organizzazione porta a reti e alleanze quali, ad esempio, il network Treat-Nmd nell'ambito della ricerca neuromuscolare in Europa. Nei prossimi anni continueremo a lavorare per far sì che l'efficacia di queste collaborazioni si rafforzi sempre di più.

### ***Come risponderebbe a chi pensa che questo piano strategico sia troppo ambizioso?***

Nel 2006 abbiamo avviato il piano strategico della ricerca che, cinque anni dopo, ci ha portati a realizzare il nostro obiettivo: essere una charity riconosciuta internazionalmente che è in grado di trasformare ricerca eccellente in terapie. L'esperienza ci ha insegnato che una progettualità di ampio respiro ci aiuta a ricondurre ogni nostra attività alla promessa che abbiamo fatto ai pazienti.

Confido nel fatto che estendere questa impostazione all'insieme delle nostre attività ci porterà di nuovo a centrare obiettivi realistici ancorché ambiziosi.





# Prospetti di bilancio

Stato patrimoniale del Comitato

Rendiconto della gestione del Comitato

Stato patrimoniale della Fondazione

Rendiconto della gestione della Fondazione

**COMITATO TELETHON FONDAZIONE ONLUS**
**Stato patrimoniale**

al 30 giugno 2011 (unità di Euro)

<b>ATTIVO</b>	<b>30 giugno 2011</b>	<b>30 giugno 2010</b>
<b>B) Immobilizzazioni</b>		
<i>I) Immobilizzazioni immateriali</i>		
1) Costi di Impianto ed Ampliamento	186.624	0
3) Diritti di brevetto industriale e diritti di utilizzazione delle opere dell'ingegno	301.211	144.572
6) Immobilizzazioni in corso e acconti	4.896	295.560
<b>Totale</b>	<b>492.731</b>	<b>440.132</b>
<i>II) Immobilizzazioni materiali</i>		
1) Terreni e fabbricati	7.056.533	7.216.356
3) Altri beni	27.592	28.374
<b>Totale</b>	<b>7.084.125</b>	<b>7.244.730</b>
<i>III) Immobilizzazioni finanziarie, con separata indicazione, per ciascuna voce dei crediti, degli importi esigibili entro l'esercizio successivo</i>		
3) Crediti	8.130	31.180
<b>Totale</b>	<b>8.130</b>	<b>31.180</b>
<b>C) Attivo circolante</b>		
<i>II) Crediti, con separata indicazione, per ciascuna voce dei crediti, degli importi esigibili entro l'esercizio successivo</i>		
5) Verso altri	3.114.756	1.332.475
<b>Totale</b>	<b>3.114.756</b>	<b>1.332.475</b>
<i>III) Attività finanziarie che non costituiscono immobilizzazioni</i>		
2) Altri titoli	19.382.278	20.086.752
<b>Totale</b>	<b>19.382.278</b>	<b>20.086.752</b>
<i>IV) Disponibilità liquide</i>		
1) Depositi bancari e postali	394.961	762.498
2) Assegni	0	0
3) Denaro e valori in cassa	1.906	5.602
4) Liquidità presso società di gestione del risparmio	11.128	22.515
<b>Totale</b>	<b>407.995</b>	<b>790.615</b>
<b>D) Ratei e risconti attivi</b>	<b>279.870</b>	<b>132.304</b>
<b>TOTALE ATTIVO</b>	<b>30.769.885</b>	<b>30.058.189</b>

<b>PASSIVO</b>	<b>30 giugno 2011</b>	<b>30 giugno 2010</b>
<b>A) Patrimonio netto</b>		
<i>I) Patrimonio libero</i>		
1) Risultato gestionale dell'esercizio in corso	-739.383	856.278
2) Risultato gestionale da esercizi precedenti	2.503.212	1.646.933
<b>Totale</b>	<b>1.763.829</b>	<b>2.503.212</b>
<i>III) Patrimonio vincolato</i>		
1) Fondi vincolati destinati da terzi	0	0
2) Fondi vincolati per decisione degli organi istituzionali	27.283.352	24.994.812
<b>Totale</b>	<b>27.283.352</b>	<b>24.994.812</b>
<b>Totale patrimonio netto</b>	<b>29.047.181</b>	<b>27.498.024</b>
<b>C) Trattamento di fine rapporto di lavoro subordinato</b>	<b>358.281</b>	<b>298.596</b>
<b>D) Debiti, con separata indicazione, per ciascuna voce, degli importi esigibili oltre l'esercizio successivo</b>		
6) Debiti verso fornitori	888.014	1.585.620
7) Debiti tributari	103.609	97.508
8) Debiti verso istituti di previdenza e di sicurezza sociale	94.218	84.832
12) Altri debiti	278.581	493.608
<b>Totale</b>	<b>1.364.422</b>	<b>2.261.569</b>
<b>TOTALE PASSIVO</b>	<b>30.769.884</b>	<b>30.058.189</b>
<b>CONTI D'ORDINE</b>		
1) Impegni ricevuti del Comitato per attività future	400.000	0

**COMITATO TELETHON FONDAZIONE ONLUS**
**Rendiconto della gestione**

al 30 giugno 2011 (unità di Euro)

<b>ONERI</b>	<b>30 giugno 2011</b>	<b>30 giugno 2010</b>
<b>1) Oneri da attività istituzionali</b>		
1.1.1) Delibere di assegnazione ricerca interna	8.993.633	8.549.008
1.1.2) Delibere di assegnazione ricerca esterna	12.954.550	12.262.438
<i>Subtotale</i>	<b>21.948.183</b>	<b>20.811.446</b>
1.3) <i>Altri istituzionali e ufficio scientifico</i>	2.643.296	1.999.352
<b>Totale</b>	<b>24.591.479</b>	<b>22.810.798</b>
<b>2) Oneri promozionali e di raccolta fondi</b>		
2.1) <i>Maratona Telethon:</i>		
2.1.1) Coproduzione televisiva: RAI	840.000	840.000
2.1.2) Coproduzione televisiva: Eventi	819.340	681.114
2.1.3) Comunicazione e marketing	1.599.120	1.620.589
2.1.4) Altri oneri di Raccolta Fondi	1.192.842	1.588.422
2.1.5) <i>Overhead strutturali</i>	516.511	538.190
<i>Subtotale</i>	<b>4.967.813</b>	<b>5.268.315</b>
<b>Totale</b>	<b>4.967.813</b>	<b>5.268.315</b>
<b>4) Oneri finanziari e patrimoniali</b>		
4.1) <i>Da operazioni bancarie e postali</i>	22.805	26.985
4.2) <i>Da altri beni patrimoniali</i>	204.068	190.401
<b>Totale</b>	<b>226.873</b>	<b>217.387</b>
<b>5) Oneri straordinari</b>		
5.3) <i>Da altre attività</i>	130.347	241.807
<b>Totale</b>	<b>130.347</b>	<b>241.807</b>
<b>6) Oneri di supporto generale</b>		
6.1) <i>Spese materiali e di struttura</i>	69.276	53.150
6.2) <i>Servizi</i>	481.040	365.154
6.3) <i>Godimento beni di terzi</i>	15.284	45.570
6.4) <i>Personale</i>	431.626	401.256
6.5) <i>Ammortamenti</i>	151.010	129.337
6.6) <i>Oneri diversi di gestione</i>	38.377	36.294
<b>Totale</b>	<b>1.186.613</b>	<b>1.030.760</b>
<b>TOTALE ONERI</b>	<b>31.103.125</b>	<b>29.569.067</b>
<b>Avanzo gestionale</b>	<b>0</b>	<b>856.278</b>

<b>PROVENTI</b>	<b>30 giugno 2011</b>	<b>30 giugno 2010</b>
<b>1) Proventi da attività istituzionali e rettifiche ad assegnazioni di fondi vincolati per la ricerca</b>		
1.1.1) Rettifiche a delibere ricerca interna	72.600	0
1.1.2) Rettifiche a delibere ricerca esterna	337.741	157.553
<i>Subtotale</i>	<b>410.341</b>	<b>157.553</b>
1.2) <i>Altri istituzionali</i>	200.000	0
<b>Totale</b>	<b>610.341</b>	<b>157.553</b>
<b>2) Proventi da raccolta fondi</b>		
2.1) <i>Maratona Telethon</i>	27.841.242	29.273.770
2.2) <i>Altre raccolte</i>	0	0
2.2.2) <i>Da eredità e legati</i>	188.598	30.000
2.2.3) <i>Da 5 per mille</i>	33.217	61.778
<i>Subtotale</i>	<b>221.815</b>	<b>91.778</b>
<b>Totale</b>	<b>28.063.057</b>	<b>29.365.548</b>
<b>4) Proventi finanziari e patrimoniali</b>		
4.1) <i>Da depositi bancari e postali</i>	9.983	10.543
4.2) <i>Da altri beni patrimoniali</i>	1.021.800	405.976
<b>Totale</b>	<b>1.031.783</b>	<b>416.518</b>
<b>5) Proventi straordinari</b>		
5.3) <i>Da altre attività</i>	658.561	484.942
<b>Totale</b>	<b>658.561</b>	<b>484.942</b>
<b>6) Proventi straordinari di supporto generale</b>		
6.1) <i>Proventi straordinari</i>	0	784
<b>Totale</b>	<b>0</b>	<b>784</b>
<b>TOTALE PROVENTI</b>	<b>30.363.742</b>	<b>30.425.345</b>
<b>Disavanzo gestionale</b>	<b>739.383</b>	

**FONDAZIONE TELETHON**
**Stato patrimoniale**

al 30 giugno 2011 (unità di Euro)

<b>ATTIVO</b>	<b>30 giugno 2011</b>	<b>30 giugno 2010</b>
B) Immobilizzazioni		
<i>I) Immobilizzazioni immateriali</i>		
3) Diritti di brevetto industriale e diritti di utilizzazione delle opere dell'ingegno	37.015	25.615
6) Immobilizzazioni in corso e acconti	34.021	307.503
7) altre	414.399	0
<b>Totale</b>	<b>485.435</b>	<b>333.118</b>
<i>II) Immobilizzazioni materiali</i>		
1) Terreni e fabbricati	144.555	151.153
2) Impianti e attrezzature	194.278	176.130
3) Altri beni	231.830	320.924
4) Immobilizzazioni in corso e acconti	325.000	41.100
<b>Totale</b>	<b>895.663</b>	<b>689.307</b>
<i>III) Immobilizzazioni finanziarie, con separata indicazione, per ciascuna voce dei crediti, degli importi esigibili entro l'esercizio successivo</i>		
2) Partecipazioni diverse	15.194	15.194
3) Crediti	0	0
<b>Totale</b>	<b>15.194</b>	<b>15.194</b>
<b>C) Attivo circolante</b>		
<i>I) Rimanenze</i>		
7) Altre	305.000	305.000
<b>Totale</b>	<b>305.000</b>	<b>305.000</b>
<i>II) Crediti, con separata indicazione, per ciascuna voce dei crediti, degli importi esigibili entro l'esercizio successivo</i>		
5) Verso altri entro esercizio successivo	11.349.404	9.834.861
5a) Verso altri oltre esercizio successivo	3.858.000	6.936.216
<b>Totale</b>	<b>15.207.404</b>	<b>16.771.077</b>
<i>III) Attività finanziarie che non costituiscono immobilizzazioni</i>		
1) Partecipazioni	6.000	6.000
2) Altri titoli	30.797.947	29.877.897
<b>Totale</b>	<b>30.803.947</b>	<b>29.883.897</b>
<i>IV) Disponibilità liquide</i>		
1) Depositi bancari e postali	1.615.167	1.893.058
3) Denaro e valori in cassa	4.334	2.995
4) Liquidità presso società di gestione del risparmio	47.102	44.661
<b>Totale</b>	<b>1.666.603</b>	<b>1.940.714</b>
<b>D) Ratei e risconti attivi</b>	<b>570.345</b>	<b>217.556</b>
<b>TOTALE ATTIVO</b>	<b>49.949.591</b>	<b>50.155.863</b>

<b>PASSIVO</b>	<b>30 giugno 2011</b>	<b>30 giugno 2010</b>
<b>A) Patrimonio netto</b>		
<i>I) Patrimonio libero</i>		
1) Risultato gestionale dell'esercizio	2.133.912	389.304
2) Risultato gestionale da esercizi precedenti	3.231.173	2.841.869
<b>Totale</b>	<b>5.365.085</b>	<b>3.231.173</b>
<i>II) Fondo di dotazione e fondi permanentemente vincolati per decisione degli organi istituzionali</i>		
1) Fondo di dotazione	206.583	206.583
2) Fondo Paudice per Tigem: risultato gestionale dell'esercizio	176.143	-600.422
2a) Fondo Paudice per Tigem da esercizi precedenti	8.084.771	8.685.193
3) Altri fondi permanentemente vincolati	142.026	142.026
<b>Totale</b>	<b>8.609.523</b>	<b>8.433.380</b>
<i>III) Patrimonio vincolato</i>		
1) Fondi vincolati destinati da terzi	23.792.797	28.475.306
2) Fondi vincolati per decisione degli organi istituzionali	1.437.360	1.415.662
<b>Totale</b>	<b>25.230.157</b>	<b>29.890.968</b>
<b>Totale patrimonio netto</b>	<b>39.204.765</b>	<b>41.555.521</b>
<b>C) Trattamento di fine rapporto di lavoro subordinato</b>	<b>373.172</b>	<b>453.437</b>
<b>D) Debiti, con separata indicazione, per ciascuna voce, degli importi esigibili oltre l'esercizio successivo</b>		
6) Debiti verso fornitori	5.984.681	2.796.221
7) Debiti tributari	605.365	264.724
8) Debiti verso istituti di previdenza e di sicurezza sociale	286.122	304.495
12) Altri debiti entro esercizio successivo	2.036.451	1.807.945
12a) Altri debiti oltre esercizio successivo	474.964	2.532.724
<b>Totale</b>	<b>9.387.583</b>	<b>7.706.109</b>
<b>E) Ratei e risconti passivi</b>	<b>984.071</b>	<b>440.796</b>
<b>TOTALE PASSIVO</b>	<b>49.949.591</b>	<b>50.155.863</b>
<b>CONTI D'ORDINE</b>		
1) Impegni della Fondazione per attività future	8.705.199	1.880.674

**FONDAZIONE TELETHON**  
**Rendiconto della gestione**  
 al 30 giugno 2011 (unità di Euro)

<b>ONERI</b>	<b>30 giugno 2011</b>	<b>30 giugno 2010</b>
<b>1) Oneri da attività istituzionali</b>		
1.1) <i>Oneri da attività di gestione istituti di ricerca su fondi vincolati</i>		
1.1.1) Spese materiali e di struttura	2.497.131	2.880.397
1.1.2) Servizi	8.204.469	5.977.298
1.1.3) Godimento beni di terzi	74.960	73.788
1.1.4) Personale	4.830.829	5.086.277
1.1.5) Ammortamenti	320.941	302.332
1.1.6) Oneri diversi di gestione	249.582	177.674
<b>Subtotale</b>	<b>16.177.912</b>	<b>14.497.767</b>
1.2) <i>Oneri da attività deliberativa e di gestione degli istituti di ricerca</i>		
1.2.2) Delibere di assegnazione ricerca esterna	1.772.375	1.708.640
1.2.3) Oneri operativi istituti di ricerca e ricerca commissionata	5.373.424	3.282.824
<b>Subtotale</b>	<b>7.145.799</b>	<b>4.991.464</b>
1.3) <i>(Altri oneri istituzionali e) ufficio scientifico</i>	1.544.581	1.413.935
<b>Subtotale</b>	<b>1.544.581</b>	<b>1.413.935</b>
<b>Totale</b>	<b>24.868.292</b>	<b>20.903.166</b>
<b>2) Oneri promozionali e di raccolta fondi</b>		
2.1) <i>Comunicazione e marketing</i>	818.034	728.386
2.2) <i>Altri oneri di Raccolta Fondi</i>	1.103.523	450.204
2.3) <i>Overhead strutturali comunicazione e raccolta fondi</i>	272.241	312.125
2.4) <i>Oneri altre raccolte</i>	908.745	378.976
<b>Totale</b>	<b>3.102.543</b>	<b>1.869.691</b>
<b>4) Oneri finanziari e patrimoniali</b>		
4.1) <i>Da operazioni bancarie e postali</i>	17.252	19.699
4.2) <i>Da altri beni patrimoniali</i>	798.406	509.380
<b>Totale</b>	<b>815.658</b>	<b>529.080</b>
<b>5) Oneri straordinari</b>		
5.1) <i>Da attività finanziarie</i>	3.119	-
5.3) <i>Da altre attività</i>	204.096	160.495
<b>Totale</b>	<b>207.215</b>	<b>160.495</b>
<b>6) Oneri di supporto generale</b>		
6.1) <i>Spese materiali e di struttura</i>	43.101	36.748
6.2) <i>Servizi</i>	328.853	272.878
6.3) <i>Godimento beni di terzi</i>	18.514	1.375
6.4) <i>Personale</i>	1.168.613	1.217.711
6.5) <i>Ammortamenti</i>	32.162	34.513
6.6) <i>Oneri diversi di gestione</i>	41.557	30.794
<b>Totale</b>	<b>1.632.800</b>	<b>1.594.018</b>
<b>TOTALE ONERI</b>	<b>30.626.508</b>	<b>25.056.449</b>
<b>Avanzo gestionale</b>	<b>2.310.055</b>	<b>-</b>
Riparto avanzo/disavanzo gestionale:	<b>2.310.055</b>	
1) ad incremento/decremento del patrimonio libero	2.133.912	
2) ad incremento/decremento del fondo Paudice per Tigem	176.143	

<b>PROVENTI</b>	<b>30 giugno 2011</b>	<b>30 giugno 2010</b>
<b>1) Proventi da attività istituzionali</b>		
<i>1.1) Proventi da terzi per attività di gestione istituti di ricerca (fondi vincolati)</i>		
1.1.1) Contributi vincolati destinati da terzi	4.056.655	4.246.913
1.1.2) Contributi vincolati destinati da CTFO	12.121.257	10.250.854
<b>Subtotale</b>	<b>16.177.912</b>	<b>14.497.767</b>
<i>1.3) Altri proventi istituzionali</i>	7.029.421	630.518
<b>Totale</b>	<b>23.207.333</b>	<b>15.128.285</b>
<b>2) Proventi da raccolta fondi</b>		
<i>2.1) Maratona Telethon</i>	<b>3.387.909</b>	<b>3.141.263</b>
<i>2.2) Altre raccolte</i>		
2.2.1) Campagna Primavera	974.398	0
2.2.2) Da fondazioni bancarie e altri enti	322.976	128.291
2.2.3) Da eredità e legati	476.146	619.964
2.2.4) Da 5 per mille	2.327.074	4.174.240
<b>Subtotale</b>	<b>7.488.503</b>	<b>8.063.759</b>
<b>Totale</b>	<b>30.695.836</b>	<b>23.192.044</b>
<b>4) Proventi finanziari e patrimoniali</b>		
<i>4.1) Da depositi bancari e postali</i>	7.486	6.410
<i>4.2) Da altri beni patrimoniali</i>	2.176.395	1.578.853
<b>Totale</b>	<b>2.183.881</b>	<b>1.585.263</b>
<b>5) Proventi straordinari</b>		
<i>5.1) Da attività finanziarie</i>	5.500	1.710
<i>5.3) Da altre attività</i>	51.346	66.315
<b>Totale</b>	<b>56.846</b>	<b>68.025</b>
<b>TOTALE PROVENTI</b>	<b>32.936.563</b>	<b>24.845.332</b>
<b>Disavanzo gestionale</b>		<b>211.118</b>

Riparto avanzo/disavanzo gestionale:

- 1) ad incremento/decremento del patrimonio libero
- 2) ad incremento/decremento del fondo Paudice per Tigem

**(211.118)**

389.304

(600.422)





# Elenco dei finanziamenti

Delibere del Comitato

Delibere della Fondazione

Impieghi della Fondazione

**ELENCO DEI FINANZIAMENTI al 30 giugno 2011**  
**Delibere Comitato Telethon Fondazione Onlus**  
**RICERCA ESTERNA**

RICERCATORE RESPONSABILE (Titolare di Progetto)	TITOLO DEL PROGETTO	NUMERO PROGETTO
<b>PROGETTI DI RICERCA</b>		
BALDARI COSIMA T.	Il sistema di trasporto intraflagellare nei linfociti T: dissezione funzionale nel trasporto del recettore dell'antigene e valutazione quale bersaglio della malattia nell'immunodeficienza comune variabile	GGPI1021
BALDINI ANTONIO	Variabilità fenotipica e aploinsufficienza genica	GGPI1029
BERNARDI PAOLO	Verso una terapia mitocondriale delle distrofie muscolari del collagene VI	GGPI1082
BOLOGNESI MARTINO	Il ruolo della Neuroserpina nella Encefalopatia famigliare da corpi d'inclusione di Neuroserpina.	GGPI1057
BOZZONI IRENE	Terapia genica della Distrofia Muscolare di Duchenne basata sull'uso di RNA: ruolo dei microRNA nella patogenesi e nella terapia della DMD	GGPI1149
BRESIN ELENA	Basi genetiche della sindrome nefrosica steroideo-resistente e implicazioni per la terapia	GGPI1201
BROCCOLI VANIA	Basi molecolari e modelli cellulari delle malattie neurologiche infantili causate da mutazioni del gene CDKL5.	GGPI1110
CALEO MATTEO	Sviluppo e funzione dei circuiti neuronali in un modello di ritardo mentale associato al cromosoma X	GGPI1116
CARELLI VALERIO	Identificazione dei geni modificatori nucleari nella neuropatia ottica ereditaria di Leber e loro validazione in linee cellulari e organismi modello	GGPI1182
CATTANEO ANTONINO	Sviluppo di una terapia a base di NGF per le Neuropatie Ereditarie Sensorie ed Autonome di tipo IV e V	GGPI1179
CHERUBINI ENRICO	Meccanismi alla base di una alterata trasmissione GABAergica nell'ippocampo di topi transgenici portatori della mutazione umana R451C nel gene codificante la NLG3: un modello animale di autismo	GGPI1043
CIANI ELISABETTA	Meccanismi molecolari alla base delle alterazioni cerebrali nella variante CDKL5 della sindrome di Rett.	GGPI1147
COSSU GIULIO	Allo-trapianto di mesoangioblasti da donatore HLA-identico per la terapia cellulare della Distrofia Muscolare di Duchenne	GGPI1093
DAGA ANDREA	Modelli di funzione e disfunzione di Atlastina	GGPI1189
DIVIRGILIO FRANCESCO	Il sistema recettore P2X7/adenosina: un nuovo bersaglio per la terapia delle malattie autoinfiammatorie	GGPI1014
DUGA STEFANO	Approcci 'omici' per l'identificazione di nuovi geni responsabili di sordità non sindromica neurosensoriale ereditaria	GGPI1177
FANELLI FRANCESCA	Studi integrati in silico, in vitro ed in vivo verso la progettazione di potenziali agenti terapeutici per la Retinite Pigmentosa.	GGPI1210*
FIUMARA FERDINANDO	Tratti omopolimerici di alanina: struttura, funzione, e ruolo nella patogenesi di patologie genetiche associate a espansione di tratti di polialanina.	GGPI1223
GENNARI LUIGI	Genetica e Farmacogenetica della Malattia Ossea di Paget	GGPI1119
GIACCA MAURO	Verso una più efficace terapia genica con vettori AAV; screening ad alta processività per l'identificazione dei determinanti molecolari che regolano la trasduzione da AAV, la produzione dei vettori e la correzione genica	GGPI1068
GOLDWURM STEFANO	Identificazione di geni recessivi che provocano la Malattia di Parkinson tramite sequenza completa dell'esoma	GGPI1164
LA VOLPE ADRIANA	Nuovi bersagli farmacologici nell'Anemia di Fanconi	GGPI1076
LEVI SONIA	Ruolo del ferro e dei mitocondri nella patogenesi della Neurodegenerazione associata a pantotenato chinasi (PKAN): sviluppo di nuovi modelli cellulari neuronali e analisi di un modello di malattia murino.	GGPI1088

ISTITUTO	CITTÀ ISTITUTO	DURATA PROGETTO (IN ANNI)	IMPORTO (A LORDO DI RETTIFICHE) 30 GIUGNO 2011
Università di Siena	SIENA	3	264.000,00
Consiglio Nazionale delle Ricerche – Cnr	NAPOLI	3	326.700,00
Università di Padova	PADOVA	2	730.000,00
Università di Milano	MILANO	3	419.100,00
Università di Roma La Sapienza	ROMA	3	305.700,00
Istituto di Ricerche Farmacologiche Mario Negri	RANICA	3	271.500,00
Dibit – Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	3	349.700,00
Consiglio Nazionale delle Ricerche – Cnr	PISA	3	233.500,00
Università di Bologna	BOLOGNA	2	289.000,00
Scuola Normale Superiore	PISA	3	189.200,00
Scuola Internazionale Superiore di Studi Avanzati (Sissa)	TRIESTE	3	385.600,00
Università di Bologna	BOLOGNA	3	458.700,00
Dibit – Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	2	716.000,00
Istituto Scientifico E. Medea Irccs Associazione La Nostra Famiglia	CONEGLIANO	3	306.000,00
Università di Ferrara	FERRARA	3	190.000,00
Università di Milano	MILANO	3	345.000,00
Università di Modena e Reggio Emilia	MODENA	3	193.000,00
Università di Torino	TORINO	3	147.300,00
Università di Siena	SIENA	2	125.200,00
International Centre for Genetic Engineering and Biotechnology Icgeb	TRIESTE	3	204.600,00
Istituti Clinici di Perfezionamento	MILANO	2	94.500,00
Consiglio Nazionale delle Ricerche – Cnr	NAPOLI	3	457.800,00
Università Vita Salute San Raffaele	MILANO	3	502.400,00

## Delibere Comitato Telethon Fondazione Onlus

### RICERCA ESTERNA

RICERCATORE RESPONSABILE (Titolare di Progetto)	TITOLO DEL PROGETTO	NUMERO PROGETTO
<b>PROGETTI DI RICERCA</b>		
MARIGO VALERIA	Studi integrati in silico, in vitro ed in vivo verso la progettazione di potenziali agenti terapeutici per la Retinite Pigmentosa.	GGPI1210A
MERLO GIORGIO ROBERTO	Trasferire le conoscenze sul ruolo del gene malattia p63 durante lo sviluppo embrionale alla possibilità di ripristinare lo sviluppo normale in modelli di colture di tessuto e in vivo	GGPI1097
MONGILLO MARCO	Nuovo metodo per lo studio delle aritmie catecolaminergiche familiari basato sull'uso di proteine fotoattivate	GGPI1224
PALMIERI FERDINANDO	Deficienza dell'isoforma I del carrier mitocondriale di aspartato/glutammato: meccanismi patogenetici e analisi mutazionale.	GGPI1139
PASSAFARO MARIA PIA	Sviluppo e funzione dei circuiti neuronali in un modello di ritardo mentale associato al cromosoma X	GGPI1116B*
PLEVANI PAOLO	Il ruolo dell'RNasiH2 nella patogenesi della sindrome di Aicardi-Goutières	GGPI1003
PRIORI SILVIA GIULIANA	Mutazioni del gene CASQ2 (calsequestrina) ed aritmie cardiache: approccio sperimentale alla patogenesi e terapia	GGPI1141
PROIETTI DE SANTIS LUCA	Studio delle basi molecolari della neurodegenerazione nella sindrome di Cockayne	GGPI1176
RICCIO ANDREA	IMPRINTING GENOMICO E DISORDINI DELLA CRESCITA: DIFETTI GENETICI E MECCANISMI MOLECOLARI	GGPI1122
ROSSI ANTONIO	Caratterizzazione funzionale del ruolo della nucleotidasi I attivata dal calcio (CANTI) nello scheletro: uno studio in vivo con un modello animale di displasia di Desbuquois.	GGPI1079
SALA CARLO	Caratterizzazione delle alterazioni neuronali indotte dalle mutazioni di SHANK3 e sviluppo di approcci terapeutici farmacologici e genetici utilizzando modelli animali e cellule iPS dei pazienti	GGPI1095
SALVATORE DOMENICO	Controllo intracellulare del segnale dell'ormone della tiroide nelle cellule staminali muscolari e nella distrofia muscolare di Duchenne	GGPI1185
SICCA FEDERICO	Ruolo dei canali rettificatori di ingresso del K <sup>+</sup> astrocitari nella patogenesi dei Disturbi dello Spettro Autistico con suscettibilità alle crisi epilettiche (Fenotipo Autismo-Epilessia)	GGPI1188
SITIA ROBERTO	Patogenesi delle malattie da alterato trasporto e accumulo proteico nella via secretoria	GGPI1077
TESTI ROBERTO	Studio di nuove strategie terapeutiche per l'Atassia di Friedreich.	GGPI1102
ZEVIANI MASSIMO	MitMed: un consorzio multicentrico per l'identificazione e la caratterizzazione di geni nucleari responsabili di malattie mitocondriali umane	GGPI1011

\* progetti imputati come delibere del Comitato alla ricerca interna vista la partecipazione di ricercatori degli istituti Telethon. Il bando complessivo ha avuto un finanziamento di 12.281.900 Euro

ISTITUTO	CITTÀ ISTITUTO	DURATA PROGETTO (IN ANNI)	IMPORTO (A LORDO DI RETTIFICHE) 30 GIUGNO 2011
Università di Modena e Reggio Emilia	MODENA	3	168.900,00
Università di Torino	TORINO	3	489.800,00
Università di Padova	PADOVA	3	215.600,00
Università di Bari	BARI	3	395.900,00
Fondazione Telethon	ROMA	3	115.100,00
Università di Milano	MILANO	3	295.300,00
Fondazione Irccs Salvatore Maugeri	PAVIA	3	465.600,00
Università della Tuscia	VITERBO	2	94.000,00
Consiglio Nazionale delle Ricerche – Cnr	NAPOLI	3	231.000,00
Università di Pavia	PAVIA	3	174.200,00
Consiglio Nazionale delle Ricerche – Cnr	MILANO	3	429.000,00
Università di Napoli Federico II	NAPOLI	3	213.900,00
Fondazione Irccs Stella Maris	CALAMBRONE	3	384.300,00
Dibit – Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	3	343.200,00
Università di Roma Tor Vergata	ROMA	3	373.000,00
Fondazione Irccs Istituto Neurologico Carlo Besta	MILANO	3	388.600,00
<b>Totale delibere progetti di ricerca</b>			<b>11.973.800,00</b>

## Delibere Comitato Telethon Fondazione Onlus

### RICERCA ESTERNA

RICERCATORE RESPONSABILE (Titolare di Progetto)	TITOLO DEL PROGETTO	NUMERO PROGETTO
<b>PROGRAMMI DI RICERCA</b>		
BOLINO ALESSANDRA	Modulazione della Neuregulina-I per il trattamento di neuropatie demielinizzanti	GPP10007D*
SCORRANO LUCA	Strategie terapeutiche per combattere le malattie mitocondriali	GPP10005B*
TAVEGGIA CARLA	Modulazione della Neuregulina-I per il trattamento di neuropatie demielinizzanti	GPP10007
ZEVIANI MASSIMO	Strategie terapeutiche per combattere le malattie mitocondriali	GPP10005
* progetti imputati come delibere del Comitato alla ricerca interna vista la partecipazione di ricercatori degli istituti Telethon. Il bando complessivo ha avuto un finanziamento di 889.650 Euro		
<b>SERVIZI ALLA RICERCA</b>		
BIANCHI MARCO E.	Centro per la Mutagenesi Condizionale	GTF07004
CRESCENZI MARCO	Servizio di proteomica Telethon	GTF08002
TACCHETTI CARLO	Servizio Telethon per la Microscopia Elettronica: analisi ultrastrutturale e immuno-localizzazione su modelli di malattie genetiche.	GTF07002
<b>PROGETTI SPECIALI</b>		
MONACO LUCIA	Open Access	GSP10002

## Delibere Comitato Telethon Fondazione Onlus

### RICERCA INTERNA

RICERCATORE RESPONSABILE (Titolare di Progetto)	TITOLO DEL PROGETTO	NUMERO PROGETTO
<b>Tigem (core grant)</b>		
AURICCHIO ALBERTO	Terapia genica di malattie ereditarie della retina dovute a mutazioni in geni di grosse dimensioni	TGMI1MT1
AURICCHIO ALBERTO	Verso studi clinici di terapia genica dell'occhio e del fegato tramite AAV	TGMI1MT6
BALLABIO ANDREA	Modulazione della clearance cellulare nelle malattie da accumulo lisosomiale	TGMI1CB6
BALLABIO ANDREA	Inallocabili	TGMI1S01
BANFI SANDRO	Identificazione di network geni regolati da microRNA nella retina umana.	TGMI1SB2
BRUNETTI PIERRI NICOLA	Terapia genica per le malattie congenite del metabolismo epatico	TGMI1MT3
BRUNETTI PIERRI NICOLA	Servizio di Colture Cellulari e Citogenetica	TGMI1Z04
DE MATTEIS MARIA ANTONIETTA	Definizione dei Meccanismi Molecolari alla Base delle Disfunzione della via endocitica indotta da Mutazioni dei Geni OCRL eClc5 allo scopo di identificare correttori farmacologici per la Sindrome di Lowe e per la Malattia di Dent	TGMI1CB1
DE MATTEIS MARIA ANTONIETTA	Definizione delle basi molecolari e cellulari della Displasia Spondiloepifisiaria Tarda e identificazione di target per l'intervento farmacologico	TGMI1CB2

ISTITUTO	CITTÀ ISTITUTO	DURATA PROGETTO (IN ANNI)	IMPORTO (A LORDO DI RETTIFICHE) 30 GIUGNO 2011
Dibit – Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	2	92.400,00
Fondazione per la Ricerca Biomedica Avanzata Onlus – Istituto Veneto di Medicina Molecolare (Vimm)	PADOVA	2	121.500,00
Dibit – Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	2	404.650,00
Fondazione Irccs Istituto Neurologico Carlo Besta	MILANO	2	271.100,00
<b>Totale delibere programmi di ricerca</b>			<b>675.750,00</b>
Dibit – Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	4	30.000,00
Istituto Superiore di Sanità	ROMA	3	30.000,00
Università di Genova	GENOVA	4	30.000,00
<b>Totale delibere servizi alla ricerca</b>			<b>90.000,00</b>
Fondazione Telethon	Roma	3	215.000,00
<b>Totale delibere progetti speciali</b>			<b>215.000,00</b>
<b>Totale delibere Comitato alla Ricerca Esterna</b>			<b>12.954.550,00</b>

ISTITUTO	CITTÀ ISTITUTO	DURATA PROGETTO (IN ANNI)	IMPORTO (A LORDO DI RETTIFICHE) 30 GIUGNO 2011
Telethon Institute of Genetics and Medicine – Tigem	NAPOLI	1	83.000,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine – Tigem	NAPOLI	1	100.000,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine – Tigem	NAPOLI	1	107.500,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine – Tigem	NAPOLI	1	1.627.633,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine – Tigem	NAPOLI	1	118.500,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine – Tigem	NAPOLI	1	75.400,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine – Tigem	NAPOLI	1	42.000,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine – Tigem	NAPOLI	1	77.300,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine – Tigem	NAPOLI	1	59.400,00

## Delibere Comitato Telethon Fondazione Onlus

### RICERCA INTERNA

RICERCATORE RESPONSABILE (Titolare di Progetto)	TITOLO DEL PROGETTO	NUMERO PROGETTO
<b>Tigem (core grant)</b>		
DI BERNARDO DIEGO	La Biologia Computazionale per lo studio delle malattie genetiche: identificazione della funzione genica e del meccanismo di azione dei farmaci.	TGMI I SB1
DI BERNARDO DIEGO	Servizio di Bioinformatica	TGMI I Z03
FRALDI ALESSANDRO	Modifica di enzimi lisosomiali allo scopo di migliorarne la secrezione ed il trasferimento al sistema nervoso centrale	TGMI I MT5
FRANCO BRUNELLA	Malattie genetiche associate a disfunzione ciliare: tutto quello che possiamo imparare dalla sindrome Oro-facio-digitale di tipo I	TGMI I CB3
FRANCO BRUNELLA	Ph. D Programs	TGMI I S02
FRANCO BRUNELLA	Servizi Generali e Tecnici	TGMI I Z07
LUINI ALBERTO	Sviluppo di un approccio razionale alla correzione del difetto di traffico di D508 - CFTR	TGMI I CB5
NIGRO VINCENZO	Servizio di sequenziamento Next Generation	TGMI I Z06
PARENTI GIANCARLO	Terapie con piccole molecole per le malattie lisosomiali	TGMI I MT4
POLISHCHUK ROMAN	Patogenesi della Malattia di Wilson: i meccanismi molecolari della veicolazione di ATP7B nel mantenimento dell'omeostasi di Rame	TGMI I CB4
POLISHCHUK ROMAN	Servizio di microscopia avanzata e analisi delle immagini	TGMI I Z01
SURACE ENRICO	Efficacia e Sicurezza di Repressori Trascrizionali Utilizzati Come Agenti Terapeutici per il Trattamento della Retinite Pigmentosa Autosomica Dominante (ADRP)	TGMI I MT2
SURACE ENRICO	Stabulario	TGMI I Z02
TRADITI MARIO	Servizi informatici	TGMI I Z05

## Delibere Comitato Telethon Fondazione Onlus

### RICERCA INTERNA

RICERCATORE RESPONSABILE (Titolare di Progetto)	TITOLO DEL PROGETTO	NUMERO PROGETTO
<b>Hsr-Tiget (core grant)</b>		
AIUTI ALESSANDRO	Studio dei meccanismi di perdita della tolleranza centrale e periferica che comportano manifestazioni autoimmuni nell'Ada-Scid	TGT I IA01
AIUTI ALESSANDRO	Studio delle dinamiche clonali delle cellule staminali ematopoietiche e modelli di ematopoiesi umana mediante l'analisi delle integrazioni virali	TGT I IC01
BACCHETTA ROSA	Terapia genica e cellulare per la sindrome IPEX e simili patologie (IPEX-like) con immunodisregolazione FOXP3-indipendente	TGT I IA04
BIFFI ALESSANDRA	Terapia genica con cellule staminali ematopoietiche per le malattie lisosomiali: la comprensione dei meccanismi di turnover cellulare nel cervello affetto per ottimizzare l'efficacia terapeutica	TGT I IB01
FERRARI GIULIANA	Strategie per aumentare la diversità clonale delle cellule staminali ematopoietiche geneticamente modificate	TGT I IC02
GREGORI SILVIA	Strategie di terapia cellulare per induzione della tolleranza immunologica	TGT I IE02
GRITTI ANGELA	Terapia cellulare/genica delle Lecodistrofie diretta al sistema nervoso centrale	TGT I IB02
MONTINI EUGENIO	Migliorando la biosicurezza del trasferimento genico con vettori lentivirali	TGT I ID01

ISTITUTO	CITTÀ ISTITUTO	DURATA PROGETTO (IN ANNI)	IMPORTO (A LORDO DI RETTIFICHE) 30 GIUGNO 2011
Telethon Institute of Genetics and Medicine – Tigem	NAPOLI	1	120.400,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine – Tigem	NAPOLI	1	130.000,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine – Tigem	NAPOLI	1	30.000,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine – Tigem	NAPOLI	1	98.200,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine – Tigem	NAPOLI	1	153.000,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine – Tigem	NAPOLI	1	185.000,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine – Tigem	NAPOLI	1	79.500,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine – Tigem	NAPOLI	1	630.000,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine – Tigem	NAPOLI	1	70.400,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine – Tigem	NAPOLI	1	83.000,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine – Tigem	NAPOLI	1	360.400,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine – Tigem	NAPOLI	1	52.000,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine – Tigem	NAPOLI	1	114.500,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine – Tigem	NAPOLI	1	359.000,00
<b>Totale delibere Tigem (core grant)</b>			<b>4.756.133,00</b>

ISTITUTO	CITTÀ ISTITUTO	DURATA PROGETTO (IN ANNI)	IMPORTO (A LORDO DI RETTIFICHE) 30 GIUGNO 2011
Dibit – Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	1	100.000,00
Dibit – Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	1	130.000,00
Dibit – Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	1	170.000,00
Dibit – Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	1	100.000,00
Dibit – Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	1	130.000,00
Dibit – Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	1	130.000,00
Dibit – Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	1	230.000,00
Dibit – Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	1	130.000,00

## Delibere Comitato Telethon Fondazione Onlus RICERCA INTERNA

RICERCATORE RESPONSABILE (Titolare di Progetto)	TITOLO DEL PROGETTO	NUMERO PROGETTO
<b>Hsr-Tiget (core grant)</b>		
NALDINI LUIGI	Integrazione sito-specifica e correzione genica mirata	TGT11D02
NALDINI LUIGI	Trasferimento genico al fegato e terapia genica dell'emofilia	TGT11D03
NALDINI LUIGI	Spese strutturali	TGT11S01
RONCAROLO MARIA GRAZIA	Strategie di terapia genica per l'induzione della tolleranza antigene-specifica in vivo	TGT11E01
VILLA ANNA	Meccanismi cellulari e molecolari alla base dell'autoimmunità nella sindrome di Wiskott Aldrich	TGT11A02
VILLA ANNA	Analisi dei meccanismi cellulari e molecolari alla base dell'autoimmunità nella Sindrome di Omenn	TGT11A03
<b>Hsr-Tiget (finanziamento di transizione* 01/01/2011-30/06/2011)</b>		
AIUTI ALESSANDRO	Terapia genica dell'Ada-Scid	TGT06A01
BACCHETTA ROSA	Trasferimento cellulare e genetico nella IPEX	TGT06A03
FERRARI GIULIANA	Valutazione preclinica di un approccio di terapia genica per la beta talassemia	TGT06C01
GREGORI SILVIA	Ruolo delle cellule T regolatorie di tipo 1 nella tolleranza immunitaria	TGT06E01
GRITTI ANGELA	Approcci combinati basati sul trasferimento genetico e di cellule staminali neuronali (NSC) per le leucodistrofie metacromatica e globoide	TGT06B02
NALDINI LUIGI	Sviluppo di vettori lentivirali per il trasferimento genetico nel fegato e applicazioni alla terapia della emofilia	TGT06D03
RONCAROLO MARIA GRAZIA	Risposta immunitaria al transgene a seguito di trasferimento con vettori lentivirali: meccanismi e modulazione tramite terapie cellulari	TGT06E02
RONCAROLO MARIA GRAZIA	Spese strutturali	TGT06S01
VILLA ANNA	Sindrome di Wiskott-Aldrich: caratterizzazione dei difetti immunologici e studi preclinici di terapia genica	TGT06A02
VILLA ANNA	Studio di aspetti biologici e genetici della syndrome di Omenn o Aspetti biologici e genetici della sindrome di Omenn	TGT06A04
* Allo scopo di allineare i finanziamenti dell'istituto a quelli dell'esercizio finanziario di Telethon (30/06/2011), si è proceduto a un finanziamento di transizione per il proseguimento delle attività di ricerca dell'istituto. Il core grant precedente si era chiuso il 31/12/2010		

## Delibere Comitato Telethon Fondazione Onlus RICERCA INTERNA

<b>Dti (Rinnovo e partecipazione ai bandi di ricerca esterna)</b>		
BOLINO ALESSANDRA	Modulazione della Neuregulina-1 per il trattamento di neuropatie demielinizzanti	GPP10007D*
FANELLI FRANCESCA	Studi integrati in silico, in vitro ed in vivo verso la progettazione di potenziali agenti terapeutici per la Retinite Pigmentosa.	GGP11210*
ORLANDO VALERIO	Ruolo dell'Epigenoma e del Genoma non-codificante nella Distrofia Muscolare di Duchenne	TCR11001
PASSAFARO MARIA PIA	Sviluppo e funzione dei circuiti neuronali in un modello di ritardo mentale associato al cromosoma X	GGP11116B*
SCORRANO LUCA	Strategie terapeutiche per combattere le malattie mitocondriali	GPP10005B*
* progetti imputati come delibere del Comitato alla ricerca interna vista la partecipazione dei ricercatori dell'istituto ai GGP (Progetti di ricerca) e GPP (Programmi di ricerca)		

ISTITUTO	CITTÀ ISTITUTO	DURATA PROGETTO (IN ANNI)	IMPORTO (A LORDO DI RETTIFICHE) 30 GIUGNO 2011
Dibit – Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	1	160.000,00
Dibit – Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	1	180.000,00
Dibit – Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	1	800.000,00
Dibit – Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	1	150.000,00
Dibit – Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	1	90.000,00
Dibit – Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	1	90.000,00
<b>Totale delibere HSR-Tiget (core grant)</b>			<b>2.590.000,00</b>
Dibit – Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	5	87.500,00
Dibit – Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	5	26.500,00
Dibit – Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	5	60.000,00
Dibit – Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	5	43.000,00
Dibit – Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	5	75.500,00
Dibit – Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	5	47.000,00
Dibit – Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	5	66.000,00
Dibit – Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	5	441.000,00
Dibit – Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	5	31.500,00
Dibit – Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	4	47.500,00
<b>Totale delibere HSR-Tiget finanziamento di transizione</b>			<b>925.500,00</b>

Dibit – Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	MILANO	2	92.400,00
Università di Modena e Reggio Emilia	MODENA	3	193.000,00
Università di Roma Tor Vergata – Fondazione Santa Lucia Irccs	ROMA	2	200.000,00
Fondazione Telethon	ROMA	3	115.100,00
Fondazione per la Ricerca Biomedica Avanzata Onlus – Istituto Veneto di Medicina Molecolare (Vimm)	PADOVA	2	121.500,00
<b>Totale delibere Dti</b>			<b>722.000,00</b>
<b>Totale delibere Comitato alla Ricerca Interna</b>			<b>8.993.633,00</b>

di ricerca)

## Delibere Fondazione Telethon RICERCA ESTERNA

RICERCATORE RESPONSABILE (Titolare di Progetto)	TITOLO DEL PROGETTO	NUMERO PROGETTO
<b>PROGETTI TELETHON-UILDM</b>		
COMI GIACOMO PIETRO	Rete clinica e di laboratorio delle distrofie dei cingoli per stabilire un registro nazionale	GUPI0006
FERRARIN MAURIZIO	Sviluppo di un protocollo strumentale di Analisi del Movimento per l'analisi multitasking delle funzioni locomotorie nella malattia di Charcot-Marie-Tooth nell'età evolutiva e nell'adulto: caratterizzazione della reliability e responsiveness tramite studio multicentrico	GUPI0010
MAGLIANO LORENZA	La Famiglia dei pazienti affetti da Distrofie Muscolari: carico, rete sociale e supporto professionale	GUPI0002
VITA GIUSEPPE	Nuove misure di outcome nella malattia di Charcot-Marie-Tooth	GUPI0008
<b>BIOBANCHE</b>		
FILOCAMO MIRELLA	Network di Biobanche Genetiche di Telethon	GTB07001
<b>PROGETTI SPECIALI</b>		
FONTANA ALBERTO	Fondazione Serena	GSP06001
MELAZZINI MARIO	ARISLA	GSP08001
MELAZZINI MARIO	Fondazione Aurora	GSP11001

## Impieghi Fondazione Telethon RICERCA INTERNA

ISTITUTO TELETHON	TITOLO DEL PROGETTO
<b>DTI</b>	
	Integrazioni salariali ricercatori Dti
<b>HSR-TIGET*</b>	
	Sviluppo di programmi di terapia genica per sindrome di Wiskott-Aldrich, leucodistrofia metacromatica, beta talassemia, mucopolisaccaridosi di tipo I, malattia granulomatosa cronica e leucodistrofia globoide
<b>TIGEM</b>	
	Attività di sviluppo nel campo della biologia cellulare
<b>TECNOTHON</b>	
	Ausili tecnologici per la disabilità
<b>FONDAZIONE TELETHON</b>	
	Altri oneri istituzionali di ricerca interna
*Impieghi derivanti dalla partnership con Gsk per lo sviluppo clinico di 7 malattie genetiche	

ISTITUTO	CITTÀ ISTITUTO	DURATA PROGETTO (IN ANNI)	IMPORTO (A LORDO DI RETTIFICHE) 30 GIUGNO 2011
Università di Milano	MILANO	2	163.600,00
Fondazione Don Carlo Gnocchi Onlus	MILANO	3	283.775,00
Seconda Università di Napoli	NAPOLI	2	145.000,00
Università di Messina	MESSINA	2	170.300,00
<b>Totale delibere progetti Telethon-Uildm</b>			<b>762.675,00</b>
Istituto Scientifico Giannina Gaslini	GENOVA	4	366.700,00
<b>Totale delibere biobanche</b>			<b>366.700,00</b>
Fondazione Serena Onlus	MILANO	4	100.000,00
Fondazione Arisla	MILANO	3	400.000,00
Università di Messina	MESSINA	1	143.000,00
<b>Totale delibere progetti speciali</b>			<b>643.000,00</b>
<b>Totale delibere Fondazione alla Ricerca Esterna</b>			<b>1.772.375,00</b>

CITTÀ ISTITUTO	DURATA PROGETTO (IN ANNI)	IMPORTO (A LORDO DI RETTIFICHE) 30 GIUGNO 2011
loro sedi	1	31.154,00
Milano	1	3.556.281,00
Napoli	1	686.598,04
Sarcedo	1	528.762,00
		52.800,00
<b>Totale oneri operativi Fondazione alla Ricerca Interna</b>		<b>4.855.595,04</b>

Progetto editoriale:  
Francesca Pampinella  
Vincenzo Piazza (coordinamento)

Redazione:  
Alessia Daturi, Michela Marcotulli, Corrado Maselli (bilancio d'esercizio), Irene Mearelli, Anna Maria Zaccheddu

Progetto creativo:  
Alessandro Mannocchi e Daniela Dotto

Fotografie di Paola Cominetta alle pagine 6, 17, 22, 25, 39, 47, 63, 66, 69  
realizzate per il libro fotografico 'I Cinquant'anni della Uildm'

Finito di stampare nell'ottobre 2011



TELETHON

**Sede di Roma**

Via Carlo Spinola, 16  
00154 Roma, Italia  
Tel. +39 06 440151  
Fax +39 06 44202032

**Sede di Milano**

Piazza Cavour, 1  
20121 Milano, Italia  
Tel. +39 02 2022171  
Fax +39 06 44015600

**[www.telethon.it](http://www.telethon.it)**

**e-mail: [info@telethon.it](mailto:info@telethon.it)**

---