

Fondazione Telethon

Bilancio al 30 giugno 2003

FONDAZIONE TELETHON

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

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

RELAZIONE DI MISSIONE

1. La Fondazione Telethon	1.1 Gli obiettivi e le attività della Fondazione Telethon	8
	1.2 Le attività istituzionali	8
	1.3 Le attività di supporto	9
2. Le attività istituzionali	2.1 La ricerca interna	12
	2.1.1 Le attività del TIGEM	15
	2.1.2 Le attività dell'HSR-TIGET	18
	2.1.3 Le attività del DTI	20
	2.1.4 La ricerca tecnologica	24
	2.2 La ricerca esterna	26
	2.2.1 La Gestione Diretta	26
3. Le attività di supporto	3.1 Il funzionamento della struttura	30
	3.2 La raccolta fondi	31
	3.3 La gestione delle risorse umane	33
	3.4 La gestione delle risorse finanziarie	33
	3.5 La valutazione dei progetti e il controllo dei risultati	34

BILANCIO AL 30 GIUGNO 2003

Prospetti	Stato patrimoniale	36
	Rendiconto della gestione a proventi ed oneri	38
	Prospetto di movimentazione delle componenti del patrimonio netto	40
	Rendiconto finanziario	41
Nota integrativa	Finalità della Fondazione ed attività svolta nel periodo	44
	Contenuto e forma del Bilancio	44
	Criteri di valutazione, principi contabili e di redazione del Bilancio	45
	Commenti al Bilancio	50

Relazione della società di revisione KPMG
 Relazione del collegio dei revisori dei conti

RELAZIONE DI MISSIONE - La Fondazione Telethon

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

1.1 Gli obiettivi e le attività della Fondazione Telethon

La Fondazione Telethon è un ente con personalità giuridica costituito per iniziativa del Comitato Promotore Telethon (oggi Comitato Telethon Fondazione ONLUS) nel 1995. L'intento era quello di dare vita a un soggetto dedicato esclusivamente alla gestione di iniziative di ricerca, distinguendo questa attività da quella di raccolta dei fondi ed erogazione dei finanziamenti.

Sin dalla sua nascita alla Fondazione sono stati affidati i compiti di gestione operativa delle attività dei tre istituti di ricerca Telethon: l'Istituto Telethon di Genetica e Medicina (TIGEM), l'Istituto San Raffaele Telethon di Terapia Genica (HSR-TIGET) ed il Tecnothon, laboratorio di ausili tecnologici per le persone disabili. In seguito, la Fondazione ha preso in carico anche la gestione dell'Istituto Telethon Dulbecco (DTI), composto dai ricercatori entrati a far parte del Progetto Carriere Telethon.

La Fondazione è sia un operatore diretto, attraverso i propri istituti, sia un collaboratore per la gestione di attività di ricerca esterna svolta da scienziati che vogliono trovare un'alternativa alle proprie istituzioni per l'amministrazione dei fondi a loro assegnati da Telethon.

Nella Relazione di Missione che state leggendo verranno distinte le attività istituzionali (gestione della ricerca interna e di quella esterna) e le attività di supporto (funzionamento della struttura, raccolta fondi, gestione delle risorse umane e finanziarie, valutazione dei progetti).

1.2 Le attività istituzionali

Le attività istituzionali sono le attività immediatamente dirette a realizzare gli scopi indicati dallo Statuto, ovvero quelle finalizzate a garantire l'avanzamento della ricerca biomedica e tecnologica. La Fondazione persegue questi obiettivi principalmente con la gestione dei propri istituti e anche con il supporto a progetti esterni finanziati dal Comitato Telethon Fondazione ONLUS.

La Fondazione indica nel proprio statuto come sue finalità principali:

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

La Fondazione persegue i suoi obiettivi principalmente attraverso:

- la gestione della ricerca interna, svolta dai quattro Istituti Telethon: TIGEM, HSR-TIGET, DTI e Tecnothon;
- la gestione della ricerca esterna, effettuata presso istituzioni di ricerca italiane, pubbliche o private non profit, che ricevono finanziamenti Telethon: in questo caso la Fondazione Telethon fornisce servizi per massimizzare l'efficienza di gestione.

Il capitolo 2 di questo volume contiene una relazione dettagliata sulle attività di gestione della ricerca nell'esercizio 2002-2003.

Le attività di supporto sono quelle non direttamente inerenti alla gestione della ricerca ma che permettono alla Fondazione di svolgere le sue funzioni istituzionali.

1.3 Le attività di supporto

Sono attività di supporto della Fondazione Telethon:

- il funzionamento della struttura, che comprende le attività amministrative e organizzative generali dei propri uffici;
- la gestione delle risorse umane e finanziarie necessarie alla vita dell'ente;
- la raccolta dei fondi, provenienti da fonti diverse dalla maratona televisiva, in particolare da fondazioni di origine bancaria e da alcune grandi aziende;
- la valutazione dei progetti e il controllo dei risultati, per cui la Fondazione si avvale della Commissione Medico-Scientifica del Comitato Telethon.

La relazione sulle attività di supporto svolte nel corso dell'esercizio 2002-2003 è oggetto del capitolo 3 di questo documento.

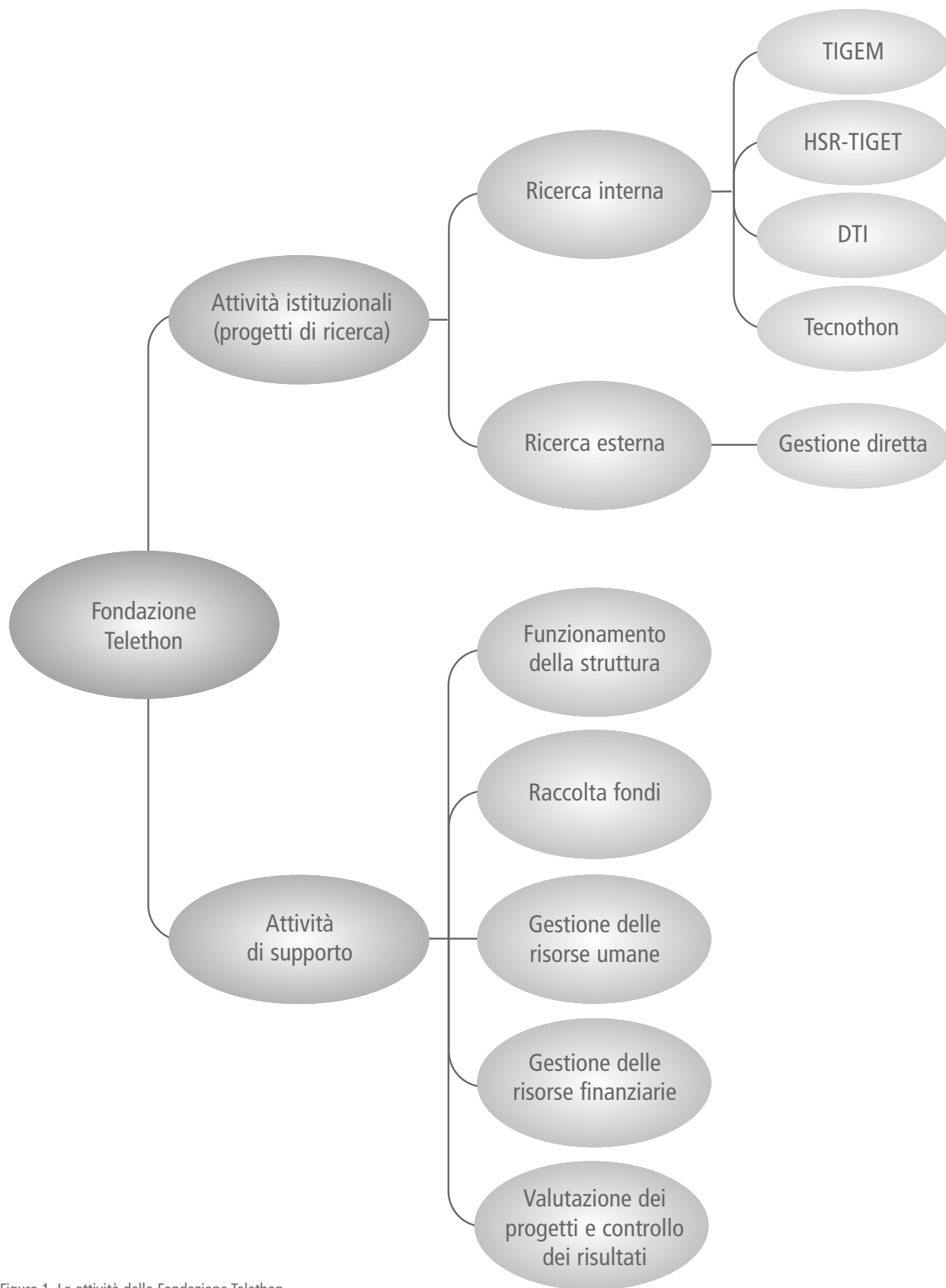


Figura 1. Le attività della Fondazione Telethon

RELAZIONE DI MISSIONE - Le attività istituzionali

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

2.1 La ricerca interna

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

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

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

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

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

Anche in questo esercizio la ricerca biomedica interna ha dato prova di qualità dei progetti e di merito del lavoro dei ricercatori. Presentiamo, nelle pagine successive, i principali risultati pubblicati su riviste scientifiche internazionali, a riprova della efficacia della ricerca interna finanziata da Telethon.

I PRINCIPALI RISULTATI DELLA RICERCA INTERNA (2002-2003)

Individuazione di geni-malattia

Maggio 2003

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

Ricerca interna: TIGEM

Responsabile della ricerca: Andrea Ballabio

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

Giugno 2003

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

Ricerca interna: TIGEM

Responsabile della ricerca: Paolo Gasparini

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

Funzione dei geni-malattia e loro alterazioni

Aprile 2003

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

Ricerca interna: DTI

Responsabile della ricerca: *Giorgio Merlo*

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

Meccanismi di base patologici e fisiologici

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

Dicembre 2002

Evidenziati tutti i geni del cromosoma 21, implicato nella sindrome di Down, che risultano accesi o spenti nei diversi tessuti e nelle diverse fasi dello sviluppo.

Ricerca interna: TIGEM

Responsabile della ricerca: Andrea Ballabio

Reymond et al. Nature 2002 Dec 5; 420(6915):582-6

Aprile 2003

Scoperto un nuovo punto di controllo del processo che porta alla morte cellulare programmata: si tratta di uno scomparto della cellula fino a oggi insospettato, il cosiddetto reticolo endoplasmatico.

Ricerca interna: DTI

Responsabile della ricerca: *Luca Scorrano*

Scorrano L. et al. *Science*. 2003, Apr 4; 300 (5616): 135-9.

Aprile 2003

Un altro risultato sulla morte cellulare programmata. Si tratta della comprensione di un nuovo meccanismo di reclutamento di una proteina già nota per essere coinvolta nella morte cellulare e chiamata c-Abl, che in risposta a un danno al DNA scatena una serie di eventi a cascata che portano la cellula al suicidio.

Ricerca interna: DTI

Responsabile della ricerca: *Daniela Barilà*

Barilà et al. *Mol. Cell. Biol.* 2003. 23: 2790-2799.

Giugno 2003

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

Ricerca interna: DTI

Responsabile della ricerca: *Roberto Chiesa*

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

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

Luglio 2003

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

Ricerca interna: DTI

Responsabile della ricerca: *Alessandra Bolino*

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

Agosto 2003

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

Ricerca interna: DTI

Responsabile della ricerca: *Maria Passafaro*

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

Terapia genica e cellulare

Aprile 2003

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

Ricerca interna: HSR-TIGET

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

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

Nel corso degli anni, e con il progredire delle conoscenze in questo settore, l'interesse dei ricercatori TIGEM si è progressivamente ampliato verso lo studio del loro funzionamento. Infatti, il passo successivo all'individuazione di un gene malattia è quello dello studio del meccanismo attraverso il quale questo gene difettoso porta alla manifestazione della patologia. Soltanto attraverso la conoscenza dei processi biologici sottesi alle malattie genetiche si potrà giungere allo sviluppo di nuove strategie per la terapia e la cura. Il TIGEM, sotto la direzione scientifica del Prof. Andrea Ballabio, è diventato in pochi anni un punto di riferimento non solo per la ricerca italiana ma anche per quella internazionale. Da tre anni ha sede a Napoli ed è ospitato presso l'Area della Ricerca Napoli 1 del CNR. Nel corso dell'esercizio 2002-2003 sono stati raggiunti alcuni importanti risultati scientifici, confermati dal numero di lavori pubblicati su riviste con un alto impatto scientifico (Figura 2).

2.1.1 Le attività del TIGEM

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

Figura 2. Le pubblicazioni scientifiche originate da progetti di ricerca condotti all'interno del TIGEM

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

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

Sin dalla sua creazione il TIGEM ha ricevuto *grant* triennali sia per il finanziamento dei progetti condotti al suo interno che per i costi della struttura. Alla fine di ogni triennio TIGEM presenta, quindi, alla Commissione i risultati ottenuti nel periodo passato e il programma per il nuovo triennio.

Nel corso di questo esercizio il TIGEM è stato sottoposto ad una nuova sessione di valutazione da parte della Commissione Medico-Scientifica per il **rinnovo del finanziamento relativo al triennio che va da luglio 2003 a giugno 2006**. La valutazione è stata effettuata sui seguenti aspetti:

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

Allo scopo di valutare quanto detto è stata organizzata una commissione di *site visit* (composta sia da alcuni dei membri della Commissione Medico-Scientifica che da scienziati esterni a questa e competenti sugli argomenti di ricerca del TIGEM) che ha esaminato il

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

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

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

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

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

La **posizione geografica** del TIGEM porta con sé anche altri significati.

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

Attualmente sono presenti 6 laboratori che ospitano in tutto 14 gruppi di ricerca e 100 persone (Figura 3). Al momento sono 35 i progetti di ricerca su patologie umane di origine genetica che vengono svolti presso l'Istituto e sono 11 i servizi comuni ai quali possono accedere i ricercatori.

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