

RENDICONTO DEGLI IMPORTI DEL "5 PER MILLE DELL'IRPEF" PERCEPITI DAGLI AVENTI DIRITTO

Anagrafica

Denominazione sociale Fondazione Telethon
(eventuale acronimo e nome esteso)

Scopi dell'attività sociale Ricerca Scientifica su malattie genetiche

C.F. dell'Ente 04879781005

con sede nel Comune di Roma prov RM

CAP 00185 via Varese 16b

telefono +39 06 440151 fax +39 06 44 015521 email idedilectis@telethon.it

PEC direzione.generale@telethon.legalmail.it

Rappresentante legale Luca Cordero di Montezemolo C.F. CRD LCU47M31A944G

Rendiconto anno finanziario 2018

Data di percezione del contributo

09/06/2020

IMPORTO PERCEPITO

939.826,27 EUR

1. Risorse umane

(dettagliare i costi a seconda della causale, per esempio: compensi per personale; rimborsi spesa a favore di volontari e/o del personale). N.B. nel caso in cui i compensi per il personale superano il 50% dell'importo percepito è obbligatorio per le associazioni allegare copia delle buste paga del personale imputato fino alla concorrenza dell'importo rendicontato.

EUR

2. Costi di funzionamento

(dettagliare i costi a seconda della causale, per esempio: spese di acqua, gas, elettricità, pulizia; materiale di cancelleria; spese per affitto delle sedi; ecc...)

EUR

3. Acquisto beni e servizi

(dettagliare i costi a seconda della causale, per esempio: acquisto e/o noleggio apparecchiature informatiche; acquisto beni immobili; prestazioni eseguite da soggetti esterni all'ente; affitto locali per eventi; ecc...)

EUR

4. Erogazioni ai sensi della propria finalità istituzionale

(N.B. In caso di erogazioni liberali in favore di altri enti/soggetti è obbligatorio allegare copia del bonifico effettuato)

950.750,61 EUR

5. Altre voci di spesa connesse alla realizzazione di attività direttamente riconducibili alle finalità e agli scopi istituzionali del soggetto beneficiario

EUR

6. Accantonamento

(è possibile accantonare in tutto o in parte l'importo percepito, fermo restando per il soggetto beneficiario l'obbligo di specificare nella relazione allegata al presente documento le finalità dell'accantonamento allegando il verbale dell'organo direttivo che abbia deliberato l'accantonamento. Il soggetto beneficiario è tenuto ad utilizzare le somme accantonate e a rinviare il presente modello entro 24 mesi dalla percezione del contributo)

EUR

TOTALE

950.750,61 EUR

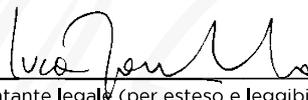
I soggetti beneficiari sono tenuti a redigere, oltre al presente rendiconto, una relazione che dettagli i costi inseriti e sostenuti ed illustri in maniera analitica ed esaustiva l'utilizzo del contributo percepito.

Roma, Li 08/07/2021


Firma del rappresentante legale (per esteso e leggibile)

Il rappresentante legale, con la sottoscrizione del presente rendiconto, attesta l'autenticità delle informazioni contenute nel presente documento e la loro integrale rispondenza con quanto riportato nelle scritture contabili dell'organizzazione, consapevole che, ai sensi degli articoli 47 e 76 del d.P.R. n. 445/2000, chiunque rilasci dichiarazioni mendaci, formi atti falsi ovvero ne faccia uso è punito ai sensi del codice penale e dalle leggi speciali in materia.

Il presente rendiconto, inoltre, ai sensi dell'articolo 46 del citato d.P.R. n. 445/2000, deve essere corredato da copia semplice di un documento di identità in corso di validità del soggetto che lo abbia sottoscritto.



Firma del rappresentante legale (per esteso e leggibile)

Relazione Descrittiva Anno 2018

Il 5 per mille 2018 è stato recepito dalla Fondazione Telethon nel bilancio in corso al momento dell'emissione delle liste definitive dei beneficiari, avvenuta in data 03/04/2020, quindi attribuito per competenza nel bilancio 2020. L'erogazione dell'importo spettante, pari a 939.826,27 euro, è avvenuta in data 09/06/2020.

Coerentemente con le regole di rendicontazione, l'utilizzo dei fondi è avvenuto a valere sulle attività espletate durante il periodo di riferimento, ed i cui relativi pagamenti sono avvenuti successivamente alla data di pubblicazione degli elenchi.

Tutte le progettualità finanziate da Fondazione Telethon sono dedicate a malattie rare di origine genetica.

Per il 5 per mille 2018 Fondazione Telethon **rendiconta 11 progetti** per un totale di 950.750,61 euro, **di cui 9 sono progetti di ricerca** selezionati tramite il 'bando generale Telethon' - e **2 sono 'progetti speciali'**, che derivano da alleanze che la Fondazione ha stretto con enti e istituzioni per promuovere la ricerca scientifica e potenziare i livelli di assistenza per i pazienti.

Nel dettaglio:

- i due **progetti speciali** sono uno a sostegno dei **Centri Clinici Nemo** (commessa GSP06001) e uno a sostegno di **AriSLA - Fondazione Italiana di ricerca per la Sclerosi Laterale Amiotrofica** (commessa GSP08001).

Fondazione Telethon ha supportato i Centri Clinici Nemo fin dalla creazione del primo centro a Milano avviato nel 2008 su iniziativa di Fondazione Serena, nata dal sodalizio tra Fondazione Telethon, UILDM (Unione Italiana Lotta Distrofia Muscolare) e l'Azienda Ospedaliera Niguarda Ca' Granda (struttura della Regione Lombardia) e ad oggi sono 6 i centri Nemo distribuiti sul territorio italiano. Nei centri NEMO, dedicati esclusivamente a chi è affetto da patologie neuromuscolari, i pazienti sono presi in cura da un'equipe altamente specializzata e attenta alle esigenze peculiari di questi malati, che sono al centro di un piano clinico - assistenziale finalizzato a favorire la migliore qualità di vita possibile.

AriSLA è stata costituita nel dicembre 2008 per volontà di Fondazione Telethon insieme ad A.I.S.L.A. Onlus - Associazione Italiana Sclerosi Laterale Amiotrofica, Fondazione Cariplo, e Fondazione Vialli e Mauro per la Ricerca e lo Sport Onlus, con l'obiettivo di promuovere, finanziare e coordinare la ricerca scientifica d'eccellenza sulla sclerosi laterale amiotrofica. Grazie a questa sinergia tra i 4 soci fondatori, negli anni sono stati investiti in ricerca oltre 13,2 milioni di euro, supportando 85 progetti di ricerca in diversi ambiti, dalla ricerca di laboratorio agli studi clinici e tecnologici per lo sviluppo di terapie e strumenti che potessero avere un impatto sui pazienti. I ricercatori finanziati tramite progetti a singolo centro o studi multicentrici sono stati 130.

- I **9 progetti di ricerca**, di cui 5 sono progetti multicentrici (ossia vedono il coinvolgimento di più gruppi di ricerca) e 4 sono progetti monocentrici, hanno supportato in totale 16 laboratori di ricerca distribuiti in diversi Istituti italiani. Si tratta di progetti dedicati a varie tipologie di malattie genetiche che includono malattie neurologiche, malattie cardiache, malattie metaboliche e sindromi dovute a difetti nello sviluppo embrionale. Ogni progetto, a sua volta, si occupa di uno o più aspetti della ricerca, partendo dalla ricerca di base per studiare i meccanismi che portano all'insorgere della malattia, sino ad arrivare a possibili approcci terapeutici.
 - Malattie neurologiche. 6 progetti riguardano studi su cinque malattie neurologiche che causano diverse patologie quali: malattia di Charcot-Marie-Tooth, encefalopatia familiare con corpi d'inclusione di neuroserpina, sindromi di tipo autistico, distrofia muscolare di Duchenne (DMD), distrofia muscolare congenita da deficit di merosina (le ultime 2, in particolare, sono malattie neuromuscolari).

Fondazione Telethon

Tel. +39 06 440151
Fax +39 06 44015521
www.telethon.it
info@telethon.it
C.F. e Partita I.V.A. 04879781005

Sede legale

Via Varese, 16/B
00185 Roma, Italia

Sede di Milano

Via Carlo Poerio, 14
20129 Milano, Italia

Persona Giuridica riconosciuta
con Decreto Ministeriale (M.U.R.S.T.)
del 14 dicembre 1995

Sotto gli auspici
della UILDM
Unione Italiana Lotta
alla Distrofia Muscolare





Le neuropatie della famiglia delle **Charcot Marie Tooth (CMT)** sono un gruppo di patologie ereditarie dovute ad un danno dello sviluppo e dell'integrità della mielina, l'involucro isolante dei nervi. Diverse forme di CMT sono studiate da 2 progetti - commesse **GGP15012** (e A,B,C) e **GGP16037** (e B)- di cui uno che ha l'obiettivo di sviluppare una strategia terapeutica che sia comune a tutte le forme di CMT grazie allo studio di farmaci che controllano un fattore crescita che controlla la quantità di mielina. L'altro progetto studia i meccanismi molecolari alla base della Charcot-Marie-Tooth di tipo 2B utilizzando le cellule derivate dai pazienti con l'obiettivo di individuare bersagli molecolari per futuri trattamenti terapeutici efficaci per questa patologia.

L'encefalopatia familiare con corpi d'inclusione di neuroserpina (FENIB) è una malattia genetica caratterizzata da neurodegenerazione progressiva e demenza. FENIB è causata da mutazioni della proteina chiamata neuroserpina (NS). Queste mutazioni portano alla sua polimerizzazione e accumulo all'interno dei neuroni. Il progetto **GGP17036** si focalizza su studi biochimici e biofisici, mediante un approccio sistematico di modifica chimica per ottenere inibitori della polimerizzazione sempre più efficaci.

Per **sindromi dello spettro autistico** si intendono disturbi pervasivi dello sviluppo, principalmente di origine genetica, caratterizzati da deficit di comunicazione, di interazione sociale e di comportamento, che si manifestano in circa 1 su 150 bambini sotto i 3 anni. In rari casi, l'autismo è associato a singole mutazioni di geni coinvolti nella trasmissione nervosa a livello della sinapsi (il punto di incontro tra la terminazione di un neurone da cui viene rilasciata la molecola chimica del neurotrasmettitore ed il neurone bersaglio del neurotrasmettitore). Tra queste, di particolare interesse è una mutazione del gene per la NLG3, studiata nel progetto **GGP16083** (e A) che si propone di approfondire le nostre conoscenze sui meccanismi alla base sindromi dello spettro autistico quali la sindrome di Asperger per identificare nuovi bersagli terapeutici per la loro cura.

Il progetto sulla **distrofia muscolare di Duchenne (DMD)** – commessa **GGP16191** (e A)– si focalizza sull'aspetto cardiaco della DMD (meno studiato in altri progetti) e propone di gettare le basi per l'identificazione di nuovi bersagli terapeutici per lo sviluppo di terapie personalizzate, tramite lo studio di meccanismi molecolari in un modello in vitro della cardiomiopatia da DMD, ottenuto utilizzando cellule staminali pluripotenti indotte.

La Distrofia Muscolare Congenita da deficit di Merosina (MDC1A) è studiata nel progetto **GGP17009** che utilizza modelli animali e cellulari per testare se una correzione genetica o farmacologica possa migliorare il decorso della malattia, avendo un effetto sui processi rigenerativi del nervo e del muscolo.

- Malattie cardiache: La **cardiomiopatia aritmogena (ACM)** è una malattia genetica caratterizzata da gravi disturbi del ritmo cardiaco e dall'accumulo di grasso nel cuore che possono portare a morte improvvisa e ad insufficienza cardiaca, in particolare nei giovani e negli atleti. L'ACM viene studiata nel progetto **GGP16001** (e B) che indaga sui meccanismi molecolari e su nuove prospettive per una futura prevenzione/trattamento farmacologico dell'ACM.
- Malattie metaboliche. La **glicogenosi di tipo I** è un disturbo del metabolismo caratterizzato dall'accumulo di glicogeno (molecola di deposito del glucosio) a livello di molti organi quali fegato, reni e ghiandole endocrine. Nell'ambito delle varie forme di glicogenosi esiste quella



di tipo I (b) (GSD1b) che è anche caratterizzata da alterazioni del sistema immunitario che comportano una elevata frequenza di infezioni e di malattie autoimmunitarie che compromettono la qualità di vita e la sopravvivenza di questi pazienti. Il progetto **GGP17086** studia a livello immunologico con quali meccanismi le cellule del sistema immunitario di pazienti affetti da GSD1b sono malfunzionanti e causano una maggiore frequenza di malattie autoimmunitarie come l'artrite reumatoide, la tiroidite autoimmunitaria e il morbo di Crohn.

- Sindromi dovute a difetti nello sviluppo embrionale. La **sindrome di Hay-Wells** (chiamata anche sindrome da anchiloblefaron–anomalie ectodermiche–schisi labiopalatina, o AEC) è una patologia genetica rara causata da mutazioni nel gene p63 e caratterizzata da lesioni gravi della cute che coinvolgono tutti i distretti corporei. Il progetto **GGP16235** è la prosecuzione di una linea di ricerca che è stata supportata dalla Fondazione grazie a vari progetti rinnovati negli anni; grazie ai modelli cellulari e animali generati negli studi precedenti, questo progetto si prefigge di identificare farmaci in grado di ripristinare la funzione del gene e della proteina mutati nella malattia. In caso di successo questo trattamento verrà preso in considerazione per la riparazione delle lesioni cutanee che non rimarginano in tempi brevi in seguito a trapianto cutaneo.

Elenco Progetti Finanziati	
Progetto	Importo Progetto
GGP15012	11.220,00
GGP15012A	13.985,62
GGP15012B	2.954,41
GGP15012C	5.632,72
GGP16001	14.525,00
GGP16001B	400,00
GGP16191	3.166,00
GGP16191A	13.075,00
GGP16235	21.535,00
GGP17009	18.525,00
GGP17036	16.050,00
GGP17086	18.225,75
GSP06001	100.000,00
GSP06001	250.000,00
GSP08001	400.000,00
GGP16037	15.850,00
GGP16037B	15.461,26
GGP16083	10.151,50
GGP16083A	19.993,35
Totale	950.750,61

Firma del legale rappresentante