

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 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 2019

Data di percezione del contributo

02/09/2020

IMPORTO PERCEPITO

954.339,85 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)

954.822,33 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)

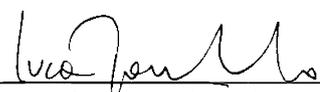
EUR

TOTALE

954.822,33 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 2019

Il 5 per mille 2019 è stato recepito dalla Fondazione Telethon nel bilancio in corso al momento dell'emissione delle liste definitive dei beneficiari, avvenuta in data 22/07/2020, quindi attribuito per competenza nel bilancio 2020. L'erogazione dell'importo spettante, pari a 954.339,85 euro, è avvenuta in data 02/09/2020. 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 pagamento 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 2019 Fondazione Telethon **rendiconta 13 progetti**, per un totale 954.882,33 euro, **di cui 11 sono progetti di ricerca** selezionati tramite il 'bando generale Telethon' - **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. Tra tutti i tredici progetti, 9 sono progetti multicentrici (ossia vedono il coinvolgimento di più gruppi di ricerca).

Nel dettaglio:

I tredici progetti rendicontati per il 2019 comprendono studi dedicati a varie tipologie di malattie genetiche che includono malattie del sangue, malattie del sistema immunitario, malformazioni congenite, malattie metaboliche, neurologiche ed oftalmiche. 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 o studi clinici.

- **Malattie neurologiche.** Sette sono i progetti che riguardano studi su otto malattie neurologiche che causano diverse patologie quali: disabilità intellettive come ad esempio la **sindrome di Rett** - commesse **GGP19038** e **GGP19281A**-, epilessie come la **sindrome di Dravet** - commessa **GGP19249** -, atrofie muscolari quali l'**Atrofia Muscolare Spinale (SMA)** e la **Distrofia miotonica di Steinert** - commesse **GSP13002** (a A,B,C,E,L) e **GGP19035** (e A)-, atassie che provocano *difficoltà nell'eseguire movimenti volontari quali l'Atassia parossistica familiare* - commessa **GGP19181** (e A)- e infine l'**Insonnia familiare fatale** - commessa **GSP18001** (e A,B)-, una malattia ad esito fatale. Ad eccezione di uno studio che si propone di comprendere più a fondo il meccanismo di azione della malattia (**sindrome di Rett**), la maggioranza delle ricerche in corso sono focalizzate su sperimentazioni di approcci terapeutici sia in modelli cellulari che animali. Le proposte di terapia vanno da approcci di farmacologia tradizionale (**Insonnia Fatale, Atrofia spinale**) fino ad arrivare a terapie avanzate quali la terapia genica (**sindrome di Rett, atassia, sindrome di Dravet**) o l'editing genetico (**distrofia di Steinert**). L'approccio di base di queste strategie avanzate consiste nel fornire all'organismo una copia corretta del gene difettoso per riparare il malfunzionamento delle cellule malate oppure tagliare e modificare il DNA della cellula in modo specifico e preciso mediante l'editing genetico.
- **Malattie metaboliche.** Due sono i progetti che studiano **malattie mitocondriali** - commesse **GGP19067** (e A) e **GGP19287** (e A) -, cioè causate da un difetto nel funzionamento dei mitocondri, gli organelli che producono energia necessaria alle nostre cellule per funzionare. Le malattie studiate causano numerosi effetti patologici quali convulsioni, epilessie, debolezza muscolare e problemi cardiaci. I ricercatori in questi casi studiano da una parte i meccanismi molecolari coinvolti nell'insorgenza di queste patologie e dall'altra verificano l'efficacia di potenziali nuovi farmaci in modelli animali.

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





- Malattie del sangue. Un progetto è dedicato all'**emofilia di tipo A grave** – commessa **GGP19201**(e A) -, in cui un fattore della coagulazione difettoso (fattore VIII) causa emorragie spontanee e prolungate. I ricercatori si propongono di studiare a fondo il ruolo del fattore VIII proponendo anche un possibile approccio terapeutico mediante terapia genica.
- Malattie del sistema immunitario. Un progetto sulla **Immunodeficienza variabile comune** – commessa **GGP16003** -, la più frequente malattia genetica del sistema immunitario che, a causa di una difettosa produzione di anticorpi, provoca frequenti infezioni batteriche e anche tumori. I ricercatori in questo caso si propongono di identificare i difetti genetici ancora sconosciuti per migliorare la diagnosi e per lo sviluppo di nuove terapie.
- Malformazioni congenite. Un progetto sulla **sindrome da delezione 22q11.2** – commessa **GGP19103** (e A)-, un'aberrazione cromosomica che causa diversi effetti patologici quali dismorfismi facciali, anomalie del palato, ritardo dello sviluppo, malattie cardiache e immunologiche. Il progetto si propone di investigare in un modello animale i possibili effetti positivi di un trattamento con ossitocina, un ormone naturale, sui deficit sociali, cognitivi e del sistema immunitario che caratterizzano la sindrome.
- Malattie oftalmiche. Un progetto sulla **retinite pigmentosa** – commessa **GGP19113** -, una malattia che causa degenerazione della retina e porta a una progressiva riduzione della vista e in alcuni casi anche a cecità. L'obiettivo di questo progetto è lo sviluppo di un trattamento farmacologico utilizzando piccole molecole proteiche sintetiche potenzialmente in grado di proteggere la retina dagli effetti degenerativi delle mutazioni.



Elenco progetti finanziati	
Progetto	Importo Progetto
GGP16003	12.500,00
GSP13002	26.000,00
GSP13002A	1.200,00
GSP13002B	1.024,00
GSP13002C	1.200,00
GSP13002E	1.200,00
GSP13002L	1.200,00
GSP18001	76.175,00
GSP18001A	9.350,00
GSP18001B	27.500,00
GGP19035	46.569,00
GGP19035A	30.800,00
GGP19038	57.200,00
GGP19067	52.000,00
GGP19067A	25.000,00
GGP19113	52.330,00
GGP19181	60.490,00
GGP19181	60.490,00
GGP19181A	34.240,00
GGP19181A	34.240,00
GGP19201	70.590,00
GGP19201A	35.000,00
GGP19249	52.800,00
GGP19281A	47.224,33
GGP19287	29.300,00
GGP19287A	18.110,00
GGP19103	62.090,00
GGP19103A	29.000,00
Totale	954.822,33

Firma del legale rappresentante