



**Ministero dell'Istruzione, dell'Università e della Ricerca
Direzione Generale per il Coordinamento, la Promozione e la Valorizzazione della
Ricerca Uff. V.**

**Rendiconto di spesa Fondi 5 per mille ANNO 2019
Enti della Ricerca Scientifica**

Ente¹: Fondazione Telethon
Codice fiscale: 04879781005
Indirizzo sede legale: Via Varese 16B 00185 Roma
Referenti (De Dilectis Isabella, Tel. 06 44015756, idedilectis@telethon.it)

Attività:

Il 5 per mille relativo all'anno 2019 è stato recepito dalla Fondazione Telethon nel bilancio 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 € 2.426.996,03 è avvenuta in data 23/09/2020.

Coerentemente con le regole di rendicontazione, l'importo del cinque per mille in oggetto è stato utilizzato per la copertura di oneri ammissibili, sostenuti nel corso del periodo di riferimento, dalla data uscita elenchi (22/07/2020) alla data di incasso (30/04/2021).

Il criterio di formazione delle poste, conformemente al bilancio di esercizio della Fondazione Telethon, risponde al principio di competenza, e gli importi esposti in questa sede, opportunamente aggregati, sono parte integrante dei bilanci stessi.

Parte del contributo è stato utilizzato per sostenere progetti di ricerca extramurale selezionati e finanziati da parte della Fondazione Telethon, a seguito della pubblicazione del bando generale, e dedicati a malattie rare di origine generica. Il valore di tale attività è pari a € 1.274.049,92, cofinanziato dal cinque per mille per un pari importo.

I progetti di ricerca finanziati sono dedicati a varie tipologie di malattie genetiche che includono malattie neurologiche, malattie metaboliche, malattie del sangue, malformazioni congenite e malattie 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. Di seguito a titolo esemplificativo alcune progettualità.

Malattie neurologiche. I progetti riguardano studi su malattie neurologiche che causano diverse patologie quali: disabilità intellettive come, ad esempio, la sindrome di Rett (come il progetto GGP19281), epilessie come la sindrome di Dravet (come il progetto GGP19249), atassie che provocano *difficoltà nell'eseguire movimenti volontari quali l'Atassia parossistica familiare* (come il progetto GGP19181).

Malattie metaboliche. I progetti che studiano malattie mitocondriali (come i progetti GGP19067 e GGP19287), 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

¹ Istituzione beneficiaria del contributo del 5 per mille.

coinvolti nell'insorgenza di queste patologie e dall'altra verificano l'efficacia di potenziali nuovi farmaci in modelli animali.

Malattie del sangue. Un progetto (GGP19201) è dedicato all'emofilia di tipo A grave, 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.

Malformazioni congenite. Un progetto (GGP19103) sulla sindrome da delezione 22q11.2, 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 (GGP19113) sulla retinite pigmentosa, 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.

Una quota parte del contributo è stata utilizzata per finanziare la ricerca svolta all'interno dell'istituto Tiget di Milano. Di seguito le progettualità finanziate, in quota parte. Il valore di tale attività è pari a € 1.319.255,61, cofinanziato dal cinque per mille per € 969.126,79.

TTAMA0516TT -PI Mortellaro Alessandra -Studio della patogenesi e sviluppo della terapia genica per il deficit di adenosina deaminasi 2; TTGFA0316TT -PI Ferrari Giuliana -Regolazione dell'emopoiesi in condizioni sia normali che di stress; TTAAB0216TT -PI Aiuti Alessandro -La biologia delle cellule staminali ematopoietiche e dei loro progenitori: un'analisi in vivo; TTEMB0316TT -PI Montini Eugenio -Modellizzazione e comprensione dei sistemi geneticamente modificati nel loro insieme; TTADC0416TT -PI Ditadi Andrea -Sviluppo di una piattaforma per modellare la formazione di cellule staminali ematopoietiche basato su cellule staminali pluripotenti umane; TTAGD0216TT -PI Gritti Angela -Modellare la complessità della malattia per affinare le strategie di terapia genica e cellulare; TTRME0516TT -PI Di Micco Raffaella -L'invecchiamento cellulare: meccanismi fisiologici e patologici; TTBGC0116TT -PI Gentner Bernhard -Espansione ex vivo di cellule ematopoietiche staminali e progenitrici geneticamente modificate; TTAVE0216TT -PI Villa Anna -Correggere con precisione attraverso l'editing genetico i difetti del gene RAG1 alla base di immunodeficienze primitive (SCID); TTSGG0116TT -PI Gregori Silvia -Nuove strategie per generare DC tollerogeniche per l'immunoterapia specifica per Ag;

Infine, una quota parte delle risorse assegnate, sono state utilizzate per alcune tipologie di spese inerenti la comunicazione istituzionale. Il valore di tale attività è pari a € 252.014,56, cofinanziato dal cinque per mille per un pari importo. Di seguito le principali iniziative:

Social Networks

L'attività di social networking sulle piattaforme di Fondazione Telethon (Facebook, Instagram, Twitter e LinkedIn), inserita in un ampio progetto di digital strategy (comprendente il sito e le altre leve digitali), si pone 3 principali obiettivi: sostegno alla raccolta fondi, miglioramento della awareness della Fondazione, miglioramento del livello qualitativo e quantitativo dell'interazione con gli utenti, per una conversione in soggetti attivi: donatori e volontari. La principale novità a livello editoriale riguarda l'affinamento dell'utilizzo dei contenuti proprietari, come portatori di valori in linea con la missione della Fondazione. Il racconto fa principalmente leva su temi legati all'ambito della ricerca (e dei sottotemi ad essa collegati) e delle storie dei protagonisti dell'ecosistema della Fondazione.

Telethon Notizie e Ufficio Stampa Campagne territoriali di sensibilizzazione

L'house organ Telethon Notizie ha cadenza trimestrale. Scritto da tutti giornalisti professionisti contiene articoli di divulgazione scientifica, interviste a ricercatori, approfondimenti sui risultati della ricerca di Fondazione Telethon e rendicontazione dell'impiego dei fondi raccolti. Il Telethon Notizie è disponibile per tutti nella forma digitale sul sito istituzionale www.telethon.it

La distribuzione dell'house organ agli stakeholder si è mantenuta sulle stesse quantità degli scorsi anni raggiungendo quasi le 950 mila copie, mentre nella versione digitale ha raggiunto circa 130 mila iscritti alla news letter della Fondazione.

Il 2020 ha rappresentato per Fondazione Telethon l'anno del proprio trentennale; il finanziamento ricevuto è stato

destinato a coprire le spese per gli eventi e le attività connesse a tale straordinario traguardo celebrato un logo dedicato e un incontro presso il Quirinale nel giorno delle malattie rare, il 28 febbraio, in cui 6 rappresentanti del mondo Telethon hanno ricordato i successi ottenuti nei primi 30 anni di storia e condiviso gli obiettivi per il futuro. Quello che doveva essere un anno di celebrazioni è diventato l'anno della grande reazione in cui la Fondazione con tutti coloro che ne fanno parte, dai ricercatori, ai donatori, alle aziende, fino agli stessi pazienti, sempre centrali nel nostro lavoro, ha dato un segnale forte in termini di capacità di sostenere e promuovere quella ricerca scientifica oggi al centro del dibattito collettivo.

Data di inizio progetto:	01/01/2020
Data di fine progetto:	31/12/2021

VOCI DI SPESA	COSTO COMPLESSIVO	QUOTA FINANZIATA CON FONDI 5 PER MILLE
Personale di ricerca (borsista, a contratto e di ruolo in quota parte)	689.909,47	517.120,96
Apparecchiature (ammortamento, canone di locazione/leasing)	29.242,66	0,00
Materiale d'uso destinato alla ricerca (per laboratori di ricerca, ecc.)	1.734.942,84	1.590.438,50
Spese di organizzazione (manifestazioni e convegni, viaggi, missioni ecc.)	46.021,71	46.021,71
Elaborazione dati	0,00	0,00
Spese amministrative	160.668,22	160.668,22
Altro (pubblicità, marketing, abbonamenti, editing video, servizi ricerca, manutenz. Apparecchiatur., consulenze)	184.535,19	180.941,88
TOTALE	2.845.320,09	2.495.191,27

Data

Il Legale Rappresentante o suo delegato

Si autorizza al trattamento dei dati ai sensi del d.lgs. 196/2003

Il Legale Rappresentante o suo delegato