



Bilancio
Sociale

2024



Bilancio
Sociale

2024



*Dalla sua nascita, 35 anni fa, Fondazione Telethon ETS ha investito **741 milioni di euro in ricerca**, ha finanziato **3.118 progetti**, ha coinvolto **1.916 ricercatori** e ha studiato **661 malattie**. Numeri importanti, che non frenano tuttavia la nostra ferma volontà di inseguire nuovi traguardi, a beneficio dei nostri malati e di tutte quelle famiglie che affrontano l'angoscia, il dolore e lo smarrimento di una malattia genetica rara. Talmente rara da percepirsi davvero soli. Noi siamo e saremo sempre accanto a loro.*

Siamo diventati la prima charity al mondo a produrre e distribuire un trattamento genico ritirato dall'industria farmaceutica per la sua scarsa profittabilità, ma abbiamo già chiesto all'Ema, l'Agenzia europea per i medicinali, l'autorizzazione per produrre e commercializzare un secondo farmaco per un'altra grave immunodeficienza. Tutto questo comporta nuove risorse, un impegno gravoso e, soprattutto, un'importante trasformazione organizzativa. La stiamo affrontando. E non abbiamo nessuna intenzione di tirarci indietro, forti del sostegno di chi crede nel valore della nostra Missione: donatori, volontari, ricercatori, medici, pazienti. Siamo in tanti. E consideriamo ogni passo avanti nella ricerca, una nuova base di partenza per il passo successivo, per raggiungere quei risultati che nella vita di chi è colpito da una malattia genetica rara fanno la differenza. E noi, con Telethon, vogliamo fare ogni giorno la differenza.

Luca di Montezemolo - Presidente Fondazione Telethon



Quando, nell'autunno del 2024, ho preso la direzione di questa organizzazione, ho iniziato a interrogarmi su quale fosse il modo più efficace per raccontare di Fondazione Telethon e su quali fossero le parole capaci di trasferire a chi legge ovvero ascolta il valore di quello che Fondazione Telethon ha fatto e fa da 35 anni.

Come si può raccontare Fondazione Telethon? A questa domanda corrispondono più risposte che provo a sintetizzare nelle prossime righe confidando di riuscire a restituire spessore e profondità ad ogni dimensione di questa meravigliosa realtà. Fondazione Telethon è un ente che finanzia ricerca scientifica applicando regole rigorose nell'assegnazione dei fondi grazie alle quali assicura che ad essere supportati siano i progetti ed i ricercatori più meritevoli del Paese.

Fondazione Telethon è un efficace ecosistema di ricerca accademica nell'ambito delle Scienze della Vita la cui eccellenza è riconosciuta a livello mondiale. Sono 460 i ricercatori che guidati da 48 Group Leader ogni anno confermano il valore della ricerca condotta nei nostri Istituti. Tigem e SR-Tiget occupano posizioni di leadership a livello globale per numero ed impatto di pubblicazioni scientifiche, di grant di ricerca assegnati e di scoperte che si traducono in opportunità di brevetti /applicazioni industriali (trasferimento tecnologico).

Fondazione Telethon è un punto di riferimento unico per i pazienti e per le famiglie che si rivolgono a noi quando ricevono una diagnosi di malattia rara e hanno bisogno di risposte chiare e concrete.

Fondazione Telethon è una realtà industriale con competenze riconosciute nell'ambito della Ricerca, Sviluppo e Commercializzazione di nuove

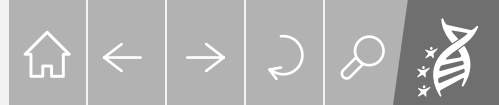
terapie per malattie rare e ultra-rare. In questa organizzazione, un'ipotesi scientifica confermata da dati solidi viene oggi efficacemente avviata al percorso di traslazione, cioè testata per il tramite studi clinici nell'uomo e, qualora rivelatasi efficace, si trasforma in terapia disponibile per i pazienti.

Fondazione Telethon è una squadra di professionisti qualificati, appassionati e motivati a mettere a frutto le loro competenze – spesso rarissime nel mercato – per una Missione complessa e meravigliosa allo stesso tempo. Fondazione Telethon è un moltiplicatore di valore ed impatto che canalizza la generosità di moltissimi italiani, trasformandola prima in ricerca scientifica di valore e, successivamente, in terapie per i pazienti che soffrono di malattie genetiche rare ed ultra-rare. Questa organizzazione dimostra ogni giorno che, là dove la logica industriale fallisce per insufficienza del ritorno sugli investimenti, sia possibile applicare un modello diverso e virtuoso che non lascia nessuno indietro e che ambisce a rendersi industrialmente sostenibile nel tempo.

Mi auguro che il Bilancio Sociale riesca a "parlarvi" di Fondazione Telethon, del rigore e della trasparenza che ci caratterizzano ma, ancor di più, dell'efficacia del nostro operato rispetto alla Missione.

Avremo raggiunto il nostro obiettivo di comunicazione se, per il tramite di queste pagine, saremo riusciti a generare in ciascuno dei nostri lettori un senso di appartenenza ed orgoglio per questa impresa così straordinariamente unica.

Ilaria Villa- Direttrice Generale Fondazione Telethon



Nota metodologica



Nel 2024 Fondazione Telethon ha proseguito nel rafforzamento dei propri strumenti di rendicontazione, consolidando il percorso di revisione dei processi interni con l'obiettivo di garantire continuità e trasparenza nella comunicazione delle attività svolte, dei risultati ottenuti a supporto della ricerca scientifica e dello stato di avanzamento del piano strategico. Il Bilancio Sociale 2024 è redatto in conformità alle Linee Guida emanate con il D.M. 4 luglio 2019 per gli Enti del Terzo Settore, fornendo un'articolata rendicontazione qualitativa e quantitativa delle aree richieste. A integrazione, vengono descritte le linee metodologiche seguite, i principi adottati e le informazioni generali sull'organizzazione, inclusi la struttura e il funzionamento della governance, il rapporto con il personale e con i collaboratori, secondo i criteri previsti dallo standard internazionale di rendicontazione di sostenibilità Global Reporting Initiative (GRI). Questo standard, promosso dalla Global Reporting Initiative, rappresenta uno strumento di riferimento per enti pubblici e organizzazioni private nel

misurare e comunicare gli impatti economici, sociali e ambientali delle proprie attività. Per la redazione di questo documento è stato utilizzato l'aggiornamento più recente delle linee guida GRI, pubblicato nel 2022. La tabella di correlazione con le Linee Guida e l'indice dei contenuti GRI sono riportati in appendice. I dati sono stati selezionati sulla base del principio di rilevanza per gli stakeholder, attraverso un processo strutturato di consultazione interna ed esterna, volto a orientare l'evoluzione del modello gestionale e a monitorare l'allineamento con le priorità strategiche. La mappatura e il coinvolgimento degli stakeholder – sia interni sia esterni – assicurano una rappresentazione completa e coerente con la specificità della Fondazione e la pluralità delle sue aree operative. Il perimetro informativo del Bilancio include tutte le attività coerenti con le finalità statutarie, svolte presso le sedi di Roma e Milano, nonché presso gli Istituti Tigem (Istituto Telethon di Genetica e Medicina a Pozzuoli, Napoli) e SR-Tiget (Istituto San Raffaele-Telethon per la Terapia Genica a

Milano), per le rispettive competenze. Sono inoltre rendicontate le attività di finanziamento alla ricerca presso enti terzi e quelle finalizzate alla diffusione della conoscenza scientifica. I dati si riferiscono all'anno fiscale concluso il 31 dicembre 2024 e sono riportati secondo criteri di trasparenza, con indicazione delle fonti e delle modalità di raccolta, per garantire la verificabilità delle informazioni e la comparabilità con l'anno precedente. Eventuali variazioni nel perimetro o nel periodo di riferimento sono segnalate puntualmente nel testo. Il documento è stato esaminato dall'Organo di Controllo, che ne ha attestato la conformità alle Linee Guida previste per gli ETS, e approvato dal Consiglio di Amministrazione in data 12 giugno 2025. La struttura del Bilancio Sociale 2024 si articola in cinque capitoli, ciascuno accompagnato da un corrispondente approfondimento tematico a fine volume, cui seguono le tabelle di corrispondenza con gli standard adottati. Il Capitolo 1, insieme al relativo approfondimento, presenta l'identità della Fondazione, il contesto in cui

opera e la mappatura degli stakeholder. Il Capitolo 2 e il suo approfondimento sono dedicati alla ricerca scientifica, illustrando le diverse modalità di supporto lungo le fasi della ricerca e i risultati ottenuti in termini di sviluppo di terapie e percorsi diagnostici. Il Capitolo 3, con il rispettivo approfondimento, si concentra sulle persone che rendono possibile l'azione della Fondazione – personale, collaboratori e volontari – descrivendone la composizione, la distribuzione territoriale e le iniziative volte allo sviluppo delle competenze, alla tutela della salute e sicurezza e alla valorizzazione del contributo individuale. Il Capitolo 4 e il relativo approfondimento documentano le attività di raccolta fondi e le strategie di comunicazione istituzionale. Il Capitolo 5, infine, accompagnato dal suo approfondimento, fornisce una sintesi dell'andamento economico-finanziario, con un'analisi del valore generato e distribuito, in linea con il principio di trasparenza.

1

Chi siamo

Fondazione Telethon	12
Lo scenario	14
Con gli stakeholder, un dialogo continuo	16
Il rapporto con ricercatori e pazienti	18
Struttura, governo e amministrazione	20
INDICE ANALITICO	
Missione	12
Il sistema degli stakeholder	17
Organigramma	21

2

Attività istituzionali

Il sistema ricerca e sviluppo di Fondazione Telethon	25
La ricerca scientifica e sviluppo di terapie	36
I modelli operativi per la distribuzione delle terapie	43
Accordi per lo sviluppo di terapie	44
Supporto ai pazienti	46
Collaborazioni strategiche	47
L'impatto di Fondazione Telethon	48

INDICE ANALITICO

Le iniziative di ricerca	26
Il percorso della ricerca	26
La valutazione della ricerca	27
Una molteplicità di interventi (mappa)	28
La ricerca scientifica extramurale	30
Bando Multiround	30
Bando Fondazione Telethon- Fondazione Cariplo	30
Finanziamento Seed Grant	31
Focus malattie neuromuscolari	32
Bando Clinico Fondazione Telethon con Uildm	32
Piattaforma per la distrofia muscolare di Duchenne	33
Program Proiet Neuromuscolare	34
I registri neuromuscolari	35
Fondazione Arisla ETS	35
La rete delle Biobanche Genetiche	35
I progetti di ricerca intramurale	36
L'Istituto Telethon di Genetica e Medicina	36
L'Istituto San Raffaele Telethon per la Terapia Genica	38
Le terapie geniche sviluppate e in sviluppo	40
Le terapie di Fondazione Telethon	42
Le partnership industriali	44
La creazione di Start-up	45
Come a casa	46
Servizio Info_rare	46
I Centri Clinici NeMO	46
La produzione scientifica	48
Gli investimenti non filantropici	48
La mappa dei pazienti trattati	49

3

Personale e volontari

Composizione e descrizione del personale	53
Sviluppo delle competenze	56
Gestione Qualità e Rischi	56
Gli Istituti	57
I volontari	58
Campagne di piazza e sensibilizzazione sul territorio	59

INDICE ANALITICO

<i>Collaboratori e dipendenti</i>	53
<i>Fondazione Telethon</i>	53
<i>Ripartizione per Direzioni</i>	54
<i>Turnover dipendenti</i>	55
<i>Retribuzione lorda</i>	55

4

Raccolta fondi e comunicazione

Raccolta fondi	65
Comunicazione e sensibilizzazione	70
Eventi	74

INDICE ANALITICO

Totale proventi da donazioni	65
I donatori regolari	66
I donatori occasionali	66
E-shop solidale	66
Direct mailing	66
5x1000	67
Grandi donatori	67
Lasciti testamentari	67
Campagna di piazza e eventi territoriali	68
Partner sul territorio	68
Aziende partner	69
Telethon Notizie	70
Social Media	70
Sito Fondazione Telethon	71
Ufficio Stampa	71
Campagne di comunicazione	72
Maratona Televisiva	74
Charity dinner	75
Maratona Twitch	75

Il valore economico

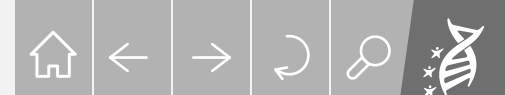
Il valore economico generato e distribuito	79
Costi e oneri da attività di interesse generale	80
INDICE ANALITICO	
<i>Totale proventi 2024</i>	<i>79</i>
<i>Totale oneri 2024</i>	<i>79</i>
<i>L'efficienza della raccolta</i>	<i>79</i>

6

Approfondimenti

Indice degli approfondimenti 82

Allegati



1

Chi siamo





1.1 Fondazione Telethon

LA PROMESSA DI UNA CURA PER CHI HA UNA MALATTIA GENETICA RARA

Una malattia genetica nasce da modifiche nel DNA che alterano i nostri geni. Quando è rara, resta spesso nell'ombra: ignorata dall'industria farmaceutica, sconosciuta al pubblico. Ma per Fondazione Telethon ogni vita conta, senza eccezioni.

Come Ente del Terzo Settore, promuoviamo e svolgiamo ricerca scientifica d'eccellenza per trovare una cura per le malattie genetiche rare. E quando una cura non è ancora possibile, ci impegniamo per dare a queste malattie almeno un nome.

Su questa nostra missione accendiamo i riflettori dei media, perché sempre più persone la facciano anche propria: con donazioni, tempo, attenzione e vicinanza. È nata così una grande impresa collettiva che spinge la ricerca, ne condivide i risultati e fa sentire le persone con una malattia genetica rara e le loro famiglie accompagnate e sostenute. Per non venir meno alla promessa di cura che ha fatto loro, nel 2023 Fondazione Telethon è diventata la prima charity al mondo a produrre e distribuire un farmaco che cura una malattia rara, l'immunodeficienza Ada-Scid.

1990: NASCE FONDAZIONE TELETHON

La missione è arrivare alla cura per le malattie genetiche rare attraverso la ricerca scientifica.

2023: FONDAZIONE TELETHON PRODUCE E DISTRIBUISCE STRIMVELIS

Abbandonato dall'industria farmaceutica perché economicamente non sostenibile, il farmaco tratta con efficacia l'immunodeficienza Ada-Scid.

I 5 OBIETTIVI DI FONDAZIONE TELETHON, DA SEMPRE

In un mondo che cambia, la Fondazione resta concentrata sulla sua missione, e la rafforza:

DARE PRIORITÀ ALLE MALATTIE CHE PER LA LORO RARITÀ SONO TRASCURATE DAI GRANDI INVESTIMENTI PUBBLICI E INDUSTRIALI

VALORIZZARE L'ECCELLENZA E IL MERITO NELLA RICERCA SCIENTIFICA

MOBILITARE I CITTADINI PERCHÉ SI SENTANO PARTE DELLA LOTTA CONTRO LE MALATTIE GENETICHE RARE

COMUNICARE CON TRASPARENZA AGLI STAKEHOLDER COME VENGONO UTILIZZATI I FONDI E CON QUALI RISULTATI

SVILUPPARE TERAPIE PER LE MALATTIE GENETICHE RARE

A GUIDARCI, 2 PRINCIPI CHIAVE

L'AUTONOMIA nel sistema di finanziamento separa chi sostiene e chi svolge la ricerca, senza condizionamenti, per dare ai pazienti risposte affidabili, basate su qualità, tempi certi e confronto internazionale.

La TRASPARENZA su obiettivi, valutazione del merito e destinazione degli investimenti rassicura gli stakeholder e garantisce solidità al percorso.

Missione

FAR AVANZARE LA RICERCA BIOMEDICA VERSO LA CURA DELLE MALATTIE GENETICHE RARE

Visione

TRASFORMARE I RISULTATI DELLA RICERCA IN TERAPIE ACCESSIBILI A TUTTI

Valori

ETICA

Migliorare la qualità di vita di chi beneficia e beneficerà della ricerca di Fondazione Telethon, nel rispetto di tutti gli stakeholder.

MERITO

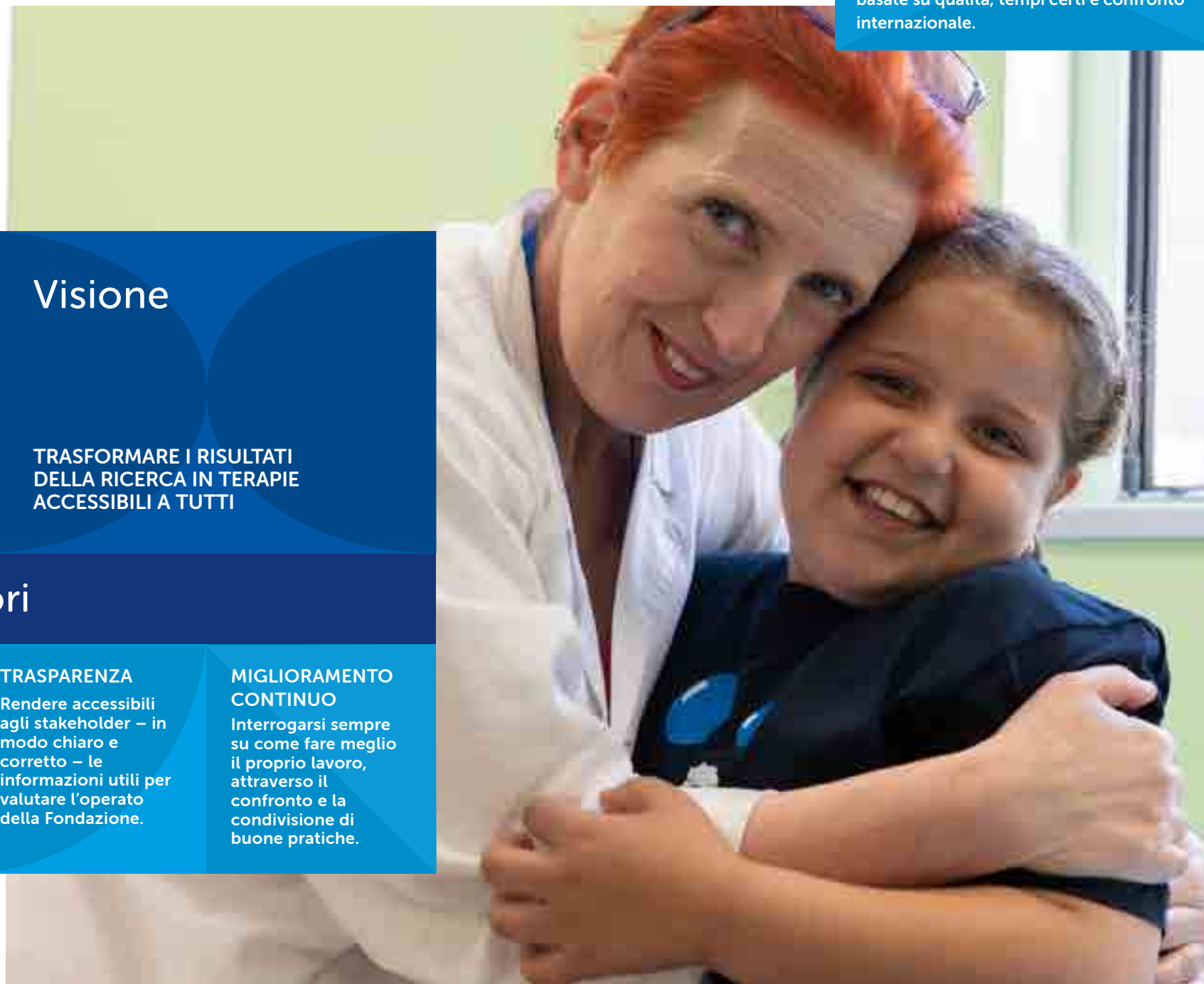
Promuovere e adottare modalità e criteri di scelta rigorosi e competitivi, per premiare e valorizzare talento e competenza.

TRASPARENZA

Rendere accessibili agli stakeholder – in modo chiaro e corretto – le informazioni utili per valutare l'operato della Fondazione.

MIGLIORAMENTO CONTINUO

Interrogarsi sempre su come fare meglio il proprio lavoro, attraverso il confronto e la condivisione di buone pratiche.



La storia di Fondazione Telethon

Ripercorri le tappe della nostra storia: gli Istituti di ricerca, le maratone, le cure, fino alle terapie geniche.



Il nostro Statuto

Lo Statuto definisce l'identità di Fondazione Telethon ETS: missione, governance e principi che guidano il nostro impegno.





1.2 Lo scenario

LE MALATTIE RARE: EMERGENZA SILENZIOSA

Le malattie rare conosciute sono tra le 6.000 e le 8.000 e colpiscono tra il 3,5% e il 5,9% della popolazione mondiale. Vuol dire che nel mondo circa 300-450 milioni di persone vivono con una malattia rara. Un numero impressionante, eppure ogni singola malattia colpisce così poche persone che queste praticamente non hanno voce. Invece, con le loro famiglie, hanno di fronte un cammino costellato di ostacoli: la difficoltà di ottenere una diagnosi rapida e ap-

propriata, la mancanza di cure risolutive nella maggior parte dei casi, la necessità di assistenza intensa e costante. Per questo Fondazione Telethon da 35 anni si dedica a loro, con la promessa di una cura e di una qualità della vita migliore.



Le schede delle malattie genetiche rare studiate dalla Fondazione.

IN LINEA CON L'AGENDA 2030

Fondazione Telethon persegue sostenibilità, accessibilità e inclusione dal 1990, gli stessi principi che oggi guidano l'Agenda 2030 dell'ONU per lo Sviluppo Sostenibile. Le nostre attività si misurano su tre dei suoi obiettivi:



IL MODELLO DI FONDAZIONE TELETHON

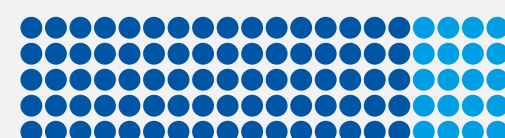
UNA MALATTIA È RARA QUANDO COLPISCE MENO DI
1 PERSONA SU 2.000

LE MALATTIE RARE STIMATE SONO TRA LE
6.000 E LE 8.000

LE PERSONE CON UNA MALATTIA RARA SONO CIRCA
300 MILIONI

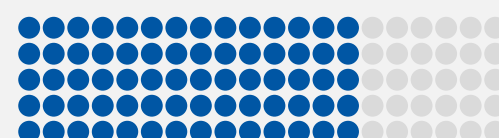
Anche se si tratta di patologie relativamente poco diffuse, nel loro insieme costituiscono un problema sanitario e sociale importante.

ORIGINE MALATTIE RARE



80% ORIGINE GENETICA
20% INTERAZIONE TRA VARI FATTORI INDIVIDUALI E AMBIENTALI

COMPARSA MALATTIE RARE



70% COLPISCE PAZIENTI IN ETÀ PEDIATRICA
30% COLPISCE PAZIENTI IN ETÀ ADULTA



50% DEI PAZIENTI OTTIENE UNA DIAGNOSI ENTRO 9 MESI DALLA COMPARSA DEI PRIMI SINTOMI



1 PAZIENTE SU 4 OTTIENE UNA DIAGNOSI DOPO OLTRE 5 ANNI DALLA COMPARSA DEI PRIMI SINTOMI



3 SALUTE E BENESSERE



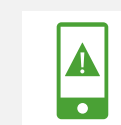
3.4 Ridurre di un terzo la mortalità prematura da malattie non trasmissibili



3.8 Conseguire una copertura sanitaria universale



3.B Sostenere la ricerca e lo sviluppo di vaccini e farmaci per le malattie trasmissibili e non trasmissibili



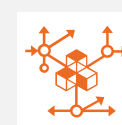
3.D Rafforzare la capacità di tutti i Paesi di segnalare in anticipo, ridurre e gestire i rischi legati alla salute



9 IMPRESE, INNOVAZIONE E INFRASTRUTTURE



9.1 Sviluppare infrastrutture di qualità, affidabili, sostenibili e resilienti



9.5 Aumentare la ricerca scientifica, migliorare le capacità tecnologiche, incoraggiare le innovazioni, incrementare il numero di impiegati e la spesa per la ricerca sia pubblica che privata.



17 PARTNER PER GLI OBIETTIVI



17.6 Rafforzare la cooperazione Nord-Sud, Sud-Sud, la cooperazione e l'accesso alle scoperte scientifiche



17.8 Rendere operativo il meccanismo per il rafforzamento della tecnologia e dell'innovazione



17.17 Incoraggiare e promuovere partnership efficaci

Dalla ricerca scientifica d'eccellenza nascono le cure per le malattie genetiche rare: dal laboratorio fino al letto del paziente (Obiettivo 3 Salute e Benessere).

Oltre la ricerca, servono infrastrutture e servizi dedicati. Ecco perché Fondazione Telethon investe nell'intera filiera: selezione dei progetti, gestione delle strutture, valorizzazione dei risultati.

Fondazione Telethon coordina un ecosistema collaborativo che unisce tutti i portatori d'interesse: le loro sinergie moltiplicano l'impatto della ricerca.

1.3 Con gli stakeholder, un dialogo continuo

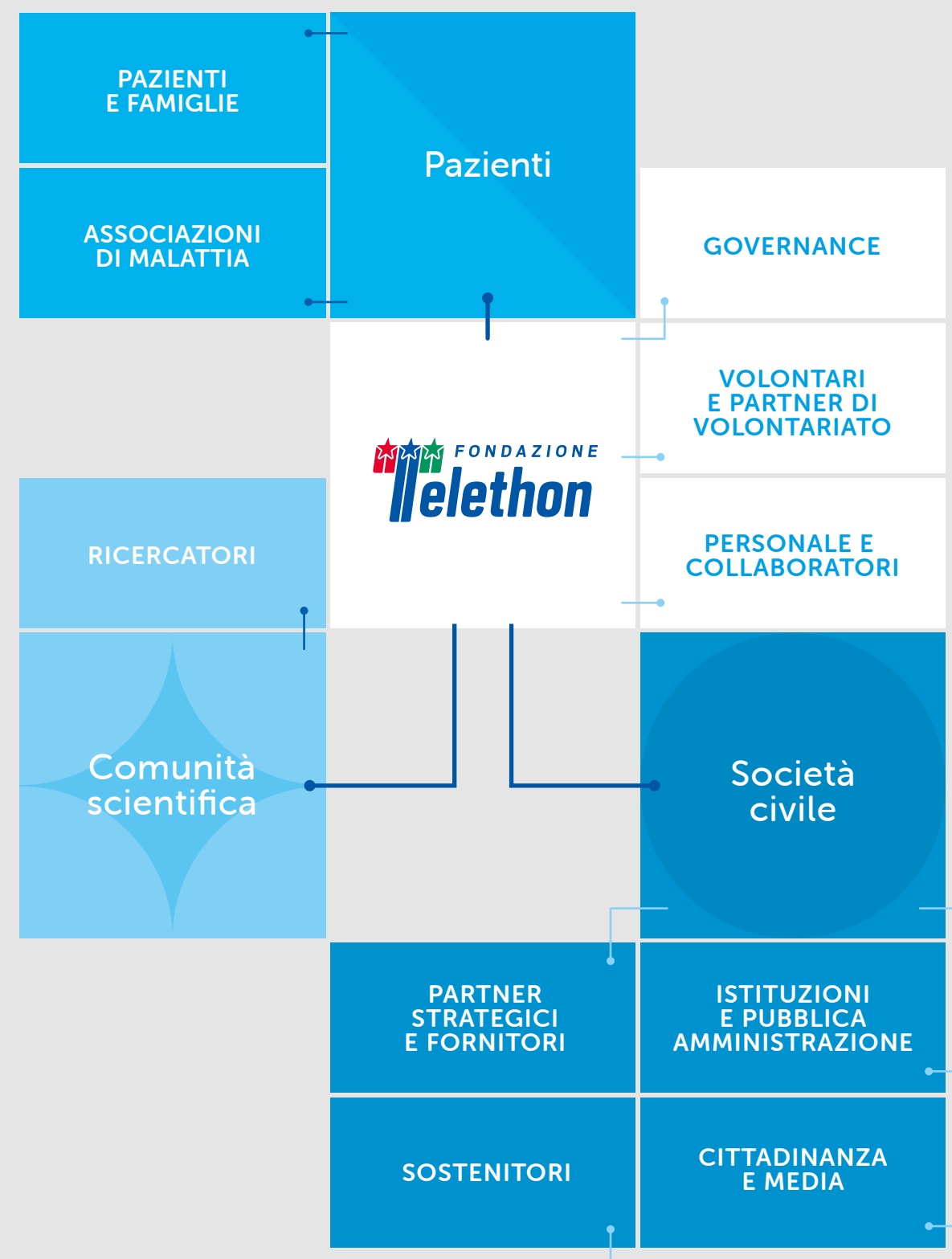
Gli stakeholder sono tutti i soggetti coinvolti nella vita di un'organizzazione: possono influenzarne l'andamento e, quando il loro supporto è essenziale per l'esistenza stessa del progetto, diventano portatori d'interesse chiave.

È la ricerca ad avvicinare alla cura: ogni contributo conta. Nei laboratori con la dedizione e il rigore di ricercatrici e ricercatori, sul territorio con l'impegno di migliaia di volontari, in tutta Italia con la generosità dei donatori.

E contano i partner scientifici e industriali che accelerano le terapie, gli enti che collaborano per rendere le cure accessibili, i media che raccontano i bisogni e la vita delle persone con malattie rare, perché cresca la consapevolezza di tutti.



Il sistema degli stakeholder





1.4 Il rapporto con ricercatori e pazienti



Finanziamo la ricerca per realizzare la nostra missione: arrivare a una cura per le malattie genetiche rare e migliorare la vita dei pazienti e delle loro famiglie.



"I pazienti sono la nostra origine e sono il nostro fine": questa frase di Susanna Agnelli guida ancora oggi l'operato di Fondazione Telethon. Nel nostro ecosistema, i pazienti definiscono gli ambiti d'azione, vigilano sul nostro lavoro, attendono risultati concreti e legittimano la nostra esistenza. Il principio fondamentale è che ogni vita conta e ogni persona viene prima di qualsiasi etichetta, inclusa la sua malattia.

Le ricercatrici e i ricercatori che presentano progetti ai nostri bandi sono consapevoli del rigoroso processo di valutazione cui saranno sottoposti. Un panel di esperti internazionali esaminerà non solo l'eccellenza scientifica e la fattibilità delle proposte, ma anche il loro potenziale impatto traslazionale: quanto possano effettivamente avvicinare lo sviluppo di terapie per la specifica malattia genetica rara oggetto di studio.

170

RICERCATORI
TITOLARI DI
PROGETTI ATTIVI
SU TUTTO IL
TERRITORIO
ITALIANO

48

RICERCATORI HANNO
COORDINATO I
DIVERSI GRUPPI
DI RICERCA PRESSO
GLI ISTITUTI TIGEM
E SR-TIGET

Il team Relazioni con i pazienti e le Associazioni è la cerniera tra il mondo dei pazienti e le diverse anime della Fondazione. Tre i concetti chiave della collaborazione: empowerment, advocacy e awareness. Il team supporta 291 Associazioni per far progredire più velocemente la ricerca verso la cura delle malattie genetiche, promuovendo la formazione e la partecipazione attiva dei pazienti, aumentando l'attenzione e la sensibilizzazione della società sulle tematiche relative alle malattie genetiche rare e favorendo il contatto e lo scambio tra persone che condividono situazioni simili.



PER SAPERNE DI PIÙ

È soprattutto questa consapevolezza a motivare ricercatori e ricercatrici. Nel tempo ha contribuito a formare una comunità scientifica coesa, con un forte senso di appartenenza e una profonda condivisione della missione della Fondazione.

/ DAL 1991:

661

MALATTIE
STUDIATE

255

ENTI DI
RICERCA

3.118

PROGETTI
FINANZIATI
TOTALI, DI CUI:

1.916

RICERCATORI
FINANZIATI,
DI CUI:

239

BANDI
PUBBLICATI

741

MILIONI
DI EURO
INVESTITI

LA CONVENTION SCIENTIFICA

Agli incontri biennali della Convention scientifica partecipano circa 500 ricercatori e oltre 200 rappresentanti di associazioni di pazienti, che così consolidano il legame speciale che li unisce tra loro e alla Fondazione.



EMPOWERMENT

Progetti Seed Grant (vedi pag. 31)
Progetti di formazione sul mondo della ricerca e del fundraising
Consulenza scientifica e organizzativa

ADVOCACY

Incontri coi ricercatori finanziati dalla Fondazione
Ottimizzazione accesso alle cure
Rafforzamento della rete delle Associazioni

AWARENESS

Racconti sui canali della Fondazione
Supporto nella raccolta fondi
Progetti educativi per le scuole





1.5 Struttura, governo e amministrazione

Nel 2022 Fondazione Telethon è diventata Ente del Terzo Settore, iscritta al Registro Unico Nazionale (RUNTS). Lo Statuto regola il funzionamento della Fondazione e i suoi organi. Nel 2023 è stato aggiornato per estendere le attività anche alla produzione e distribuzione delle terapie.

IL CONSIGLIO DI AMMINISTRAZIONE

Il CdA gestisce l'amministrazione ordinaria e straordinaria, ha tra i 7 e i 15 membri e dura 3 anni. La carica è gratuita, salvo i compensi per singoli Consiglieri a fronte di specifici incarichi decisi dal CdA stesso. La Direttrice Generale guida la Fondazione secondo le linee indicate dal CdA.

PRESIDENTE E VICEPRESIDENTE

Il Presidente rappresenta legalmente la Fondazione, la supervisiona e attua le delibere. Dura in carica 3 anni ed è eletto dal CdA a maggioranza qualificata. Il Vicepresidente lo sostituisce se necessario.

LA COMMISSIONE MEDICO-SCIENTIFICA

Composta da esperti biomedici italiani e internazionali, valuta i progetti di ricerca. Le sue valutazioni sono vincolanti per definire la graduatoria di merito e quindi assegnare i fondi.

L'ORGANO DI CONTROLLO

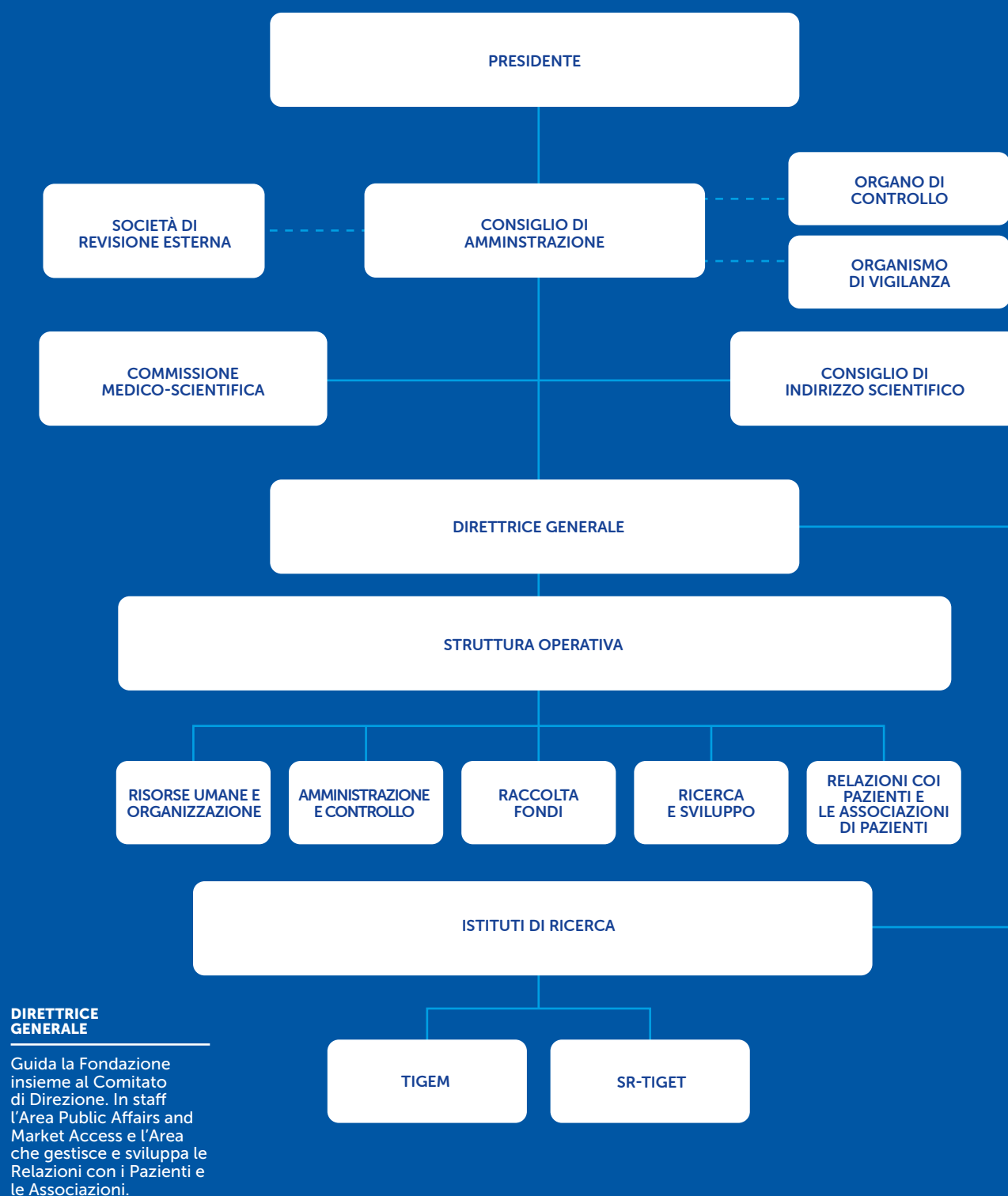
Vigila sulla gestione, le finalità sociali e la struttura organizzativa. Verifica la conformità del bilancio sociale e il funzionamento del sistema amministrativo-contabile.

IL CONSIGLIO DI INDIRIZZO SCIENTIFICO

Composto da esperti ha il compito di supportare le scelte di indirizzo e di gestione del Consiglio di Amministrazione nell'ambito della ricerca biomedica.

L'ORGANISMO DI VIGILANZA

Supervisiona e suggerisce aggiornamenti al Modello Organizzativo e al Codice Etico. Riferisce alla Direzione e, almeno una volta all'anno, all'Organo di Controllo e al CdA con la sua Relazione.



RISORSE UMANE E ORGANIZZAZIONE

Gestisce lo sviluppo professionale, la qualità dell'ambiente di lavoro e del benessere interno. Comprende 3 aree: Sistemi Informativi, Affari Legali e Welfare, Sistemi organizzativi e Qualità.

AMMINISTRAZIONE E CONTROLLO

Gestisce la struttura operativa e della ricerca, verifica l'allocazione dei costi, gestisce gli investimenti. Dal 2024 riporta a questa Direzione anche l'Area Acquisti e Supply Chain.

RACCOLTA FONDI

Sviluppa le relazioni con i sostenitori (individui, aziende, istituzioni), gestisce eventi come la Maratona Rai e il volontariato territoriale, comunica i risultati della ricerca sui canali analogici e digitali.

RICERCA E SVILUPPO

Definisce i piani strategici insieme a un Advisory board. Comprende 4 aree: Ricerca, Sviluppo Tecnologico, Translational Project Management e Regulatory Affairs, Sviluppo Clinico.

RELAZIONI CON LE ASSOCIAZIONI

È l'area che gestisce e sviluppa le relazioni con la comunità dei pazienti. Crea momenti di condivisione, di ascolto e di formazione, oltre a informare e rispondere alle richieste attraverso lo sportello Info_Rare.



2

Attività istituzionali





Indirizziamo e sviluppiamo la ricerca per rispondere al bisogno dei pazienti. Ciò ha prodotto una filiera di terapie in continuo avanzamento presso gli Istituti: dalle strategie di cura agli studi clinici, alle terapie già disponibili come farmaci. In più, tramite il sostegno alla ricerca extramurale, finanziamo le migliori opportunità provenienti dalla comunità scientifica italiana. Nel 2024 questo impegno ha generato iniziative dal grande potenziale innovativo come il Program Project sulle malattie neuromuscolari presso l'Istituto Veneto di Medicina Molecolare e la piattaforma dedicata alla distrofia muscolare di Duchenne.

Celeste Scotti, Direttore Ricerca e Sviluppo

2.1 Il sistema ricerca e sviluppo di Fondazione Telethon

Obiettivo di Fondazione Telethon è far avanzare la ricerca biomedica verso la cura delle malattie genetiche rare, trasformando i risultati della ricerca in terapie accessibili per tutti, nonché in programmi per la diagnosi e il supporto alla qualità di vita dei pazienti.

PER RAGGIUNGERE QUESTO OBIETTIVO, LA FONDAZIONE:

Assicura i fondi necessari per il lavoro dei ricercatori, applicando processi trasparenti per la selezione dei progetti più meritevoli

Investe in tecnologie e competenze in grado di sostenere e accelerare lo sviluppo verso la cura

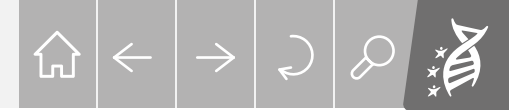
Coordina progetti di sperimentazione clinica, anche in collaborazione con altri enti

Avvia start-up o alleanze con aziende interessate a completare lo sviluppo di farmaci e terapie a partire dai risultati della ricerca condotta negli Istituti della Fondazione

Gestisce in autonomia produzione e distribuzione delle terapie nei casi in cui gli operatori del farmaceutico non ne garantiscano la disponibilità ai pazienti

Partecipa a reti collaborative di eccellenza per rendere disponibili e accessibili conoscenze, strumenti e risultati





Le iniziative di ricerca

FONDAZIONE TELETHON:

Realizza programmi di ricerca **INTRAMURALE** attraverso i suoi Istituti Tigem (Istituto Telethon di Genetica e Medicina) e SR-Tiget (Istituto San Raffaele Telethon per la Terapia Genica)

Sostiene gruppi di ricerca **EXTRAMURALE** che operano presso enti, università e istituti di ricerca in Italia, accedendo ai finanziamenti tramite bandi competitivi o investimenti ad hoc



La valutazione della ricerca

Per valutare i progetti migliori con rigore e trasparenza, la Fondazione si affida a un processo chiamato di *Peer Review*, basato su prassi internazionali che prevedono il coinvolgimento di esperti del settore esterni alla Fondazione.



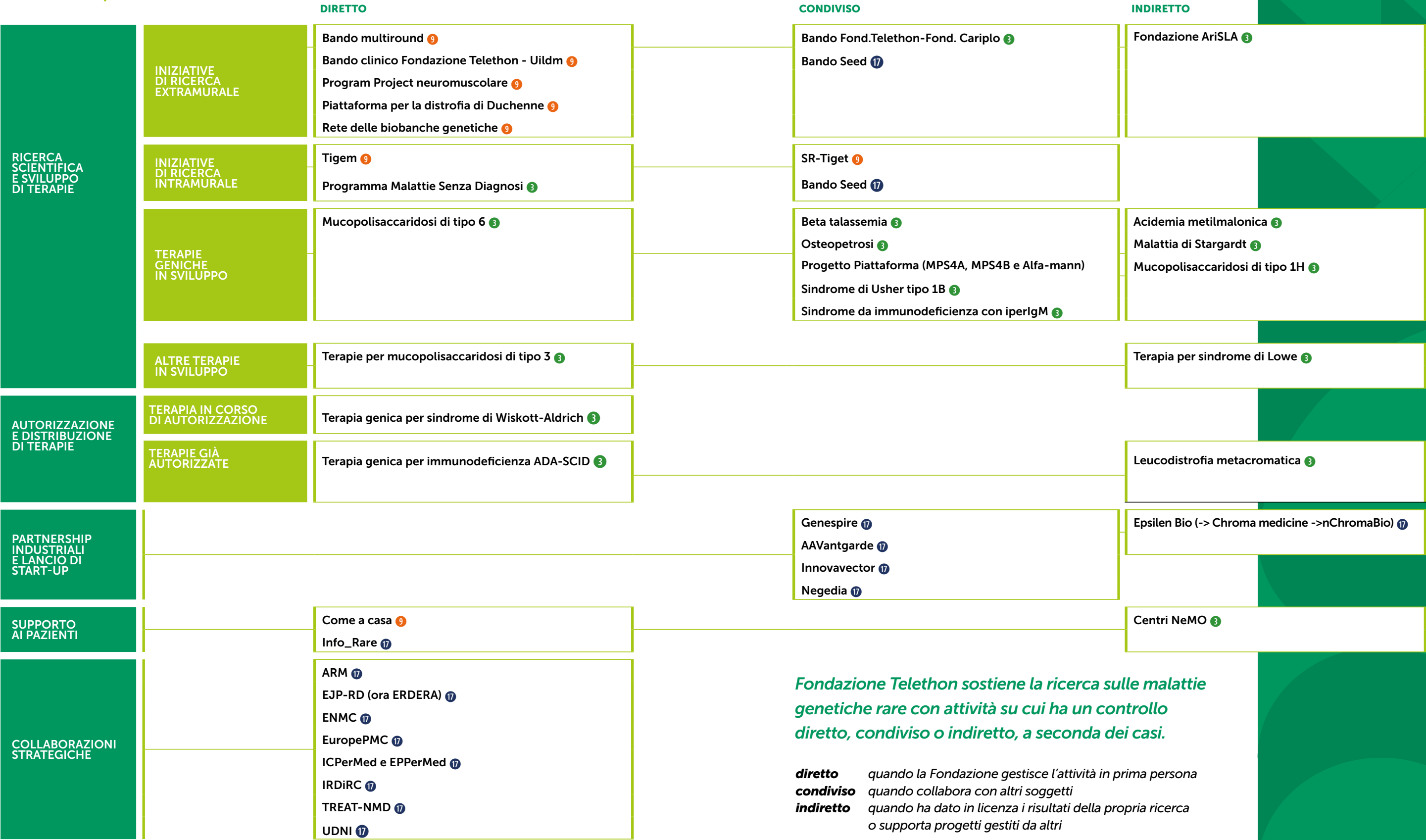
Il percorso della ricerca



Fondazione Telethon presidia l'intera filiera della ricerca, con l'obiettivo della cura lungo tutto il percorso.



Una molteplicità di interventi



Fondazione Telethon sostiene la ricerca sulle malattie genetiche rare con attività su cui ha un controllo diretto, condiviso o indiretto, a seconda dei casi.

- diretto** quando la Fondazione gestisce l'attività in prima persona
- condiviso** quando collabora con altri soggetti
- indiretto** quando ha dato in licenza i risultati della propria ricerca o supporta progetti gestiti da altri



3, 9, 17 sono gli obiettivi di sviluppo sostenibile dell'Agenda ONU 2030 cui le attività istituzionali contribuiscono



La ricerca scientifica extramurale

BANDI COMPETITIVI

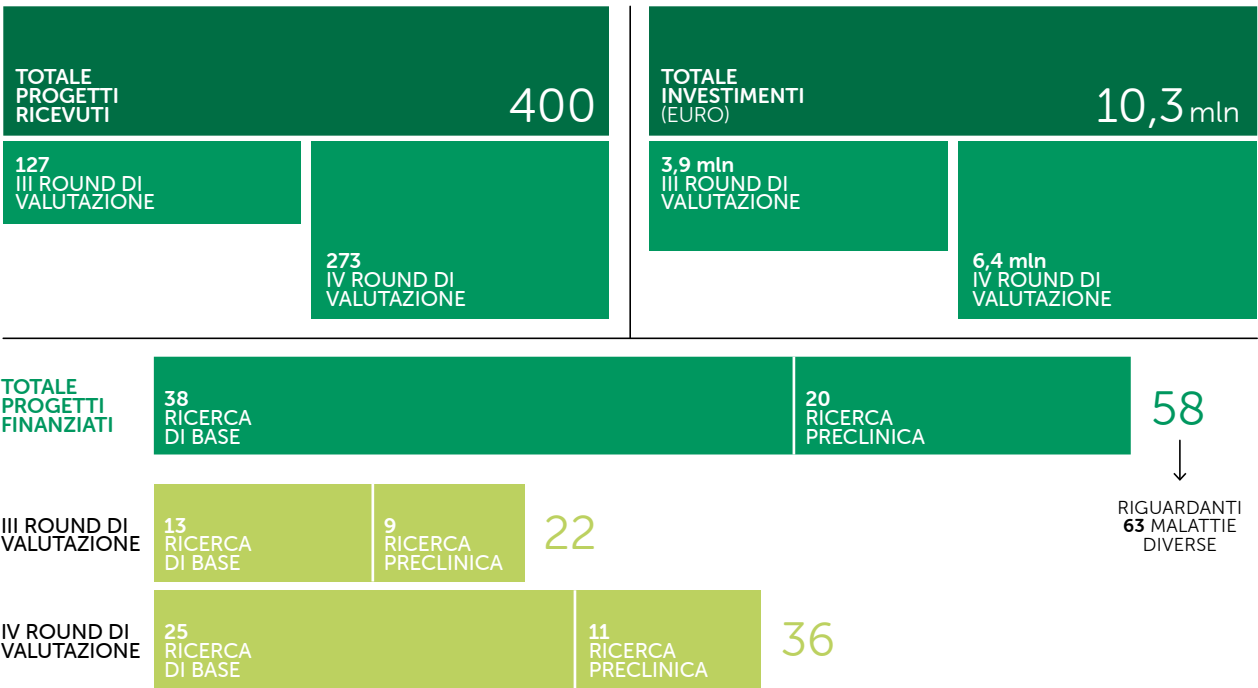
NATURA FINANZIARIA DEL PROGETTO

D Diretto **C** Condiviso **I** Indiretto

BANDO MULTIROUND **D**

La prima edizione del bando multiround, aperta nel 2021 e chiusa a fine 2024, ha finanziato progetti di ricerca scientifica su malattie genetiche rare presentati in quattro round di valutazione suddivisi in tre anni. Per ogni round, il bando era suddiviso in due percorsi: ricerca di base e ricerca preclinica. Nel 2024 ci sono stati 2 round di valutazione (III e IV). A fine 2024 è stato predisposto il nuovo ciclo di Bando Multiround 2025-2027.

/ ROUND 2024



BANDO CONGIUNTO FONDAZIONE TELETHON-FONDAZIONE CARIPLO **C**

Il primo ciclo del Bando congiunto con Fondazione Cariplo (2021-2024) ha previsto tre bandi a emissione annuale con l'obiettivo di promuovere la ricerca di base nel campo delle malattie rare, di origine genetica e non, con focus su geni e famiglie geniche, proteine e molecole di RNA, la cui funzione è ancora sconosciuta. A fine 2024 è stato rinnovato l'accordo con Fondazione Cariplo per un nuovo ciclo di bandi congiunti per il periodo 2025-2027.

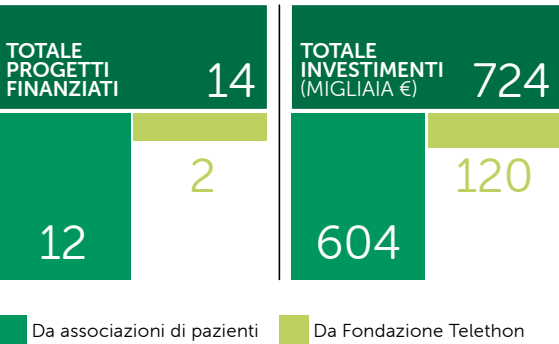
/ NEL 2024:



INIZIATIVA DI FINANZIAMENTO SEED GRANT **C**

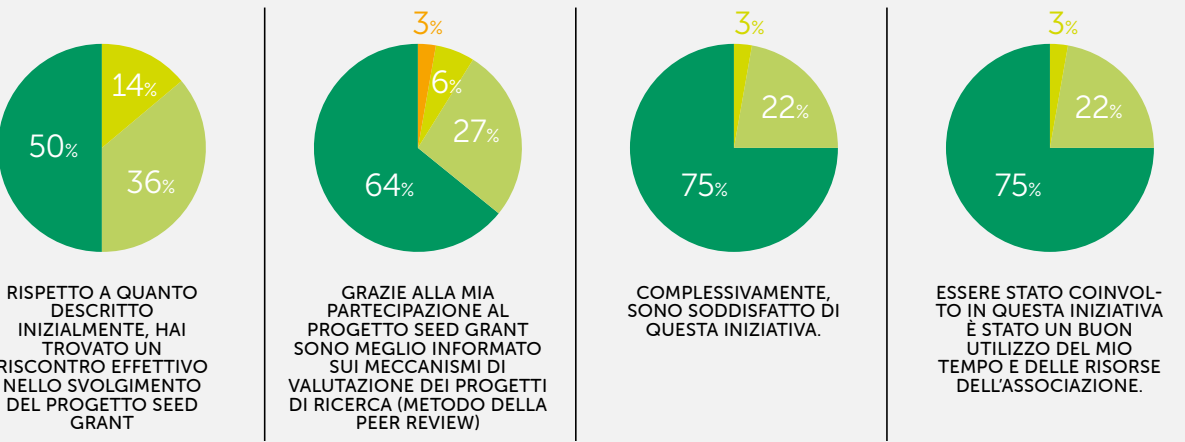
L'iniziativa fornisce alle associazioni di pazienti strumenti per aiutarle a orientare le loro decisioni di finanziamento di progetti di ricerca sulle patologie di loro interesse. La Fondazione mette a disposizione risorse e competenze per gestire i processi di valutazione, selezione e monitoraggio dei progetti, che vengono finanziati con i fondi delle associazioni o in maniera congiunta con la Fondazione stessa. I progetti possono essere presentati sia da ricercatori extramurali sia da ricercatori degli Istituti.

/ NEL 2024



IL BANDO SEED GRANT: IL PUNTO DI VISTA DELLE ASSOCIAZIONI DI PAZIENTI

Nel 2024 è stato condotto un questionario di valutazione sull'iniziativa Seed Grant, utilizzando il PPEET, uno strumento validato di analisi del coinvolgimento dei pazienti. È stato erogato a 41 rappresentanti di associazioni che hanno partecipato al bando tra il 2022 e il 2024. Nel grafico, alcune risposte.



■ Fortemente in disaccordo ■ In disaccordo ■ Né in accordo né in disaccordo ■ D'accordo ■ Fortemente d'accordo



FOCUS MALATTIE NEUROMUSCOLARI

NATURA FINANZIARIA DEL PROGETTO

D Diretto **C** Condiviso **I** Indiretto



Le malattie neuromuscolari sono da sempre al cuore della missione di Fondazione Telethon, che se ne occupa attraverso iniziative di vario tipo.

BANDO CLINICO DI FONDAZIONE TELETHON CON UILDM **D**

Questa iniziativa ha l'obiettivo di supportare studi sul miglioramento della qualità della vita delle persone con malattie neuromuscolari. Focus principale dell'edizione 2024 è stata la ricerca clinica per lo sviluppo di protocolli multidisciplinari e azioni preventive a supporto del percorso di cura della persona adulta con una distrofia muscolare.

/ NEL 2024:

6

PROGETTI
DI RICERCA

1,53

MILIONI
DI EURO
FINANZIATI

55

RICERCATORI
CLINICI

32

ISTITUTI
DI RICERCA

13

REGIONI
ITALIANE

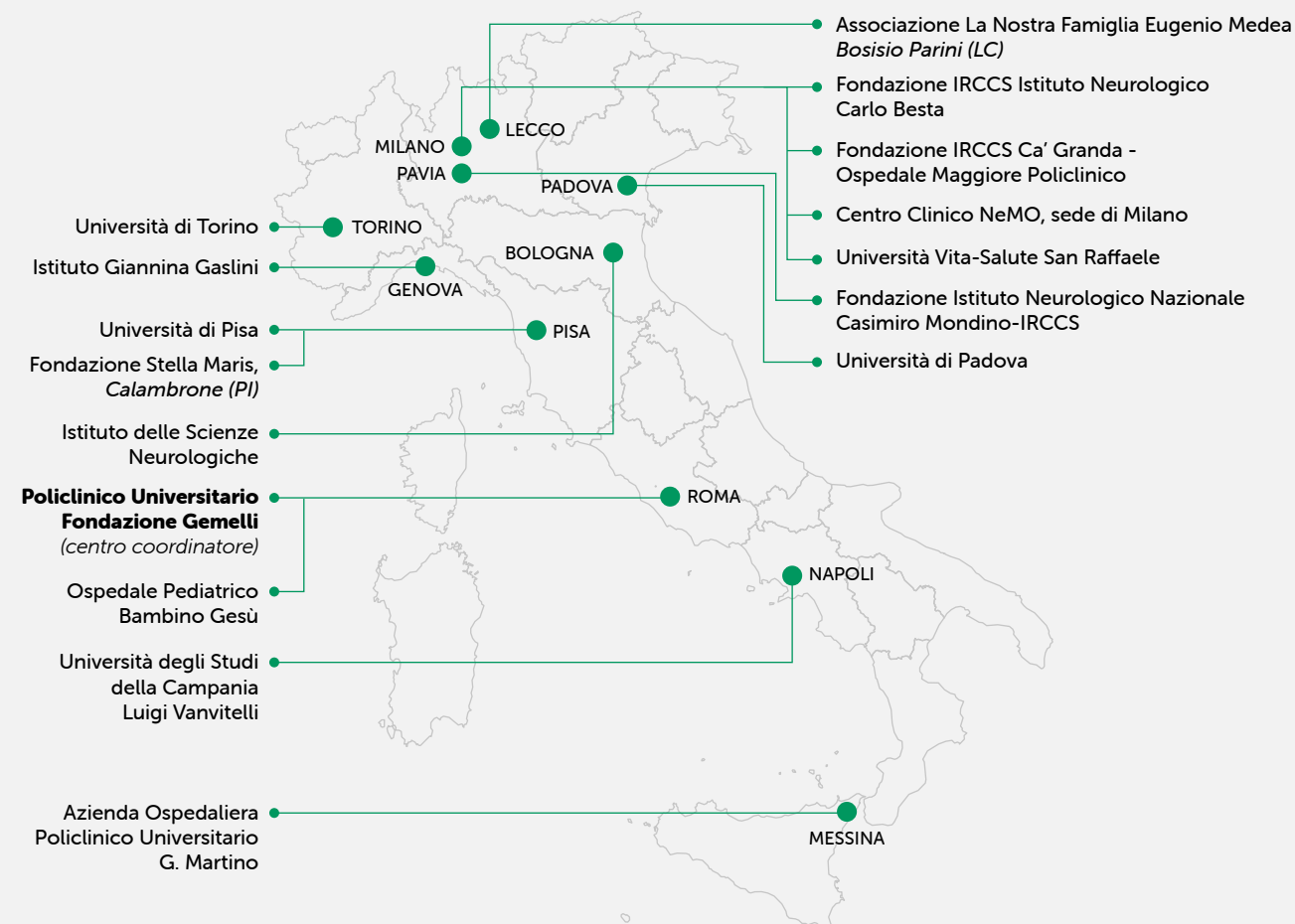
PIATTAFORMA PER LA DISTROFIA MUSCOLARE DI DUCHENNE **D**

Nel 2024 è stato approvato il finanziamento di un progetto speciale per lo sviluppo di una piattaforma informatica dedicata alla distrofia muscolare di Duchenne. Il progetto permetterà di organizzare in modo sistematico i dati di storia naturale raccolti in oltre 15 anni di studi clinici condotti dai centri della rete clinica neuromuscolare italiana tramite progetti finanziati con precedenti bandi di Fondazione Telethon e UILDM. La disponibilità dei dati clinici e genetici di centinaia di pazienti porrà le basi per studi futuri condotti secondo criteri e standard omogenei. Il progetto sarà realizzato grazie al supporto di alcune tra le più importanti aziende farmaceutiche ad oggi impegnate nello sviluppo di terapie per questa grave malattia neuromuscolare, per la quale, nonostante gli sforzi, non esiste ancora una cura risolutiva: Dyne Therapeutics Inc., Italfarmaco S.p.A., NS Pharma Inc., Roche S.p.A. (il cui contributo sarà esclusivamente dedicato allo sviluppo dell'infrastruttura informatica), Santhera Pharmaceuticals Ltd, Sarepta International Holdings GmbH, Solid Biosciences Inc.



I CENTRI COINVOLTI

Il coordinamento del progetto è affidato al Prof. Eugenio Mercuri, direttore dell'Unità operativa di Neuropsichiatria infantile del Policlinico Agostino Gemelli – Università Cattolica del Sacro Cuore di Roma.



**PROGRAM PROJECT NEUROMUSCOLARE** **D**

Nel 2024 Fondazione Telethon ha approvato un progetto speciale di ricerca preclinica per lo sviluppo di approcci terapeutici per malattie neuromuscolari ereditarie, che coinvolge ricercatori dell'Istituto Veneto di Medicina Molecolare (VIMM) di Padova, in maniera coordinata e sinergica (Program Project).

Il progetto punta a sviluppare un approccio che combini la correzione del gene mutato con l'utilizzo di molecole di RNA per promuovere la crescita muscolare, il metabolismo energetico e l'innervazione. È inoltre previsto lo sviluppo di tecnologie avanzate che contribuiranno a comprendere meglio i meccanismi alla base delle malattie studiate.

5 ANNI
DURATA PROGETTO**4**
RICERCATORI
COINVOLTI**MALATTIE TARGET**

- DISTROFIA MUSCOLARE DI DUCHENNE
- ATROFIA MUSCOLARE SPINALE BULBARE (MALATTIA DI KENNEDY)
- MIOPATIA MITOCONDRIALE (GENE POLG)

2,8 mln €**CONTRIBUTO ECONOMICO
DI FONDAZIONE TELETHON**

Il progetto trarrà vantaggio dalla sinergia con il finanziamento parallelo da parte della Cassa di Risparmio di Padova e Rovigo (Cariparo) di altri cinque gruppi di ricerca del VIMM, con fondi dedicati allo sviluppo di piattaforme di tecnologie all'avanguardia impiegate nel progetto, quali organoidi, biobanche di tessuti, analisi bioinformatica.

**I REGISTRI NEUROMUSCOLARI** **D**

Continua il coinvolgimento della Fondazione nell'Associazione del Registro dei pazienti con malattie neuromuscolari, con un supporto economico per il mantenimento della piattaforma informatica che raccoglie i database, nonché un supporto legale sugli aspetti relativi alla privacy.

FONDAZIONE ARISLA ETS **I**

Fondazione Telethon è tra i soci fondatori della Fondazione AriSLA, che dal 2008 sostiene la ricerca scientifica italiana sulla sclerosi laterale amiotrofica (SLA). Il contributo annuale della Fondazione Telethon è di 400 mila euro.

/ NEL 2024:**2** PROGETTI
MULTICENTRICI**3 ANNI**
DURATA PROGETTO**8** RICERCATORI
COINVOLTI**7** PROGETTI PILOTA
A SINGOLO CENTRO**1 ANNO**
DURATA PROGETTO**Supporto alla ricerca:
la rete delle biobanche genetiche**

Anche nel 2024 Fondazione Telethon ha confermato il sostegno a questa rete che oggi connette 11 biobanche italiane. Sono strutture che raccolgono e conservano oltre 130 mila campioni di tessuti, DNA e RNA di pazienti e li mettono a disposizione, insieme ai dati collegati, per supportare la ricerca o sviluppare nuovi strumenti diagnostici. Come organo finanziatore, Fondazione Telethon fornisce e mantiene la rete informatica e le risorse comuni della rete, di cui monitora attività e risultati.





2.2 Ricerca scientifica e sviluppo di terapie

I progetti di ricerca intramurale

L'Istituto Telethon di Genetica e Medicina (TIGEM)

Fondato nel 1994, il Tigem si occupa da sempre di genetica avanzata, dagli studi di base sui meccanismi delle malattie allo sviluppo di strategie di cura. Leader nello studio del funzionamento e del ruolo dei lisosomi nelle malattie genetiche, ha anche dato un contributo decisivo allo sviluppo delle prime terapie geniche per alcune forme di cecità ereditaria e svolge un ruolo importante nelle applicazioni diagnostiche di nuova generazione. Dal 1994 Fondazione Telethon ha investito nelle attività dell'Istituto un totale di 147 milioni di euro.

L'ATTIVITÀ NELL'AMBITO DELLO SVILUPPO CLINICO AVVIENE ATTRAVERSO:

Unità Telethon di Terapie Innovative per le Malattie Genetiche e Metaboliche dell'AOU Federico II di Napoli

Unità Telethon di Terapie Oculari Avanzate presso la Clinica oculistica dell'AOU Luigi Vanvitelli di Napoli

26 GRUPPI DI RICERCA

243 RICERCATORI

13 STRUTTURE PER SERVIZI DI RICERCA

108 PUBBLICAZIONI SCIENTIFICHE

L'attuale ciclo di finanziamento quinquennale con cui Fondazione Telethon sostiene l'Istituto (core grant) è stato attivato nel 2022, dopo la valutazione dei programmi di ricerca di Tigem da parte di una commissione di esperti internazionali. Nel 2024 Tigem ha impiegato 20,8 milioni di euro in ricerca.



LE LINEE STRATEGICHE

BIOLOGIA CELLULARE

REGOLAZIONE E FUNZIONE DEGLI ORGANELLI CELLULARI NEL METABOLISMO E NELLE MALATTIE

DINAMICHE E PATOLOGIE DELLE MEMBRANE CELLULARI

MECCANISMI MOLECOLARI DELLE MALATTIE RENALI EREDITARIE

MEDICINA GENOMICA

STRATEGIE COMPUTAZIONALI PER LA MEDICINA DI PRECISIONE

GENOMICA E SCIENZE-OMICHE APPLICATE ALLE MALATTIE EREDITARIE

MALATTIE GENETICHE SENZA DIAGNOSI

NUOVE STRATEGIE PER LO STUDIO E IL TRATTAMENTO DELLE MALATTIE EREDITARIE DELLA RETINA

TERAPIA MOLECOLARE

SVILUPPO DI SISTEMI VIRALI ADENO-ASSOCIATI (AAV) PER LA TERAPIA GENICA

TERAPIA GENICA PER LE MALATTIE EREDITARIE DELL'OCCHIO E METABOLICHE

SVILUPPO DI TERAPIE BASATE SULL'EDITING GENOMICO

TERAPIE INNOVATIVE BASATE SU NUOVE MOLECOLE E RIPOSIZIONAMENTO FARMACOLOGICO

PROGRAMMA TRASLAZIONALE

Per portare alla sperimentazione clinica le terapie sviluppate in laboratorio

LE MALATTIE STUDIE



Malattie ereditarie della retina



Disturbi ereditari del metabolismo del fegato



Malattie ereditarie del rene



Malattie genetiche dei trasportatori ionici



Malattie da accumulo lisosomiale



Malattie senza diagnosi

La formazione

Tigem considera una priorità la formazione della prossima generazione di scienziati dedicati alle malattie genetiche rare. È quindi sede di attività curriculari (corsi, seminari) e ospita nei suoi laboratori studenti per lo svolgimento di tesi di laurea e di dottorato. Nel 2024:

39 STUDENTI ISCRITTI A UN DOTTORATO DI RICERCA

16 STUDENTI FREQUENTANTI UN LABORATORIO PER UNA TESI DI LAUREA

9 STUDENTI HANNO CONSEGUITO IL TITOLO DI DOTTORATO

Programma Malattie senza diagnosi

Il Programma Malattie senza diagnosi di Fondazione Telethon mira a fornire una diagnosi a pazienti con malattie genetiche rare e sconosciute. Coordinato dal Tigem di Pozzuoli, utilizza tecnologie avanzate come il sequenziamento di nuova generazione per analizzare campioni di DNA e RNA. Coinvolge una rete di 20 ospedali pediatrici distribuiti su tutto il territorio nazionale.

93 CASI ANALIZZATI NEL 2024

27 CASI DIAGNOSTICATI NEL 2024

6 PUBBLICAZIONI SCIENTIFICHE NEL 2024





L'Istituto San Raffaele Telethon per la Terapia Genica (SR-TIGET)

Istituito nel 1996 grazie a un'alleanza tra l'Ospedale San Raffaele e Fondazione Telethon, è centro di riferimento internazionale per la ricerca e lo sviluppo di terapie avanzate come la terapia genica e cellulare ed editing genetico. Pur concentrandosi su malattie genetiche rare, ha anche avviato una linea di ricerca dedicata al cancro.

Si avvale di un'unità di ricerca clinica, all'interno di OSR, che è il centro di riferimento per le terapie geniche sviluppate nell'Istituto, come quelle per l'immunodeficienza ADA-SCID e per la leucodistrofia metacromatica, già approvate come farmaci. Inoltre, utilizza tecnologie all'avanguardia per la ricerca traslazionale, facilitando il passaggio dalla scoperta scientifica ai pazienti. Dal 1996 Fondazione Telethon ha investito nelle attività dell'Istituto un totale di 161 milioni di euro.

Nel 2024, SR-Tiget ha impiegato 19,7 milioni di euro in ricerca.

22

GRUPPI DI RICERCA

244

RICERCATORI

70

PUBBLICAZIONI SCIENTIFICHE



LE MALATTIE STUDIATE



Malattie da accumulo lisosomiale



Disturbi ereditari del metabolismo del fegato



Immunodeficienze



Malattie scheletriche rare



Malattie genetiche del sangue

Dal laboratorio ai pazienti

Per facilitare la traduzione dei risultati della ricerca in terapie, l'Istituto si è dotato di servizi specifici:

RICERCA TRASLAZIONALE

LABORATORIO PER LO SVILUPPO DI PROCESSI (PDL): per validazione, ottimizzazione e scalabilità dei protocolli di produzione cellulare

CENTRO DI SAGGIO GLP (Buone pratiche di laboratorio): per studi di biodistribuzione e tossicologia dei prodotti di terapia genica e cellulare

CENTRO PER LO STUDIO DELL'INTEGRAZIONE DEI VETTORI

CENTRO PER IL MONITORAGGIO IMMUNOLOGICO DELLE TERAPIE GENICHE E CELLULARI

RICERCA CLINICA

UNITÀ DI RICERCA CLINICA per la conduzione di studi clinici su prodotti medicinali di terapia avanzata secondo le buone pratiche cliniche

UFFICIO STUDI CLINICI per la gestione degli studi clinici durante ogni fase dello sviluppo e il contatto con comitati etici e autorità regolatorie

LABORATORIO CLINICO per l'esecuzione di test sperimentali non di routine relativi agli obiettivi degli studi clinici e la conservazione dei campioni

LE LINEE STRATEGICHE

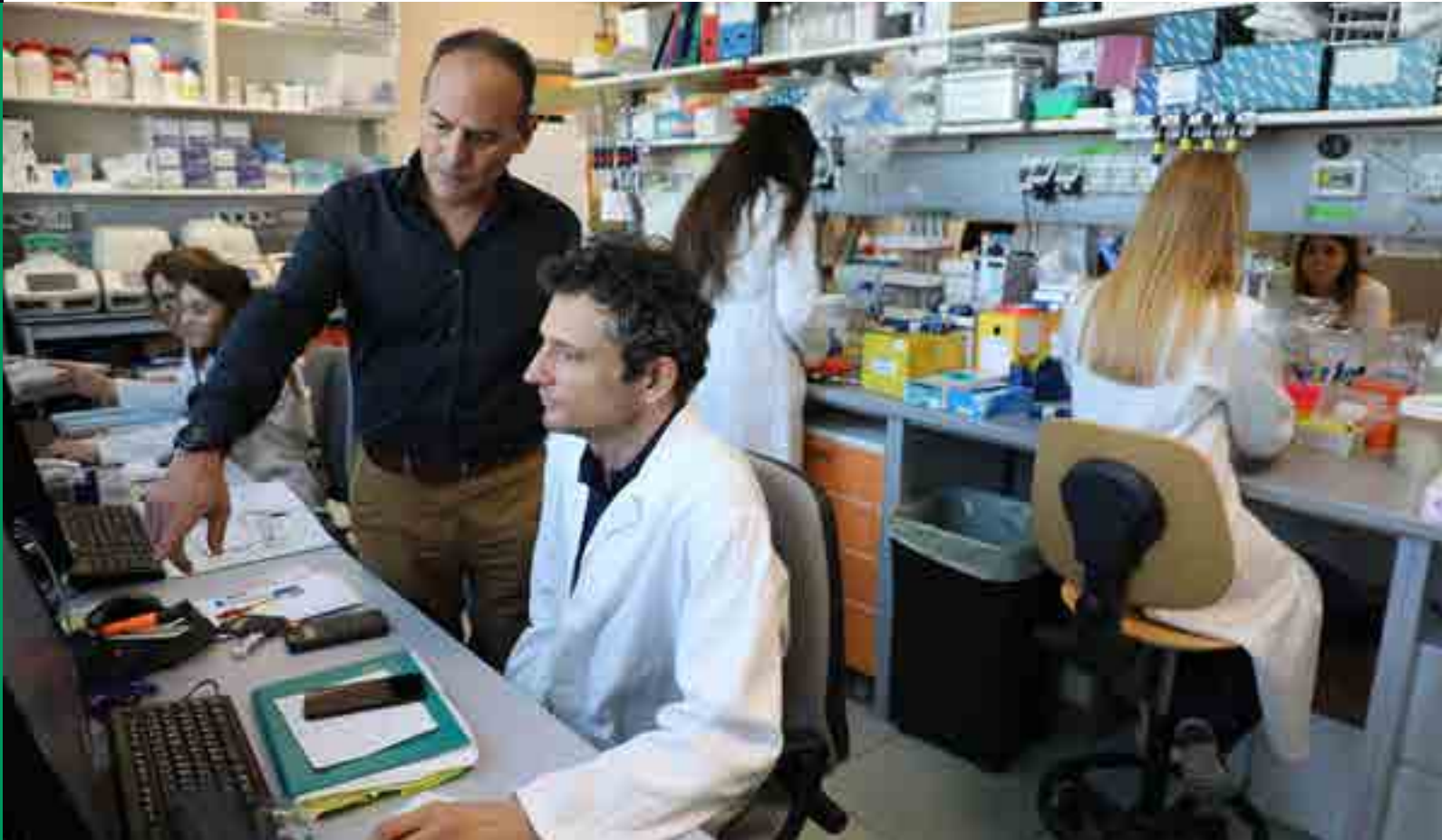
TERAPIA GENICA EX VIVO DI CELLULE STAMINALI EMATOPOIETICHE PER MALATTIE GENETICHE RARE

TERAPIA GENICA IN VIVO CON VETTORI LENTIVIRALI

EDITING GENETICO ED EPIGENETICO

STRATEGIE DI TERAPIA GENICA E CELLULARE PER LA MODULAZIONE DELLA RISPOSTA IMMUNITARIA

STRATEGIE DI TERAPIA GENICA PER L'IMMUNOTERAPIA DEL CANCRO



Le terapie geniche sviluppate e in sviluppo

NATURA FINANZIARIA DEL PROGETTO

D Diretto **C** Condiviso **I** Indiretto

TERAPIA GENICA PER LEUCODISTROFIA METACROMATICA I		
Leucodistrofia metacromatica Malattia neurodegenerativa Approvato dato in licenza	Nata dalla ricerca di SR-Tiget la terapia genica per questa malattia, basata su un vettore lentivirale (derivato da HIV), è stata data in licenza a Orchard Therapeutics LTD. Disponibile in Europa con il nome di Libmeldy e dal 2024 negli Stati Uniti come Lenmeldy, è indicata per le forme giovanili precoci, ma si sta sperimentando l'impiego anche per forme tardo-infantili. Fondazione Telethon è impegnata nello sviluppo di un test per la diagnosi alla nascita della leucodistrofia metacromatica e per la sua inclusione nei piani di screening neonatale.	
SVILUPPO CLINICO PER MPS-IH I		
Mucopolisaccaridosi di tipo 1H Malattia da accumulo lisosomiale Dato in licenza Sperimentazione fase III	Messa a punto da SR-Tiget, la terapia genica per questa malattia dal 2020 è oggetto di una partnership tra Fondazione Telethon e Orchard Therapeutics per completarne lo sviluppo. Nell'ottobre 2024 è iniziato un nuovo studio clinico multicentrico internazionale di fase 3, in cui è coinvolto anche il centro clinico di SR-Tiget.	
SVILUPPO CLINICO PER BETA TALASSEMIA C		
Beta talassemia Malattia del sangue Sperimentazione fase II	Questa terapia, basata su un vettore lentivirale, è stata sviluppata da SR-Tiget e già impiegata in una sperimentazione clinica di fase I/II. A partire dai risultati ottenuti, l'Istituto ha ottimizzato il protocollo di terapia genica che sarà utilizzato nel 2025 in un nuovo studio clinico in collaborazione con l'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù.	2 mln € INVESTITI DA FONDAZIONE TELETHON NEL 2024
SVILUPPO CLINICO PER OSTEOPETROSI C		
Osteopetrosi Malattia del tessuto osseo In preparazione sperimentazione fase I/II	Terapia genica con vettore lentivirale sviluppata da SR-Tiget. Nel 2025 si chiederà l'avvio alle autorità regolatorie di uno studio clinico di fase I/II per valutare la terapia in neonati e pazienti pediatrici che non hanno un donatore idoneo per un trapianto di cellule staminali ematopoietiche.	2,4 mln € INVESTITI DA FONDAZIONE TELETHON NEL 2024
SVILUPPO CLINICO PER MPS VI D		
Mucopolisaccaridosi di tipo VI Malattia da accumulo lisosomiale In preparazione sperimentazione fase II	Sviluppata presso il Tigem, è stata oggetto di uno studio clinico condotto presso l'ospedale universitario Federico II di Napoli. È attualmente in progettazione un nuovo studio clinico per valutare efficacia e sicurezza di un ulteriore dosaggio di questa terapia.	2,3 mln € INVESTITI DA FONDAZIONE TELETHON NEL 2024

SVILUPPO CLINICO PER L'IMMUNODEFICIENZA CON IPER-IGM C		
Sindrome da immunodeficienza con iper-IgM In preparazione sperimentazione fase I/II	SR-Tiget ha sviluppato una terapia genica ex vivo basata sulla tecnologia di editing genomico CRISPR-Cas9. Sicurezza ed efficacia sono state dimostrate in fase preclinica su modelli animali ed è attualmente in progettazione uno studio clinico di fase I/II.	3 mln € INVESTITI DA FONDAZIONE TELETHON NEL 2024
SINDROME DI USHER DI TIPO 1B C		
Sindrome di Usher di tipo 1B Malattia della vista e dell'udito Sperimentazione fase I/II	Nel 2024 è avvenuto a Napoli il primo intervento al mondo di terapia genica per la sindrome di Usher di tipo 1B con una tecnologia innovativa messa a punto al Tigem che consente il trasferimento di geni di grandi dimensioni. Sponsor della sperimentazione clinica è l'azienda AAVantgarde Bio (di cui Fondazione Telethon è socia), che sta lavorando anche allo sviluppo clinico di una terapia genica per la malattia di Stargardt, messa a punto sempre al Tigem.	
ACIDEMIA METILMALONICA I		
Acidemia metilmalonica Malattia metabolica Data in licenza In preparazione sperimentazione fase I/II	Messa a punto da SR-Tiget l'approccio di terapia genica in vivo per questa malattia, basato su un vettore lentivirale diretto al fegato, è stata data in licenza all'azienda Genespire, che sta procedendo con lo sviluppo clinico.	
PROGETTO PIATTAFORMA D		
Mucopolisaccaridosi IVA Mucopolisaccaridosi IVB Alfa-mannosidosi Malattie da accumulo lisosomiale	Per ridurre tempi e risorse necessari allo sviluppo di nuove terapie geniche, dal 2020 la Fondazione lavora – a partire da una piattaforma tecnologica già validata da SR-Tiget – a una piattaforma regolatoria applicabile in parallelo a diverse malattie genetiche rare con caratteristiche comuni e affrontabili con lo stesso approccio. Il progetto riguarda in particolare la terapia genica di cellule staminali del sangue con vettori lentivirali per tre malattie da accumulo lisosomiale: mucopolisaccaridosi IVA; mucopolisaccaridosi IVB; alfa-mannosidosi.	1,9 mln € INVESTITI DA FONDAZIONE TELETHON NEL 2024

PROGETTO PIATTAFORMA: I PASSAGGI SVILUPPABILI IN PARALLELO PER DIVERSE MALATTIE



La terapie di Fondazione Telethon

In grafica le terapie della Fondazione:
già autorizzate (proprie o in licenza ad altri)
o in sviluppo, come sponsor autonomo
o in co-sponsorship con altri enti o aziende.



MALATTIA	Approccio tera- peutico	Sponsor	FASE				
			PRECLINICA	CLINICA		REGISTRAZIONE PRESSO AUTORITÀ REGOLATORIE	COMMERCIALIZ- ZAZIONE
				Studi I/II	Studi aggiuntivi		
Leucodistrofia metacromatica forme tardo-infantile e giovanile precoce	tg	OTL					
Leucodistrofia metacromatica giovanile tardiva	tg	OTL					
Mucopolisaccaridosi di tipo 1H	tg	OTL					
Sindrome di Lowe	m	CanFite					
Acidemia metilmalonica	tg	Genespire					
Malattia di Stargardt	tg	AAV					
Immunodeficienza ADA-SCID	tg	FT					
Sindrome di Wiskott-Aldrich	tg	FT					
Mucopolisaccaridosi di tipo 6	tg	FT					
Mucopolisaccaridosi di tipo 3	m (1)	FT					
Mucopolisaccaridosi di tipo 3	m (2)	FT					
Malattia di Pompe	tg	FT					
Beta-talassemia	tg	FT/OSR					
Sindrome di Usher di tipo 1B	tg	FT/AAV					
Insonnia familiare fatale	m	FT/ Negri					
Deficit del collagene VI	m	FT/ OPBG					
Osteopetrosi	tg	FT/OSR					
Immunodeficienza con iper-IgM	eg	FT/OSR					
Mucopolisaccaridosi di tipo 4A	tg	FT/OSR					
Mucopolisaccaridosi di tipo 4B	tg	FT/OSR					
Alfa-mannosidosi	tg	FT/OSR					

■ Messo a punto da FT e concessa in licenza ad altro owner ■ FT unico owner o sponsor ■ Co-sponsored FT e altri |
Colore pieno: fase completata; colore sfumato: fase in corso | **tg**: terapia genica - **eg**: editing genetico - **m**: molecola
| **OTL**: Orchard Therapeutics - **FT**: Fondazione Telethon - **AAV**: AAVantgarde Bio - **OSR**: Ospedale San Raffaele -
Negri: Istituto Mario Negri - **OPBG**: Ospedale Pediatrico Bambin Gesù

2.3 I modelli operativi per la distribuzione delle terapie

Quando è possibile, Fondazione Telethon ha cercato e cerca l'accordo con aziende farmaceutiche per lo sviluppo clinico e l'immissione in commercio delle terapie per malattie genetiche rare sviluppate grazie alla propria ricerca. È quanto accaduto nel caso della terapia genica per la leucodistrofia metacromatica, data in licenza a un'azienda farmaceutica. Non sempre, però, questo modello operativo è percorribile. Per questo, nel 2023 la Fondazione ha avviato un approccio alternativo di produzione e distribuzione delle proprie terapie, attualmente unico nel panorama internazionale. L'intento non è sostituire l'industria, ma piuttosto impegnarsi – in assenza di alternative – a mantenere disponibili le terapie sviluppate finora e a garantire che i nuovi trattamenti emersi dalla ricerca

raggiungano effettivamente chi ne ha bisogno. In particolare, la decisione è nata per garantire la disponibilità di Strimvelis, la terapia genica per l'immunodeficienza congenita ADA-SCID, dopo che Orchard Therapeutics, alla quale era stata concessa in licenza, aveva annunciato l'interruzione degli investimenti nelle deficienze immunitarie primarie rare come ADA-SCID e la sindrome di Wiskott-Aldrich (WAS). ADA-SCID e WAS sono malattie rare che colpiscono già nella prima infanzia e possono portare anche alla morte, se non trattate. La terapia genica rappresenta un'opzione fondamentale quando non è disponibile l'unico altro trattamento risolutivo, il trapianto di midollo, la cui fattibilità e sicurezza sono fortemente condizionate dalla disponibilità di un donatore compatibile.

STRIMVELIS: UN NUOVO MODELLO

L'immunodeficienza ADA-SCID è una delle prime malattie per cui la terapia genica ha dato buoni risultati. Nata e sviluppata in SR-Tiget, grazie a un'alleanza con GlaxoSmithKline nel 2016 ha ottenuto dall'Agenzia europea del farmaco (EMA) l'approvazione all'immissione in commercio, che è stata successivamente trasferita a Orchard Therapeutics. Da quel momento la terapia, con il nome di Strimvelis, è l'unico trattamento approvato disponibile in Europa per i pazienti con ADA-SCID che non possono accedere al trapianto di midollo. Nel 2023, la Commissione Europea ha approvato la richiesta di trasferimento della titolarità dell'autorizzazione all'immissione in commercio per Strimvelis a Fondazione Telethon.

Da quando, nel
luglio 2023,
la Fondazione
produce e
distribuisce
Strimvelis, sono
stati trattati 4
pazienti, 2 nel 2024.

TERAPIA GENICA PER LA SINDROME DI WISKOTT-ALDRICH

Anche lo sviluppo della terapia genica per la sindrome di Wiskott-Aldrich, messa a punto da SR-Tiget, è stata dismessa da Orchard Therapeutics. La Fondazione ha deciso di completarne in proprio il percorso registrativo e nel 2024 ha presentato la richiesta di produzione e distribuzione sia all'Agenzia europea del farmaco (EMA) sia all'ente regolatorio americano (FDA). Nel frattempo, la terapia è stata inserita dall'Agenzia italiana del farmaco (AIFA) nel programma di accesso precoce previsto dalla legge 648/96, per cui in attesa della registrazione i pazienti italiani possono comunque avervi accesso.

Nel 2024 hanno
ricevuto questa
terapia 3 pazienti,
tutti italiani.



2.5 Supporto ai pazienti

Come a casa

Dal 2016 il programma Come a Casa accompagna nel percorso di trattamento a Milano i bambini che ricevono una delle terapie geniche sviluppate da SR-Tiget e le loro famiglie.



Il team del Programma diventa un punto di riferimento per le famiglie quando queste sono ancora nel loro Paese, le accoglie quando arrivano a Milano e le supporta in tutti gli aspetti pratici ed emotivi del trattamento e della permanenza lontano da casa. Per la terapia, il bambino rimane a Milano per almeno 4-6 mesi, mentre nei 15 anni successivi sono previsti ricoveri di almeno una settimana, una o due volte all'anno.

337.000

EURO INVESTITI
NEL 2024

13

PAZIENTI ACCOLTI
NEL 2024, DI CUI:

120

PAZIENTI ACCOLTI
IN FOLLOW-UP DAL 2016

8 TRATTATI CON
TERAPIA GENICA
1 TRATTATO CON
TRAPIANTO
DI MIDOLLO
4 NON TRATTATI

Servizio Info_rare

Info_rare è un servizio online gratuito per chi ha bisogno di informazioni chiare e verificate sulle malattie genetiche. Due consulenti medici specializzati in Genetica Medica rispondono via email a richieste su:

→ CENTRI DIAGNOSTICI E DI
RIFERIMENTO PER PAZIENTI
CON MALATTIE RARE

→ ULTIME NOTIZIE SU STUDI
E SPERIMENTAZIONI CLINICHE
SU MALATTIE GENETICHE

→ RIFERIMENTI DELLE ASSOCIAZIONI
DEI PAZIENTI O DI GRUPPI
DI AGGREGAZIONE NEL MONDO
DELLE MALATTIE RARE

Se non esistono già associazioni o gruppi formali, il servizio facilita il contatto tra pazienti con la stessa patologia che esprimano questo desiderio.

/ NEL 2024

1.816
RICHIESTE

5,5

IL TEMPO MEDIO DI RISPOSTA ALLE
RICHIESTE IN GIORNI LAVORATIVI

I centri clinici NeMO

I Centri Clinici NeMO – otto in tutta Italia, nati anche grazie a Fondazione Telethon – sono strutture specializzate nella cura e assistenza di persone con malattie neuromuscolari e neurodegenerative, come sclerosi laterale amiotrofica, distrofia muscolare e atrofia muscolare spinale. Offrono un approccio personalizzato e multidisciplinare, integrando specialità cliniche differenti ma anche attività di ricerca. Le prestazioni sono fornite dal Servizio Sanitario Nazionale.

500.000 €

INVESTITI DA
FONDAZIONE TELETHON
NEI CENTRI NeMO
NEL 2024

2.6 Collaborazioni strategiche

In un ambito complesso come quello delle malattie rare, condividere la conoscenza è fondamentale. Fondazione Telethon è presente in network e consorzi europei e mondiali e partecipa a numerosi progetti e iniziative di collaborazione per la ricerca sulle malattie genetiche rare.



European Rare Diseases Research Alliance (ERDERA)

Prosecuzione dell'European Joint Programme for Rare Diseases (EJP-RD), riunisce oltre 180 organizzazioni europee con l'obiettivo di rendere l'Europa leader mondiale nelle malattie rare, migliorandone prevenzione, diagnosi e trattamento.

European NeuroMuscular Centre (ENMC)

Centro internazionale attivo dal 1992 per facilitare la comunicazione e la collaborazione nel campo della ricerca clinica neuromuscolare attraverso workshop e convegni. È un modello per le modalità di coinvolgimento delle organizzazioni di pazienti nella ricerca.

European Partnership for Personalised Medicine (EP PerMed)

Riunisce circa 60 partner di 25 paesi con l'obiettivo di migliorare la competitività dell'Europa nel campo della medicina personalizzata. È stata sviluppata nell'ambito dell'iniziativa globale International Consortium for Personalised Medicine (ICPerMed).

Alliance for Regenerative Medicine (ARM)

Organizzazione internazionale di advocacy che coinvolge aziende, istituti di ricerca, organizzazioni di pazienti e altri attori della medicina rigenerativa per promuovere politiche sanitarie anche internazionali e pratiche per le terapie avanzate.

International Rare Diseases Research Consortium (IRDiRC)

Iniziativa globale che promuove la collaborazione internazionale nella ricerca con l'obiettivo di garantire che tutte le persone con malattie rare ricevano diagnosi accurata, cure e terapie disponibili entro un anno dall'attenzione medica.

TREAT-NMD

Rete globale di esperti di malattie neuromuscolari che ha l'obiettivo di accelerare in tutto il mondo lo sviluppo di pratiche diagnostiche e trattamenti efficaci per queste malattie, anche attraverso la creazione di infrastrutture come biobanche, registri di pazienti e procedure operative standard.

Undiagnosed Diseases Network International (UDNI)

Partenariato internazionale che riunisce i programmi nati per dare risposte ai pazienti con malattie senza diagnosi e alle loro famiglie.

Europe Pubmed Central (Europe PMC)

Piattaforma che raccoglie e rende disponibili tutte le pubblicazioni mondiali sulle scienze della vita.

2.7 L'impatto di Fondazione Telethon

Produzione scientifica

Nel 2024 le pubblicazioni sono state 370 e includono articoli originali, review, Editorial Material e Letter to Editor. Nel 2024, le categorie più rappresentate secondo gli indicatori di ambito (Essential Science Indicator; ESI) sono state biologia molecolare e genetica e medicina clinica. Sono comunque ben rappresentati anche altri ambiti, a indicare l'eterogeneità degli studi finanziati dalla Fondazione per la ricerca di terapie per le malattie genetiche rare.

Anche nel 2024, l'attività scientifica della Fondazione si è distinta non solo per la qualità delle pubblicazioni prodotte, ma anche per la capacità di attrarre investimenti competitivi e, soprattutto, per il suo impatto diretto sulla vita dei pazienti. Tre indicatori che testimoniano il valore del nostro modello di ricerca traslazionale.

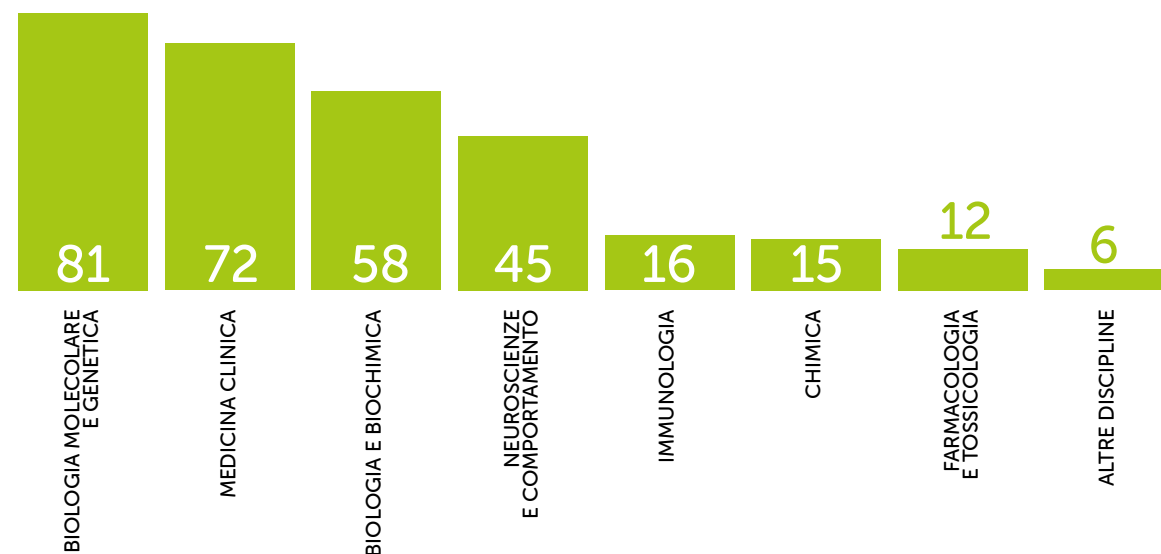


Trattamento di pazienti con malattie genetiche rare

Nel 2024 sono stati 8 i pazienti trattati con una delle terapie geniche messe a punto da Fondazione Telethon presso l'Unità clinica di SR-Tiget per le malattie ADA-SCID, leucodistrofia metacromatica, sindrome di Wiskott-Aldrich.

/ NUMERO DI PUBBLICAZIONI 2024 (ISTITUTI* PIÙ RICERCA EXTRA-MURALE)

*Numeri riferiti ad articoli scientifici con ricercatore SR-Tiget o Tigem come primo o ultimo nome.



Attrazione di investimenti non filantropici

Continua la capacità della Fondazione Telethon di attrarre significativi investimenti non filantropici, tra i quali finanziamenti ERC (European Research Council), quelli del PNRR o quelli provenienti da parte dell'industria, come nel caso della piattaforma per la distrofia muscolare di Duchenne (p. 33) e investimenti di venture capital. Tutto questo testimonia il riconoscimento dell'eccellenza scientifica della ricerca della Fondazione e rappresenta un importante "effetto leva", in grado di trasformare l'investimento filantropico iniziale in un potente catalizzatore.

/ FINANZIAMENTI ERC NEL 2024

STARTING GRANT

4,5 mln € per 5 anni

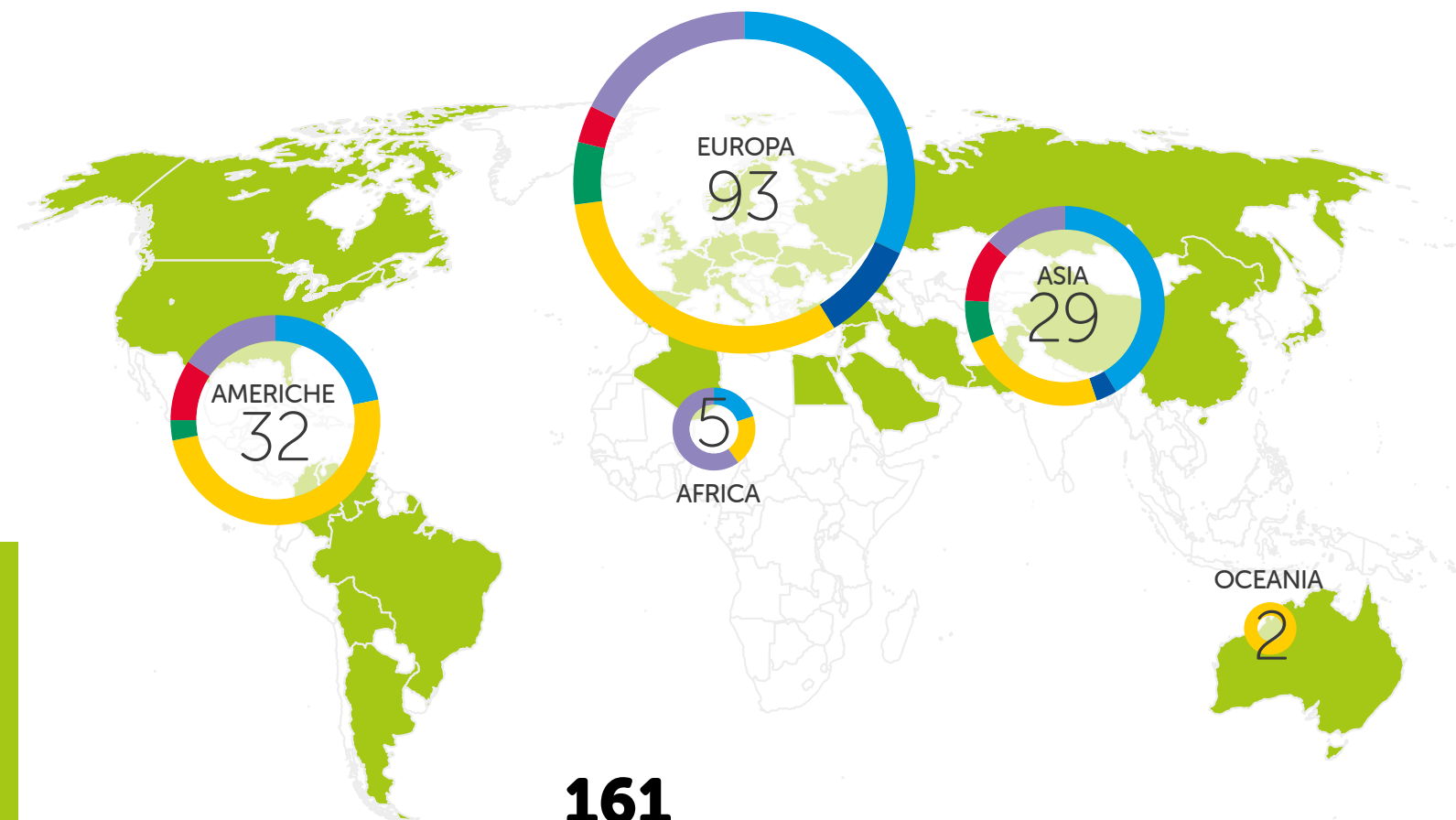
2 RICERCATORI SR-TIGET / 1 RICERCATORE TIGEM

CONSOLIDATOR GRANT

4 mln €

2 RICERCATORI SR-TIGET

/ DA DOVE VENGONO I PAZIENTI TRATTATI PRESSO LE UNITÀ CLINICHE CHE COLLABORANO CON SR-TIGET E TIGEM



161

PAZIENTI TRATTATI

- | | |
|-----------------------------------|-----------------------------------|
| ADA-SCID (49) | Mucopolisaccaridosi di tipo 1 (8) |
| Beta-talassemia (9) | Mucopolisaccaridosi di tipo 6 (9) |
| Leucodistrofia metacromatica (56) | Sindrome di Wiskott-Aldrich (30) |



3

Personale e volontari





Negli ultimi anni Fondazione Telethon è stata protagonista di un importante percorso evolutivo. Oggi siamo una realtà molto diversa da quella nata nel 1990, diventando negli anni un punto di riferimento per la ricerca scientifica nazionale e internazionale. Siamo la prima charity al mondo ad aver preso la responsabilità della produzione e della distribuzione di farmaci che altrimenti sarebbero ritirati dal mercato. Questa scelta ha determinato la necessità di avviare una profonda riflessione su quali siano le competenze necessarie per affrontare questa sfida, avviando un processo di selezione di figure professionali che possano renderci sempre più strutturati in un mercato complesso come quello dell'industria farmaceutica internazionale e costruendo percorsi di sviluppo individuale e di squadra finalizzati a garantire il miglior presidio tecnico e manageriale in tutte le funzioni organizzative. La Fondazione Telethon di oggi è un'organizzazione virtuosamente articolata, dotata di competenze di alto livello in ricerca e sviluppo e pronta ad affrontare le sfide di domani con la consueta e costante adesione ai valori originari e alla missione per la quale è stata costituita.

Daniele Eleodori - Direttore Risorse Umane e Organizzazione

3.1 Composizione e descrizione del personale

Il 31 dicembre 2024 Fondazione Telethon ha 155 dipendenti, 15 in più rispetto al 2023, con una nettissima prevalenza di donne. Solo 10 sono a tempo determinato. L'età media si mantiene di 44 anni: il 95% ha tra i 30 e i 50 anni. I collaboratori sono 13, in prevalenza donne, con un'età media di 51 anni.



/ ANDAMENTO PER GENERE E TIPOLOGIA CONTRATTUALE DEI DIPENDENTI E DEI COLLABORATORI DI FONDAZIONE TELETHON 2024 (PERSONE)

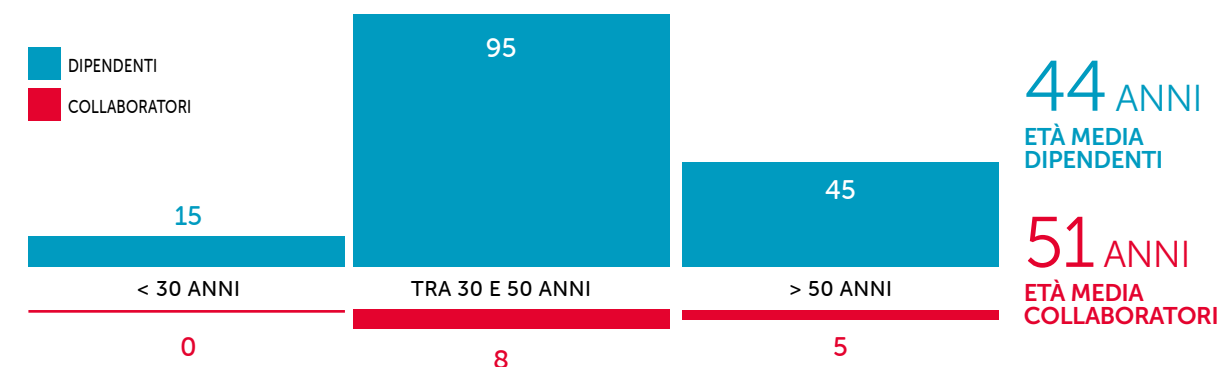
DIPENDENTI



COLLABORATORI



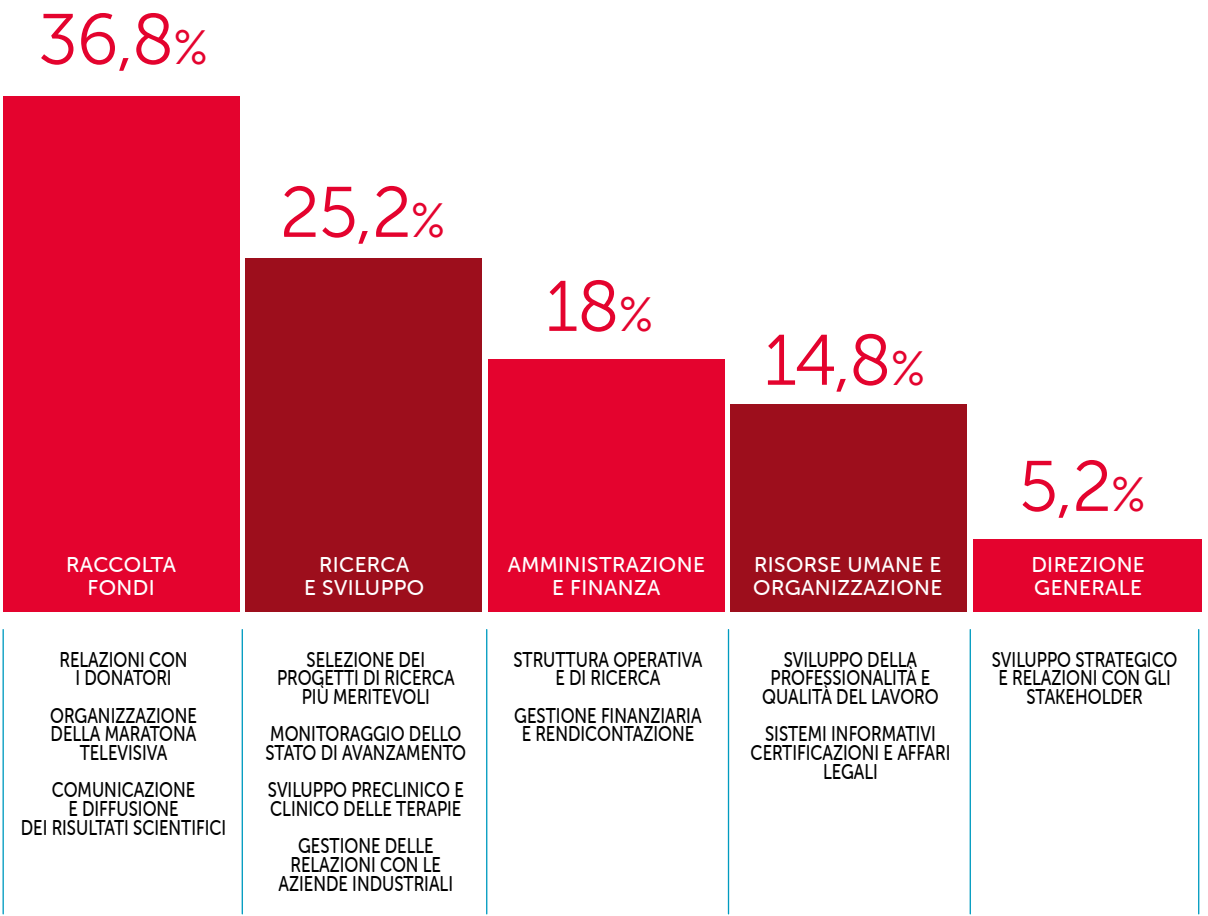
/ DIPENDENTI E COLLABORATORI PER ETÀ 2024 (PERSONE)



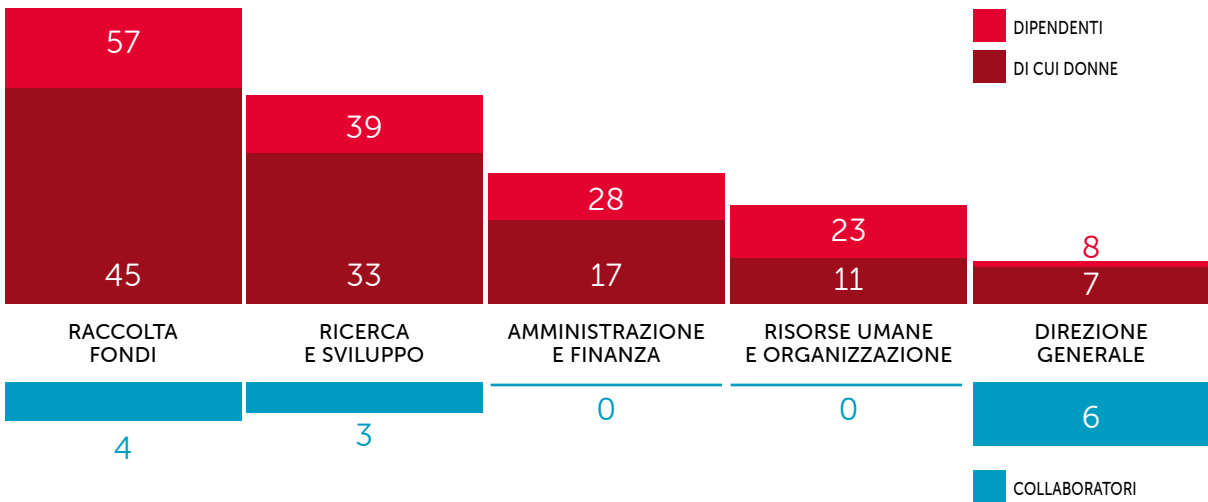


Tra dipendenti e collaboratori, nel 2024 hanno lavorato in Ricerca e Sviluppo 42 persone, rispetto alle 33 dell'anno precedente. Aver preso in carico la produzione e distribuzione del farmaco per la cura dell'immunodeficienza Ada-Scid ha richiesto infatti di rafforzare quest'area (guidata da un nuovo direttore in carica da fine 2023) con nuove assunzioni di personale altamente specializzato.

/ RIPARTIZIONE DIPENDENTI PER DIREZIONI 2024



/ RIPARTIZIONE DIPENDENTI E COLLABORATORI PER AREA IN FONDAZIONE TELETHON 2024

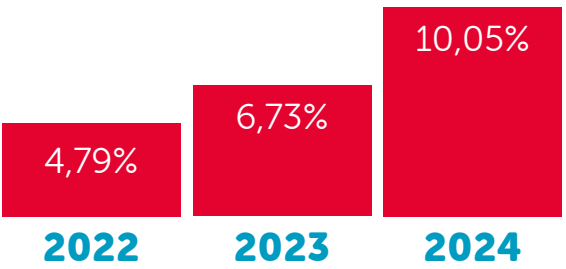


TURNOVER DIPENDENTI 2024

Anche nel 2024 abbiamo accolto nuovi colleghi e colleghe attraverso un processo di selezione rigoroso. Un percorso di tre settimane di inserimento guidato li aiuta a comprendere la nostra missione, ad apprendere i processi operativi e a instaurare relazioni positive con il team.

/ TURNOVER COMPLESSIVO 2024

(N° ENTRATI + USCITI NEL PERIODO / ORGANICO MEDIO DEL PERIODO)*100



/ TURNOVER DIPENDENTI 2024

11 NUMERO USCITE
26 NUMERO NUOVE ASSUNZIONI



RETRIBUZIONE LORDA MEDIA DIRIGENTI SUDDIVISA IN BASE AL FTE (Full Time Equivalent)

Fondazione Telethon ETS è organizzata in tre unità che contano complessivamente 710 persone, con sette dirigenti (0.98% del totale) che operano con differenti impegni e responsabilità tra le strutture. Fondazione Telethon garantisce retribuzioni conformi ai contratti collettivi e rispetta il vincolo che la differenza retributiva tra i dipendenti non superi il rapporto di uno a otto (D.Lgs. 117/2017).



/ RETRIBUZIONE LORDA MEDIA PER DIRIGENTE (EURO)

133.000 euro

EFFORT DEDICATO ALL'INDIRIZZO E ALLA GESTIONE DEGLI ISTITUTI TIGEM E SR-TIGET: 66%

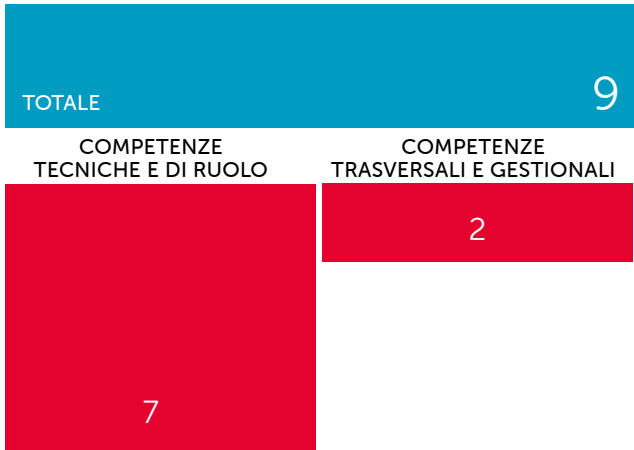
EFFORT DEDICATO ALLA STRUTTURA DELLA FONDAZIONE: 34%



3.2 Sviluppo delle competenze

Chi lavora in Fondazione Telethon cresce professionalmente integrando quattro dimensioni: spirito, mente, cuore e corpo. Questo approccio guida sia la selezione sia i percorsi formativi, valorizzando l'intera persona oltre le sole competenze tecniche. La crescita individuale e collettiva è infatti fondamentale per portare avanti una missione che, per sua natura, richiede tanto rigore scientifico quanto profonda sensibilità umana.

/ RIPARTIZIONE PER TIPOLOGIA DI FORMAZIONE 2024 (NUMERO)



195
TOTALE ORE DI FORMAZIONE EROGATE AL PERSONALE DI FONDAZIONE TELETHON

164
NUMERO DI DIPENDENTI A CUI È STATA EROGATO ALMENO UN CORSO DI FORMAZIONE

3.3 Qualità, analisi e gestione dei rischi

Operiamo con un sistema di gestione integrato certificato (Qualità, Sicurezza, Ambiente) e adottiamo un processo strutturato per identificare e mitigare i rischi. Anche grazie all'expertise delle nostre persone, garantiamo trasparenza ed efficacia in tutte le attività di finanziamento e di ricerca.

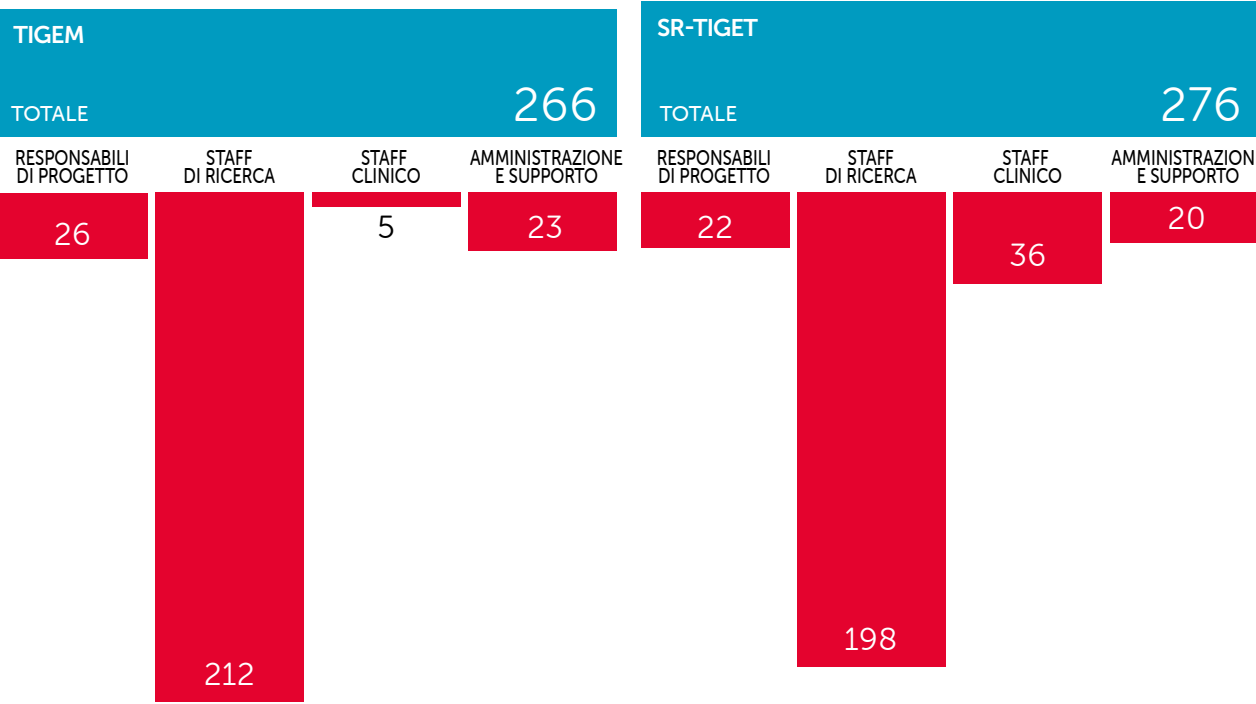


CERTIFICAZIONI	AMBITI DI APPLICAZIONE	GESTIONE DEL RISCHIO (DAL 2017, ESTESO NEL 2022)
ISO 9001:2015 (QUALITÀ) ISO 14001:2015 (AMBIENTE, DAL 2022) ISO 45001:2018 (SICUREZZA, DAL 2022) SISTEMA INTEGRATO QSA (QUALITÀ, SICUREZZA, AMBIENTE)	FINANZIAMENTO E GESTIONE PROGETTI DI RICERCA MONITORAGGIO E VALUTAZIONE SCIENTIFICA E AMMINISTRATIVA SERVIZI DI RICERCA PER MALATTIE GENETICHE RARE	ANALISI FATTORI INTERNI ED ESTERNI METODO PDCA (PLAN, DO, CHECK, ACT) RISCHI VALUTATI PER PROBABILITÀ, IMPATTO E CONTROLLABILITÀ PRIORITÀ DEFINITE E SOTTOPOSTE ALLA DIRETTRICE GENERALE

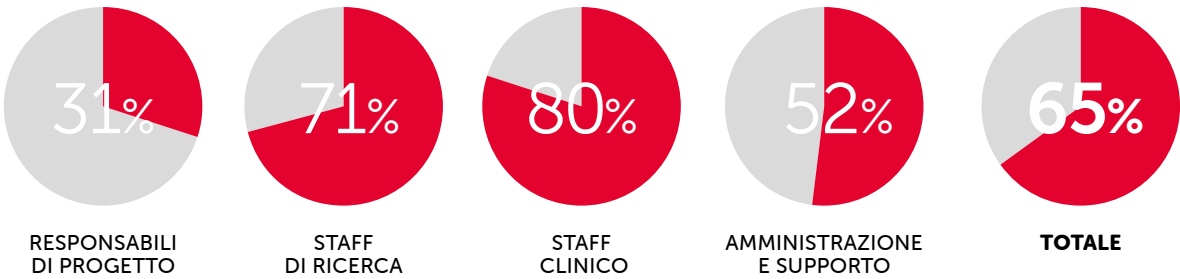
3.4 Gli Istituti

In Italia abbiamo fondato due importanti centri di ricerca, diventati riferimenti internazionali: il Tigem (Istituto Telethon di Genetica e Medicina) e l'SR-Tiget (San Raffaele Telethon per la Terapia Genica). In entrambi operano figure professionali molteplici: dipendenti, collaboratori, dottorandi, tirocinanti, assegnisti di ricerca e ricercatori ospitati.

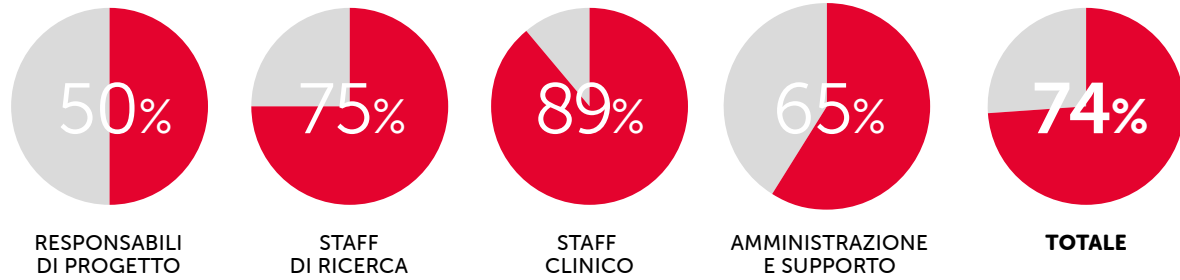
/ RIPARTIZIONE PERSONALE ISTITUTI DI RICERCA



/ PRESENZA FEMMINILE IN TIGEM PER AREA (DATO 2024 IN % RISPETTO AL PERSONALE DI AREA)



/ PRESENZA FEMMINILE IN SR-TIGET PER AREA (DATO 2024 IN % RISPETTO AL PERSONALE DI AREA)





3.5 I volontari

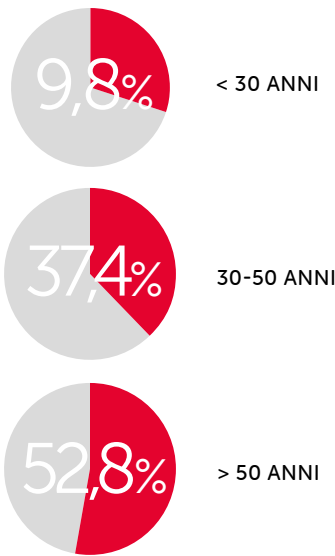
I Coordinatori Provinciali, volontari ricchi di esperienza e dedizione, sono l'anima della rete territoriale della Fondazione. Danno vita alle squadre locali, promuovono la raccolta fondi attraverso campagne nazionali ed eventi e sensibilizzano la comunità sulla nostra missione. Li affiancano i volontari di staff e di Cuore, che contribuiscono alle diverse iniziative, creando una rete capillare di sostegno alla ricerca.

/ RIMBORSI EROGATI

Solo Coordinatori Provinciali e sezioni Uildm possono ricevere rimborsi per spese documentate (mai forfettari), purché correlate ad attività di raccolta fondi e comunicazione per Fondazione Telethon.

€135.621
VALORE DEI RIMBORSI EROGATI

/ RIPARTIZIONE VOLONTARI PER FASCIA DI ETÀ



/ RIPARTIZIONE VOLONTARI PER TIPOLOGIA

174	COORDINATORI PROVINCIALI E VOLONTARI DI STAFF	1.244	VOLONTARI AGGREGATI A SUPPORTO DELLE CAMPAGNE
717	VOLONTARI DA PARTNERSHIP DI VOLONTARIATO*		
3.778	VOLONTARI RESPONSABILI DELLE CAMPAGNE DI PIAZZA NAZIONALI		

*Volontari delle associazioni partner

3.6 Campagne di piazza e sensibilizzazione sul territorio

Campagne di piazza: campagna di Natale

Nelle giornate del 15, 21 e 22 dicembre, migliaia di volontari di Fondazione Telethon e delle associazioni partner hanno animato oltre 4.000 piazze italiane, distribuendo i nuovi Cuori di cioccolato. Il loro impegno ha permesso di raccogliere donazioni fondamentali per la ricerca sulle malattie genetiche rare, trasformando un semplice gesto solidale in concrete speranze di cura.

L'energia di volontarie e volontari si è estesa ben oltre le piazze: molti hanno organizzato iniziative personali, coinvolgendo amici, familiari e colleghi. Questa capillare rete di persone ha moltiplicato l'efficacia della campagna: un'altra dimostrazione di come il contributo di ciascuno sia determinante per il successo della nostra missione.



Campagne di piazza: campagna primavera

In occasione della Festa della Mamma, i volontari di Fondazione Telethon sono tornati in piazza con la campagna "Io per Lei". Il loro instancabile impegno ha permesso di distribuire i Cuori di biscotto in numerose piazze italiane, creando una grande catena di solidarietà a sostegno delle mamme di bambini con malattie genetiche rare e raccogliendo fondi per la ricerca scientifica.



Alla campagna di primavera partecipa anche UILDM - Unione Italiana Lotta alla Distrofia Muscolare. Un legame solido e profondo, che si è rafforzato negli anni: nel 1990 la Fondazione è nata proprio per rispondere all'appello dei familiari di alcuni pazienti affetti da distrofia muscolare, una delle oltre 650 malattie genetiche rare per le quali cerchiamo una cura.

Per celebrare il decimo anniversario dei Cuori di biscotto, nuove confezioni metalliche in tre colori: dorato, blu e rosa. La nuova grafica con il mandala al centro simboleggia la piazza come luogo d'incontro e la circolarità della speranza che, grazie l'impegno dei volontari, si diffonde dalla Fondazione alla ricerca scientifica, fino ad arrivare alle famiglie che attendono una cura.



Eventi territoriali

ORGANIZZATI
APPOSITAMENTE
PER SOSTENERE
LE ATTIVITÀ DI
FONDAZIONE
TELETHON

EVENTI CHE
DECIDONO DI
DESTINARE UNA
QUOTA O L'INTERO
RICAVATO ALLA
FONDAZIONE

Volontarie e volontari organizzano numerose iniziative nelle loro comunità locali. Dalle manifestazioni di sensibilizzazione agli eventi sportivi, dagli spettacoli teatrali agli eventi di beneficenza.

Iniziative di Sensibilizzazione e Supporto

PROGETTI EDUCATIVI PER LE SCUOLE

- SENSIBILIZZAZIONE SU RICERCA SCIENTIFICA E INCLUSIONE SOCIALE
- RACCOLTA FONDI TRA STUDENTI, INSEGNANTI E GENITORI
- STRUMENTI EDUCATIVI INNOVATIVI: KIT DIDATTICI DIGITALI E CARTACEI

COMUNI DEL CUORE

- COINVOLGIMENTO DELLE AMMINISTRAZIONI LOCALI
- I COMUNI POSSONO:
 - PARTECIPARE ALLE CAMPAGNE DI PIAZZA
 - DONARE FONDI E COINVOLGERE ENTI E ASSOCIAZIONI LOCALI

EDICOLE PER FONDAZIONE TELETHON

- COLLABORAZIONE CON SINDACATO NAZIONALE GIORNALAI D'ITALIA (SI.NA.G.I.)
- PROMOZIONE DI INIZIATIVE DI SENSIBILIZZAZIONE E RACCOLTA FONDI
- DISTRIBUZIONE PRODOTTI SOLIDALI IN EDICOLE ADERENTI



4

Raccolta fondi e comunicazione





4.1 Raccolta fondi



La strategia di raccolta fondi e di comunicazione di Fondazione Telethon è sempre più orientata al digitale, con l'obiettivo di intercettare un pubblico nuovo e più giovane con il quale contiamo di affinare un dialogo costante, duraturo e misurabile, attraverso attività e partnership che valorizzano la nostra presenza in questo ambito e con un costante monitoraggio per indirizzare al meglio ogni investimento, misurandone efficacia e impatto. Ci stiamo dotando di professionalità e di strumenti che ci permettono di essere sempre più competitivi in un mondo, come quello del digitale, dove il Terzo Settore deve saper attivare linguaggi che permettano di coltivare una presenza distintiva e ingaggiante, attraverso progetti innovativi ma sempre all'insegna della coerenza nei messaggi che ci identificano.

Alessandro Betti, Direttore Raccolta Fondi

La fiducia degli italiani, persone e aziende, nella missione di Fondazione Telethon cresce ogni anno. E così la loro generosità. I donatori regolari sono le nostre radici: è il loro impegno a nutrire i progetti che hanno bisogno di tempo e costanza per maturare. Ogni donazione, grande o piccola, regolare o occasionale, è un passo verso la cura.



TOTALE PROVENTI 2024

96.787 MIGLIAIA DI EURO

DI CUI:

72.808

RACCOLTA FONDI

23.979

GRANT PUBBLICI E PRIVATI E PARTNERSHIP INDUSTRIALI ED ATTIVITÀ FINANZIARIE E PATRIMONIALI

73 MILIONI DI EURO LE DONAZIONI DA RACCOLTA FONDI LIBERALE (INCLUSI IL 5X1000 E I LASCITI TESTAMENTARI)

PARI AL **75,2%** DEL TOTALE DELLE DONAZIONI RICEVUTE

42,4%
DONATORI
REGOLARI

16,5%
AZIENDE

9,4%
CAMPAGNE DI PIAZZA
ED EVENTI TERRITORIALI

11,9%
LASCITI

3,4%
NUMERO
SOLIDALE
45510

6,4%
5X1000

8,7%
DONATORI OCCASIONALI

1,3% GRANDI DONATORI

IL **24,8%** DEL RIMANENTE

24 MILIONI DI EURO LA PARTE RESTANTE DEL TOTALE DEI FONDI RACCOLTI

ACCORDI PARTENARIALI, DAI CONTRIBUTI EROGATI AGLI ISTITUTI DA ENTI PUBBLICI E DA ATTIVITÀ FINANZIARIE E PATRIMONIALI



I DONATORI REGOLARI

Con il programma "Io adotto il futuro", i donatori regolari sostengono la ricerca biomedica di Fondazione Telethon in modo continuativo. Solo con risorse costanti possiamo pianificare con lungimiranza, lanciare bandi periodici e garantire continuità ai progetti promettenti.

DONATORI REGOLARI 2024 RISPETTO AL 2023: +9%



DONAZIONI COMPLESSIVE 2024 RISPETTO AL 2023: +10%



Chi dona regolarmente ci permette di guardare lontano: è la forza della continuità.



PER SAPERNE DI PIÙ

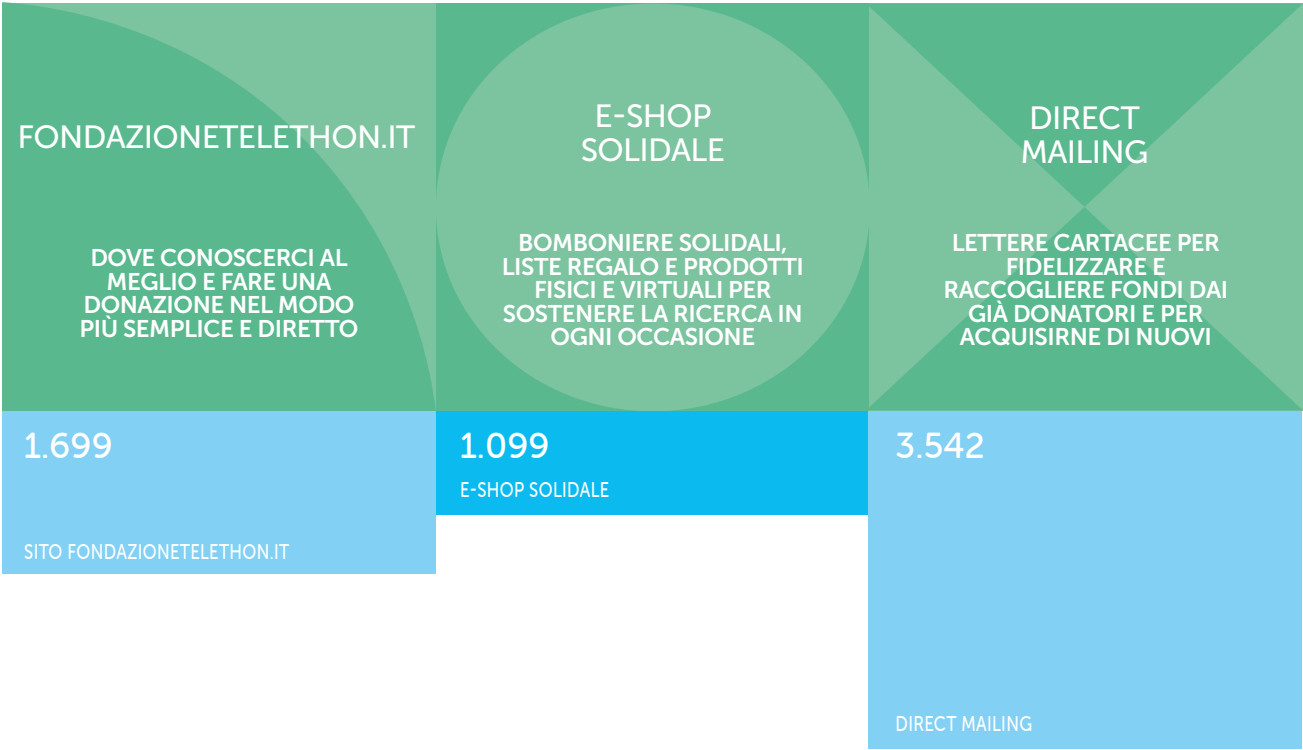


I DONATORI OCCASIONALI

Ogni donazione conta, anche quelle occasionali, attraverso i canali digitali, l'e-shop solidale e il direct mailing.

6.340 VALORE TOTALE DONAZIONI DA DONATORI OCCASIONALI (IN MIGLIAIA EURO)

DI CUI:



Per Natale, 15 grandi cioccolatini incartati in dediche speciali, in una scatola scrigno, collezionabile e riutilizzabile, decorata con grafiche esclusive. Un regalo che fa bene alla ricerca e a chi lo riceve.

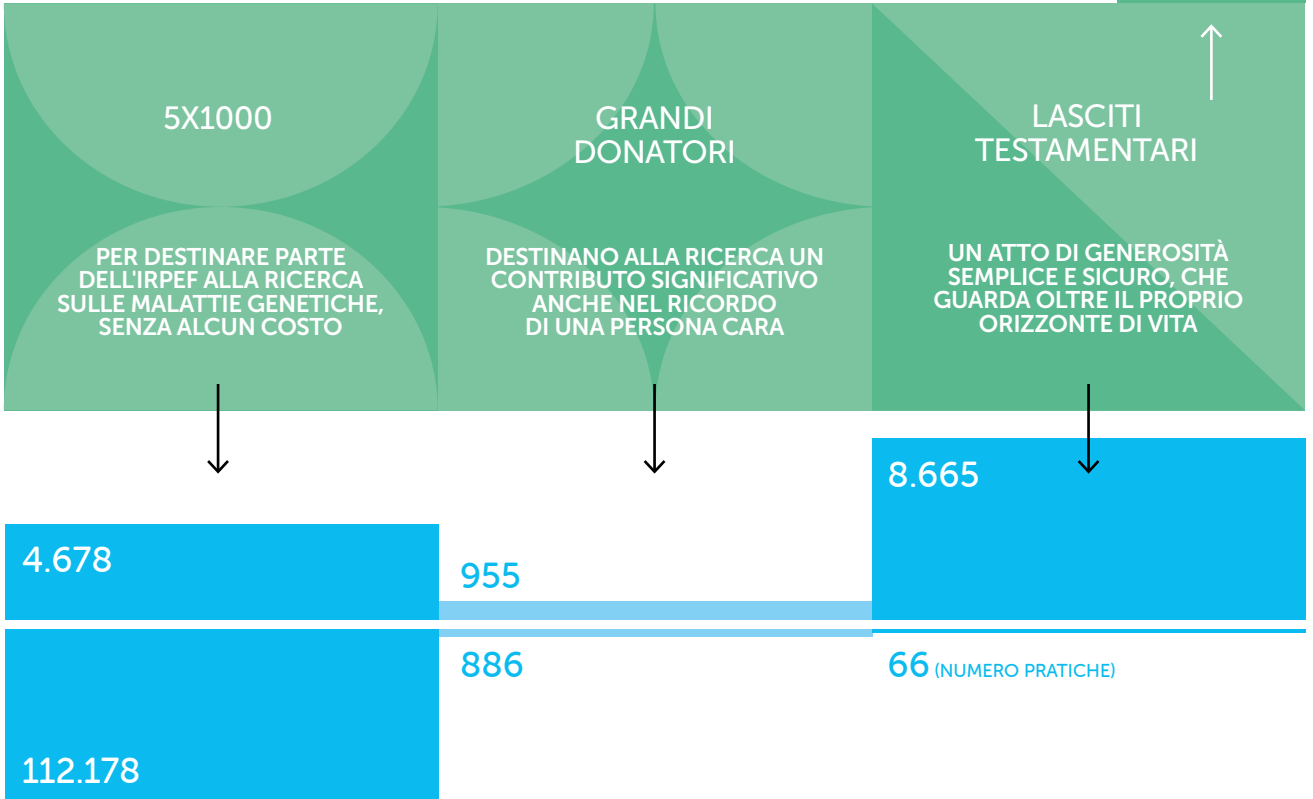


PER SAPERNE DI PIÙ

Oltre alle donazioni regolari o occasionali, ci sono altri modi per sostenere la ricerca e la lotta alle malattie genetiche rare. Sono opportunità meno note ma ugualmente efficaci per ampliarne l'impatto.



PER SAPERNE DI PIÙ





Campagne di piazza ed eventi territoriali

Le campagne di piazza sono un momento fondamentale di mobilitazione collettiva, organizzate e animate da migliaia di volontari, tra cui i Coordinatori Provinciali di Fondazione Telethon, le associazioni Partner e le Associazioni di pazienti in Rete con la Fondazione. In tutta Italia, vengono allestiti oltre 4.000 punti di raccolta a dicembre e più di 2.500 in primavera, per sensibilizzare l'opinione pubblica e raccogliere fondi a sostegno della ricerca sulle malattie genetiche rare. Nelle piazze i volontari distribuiscono i nostri prodotti solidali: i Cuori di Cioccolato nel periodo natalizio e i Cuori di Biscotto in primavera, simboli di quella generosità che sa dare forza e continuità al nostro impegno nella ricerca.



DIVENTA VOLONTARIO

6.812VALORE RACCOLTA FONDI
DA CAMPAGNE DI PIAZZA
ED EVENTI TERRITORIALI
(IN MIGLIAIA EURO)

Le associazioni di volontariato: partner di Fondazione Telethon



Unione Italiana Lotta alla Distrofia Muscolare (UILDM)

Da più di 60 anni UILDM è l'associazione nazionale di riferimento per le persone con distrofie e altre malattie neuromuscolari. Fondazione Telethon è nata proprio dal suo impulso. Dal 2001 le sue sezioni raccolgono fondi per il bando clinico Telethon-UILDM.



Associazione Volontari Italiani Sangue (AVIS)

AVIS è la principale organizzazione italiana di volontariato per la donazione di sangue. Collabora con Fondazione Telethon da oltre 20 anni in nome del sostegno alla ricerca, con un particolare interesse verso gli studi sulle malattie genetiche del sangue.



Associazione Nazionale di Famiglie e di Persone con disabilità intellettive e disturbi del neurosviluppo (ANFFAS)

ANFFAS è al fianco di Fondazione Telethon dal 2014 per promuovere e sostenere la ricerca come strumento di miglioramento della qualità della vita per le persone con disabilità.



Unione Nazionale Pro Loco d'Italia (UNPLI)

UNPLI collabora con Fondazione Telethon dal 2016. Grazie alla presenza capillare nel Paese, svolge un'opera fondamentale di supporto all'azione di Fondazione Telethon sul territorio.



Azione Cattolica Italiana (AC)

Azione Cattolica è la più grande associazione di laici cattolici in Italia. Dal 2019 l'alleanza con Fondazione Telethon ha l'obiettivo di sensibilizzare e promuovere la missione presso la collettività.

COLLABORAZIONI



SI.NA.GI

Grazie all'accordo siglato nel 2021 con SI.NA.G.I. centinaia di edicole in tutto il territorio italiano distribuiscono i prodotti solidali di Fondazione Telethon durante le due campagne di piazza.

Aziende partner

Con le aziende che scelgono di sostenere la ricerca, costruiamo partnership solide e strategiche, che generano valore per tutti: le imprese investono nell'innovazione, la ricerca avanza più rapidamente. Ogni collaborazione è progettata su misura, coinvolgendo le persone, i clienti e i partner, con iniziative dedicate e percorsi di partecipazione concreti.

12.027VALORE DELLE DONAZIONI
DA AZIENDE PARTNER
(IN MIGLIAIA EURO)**2.586**NUMERO DI
AZIENDE PARTNER

PER SAPERNE DI PIÙ

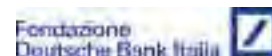
PARTNER PRINCIPALE

**BNL**
BNP PARIBAS

GRANDI DONATORI

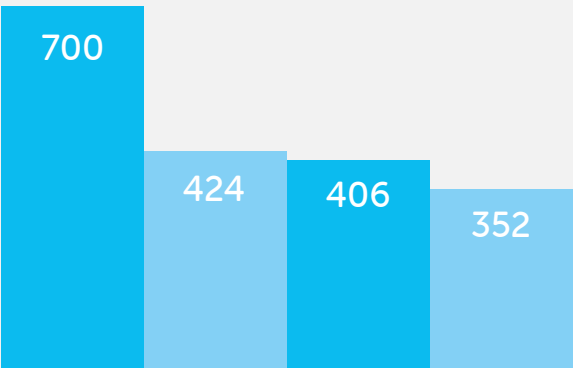


SOSTENITORI

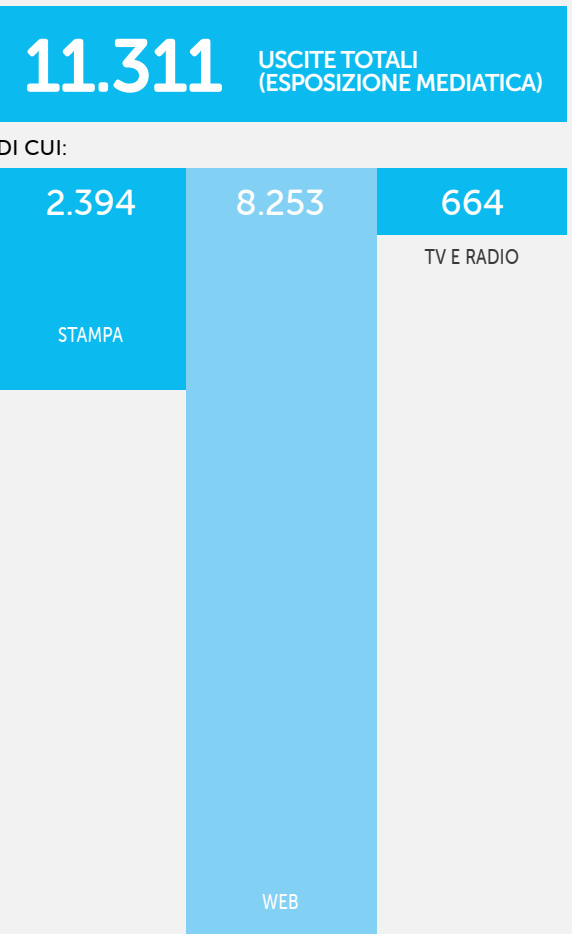


4.2 Comunicazione e sensibilizzazione

Manteniamo relazioni vive con tutti gli stakeholder attraverso molteplici canali. Non solo raccontiamo la nostra missione, le attività e i risultati, ma teniamo alta l'attenzione sui bisogni delle persone con malattie genetiche rare, sui progressi della ricerca e delle cure e sugli obiettivi che possono essere raggiunti solo con un grandioso impegno collettivo. A più persone riusciamo ad arrivare, più vite possiamo cambiare.



La nostra comunicazione si sviluppa su una piattaforma integrata di strumenti che spaziano dai media tradizionali ai canali digitali, con servizi e campagne mirate per diversi pubblici. In una mobilitazione permanente a favore della ricerca.





Campagne di comunicazione

Le campagne di Fondazione Telethon sono diverse ma condividono lo stesso obiettivo: coinvolgere quante più persone possibili nella lotta contro le malattie genetiche rare. Che si tratti di scegliere un prodotto solidale in piazza, destinare il 5x1000, ricordare una persona cara o pianificare un lascito testamentario, ogni gesto è un passo avanti verso la cura.

Ogni campagna ha un target e un messaggio specifico, ma tutte parlano di speranza, generosità e della promessa di cambiare il futuro di bambine e bambini con una malattia genetica rara. Un filo conduttore le percorre tutte: solo insieme possiamo far sì che la ricerca si trasformi in cura.



La campagna invita a sostenere le mamme di bambini con malattie genetiche rare. Con i Cuori di biscotto, si può compiere un gesto d'amore per finanziare la ricerca scientifica di Fondazione Telethon in occasione della Festa della Mamma.

La campagna sottolinea quanto sia fondamentale il contributo di tutti, anche quello che non costa nulla, come destinare il 5x1000 a Fondazione Telethon. Basta una firma in dichiarazione dei redditi: per diagnosticare malattie sconosciute, trovare nuove terapie e dare un futuro a tanti bambini.

Il sogno di trovare una cura alle malattie generiche rare può continuare a vivere molto più a lungo di noi. È il senso della campagna che spiega come e perché destinare alla ricerca una somma o una polizza vita nelle indicazioni testamentarie.

Trasformare l'amore per una persona cara scomparsa in promessa di cura e migliore qualità della vita per bambine e bambini con malattie rare: è la possibilità che la campagna presenta a chi non l'ha mai considerata o ancora non la conosce.

Si può decidere di sostenere la ricerca, scegliendo i Cuori di Cioccolato e i Cuori di Biscotto in piazza o sul sito o scegliendo bomboniere solidali e prodotti sull'e-shop.

La campagna invita a diventare donatori regolari aderendo al programma "Io adotto il futuro": grazie al sostegno continuativo, bambine e bambini con malattie genetiche rare celebrano un compleanno dopo l'altro. Attraverso storie reali di crescita, raccontiamo come la ricerca trasforma la speranza in anni di vita vissuta.



4.3 Eventi

La maratona televisiva

La 35° Maratona televisiva di Fondazione Telethon si è svolta dal 14 al 22 dicembre sulle reti Rai. È stata allestita Casa Fondazione Telethon, una tensostruttura che ha riunito l'intero ecosistema: famiglie di pazienti, ricercatori, volontari, aziende e partner. Un luogo di incontro e condivisione unico.

24 ORE

DI DIRETTA TELEVISIVA
DALLO STUDIO
CENTRALE

46

STORIE RACCONTATE
E TESTIMONIANZE
DELLE FAMIGLIE

41

VIDEO IDEATI
E REALIZZATI

231

SPAZI TELEVISIVI
DEDICATI ALLE MALATTIE
GENETICHE RARE

59

TRASMISSIONI
COINVOLTE

27

INTERVENTI IN DIRETTA TV
TRA PARTNER ASSOCIATIVI
E AZIENDALI E PRESENZE
ISTITUZIONALI



Rai Cinema ha realizzato “Una giornata pazzesca”, cortometraggio diretto da Francesca Archibugi, con la partecipazione del Presidente Mattarella.

Per i 70 anni della Rai, è stato prodotto uno speciale che ripercorre la storia della Maratona di Fondazione Telethon dal 1990 a oggi.



Evento charity Costruiamo il futuro

Una cena benefica e un'asta solidale al Pirelli HangarBicocca per sostenere l'impegno nella produzione e distribuzione delle terapie per le malattie genetiche rare, sviluppate dai ricercatori della Fondazione e sulle quali le industrie farmaceutiche stanno disinvestendo per ragioni di sostenibilità economica.

SONO STATI
RACCOLTI OLTRE

689.000

EURO

HANNO
PARTECIPATO

500

PERSONE

*I fondi raccolti garantiranno
l'accesso alle terapie sviluppate e
distribuite dalla Fondazione anche
ai bambini per cui oggi non è
previsto il rimborso.*

Maratona ricostituente

La Maratona di Dario Moccia ha rivoluzionato il concetto di charity digitale in Italia, riunendo 70 creator provenienti da Twitch, YouTube e Instagram. Un'iniziativa straordinaria che ha trasformato l'engagement social in solidarietà concreta, sensibilizzando e coinvolgendo migliaia di giovanissimi in un progetto di sostegno alla ricerca scientifica sulle malattie genetiche rare.

SONO STATI
RACCOLTI OLTRE

370.000

EURO

CI SONO STATE
OLTRE

46.000

DONAZIONI

70

CREATOR

137

ASTE

*Un palinsesto fitto di
interviste, talk, challenge,
aste, sessioni di gaming,
testimonianze e storie.*



5

Il valore economico





Fondazione Telethon ha da sempre a cuore un profondo senso di responsabilità verso chi ripone in noi fiducia e supporto. È per questo che, a fronte della decisione di assumersi la responsabilità di produrre e distribuire terapie che altrimenti rischierebbero di essere ritirate dal mercato, è stata fatta un'analisi molto rigorosa che ci potesse permettere di rendere questa scelta sostenibile anche dal punto di vista economico, cercando di tracciare con lungimiranza tutte le possibili implicazioni che dovremo affrontare nel prossimo futuro, per garantire che l'organizzazione possa superarle nel rispetto di quanto scritto nel proprio statuto e di chi sceglie di sostenerci.

Andrea Arrigo - Direttore Amministrazione e controllo

5.1 Il valore economico generato e distribuito



CONSULTA IL
BILANCIO DI
ESERCIZIO

Il 2024 per Fondazione Telethon è stato un altro anno di risultati straordinari: proventi e impieghi in forte crescita rispetto al 2023, con un investimento record in ricerca di 62.6 milioni di euro. Questo primato conferma l'impatto concreto della Fondazione sul panorama nazionale e internazionale e il suo impegno a utilizzare ogni risorsa per sostenere progetti d'eccellenza e migliorare la vita di migliaia di persone.

/ TOTALE DEI PROVENTI 2024 E CONFRONTO CON IL 2023 (MIGLIAIA DI EURO)

PROVENTI	2024	2023
Proventi da Attività istituzionale	22.349	22.302
Proventi da Raccolta Fondi (*)	72.808	62.274
Proventi Finanziari e Patrimoniali	1.822	1.926
TOTALE PROVENTI	96.979	86.502

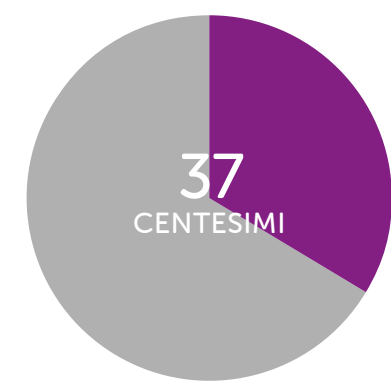
(*) Include valori inseriti in bilancio di esercizio nell'area raccolta fondi, proventi per il 5x1000 ed erogazioni liberali riferibili all'attività di Raccolta Fondi

/ TOTALE DEGLI ONERI 2024 E CONFRONTO CON IL 2023 (MIGLIAIA DI EURO)

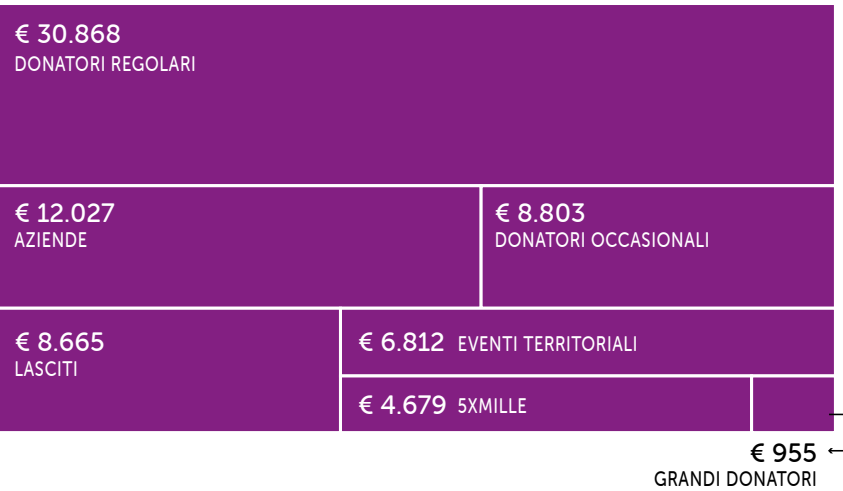
ONERI	2024	2023
Impieghi di Missione	62.622	58.343
- Ricerca Scientifica	54.153	52.024
- Attività a supporto della ricerca	8.469	6.319
Oneri Raccolta Fondi	27.210	23.330
Oneri Supporto Generale	3.088	3.327
Oneri Finanziari e Patrimoniali	1.470	336
TOTALE ONERI*	94.390	85.336

(*) include tasse

/ L'EFFICIENZA DELLA RACCOLTA FONDI: QUANTO È COSTATO RACCOGLIERE 1 EURO



/ DA DOVE ARRIVANO I FONDI RACCOLTI (MIGLIAIA DI EURO)





5.2 Costi e oneri da attività di interesse generale (di missione)

INIZIATIVA	ATTIVITÀ / TITOLO DEL PROGETTO	ENTE RESPONSABILE DEL PROGETTO	IMPORTO €/1.000
Terapia Was		Fondazione Telethon	6.687
Terapia Strimvelis		Fondazione Telethon	3.291
Assorbimento Fondo Terapie accantonato negli anni precedenti		Fondazione Telethon	(4.252)
Impieghi Terapie			totale 5.726
Ricerca in biologia cellulare e genomica per lo sviluppo di terapie geniche per malattie metaboliche, dell'occhio e neurodegenerative		Istituto Telethon di genetica e medicina	15.562
Progetto MPS VI		Istituto Telethon di genetica e medicina	2.300
Progetto Repurposing		Istituto Telethon di genetica e medicina	800
Progetto Malattia Pompe		Istituto Telethon di genetica e medicina	2.100
Ricerca di base e preclinica su malattie ematologiche, neurologiche, neurodegenerative e metaboliche e sviluppo di approcci di terapia genica		Istituto San Raffaele Telethon per la terapia genica	12.093
Progetto Gene-editing		Istituto San Raffaele Telethon per la terapia genica	3.000
Sviluppo Progetti Terapie Genica Betathal		Istituto San Raffaele Telethon per la terapia genica	1.760
Sviluppo Progetti Terapie Genica Osteopetrosi		Istituto San Raffaele Telethon per la terapia genica	2.170
Sviluppo Progetti Terapie Genica Platform		Istituto San Raffaele Telethon per la terapia genica	690
Rinnovi posizioni DTI		Istituto Telethon Dulbecco	5
Progetto "Come a Casa"		Fondazione Telethon	337
ENMC		Altri	33
Spese di supporto alla ricerca, incluse attività finanziate da enti esterni		Fondazione Telethon	2.131
Impieghi Intramurale			totale 42.981

INIZIATIVA	ATTIVITÀ / TITOLO DEL PROGETTO	ENTE RESPONSABILE DEL PROGETTO	IMPORTO €/1.000
Vedi dettaglio Bando Congiunto Cariplo		Fondazione Telethon	1.578
Vedi dettaglio SEED GRANT		Fondazione Telethon	724
Arisla		Fondazione Telethon	400
Bando Telethon-Uildm		Fondazione Telethon	1.529
Erogazione Uildm (Primavera)		Fondazione Telethon	146
Fondazione Serena/Centro Nemo		Fondazione Serena Onlus	500
Spese di supporto alla ricerca, incluse attività finanziate da enti esterni		Fondazione Telethon	170
Special Project Duchenne		Fondazione Telethon	399
Bando Multiround Maggio 2025		Fondazione Telethon	3.904
Bando Multiround Novembre 2025		Fondazione Telethon	6.347
Neuromuscular Program		Fondazione Telethon	2.799
Assorbimento Fondo Ricerca Extramurale accantonato negli anni precedenti		Fondazione Telethon	(13.051)
Impieghi Extramurale			totale 5.446
Impieghi in Comunicazione e Gestione della Ricerca			totale 8.469
TOTALE			62.622



6

Approfondimenti

1. Chi siamo

84

Il consiglio di amministrazione
La Commissione Medico-Scientifica
L'organo di controllo
Il consiglio di indirizzo scientifico
L'organismo di vigilanza
Il modello di organizzazione, gestione e controllo
Sistemi di programmazione, gestione e controllo
Gratuità delle cariche e dei compensi
Struttura del codice etico
Il dialogo con gli stakeholder: come li coinvolgiamo

2. Attività Istituzionali

94

Bando multi-round, il progetto
Bando congiunto con Fondazione Cariplo, il progetto
Fondazione AriSLA
Bando Seed Grant, la storia
Programma malattie senza diagnosi
Centri Clinici NeMO
Bando Telethon Uildm
Progetto pilota per lo screening neonatale per la leiucodistrofia metacromatica
Le start-up
Le pubblicazioni

3. Personale e volontari

108

Personale: andamento contrattuale, età, ripartizione per area di lavoro, turnover
Sviluppo delle competenze: andamento formazione
Benessere e sicurezza: andamento supporto ai dipendenti
Gender Equality Plan
Gli Istituti: andamento ripartizione personale Tigem e SR-Tiget
I volontari di Fondazione Telethon: profilo
Campagne, iniziative e collaborazioni: attività di volontariato per la raccolta fondi, le regioni italiane dove è presente il coordinamento

4. Raccolta fondi e comunicazione

118

Raccolta fondi: andamento dei proventi e ripartizioni, andamento donatori regolari, andamento donatori occasionali, andamento donazioni da altri canali, Servizio donatori
Comunicazione e sensibilizzazione: andamento sito istituzionale, andamento social media, andamento esposizione mediatica

5. Il valore economico

122

Ricavi rendite e Proventi dettaglio
Costi e oneri dettaglio
Avanzi e disavanzi delle singole gestioni
Valore economico generato
Valore economico distribuito
Delibere Bando Multiround (2024)
Delibere Bando Cariplo (2024)
Delibere Seed Grant (2024)
Delibere Bando Telethon - Uildm (2024)



APPROFONDIMENTI CAPITOLO 1

Struttura, Governo e Amministrazione

IL CONSIGLIO DI AMMINISTRAZIONE

Il CdA è composto da 7-15 membri in carica per 3 anni rinnovabili. Almeno un membro deve provenire da enti che si occupano di distrofia muscolare e nel caso il CdA sia composto da 9 o più componenti, almeno un altro componente deve avere esperienza in enti impegnati in malattie genetiche rare. Il CdA gestisce i poteri di ordinaria e straordinaria amministrazione.

Il Presidente rappresenta legalmente la Fondazione ed è affiancato dal Vicepresidente. In data 12 novembre 2024 è stato nominato dal CdA il Consigliere Delegato che può rappresentare Fondazione Telethon nei contesti istituzionali e all'interno degli organi sociali degli enti, societari e non societari, partecipati della Fondazione. Nella stessa data sono stati attribuiti i poteri al Direttore Generale che guida e coordina la Fondazione secondo le linee di indirizzo definite dal CdA stesso.

/ FUNZIONI DEL CDA

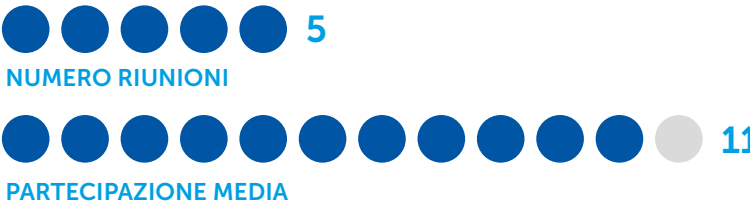
NOMINA IL PRESIDENTE E I MEMBRI DEL CONSIGLIO DI AMMINISTRAZIONE E DELLA COMMISSIONE MEDICO-SCIENTIFICA
DELIBERA SU EVENTUALI MODIFICHE STATUTARIE E SULLO SCIoglIMENTO DELLA FONDAZIONE
APPROVA IL BILANCIO PREVENTIVO E CONSUNTIVO, E IL BILANCIO SOCIALE
PREDISPONE I PROGRAMMI E LE LINEE GUIDA PER LA GESTIONE DELLA FONDAZIONE
INVITA ESPERTI NEL CAMPO DELLA BIOMEDICINA PER L'OPERATIVITÀ E LO SVILUPPO DELLE ATTIVITÀ
CONSULTA PERIODICAMENTE I RAPPRESENTANTI DEGLI UFFICI ORGANIZZATIVI E AMMINISTRATIVI
DELIBERA SULL'ATTRIBUZIONE DEI FONDI SULLA BASE DELLE VALUTAZIONI DELLA COMMISSIONE MEDICO-SCIENTIFICA

/ COMPOSIZIONE DEL CDA (PERIODO DI MANDATO 2024-2026)

NOME E CARICA		NOMINATO DAL
Luca Cordero di Montezemolo	(Presidente)	07/07/09
Omero Toso	(Vice Presidente)	23/07/90
Francesca Pasinelli	(Consigliere Delegato)	22/07/07
Alberto Fontana*	(Consigliere)	07/07/09
Giovanni Manfredi	(Consigliere)	23/06/14
Lupo Rattazzi	(Consigliere)	25/07/18
Alessandra Colonna	(Consigliere)	14/01/21
Davide Dattoli	(Consigliere)	22/06/22
Simona Agnes	(Consigliere)	23/01/23
Giovanni Malagò	(Consigliere)	08/11/23
Mariangela Marseglia	(Consigliere)	08/11/23
Michele Pontecorvo	(Consigliere)	08/11/23

(*) Dimesso 22 maggio 2024 - rinominato il 12 novembre 2024

/ RIUNIONI DEL CDA E LIVELLO DI PARTECIPAZIONE (ANNO 2024)



/ SINTESI DEI PRINCIPALI TEMI TRATTATI (ANNO 2024)

Approvazione Bilancio di Esercizio 2023	Nomina nuovo Direttore Generale e nuove deleghe al Consigliere delegato Pasinelli
Approvazione Bilancio previsionale 2025	Insediamento nuovo Consiglio di Amministrazione per gli esercizi 2024, 2025 e 2026, nomina Presidente e Vicepresidente e avvicendamenti
Delibera e ratifica progetti ricerca extramurali selezionati dalla Commissione Medico-Scientifica	Accordo Fondazione Telethon e AFM Telethon Francia per l'utilizzo del logo "Fondazione Telethon"
Costituzione Società Italiana di Terapia genica e altre operazioni societarie	



LA COMMISSIONE MEDICO-SCIENTIFICA

La Commissione Medico-Scientifica orienta lo sviluppo e supporta la ricerca. È composta da esperti bio-medici internazionali nominati dal CdA, con mandato di 3-4 anni. Valuta i progetti di ricerca secondo gli standard più elevati di qualità scientifica e innovazione, anche ricorrendo a ulteriori esperti e commissioni ad hoc secondo le specifiche proposte. Le sue valutazioni sono vincolanti per Statuto e determinano la graduatoria di merito dei progetti, quindi l'attribuzione dei fondi, garantendo il miglior utilizzo delle risorse per il progresso della ricerca.

/ FUNZIONI DELLA CMS

VALUTA VALIDITÀ E INNOVATIVITÀ DEI PROGETTI DI RICERCA PRESENTATI

PUÒ AVVALERSI DI ULTERIORI ESPERTI DI COMPROVATA AUTOREVOLEZZA E DI ULTERIORI COMMISSIONI AD HOC

/ IMPEGNO DELLA COMMISSIONE MEDICO-SCIENTIFICA (ANNO 2024)

REVISORI



400 PROGETTI ESAMINATI

1.200 REVISIONI DEI MEMBRI DELLA COMMISSIONE

RIUNIONI



/ COMPOSIZIONE COMMISSIONE MEDICO-SCIENTIFICA

NOME	POSIZIONE ACCADEMICA	AFFILIAZIONE
Beverly Davidson (Presidente)	Ph.D., Professoressa di Patologia e Medicina di Laboratorio	University of Pennsylvania (Stati Uniti)
Thomas A Rando (Vice Presidente)	MD, Ph.D., Professore di Neurologia, Direttore Broad Stem cell Research Center	University of California Los Angeles (Stati Uniti)
Yvan Arsenjevich	Ph.D, Professore associato e responsabile del Polo di Ricerca Fondamentale dell'unità di Degenerazione e Rigenerazione Retinica	Université de Lausanne (Svizzera)
Jacques Beckmann	Ph.D, Professore onorario, Facoltà di Biologia e Medicina	Université de Lausanne (Svizzera)
Paola Bovolenta	Ph.D, Professoressa ordinaria e Direttrice del Centro di Biologia Molecolare	Center for Molecular Biology, Severo Ochoa, University of Madrid, (Spagna)
Fabio Candotti	MD, Professore ordinario e primario di Medicina	Université de Lausanne (Svizzera)
Jeffrey Dilworth	Ph.D, Professore presso il Dipartimento di Medicina Cellulare e Molecolare	University of Wisconsin-Madison (Stati Uniti)

NOME	POSIZIONE ACCADEMICA	AFFILIAZIONE
Mauro Giacca	MD, PhD, Direttore della Facoltà di Medicina e Scienze Cardiovascolari e Metaboliche e Professore di Scienze Cardiovascolari	King's College London (Gran Bretagna)
Angela Giangrande	Ph.D., Professore ordinario	Institut de Génétique, Biologie Moléculaire et Cellulaire di Strasburgo (Francia)
Paul Gissen	MD, Professore clinico di Medicina Metabolica Pediatrica presso l'UCL	Great Ormond Street Institute of Child Health, London
Markus Glatzel	MD, Professore ordinario di Neuropatologia e direttore dell'Istituto di Neuropatologia	UKE Amburgo (Germania)
Simon Heales	MD, Professore di Chimica Clinica, Dipartimento di Genetica e Medicina Genomica	UCL University College London (Gran Bretagna)
Albert La Spada	M.D., Ph.D., Professore eminente di Patologia, Neurologia, Chimica Biologica	UC Irvine (Stati Uniti)
Holger Lerche	MD, Ph.D, Direttore Clinico e Responsabile del Dipartimento di Neurologia ed Epilettologia	University of Tübingen (Germania)
Barry London	M.D., Ph.D., Professore di Medicina Interna-Medicina Cardiovascolare	University of Iowa (Stati Uniti)
Angeliki Louvi	PhD, Professore Associato di Neurochirurgia e di Neuroscienze, Vicedirettore del Programma MD-PhD	Yale, School of Medicine (Stati Uniti)
Punam Malik	M.D., Direttore del Cincinnati Comprehensive Sickle Cell Center	Cincinnati Children's - Cincinnati Comprehensive Sickle Cell Center (Stati Uniti)
Diane Merry	Ph.D, Professore di Biochimica e Biologia Molecolare	Thomas Jefferson University, Philadelphia (Stati Uniti)
Alysson Muotri	Ph.D, Professore presso i Dipartimenti di Pediatria e di Medicina Cellulare e Molecolare	University of California, San Diego (Stati Uniti)
Michael P. Murphy	Ph.D., Professore di Biologia Redox Mitocondriale, Ricercatore MRC, Ricercatore Wellcome Trust	University of Cambridge (Gran Bretagna)
Bradley Olwin	Ph.D, Professore di Biologia Molecolare, Cellulare e dello Sviluppo	University of Colorado, Boulder (Stati Uniti)
Massimo Pandolfo	MD, Professore di Neurologia, Dipartimento di Neurologia e Neurochirurgia	McGill University (Canada)
Ambra Pozzi	Ph.D, Professore di Fisiologia Molecolare e Biofisica	Vanderbilt University School of Medicine (Stati Uniti)
Ahad Rahim	Ph.D, Professore di Neuroscienze traslazionali, e capo del Dipartimento di ricerca in Farmacologia	UCL School of Pharmacy University College London (Gran Bretagna)
Paul Robbins	Ph.D, Professore di Biochimica, Biologia Molecolare e Biofisica e Co-Direttore dell'Istituto Massonico sulla Biologia dell'Invecchiamento e del Metabolismo	University of Minnesota (Stati Uniti)
Gonzalo Sanchez-Duffhues	Ph.D, Group Leader presso il Centro di Ricerca sui Nanomateriali e le Nanotecnologie	CINN-CSIC "Ramon y Cajal" - CINN (Spagna)
Hans Van Bokhoven	PhD, Direttore e Professore Ordinario dell'Unità di Neurogenetica Molecolare	University of Radoud, Nijmegen (Paesi Bassi)
Roberto Zoncu	Ph.D, Professore presso il Dipartimento di Biologia Molecolare e Cellulare	University of California, Berkeley (Stati Uniti)



L'ORGANO DI CONTROLLO

Le competenze dell'Organo di Controllo sono descritte all'articolo 11 dello Statuto della Fondazione. Con 3 membri effettivi e 2 supplenti nominati dal CdA, vigila sulla gestione con verifiche trimestrali, monitora il rispetto delle finalità civiche e solidaristiche, controlla l'adeguatezza organizzativa e amministrativa, verifica la conformità del bilancio sociale. Nel 2024 si è riunito sette volte, partecipando ai cinque CdA e nel 2025 due volte prima dell'approvazione di questo Bilancio Sociale, che ha validato.

La revisione contabile è affidata a Deloitte & Touche SpA, nominata per il triennio 2022-2024 su parere favorevole dell'Organo di Controllo, con possibilità di un ulteriore rinnovo.

/ FUNZIONI DELL'ORGANO DI CONTROLLO

VIGILA E VERIFICA LA GESTIONE DELLA FONDAZIONE NEL CORSO DELL'ESERCIZIO ALMENO OGNI TRE MESI
MONITORA CHE LE FINALITÀ CIVICHE, SOLIDARISTICHE E DI UTILITÀ SOCIALE SIANO RISPETTATE
ATTESTA LA CONFORMITÀ DEL BILANCIO SOCIALE RISPETTO ALLE LINEE GUIDA DEL D.M. 4/7/2019
VIGILA SULL'ADEGUATEZZA DELLA STRUTTURA ORGANIZZATIVA
VIGILA SULL'ADEGUATEZZA E IL FUNZIONAMENTO DEL SISTEMA AMMINISTRATIVO-CONTABILE

/ COMPOSIZIONE DELL'ORGANO DI CONTROLLO

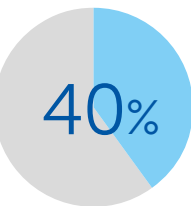
NOME	CARICA
Luciano Festa	Presidente
Benedetta Navarra	Membro
Mariella Tagliabue	Membro
Fabio Fortini	Supplente
Claudio Sforza	Supplente

/ RIUNIONI DELL'ORGANO DI CONTROLLO (ANNO 2024)

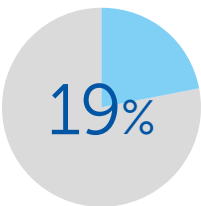


PRESENZA FEMMINILE NEGLI ORGANI DI GOVERNANCE

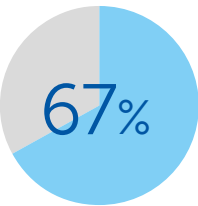
/ IN % RISPETTO AL NUMERO DEI MEMBRI EFFETTIVI, ANNO 2024



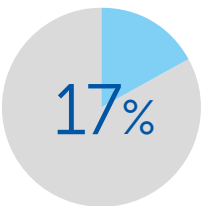
CdA



COMMISSIONE MEDICO-SCIENTIFICA



ORGANO DI CONTROLLO



CONSIGLIO DI INDIRIZZO SCIENTIFICO

IL CONSIGLIO DI INDIRIZZO SCIENTIFICO

Il Consiglio è composto da esperti di aree e modalità terapeutiche diverse, in grado di fornire pareri competenti sulla ricerca finanziata. Per questo ha anche il compito di supportare le scelte di indirizzo e di gestione del Consiglio di Amministrazione nell'ambito della ricerca biomedica.

/ CONSIGLIO DI INDIRIZZO SCIENTIFICO

NOME	POSIZIONE ACCADEMICA	AFFILIAZIONE
Giovanni Manfredi (Presidente)	Professore di Neurologia	Feil Family Brain and Mind Research Institute Weill Cornell Medicine (Stati Uniti)
Robin Ali	Professore di Genetica Molecolare Umana	University College London - UCL Institute of Ophthalmology (Gran Bretagna)
Beverly Davidson	Professore di Patologia e Medicina di Laboratorio	University Of Pennsylvania, School of Medicine (Stati Uniti)
Ivan Martin	Ph.D., Professore e Direttore del Dipartimento di Biomedicina	University of Basel (Svizzera)
Thomas A Rando	M.D, Ph.D., Professore di Neurologia	University of California Los Angeles (Stati Uniti)
Ronenn Roubenoff	Consulente	Roubenoff Consulting, Boston (Stati Uniti)

L'ORGANISMO DI VIGILANZA

L'organismo di vigilanza ha il compito di vigilare, anche sulla base dei principi del Codice Etico su:

- a) osservanza del Modello da parte dei Dipendenti, degli Organi della Fondazione, dei Partner e dei terzi nella misura in cui è richiesta a ciascuno di loro
- b) efficacia e adeguatezza del Modello in relazione alla struttura aziendale ed alla capacità effettiva di prevenire la commissione dei reati di cui al D.Lgs 231/2001;
- c) opportunità di aggiornamento del Modello, laddove si riscontrino esigenze di adeguamento dello stesso in relazione a mutate condizioni aziendali e/o normative.

/ COMPOSIZIONE DELL'ODV (PERIODO DI MANDATO 2022-2024)

NOME	CARICA
Massimiliano Lissi	Presidente Odv
Ottavia Alfano	Membro Odv
Lucia Filippi	Membro Odv



IL MODELLO DI ORGANIZZAZIONE, GESTIONE E CONTROLLO

Per rafforzare trasparenza, efficacia e correttezza delle proprie azioni, dal 2012 Fondazione Telethon ha definito il proprio Modello di Organizzazione, Gestione e Controllo (D.Lgs. 231/2001), monitorato periodicamente per adeguarne l'applicazione allo sviluppo della normativa e delle attività. Il Modello definisce e disciplina le fattispecie di reati-presupposti, inclusi quelli legati ai rapporti con lo Stato e la Pubblica Amministrazione e i rischi legati alla corruzione.

Parte integrante del Modello Organizzativo sono il Codice Etico e il Sistema Disciplinare che individua le condotte rilevanti e la tipologia delle sanzioni, il procedimento di accertamento delle violazioni e di definizione delle sanzioni. Per ridurre il rischio che si verifichino fattispecie corruttive, sono state identificate le aree sensibili nella Fondazione e introdotti specifici presidi di controllo.

Obiettivi e Finalità	Revisione 2023	Struttura del Modello
• Rafforzare trasparenza, efficacia e correttezza • Modello definito dal 2012 (D.Lgs. 231/2001) • Monitoraggio periodico per aggiornamento normativo	• Aggiornato per cambiamenti organizzativi e nuove normative • Introduzione della normativa Whistleblowing • Integrazione delle fattispecie di reati-presupposti (es. corruzione, rapporti con PA)	• Codice Etico e Sistema Disciplinare - Definisce condotte rilevanti, accertamento violazioni e sanzioni - Identifica aree sensibili e presidi di controllo

/ AREE SENSIBILI E CONTROLLI IMPLEMENTATI

SETTORE	DESCRIZIONE
Raccolta fondi e finanziamenti	Monitoraggio su fondi pubblici e privati per la ricerca
Selezione e finanziamento progetti di ricerca	Valutazione e assegnazione finanziamenti
Gestione risorse finanziarie	Controlli su flussi economici
Selezione fornitori e acquisti	Procedure per garantire trasparenza e qualità
Rapporti con enti pubblici	Compliance su adempimenti, ispezioni e autorizzazioni
Gestione contenzioso e successioni/donazioni	Supervisione legale e fiscale
Contabilità e bilancio di missione	Controlli su revisione e gestione finanziaria
Gestione e assunzione del personale	Inclusi lavoratori stranieri
Sicurezza informatica	Gestione e protezione dei dati telematici
Brevetti e proprietà industriale	Registrazione e sfruttamento titoli
Salute e sicurezza sul lavoro	Compliance con le normative vigenti
Sicurezza ambientale	Monitoraggio e gestione impatti
Produzione e distribuzione di cure e farmaci	Gestione autonoma in assenza di operatori farmaceutici

SISTEMI DI PROGRAMMAZIONE, GESTIONE E CONTROLLO

Fondazione Telethon ha un sistema di programmazione e controllo dell'andamento economico e finanziario, con controlli mensili su tutti gli ambiti della gestione e dell'organizzazione.

Il Consigliere Delegato, che ha la visibilità continua sull'esecuzione operativa dei processi, segnala eventuali criticità nella gestione al Consiglio di Amministrazione. Per ogni eventuale contenzioso si valuta il rischio per la Fondazione. Su questa base, per trasparenza e per applicare il principio prudenziale, si procede a un accantonamento a fondi rischi in bilancio. Nel 2024 non ci sono stati contenziosi tali da richiedere accantonamenti.

GRATUITÀ DELLE CARICHE E DEI COMPENSI

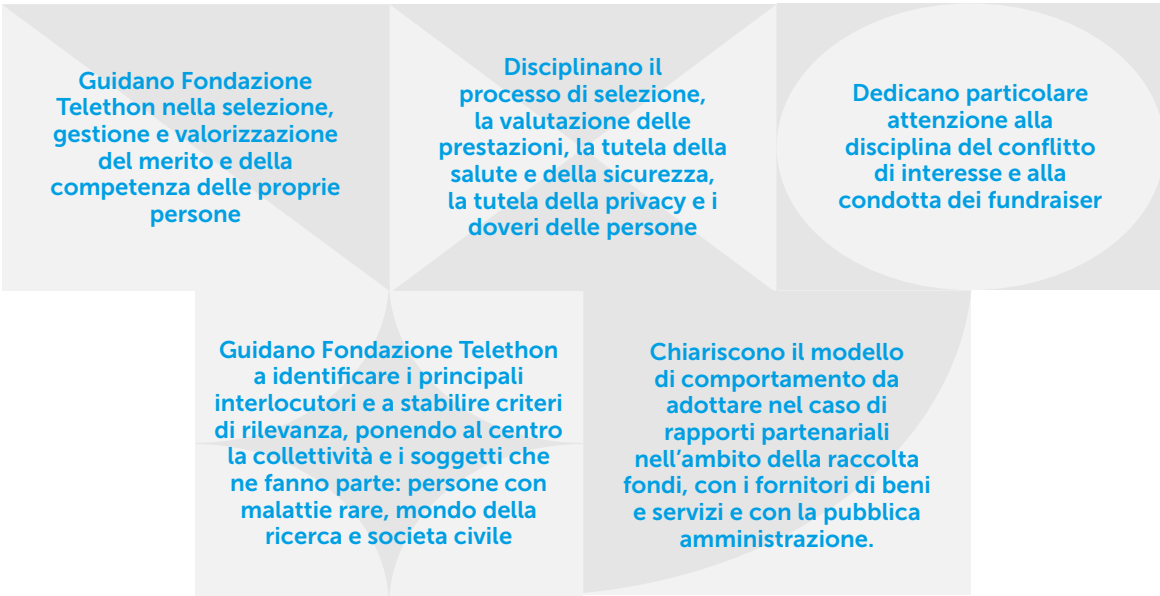
Ogni carica è gratuita, tranne i compensi degli organi di controllo (30 mila euro annui complessivi più imposte e tasse) e di vigilanza (30 mila euro annui complessivi più imposte e tasse), i gettoni di partecipazione alle riunioni della Commissione Medico-Scientifica e l'eventuale rimborso delle spese vive sostenute per svolgere l'incarico o per specifica delibera del Consiglio di Amministrazione.

Il Consiglio di Amministrazione ha facoltà di deliberare l'attribuzione di compensi per i singoli Consiglieri, a fronte di specifici incarichi; a tal proposito, per due membri del CdA è stato erogato nel 2024 un compenso medio di 56.750 euro per specifici incarichi attribuiti dal CdA, previo nulla osta da parte dell'Organo di Controllo.

Cariche gratuite, ad eccezione di:	Compensi straordinari deliberati dal CdA
• Organo di controllo → 30.000 € annui complessivi + imposte e tasse • Organo di vigilanza → 30.000 € annui complessivi + imposte e tasse • Gettoni di partecipazione per riunioni della Commissione Medico-Scientifica • Rimborso spese vive su delibera del CdA	• 2 membri del CdA hanno ricevuto un compenso medio di 56.750 € nel 2024 per incarichi specifici non legati alle attività del Consiglio

STRUTTURA DEL CODICE ETICO

I criteri di condotta nelle relazioni con il personale:





Il dialogo con gli stakeholder

Dietro ogni diagnosi, ogni terapia, ogni miglioramento nella vita di chi ha una malattia genetica rara, c'è un'impresa collettiva. Ricercatori che non si arrendono mai. Donatori e volontari che credono nella scienza. Partner industriali che trasformano le scoperte in cure accessibili. Associazioni di pazienti che tengono alta l'attenzione. Media che danno voce a chi non ne ha.

	COSA RAPPRESENTANO NELL'ECOSISTEMA DI FONDAZIONE TELETHON	COME LI COINVOLGIAMO
PERSONE CON UNA MALATTIA GENETICA RARA E LE LORO FAMIGLIE	Sono i destinatari della missione e dell'impegno nell'avanzamento della ricerca scientifica e nello sviluppo di terapie. Alle persone con malattia rara e alle loro famiglie sono dedicati sia le attività per favorire l'accoglienza presso strutture dove sottoporsi a terapia genica sia i servizi di informazione e orientamento.	• Mailing periodico • Incontri 1:1 • Collaborazione con le Associazioni di malattia • Servizio Info_rare • Biobanche • Registri di patologia • Progetto Malattie senza diagnosi • Progetto Scuole • Progetto Come a Casa • Sensibilizzazione sul sito e sui social • Sensibilizzazione su Telethon Notizie e Maratona
ASSOCIAZIONI DI MALATTIA	Sono legate a Fondazione Telethon da collaborazioni durature per promuovere la formazione e la partecipazione attiva dei pazienti, migliorare l'attenzione della società sulle malattie genetiche rare, favorendo il contatto e lo scambio tra persone che condividono le stesse situazioni. Fondazione Telethon facilita i processi di attivazione della ricerca, la partecipazione a trial clinici e l'accesso ai farmaci, per far proseguire le Associazioni consapevolmente nel percorso di una ricerca scientifica partecipata, innovativa e responsabile.	• Mailing periodico • Incontri dedicati • Occasioni di incontro e dialogo con la comunità scientifica • Progetti di formazione e webinar dedicati a tematiche di interesse • Supporto nell'organizzazione di bandi di ricerca (Progetto Seed Grant) • Supporto alla raccolta fondi • Eventi associativi territoriali • Facilitazione della relazione tra Associazioni • Questionari di valutazione e soddisfazione
RICERCATORI E COMUNITÀ SCIENTIFICA	Sono i ricercatori di Fondazione Telethon presso gli Istituti Tigem e SR-Tiget e i ricercatori finanziati presso altri Enti di ricerca. Attraverso i ricercatori, Fondazione Telethon realizza la sua missione per la ricerca di cure per le malattie genetiche rare.	• Finanziamo la loro ricerca dopo una stringente valutazione dei progetti • Mailing sulle opportunità offerte da Fondazione Telethon a sostegno della ricerca • Incontri dedicati ed eventi di visibilità • Partecipazione a network scientifici nazionali e internazionali • Indagini periodiche (biennali di soddisfazione) • Commissione Medico-Scientifica • Realizzazione ogni due anni di una Convention scientifica • Occasioni di incontro e dialogo con la comunità di pazienti
COMPONENTI DELLA GOVERNANCE, PERSONALE E COLLABORATORI	Comprendono i membri degli organi di governo, il personale non ricercatore impiegato nelle sedi di Fondazione Telethon e i collaboratori. Sulle competenze di queste persone poggia il funzionamento gestionale e organizzativo della Fondazione e la sua capacità di mantenere viva la relazione con gli stakeholder e garantire trasparenza ai sostenitori.	• Confronti periodici • Valutazione periodica delle performance • Indagini sul benessere organizzativo e lo stress lavoro-correlato • Programma di sviluppo organizzativo • Audit interni ed esterni periodici sulla salute e la sicurezza • Corsi di formazione e sostegno allo sviluppo delle abilità personali e delle competenze tecniche

	COSA RAPPRESENTANO NELL'ECOSISTEMA DI FONDAZIONE TELETHON	COME LI COINVOLGIAMO
VOLONTARI E PARTNER DI VOLONTARIATO	I volontari che condividono la missione di Fondazione Telethon e mettono a disposizione tempo e competenze contribuiscono all'operatività della Fondazione. Oltre che sulle persone attive durante gli eventi di raccolta fondi sul territorio, Fondazione Telethon può contare sui partner di volontariato, associazioni che ne sostengono le attività con le loro reti di volontari su tutto il territorio nazionale.	• Convention dei Coordinatori Provinciali di Fondazione Telethon • Indagini periodiche di soddisfazione e gradimento • Incontri di area • Newsletter e cicli di comunicazione su temi specifici • Incontri online "tra di noi" • Iniziative di formazione • Pagine dedicate all'attività di volontariato sul sito istituzionale fondazionetelethon.it
PARTNER STRATEGICI	Enti o aziende le cui competenze complementari a quelle della Fondazione consentono di accelerare lo sviluppo di terapie o l'accesso delle persone con malattie genetiche rare a servizi e/o terapie.	• Progetti di collaborazione • Monitoraggio in itinere
FORNITORI	Collaborano con la Fondazione fornendo competenze, prodotti e servizi funzionali a perseguire la missione e svolgere le attività.	• Qualificazione e monitoraggio • Progetti di collaborazione
SOSTENITORI	Persone, enti e aziende che sostengono progetti specifici o la missione di Fondazione Telethon attraverso donazioni.	• Cicli di comunicazione on e offline e aggiornamento sulla missione • Servizio donatori dedicato • Incontri fisici (es. invito alla maratona) e online • Indagini sulla qualità del Servizio Donatori, sulle preferenze di comunicazione e di tipologia di progetti e iniziative da sostenere, sulla notorietà della Fondazione
ISTITUZIONI E PUBBLICA AMMINISTRAZIONE	Possono sostenere economicamente l'attività di ricerca svolta da Fondazione Telethon presso gli Istituti e/o finanziata.	• Consultazioni istituzionali • Tavoli di lavoro • Monitoraggio e controllo
CITTADINANZA E MEDIA	Sono destinatari delle iniziative di sensibilizzazione e cambiamento culturale. Amplificano i messaggi rafforzando visibilità e legittimazione. Possono supportare Fondazione Telethon nelle campagne di raccolta fondi.	• Progetti di collaborazione • Campagne di sensibilizzazione • Progetti nelle scuole



APPROFONDIMENTI CAPITOLO 2

Bando Multi-round

La prima edizione del bando Multi-round è stata lanciata a dicembre 2021 e si è conclusa a fine 2024: quattro tornate (round) di finanziamento in tre anni che hanno portato all'attivazione di 117 progetti dedicati a 114 patologie rare, metà delle quali sono malattie neurologiche.

La struttura dell'iniziativa è pensata per agevolare i ricercatori nella pianificazione della ricerca.

Con la prospettiva di quattro occasioni di valutazione in tre anni è possibile, infatti, scegliere il momento più maturo per presentare la propria proposta. Inoltre, nel caso in cui questa non sia ritenuta idonea per il finanziamento, il ricercatore può organizzarsi per accogliere le indicazioni dei revisori e ripresentare la richiesta al round successivo.

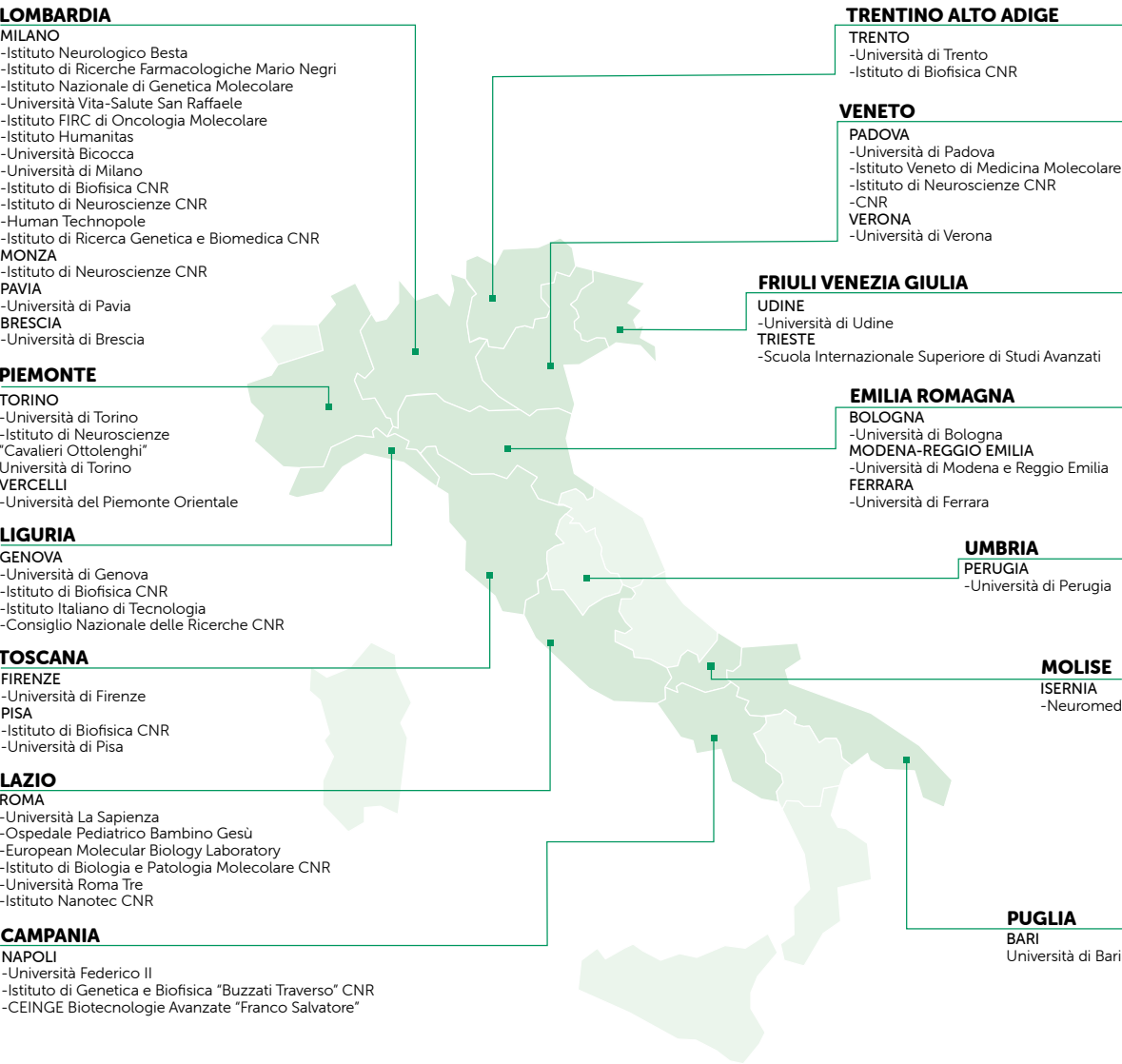
Altra caratteristica del bando è la suddivisione in due percorsi di valutazione separati per progetti che riguardano fasi diverse dello sviluppo: da una parte la ricerca di base e dall'altra i progetti "proof of concept" volti a dimostrare la fattibilità di strategie terapeutiche.

Questo incentiva i ricercatori a focalizzarsi su uno stadio di ricerca ben definito e garantisce una valutazione più equa basata sul confronto di progetti allo stesso stadio di sviluppo.

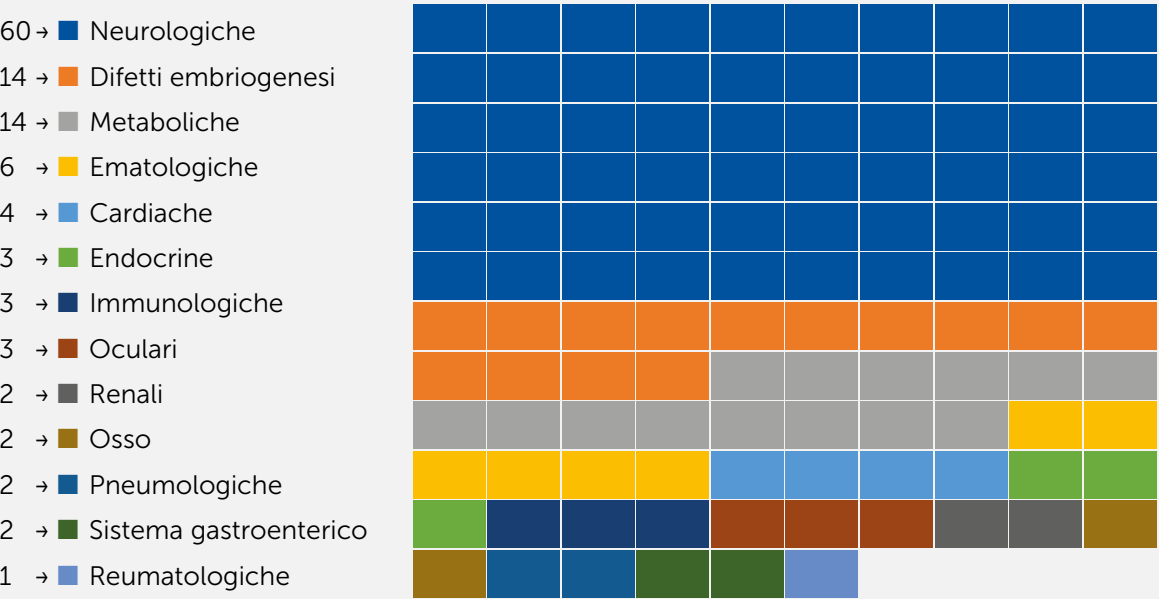
La nuova edizione del bando Multi-round, in collaborazione con la Fondazione Regionale per la Ricerca Biomedica di Regione Lombardia per il 2025,, è stata aperta il 10 febbraio 2025 e prevede tre nuove tornate di finanziamento fino al 2028.

ROUND (ANNO CDA)	PROGETTI RICEVUTI	PROGETTI FINANZIATI			
		RICERCA BASE - PROGETTI	RICERCA POC -PROGETTI	TOTALE PROGETTI	TOTALE BUDGET (€)
I (2022)	133	30	5	35	5.441.067
II (2023)	103	16	8	24	4.369.825
III (2024)	127	13	9	22	3.904.094
IV (2024)	273	25	11	36	6.347.473
TOTALE	636	84	33	117	20.062.459

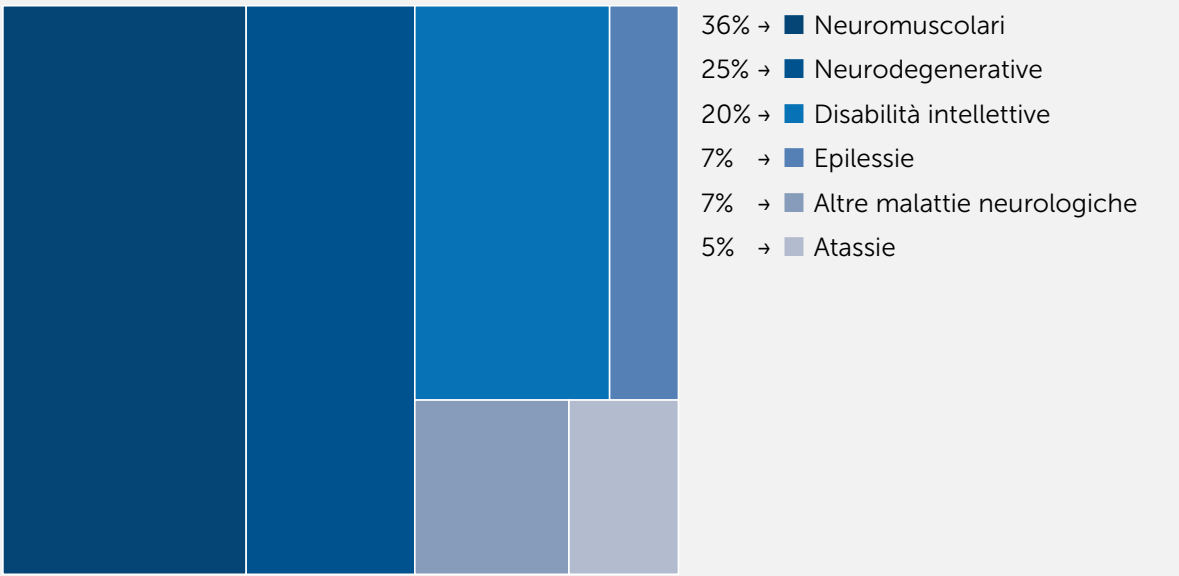
/ BANDO MULTI-ROUND 2021/2024 - FINANZIAMENTI



/ BANDO MULTI-ROUND 2021/2024 - CATEGORIE DI MALATTIE



/ BANDO MULTI-ROUND 2021/2024 - FOCUS MALATTIE NEUROLOGICHE

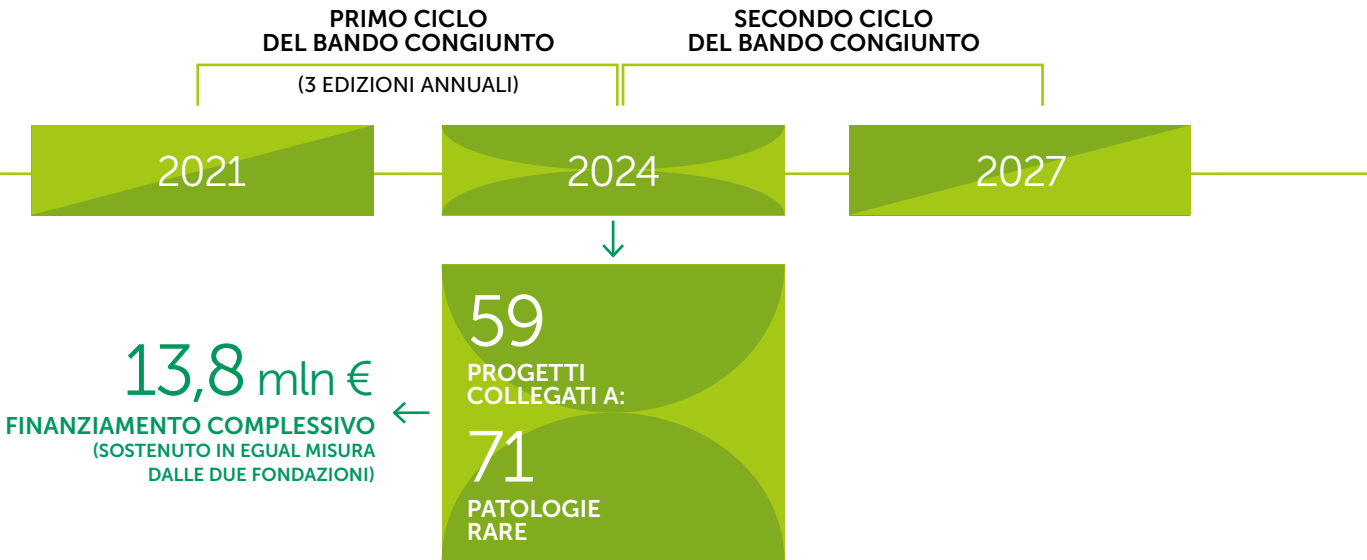


Bando congiunto con Fondazione Cariplo

Tramite l'attivazione di bandi di ricerca con il modello del co-finanziamento, Fondazione Telethon attrae altri enti finanziatori verso l'ambito delle patologie rare.

Le affinità valoriali e metodologiche con Fondazione Cariplo sono alla base di una fruttuosa collaborazione avviata nel 2021.

Obiettivo dell'iniziativa è promuovere la ricerca di base nel campo delle malattie rare, di origine genetica e non, con focus su un'area quasi totalmente inesplorata e dal grande potenziale innovativo. L'intento è, infatti, studiare l'ambito "T-dark", definizione che potremmo tradurre con "il lato oscuro del genoma": geni e famiglie geniche, proteine e molecole di RNA la cui funzione è ancora sconosciuta.



/ LE CITTÀ INTERESSATE AL FINANZIAMENTO NEL TRIENNIO 2022-2024



AriSLA, l'attuazione del Piano strategico della ricerca sulla SLA

Una ricerca "clinicamente" informata, ovvero che parta dalle caratteristiche dei pazienti, per ottenere nuovi risultati con maggiori potenzialità di ricaduta sulla clinica. È questa la visione della ricerca contenuta nel Piano Strategico 2023-2025 di Fondazione AriSLA ETS, ente non profit che finanzia e promuove la ricerca sulla SLA e che ha tra i suoi soci fondatori Fondazione Telethon ETS, insieme ad AISLA Aps, Fondazione Cariplo, Fondazione Vialli e Mauro per la Ricerca e lo Sport Onlus.

IL BANDO 2024

Per AriSLA il 2024 ha rappresentato il secondo anno di attuazione del Piano e nel Bando AriSLA 2024 sono state confermate le nuove linee di ricerca prioritarie, dando valore alle proposte di studio che considerassero la malattia dal punto di vista clinico nel paziente anche quando fossero basate su una ricerca di base e che dimostrassero di essere frutto di una efficace interazione tra ricercatori clinici e di base. Il rigoroso processo di selezione, affidato da sempre ad una commissione scientifica composta da esperti internazionali, si è concluso ad ottobre 2024 con l'individuazione di 9 innovativi progetti di ricerca, con il coinvolgimento di 15 gruppi di ricerca, a cui è stato destinato un finanziamento di 840 mila euro. Si tratta di due progetti pluriennali e multicentrici (Full Grant), che svilupperanno ambiti di studio promettenti, basati su solidi dati preliminari, e sette progetti annuali (Pilot Grant) che sperimenteranno idee innovative ed originali. Alcuni studi si focalizzeranno sulla genetica, indagando su pazienti con mutazioni rare e giovanili tramite tecnologie di analisi avanzate. Altri progetti si concentreranno sulla comprensione di meccanismi biologici, ancora poco esplorati, per aumentare la conoscenza sull'esordio della SLA, offrendo nuovi bersagli terapeutici. Altri ancora punteranno a identificare nuovi biomarcatori per una diagnosi tempestiva della SLA e monitorare la progressione della malattia e possibili approcci terapeutici su modelli di malattia.

/ PERIODO 2009-2024





Bando Seed Grant

La parola inglese “seed” significa seme: tipicamente si parla di finanziamento seed riferendosi all’iniezione di capitale nella fase iniziale di un’impresa (la start-up), cioè quando l’idea è in fase di sviluppo e non è ancora pienamente operativa. Analogamente, il bando Seed Grant serve ad avviare la ricerca su malattie o aspetti scientifici ancora inesplorati fornendo ai ricercatori l’opportunità di testare ipotesi innovative e generare una base dati solida su una linea d’indagine del tutto nuova. La prospettiva è consentire a questi “germogli” di conoscenza di irrobustirsi e diventare competitivi an-

che in altri bandi in modo da ottenere finanziamenti più consistenti e fare avanzare la ricerca. L’iniziativa si svolge in collaborazione con le associazioni di pazienti con malattie genetiche rare che desiderano investire fondi per la ricerca su patologie di proprio interesse.

Il modello, attivo dal 2019, prevede che la Fondazione metta a disposizione risorse e competenze per gestire il processo di valutazione, selezione e monitoraggio dei progetti finanziati con i fondi delle associazioni di pazienti o in maniera congiunta con la Fondazione.

67

PROGETTI TRA NUOVI FINANZIATI E I RINNOVI

33

MALATTIE GENETICHE RARE STUDIATE

33

ASSOCIAZIONI COINVOLTE



IL SONDAGGIO

Il Seed Grant è nato e si è sviluppato grazie al dialogo costante con la comunità dei pazienti. A cinque anni dalla prima edizione, Fondazione Telethon ha voluto verificare il grado di soddisfazione delle associazioni che hanno aderito all’iniziativa per migliorare il processo e garantire al bando Seed Grant un impatto sempre più significativo. Un questionario impostato con il metodo PPEET (Public and Patient Engagement Evaluation Tool), è stato somministrato online tramite la piattaforma Survey Monkey. Il PPEET è uno strumento di analisi del coinvolgimento dei pazienti validato anche in italiano, per assicurare l’affidabilità e la robustezza dei risultati ottenuti, consentendo una valutazione accurata del coinvolgimento dei pazienti stessi nel progetto. Il sondaggio garantiva l’anonimato dei partecipanti in modo da favorire la trasparenza delle risposte e un’analisi più autentica delle esperienze delle asso-

ciazioni; è stata comunque data alle associazioni che lo desiderassero la possibilità di dichiararsi in modo da discutere con loro quanto emerso in fase di compilazione. Dalle risposte ricevute emerge la generale soddisfazione circa la condivisione con Fondazione Telethon degli obiettivi del bando e il supporto informativo che il personale della Fondazione ha fornito alle associazioni mettendole nelle condizioni più adeguate per dare il proprio contributo allo svolgimento dell’iniziativa. I partecipanti hanno anche evidenziato l’efficacia del processo partecipativo alla base dei Seed Grant nel migliorare i progetti proposti tenendo conto delle esigenze espresse dalla comunità dei pazienti. Sono numerosi gli spunti raccolti sull’evoluzione dell’iniziativa Seed Grant e si declinano principalmente nella volontà di mobilitare maggiori risorse per sostenere anche progetti più complessi o indirizzati allo sviluppo clinico e garantire la continuità delle linee di ricerca avviate.

41

RAPPRESENTANTI COINVOLTI

Il questionario è stato inviato a 41 rappresentanti di Associazioni che hanno partecipato al Seed Grant tra il bando Spring 2022 e il bando Spring 2024

26

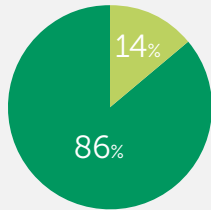
ASSOCIAZIONI INCLUSE

I partecipanti coinvolti afferiscono a 26 diverse Associazioni che hanno partecipato al Seed Grant nel periodo di riferimento

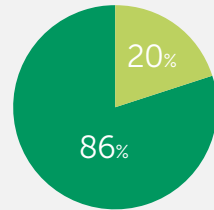
36

RISPOSTE PERVENUTE

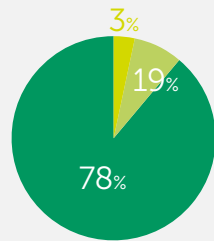
/ RISULTATI: ANALISI QUANTITATIVA



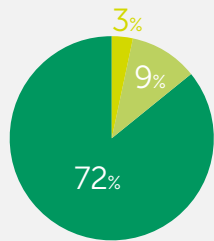
HO UNA CHIARA COMPRENSIONE DELL'OBIETTIVO DEL SEED GRANT



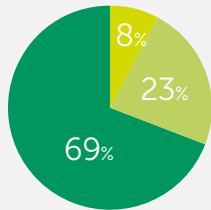
HO RICEVUTO I SUPPORTI DI CUI AVEVO BISOGNO PER PARTECIPARE ALL'INIZIATIVA SEED GRANT (ES. ORARI DEGLI INCONTRI FLESSIBILI, CONDIVISIONE IN LINGUAGGIO LAICO, INCONTRI DA REMOTO)



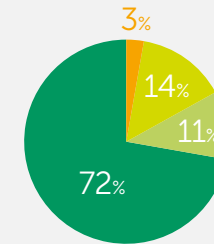
HO RICEVUTO LE INFORMAZIONI NECESSARIE PER DARE IL MIO CONTRIBUTO COME ASSOCIAZIONE DI PAZIENTI (DESCRIZIONE DEL PROGETTO, INDICAZIONI DEGLI STEP IN CUI ESSERE COINVOLTO, TIMELINE)



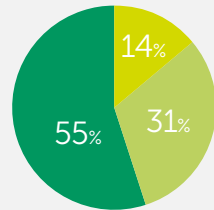
HO POTUTO ESPRIMERE LIBERAMENTE LE MIE OPINIONI



SONO SICURO CHE FONDAZIONE TELETHON TENGA IN CONSIDERAZIONE I MIEI FEEDBACK NEL CORSO DEL PROGETTO SEED GRANT



I DIVERSI PARTECIPANTI AL PROGETTO SEED GRANT (ASSOCIAZIONI DI PAZIENTI, REVISORI, TEAM DI TELETHON, RICERCATORI) HANNO RAPPRESENTATO PUNTI DI VISTA DIVERSI CHE HANNO MIGLIORATO L'EFFICACIA DEL PROGETTO



PENSO CHE IL PROGETTO SEED GRANT FACCIA LA DIFFERENZA NELL'AMBITO DELLA MISSIONE DI FONDAZIONE TELETHON



Programma malattie senza diagnosi

Per i pazienti e le famiglie che convivono con una malattia genetica rara ottenere una diagnosi della patologia è fondamentale: vuol dire uscire dal buio e dall'isolamento.

La diagnosi molecolare, cioè l'identificazione precisa del difetto genetico alla base della malattia, consente di impostare una presa in cura più adeguata per il paziente e una consulenza genetica mirata per la famiglia.

Inoltre, dare un nome alla malattia significa avere la possibilità di entrare in contatto con altre famiglie che vivono la stessa condizione, trarre vantaggio dalla loro esperienza e poter fare riferimento a una comunità che condivide sfide e obiettivi.

Nonostante i numerosi sforzi della comunità medico-scientifica e i progressi dell'analisi del DNA, molte famiglie non hanno ancora avuto accesso a una diagnosi.

Per dare una risposta a questa comunità Fondazione Telethon ha deciso di mettere a frutto la propria esperienza nell'ambito delle malattie genetiche rare e il primato dell'Istituto Telethon di Genetica e Medicina (TIGEM) nella genetica di nuova generazione creando il programma Malattie senza diagnosi (Telethon Undiagnosed Diseases Program o TUDP).

Dal 2016 il programma si rivolge a pazienti senza

diagnosi prevalentemente in età infantile.

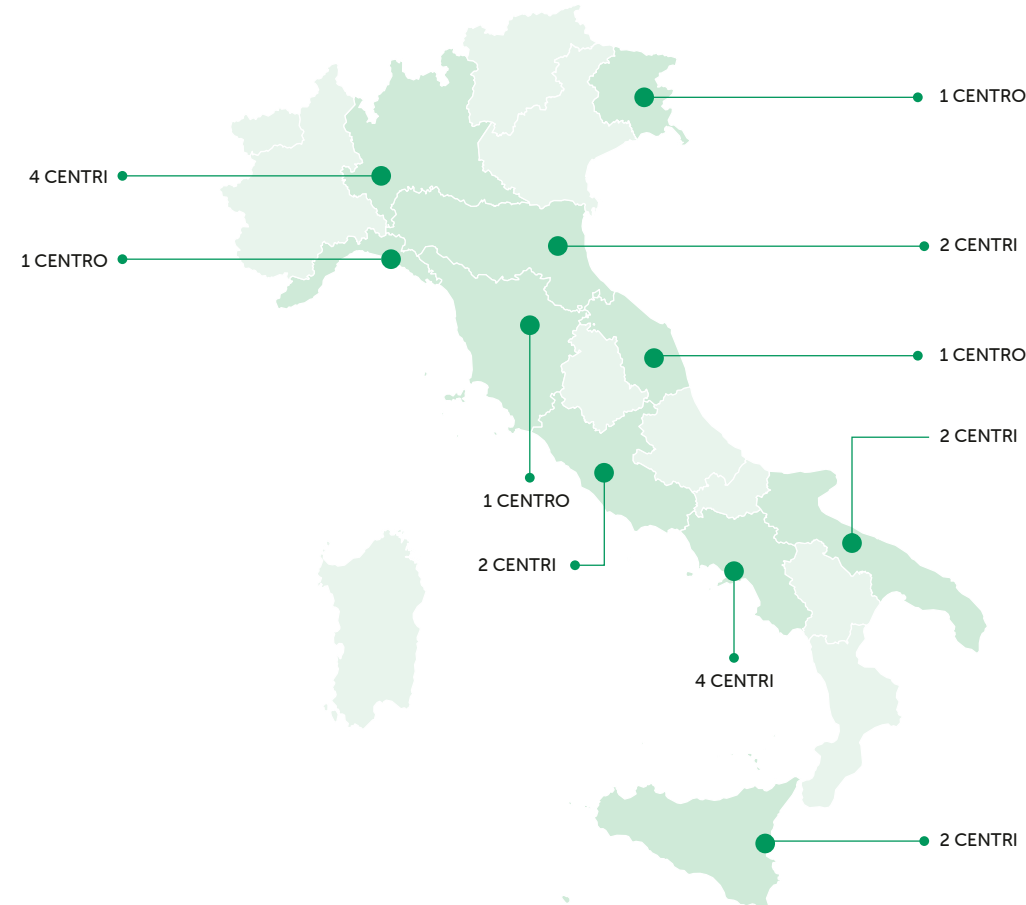
Questi sono sottoposti a una prima valutazione presso i centri clinici afferenti alla rete e diffusi sul territorio italiano (vedi mappa) per verificare che il loro caso sia affrontabile tramite le analisi genetiche che sono poi effettuate presso i laboratori del Tigem e dell'Azienda Ospedaliera Universitaria - Università degli Studi della Campania Luigi Vanvitelli.

In questi centri si applicano tecnologie all'avanguardia basate sul sequenziamento di nuova generazione di DNA e RNA che considerano l'intero patrimonio genetico (il genoma) o il trascrittoma, cioè l'insieme di tutti gli RNA derivanti dalla trascrizione dei geni; per arrivare a una diagnosi si analizzano i campioni prelevati dal paziente insieme a quelli prelevati dai genitori e in alcuni casi anche dai fratelli.

Dal 2016 al 2024 sono stati studiati mille casi che hanno portato a una diagnosi per 490 famiglie.

I pazienti per cui questa prima analisi non ha permesso di giungere a una risposta conclusiva continuano a far parte del programma. In questo modo i loro campioni potranno essere rianalizzati con strumenti bioinformatici più avanzati, con tecniche di analisi più sofisticate o sulla base di nuove informazioni genetiche e cliniche che dovessero emergere nel futuro.

/ LA RETE DEI CENTRI CLINICI TUDP



Centri clinici NeMO

Il progetto dei centri NeMO (NeuroMuscular Omicenter) nasce dalla volontà di fornire alla comunità italiana delle persone con malattie neuromuscolari una rete di riferimento per la diagnosi, la presa in cura e la ricerca.

Gestiti da Fondazione Serena Onlus, i Centri NeMO, sono otto in tutta Italia e sono nati nel 2007 grazie a Fondazione Telethon, Unione Italiana Lotta alla Distrofia Muscolare e Azienda Ospedaliera Niguarda Ca' Granda (socio fino al 2013). Si sono poi aggiunti come soci l'Associazione Italiana Sclerosi Laterale Amiotrofica Onlus, l'Associazione Famiglie Sma e l'Associazione Slanciamoci.

I centri NeMO hanno sviluppato un modello in-

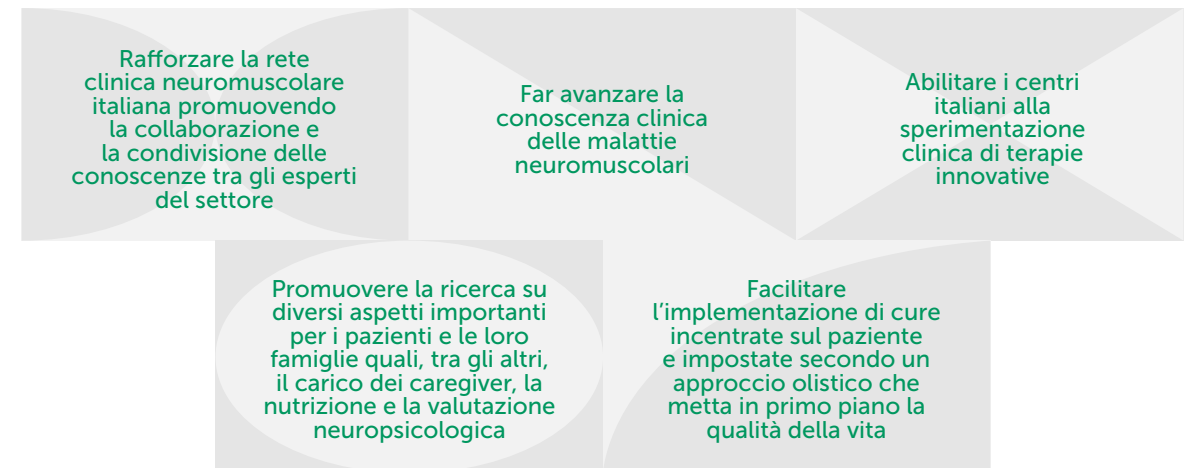
novativo e unico nel panorama internazionale per la gestione dei bisogni clinico-assistenziali dei pazienti pediatrici e adulti con malattie neuromuscolari. Secondo la filosofia del progetto NeMO il paziente è al centro del percorso di cura e una squadra multidisciplinare di professionisti collabora per rispondere al meglio alle sue esigenze di salute e di qualità della vita.

La continuità tra presa in cura e ricerca ha fatto dei centri NeMO un attore di primo piano anche per la messa a punto e la sperimentazione di protocolli clinici e lo sviluppo di ausili tecnologici in grado di migliorare la vita delle persone con malattie neuromuscolari.

Il bando clinico di Fondazione Telethon con UILDM

Il bando clinico di Fondazione Telethon con UILDM è stato istituito nel 2001 per il finanziamento di progetti di ricerca sulle malattie neuromuscolari, con particolare attenzione al miglioramento della vita quotidiana dei pazienti.

L'iniziativa nasce dalla collaborazione storica tra la Fondazione e l'Unione italiana lotta alla distrofia muscolare e negli anni ha permesso di:



Molte malattie sono state studiate grazie a questa iniziativa: la distrofia muscolare di Duchenne è stata la più studiata, seguita dalla malattia di Charcot-Marie-Tooth, dalle glicogenosi muscolari e da altri sottogruppi di distrofie muscolari.

/ PERIODO DAL 2001-2024:

15,13 mln €
FINANZIAMENTO
COMPLESSIVO

72
PROGETTI

80
CENTRI
COINVOLTI

6.500
PAZIENTI COINVOLTI
NEGLI STUDI (AL 2023)



Progetto pilota per lo screening della leucodistrofia metacromatica

La leucodistrofia metacromatica è una gravissima malattia neurodegenerativa: una diagnosi precoce può cambiare il destino di un bambino. È, infatti, disponibile una terapia genica sviluppata dall'istituto San Raffaele-Telethon per la Terapia genica (vedi pg. 40): gli studi effettuati presso l'istituto dimostrano che il trattamento è in grado di garantire ai pazienti uno sviluppo in linea con quello dei bambini sani a condizione che sia somministrato prima che la malattia inizi a manifestarsi. Attualmente, in assenza di una prassi per la diagnosi precoce, è possibile intervenire tempestivamente solo su una minoranza dei bambini affetti, individuati perlopiù a seguito della presenza in famiglia

di un fratello che abbia già manifestato la patologia. A luglio 2024 è stato attivato il progetto pilota per validare il test per la diagnosi precoce della leucodistrofia metacromatica sui bambini nati in Lombardia. Lo studio è promosso da Fondazione Telethon grazie a un accordo con la Fondazione per l'Ospedale dei Bambini Buzzi ed è coordinato dall'Ospedale dei Bambini Vittore Buzzi di Milano. Si stima che la leucodistrofia metacromatica colpisca 1 bambino su centomila e obiettivo del progetto pilota è effettuare il test su un campione di almeno centomila neonati coinvolgendo il maggior numero possibile di punti nascita nella regione.

/ NEI PRIMI OTTO MESI DALL'AVVIO DEL PROGETTO:

11.042 neonati
SOTTOPOSTI AL TEST

17 punti nascita
(SU 42 PRESENTI IN LOMBARDIA)

Start-up

Dall'interesse di investitori pubblici e privati per le scoperte scientifiche generate dalla ricerca di Fondazione Telethon sono nate diverse start-up. Fondazione Telethon promuove l'avvio di queste imprese in grado di attrarre fondi e competenze specifiche su tecnologie o strategie terapeutiche promettenti e governa il processo tramite il Business Development Office. Attualmente Telethon partecipa a cinque start-up come socio fondatore. Nelle start-up non partecipate – anche queste nate da ricerche finanziate da Fondazione Telethon – la Fondazione è co-titolare dei brevetti da cui sono nate, ma non fa parte dei soci.

PARTECIPATE	
GENESPIRE	Svilupa tecnologie per la terapia genica di malattie ereditarie, ad esempio alcune malattie metaboliche. Genespire ha sviluppato una piattaforma proprietaria di vettori lentivirali schermati dal sistema immunitario e progettati per essere iniettati nel sangue periferico da dove migrano nel fegato per inserire il gene terapeutico nel DNA delle cellule del paziente. È uno spin-off di SR-Tiget ed è stata fondata nel 2020 da Fondazione Telethon e Ospedale San Raffaele con il supporto di finanziamenti raccolti da fondi di venture capital. Le attività di ricerca e sviluppo di Genespire si svolgono presso SR-Tiget e sono guidate dagli esperti di terapia genica Luigi Naldini e Alessio Cantore. A seguito dei risultati promettenti ottenuti nella fase pre-clinica, a settembre 2024 Genespire ha concluso positivamente un nuovo round di finanziamento raccogliendo 46,6 milioni di euro per avviare lo sviluppo clinico della piattaforma. Società partecipata al 7% (al 31 dicembre 2024).
AAVANTGARDE BIO	Il focus dell'azienda è sulle terapie geniche di nuova generazione per le malattie ereditarie della retina. AAVantgarde Bio sta ottimizzando il trasferimento genico con vettori adeno-associati (AAV) tramite una piattaforma tecnologica in grado di trasferire geni di grandi dimensioni, superando così il limite attuale delle terapie geniche basate su AAV. AAVantgarde è stata co-fondata con Alberto Auricchio, a partire dalle attività di ricerca da lui svolte presso Tigem, ed è sostenuta da Sofinnova Partners. Le due piattaforme sviluppate da AAVantgarde Bio sono in fase di validazione clinica per due malattie ereditarie della retina, la sindrome di Usher di tipo 1B e la malattia di Stargardt, ma potranno essere applicate ad altre malattie. A dicembre 2024 AAVantgarde Bio ha presentato i dati di sicurezza relativi ai primi due pazienti trattati nell'ambito dello studio clinico LUCE-1 che valuta l'applicazione della tecnologia Dual-AAV nel trattamento della retinite pigmentosa associata alla sindrome di Usher 1B. Società partecipata al 12% (al 31 dicembre 2024).

INNOVAVECTOR	Progetta e sperimenta tecniche di produzione di vettori virali adeno-associati (AAV) per la terapia genica finalizzate alla veicolazione sicura di materiale genetico all'interno delle cellule da trattare. In quanto CDMO (Contract development and manufacturing organization) ha acquisito le competenze del gruppo Vector Core di Tigem che negli anni aveva consolidato la propria esperienza nella produzione di vettori adenovirali e adeno-associati per la ricerca. Dalla fine del 2022, InnovaVector persegue l'obiettivo di consolidare la propria posizione sul mercato di riferimento per la produzione dei vettori AAV. Nel 2024 il sito produttivo di Innovavector ha ottenuto l'autorizzazione GMP (Good Manufacturing Practice, norme di buona prassi di fabbricazione), necessaria alla produzione di vettori per uso nell'essere umano. Società partecipata al 48% (al 31 dicembre 2024).
NEGEDIA	Perfeziona l'applicazione dei sistemi di sequenziamento del DNA di nuova generazione alla diagnosi molecolare di malattie genetiche rare e di tumori con la prospettiva di sviluppare servizi diagnostici innovativi. Il know-how di questa impresa deriva da oltre trenta anni di esperienza di Fondazione Telethon nello studio delle malattie genetiche rare. Il laboratorio di Negedia, attivo dal 2022, è stato certificato ISO:9001 per la ricerca e per la diagnostica. Nel 2024 Negedia ha stretto una partnership con BioRep (azienda del gruppo Sapio) per potenziare la ricerca e la diagnostica con soluzioni innovative basate sul sequenziamento del DNA di nuova generazione. Società partecipata al 42% (al 31 dicembre 2024).
EPSILEN BIO (CHROMA MEDICINE)	Svilupa terapie basate sullo spegnimento stabile e duraturo dei geni coinvolti in processi patologici e lo fa applicando una tecnica per la modifica reversibile del DNA che si chiama silenziamento epigenetico. È stata fondata nel 2019, come spin-off di SR-Tiget, da Fondazione Telethon e Ospedale San Raffaele con gli esperti nella terapia genica Angelo Lombardo e Luigi Naldini. Avviata grazie a un seed funding del Fondo Sofinnova Telethon, nel 2021 è stata acquisita dalla statunitense Chroma Medicine che, tramite Epsilen Bio, continua ad avvalersi di una partnership strategica con SR-Tiget e a portare avanti attività di ricerca e sviluppo presso l'Istituto. A dicembre 2024 Chroma Medicine ha realizzato la fusione con Nvelop Therapeutics dando vita a nChroma Bio che ha concluso un round di finanziamento raccogliendo 75 milioni di euro che saranno impiegati per ottimizzare la piattaforma proprietaria di editing epigenetico e avviare gli studi clinici per il trattamento dell'epatite B cronica e della coinfezione da epatite D. Società partecipata al 0,23% (al 31 dicembre 2024).

NON PARTECIPATE	
SYBILLA BIOTECH	Spin-off creato nel 2017 a partire dalla collaborazione multidisciplinare tra l'Istituto Italiano per la Fisica Nucleare e le università di Trento e Perugia titolari di progetti di ricerca in co-finanziamento con Fondazione Telethon. Tramite simulazioni al computer e avvalendosi dell'intelligenza artificiale, Sybilla identifica e sviluppa molecole che interferiscono con il ripiegamento delle proteine impedendo a queste di acquisire la loro conformazione (e funzione) finale. La prospettiva è applicare questo approccio a proteine coinvolte nello sviluppo di patologie e finora considerate non "attaccabili" dalle strategie farmacologiche tradizionali. A marzo 2024 Sybilla Biotech ha stretto una collaborazione strategica con Ono Pharmaceutical per ricerche applicate alle patologie del sistema nervoso centrale.
IAMA THERAPEUTICS	Fondata nel 2021 a partire dalle ricerche, sostenute anche da Fondazione Telethon, di Laura Cancedda e Marco De Vivo dell'Istituto Italiano di Tecnologia di Genova. Lo spin-off sviluppa terapie innovative per patologie del sistema nervoso centrale tra cui l'epilessia e l'autismo. A febbraio 2024 IAMA Therapeutics ha avviato la sperimentazione clinica di Fase 1 su volontari sani della molecola IAMA-6 candidata per il trattamento dell'autismo.
GENENTA SCIENCE	Fondata nel 2014 a partire dalle ricerche di Luigi Naldini, è specializzata nelle terapie geniche su cellule staminali ematopoietiche applicate al cancro ed è stata la prima biotech italiana a quotarsi al Nasdaq. È titolare della piattaforma Temferon per l'applicazione ai tumori solidi di un approccio di immunoterapia basato su vettori lentivirali. A ottobre 2024 l'agenzia italiana del farmaco (AIFA) ha approvato l'avvio di uno studio clinico di fase 1 per l'applicazione di Temferon al tumore a cellule renali metastatico (mRCC). Prosegue nel frattempo con risultati promettenti la sperimentazione clinica di Temferon su pazienti affetti da glioblastoma multiforme.
TR1X	Fondata nel 2021 a partire dagli studi realizzati da Maria Grazia Roncarolo presso SR-Tiget, sviluppa terapie innovative per patologie autoimmuni e infiammatorie. La piattaforma tecnologica di TR1X mira a riprodurre l'azione delle cellule Tr1, una particolare categoria di cellule del sistema immunitario con funzione regolatoria. L'obiettivo è ottenere un prodotto terapeutico ingegnerizzando le cellule prelevate da donatori sani. Nel 2024 TR1X ha concluso positivamente un round di finanziamento raccogliendo 75 milioni di dollari per lo sviluppo clinico della piattaforma.

Alcune pubblicazioni

Migliavacca et al. SR-Tiget

Ada-Scid

NATURE MEDICINE

Long-term and real-world safety and efficacy of retroviral gene therapy for adenosine deaminase deficiency

La terapia genica per l'immunodeficienza congenita Ada-Scid sviluppata all'istituto SR-Tiget è stata tra le prime terapie avanzate al mondo a essere approvata come farmaco nel 2016. In questo articolo medici e ricercatori dell'Istituto riportano i dati di 43 pazienti trattati a partire dal 2000: 19 di questi sono stati trattati dopo la registrazione della terapia. L'osservazione dei pazienti conferma anche nel lungo periodo il rapporto favorevole tra rischi e benefici per questa terapia.

Cappelluti et al. SR-Tiget

Ipercolesterolemia familiare

NATURE

Durable and efficient gene silencing in vivo by hit-and-run epigenome editing

L'editing epigenetico consiste nella possibilità di modulare il livello di attivazione di un gene senza modificarne la sequenza. Lo studio dimostra la prima prova di efficacia a lungo termine nell'applicazione di questo approccio per spegnere, in un modello sperimentale, un gene che è coinvolto nella regolazione dei livelli di colesterolo nel sangue. Ciò apre alla possibilità di sviluppare strategie di cura per l'ipercolesterolemia familiare e di applicare questa tecnologia anche per inibire la funzione di geni coinvolti in altre patologie.

Scarfò et al. SR-Tiget

Cellule staminali del sangue

NATURE CELL BIOLOGY

CD32 captures committed haemogenic endothelial cells during human embryonic development

Per mettere a punto un protocollo in vitro in grado di produrre in modo efficiente cellule staminali del sangue da utilizzare in trapianti e terapie cellulari è essenziale chiarire come queste cellule abbiano origine durante lo sviluppo embrionale. Lo studio contribuisce alla comprensione di questi processi grazie all'identificazione e all'isolamento di tipi cellulari che, nel processo di sviluppo delle cellule staminali, sono i precursori immediati di tutte le cellule del sangue. I



ricercatori hanno dimostrato l'efficacia di queste cellule nel generare le cellule del sangue in vitro.

Calabria et al. SR-Tiget

Terapia genica

NATURE

Long-term lineage commitment in hematopoietic stem cell gene therapy

Lo studio presenta il più ampio set di dati sulla sicurezza e sulla dinamica a lungo termine della terapia genica basata su vettori lentivirali. I dati sono stati raccolti seguendo un gruppo eterogeneo di 53 pazienti con leucodistrofia metacromatica, sindrome di Wiscott Aldrich e β -talassemia per un periodo fino a 8 anni dopo il trattamento con la terapia genica. L'osservazione ha dimostrato l'effetto duraturo delle cellule staminali geneticamente corrette dopo una singola somministrazione della terapia e ha provato la sua sicurezza a lungo termine.

Consigliari et al. SR-Tiget

Sindrome di Hurler

SCIENCE TRANSLATIONAL MEDICINE

Early skeletal outcome after hematopoietic stem and progenitor cell gene therapy for Hurler syndrome

La sindrome di Hurler è la forma più grave di mucopolisaccaridosi di tipo 1 ed è dovuta alla carenza di un enzima fondamentale per la salute delle cellule. Il deficit enzimatico porta all'accumulo di sostanze tossiche in diversi organi con un danno progressivo a carico di occhi, scheletro, cuore, muscoli e sistema nervoso già a partire dal secondo anno di vita.

Questo lavoro fa il punto sui risultati sinora ottenuti nei bambini trattati con la terapia genica: in particolare, si analizzano gli effetti del trattamento sulle alterazioni delle ossa e delle articolazioni.

Settembre C and Perera RM. TIGEM

Malattie lisosomiali

NATURE REVIEWS MOLECULAR CELLULAR BIOLOGY

Lysosomes as coordinators of cellular catabolism, metabolic signalling and organ physiology

Lo studio caratterizza l'azione dei lisosomi nella regolazione dei meccanismi di degradazione delle molecole a livello cellulare, della segnalazione metabolica e della funzione degli organi. Queste funzioni li rendono fondamentali nella salute cellulare e in diverse malattie genetiche. La comprensione di questi meccanismi è cruciale per lo sviluppo di strategie di cura per le malattie da accumulo lisosomiale.

De Carluccio et al. TIGEM

Malattie genetiche

NATURE COMMUNICATIONS

Engineering a synthetic gene circuit for high-performance inducible expression in mammalian systems

Riuscire a regolare l'espressione genica è fondamentale sia come tecnica sperimentale per studiare i fenomeni cellulari alla base delle patologie genetiche sia per lo sviluppo di nuove terapie. Lo studio dimostra la messa a punto di un modello artificiale, basato su un circuito genetico sintetico altamente efficiente, in grado di controllare l'espressione genica in cellule umane. Questo modello "in silico" ha numerose potenzialità di applicazione in ambito medico e biotecnologico.

Esposito et al. TIGEM

Mucopolisaccaridosi VI

CELL REPORTS MEDICINE

Safe and effective liver-directed AAV-mediated homology-independent targeted integration in mouse models of inherited diseases

Lo studio riporta la messa a punto nei modelli sperimentali di una strategia di terapia genica diretta al fegato e basata sui vettori adeno-associati e sulla tecnica di editing genetico CRISPR-Cas9. La tecnologia sviluppata ha dimostrato di essere efficace e sicura e di non provocare effetti collaterali a lungo termine. Le osservazioni riportate nell'articolo supportano la prospettiva di applicare questa tecnica di terapia genica in ambito clinico.

Rossi et al. TIGEM

Mucopolisaccaridosi VI

MED.

Multi-year enzyme expression in patients with mucopolysaccharidosis type VI after liver-directed gene therapy

Lo studio dimostra che la terapia genica sviluppata da ricercatori e medici del Tigem è sicura ed efficace nel trattamento della mucopolisaccaridosi VI. Questa rara malattia genetica è dovuta alla carenza di un enzima e porta all'accumulo nell'organismo di zuccheri chiamati glicosaminoglicani. Già dall'infanzia l'accumulo di queste sostanze causa deformità scheletriche e bassa statura, ispessimento di alcune valvole cardiache, ingrossamento di fegato e milza e opacità della cornea. Nei pazienti trattati con la terapia genica un'unica



naturale della malattia e acquisiscono dati preziosi in una prospettiva terapeutica. Infatti, la caratterizzazione di specifici sottogruppi di pazienti con il medesimo difetto genetico potrebbe aiutare a definirne la prognosi e generare dei modelli per la progettazione di terapie future.

Vavassori et al. Fondazione Telethon

Malattie genetiche rare

FRONTIERS IN PHARMACOLOGY

Unlocking the full potential of rare disease drug development: exploring the not-for-profit sector's contributions to drug development and access

L'articolo fornisce una panoramica delle sfide e delle opportunità riguardanti lo sviluppo di farmaci per le malattie rare e, in particolare, dei prodotti di terapia genica per le patologie ultra-rare: si prendono in considerazione le limitazioni del mercato e le complessità scientifiche che scoraggiano gli investimenti farmaceutici nel settore. La strategia applicata da Fondazione Telethon per affrontare queste sfide è analizzata come modello per finanziare la ricerca e garantire l'accesso a terapie innovative. A conclusione dell'analisi, gli autori si rivolgono ai governi e agli enti regolatori affinché attuino politiche e incentivi volti a promuovere l'innovazione nello sviluppo e l'accesso alle cure per le persone affette da malattie rare e ultra-rare.

Ambrosini et al. Fondazione Telethon e AriSLA

Sclerosi laterale amiotrofica

FRONTIERS IN MEDICINE

New clinical insight in amyotrophic lateral sclerosis and innovative clinical development from the non-profit repurposing trial of the old drug guanabenz

Il riposizionamento farmacologico è una strategia che prevede l'utilizzo di farmaci già approvati per nuove indicazioni terapeutiche con il risparmio di tempi e costi rispetto allo sviluppo di nuove terapie. L'articolo riporta l'esempio di uno studio clinico accademico multicentrico finanziato dalla Fondazione AriSLA per valutare l'efficacia di un vecchio farmaco, il guanabenz, come strategia di riposizionamento nel trattamento della sclerosi laterale amiotrofica. L'articolo analizza le difficoltà gestite nello svolgimento del progetto come esempio delle barriere che i clinici coinvolti in questo tipo di studi possono incontrare e identifica i fattori di successo che hanno portato agli sviluppi ulteriori di questa strategia terapeutica.

infusione ha garantito un'espressione enzimatica stabile per oltre 3 anni, riducendo la necessità di ricorrere alla terapia sostitutiva enzimatica e migliorando la qualità della vita.

De Leonibus et al. TIGEM

Malattie da accumulo nel reticolo endoplasmatico

DEVELOPMENTAL CELL

Sestrin2 drives ER-phagy in response to protein misfolding

Lo studio analizza i processi di degradazione che avvengono nel reticolo endoplasmatico in risposta all'accumulo di nuove proteine mal ripiegate, meccanismo alla base di diverse patologie genetiche. Il team di ricerca ha dimostrato il coinvolgimento e il ruolo in queste dinamiche della proteina Sestrin2 che agisce attivando dei meccanismi di detossificazione cellulare. Lo studio apre nuove prospettive per trattare le malattie legate allo stress del reticolo endoplasmatico.

Cattaneo et al. Università di Modena e Reggio Emilia

Epidermolisi bollosa

MOLECULAR THERAPY

Allele-specific CRISPR-Cas9 editing of dominant epidermolysis bullosa simplex in human epidermal stem cells

L'epidermolisi bollosa è una rara malattia genetica della pelle che causa fragilità cutanea con lo sviluppo di vesciche ed erosioni. Lo studio riporta la messa a punto di una strategia molecolare mirata a una mutazione specifica presente in un paziente. I suoi cheratinociti, modificati in laboratorio tramite la tecnologia di editing genetico CRISPR-Cas9, hanno riacquisito le caratteristiche delle cellule staminali epidermiche sane. Lo studio apre alla possibilità di

applicare questa strategia in ambito clinico anche per altre forme di epidermolisi bollosa.

Tagliatti et al. Università di Genova

Malattia di Alzheimer

IMMUNITY

Trem2 expression in microglia is required to maintain normal neuronal bioenergetics during development

Il recettore Trem2 è espresso nella microglia cerebrale con varianti che sono associate a malattie neurodegenerative, tra cui la malattia di Alzheimer, o a rare forme di malattie neurologiche ereditarie. Lo studio dimostra che Trem2 svolge un ruolo chiave nel controllo del profilo bioenergetico di una specifica categoria di neuroni, i neuroni piramidali, durante lo sviluppo. La comprensione di questi meccanismi è cruciale per lo sviluppo di strategie mirate al trattamento delle patologie collegate a Trem2.

Sardina et al. CNR – Università di Roma La Sapienza

Paraplegie spastiche ereditarie

BRAIN

Cul-4 inhibition rescues spastin levels and reduces defects in hereditary spastic paraplegia models

Le paraplegie spastiche ereditarie sono malattie degenerative del motoneurone caratterizzate da spasticità e debolezza progressiva degli arti inferiori. La forma più comune è dovuta a difetti del gene SPG4, che codifica per la spastina: un enzima che regola la funzione dei microtubuli, gli organelli responsabili del trasporto di sostanze lungo l'assone delle cellule nervose. Lo studio chiarisce i meccanismi molecolari che regolano i livelli di questo

enzima e propone una strategia per ripristinare i livelli di spastina in un modello sperimentale della patologia. Ciò fornisce una prova di concetto per lo sviluppo di trattamenti farmacologici.

Scolz et al. Università di Milano

Malattia di Huntington

CELLULAR AND MOLECULAR LIFE SCIENCES

Neuroprotection by ADAM10 inhibition requires TrkB signaling in the Huntington's disease hippocampus

Lo studio indaga il contributo della proteina ADAM10 nello sviluppo della malattia di Huntington, dimostrando un aumento della sua attività nell'area dell'ippocampo in due modelli animali della patologia. In particolare, la delezione di ADAM10 ha portato al recupero dei difetti ultrastrutturali di specifici neuroni dell'ippocampo riattivando anche importanti meccanismi di neuroprotezione. La comprensione di questi meccanismi apre alla possibilità di sviluppare strategie per il trattamento della malattia di Huntington.

Gorgoglione et al. Università di Padova

Distrofia muscolare di Becker

BRAIN

Natural history of Becker muscular dystrophy: DMD gene mutations predict clinical severity

La distrofia di Becker è una malattia neuromuscolare attribuibile a mutazioni nel gene della distrofina che portano a una proteina carente e meno funzionale, principalmente nel muscolo scheletrico e cardiaco. Lo studio raccoglie in maniera retrospettiva i dati genetici, biochimici e clinici di 943 pazienti con diagnosi di distrofia muscolare di Becker seguiti da 17 centri clinici neuromuscolari italiani. I risultati contribuiscono a una migliore comprensione della storia



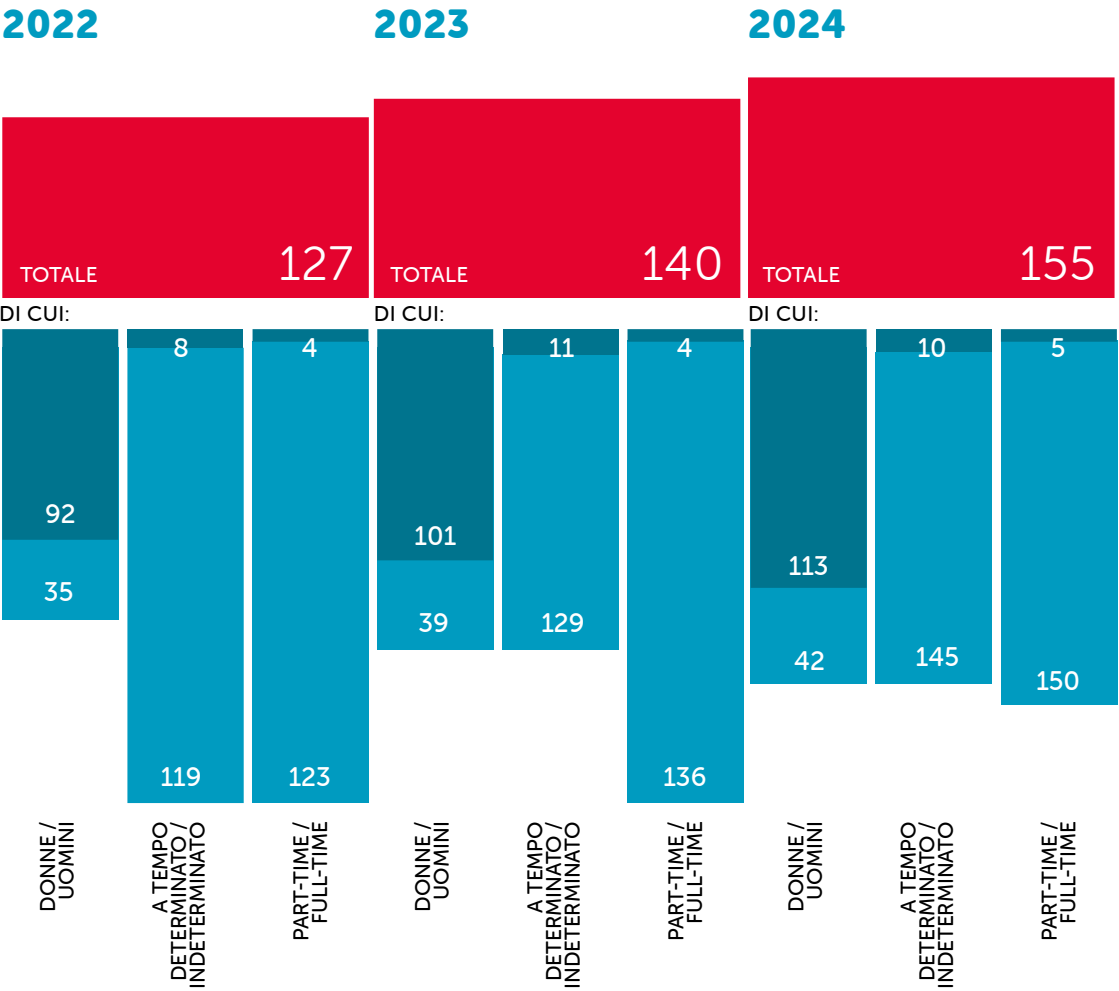
APPROFONDIMENTI CAPITOLO 3

Personale

Nel 2024 Fondazione Telethon ha potuto contare sull’impegno di 155 dipendenti, in prevalenza donne, con un’età media di 44 anni. La politica occupazionale privilegia contratti a tempo indeterminato, la quasi totalità, per costruire relazioni professionali stabili e durature. Il personale è distribuito principalmente tra Raccolta Fondi, che gestisce le relazioni con i donatori e le campagne nazionali, e Ricerca e Sviluppo, che coordina selezione e monitoraggio dei progetti scientifici e sviluppo delle terapie.

/ ANDAMENTO PER GENERE E TIPOLOGIA CONTRATTUALE DEI DIPENDENTI E DEI COLLABORATORI DI FONDAZIONE TELETHON (PERSONE)

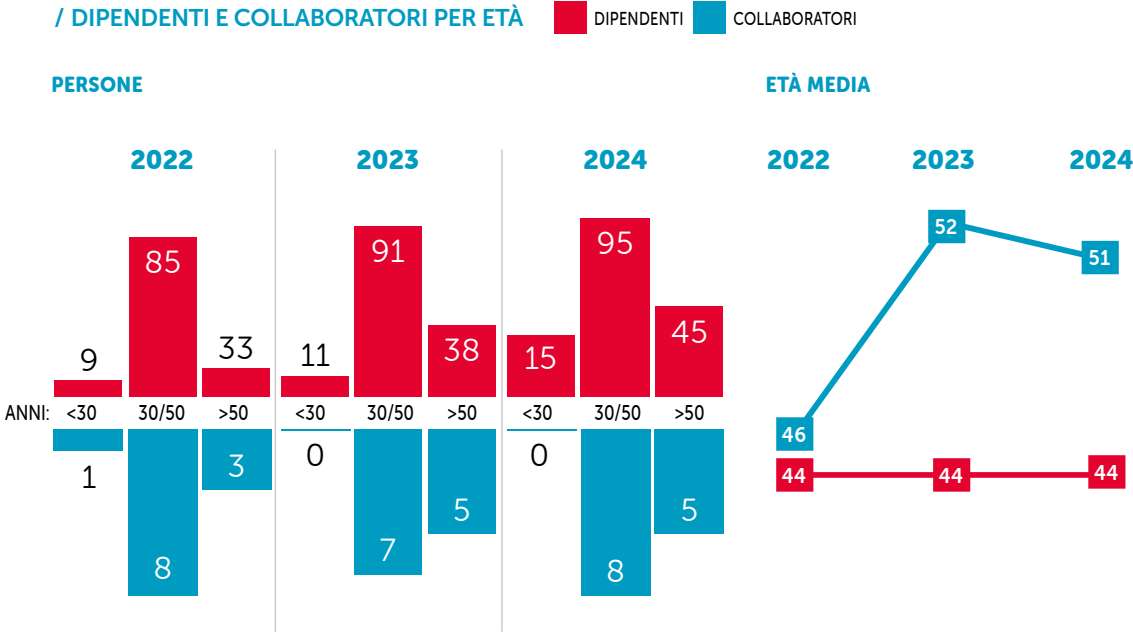
DIPENDENTI



COLLABORATORI

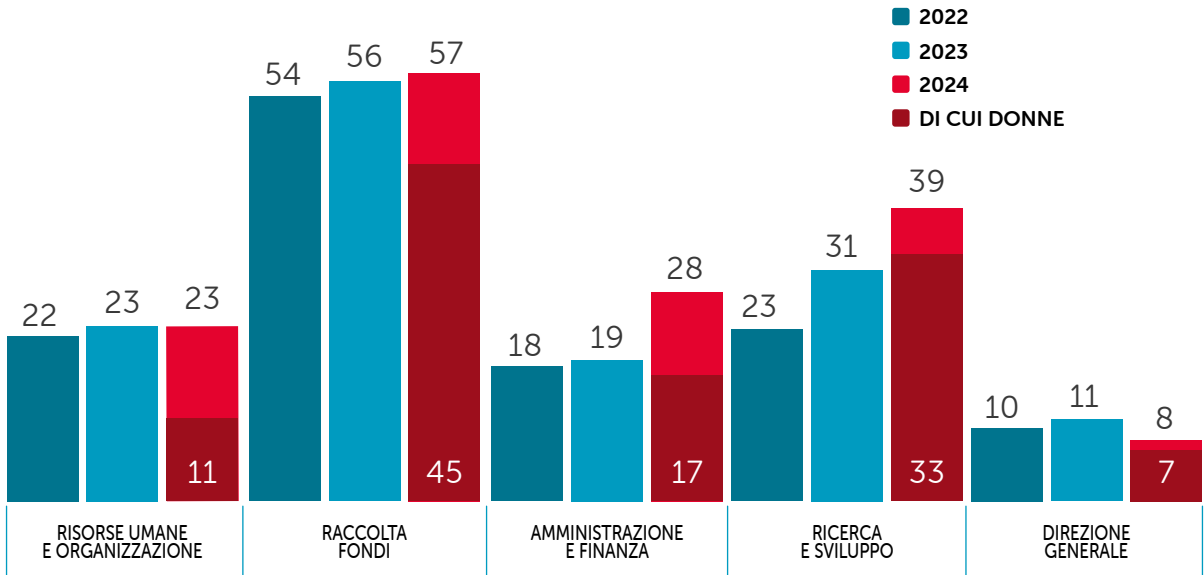


/ DIPENDENTI E COLLABORATORI PER ETÀ

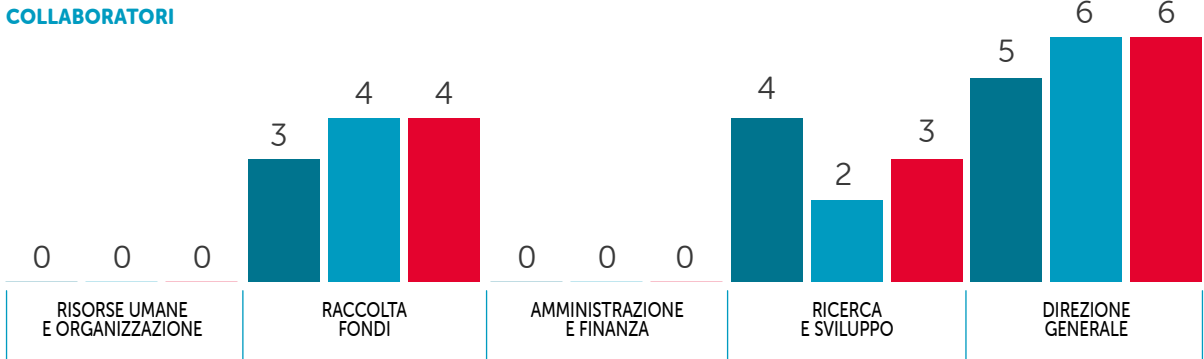


/ RIPARTIZIONE DIPENDENTI E COLLABORATORI PER AREA IN FONDAZIONE TELETHON (NUMERO)

DIPENDENTI



COLLABORATORI





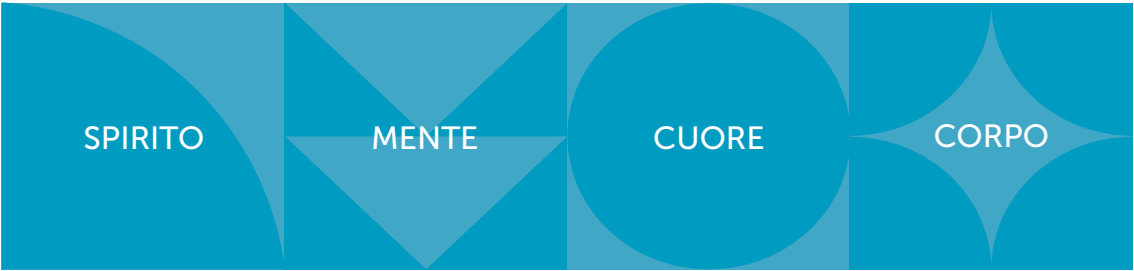
/ TURNOVER DIPENDENTI

2022		2023		2024	
11	17	6	15	11	26
NUMERO USCITE	NUMERO NUOVE ASSUNZIONI	NUMERO USCITE	NUMERO NUOVE ASSUNZIONI	NUMERO USCITE	NUMERO NUOVE ASSUNZIONI
14		12		18	
TURNOVER IN ENTRATA		TURNOVER IN ENTRATA		TURNOVER IN ENTRATA	
(n° entrate nell'anno/organico inizio anno)*100		(n° entrate nell'anno/organico inizio anno)*100		(n° entrate nell'anno/organico inizio anno)*100	
9		5		8	
TURNOVER IN USCITA (NETTO DEI PENSIONAMENTI)		TURNOVER IN USCITA (NETTO DEI PENSIONAMENTI)		TURNOVER IN USCITA (NETTO DEI PENSIONAMENTI)	
(n° uscite nell'anno al netto dei pensionamenti/organico inizio anno)*100		(n° uscite nell'anno al netto dei pensionamenti/organico inizio anno)*100		(n° uscite nell'anno al netto dei pensionamenti/organico inizio anno)*100	
9		5		8	
TURNOVER IN USCITA		TURNOVER IN USCITA		TURNOVER IN USCITA	
(n° uscite nell'anno/organico inizio anno)*100		(n° uscite nell'anno/organico inizio anno)*100		(n° uscite nell'anno/organico inizio anno)*100	

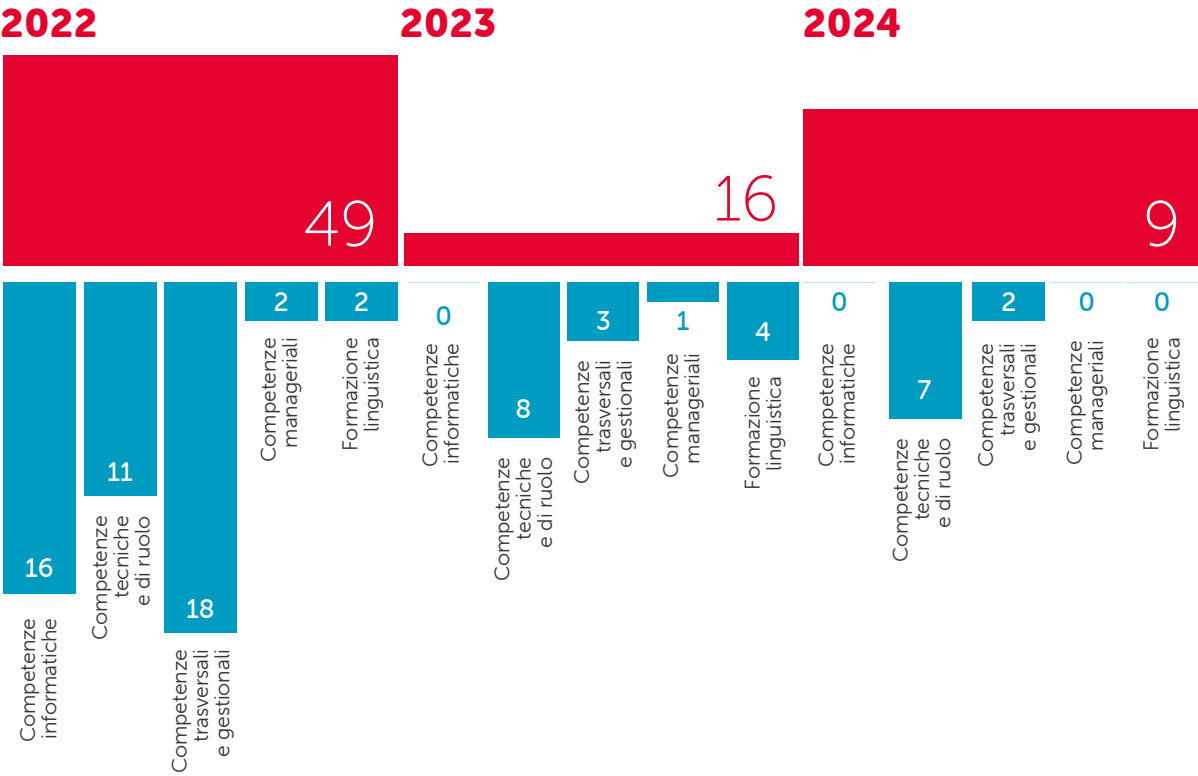
L'analisi del turnover del 2024 ha confermato il trend positivo. Nel biennio 2021-2022 la politica di assunzioni e stabilizzazioni aveva invertito il dato negativo dell'anno della pandemia, il 2020.

Sviluppo delle competenze

Coltiviamo nelle nostre persone uno sviluppo armonico che abbraccia spirito, mente, cuore e corpo. Un criterio di selezione, ma anche un percorso professionale e personale, per perseguire una missione dove ricerca scientifica e sensibilità umana devono procedere insieme.



/ RIPARTIZIONE PER TIPOLOGIA DI FORMAZIONE (NUMERO)



Benessere e Sicurezza

Fondazione Telethon promuove una leadership inclusiva dove ogni persona si sente accolta e valorizzata. L'organizzazione evolve costantemente integrando persone, spazi e tecnologie per costruire relazioni basate su fiducia e spirito di condivisione. L'equilibrio vita-lavoro è prioritario: smart working al 50%, flessibilità oraria e una piattaforma di welfare aziendale (WITH US) che offre servizi per dipendenti e famiglie. A questi si aggiungono coaching e supporto psicologico per chi ne sentisse il bisogno.

/ EQUILIBRIO VITA-LAVORO



/ BENESSERE E SUPPORTO AI DIPENDENTI



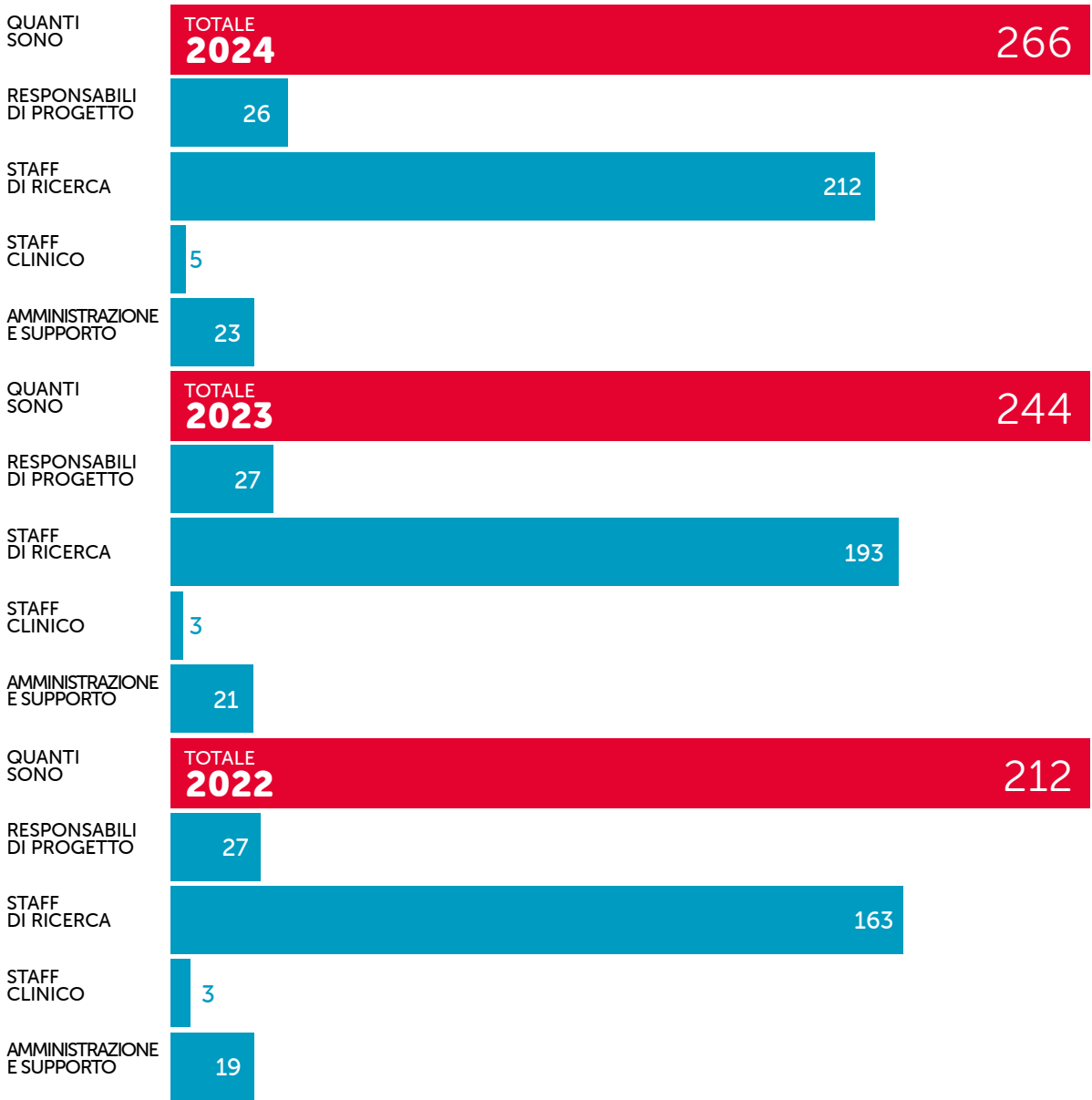
/ GENDER EQUALITY PLAN (GEP) – 2022

Nel 2022 la Fondazione ha adottato il Gender Equality Plan, che la allinea alle direttive europee. Il piano mira a combattere stereotipi, violenza di genere e disparità salariali, promuovendo l'equilibrio di genere nei processi decisionali. Un gruppo trasversale ne cura implementazione e monitoraggio.



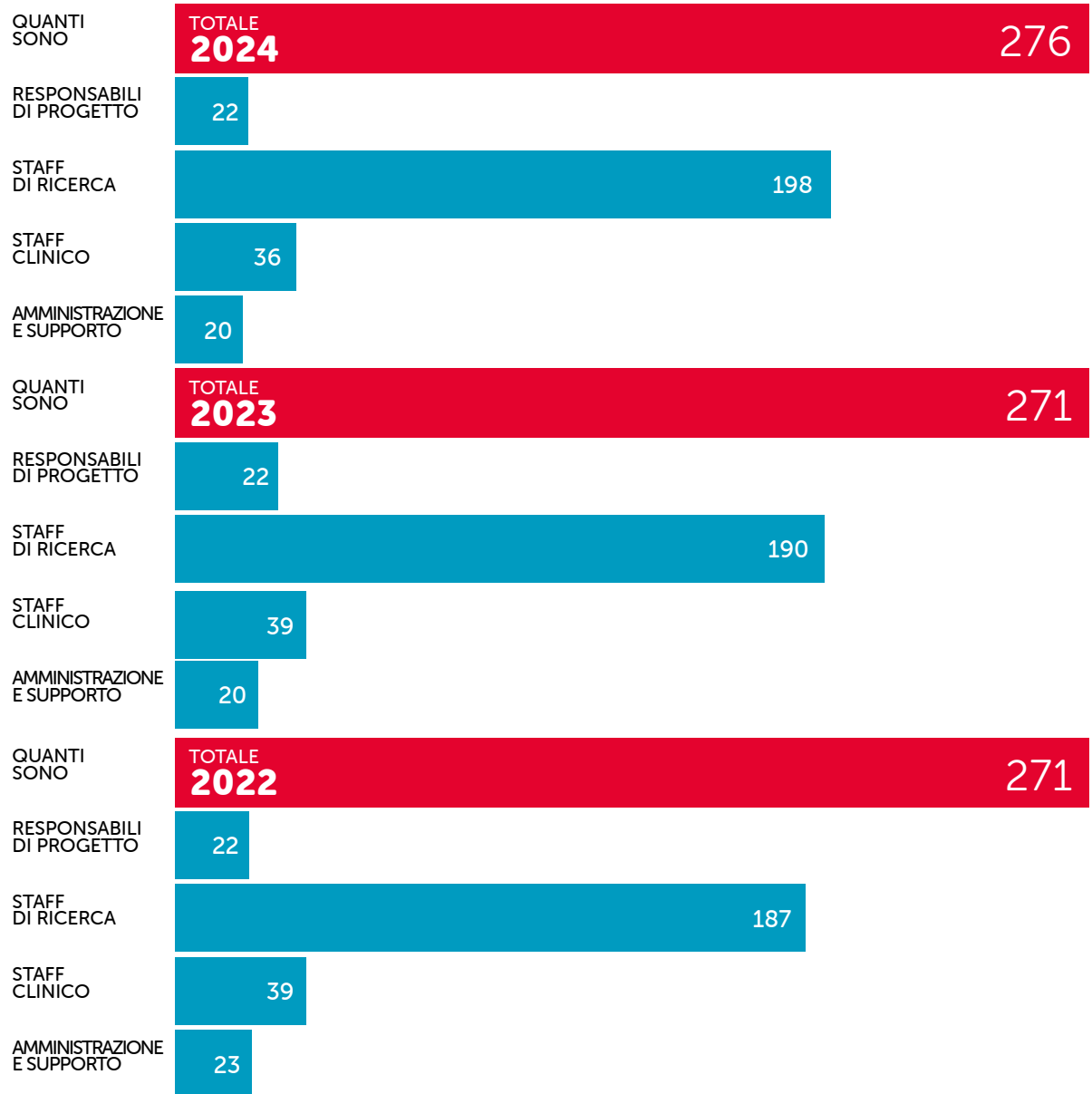
Gli Istituti

/ RIPARTIZIONE PERSONALE TIGEM (NUMERO)



Di fronte a un costante trend di crescita del personale degli Istituti confermato anche nel 2024, Fondazione Telethon ha lavorato nel 2022 a stretto contatto con uno dei principali sindacati italiani, la FIR CISL, e sotto l'attenta adesione delle istituzioni, a un nuovo contratto per chi lavora nel mondo della ricerca. Un accordo che garantisce le tutele riservate a un lavoratore ma anche la giusta flessibilità che il lavoro di ricercatore richiede.

/ RIPARTIZIONE PERSONALE SR-TIGET (NUMERO)

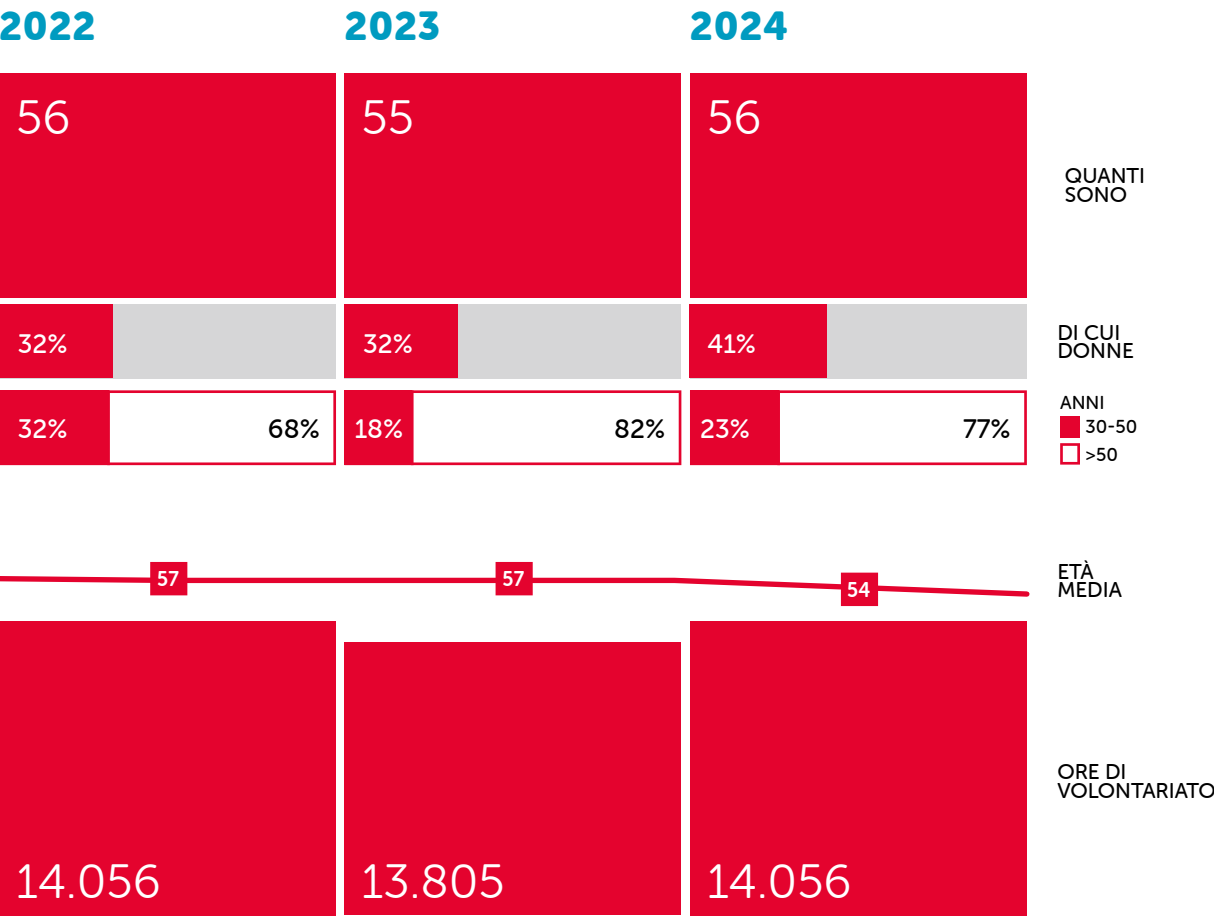


Si tratta del primo accordo collettivo nazionale per la ricerca privata non industriale e definisce per la prima volta in modo specifico e in linea con le prassi internazionali i principi e le fasi della carriera del ricercatore, dalla laurea fino alle posizioni apicali. Il contratto è riservato ai soli ricercatori della Fondazione e nel 2024 hanno aderito il 66% del personale Tigem e oltre il 34% del personale SR-Tiget.

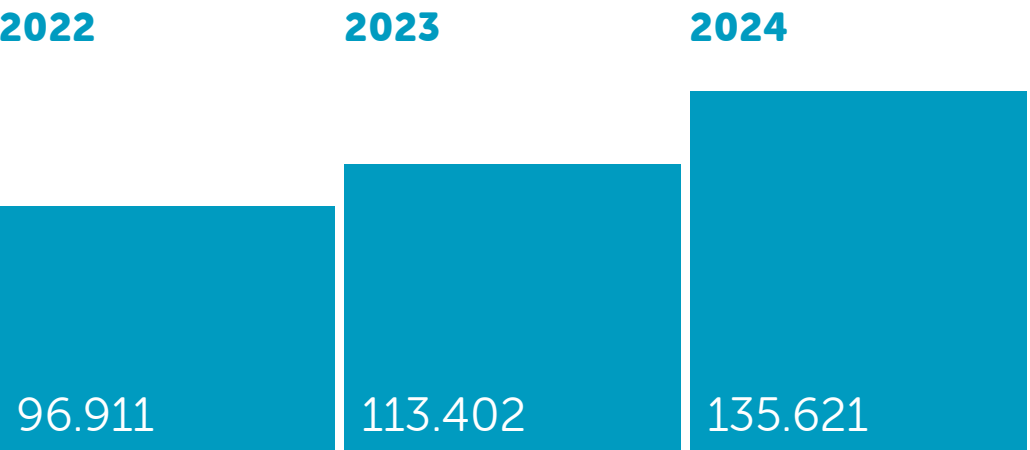
I volontari di Fondazione Telethon

I Coordinatori Provinciali guidano la rete territoriale della Fondazione. Volontari esperti, formano le squadre locali, promuovono la raccolta fondi e sensibilizzano la comunità. Sono affiancati dai volontari di staff nelle attività continuative e dai volontari di Cuore durante le campagne nazionali.

/ IL PROFILO DEI COORDINATORI PROVINCIALI



/ VALORE DEI RIMBORSI EROGATI (IN EURO)



Campagne, iniziative e collaborazioni

Il cuore pulsante della raccolta fondi per le malattie genetiche rare è costituito da volontari e associazioni. Con il loro impegno in campagne e iniziative sul territorio, rendono possibile il sostegno continuo alla ricerca scientifica e avvicinano la promessa di trovare cure efficaci.

/ ATTIVITÀ DI VOLONTARIATO PER LA RACCOLTA FONDI



/ REGIONI ITALIANE DOVE È PRESENTE IL COORDINAMENTO PROVINCIALE



SCOPRI I COORDINATORI PROVINCIALI

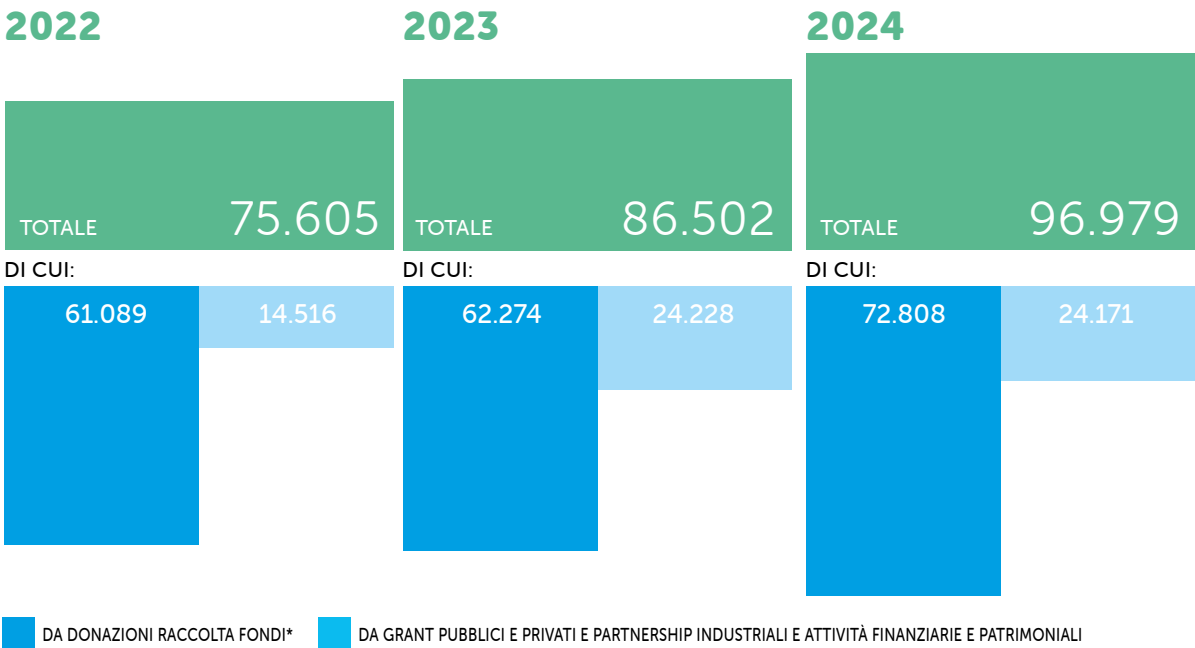


APPROFONDIMENTO CAPITOLO 4

Raccolta fondi

La Direzione Raccolta Fondi coordina le iniziative di sostegno alla Fondazione attraverso le donazioni. Il suo lavoro spazia da grandi eventi come la Maratona annuale in Rai a raccolte fondi locali e collaborazioni con aziende partner. L'obiettivo è coinvolgere persone e imprese che liberamente scelgono di partecipare alla lotta alle malattie genetiche rare. Le erogazioni liberali sono un gesto volontario di solidarietà: cittadini e organizzazioni possono donare denaro o beni per sostenere attività di carattere sociale che perseguono un interesse collettivo.

/ ANDAMENTO DEI PROVENTI E RIPARTIZIONE 2024
(IN MIGLIAIA EURO)

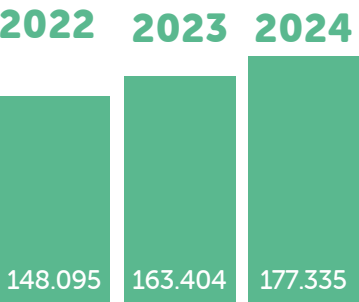


(*) Include valori inseriti in bilancio di esercizio nell'area raccolta fondi, proventi per il 5x1000 ed erogazioni liberali riferibili all'attività di raccolta fondi

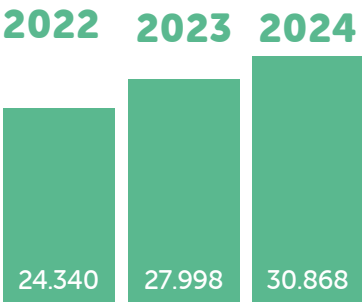
DONATORI REGOLARI

Sostengono la missione con il programma "Io adotto il futuro". Solo se le donazioni sono costanti nel tempo è possibile pianificare la ricerca, garantirle continuità, finanziare bandi e arrivare alla cura per le malattie rare.

/ NUMERO DONATORI REGOLARI



/ ANDAMENTO DEL VALORE DELLE DONAZIONI REGOLARI
(IN MIGLIAIA EURO)



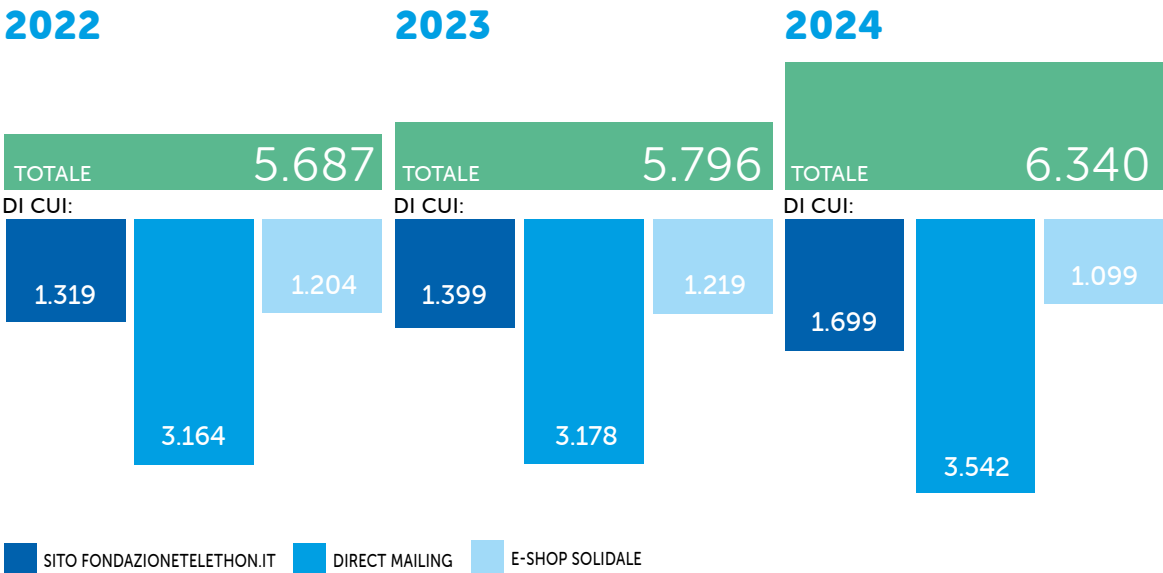
/ COME SOTTOSCRIVONO LA DONAZIONE REGOLARE



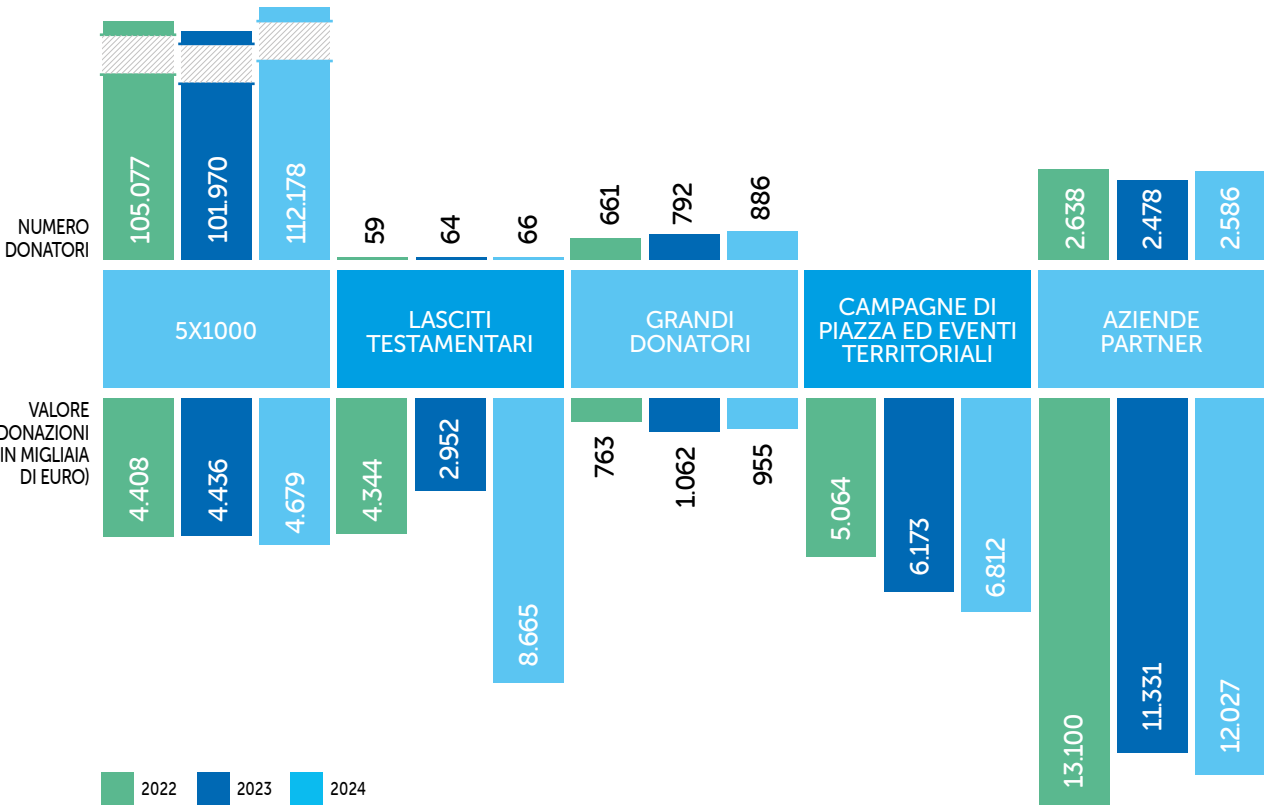
DONATORI OCCASIONALI

Dal 1990 Fondazione Telethon raccoglie donazioni occasionali da chi contribuisce alla sua missione in modo sporadico, soprattutto a fine anno durante la Maratona Rai.

/ ANDAMENTO DEL VALORE DELLE DONAZIONI OCCASIONALI
(IN MIGLIAIA EURO)



/ ANDAMENTO DELLE DONAZIONI DA ALTRI CANALI
(IN MIGLIAIA EURO)



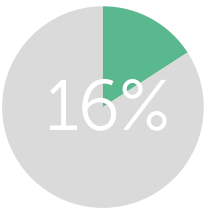


SERVIZIO DONATORI

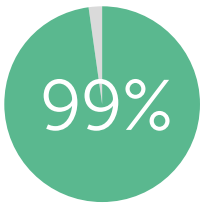
È il punto di riferimento per i donatori, uno spazio di dialogo diretto e sempre aperto. Attraverso telefono, email, chat e WhatsApp, informa e supporta i donatori, raccoglie feedback, alimenta e rafforza il legame con loro. La rivista Telethon Notizie (dal 2025 Fondazione Telethon Magazine) e le newsletter raccontano la ricerca, celebrano i momenti speciali e invitano a partecipare a nuove iniziative.

TELETHON NOTIZIE	NUMERO DI TELEFONO	INDIRIZZO EMAIL	NUMERO WHATSAPP
LA RIVISTA CARTACEA TRIMESTRALE	06 44015418	SERVIZIODONATORI@FONDAZIONE TELETHON.IT	345 8771557

/ QUESTIONARIO PER VALUTARE VELOCITÀ DI RISPOSTA, EFFICACIA E SODDISFAZIONE GENERALE



Questionari compilati



Donatori che consiglierebbero il Servizio Donatori di Fondazione Telethon

4,8

VELOCITÀ DI RISPOSTA

4,9

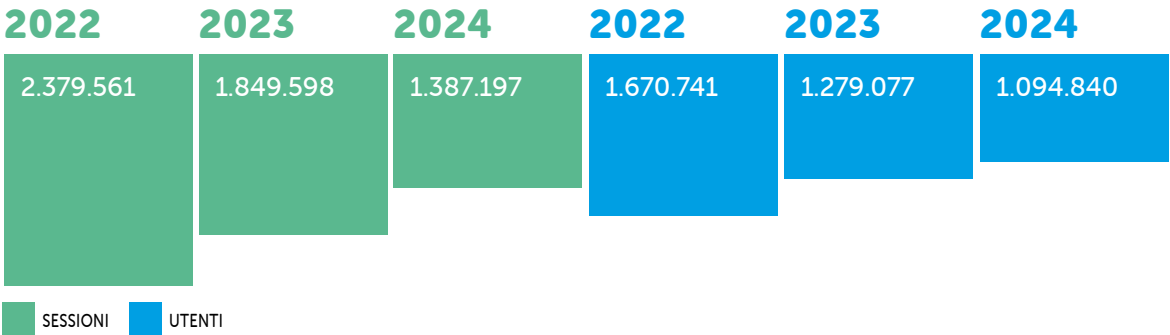
GRADO DI SODDISFAZIONE GENERALE

Punteggio da 1 a 5 dove 1 è "per niente soddisfatto" e 5 è "pienamente soddisfatto"

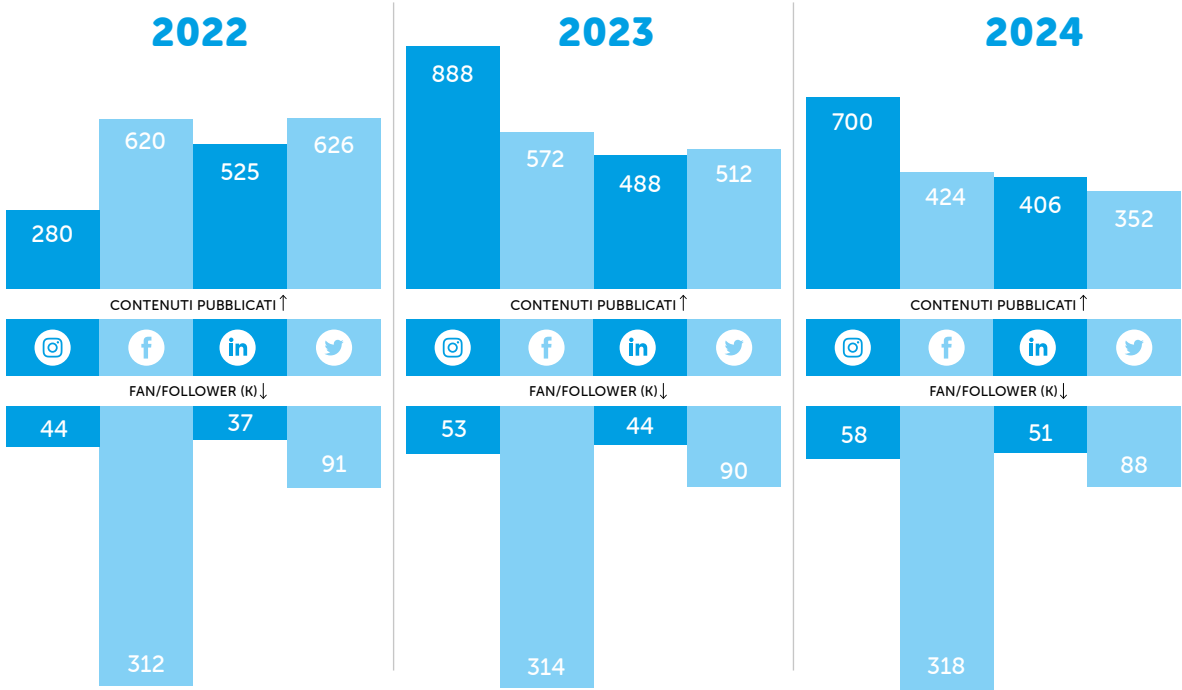
COMUNICAZIONE E SENSIBILIZZAZIONE

Comunicare significa gettare ponti, costruire legami: sfruttiamo ogni canale, soprattutto digitale, per illustrare la ricerca e i suoi risultati, sensibilizzare sulle malattie genetiche rare, coinvolgere sempre più persone perché facciano propria la nostra missione.

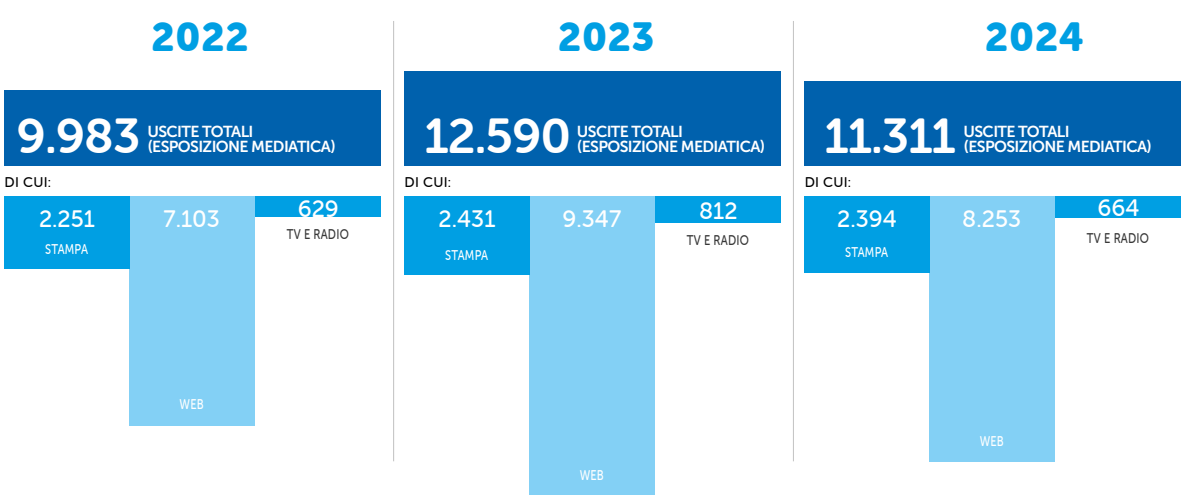
/ ANDAMENTO FONDAZIONETELETHON.IT



/ ANDAMENTO SOCIAL MEDIA



/ ESPOSIZIONE MEDIATICA





APPROFONDIMENTI CAPITOLO 5

Sintesi del rendiconto gestionale

€/1.000	2024	2023	VAR %
RICAVI, RENDITE E PROVENTI	96.979	86.502	11,9%
RICAVI, RENDITE E PROVENTI DA ATTIVITÀ DI INTERESSE GENERALE	27.445	28.406	-4%
1)Proventi da quote associative e apporti dei fondatori	-	-	-
4)Erogazioni liberali	496	1.680	-70%
5)Proventi del 5 per mille	4.679	4.436	5%
6)Contributi da soggetti privati	4.563	4.334	5%
7)Ricavi per prestazioni e cessioni a terzi	9.624	6.741	43%
8)Contributi da enti pubblici	5.649	7.627	-26%
9)Proventi da contratti con enti pubblici	-	-	-
10)Altri ricavi, rendite e proventi	947	2.096	-55%
11)Rimanenze finali	1.488	1.491	-13%
RICAVI, RENDITE E PROVENTI DA ATTIVITÀ DIVERSE	328	177	85%
3)Ricavi per prestazioni e cessioni a terzi	328	177	85%
RICAVI, RENDITE E PROVENTI DA ATTIVITÀ DI RACCOLTA FONDI	67.384	55.994	20,3%
1)Proventi da raccolta fondi abituali	38.166	34.748	10%
2)Proventi da raccolte fondi occasionali	20.726	19.629	6%
3)Altri proventi	8.492	1.617	425%
RICAVI, RENDITE E PROVENTI DA ATTIVITÀ FINANZIARIE E PATRIMONIALI	1.822	1.926	-5%
1)Da rapporti bancari	438	984	-55%
2)Da altri investimenti finanziari	-	-	-
3)Da patrimonio edilizio	2	8	-81%
4)Da altri beni patrimoniali	1.382	934	48%
5)Altri proventi	-	-	-
PROVENTI DI SUPPORTO GENERALE	-	-	-
2)Altri proventi di supporto generale	-	-	-
€/1.000	2024	2023	VAR %
COSTI E ONERI	94.390	85.336	10,2%
COSTI E ONERI DA ATTIVITÀ DI INTERESSE GENERALE	62.512	58.232	6,8%
1)Materie prime, sussidiarie, di consumo e di merci	7.892	7.458	-4%
2)Servizi	21.353	18.696	14%
3)Godimento beni di terzi	1.186	1.131	5%

€/1.000	2024	2023	VAR %
4)Personale	9.694	8.367	16%
5)Ammortamenti	1.347	1.044	29%
6)Accantonamenti per rischi ed oneri	-	-	-
7)Oneri diversi di gestione	677	984	-31%
8)Rimanenze iniziali	1.491	-	-
9)Accantonamento a riserva vincolata per decisione degli organi istituzionali	18.267	15.975	14%
10)Utilizzo riserva vincolata per decisione degli organi istituzionali	-7.757	-1.695	333%
11) Altri oneri istituzionali e ufficio scientifico	8.362	6.272	33%
COSTI E ONERI DA ATTIVITÀ DIVERSE	3	64	-95%
2)Servizi	3	4	-26%
4)Personale	-	60	-100%
COSTI E ONERI DA ATTIVITÀ DI RACCOLTA FONDI	27.103	23.284	16%
1)Oneri per raccolte fondi abituali	16.365	14.504	13%
2)Oneri per raccolte fondi occasionali	8.660	6.905	25%
3)Altri oneri	2.078	1.875	11%
COSTI E ONERI DA ATTIVITÀ FINANZIARIE E PATRIMONIALI	1.470	336	338%
1)Su rapporti bancari	275	237	16%
3)Da patrimonio edilizio	61	59	4%
4)Da altri beni patrimoniali	1.134	36	3080%
5)Accantonamenti per rischi e oneri	-	-	-
6)Altri oneri	0	4	-100%
COSTI E ONERI DI SUPPORTO GENERALE	2.981	3.281	-9,1%
1) Materie prime, sussidiarie, di consumo e di merci	13	11	13%
2) Servizi	846	1.078	-22%
3) Godimento di beni di terzi	91	90	1%
4) Personale	1.585	1.907	-17%
5) Ammortamenti	119	149	-20%
6) Accantonamenti per rischi e oneri	258	-	100%
7) Altri oneri	69	46	52%
8) Utilizzo fondi per rischi e oneri	0	0	0
IMPOSTE	320	140	129%
AVANZO/(DISAVANZO) DELL'ESERCIZIO	2.589	1.166	133%

Si rimanda al Bilancio di Esercizio e Relazione di Missione per il dettaglio dei valori e della situazione patrimoniale dell'Ente.



AVANZI E DISAVANZI DELLE SINGOLE GESTIONI (VALORI IN EURO)

Nel complesso, l'analisi degli avanzzi e dei disavanzzi relativi alle diverse gestioni mostra chiaramente l'importanza dell'attività di raccolta fondi per il normale svolgimento delle attività. Le risorse generate dalle attività di raccolta fondi, infatti, consentono di sostenere le attività di interesse generale e, in minor misura, quello derivante dalle attività di supporto.

€/1.000	2024	2023	VAR%
Attività di interesse generale	-35.067	-29.826	17%
Attività diverse	325	113	188%
Attività di raccolta fondi	40.281	32.710	23%
Attività finanziarie e patrimoniali	351	1.590	-78%
Attività di supporto generale	-2.981	-3.281	-9%

/ RIPARTIZIONE DEI PROVENTI PER GESTIONE

Attività di interesse generale	28.3%
Attività diverse	0,3%
Raccolta fondi	69.5%
Attività finanziarie e patrimoniali	1,9%
Supporto generale	0,0%

/ RIPARTIZIONE DEGLI ONERI PER GESTIONE

Attività di interesse generale	66.5%
Attività diverse	0,1%
Raccolta fondi	28,7%
Attività finanziarie e patrimoniali	1,6%
Supporto generale	3,2%

/ SUDDIVISIONE PROVENTI RF*

	2023	2024
Persone Fisiche Regolari	27.998	30.868
Persone Fisiche Occasionali	8.322	8.803
Persone Fisiche Eventi Territoriali	6.173	6.812
Persone Fisiche 5xMille	4.436	4.679
Persone Fisiche Lasciti	2.952	8.665
Persone Fisiche Grandi Donatori	1.062	955
Aziende	11.331	12.027
TOT RACCOLTA FONDI	62.274	72.808

(*) Include valori inseriti in bilancio di esercizio nell'area raccolta fondi, proventi per il 5x1000 ed erogazioni liberali riferibili all'attività di raccolta fondi.

€/1.000	2024	2023	VAR € 2024/2023	VAR % 2024/2023
VALORE ECONOMICO GENERATO	96.979	86.502	10.285	12%
Proventi da raccolta fondi (contributi, progetti, eventi)	67.384	55.994	11.391	20%
Proventi da attività istituzionali	27.445	28.406	-1.153	-4%
Altri proventi	328	177	151	85%
Proventi finanziari	1.822	1.926	-104	-5%
VALORE ECONOMICO DISTRIBUITO	82.068	69.492	11.841	17%
Costi operativi attività istituzionale	37.418	31.725	10.050	46%
Costi operativi raccolta fondi e supporto	26.270	21.843	3.037	16%
Retribuzioni, benefit e sviluppo attività istituzionale	13.037	11.042	924	9%
Retribuzioni, benefit e sviluppo raccolta fondi e supporto	5.023	4.742	423	10%
Fornitori di capitale	-	-	-	n.d.
Pagamenti alla Pubblica Amministrazione (non include IVA)	320	140	-160	-53%

€/1.000	2024	2023	VAR € 2024/2023	VAR % 2024/2023
VALORE ECONOMICO TRATTENUTO (Calcolato come differenza tra generato e distribuito)	14.911	17.010	-1.556	-9%
Ammortamenti e svalutazioni	1.812	1.564	-22	-1%
Accantonamenti e utilizzo fondi attività istituzionale	10.510	14.280	-3.965	-22%
Risultato dell'esercizio	2.589	1.166	1.555	133%

Prospetto del valore economico generato e distribuito, come da linee guida Global Reporting Initiative, basato su una riclassificazione del rendiconto gestionale del Bilancio di Esercizio, al fine di mostrare in che modo il valore economico generato da Telethon sia stato distribuito tra i principali stakeholder

Il valore economico generato da Fondazione Telethon, attraverso le attività a sostegno della ricerca sulle malattie genetiche rare, consente di remunerare le altre categorie di stakeholder, come per esempio, i ricercatori, i dipendenti, i fornitori e la pubblica amministrazione. Calcolato riclassificando i valori del rendiconto gestionale, il prospetto del **valore generato e distribuito** consente di individuare e calcolare l'impatto economico creato dalle attività di Telethon per gli stakeholder. La Fondazione ha generato un valore economico più elevato rispetto a quello del 2023 (+12%). Vi hanno contribuito la costante crescita della raccolta fondi (legate alle alte performance del canale eredità e del canale donazioni regolari), la maggiore valorizzazione del patrimonio finanziario, la capacità di attrarre risorse esterne (vedi Pnrr) grazie alla qualità della ricerca effettuata e l'assunzione di responsabilità nel portare avanti le terapie. L'aumento delle attività a supporto della ricerca risulta evidente dalla crescita del valore distribuito (quale categoria ha beneficiato degli oneri sostenuti), con un

incremento del 18%, determinato soprattutto dalla crescita dell'attività di carattere scientifico (+46%) e dall'attività di comunicazione e raccolta fondi condotta per il sostegno e supporto alla ricerca (+16%). Cresce anche il valore economico destinato alla retribuzione e al benessere del personale. Il costo del personale operante negli ambiti degli impieghi di missione ammonta a 13 milioni di euro, il 72% del costo del personale totale. La quota restante riguarda le retribuzioni del personale impiegato nella raccolta fondi (19%) e nelle attività trasversali di amministrazione, organizzazione e gestione (9%). Il **valore economico trattenuto** rappresenta la parte del valore economico generato da Fondazione Telethon ma mantenuto internamente per poter contribuire allo sviluppo futuro coniugando obiettivi futuri e sostenibilità finanziaria. Tale valore è stato pari al 15% del valore generato, a fronte del 75% impiegato nelle finalità istituzionali e distribuito agli stakeholder. L'entità del valore economico trattenuto risente degli accantonamenti a valere sulle attività istituzionali future, importanti per garantire l'operatività e lo sviluppo strategico di Telethon.

/ IMPATTO SOCIALE DEL VALORE GENERATO

	2024	2023
Valore distribuito	85%	80%
Valore trattenuto	15%	20%

/ RIPARTIZIONE DEL VALORE GENERATO

	2024	2023
Fornitori - Attività Istituzionale	38,6%	36,7%
Fornitori - Raccolta Fondi e Supporto	27,1%	25,3%
Sviluppo strategico - Attività Istituzionali e Risultato d'esercizio	15,4%	19,7%
Personale e Collaboratori - Attività Istituzionale	13,4%	12,8%
Personale e Collaboratori - Raccolta Fondi e Supporto	5,2%	5,5%
Pubblica Amministrazione	0,3%	0,2%
Istituzioni Finanziarie	0,0%	0,0%

Oltre il 65% del valore generato è distribuito ai Fornitori. Il 15% viene trattenuto per finalità strategiche. Il 19% è distribuito al Personale ed una parte residuale è destinato alla Pubblica Amministrazione. In coerenza con la missione, la maggior parte del valore distribu-

ito (pari circa al 67%) è stato destinato alla remunerazione dei fornitori e del personale afferenti alle attività istituzionali nonché al sostegno dello sviluppo strategico delle attività di missione



/ BANDO MULTIROUND DELIBERATI (Aprile 2024)				
RICERCATORE	TITOLO DEL PROGETTO	ISTITUTO	CITTÀ	TOTALE ASSEGNATO EURO
Thomas Vaccari	Un modello Drosophila della malattia di tipo B Kufs/CLN13 per studiare la patogenesi e la funzione della catepsina F	Università di Milano	Milano	79.750
Maria Passafaro	Studio del ruolo degli interneuroni positivi al parvalbumina nell'encefalopatia epilettica e dello sviluppo correlata a PCDH19 (DEE9)	Consiglio Nazionale delle Ricerche - CNR	Vedano al Lambro (MB)	159.324
Benedetto Sacchetti	Attribuzione di valenza emotiva incentivante agli stimoli sensoriali e sociali: substrati neuronali e comportamentali nel modello murino SHANK3 per i disturbi dello spettro autistico	Università di Torino	Torino	160.000
Antonella Lauri	ZERareBRAL: studio in vivo nel pesce zebra del ruolo fondamentale della disfunzione del Golgi nella patogenesi di una nuova classe di malformazioni cerebrali rare	Ospedale Pediatrico Bambino Gesù - IRCCS	Roma	144.497
Rossella Galli	Analisi del coinvolgimento di una corticogenesi anormalmente protratta nella eziologia dei difetti corticali in un modello murino postnatale della sclerosi tuberosa	Università Vita Salute San Raffaele	Milano	159.500
Antonio Frigeri	Ruolo delle mutazioni dell'isoforma Aquaporina-4 nella leucoencefalopatia megalencefalica con cisti sottocorticali	Università degli Studi di Bari Aldo Moro	Bari	142.877
Francesco Papaleo	Comunicazione tra astrociti corticali e neuroni inibitori: profili sociali opposti nelle sindromi da delezione 22q11.2 e 7q11.23	Istituto Italiano di Tecnologia (IIT)	Genova	159.988
Laura Cancedda	Ruolo della disregolazione del segnale Negr1 nella sindrome dell'X fragile e in altre rare forme sindromiche di autismo	Istituto Italiano di Tecnologia (IIT)	Genova	160.000
Francesca Carlomagno	Ruolo della ferroptosi nella patogenesi della β -talassemia	Università di Napoli Federico II	Napoli	160.000
Dario Besusso	Studio della relazione tra ripetizioni HTT CAG, instabilità somatica e disfunzione neuronale nella malattia di Huntington attraverso un approccio parallelo su cellule staminali a singola cellula	Università degli Studi di Milano Statale	Milano	158.950
Maria Elena Miranda Banos	Basi genetiche, cellulari e strutturali della patologia neurodegenerativa FENIB	Università di Roma La Sapienza	Roma	99.000
Stefano Biressi	Inibizione di C1q nella distrofia muscolare	Università di Trento	Povo (TN)	159.500
Micaela Zonta	Recupero del calcio astrocitario per contrastare la disfunzione vascolare nell'Alzheimer familiare (ACROFAD)	Consiglio Nazionale delle Ricerche - CNR	Padova	160.000
Dario Brunetti	Sviluppo di un trattamento farmacologico neonatale e di una terapia genica fetale in utero per la sindrome di Leigh - LION	Fondazione Istituto Neurologico Carlo Besta - IRCCS	Milano	240.000
Stefania Corti	Trattamento della CMT2A: potenziamento del gene MFN1 come strategia terapeutica	Università degli Studi di Milano Statale	Milano	239.470
Cinzia Rinaldo	Sviluppo e applicazione di approcci terapeutici basati sul recupero della spastina in modelli preclinici SPG4-HSP	Consiglio Nazionale delle Ricerche - CNR	Roma	220.660

RICERCATORE	TITOLO DEL PROGETTO	ISTITUTO	CITTÀ	TOTALE ASSEGNATO EURO
Luca Rampoldi	Restrizione calorica come strategia terapeutica in una malattia da accumulo reticolare endoplasmatico del rene	Università Vita Salute San Raffaele	Milano	239.690
Vania Broccoli	Nuove strategie terapeutiche per il trattamento della cecità nella sindrome di Wolfram	Consiglio Nazionale delle Ricerche - CNR	Vedano al Lambro (MB)	240.000
Alessio Branchini	Approcci di correzione traslazionale mirati a mutazioni nonsenso nell'emofilia A (TransEight)	Università di Ferrara	Ferrara	218.350
Marcella Canton	Targeting dell'enzima mitocondriale monoamino ossidasi B per il trattamento delle mucopolisaccaridosi: una strategia di riutilizzo dei farmaci	Università di Padova	Padova	217.800
Floriana Della Ragione	Squilibrio del metabolismo degli sfingolipidi in modelli murini e hiPSC per la sindrome di Rett: sviluppo di una terapia basata sul riutilizzo di farmaci	Consiglio Nazionale delle Ricerche - CNR	Napoli	224.798
Francesco Chemello	Sovraespressione dell'utrofina tramite editing preciso delle basi nei siti di legame miRNA come strategia terapeutica universale per la distrofia muscolare di Duchenne	Università di Bologna	Bologna	159.940
Multiround totale				euro 3.904.094

/ BANDO TELETHON - UILDM

RICERCATORE	TITOLO DEL PROGETTO	ISTITUTO	CITTÀ	TOTALE ASSEGNATO EURO
Mauro Monforte (Coordinatore + 1 Partner)	Sviluppo di modelli di intelligenza artificiale predittivi di progressione clinica nella distrofia muscolare facio-scapolo-omeroale: lo studio DEAL-FSHD	Fondazione Policlinico Universitario Agostino Gemelli	Roma	187.550
Alberto Zambon (Coordinatore + 9 Partner)	Caratterizzazione della storia naturale dei pazienti italiani affetti da LAMA2-RD e identificazione di nuovi biomarcatori di malattia	Università Vita Salute San Raffaele	Milano	212.698
Federica Trucco (Coordinaotre + 12 Partner)	La progressione respiratoria in pazienti adulti con distrofia muscolare di Duchenne – storia naturale, identificazione di biomarcatori e creazione di un algoritmo predittivo	Università di Genova, DINOGMI - Dipartimento di Neuroscienze, Riabilitazione, Oftalmologia, Genetica e Scienze Materno-Infantili	Genova	272.230
Valentina Varalta (Coordinatore + 2 Partner)	La paura di cadere nelle persone con distrofia muscolare: indagine del fenomeno e approccio riabilitativo multidisciplinare per il trattamento	Università di Verona, Dipartimento di Neuroscienze, Biomedicina e Movimento	Verona	185.359
Massimiliano Filosto (Coordinatore + 19 Partner)	Storia naturale e biomarcatori nella Distrofia Muscolare facio-scapolo-omeroale	Centro Clinico NeMO, Sede di Brescia	Gussago	288.005
Maria Grazie D'Angelo (Coordinatore + 19 Partner)	Transizione all'età adulta nelle persone con distrofia muscolare: meccanismi di cognizione sociale, adattamento psico-sociale, salute mentale e strategie di adattamento	Associazione La Nostra Famiglia Eugenio Medea - IRCCS	Bosisio Parini	383.342
Telethon-UILDM totale				euro 1.529.184



/ BANDO MULTIROUND DELIBERATI (Novembre 2024)

RICERCATORE	TITOLO DEL PROGETTO	ISTITUTO	CITTÀ	TOTALE ASSEGNATO EURO
Anna Christina Kajaste-Rudnitski	Studio delle alterazioni mitocondriali come nuovi bersagli terapeutici nella Sindrome di Aicardi-Goutières	Università di Pavia	Pavia	158.950
Chiara Fiorentini	Ricerca di base sui deficit cognitivi nella Sindrome di Noonan: il complesso recettoriale NMDA-D1 come nuovo target farmacologico per la gestione delle disabilità	Università degli Studi di Brescia	Brescia	118.800
Silvia Brunelli	Esplorazione del ruolo di SPP1 nel dialogo tra macrofagi e cellule osteogeniche e nel coinvolgimento nell'ossificazione eterotopica nella Fibrodisplasia Ossificante Progressiva	Università di Milano Bicocca	Milano	153.018
Michael Pusch	Studio di nuove proteine accessorie degli antiportatori endosomiali neuronali CLC-3 e CLC-4 coinvolte nei disturbi dello sviluppo neurologico	Consiglio Nazionale delle Ricerche - CNR	Genova	144.000
Maria Pennuto	Affrontare i danni al DNA e i percorsi di senescenza per identificare nuovi bersagli terapeutici per la SBMA (atrofia muscolare spinale bulbare)	Istituto Veneto di Medicina Molecolare (VIMM)	Padova	160.000
Chiara Zuccato	Esplorazione del potenziale terapeutico dell'inibizione corticale di ADAM10 nella Malattia di Huntington	Università di Milano	Milano	159.940
Marianna Leonzino	Studio di un processo mitofagico mediato da VPS13D per comprendere meglio i complessi disturbi del movimento legati a VPS13D	Consiglio Nazionale delle Ricerche - CNR	Vedano al Lambro (MB)	159.999
Alessandra Bragonzi	Asse intestino-polmone nella Fibrosi Cistica: basi fisiopatologiche per approcci diagnostici e terapeutici	Università Vita Salute San Raffaele	Milano	159.940
Paola Sacerdote	Dolore neuropatico nella malattia di Fabry: il sistema prochineticina e la neuroinfiammazione come nuovi target terapeutici	Università di Milano	Milano	159.720
Anna Fassio	Interazione tra TBC1D24 e v-ATPasi: meccanismi fisiopatologici e nuovi target terapeutici per le malattie rare da mutazioni di TBC1D24	Università di Genova	Genova	150.000
Matteo de Rosa	Progettazione razionale di inibitori dell'aggregazione amiloide della gelsolina	Consiglio Nazionale delle Ricerche - CNR	Milano	160.000
Marta Biagioli	Il cirCHTT(2,3,4,5,6) conservato evolutivamente come nuovo modificatore della malattia nella patologia di Huntington	Università di Trento	Povo (TN)	159.425
Milena Bellin	ARCADIA: mini-cuori umani per decifrare e correggere la cardiomiopatia da mutazioni di RRAGD	Università di Padova	Padova	160.000
Martina Calore	Sovraespressione mediata da AAV del DSG2 wild-type come strategia per contrastare la cardiomiopatia aritmogena del ventricolo destro	Università di Padova	Padova	79.814

RICERCATORE	TITOLO DEL PROGETTO	ISTITUTO	CITTÀ	TOTALE ASSEGNATO EURO
Maria Teresa Pallotta	Decifrare il ruolo del sistema immunitario nella Sindrome di Wolfram di tipo 1	Università di Perugia	Perugia	159.600
Chiara Marabelli	Identificazione dei target e valutazione del rischio nella CPVT2 (TIER-CPVT2)	Fondazione Salvatore Maugeri	Pavia	159.400
Gian Michele Ratto	Perché il difetto nella degradazione proteica porta a ipereccitabilità neuronale e disfunzioni corticali?	Consiglio Nazionale delle Ricerche - CNR	Pisa	156.900
Giusi Prencipe	Impatto della carenza di SLC7A7 sulla differenziazione e funzione dei macrofagi nella intolleranza alle proteine lisinuriche: implicazioni nella comprensione della malattia e nello sviluppo di nuove strategie terapeutiche	Ospedale Pediatrico Bambino Gesù - IRCCS	Roma	157.641
Chiara Lanzuolo	Analisi del recupero della funzione genomica dopo trattamento farmacologico nella Sindrome di Hutchinson-Gilford Progeria	Fondazione Istituto Nazionale di Genetica Molecolare (INGM)	Milano	160.000
Massimiliano Pagani	Studio del ruolo della proteina del Gruppo Polycomb BMI1 nelle Malformazioni Cavernose Cerebrali	IFOM ETS - Istituto Fondazione di Oncologia Molecolare	Milano	158.906
Raniero Chimienti	Impatto delle mutazioni correlate al gene WFS1 sulla disregolazione del sistema immunitario nella Sindrome di Wolfram 1	Università Vita Salute San Raffaele	Milano	159.957
Francesco Ferrari	Rimodellamento del compartimento dell'eterocromatina nella Leucodistrofia demielinizante autosomica dominante ad esordio adulto (ADLD)	IFOM ETS - Istituto Fondazione di Oncologia Molecolare	Milano	159.929
Matthieu Boulard	Individuazione di glicoproteine e geni deregolati come bersagli terapeutici nella disabilità intellettiva legata al gene OGT	European Molecular Biology Laboratory (EMBL)	Monterotondo (RM)	157.295
Mario Bortolozzi	Studio della disfunzione degli emicanali Cx32 nelle cellule di Schwann: un potenziale target terapeutico nella forma X-linked della Charcot-Marie-Tooth	Istituto Veneto di Medicina Molecolare (VIMM)	Padova	159.500
Simona Lodato	Svelare le implicazioni neurocomportamentali dei difetti congeniti dell'immunità: focus sulla sindrome WHIM	Humanitas University	Pieve Emanuele (MI)	160.000
Elisabetta Ciani	Ingegnerizzazione di probiotici per il rilascio sicuro di proteine terapeutiche nel trattamento di disturbi neuroevolutivi rari	Università di Bologna	Bologna	233.530
Federica Briani	Correzione dei difetti di PNPasi in modelli cellulari batterici e umani (RESPNP)	Università di Milano	Milano	226.380
Valentina Poletti	Evoluzione molecolare di una β-galattosidasi iperfunzionale per la terapia genica su cellule staminali ematopoietiche nella Gangliosidosi GM1	Università di Padova	Padova	219.370



/ BANDO MULTIROUND DELIBERATI (Novembre 2024)

< segue

RICERCATORE	TITOLO DEL PROGETTO	ISTITUTO	CITTÀ	TOTALE ASSEGNATO EURO
Elisabetta Colombo	nano-GLU: una protesi retinica a base di glutammato per il recupero della funzione visiva nella retinite pigmentosa	Istituto Italiano di Tecnologia (IIT)	Genova	224.850
Chiara Zucchelli	Studi sulla relazione struttura-attività dello Zn(II)-BnPyP per lo sviluppo di farmaci duali anti-prioni	Università Vita Salute San Raffaele	Milano	202.400
Laura De Rosa	EEC-Clear: verso un editing genico CRISPR/Cas allele-specifico personalizzato per il trattamento dei disturbi della superficie oculare nella sindrome EEC	Università di Modena e Reggio Emilia	Modena	240.000
Vittorio Maglione	Il metabolismo difettoso dei sialo-coniugati nella malattia di Huntington come target farmacologico per lo sviluppo di nuove strategie terapeutiche	Fondazione Neuromed	Pozzilli (IS)	220.730
Alessia Cavazza	Sviluppo di nuovi sistemi di rilascio per l'editing genetico capaci di attraversare la barriera ematoencefalica per il trattamento della malattia di Krabbe e altre malattie da accumulo lisosomiale	Università di Modena e Reggio Emilia	Modena	233.245
Marco Gaetano Lolicato	Accelerazione delle terapie per la Sindrome da Deficit di GLUT1 attraverso candidati a piccola molecola	Università di Pavia	Pavia	240.000
Valeria Marigo	Scoperta dei meccanismi molecolari alla base degli effetti neuroprotettivi dei peptidi PEDF come agenti terapeutici per la degenerazione retinica ereditaria	Università di Modena e Reggio Emilia	Modena	238.231
Emiliano Biasini	Sviluppo preclinico di composti capaci di penetrare nel cervello e arrestare la neurotossicità prionica	Università di Trento	Povo (TN)	236.000
Multiround totale			euro	6.347.472

/ BANDO CARIPLO 2024

RICERCATORE	TITOLO DEL PROGETTO	ISTITUTO	CITTÀ	TOTALE ASSEGNATO EURO
Alessia Pagani	Decifrare il ruolo della proteina simile a kielin/chordin nella regolazione dell'epcidina e la sua rilevanza nell'emocromatosi giovanile di tipo 2A.	Università Vita Salute San Raffaele	Milano	249.810
Montserrat Climent Salarich	Invertire l'instabilità vascolare: caratterizzazione di nuovi bersagli molecolari per contrastare la teleangectasia emorragica ereditaria.	Humanitas University	Pieve Emanuele (MI)	182.000
Fabio Giuseppe Pagella	Invertire l'instabilità vascolare: caratterizzazione di nuovi bersagli molecolari per contrastare la teleangectasia emorragica ereditaria.	Policlinico San Matteo Fondazione - IRCCS	Pavia	68.000
Eugenio Fornasiero	Svelare le funzioni molecolari di CCDC32: una proteina tDARK associata a disabilità intellettiva sindromica non specifica e anomalie congenite.	Università di Trieste	Trieste	248.000
Michela Ori	Studio pilota per svelare il ruolo di ZNF865 in una malattia neuroevolutiva rara e non diagnosticata (PUZZLE).	Università di Pisa	Pisa	80.410
Rossella Ginevra Tupler	Caratterizzazione della famiglia genica FRG2 nel contesto della distrofia facio-scapolo-omeroale (FHSD).	Università di Modena e Reggio Emilia	Modena	200.250
Matteo Chiara	Caratterizzazione della famiglia genica FRG2 nel contesto della distrofia facio-scapolo-omeroale (FHSD).	Università degli Studi di Milano Statale	Milano	49.500
Saverio Marchi	Caratterizzazione funzionale della proteina mitocondriale CCDC58 e del suo ruolo nell'aciduria 3-metilglutaconica di tipo 9.	Università Politecnica delle Marche	Ancona	125.000
Massimo Bonora	Caratterizzazione funzionale della proteina mitocondriale CCDC58 e del suo ruolo nell'aciduria 3-metilglutaconica di tipo 9.	Università di Ferrara	Ferrara	125.000
Giuseppina Caretti	Studio del ruolo della proteina PERM1 nella regolazione trascrizionale del metabolismo ossidativo nella distrofia muscolare di Duchenne.	Università di Milano	Milano	190.000
Fabio Penna	Studio del ruolo della proteina PERM1 nella regolazione trascrizionale del metabolismo ossidativo nella distrofia muscolare di Duchenne.	Università di Torino	Torino	60.000
Cariplo totale			euro	1.577.970



/ SEED GRANT 2024

RICERCATORE	TITOLO DEL PROGETTO	ISTITUTO	CITTÀ	TOTALE ASSEGNATO EURO
Matteo de Rosa	Basi strutturali delle miopatie della muscolatura liscia dipendenti da ACTG2.	Consiglio Nazionale delle Ricerche - CNR	Milano	49.990
Roberto Giambruno	Alterazioni delle proprietà di legame all'RNA della proteina SACSIN sono collegate allo sviluppo dell'ARSACS.	Consiglio Nazionale delle Ricerche - CNR	Roma	49.990
Nicola Facchinello	Studio del circuito cerebrale e delle alterazioni molecolari associate alla funzione di integrazione visuomotoria nel mutante zebrafish CDKL5.	Consiglio Nazionale delle Ricerche - CNR	Padova	49.992
Marco Baralle	Comprensione del meccanismo e delle conseguenze patologiche delle mutazioni sullo splicing alternativo dell'esone 5 del gene SCN8A regolato dallo sviluppo.	International Centre for Genetic Engineering and Biotechnology (ICGEB)	Trieste	49.350
Andrea Vettori	Caratterizzazione della linea mutante KO del gene SLC6A1 nel pesce zebrafish e identificazione di nuovi trattamenti farmacologici per i disturbi dello sviluppo neurologico associati a SLC6A1.	Università di Verona	Verona	49.995
Valentina Naef	Studio del ruolo della neuroinfiammazione come nodo centrale nello sviluppo di un nuovo fenotipo retinico osservato nel modello zebrafish di ARSACS.	Fondazione Stella Maris - IRCCS	Calambrone (PI)	50.000
Antonella Lauri	FishCOLler: generazione di modelli in vivo di malattia dei piccoli vasi COL4A1/A2 in embrioni di zebrafish per svelare i meccanismi patologici e le molecole potenzialmente bersaglio.	Ospedale Pediatrico Bambino Gesù - IRCCS	Roma	49.996
Antonio Fiorenzo Peverali	Valutazione di un nuovo dispositivo medico per proteggere la pelle dei pazienti XP dalla luce UV.	Consiglio Nazionale delle Ricerche - CNR	Pavia	50.000
Romina Moavero	Anomalie dell'andatura nella sclerosi tuberosa: studio clinico e neurofisiologico.	Ospedale Pediatrico Bambino Gesù - IRCCS	Roma	49.980
Leopoldo Staiano	Studio del ruolo del fattore TFEB nella patologia renale associata alla sclerosi tuberosa utilizzando nuovi modelli di organoidi renali.	Telethon Institute of Genetics and Medicine (Tigem)	Pozzuoli (NA)	49.999
Giuseppantonio Maisetta	Valutazione di nuovi inibitori delle proteasi in vitro e in modelli animali come terapia antivirulenza contro le infezioni da Pseudomonas aeruginosa nei pazienti con discinesia ciliare primaria.	Università di Pisa	Pisa	35.007
Francesco Cecconi	Esplorazione del ruolo della regolazione dell'autofagia e dell'omeostasi mitocondriale nella HMSN di tipo Okinawa: meccanismi molecolari e opportunità cliniche.	Università Cattolica del Sacro Cuore	Roma	49.980
Paolo Grumati	Studio delle relazioni intrecciate tra GLUT1 sano e mutato utilizzando composti approvati dalla FDA per identificare un approccio terapeutico.	Telethon Institute of Genetics and Medicine (Tigem)	Pozzuoli (NA)	69.990
Paolo Monti	Terapia cellulare per la GLUT1-DS mediante progenitori endoteliali ingegnerizzati con GLUT1 diretto.	Università Vita Salute San Raffaele	Milano	70.000
Seed Grant totale			euro	724.270

/ PROGETTO SPECIALE PIATTAFORMA DMD 2024

RICERCATORE	TITOLO DEL PROGETTO	ISTITUTO	CITTÀ	TOTALE ASSEGNATO EURO
Eugenio Maria Mercuri	Storia naturale nei ragazzi e nei giovani adulti deambulanti e non deambulanti con distrofia muscolare di Duchenne.	Fondazione Policlinico Universitario Agostino Gemelli	Roma	79.200
Marina Pedemonte	Storia naturale nei ragazzi e nei giovani adulti deambulanti e non deambulanti con distrofia muscolare di Duchenne.	Istituto Giannina Gaslini - IRCCS	Genova	28.875
Michela Catteruccia	Storia naturale nei ragazzi e nei giovani adulti deambulanti e non deambulanti con distrofia muscolare di Duchenne.	Ospedale Pediatrico Bambino Gesù - IRCCS	Roma	31.075
Claudia Dosi	Storia naturale nei ragazzi e nei giovani adulti deambulanti e non deambulanti con distrofia muscolare di Duchenne.	Fondazione Istituto Neurologico Carlo Besta - IRCCS	Milano	21.175
Angela Berardinelli	Storia naturale nei ragazzi e nei giovani adulti deambulanti e non deambulanti con distrofia muscolare di Duchenne.	Fondazione Istituto Neurologico Nazionale Casimiro Mondino - IRCCS	Pavia	21.175
Federica Ricci	Storia naturale nei ragazzi e nei giovani adulti deambulanti e non deambulanti con distrofia muscolare di Duchenne.	"Azienda Ospedaliera Città della Salute e della Scienza di Torino"	Torino	21.175
Luca Bello	Storia naturale nei ragazzi e nei giovani adulti deambulanti e non deambulanti con distrofia muscolare di Duchenne.	"Università Padova"	Padova	28.875
Maria Sframeli	Storia naturale nei ragazzi e nei giovani adulti deambulanti e non deambulanti con distrofia muscolare di Duchenne.	Azienda Ospedaliera Policlinico Universitario "G. Martino"	Messina	28.875
Gabriele Siciliano	Storia naturale nei ragazzi e nei giovani adulti deambulanti e non deambulanti con distrofia muscolare di Duchenne.	Università di Pisa	Pisa	12.375
Silvia Frosini	Storia naturale nei ragazzi e nei giovani adulti deambulanti e non deambulanti con distrofia muscolare di Duchenne.	Fondazione Stella Maris - IRCCS	Calambrone (PI)	12.375
Melania Giannotta	Storia naturale nei ragazzi e nei giovani adulti deambulanti e non deambulanti con distrofia muscolare di Duchenne.	Istituto delle Scienze Neurologiche di Bologna - IRCCS	Bologna	21.175
Vincenzo Nigro	Storia naturale nei ragazzi e nei giovani adulti deambulanti e non deambulanti con distrofia muscolare di Duchenne.	Università della Campania ex Seconda Università di Napoli	Napoli	15.125
Valeria Sansone	Storia naturale nei ragazzi e nei giovani adulti deambulanti e non deambulanti con distrofia muscolare di Duchenne.	Centro Clinico NeMO	Milano	28.875
Francesca Magri	Storia naturale nei ragazzi e nei giovani adulti deambulanti e non deambulanti con distrofia muscolare di Duchenne.	Fondazione IRCCS Ca' Granda - Ospedale Maggiore Policlinico	Milano	15.125
Eleonora Diella	Storia naturale nei ragazzi e nei giovani adulti deambulanti e non deambulanti con distrofia muscolare di Duchenne.	Associazione La Nostra Famiglia Eugenio Medea - IRCCS	Bosisio Parini (LC)	21.175
Stefano Previtali	Storia naturale nei ragazzi e nei giovani adulti deambulanti e non deambulanti con distrofia muscolare di Duchenne.	Università Vita Salute San Raffaele	Milano	12.375
Progetto Speciale Piattaforma DMD totale			euro	399.025



7

Allegati



7.1 Indice dei contenuti

Global Reporting Initiative

DICHIARAZIONE D'USO	Fondazione Telethon ETS ha rendicontato le informazioni citate in questo indice dei contenuti GRI per il periodo dal 1/1/2024 al 31/12/2024 con riferimento agli Standard GRI.
GRI 1	Principi Fondamentali – Versione 2021

INDICATORE	DESCRIZIONE	CORRISPONDENZA
CGRI 2	Informativa Generale – Versione 2021	
L'organizzazione e le sue prassi di rendicontazione		
2-1	Dettagli sull'organizzazione	Par. 1.1
2-2	Entità giuridiche incluse nella rendicontazione	nota metodologica
2-3	Periodo di rendicontazione, frequenza e responsabilità	nota metodologica
2-4	Revisione delle informazioni contenute nel bilancio precedente	nota metodologica
Attività e organico		
2-6	Attività, filiera e accordi	Cap. 2 + Approf. cap. 2
2-7	Dipendenti	Par. 3.1 + Approf. cap. 3
2-8	Collaboratori e altre figure professionali	Par. 3.1 + Approf. cap. 3
Governance		
2-9	Struttura di governance e composizione	Approf. cap. 1
2-10	Nomina e selezione dei più alti organi di governance	Approf. cap. 1
2-11	Presidenza del più alto organo di governance	Approf. cap. 1
2-12	Ruolo del massimo organo di governo nel presidio della gestione degli impatti	Approf. cap. 1
2-14	Ruolo del più alto organo di governo nel bilancio di sostenibilità (o sociale)	Il bilancio è redatto sulla base dei dati forniti dalle diverse aree gestionali. Il Presidente della Fondazione o suo delegato è coinvolto nell'impostazione del documento e nella revisione delle informazioni. Il bilancio è approvato dal Consiglio di Amministrazione dopo essere stato esaminato dall'Organo di Controllo.
2-15	Conflitto di interessi	I processi per la gestione del conflitto di interessi sono disciplinati del Codice Etico e di Comportamento.
2-16	Comunicazione delle criticità	Nel 2024 e sino alla data di approvazione del presente Bilancio Sociale non sono stati riferiti episodi di corruzione né sono pendenti controversie di rilievo ai fini della rendicontazione sociale.

INDICATORE	DESCRIZIONE	CORRISPONDENZA
2-17	Consapevolezza del più alto organo di governo	Il più alto organo di governo si riunisce per valutare le tematiche di natura economica, ambientale e sociale ed i relativi impatti, rischi e opportunità almeno due volte l'anno.
2-18	Valutazione dell'operato del più alto organo di governo	La valutazione dell'operato del più alto organo di governo è effettuata attraverso il confronto periodico con gli stakeholder e nell'ambito delle riunioni degli organi statutari.
2-19 / 2-21	Politiche di remunerazione, procedure di determinazione e rapporto di retribuzione	Ogni carica è gratuita, tranne i compensi degli organi di controllo, di vigilanza, i gettoni di partecipazione alle riunioni della CMS e l'attribuzione di compensi per i singoli Consiglieri, a fronte di specifici incarichi. I dipendenti hanno un trattamento economico non inferiore ai contratti collettivi di riferimento. Inoltre, la differenza retributiva tra i dipendenti rispetta il rapporto uno a otto, calcolato sulla base della retribuzione annua lorda, in conformità con l'art. 16, comma 1, Codice del Terzo Settore.

Strategia, politiche e prassi		
2-22	Dichiarazione sulla strategia di sviluppo sostenibile	Editoriale e cap. 2
2-23	Codici di condotta	Approf. cap. 1
2-24	Integrazione delle indicazioni delle politiche di buona condotta	Par. 3.3 + Approf. cap. 1
2-25	Processo per rimediare agli impatti negativi	Par. 3.3 + Approf. cap. 1
2-26	Meccanismi per richiedere chiarimenti e sollevare preoccupazioni	Approf. cap. 1
2-27	Conformità con leggi e regolamenti	Nel corso dell'anno, non sono state assegnate sanzioni per casi di non conformità con leggi e regolamenti.
2-28	Appartenenza ad associazioni e reti	Par. 2.6

Coinvolgimento degli stakeholder		
2-29	Approccio allo stakeholder engagement	Par.1.3, 1.4 + Approf. cap. 1
2-30	Accordi di contrattazione collettiva	Par. 3.1, 3.4 + Approf. cap. 3

DIMENSIONE ECONOMICA		
GRI 201	Performance economica	2016
201-1	Valore economico direttamente generato e distribuito	Cap. 5 + Approf. cap. 5
201-3	Piani pensionistici a benefici definiti e altri piani di pensionamento	In ottemperanza rispetto a quanto previsto dalla legge.
201-4	Finanziamenti significativi ricevuti dalla Pubblica Amministrazione	Cap. 5 + Approf. cap.5



< segue

INDICATORE	DESCRIZIONE	CORRISPONDENZA
GRI 202	Presenza sul mercato	2016
202-1	Rapporto tra lo stipendio standard dei neoassunti per genere e lo stipendio nazionale previsto dal CCNL	Non ci sono discrepanze rispetto a quanto previsto dal CCNL di riferimento.
GRI 203	Impatti economici indiretti	2016
203-1	Sviluppo di investimenti forniti prevalentemente per "pubblica utilità"	Cap. 2 + Approf. cap. 2
203-2	Impatti economici indiretti significativi	Non rilevati
GRI 205	Anti-corruzione	2016
205-1	Processi e attività valutati per i rischi legati alla corruzione	Tutte le aree di gestione sono soggette ad audit interno per l'identificazione di violazioni.
205-2	Comunicazione e formazione in materia di politiche e procedure anticorruzione	Disciplinate dal Codice Etico e di Comportamento
205-3	Episodi di corruzione accertati e azioni intraprese	Nel corso dell'anno non sono stati registrati incidenti di corruzione.
206	Comportamento anticompetitivo	2016
206-1	Azioni legali per comportamento anticoncorrenziale	Nel corso dell'anno non sono state registrate azioni legali riferite a tematiche di concorrenza sleale, anti-trust o a pratiche monopolistiche.
207	Tasse	2019
207-1	Approccio alla fiscalità	Secondo la normativa vigente
207-2	Governance fiscale, controllo e gestione del rischio	L'attività di monitoraggio sugli aspetti fiscali legati agli Enti del terzo settore è demandata ai più alti organi di governo.
DIMENSIONE SOCIALE		
401	Occupazione	2016
401-1	Nuove assunzioni e turnover	Cap. 3 + Approf. cap. 3
401-2	Benefit previsti per i dipendenti a tempo pieno ma non per i dipendenti part-time o con contratto a tempo determinato	Par. 3.2 + Approf. cap. 3
401-3	Congedo parentale	Come da CCNL di riferimento
402	Gestione del lavoro e delle relazioni sindacali	2016
402-1	Periodo minimo di preavviso per cambiamenti operativi	Come da CCNL di riferimento.
403	Salute e sicurezza sul lavoro	2018
403-1	Sistema di gestione della salute e sicurezza sul lavoro	Par. 3.3
403-2	Identificazione dei pericoli, valutazione dei rischi e analisi degli incidenti	Come da normativa vigente
403-3	Servizi di medicina del lavoro	Sono effettuati controlli periodici
403-4	Partecipazione e consultazione dei lavoratori e comunicazione in materia di salute e sicurezza sul lavoro	Come da normativa vigente
403-5	Formazione del personale in materia di salute e sicurezza	Come da normativa vigente
403-6	Promozione della salute dei lavoratori	Come da normativa vigente
403-8	Copertura del sistema di gestione della salute e sicurezza sul lavoro	100%
403-9	Infortuni sul lavoro	Nel 2024 non si sono registrati infortuni sul lavoro
404	Formazione e istruzione	2016
404-1	Formazione erogata	Par. 3.2 + Approf. cap. 3

INDICATORE	DESCRIZIONE	CORRISPONDENZA
404-2	Programmi di aggiornamento delle competenze e programmi di assistenza alla transizione	Par. 3.2 + Approf. cap. 3
404-3	Valutazione periodica delle performance e dello sviluppo professionale	Par. 3.2 + Approf. cap. 3
405	Diversità e pari opportunità	2016
405-1	Diversità negli organi di governo e tra i dipendenti	Par. 3.1, 3.4, 3.5 + Approf. cap. 1, approf. cap. 3
405-2	Rapporto dello stipendio base e retribuzione delle donne rispetto agli uomini	3.1, 3.4, 3.5 + Approf. cap. 3
406	Non discriminazione	2016
406-1	Episodi di discriminazione e azioni intraprese	Nel corso dell'anno non sono stati registrati episodi di discriminazione.
407 – 412	Tutela dei diritti e delle comunità locali	2016
407-1 / 412-1	Politiche e gestione della libertà di associazione, lavoro minorile, lavoro forzato, gestione della sicurezza, diritti delle comunità indigene	Gli indicatori non sono rilevanti per le attività svolte dall'Ente. Fondazione Telethon svolge attività di sensibilizzazione e rappresentanza in favore e a tutela delle persone con malattie rare e per la promozione della ricerca scientifica in tale ambito.
413	Comunità locali	2016
413-1	Attività che prevedono il coinvolgimento delle comunità locale, valutazioni d'impatto e programmi di sviluppo	Cap.2, Par. 3.5, 3.6, 4.1 + Approf cap 3
413-2	Attività con impatti negativi, potenziali e attuali significativi sulle comunità locali	Non sono stati rilevati, nel corso dell'anno, impatti negativi per la comunità locale.
415	Politica pubblica	2016
415-1	Contributi politici	Nel corso dell'anno non sono stati elargiti contributi a partiti politici.
416	Salute e sicurezza dei beneficiari	2016
416-1	Valutazione degli impatti sulla salute e sulla sicurezza per categoria di servizio	Nel 2023 ha rinnovato le certificazioni secondo ISO 9001:2015, ISO 14001:2015, ISO45001:2018 ed il sistema di gestione integrato QSA
416-2	Episodi di non conformità riguardanti impatti sulla salute e sulla sicurezza di prodotti e servizi	Non sono stati rilevati nel corso dell'anno casi di non conformità
417	Marketing ed etichettatura	2016
417-1	Requisiti in materia di informazione ed etichettatura di prodotti e servizi	Processo di peer review e infrastrutture certificate Istituti
417-3	Casi di non conformità riguardanti comunicazioni di marketing	Non sono stati rilevati, nel corso dell'anno, casi di non conformità
418	Privacy	2016
418-1	Denunce comprovate riguardanti le violazioni della privacy e perdita di dati	Non ci sono state denunce, nel corso dell'anno, per violazioni della privacy e perdita di dati. Non sono in atto procedimenti legati a violazioni di anni precedenti.

7.2 Tabella corrispondenze

Ai sensi dell’art 6 del decreto 4 luglio 2019 del Ministero del Lavoro e delle Politiche Sociali recante l’Adozione delle linee guida per la redazione del bilancio sociale degli enti del Terzo Settore

AMBITI	INDICATORI	CORRISPONDENZA
Metodologia adottata per la redazione del bilancio sociale	Standard adottati, cambiamenti significativi nel perimetro o nei metodi di misurazione e altre informazioni sul processo di redazione	Nota Metodologica
Informazioni generali sull’ente	Anagrafica, forma giuridica	Par. 1.5 + Approf. cap.1
	Sedi e aree territoriali di operatività	Par. 1.5
	Valori e finalità perseguite	Par. 1.1
	Attività statutarie e altre attività	Par. 2.1
	Collegamenti con altri Enti	Cap. 2
Struttura, governo e amministrazione	Contesto di riferimento	Par. 1.2
	Sistema di governo e controllo, articolazione, responsabilità e composizione degli organi	Par. 1.5 + Approf. cap.1
	Aspetti relativi alla democraticità interna e alla partecipazione	Par. 1.3, 1.4 + Approf. cap.1
	Mappatura dei principali stakeholder e modalità di coinvolgimento	Par. 1.3, 1.4 + Approf. cap.1
	Tipologie, consistenza e composizione del personale	Par.3.1, 3.4 + Approf. cap.3
Persone che operano per l’ente	Tipologie, consistenza e composizione dei volontari	Par.3.5 + Approf. cap.3
	Attività di formazione e valorizzazione	Par.3.2 + Approf. cap.3
	Contratto di lavoro applicato ai dipendenti	Par. 3.1
	Natura delle attività svolte dai volontari	Par.3.6
	Struttura dei compensi, delle retribuzioni e delle indennità di carica e modalità e importi dei rimborsi ai volontari	Par.3.5
Obiettivi e attività	Rapporto tra retribuzione annua lorda massima e minima dei lavoratori dipendenti dell’Ente	Par. 3.1
	Informazioni qualitative e quantitative sulle azioni realizzate nelle diverse aree di attività	Par.1.5+ approf. cap.1
	Informazioni sul possesso di certificazioni di qualità	Par.3.3 + approf. cap.3
	Livello di raggiungimento degli obiettivi di gestione individuati	Cap. 2
	Elementi e fattori che possono compromettere il raggiungimento dei fini istituzionali e procedure poste in essere per prevenire tali situazioni	Approf. cap.1
Situazione economico-finanziaria	Provenienza delle risorse economiche con separata indicazione dei contributi pubblici e privati	Cap. 4, Par 5.1 + Approf. cap 5
	Specifiche informazioni sull’attività di raccolta fondi	Cap. 4 + Approf. cap 4
	Segnalazioni da parte degli amministratori di eventuali criticità emerse ed azioni messe in campo	Par. 1.6
Altre informazioni	Contenziosi e controversie in corso rilevanti ai fini della rendicontazione sociale	Approf. cap 1
	Altre informazioni di natura non finanziaria	Cap. 2; Par. 4.2
	Informazioni sulle riunioni degli organi deputati alla gestione e all’approvazione del bilancio, numero di partecipanti, principali questioni trattate e decisioni adottate	Approf. cap 1
Monitoraggio svolto dall’organo di controllo	Modalità di effettuazione ed esiti	Approf. cap 1

7.3 Relazione dell’Organo di Controllo

RELAZIONE DELL'ORGANO DI CONTROLLO

Bilancio sociale al 31.12.2024 - FONDAZIONE TELETHON ETS

AL CONSIGLIO DI AMMINISTRAZIONE DI FONDAZIONE TELETHON ETS

Rendicontazione della attività di monitoraggio e dei suoi esiti

Ai sensi dell’art. 30, co. 7, del Codice del Terzo Settore, abbiamo svolto nel corso dell’esercizio 2024 l’attività di monitoraggio dell’osservanza delle finalità civiche, solidaristiche e di utilità sociale da parte della “Fondazione Telethon ETS”, con particolare riguardo alle disposizioni di cui agli artt. 5, 6, 7 e 8 dello stesso Codice del Terzo Settore.

Tale monitoraggio, eseguito compatibilmente con il quadro normativo attuale, ha avuto ad oggetto, in particolare, quanto segue:

- la verifica dell’esercizio in via esclusiva o prevalente delle attività di interesse generale di cui all’art. 5, co. 1, per finalità civiche, solidaristiche e di utilità sociale, in conformità con le norme particolari che ne disciplinano l’esercizio, nonché di attività diverse da quelle indicate nell’art. 5, co.1, del Codice del Terzo Settore, nei limiti delle previsioni statutarie e in base a criteri di secondarietà e strumentalità stabiliti con D.M.19.5.2021, n. 107;
- il rispetto, nelle attività di raccolta fondi effettuate nel corso del periodo di riferimento, dei principi di verità, trasparenza e correttezza nei rapporti con i sostenitori e il pubblico e la conformità alle linee guida per la raccolta fondi stabilite con D.M. 9.6.2022;
- il perseguimento dell’assenza dello scopo di lucro, attraverso la destinazione del patrimonio, comprensivo di tutte le sue componenti (ricavi, rendite, proventi, entrate comunque denominate) per lo svolgimento dell’attività statutaria; l’osservanza del divieto di distribuzione anche indiretta di utili, avanzi di gestione, fondi e riserve a fondatori, associati, lavoratori e collaboratori, amministratori ed altri componenti degli organi sociali, tenendo conto degli indici di cui all’art. 8,co. 3,lett. da a) a e),del Codice del Terzo Settore.

Relazione dell'Organo di Controllo

Attestazione di conformità del bilancio sociale alle Linee guida di cui al decreto 4 luglio 2019 del Ministero del Lavoro e delle Politiche Sociali

Ai sensi dell'art. 30, co. 7, del Codice del Terzo Settore, abbiamo svolto nel corso dell'esercizio 2024 l'attività di verifica della conformità del bilancio sociale, predisposto dalla "Fondazione Telethon ETS", alle Linee guida per la redazione del bilancio sociale degli enti del Terzo settore, emanate dal Ministero del Lavoro e delle Politiche Sociali con D.M. 4.7.2019, secondo quanto previsto dall'art. 14 del Codice del Terzo Settore.

La "Fondazione Telethon ETS" ha dichiarato di predisporre il proprio bilancio sociale per l'esercizio 2024 in conformità alle suddette Linee guida.

Ferma restando le responsabilità dell'organo di amministrazione per la predisposizione del bilancio sociale secondo le modalità e le tempistiche previste nelle norme che ne disciplinano la redazione, l'organo di controllo ha la responsabilità di attestare, nei termini legali previsti, la conformità del bilancio sociale alle Linee guida del Ministero del Lavoro e delle Politiche Sociali.

All'organo di controllo compete inoltre di rilevare se il contenuto del bilancio sociale risulta manifestamente incoerente con i dati riportati nel bilancio d'esercizio e/o con le informazioni e i dati in suo possesso.

A tale fine, abbiamo verificato che le informazioni contenute nel bilancio sociale siano coerenti con le richieste informative previste dalle Linee guida ministeriali di riferimento. Il nostro comportamento è stato improntato a quanto previsto in materia dalle Norme di comportamento emanate dall'organo di controllo degli enti del Terzo settore pubblicate dal CNDCEC. In questo senso, abbiamo verificato anche i seguenti aspetti:

- conformità della struttura del bilancio sociale rispetto all'articolazione per sezioni di cui al paragrafo 6 delle Linee guida;
- presenza nel bilancio sociale delle informazioni di cui alle specifiche sotto-sezioni esplicitamente previste al paragrafo 6 delle Linee guida;
- rispetto dei principi di redazione del bilancio sociale di cui al paragrafo 5 delle Linee guida, tra i quali i principi di rilevanza e di completezza che possono comportare la necessità di integrare le informazioni richieste esplicitamente dalle linee guida.

✓ Sulla base del lavoro svolto non sono pervenuti alla nostra

Relazione dell'Organo di Controllo

attenzione elementi che facciano ritenere che il bilancio sociale della Fondazione non sia stato redatto, in tutti gli aspetti significativi, in conformità alle previsioni delle Linee guida di cui al D.M. 4.7.2019.

Roma, 28 maggio 2025

L'organo di controllo

Luciano Jeta

Benedetta Luciana

Marcella Tagliabue



Come sostenere la Fondazione



PROGRAMMA

"IO ADOTTO IL FUTURO"

"Io adottato il futuro" è il programma per garantire continuità alla ricerca e offrire una cura a un numero sempre maggiore di bambini con malattie genetiche rare. Adotta anche tu il futuro sottoscrivendo una donazione continuativa: sul sito istituzionale fondazionetelethon.it, contattando il **Servizio Donatori** (tel. **06 44015418** - **WhatsApp +393458771557** - serviziodonatori@fondazionetelethon.it)



REGALI SOLIDALI

(PER PRIVATI E AZIENDE)

Con i regali solidali di Fondazione Telethon si compie un gesto d'amore. Ogni anno la Fondazione presenta una nuova collezione disponibile su shop.fondazionetelethon.it. Per informazioni chiama il numero **02 44578581** o scrivi a prodottisolidali@fondazionetelethon.it. E se sei un'azienda troverai tanti prodotti personalizzabili su shopaziende.fondazionetelethon.it. Per informazioni chiama il numero **06 4401 5415** o scrivi a shopaziende@fondazionetelethon.it



BOMBONIERE

SOLIDALI

Le bomboniere solidali Fondazione Telethon, oltre al pensiero, sono cariche del valore della generosità. L'intera gamma è disponibile su shop.fondazionetelethon.it. Per informazioni chiama il numero **02 44578581** o scrivi a ricorrenze@fondazionetelethon.it



LASCITI E

POLIZZE VITA

I lasciti testamentari e le polizze vita rappresentano una preziosa forma di sostegno. Includere Fondazione Telethon nel proprio testamento o come beneficiaria di una polizza vita significa prendere parte a un progetto che ha come obiettivo un futuro libero dalle malattie genetiche rare. Per informazioni, o per ricevere gratuitamente la "Guida ai lasciti", chiama il numero **06 44015334** o scrivi a lasciti@fondazionetelethon.it



DESTINANDO

IL 5X1000

Semplice e a costo zero, la destinazione del 5x1000 a Fondazione Telethon necessita essenzialmente di un numero, il codice fiscale della Fondazione: **04879781005**. Nel momento in cui si compila il 730 o il modello Unico è sufficiente scrivere il codice fiscale nel riquadro della dichiarazione dei redditi "Finanziamento della ricerca e della università".



PER FARE UNA DONAZIONE

IMPORTANTE

Di fronte al desiderio di un donatore di legare una grande donazione al suo nome o al nome di una persona cara, individuamo, tra le attività in corso, quella che per contenuto e valore economico è più affine e la "dedichiamo". A disposizione il personale dell'Ufficio Grandi Donatori: si può chiamare lo **06 44015751** o scrivere a mgnagnarini@telethon.it oppure chiamare lo **06 44015396** o scrivere a cbrandi@telethon.it



DONAZIONE

"IN MEMORIA DI..."

Il legame con una persona cara resta indelebile anche dopo la sua scomparsa. Con un contributo a Fondazione Telethon il ricordo dà vita al futuro, aiutando la ricerca. Se lo vorrai, la Fondazione testimonierà questo gesto inviando una lettera ai familiari della persona scomparsa. Con la causale "in memoria di", puoi donare: con bonifico bancario su **IT02H0100503215000000011960**; con bollettino su c/c postale: **IT73S0760103200000008792470**. Per informazioni puoi chiamare il numero **06 44015418** o scrivere a inmemoria@fondazionetelethon.it



DONARE IN BANCA

IN POSTA O IN

TABACCHERIA

Si può donare tutto l'anno in qualsiasi istituto di credito o bancario sui conti correnti di Fondazione Telethon **IT68X0100503215000000011730** (privati) **IT12P0100503215000000011968** (aziende). Si può donare in tutti gli uffici postali o nelle tabaccherie con un bollettino intestato a Fondazione Telethon, c/c: **IT73S0760103200000008792470** (per i privati)



SEI UNA

AZIENDA?

Scegli di sostenere Fondazione Telethon e contribuisce in modo concreto al progresso della ricerca scientifica. Scrivi a aziende@fondazionetelethon.it per saperne di più sui programmi di partnership.



DONAZIONE

SU TELETHON.IT

È possibile donare in modo sicuro su telethon.it con qualsiasi carta di credito, Paypal e Satispay. Per farlo basta accedere all'indirizzo del sito istituzionale della Fondazione: www.fondazionetelethon.it/sostienici/dona-ora



LISTE

REGALI SOLIDALI

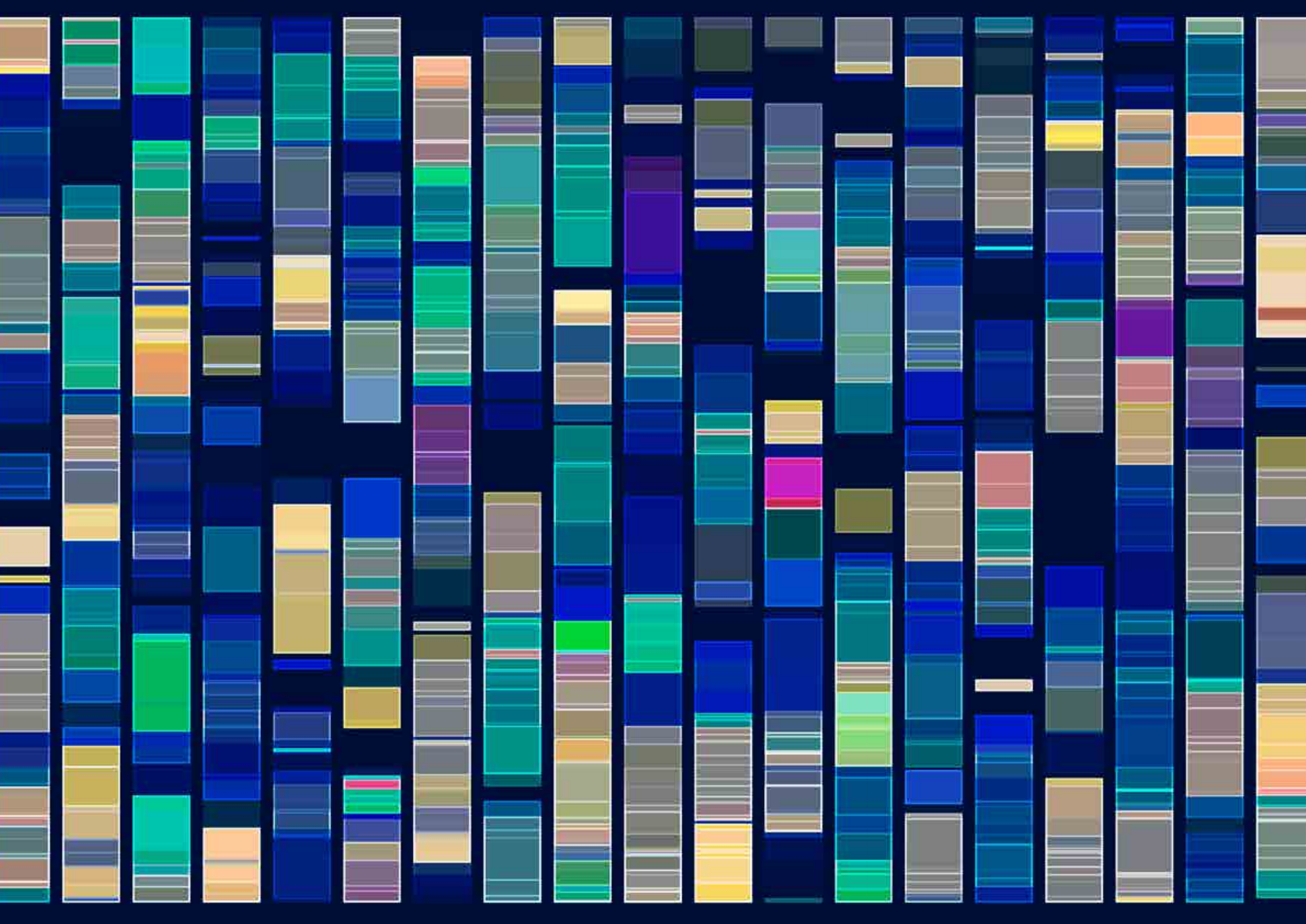
Per festeggiare il tuo compleanno ed ogni altra occasione speciale della vita condividendo con amici e familiari l'emozione di sostenere la ricerca sulle malattie genetiche. Per creare una Lista Regalo o saperne di più: shop.fondazionetelethon.it/liste o chiama il **02 44578581**

AGEVOLAZIONI FISCALI

Tutte le donazioni di privati e aziende godono di agevolazioni fiscali. Potrai infatti dedurre o detrarre l'importo donato, rivolgendoti per maggiori informazioni al tuo commercialista o a un Caf.

DIVENTA VOLONTARIO

Operare per Fondazione Telethon sul territorio, sostenendo le speranze delle famiglie che lottano contro le malattie genetiche rare significa appartenere a una comunità unita da valori e obiettivi. Per informazioni si può chiamare il numero **06 440151** – tasto 2 – oppure scrivere un'email a volontari@fondazionetelethon.it





PUBBLICAZIONE A CURA DI
Fondazione Telethon ETS

PER INFORMAZIONI
Fondazione Telethon ETS
Via Varese 16b - 00185 Roma
www.fondazionelethon.it
info@fondazionelethon.it

Il Bilancio Sociale è stato realizzato grazie alla collaborazione
di tutte le Direzioni della Fondazione

PROGETTO GRAFICO
Silvia Vollera

Volume chiuso in redazione il 14 giugno 2025

