







Il racconto di Fondazione Telethon va avanti e raggiunge nuovi importanti traguardi.

Negli ultimi anni abbiamo raccolto la sfida di produrre quei farmaci che le aziende consideravano non più profittevoli. È stato un grande impegno, che ci ha costretto a ripensare l'intera organizzazione della Fondazione, ma lo abbiamo fatto consapevoli di non poter lasciare soli i nostri pazienti. E per la prima volta al mondo una organizzazione non profit, la nostra, si è assunta la responsabilità di portare sul mercato terapie geniche.

Il 2025 ha segnato una nuova, importante svolta, che definirei storica. Dopo il via libera dell'EMA, l'Agenzia europea per i medicinali, è arrivato anche quello della FDA: Fondazione Telethon è stata autorizzata a distribuire anche negli Stati Uniti la terapia genica per la rara sindrome di Wiskott-Aldrich, sviluppata presso l'Istituto San Raffaele Telethon di Milano.

È una conferma importante del valore della ricerca biomedica italiana e della qualità del lavoro portato avanti in questi anni dai nostri ricercatori e medici, grazie anche al sostegno di chi ha creduto nel nostro lavoro e ha scelto di finanziarlo nel tempo. È inoltre il riconoscimento della capacità di Fondazione Telethon di dotarsi delle competenze necessarie per accompagnare l'innovazione lungo tutto il percorso che porta una terapia dai laboratori ai pazienti, operando oggi in un contesto altamente competitivo a livello internazionale. Un risultato che

ci rende orgogliosi e che rafforza ulteriormente il ruolo di Fondazione Telethon nel panorama internazionale delle terapie avanzate.

In oltre 35 anni di attività, Fondazione Telethon ha investito 790 milioni di euro nella ricerca, finanziato 3.186 progetti, coinvolto 1.958 ricercatori e studiato 676 malattie genetiche rare. Risultati resi possibili dalla fiducia dei donatori, dal cuore dei volontari, dal vostro supporto e da quello della Rai.

Mai come in questa circostanza tutto ha funzionato. Abbiamo dimostrato di essere una squadra di grandissimo valore, unita per il bene superiore dei nostri malati. Continueremo a non lasciarli soli. Fino a quando, come diceva Susanna Agnelli, «non sarà scritta la parola cura accanto al nome di ogni malattia genetica rara».

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 davvero la differenza. Perché per Fondazione Telethon nessuno deve rimanere indietro. E noi vogliamo continuare, ogni giorno, a fare la differenza.

Luca di Montezemolo, Presidente Fondazione Telethon



Nel 2025 Fondazione Telethon ha raggiunto un traguardo storico: l'approvazione regolatoria negli Stati Uniti di una terapia genica ex vivo sviluppata nei propri laboratori e destinata al trattamento di una rara e grave immunodeficienza genetica, seguita, a breve distanza, dall'approvazione nell'Unione Europea.

Si tratta di un risultato che dimostra la capacità della nostra Fondazione di fare da ponte tra laboratorio e persone, portando una scoperta scientifica fino all'approvazione regolatoria e alla disponibilità per i pazienti, nel terreno difficilissimo delle malattie genetiche rare e ultra-rare: una pietra miliare per la nostra organizzazione e per il sistema della ricerca italiana.

Questo risultato è stato possibile grazie alla fiducia di chi, nel tempo, ha scelto di sostenere Fondazione Telethon: persone, aziende, donatori e volontari, pilastri di questo impegno e della sua continuità.

Le donazioni costituiscono il fondamento di questo modello e attivano un meccanismo virtuoso di generazione di valore: ogni euro donato non si limita a finanziare la ricerca, ma contribuisce ad accompagnare le terapie lungo l'intero percorso di

sviluppo, dalla scoperta scientifica fino alla loro concreta disponibilità per i pazienti.

Per rimanere fedele alla propria Missione di far avanzare la ricerca biomedica verso la cura delle malattie genetiche rare, Fondazione Telethon, con i suoi Istituti SR-Tiget di Milano e Tigem di Pozzuoli, è una realtà in costante evoluzione con uno sguardo sempre più rivolto al contesto internazionale. Rafforzando nel tempo competenze, capacità e modelli operativi, la Fondazione moltiplica l'impatto di ogni euro raccolto, con una visione chiara: trasformare i risultati della ricerca in terapie accessibili ai pazienti.

Questo Bilancio Sociale racconta un'organizzazione che ha dato forma ad un ecosistema di ricerca e sviluppo biotecnologico costruito in oltre trentacinque anni, in cui pazienti, scienziati e donatori hanno contribuito a realizzare un modello unico nel panorama internazionale: una charity biomedica italiana che finanzia ricerca eccellente sino all'obiettivo ultimo, la disponibilità di terapie per le persone.

Ilaria Villa, Direttrice Generale Fondazione Telethon



Nota metodologica

Nel 2025 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 2025 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 2025 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 17 giugno 2026. La struttura del Bilancio Sociale 2025 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 gli stakeholder d'elezione, ricercatori e pazienti. 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.



Indice



01

Chi siamo

1.1 Fondazione Telethon	12
Gli obiettivi	12
La missione, la visione, i valori	13
La storia e lo statuto	13
1.2 Lo scenario	14
In linea con l'Agenda 2030	15
1.3 Struttura, governo e amministrazione	16
L'organigramma	17
1.4 Stakeholder, il rapporto con ricercatori e pazienti	18
I numeri della ricerca dal 1991	18
La Convention 2025	18
Relazioni con pazienti e associazioni	19

02

Attività istituzionali

2.1 Il sistema ricerca e sviluppo di Fondazione Telethon	23
L'ecosistema della ricerca di Fondazione Telethon e il modello integrato	23
Il percorso della ricerca	24
La valutazione della ricerca	25
Una molteplicità di interventi	26
La ricerca scientifica extramurale	28
Bando Multiround	28
Bando Congiunto Fondazione Telethon-Fondazione Cariplo	29
Bando Seed Grant	29
Bando internazionale di ERDERA	30
Fondazione AriSLA ETS	30
Mappa dei Finanziamenti 2025	31
La rete delle Biobanche Genetiche	32
Attrazione finanziamenti non filantropici	32
Le collaborazioni strategiche	33
2.2 Ricerca scientifica e sviluppo di terapie	34
La ricerca scientifica intramurale	34
L'Istituto Telethon di Genetica e Medicina	34
Programma malattie senza diagnosi	35
L'Istituto San Raffaele Telethon per la Terapia Genica	36
Infrastrutture di ricerca	37
2.3 Sviluppare le terapie	38
2.4 Le collaborazioni per lo sviluppo	39
Le partnership industriali	39
Gli accordi per lo sviluppo	40
I brevetti	40
Le start-up	40
Lo sviluppo delle terapie: la nostra pipeline	41
Le terapie sviluppate e in sviluppo	42
2.5 Impatto sui pazienti	44
Le terapie disponibili	44
Leucodistrofia metacromatica	44
Immunodeficienza Ada-Scid	44
Sindrome di Wiskott-Aldrich	44
La persona al centro	45
Come a casa	45
I Centri Clinici NeMO	45
Servizio Info_rare	45
2.6 L'impatto di Fondazione Telethon	46
La mappa dei pazienti trattati con malattie genetiche rare	46
Produzione scientifica	47
Le pubblicazioni 2025	47

03

Personale e volontari

3.1 Composizione e descrizione del personale	51
Dipendenti e collaboratori	51
Ripartizione per Direzioni	52
Turnover dipendenti	53
Retribuzione lorda media dirigenti	53
3.2 Sviluppo delle competenze	54
3.3 Qualità, analisi e gestione dei rischi	54
3.4 Gli Istituti	55
3.5 I volontari	56
3.6 Campagne di piazza e sensibilizzazione sul territorio	57

04

Raccolta fondi e comunicazione

4.1 Raccolta Fondi	61
Totale proventi da donazioni	61
I donatori regolari	62
I donatori occasionali	62
Sito istituzionale	62
E-shop solidale	62
Direct mailing	62
5x1000	62
Grandi donatori	62
Lasciti testamentari	62
Campagne di piazza	64
Associazioni partner sul territorio	64
Aziende partner	65
4.2 Comunicazione e sensibilizzazione	66
Fondazione Telethon Magazine	66
Social Media	66
Sito Fondazione Telethon	66
Ufficio Stampa	66
Maratona Televisiva	67
Campagne di comunicazione	68

05

Il valore economico

5.1 Andamento economico	73
Totale proventi	73
Totale oneri	73
L'efficienza della raccolta fondi	73
5.2 Impieghi per attività di interesse generale (di missione)	74

06

Approfondimenti

Indice degli approfondimenti	76
-------------------------------------	-----------

07

Allegati

7.1 Indice dei contenuti	136
7.2 Tabella corrispondenze	140
7.3 Relazione dell'Organo di Controllo	142
Come sostenere la Fondazione	144



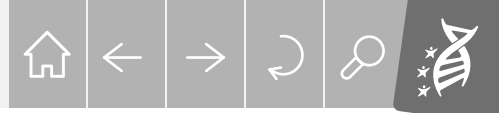
Chi siamo



01

INDICE ANALITICO
DI SEZIONE

1.1 Fondazione Telethon	12
Gli obiettivi	12
La missione, la visione, i valori	13
La storia e lo statuto	13
1.2 Lo scenario	14
In linea con l'Agenda 2030	15
1.3 Struttura, governo e amministrazione	16
L'organigramma	17
1.4 Stakeholder, il rapporto con ricercatori e pazienti	18
I numeri della ricerca dal 1991	18
La Convention 2025	18
Relazioni con pazienti e associazioni	19



01

1

Fondazione Telethon

Fondazione Telethon ETS è una charity biomedica impegnata nella cura delle malattie genetiche rare attraverso la ricerca scientifica di eccellenza. Nel 2025, con i pareri positivi di FDA ed EMA sulla terapia genica per la sindrome di Wiskott-Aldrich, si dimostra la prima organizzazione non profit in grado di accompagnare una terapia dalle prime fasi della ricerca alla commercializzazione.

IDENTITÀ E MISSIONE

Fondazione Telethon ETS è un Ente del Terzo Settore nato nel 1990 con l'obiettivo di promuovere la ricerca scientifica sulle malattie genetiche rare.

La sua missione è arrivare alla cura di queste patologie attraverso una ricerca di eccellenza, selezionata secondo criteri indipendenti e riconosciuti a livello internazionale.

Le malattie genetiche rare sono migliaia e interessano milioni di persone nel mondo. La bassa numerosità dei pazienti per ciascuna patologia, però, limita investimenti e sviluppo di terapie. In questo contesto, Fondazione Telethon ha costruito nel tempo un modello capace di sostenere l'intero percorso che va dalla ricerca di base allo sviluppo clinico e all'accesso alle terapie.

UN MODELLO INTEGRATO: DALLA RICERCA ALLA COMMERCIALIZZAZIONE

Nel tempo la Fondazione ha costruito un modello che copre l'intera filiera della ricerca biomedica. Questa filiera, o "catena del valore", comprende tutte le fasi che trasformano una scoperta scientifica in una terapia disponibile per i pazienti: dalla raccolta fondi alla selezione dei progetti, dall'attività nei propri Istituti allo sviluppo clinico, fino alla produzione, all'autorizzazione regolatoria e alla commercializzazione.

Dal 2023 ha assunto la responsabilità diretta della produzione e distribuzione in Europa della terapia genica per l'ADA-SCID. Nel dicembre 2025 la Food and Drug Administration (FDA) e nel gennaio 2026 la Commissione Europea hanno autorizzato la commercializzazione della terapia genica per la sindrome di Wiskott-Aldrich.

Con queste approvazioni, Fondazione Telethon è la prima organizzazione non profit ad aver accompagnato una terapia genica dalla ricerca all'autorizzazione internazionale, intervenendo anche nelle fasi produttive e regolatorie per garantirne l'accesso ai pazienti.

I 5 obiettivi chiave del modello.

1

DARE PRIORITÀ ALLE MALATTIE GENETICHE RARE TRASCURATE DAGLI INVESTIMENTI PUBBLICI E INDUSTRIALI

2

VALORIZZARE L'ECCELLENZA E IL MERITO NELLA RICERCA SCIENTIFICA

3

MOBILITARE I CITTADINI E LE COMUNITÀ INTORNO ALLA RICERCA

4

OPERARE CON TRASPARENZA E RESPONSABILITÀ NELLA GESTIONE DELLE RISORSE

5

SVILUPPARE TERAPIE EFFICACI E GARANTIRNE L'ACCESSO AI PAZIENTI

I due 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.

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.



[Missione]

Far avanzare la ricerca biomedica verso la cura delle malattie genetiche rare.

[Visione]

Trasformare i risultati della ricerca in terapie efficaci e accessibili all'interno dei sistemi sanitari.

[Valori]

CORAGGIO

Affrontiamo le sfide quotidiane con determinazione e passione, assumendoci il rischio di prendere decisioni difficili, fare scelte innovative e agire con attitudine pionieristica. Promuoviamo la forza delle nostre idee con un approccio evolutivo e accogliamo l'errore come stimolo per il miglioramento continuo.

LUNGIMIRANZA

Mettiamo in campo le nostre competenze con uno sguardo costantemente rivolto al futuro anticipando scenari, creando e cogliendo opportunità. Prendiamo in considerazione le conseguenze a lungo termine delle nostre azioni presenti.

INTEGRITÀ

Ci impegniamo a lavorare con onestà e trasparenza, mantenendo intatta la nostra natura e preservando con fermezza la nostra missione. Lo facciamo attraverso modelli e processi di governance rigorosi e costruendo relazioni autentiche, fondate su fiducia e rispetto. Agiamo con responsabilità verso tutti i nostri interlocutori e ci impegniamo a mantenere in equilibrio un sistema complesso di bisogni, aspettative e interessi.

CURA

Cura è l'obiettivo della nostra missione, ma "con cura" è anche il modo in cui agiamo in ogni attività quotidiana ed entriamo in relazione con gli altri. Lo facciamo dando importanza ad ogni aspetto del nostro lavoro, praticando empatia e sensibilità e mettendo in campo un'attenzione costante a bisogni e aspettative delle persone, alle parole che usiamo e alle azioni che intraprendiamo.



01

2

Lo scenario

Le malattie rare coinvolgono milioni di persone, anche se ogni singola patologia colpisce pochi pazienti. Questa frammentazione rende spesso non sostenibile per l'industria farmaceutica lo sviluppo di terapie dedicate. In questo contesto si inserisce l'azione di Fondazione Telethon, in coerenza con l'Agenda 2030 su salute, innovazione e partnership.

LE MALATTIE RARE: UN TEMA SANITARIO E SOCIALE RILEVANTE

Pur essendo poco diffuse singolarmente, nel loro insieme le malattie rare rappresentano un ambito sanitario e sociale di grande rilevanza. La frammentazione delle competenze, la limitata numerosità dei pazienti per ciascuna patologia e l'elevata complessità scientifica rendono difficile sviluppare terapie sostenibili secondo logiche di mercato

tradizionali. In questo contesto, è necessario un modello capace di sostenere ricerca dedicata, infrastrutture specializzate e percorsi regolatori adeguati, accompagnando lo sviluppo delle terapie fino alla loro effettiva disponibilità per i pazienti. È in questo scenario che si colloca il modello sviluppato da Fondazione Telethon.

Le malattie genetiche rare

ANCHE SE SI TRATTA DI PATOLOGIE RELATIVAMENTE POCO DIFFUSE, NEL LORO INSIEME COSTITUISCONO UN PROBLEMA SANITARIO E SOCIALE IMPORTANTE.

I tempi di diagnosi variano in modo significativo in base alla patologia e al contesto, indicando forti disuguaglianze nel percorso diagnostico (dati Rare Barometer di EURORDIS - 2024)

Una malattia è definita rara quando colpisce meno di **1 persona su 2.000**

3,5-5,9% è la popolazione mondiale affetta

6.000/8.000 le malattie rare conosciute

300-450 milioni di persone colpite

80% delle malattie rare ha origine genetica

4,7 anni in media per una diagnosi definitiva

73% dei pazienti riceve inizialmente una diagnosi errata o incompleta

I pazienti consultano in media diversi medici (**spesso >5**) prima di ottenere una diagnosi corretta

LA RICERCA DI FONDAZIONE TELETHON

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:

**SALUTE E BENESSERE**

Dalla ricerca scientifica d'eccellenza nascono le cure per le malattie genetiche rare: dal laboratorio fino al letto del paziente

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 sviluppodi 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

**IMPRESE, INNOVAZIONE E INFRASTRUTTURE**

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.

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

**PARTNERSHIP PER GLI OBIETTIVI**

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

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



01

3

Struttura, governo e amministrazione



Nel corso degli anni l'organizzazione si è progressivamente strutturata per presidiare l'intera catena del valore, dalla ricerca alla commercializzazione delle terapie. L'ampliamento delle attività ha comportato un rafforzamento dell'area ricerca e delle funzioni tecnico-scientifiche e regolatorie, tradizionalmente proprie del settore industriale, in coerenza con l'evoluzione del modello operativo.

Fondazione Telethon è un Ente del Terzo Settore iscritto al Registro Unico Nazionale del Terzo Settore (RUNTS) dal 2022 e opera in conformità alla normativa vigente. La Fondazione è organizzata per ambiti di attività che riflettono le sue finalità statutarie e il modello operativo adottato. L'indirizzo strategico e la supervisione sono affidati agli organi statutari; la valutazione scientifica è garantita da una Commissione indipendente; la gestione operativa è coordinata dalla Direzione Generale attraverso strutture dedicate alla ricerca, alla raccolta fondi, alla comunicazione, all'amministrazione e ai

servizi di supporto. A partire dal 2023, in coerenza con l'evoluzione del modello operativo e con l'assunzione diretta di nuove responsabilità nelle fasi autorizzative, produttive e distributive, l'organizzazione ha aggiornato e rafforzato le proprie attività e i relativi assetti interni.

Questa articolazione consente di presidiare in modo coerente le diverse fasi della filiera della ricerca, garantendo autonomia scientifica, trasparenza gestionale e responsabilità nell'utilizzo delle risorse, con l'obiettivo di massimizzare l'impatto sui pazienti e assicurare che le terapie sviluppate arrivino fino a loro.

CONSIGLIO DI AMMINISTRAZIONE

Gestisce l'amministrazione ordinaria e straordinaria. È composto da **7 a 15 membri** e dura in carica **3 anni**. La carica è **gratuita**, salvo compensi per singoli Consiglieri a fronte di specifici incarichi decisi dal CdA. 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.

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.

ORGANISMO DI VIGILANZA

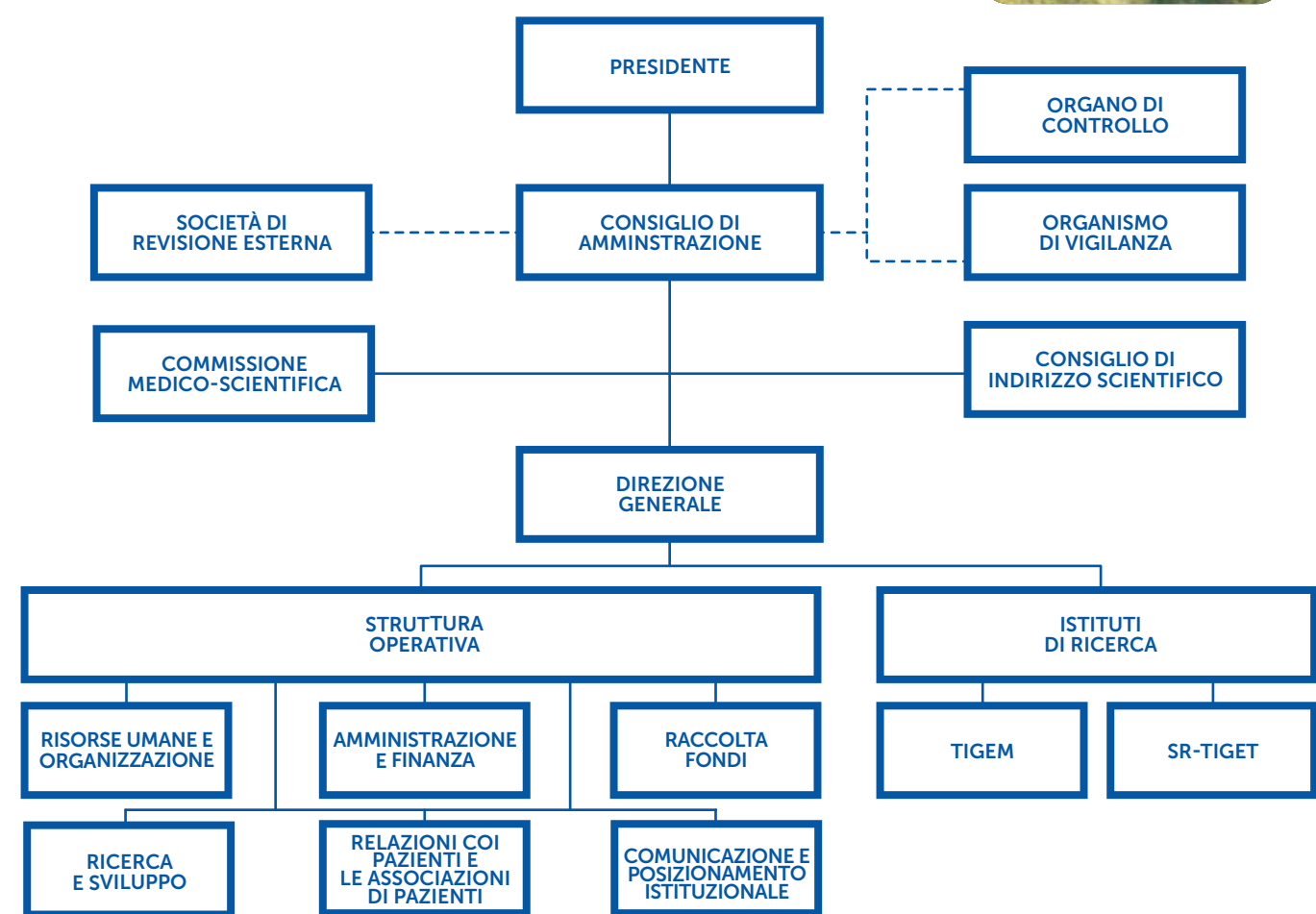
Supervisiona e **suggerisce aggiornamenti al Modello Organizzativo e al Codice Etico**. Riferisce alla Direzione e, almeno **una volta all'anno**, all'Organo di Controllo e al CdA con la sua Relazione.

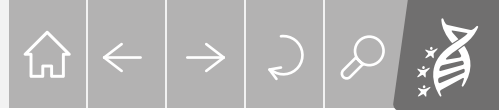
COMMISSIONE MEDICO-SCIENTIFICA

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

CONSIGLIO DI INDIRIZZO SCIENTIFICO

Composto da esperti, **supporta le scelte di indirizzo** e di gestione del Consiglio di Amministrazione nell'ambito della ricerca biomedica.





01

4

Stakeholder: il rapporto con ricercatori e pazienti

Fondazione Telethon sostiene ricerca scientifica ad alto impatto con un approccio orientato al paziente.

Ricercatori e pazienti sono stakeholder fondamentali in questo ecosistema.

Per le ricercatrici e i ricercatori che operano presso gli istituti della Fondazione o che accedono ai suoi finanziamenti tramite i bandi per la ricerca esterna, essere coinvolti nel sistema ricerca di Fondazione Telethon significa aderire a un progetto basato su una ricerca di qualità che

sia in grado di cambiare la vita delle persone. Ciò ha contribuito, negli anni, alla crescita di una comunità scientifica caratterizzata da un forte senso di appartenenza e una condivisione profonda dell'obiettivo comune della cura per le persone con malattie genetiche rare.

790 mln €

investiti in ricerca di cui oltre **49 milioni** nel 2025

676

malattie studiate di cui **15** finanziate per la prima volta nel 2025

3.186

progetti finanziati, di cui **68 attivati** nel 2025

82

famiglie di brevetti depositate e attive di cui **8 depositate** nel 2025

251

bandi per finanziare la ricerca extra-murale di cui **12** nel 2025

1.958

ricercatori finanziati, di cui **42 finanziati** nel 2025 per la prima volta

255

enti di ricerca finanziati

15.996

pubblicazioni totali, di cui **280** nel 2025

20

orphan drug designation di Fondazione Telethon **attive a fine 2025**

3

terapie registrate come farmaci per Ada-Scid, Leucodistrofia Metacromatica e sindrome di Wiskott-Aldrich

La Convention 2025

La XXII Convention 2025 ha visto il sovrapporsi di 3 eventi: la Convention scientifica, il Convegno delle Associazioni in rete e il Convegno clinico neuromuscolare, richiamando a Rimini ricercatori e rappresentanti delle associazioni di pazienti per tre giorni di confronto attivo e aggiornamento. Per Fondazione Telethon, la Convention è un'occasione unica per alimentare il dialogo con queste comunità di riferimento, avere una visione complessiva di come si stia sviluppando la ricerca e cogliere opportunità strategiche per potenziarne l'avanzamento. In particolare, questa edizione ha visto approfondimenti e un dibattito molto partecipato sulle strategie terapeutiche più innovative – quali editing genetico, riposizionamento di farmaci e terapie basate su Rna – e la complessità dei processi per tradurre la scoperta scientifica in cure accessibili per il paziente.

539

ricercatori

230

rappresentanti delle associazioni di pazienti

131

Associazioni di pazienti coinvolte

214

poster di aggiornamento sui progetti

79

presentazioni orali e sessioni di discussione

Relazioni coi pazienti e associazioni

Il legame con la comunità dei pazienti è un elemento identitario per Fondazione Telethon e ne orienta da sempre l'operato. Alla base di questa alleanza vi è il principio che ogni vita conta e che ogni persona viene prima di qualsiasi etichetta, inclusa la sua malattia. I pazienti contribuiscono a definire gli ambiti di intervento della Fondazione, ne accompagnano il lavoro e ne rafforzano il valore attraverso l'attesa di risultati concreti. Il team Relazioni con i pazienti e le Associazioni mantiene viva e strutturata la connessione tra il mondo dei pazienti e le diverse anime della Fondazione, promuovendo percorsi di crescita e partecipazione consapevole. Collabora con 291

Associazioni con l'obiettivo comune di accelerare l'avanzamento della ricerca e la generazione di risposte efficaci, favorendo il dialogo con istituzioni, comunità scientifica e altri stakeholder. Attraverso attività mirate, il team sostiene il rafforzamento del ruolo delle associazioni, promuove la visibilità e la sensibilizzazione sui temi delle malattie genetiche rare e favorisce occasioni di incontro tra persone che condividono esperienze simili. Inoltre, incoraggia il coinvolgimento attivo dei pazienti lungo tutte le fasi del percorso di ricerca e sviluppo delle terapie, contribuendo a renderli parte integrante dei processi di innovazione.

[I pilastri della collaborazione]

EMPOWERMENT

SUPPORTO DEI PAZIENTI E DELLE ASSOCIAZIONI NELLO SVILUPPO DI CONOSCENZE E COMPETENZE SULLA RICERCA, PER UNA PARTECIPAZIONE ATTIVA E CONSAPEVOLE AI PERCORSI DI RICERCA E INNOVAZIONE

ADVOCACY

RAFFORZAMENTO DEL RUOLO DELLE ASSOCIAZIONI E INTEGRAZIONE DELLA PROSPETTIVA DEI PAZIENTI NEI PROCESSI DECISIONALI, FACILITANDO IL DIALOGO CON ISTITUZIONI, MONDO CLINICO E STAKEHOLDER, PER MIGLIORARE L'ACCESSO ALLE CURE

AWARENESS

OFFERTA AI PAZIENTI E ALLE ASSOCIAZIONI DI OCCASIONI E STRUMENTI DI VISIBILITÀ

COINVOLGIMENTO NEL CICLO DI SVILUPPO DELLE TERAPIE

COINVOLGIMENTO ATTIVO DEI PAZIENTI E DELLE ASSOCIAZIONI LUNGO TUTTO IL CICLO DI SVILUPPO DELLE TERAPIE, DAI PROTOCOLLI DI STUDIO ALLA FASE POST-COMMERCIALIZZAZIONE, NELL'AMBITO DELLE AREE TERAPEUTICHE IN CUI LA FONDAZIONE È DIRETTAMENTE IMPEGNATA NELLO SVILUPPO (TERAPIE E TRIAL CLINICI).





Attività istituzionali

02

INDICE ANALITICO DI SEZIONE

2.1 | Il sistema ricerca e sviluppo di Fondazione Telethon 23

L'ecosistema della ricerca di Fondazione Telethon e il modello integrato	23
Il percorso della ricerca	24
La valutazione della ricerca	25
Una molteplicità di interventi	26
La ricerca scientifica extramurale	28
Bando Multiround	28
Bando Congiunto Fondazione Telethon-Fondazione Cariplo	29
Bando Seed Grant	29
Bando internazionale di ERDERA	30
Fondazione AriSLA ETS	30
Mappa dei Finanziamenti 2025	31
La rete delle Biobanche Genetiche	32
Attrazione finanziamenti non filantropici	32
Le collaborazioni strategiche	33
2.2 Ricerca scientifica e sviluppo di terapie 34	
La ricerca scientifica intramurale	34
L'Istituto Telethon di Genetica e Medicina	34
Programma malattie senza diagnosi	35

L'Istituto San Raffaele Telethon per la Terapia Genica	36
Infrastrutture di ricerca	37
2.3 Sviluppare le terapie 38	
2.4 Le collaborazioni per lo sviluppo 39	
Le partnership industriali	39
Gli accordi per lo sviluppo	40
I brevetti	40
Le start-up	40
Lo sviluppo delle terapie: la nostra pipeline	41
Le terapie sviluppate e in sviluppo	42
2.5 Impatto sui pazienti 44	
Le terapie disponibili	44
Leucodistrofia metacromatica	44
Immunodeficienza Ada-Scid	44
Sindrome di Wiskott-Aldrich	44
La persona al centro	45
Come a casa	45
I Centri Clinici NeMO	45
Servizio Info_rare	45
2.6 L'impatto di Fondazione Telethon 46	
La mappa dei pazienti trattati con malattie genetiche rare	46
Produzione scientifica	47
Le pubblicazioni 2025	47



Celeste Scotti
Direttore Ricerca
e Sviluppo

La ricerca di Fondazione Telethon è oggi orientata a un obiettivo chiaro: trasformare la conoscenza scientifica in soluzioni terapeutiche concretamente accessibili per i pazienti. Questo approccio si traduce in una pipeline articolata e in costante evoluzione, che accompagna le scoperte lungo tutto il percorso, dalle prime intuizioni scientifiche fino allo sviluppo clinico e alla disponibilità delle terapie.

Nel corso degli anni, la Fondazione ha costruito un modello capace di integrare competenze scientifiche e capacità di sviluppo, operando in modo sempre più strutturato lungo l'intera filiera. Quando le condizioni lo consentono, questo percorso si realizza in collaborazione con partner industriali; in altri casi, la Fondazione ha sviluppato modalità autonome di produzione e distribuzione, contribuendo a mantenere disponibili terapie anche in contesti in cui le logiche tradizionali non risultano sostenibili.

All'interno dei nostri Istituti, la ricerca continua a evolvere in sinergia con queste competenze, rafforzando un sistema capace di competere a livello internazionale e di generare opportunità concrete per i pazienti. Parallelamente, attraverso il finanziamento della ricerca extramurale, sosteniamo le migliori progettualità della comunità scientifica italiana, contribuendo allo sviluppo complessivo dell'ecosistema della ricerca.

Questo modello consente di affrontare in modo sempre più efficace le sfide delle malattie genetiche rare, rendendo possibile il passaggio dalla scoperta scientifica alla disponibilità di nuove opzioni terapeutiche.



02

1

Il sistema ricerca e sviluppo di Fondazione Telethon

Fondazione Telethon ha trasformato il proprio ruolo con la costruzione di un modello integrato che presidia l'intera catena del valore. Quando il mercato non garantisce lo sviluppo e l'accesso alle terapie, Fondazione Telethon interviene direttamente nei passaggi critici della filiera: un sistema pensato per compiere tutto il percorso dal laboratorio al paziente.



L'ECOSISTEMA DELLA RICERCA FONDAZIONE TELETHON E IL MODELLO INTEGRATO

Fondazione Telethon agisce per l'avanzamento della ricerca sulle malattie genetiche con un focus sulle patologie rare e trascurate. L'obiettivo è generare benefici concreti per le persone: accesso alla diagnosi, alla cura e a una

migliore qualità di vita. Per completare il percorso dalla scoperta scientifica al paziente, la Fondazione si pone come attore complementare e sussidiario all'industria. Nei casi in cui per l'industria non sia sostenibile produrre e commercializzare una

terapia, Fondazione Telethon prosegue autonomamente per non lasciare i pazienti senza una risposta. Per questo ha costruito un modello alternativo pensato per mantenersi nel tempo senza sottrarre risorse alle ricerche future.

Per raggiungere questo obiettivo, la Fondazione:

1

ASSICURA I FONDI NECESSARI PER IL LAVORO DEI RICERCATORI, APPLICANDO PROCESSI TRASPARENTI PER LA SELEZIONE DEI PROGETTI PIÙ MERITEVOLI

2

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

3

INVESTE IN TECNOLOGIE E COMPETENZE IN GRADO DI SOSTENERE E ACCELERARE LO SVILUPPO VERSO LA CURA

4

GESTISCE IN AUTONOMIA PRODUZIONE E DISTRIBUZIONE DELLE TERAPIE NEI CASI IN CUI GLI OPERATORI DEL FARMACEUTICO NON NE GARANTISCANO LA DISPONIBILITÀ AI PAZIENTI

5

COORDINA PROGETTI DI SPERIMENTAZIONE CLINICA, ANCHE IN COLLABORAZIONE CON ALTRI ENTI

6

PARTECIPA A RETI COLLABORATIVE DI ECCELLENZA PER RENDERE DISPONIBILI E ACCESSIBILI CONOSCENZE, STRUMENTI E RISULTATI



Il percorso della ricerca

Dalla ricerca fondamentale fino alla produzione e distribuzione di terapie, Fondazione Telethon gestisce l'intera filiera della ricerca applicando gli standard qualitativi tipici dell'industria. L'obiettivo è garantire a ogni linea di ricerca la possibilità di avere un impatto sulla vita delle persone con malattie genetiche rare.

Per realizzare la cura, è essenziale partire dalla comprensione delle patologie e sviluppare terapie sicure ed efficaci. Guidata da questa visione, Fondazione Telethon applica, in tutte le fasi del percorso, gli standard qualitativi che garantiscono

a ogni linea di ricerca la possibilità di arrivare all'obiettivo finale. Oggi, a fronte di una manifesta difficoltà dell'industria a sostenere lo sviluppo di terapie per patologie rare e ultrarare, la Fondazione ha ulteriormente

rafforzato la propria capacità di governare, anche in autonomia, questi processi. Per questo si è dotata delle competenze necessarie per garantire lo sviluppo delle terapie operando con la massima efficienza in termini di tempi e di costi.

LA VALUTAZIONE DELLA RICERCA

Anche i progetti proposti dagli istituti, che non prevedono bandi competitivi, sono sottoposti a valutazione periodica con cadenza quinquennale.



PROGETTI DI RICERCA

I ricercatori presentano i progetti



RESEARCH PROGRAM MANAGER

I Research Program Manager interni alla Fondazione assegnano i progetti ai membri della Commissione Medico-Scientifica, un gruppo di esperti internazionali esterni



COMMISSIONE MEDICO-SCIENTIFICA

La Commissione Medico-Scientifica, con il supporto di altri revisori sempre esterni, valuta i progetti indicando quelli meritevoli di finanziamento

PERFEZIONAMENTO DEL PROCESSO PRODUTTIVO

RICERCA FONDAMENTALE

STUDI SULLA FUNZIONALITÀ DEI GENI SCONOSCIUTI

STUDI SUI MECCANISMI FISIOPATOLOGICI

IDENTIFICAZIONE DEL BERSAGLIO TERAPEUTICO

CONVALIDA DEL BERSAGLIO TERAPEUTICO

IDENTIFICAZIONE DELL'APPROCCIO TERAPEUTICO

STUDI IN VITRO E/O IN VIVO IN MODELLI SPERIMENTALI DELLA MALATTIA

PROVA DI CONCETTO PRECLINICA

RICERCA CLINICA

DETERMINAZIONE DEL DOSAGGIO E DELL'EFFICACIA

STUDI DI BIODISTRIBUZIONE, TOSSICITÀ E SICUREZZA

STUDI CLINICI DI FASE I/II

STUDI CLINICI DI FASE III

REGISTRAZIONE E DISTRIBUZIONE AL PAZIENTE

INTERAZIONE CON AGENZIE DEL FARMACO E SISTEMI SANITARI
COORDINAMENTO DI SITI PRODUTTIVI E CENTRI CLINICI
FARMACOVIGILANZA

STUDI OSSERVAZIONALI

INDAGANO LE CAUSE E/O LE CONSEGUENZE DI UNA MALATTIA. A DIFFERENZA DEGLI STUDI CLINICI INTERVENTISTICI NON TESTANO UNA TERAPIA. PER QUESTO SI POTREBBERO CONSIDERARE COME ABILITANTI PER LO SVILUPPO DI UNA TERAPIA





Una molteplicità di interventi

RICERCA SCIENTIFICA E SVILUPPO DI TERAPIE	INIZIATIVE DI RICERCA EXTRAMURALE	Diretto	Condiviso	Indiretto
		- Bando multiround 9 - Bando clinico Fondazione Telethon - Uildm 9 - Program Project neuromuscolare 9 - Piattaforma per la distrofia di Duchenne 9	- Bando multiround - FRRB 3 17 - Bando Fond.Telethon - Fond. Cariplo 3 17 - Bando Seed 17 - Rete delle biobanche genetiche 9	- Fondazione AriSLA 3 - Registro dei pazienti con malattie neuromuscolari 17 - EJP-RD (ora ERDERA) 17
		- Tigem 9 - Programma Malattie Senza Diagnosi 3	- SR-Tiget 9 - Bando Seed 17	
		- Mucopolisaccaridosi di tipo 6 3 - Malattia di Pompe 3	- Beta-talassemia 3 - Osteopetrosi 3 - Progetto Piattaforma (MPS4A, MPS4B e Alfa-mann) 3 - Sindrome da immunodeficienza con iperIgM 3	- Acidemia metilmalonica 3 - Malattia di Stargardt 3 - Mucopolisaccaridosi di tipo 1H 3 - Sindrome di Usher tipo 1B 3
	ALTRE TERAPIE IN SVILUPPO		Miopatie da deficit del collagene VI 3	Sindrome di Lowe 3
AUTORIZZAZIONE E DISTRIBUZIONE DI TERAPIE	TERAPIE GIÀ AUTORIZZATE	- Terapia genica per immunodeficienza ADA-SCID 3 - Terapia genica per sindrome di Wiskott-Aldrich 3		Leucodistrofia metacromatica 3
PARTNERSHIP INDUSTRIALI E LANCIO DI START-UP			- Genespire 17 - AAVantgarde 17 - Innovavector 17 - Negedia 17	Epsilen Bio (-> Chroma medicine ->nChromaBio) 17
SUPPORTO AI PAZIENTI		- Come a casa 9 - Info_Rare 17		Centri NeMO 3
COLLABORAZIONI STRATEGICHE		- ARM 17 - EJP-RD (ora ERDERA) 17 - ENMC 17 - EuropePMC 17 - ICPerMed e EP PerMed 17 - IRDiRC 17 - TREAT-NMD 17 - UDNI 17		

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

Dallo studio di ambiti tuttora inesplorati (Seed Grant), alla comprensione di meccanismi biologici oscuri (Fondazione Telethon-Fondazione Cariplo), fino all'avanzamento della ricerca di base e preclinica (Multiround) e alla validazione di nuove terapie (ERDERA), ogni bando corrisponde a un passaggio della filiera della ricerca. Un approccio che consente di accrescere la conoscenza anche nelle aree più complesse e meno presidiate.

Tramite bandi competitivi o investimenti ad hoc, Fondazione Telethon sostiene gruppi di ricerca EXTRAMURALE che operano presso enti, università e istituti di ricerca in Italia. I bandi competitivi di Fondazione Telethon coprono in modo complementare le diverse fasi della ricerca sulle

malattie genetiche rare. Per selezionare 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.

BANDO MULTIROUND D C

Il bando Multiround è finalizzato al finanziamento di progetti di ricerca di base e preclinica sulle malattie genetiche rare.

Poiché queste due fasi della ricerca sono entrambe essenziali per l'avanzamento verso la cura, il processo di selezione prevede percorsi distinti per le proposte che ricadono nelle due categorie.

La prima tornata della seconda edizione (2025-2027) del bando Multiround si è svolta in partnership con la Fondazione Regionale per la Ricerca Biomedica (FRRB), ente non profit di Regione Lombardia.

Nel 2025

189

progetti ammessi alla revisione

27

progetti finanziati

39

gruppi di ricerca coinvolti

4,8 M/euro

finanziamento complessivo di Fondazione Telethon

2,2 M/euro

Contributo di FRRB per sostenere 9 progetti in Lombardia

BANDO CONGIUNTO FONDAZIONE TELETHON-FONDAZIONE CARIPLO C

Il bando congiunto con Fondazione Cariplo è finalizzato al finanziamento di ricerche che esplorino aspetti genetici e meccanismi molecolari ancora in gran parte sconosciuti, ma con un forte potenziale per la comprensione e il trattamento delle malattie rare.

Nell'ambito della quarta edizione sono stati selezionati progetti "Pilot", della durata di anno e finalizzati alla generazione di dati preliminari partendo da zero, e progetti "Full" di durata fino a due anni a partire da dati preliminari già disponibili.

BANDO SEED GRANT C

Il bando Seed Grant è svolto in collaborazione con le associazioni di pazienti. È finalizzato al finanziamento di ricerche che esplorino aspetti tuttora poco studiati di specifiche patologie genetiche rare. L'obiettivo è, dunque, gettare un seme (seed) per l'avvio di nuove linee d'indagine sulle malattie di interesse per le associazioni che partecipano all'iniziativa.

La modalità di collaborazione con le associazioni di pazienti fornisce a queste organizzazioni gli strumenti per orientare le decisioni di finanziamento. Fondazione Telethon, infatti, 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. Le proposte di finanziamento possono essere presentate sia da ricercatori extramurali sia da ricercatori degli Istituti.

NATURA FINANZIARIA DEL PROGETTO

- D DIRETTO
- C CONDIVISO
- I INDIRETTO

Nel 2025

136

progetti ammessi alla revisione

27

malattie studiate

26

progetti finanziati
14 Pilot - 12 Full

35

gruppi di ricerca coinvolti

1,8 M/euro

finanziamento di Fondazione Telethon

1,8 M/euro

finanziamento di Fondazione Cariplo

Nel 2025

2

edizioni del bando

16

nuovi progetti finanziati

5

rinnovi di progetto

13

associazioni coinvolte

1,1 M euro

finanziati di cui 200 k/euro finanziati da Fondazione Telethon



BANDO INTERNAZIONALE DI ERDERA **D** **I**

La “European Rare Diseases Research Alliance” (ERDERA) è nata per stimolare la collaborazione internazionale e interdisciplinare sulle malattie rare. Fondazione Telethon partecipa alla definizione delle strategie di ERDERA e contribuisce a un bando per il finanziamento di progetti dedicati allo sviluppo preclinico di terapie per malattie rare.

In particolare, nel 2025 l'obiettivo del bando è stato selezionare ricerche basate sull'utilizzo delle small molecules (molecole di sintesi chimica di dimensioni ridotte) e dei farmaci biologici.

Nel 2025

1 M/euro finanziati i partner italiani di 4 progetti internazionali di ERDERA

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 2025

3 progetti “Full” di cui due multicentrici

3 progetti pilota a singolo centro
1 anno durata progetto

11 ricercatori coinvolti



LA MAPPA DEI FINANZIAMENTI 2025

TRENTINO-ALTO ADIGE

- Trento**
- Università di Trento | **M, C** |
 - Istituto di Neuroscienze (CNR) | **M** |
- Rovereto**
- Istituto Italiano di Tecnologia | **M** |

FRIULI-VENEZIA GIULIA

- Trieste**
- Università di Trieste | **C, S** |
 - Scuola Internazionale Superiore di Studi Avanzati (SISSA) | **S** |

LOMBARDIA

- Varese**
- Università dell'Insubria | **C** |
- Milano**
- Università degli Studi di Milano | **M, C, S** |
 - Università Vita-Salute San Raffaele | **M, C, S** |
 - Humanitas University | **M, C** |

- Istituto Nazionale di Genetica Molecolare (INGM) | **M, C** |
 - Istituto di Neuroscienze (CNR) | **M, C** |
 - Università di Milano-Bicocca | **M** |
 - Istituto di ricerche farmacologiche Mario Negri | **M** |
 - Fondazione Romeo ed Enrica Invernizzi | **M** |
- Monza**
- Istituto di Neuroscienze (CNR) | **C** |
- Pavia**
- Università di Pavia | **M, C** |
 - Istituto di Genetica Molecolare (CNR) | **C** |
 - Policlinico San Matteo | **M** |

PIEMONTE

- Novara**
- Università del Piemonte Orientale A. Avogadro | **M** |

- Torino**
- Università di Torino | **M, C, S** |
 - Italian Institute for Genomic Medicine (IIGM) | **C** |

VENETO

- Padova**
- Università di Padova | **M, C, S** |
 - Istituto Veneto di Medicina Molecolare (VIMM) | **C** |
- Verona**
- Università di Verona | **M, S** |

EMILIA-ROMAGNA

- Parma**
- Università di Parma | **M, C** |
- Modena / Reggio Emilia**
- Università di Modena e Reggio Emilia | **M** |
- Bologna**
- Università di Bologna / IRCCS Azienda Ospedaliero-Universitaria | **C, S** |
- Ferrara**
- Università degli Studi di Ferrara | **S** |

LIGURIA

- Genova**
- Ospedale Policlinico San Martino - IRCCS | **C, S** |
 - IRCCS Istituto Giannina Gaslini | **C** |
 - Istituto Italiano di Tecnologia (IIT) | **M** |
 - Istituto di Biofisica (CNR) | **M** |

TOSCANA

- Pisa**
- Università di Pisa | **C, S** |
 - Istituto di Neuroscienze (CNR) | **M, S** |
 - IRCCS Fondazione Stella Maris | **M, S** |
- Firenze**
- Università di Firenze | **C** |

LAZIO

- Roma**
- Università di Roma Tor Vergata | **M, C** |
 - Università di Roma La Sapienza | **M, S** |
 - Università Cattolica del Sacro Cuore | **S** |
 - Istituto di Farmacologia Traslazionale (CNR) | **M** |

MOLISE

- Pozzilli (Isernia)**
- Fondazione Neuromed | **C** |

PUGLIA

- Bari**
- Università di Bari | **C** |

CAMPANIA

- Napoli / Pozzuoli**
- Ist. di Genetica e Biofisica Adriano Buzzati-Traverso (CNR) | **M, C** |
 - Ist. Telethon di Genetica e Medicina (TIGEM) | **S** |





La rete delle biobanche genetiche

Le biobanche che afferiscono alla rete creata nel 2007 da Fondazione Telethon raccolgono e conservano 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.

A fronte di una richiesta crescente di accesso a questo servizio da parte della comunità scientifica, la Fondazione ha deciso di incrementare l'investimento sulle biobanche: nel 2025 ha approvato un progetto di 5 anni per sostenere l'implementazione di un servizio di processamento e sequenziamento di nuova

generazione, l'incarico a un Operation Manager e i costi dell'infrastruttura informatica. La rete, coordinata dal Dr. Luca Sangiorgi dell'IRCCS Istituto Ortopedico Rizzoli di Bologna, ha visto l'uscita di due biobanche inattive e l'ingresso di una nuova biobanca ed è oggi composta da 9 centri.

700 k€
investiti

Attrazione investimenti non filantropici

La capacità di attrarre finanziamenti competitivi nazionali e internazionali conferma l'eccellenza della ricerca di Fondazione Telethon e moltiplica l'impatto dell'investimento filantropico dei donatori.

Accanto al sostegno fondamentale dei donatori, Fondazione Telethon continua a distinguersi per la capacità di attrarre importanti investimenti non filantropici, ottenuti attraverso bandi competitivi nazionali e internazionali, partnership scientifiche e collaborazioni con enti pubblici e privati. Si tratta di un elemento particolarmente rilevante perché questi finanziamenti vengono assegnati sulla base della qualità scientifica dei progetti, della solidità delle competenze e della capacità di produrre risultati innovativi e concreti. Nel quinquennio 2021-2025, Fondazione Telethon ha ottenuto complessivamente

oltre 59,5 milioni di euro di finanziamenti non filantropici. Queste risorse consentono di ampliare il perimetro delle attività di ricerca, rafforzare infrastrutture e piattaforme

tecnologiche, attrarre competenze altamente specializzate e accelerare lo sviluppo di approcci terapeutici innovativi. Allo stesso tempo, generano un importante effetto leva:

l'investimento filantropico iniziale sostenuto dai donatori diventa infatti un catalizzatore capace di attivare ulteriori risorse competitive, moltiplicando l'impatto complessivo della ricerca.

ENTE FINANZIATORE	TOT FINANZIAMENTO 2021-2025 (IN MIGLIAIA DI €)
MUR - Ministero dell'Università e della Ricerca	24.543
EC - EUROPEAN COMMISSION	14.312
AIRC - FONDAZIONE AIRC PER LA RICERCA SUL CANCRO ETS	6.369
REGIONE CAMPANIA	3.344
FFB - FOUNDATION FIGHTING BLINDNESS	1.631
ALP - ALPHA1-FOUNDATION	1.245
FNIH - Foundation for the National Institutes of Health	1.114
FCDP - Fondazione Cassa Depositi e Prestiti	993
FTH - FONDAZIONE HUMAN TECHNOPOLE	800
AFM - ASSOCIATION FRANÇAISE CONTRE LES MYOPATHIES	547
ALTRI ENTI PUBBLICI E PRIVATI	4.643
Totale complessivo	59.541

Le collaborazioni strategiche

Fondazione Telethon partecipa, al livello internazionale, alla costruzione di alleanze e progetti collaborativi realizzati dai principali attori impegnati al fianco delle persone con malattie rare.

In questo ambito è cruciale il coordinamento tra tutte le forze in campo per avanzare con la massima efficacia ed evitare duplicazioni e dispersioni delle risorse.

EUROPEAN RARE DISEASES RESEARCH ALLIANCE (ERDERA)

Riunisce oltre 180 organizzazioni europee con l'obiettivo di rendere l'Europa leader mondiale nelle malattie rare, migliorandone prevenzione, diagnosi e trattamento.

EUROPEAN PARTNERSHIP FOR PERSONALISED MEDICINE (EP PerMed)

Nata dall'International Consortium for Personalised Medicine, riunisce circa 60 partner di 25 paesi per migliorare la competitività dell'Europa nel campo della medicina personalizzata.

INTERNATIONAL RARE DISEASES RESEARCH CONSORTIUM (IRDiRC)

Promuove la collaborazione globale nella ricerca per garantire che le persone con malattie rare ricevano diagnosi, presa in cura e terapie disponibili entro un anno dall'attenzione medica.

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.

EUROPEAN NEUROMUSCULAR CENTRE (ENMC)

Attivo dal 1992 per facilitare la comunicazione e la collaborazione nella ricerca clinica neuromuscolare tramite workshop e convegni. È un modello per le modalità di coinvolgimento delle organizzazioni di pazienti nella ricerca.

ALLIANCE FOR REGENERATIVE MEDICINE (ARM)

Organizzazione 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.

TREAT-NMD

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

EUROPE PUBMED CENTRAL (EUROPE PMC)

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





02

2

Ricerca scientifica e sviluppo di terapie

La ricerca scientifica intramurale

L'ISTITUTO TELETHON DI GENETICA E MEDICINA (TIGEM)

Tigem è un centro di eccellenza nel Sud Italia che integra medicina genomica, biologia cellulare e approcci computazionali per comprendere e trattare le malattie genetiche rare. Leader nello studio dei lisosomi e nella terapia genica, ha sviluppato tecnologie innovative per il trasferimento di geni di grandi dimensioni. Un ecosistema multidisciplinare per la formazione di nuove generazioni di scienziati.

Fondato nel 1994, Tigem è un istituto multidisciplinare che studia i meccanismi alla base delle malattie genetiche rare con l'obiettivo di sviluppare soluzioni innovative di trattamento e diagnosi. In particolare, Tigem è leader nello studio dei lisosomi e del trafficking intracellulare.

L'istituto ha contribuito alla prima terapia genica registrata per una forma di cecità genetica e ha sviluppato la prima terapia genica diretta al fegato per una malattia lisosomiale.

Ha, inoltre, messo a punto una piattaforma tecnologica per il trasferimento dei geni di grandi dimensioni.

Dal 2016 Tigem ha dato risposta a centinaia di pazienti in attesa di una diagnosi genetica. Oggi Tigem è un ecosistema scientifico basato sulla contaminazione tra saperi e la formazione della nuova generazione di scienziati. Integrando genomica, biologia cellulare, bioinformatica e approcci basati sull'intelligenza artificiale, contribuisce all'avanzamento delle tecnologie di riposizionamento dei farmaci e alle strategie per estendere l'impatto della terapia genica a patologie precedentemente non trattabili con questo approccio.

TIGEM NEL 2025

281

ricercatori

26

team di ricerca

67

pubblicazioni scientifiche

28 M€

impiegati in ricerca di cui **18** da Fondazione Telethon

11

infrastrutture specializzate che consentono ai ricercatori di accedere a tecnologie sperimentali all'avanguardia

164,52

milioni di euro investiti dal 1994 da Fondazione Telethon

La formazione

La formazione delle future generazioni di scienziati è centrale nella missione dell'istituto. Tigem ospita attività di training per gli studenti e, tramite l'adesione a programmi di dottorato, supporta giovani ricercatori italiani e stranieri nella costruzione di una carriera scientifica inserita nel contesto internazionale.

NEL 2025

38

dottorandi

15

laureandi

10

ricercatori che hanno conseguito il dottorato



[Programmi di ricerca]

ATTUANO LE STRATEGIE DELL'ISTITUTO PER CHIARIRE LE CAUSE DELLE MALATTIE E MIGLIORARNE DIAGNOSI E TRATTAMENTO

BIOLOGIA CELLULARE

Regolazione e funzione degli organelli cellulari nel metabolismo e nelle malattie

Dinamiche e patologie delle membrane cellulari

Meccanismi molecolari delle malattie renali ereditari

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

[Le malattie studiate]

**MALATTIE EREDITARIE DELLA RETINA****MALATTIE DA ACCUMULO LISOSOMIALE****MALATTIE GENETICHE DEI TRASPORTATORI IONICI****MALATTIE EREDITARIE DEL RENE****DISTURBI EREDITARI DEL METABOLISMO DEL FEGATO****MALATTIE SENZA DIAGNOSI**

[Programma Malattie senza diagnosi]

Il Programma Malattie senza diagnosi di Fondazione Telethon è stato creato per dare risposta ai pazienti con malattie genetiche rare e sconosciute capitalizzando sulla competenza di TIGEM negli studi genetici.

Il programma utilizza tecnologie avanzate come il sequenziamento di nuova generazione per analizzare campioni di DNA e RNA.

Coinvolge una rete di 22 ospedali pediatrici distribuiti sul territorio nazionale.

NEL 2025

56

casi analizzati

19

casi diagnosticati

7

pubblicazioni scientifiche





L'ISTITUTO SAN RAFFAELE TELETHON PER LA TERAPIA GENICA (SR-TIGET)

Fondato nel 1996 dall'alleanza tra Fondazione Telethon e Ospedale San Raffaele, SR-Tiget è leader nella terapia genica grazie all'integrazione efficace tra laboratorio e clinica. Ha sviluppato tre terapie geniche oggi disponibili per i pazienti. Un modello che consente di portare i risultati della ricerca direttamente al letto del paziente. L'Istituto contribuisce in modo determinante all'avanzamento della terapia genica di nuova generazione, con ricadute anche in ambito oncologico.

Fondato nel 1996 dall'alleanza tra l'Ospedale San Raffaele e Fondazione Telethon, SR-Tiget svolge studi pionieristici nel campo della terapia genica e li traduce in trattamenti efficaci e sicuri per le persone con malattie genetiche rare.

Qui è nata la prima terapia genica basata su cellule staminali ematopoietiche ad essere registrata come farmaco nel 2016 per il trattamento dell'immunodeficienza congenita Ada-Scid. Inoltre, il primato dell'Istituto nello sviluppo di una piattaforma tecnologica basata su vettori lentivirali, cioè derivanti dal virus Hiv, ha portato alla registrazione di due ulteriori trattamenti innovativi: nel 2020 per la leucodistrofia metacromatica e nel 2025 per la sindrome di Wiskott-Aldrich.

Oggi, grazie al dialogo continuo tra ricerca fondamentale e clinica e all'implementazione di strutture specializzate per il supporto della ricerca traslazionale, l'istituto contribuisce in modo determinante all'avanzamento della terapia genica di nuova generazione, con ricadute anche in ambito oncologico.

SR-TIGET NEL 2025

303

ricercatori

21

team di
ricerca

76

pubblicazioni
scientifiche

18 M€

impiegati in
ricerca di cui **13**
da Fondazione
Telethon

173,72

milioni di euro investiti dal
1996 da Fondazione Telethon

Futuri scienziati per le terapie avanzate

Per trasformare la scoperta scientifica in benefici concreti per i pazienti, oltre agli strumenti tecnologici sono cruciali le competenze delle persone coinvolte nel processo di sviluppo: gli istituti di Fondazione Telethon rappresentano un ambiente ideale per la loro formazione. Qui, infatti, i ricercatori sono immersi in un contesto scientifico e tecnologico in cui ricerca di base, applicazioni cliniche, standard regolatori e processi industriali sono profondamente interconnessi.

Per questo Fondazione Telethon ha deciso di sostenere il Dottorato Nazionale in Science and Technology for Advanced Therapies (STAT), il primo programma di dottorato in Italia dedicato specificamente alle terapie avanzate. Il dottorato STAT è realizzato con IUSS (Scuola Universitaria Superiore Pavia) e promosso da Università degli Studi di Pavia e Centro Nazionale di Adroterapia Oncologica (CNAO); SR-Tiget e Tigem ospiteranno i dottorandi impegnati nel curriculum in Cell and Gene Therapy.

Sempre in collaborazione con IUSS, e grazie al programma di cofinanziamento europeo Marie Skłodowska-Curie Actions COFUND scheme, gli istituti della Fondazione gestiranno anche il programma di dottorato Rarefind, dedicato all'avanzamento delle terapie geniche e cellulari per le malattie genetiche rare.



[Programmi di ricerca]

ATTUANO LE STRATEGIE DELL'ISTITUTO PER AUMENTARE EFFICACIA, SICUREZZA E IMPATTO DELLA TERAPIA GENICA

**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 malattie studiate]



**MALATTIE DA
ACCUMULO
LISOSOMIALE**



**MALATTIE
GENETICHE
DEL SANGUE**



**DISTURBI
EREDITARI DEL
METABOLISMO
DEL FEGATO**



**MALATTIE
SCHELETRICHE
RARE**



IMMUNODEFICIENZE

[Infrastrutture di ricerca]

GARANTISCONO GLI STANDARD DI QUALITÀ E SICUREZZA
PER TRADURRE LA SCOPERTA SCIENTIFICA IN TERAPIA

RICERCA TRASLAZIONALE

**LABORATORIO PER LO SVILUPPO DI PROCESSI
PDL (Process Development Laboratory):** svolge la
validazione preclinica e l'ottimizzazione dei protocolli
di preparazione delle terapie geniche e cellulari

**CENTRO DI SAGGIO GLP (Good Laboratory
Practice):** effettua 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

Conduzione degli studi clinici secondo
le buone pratiche cliniche

UFFICIO STUDI CLINICI

Gestisce l'organizzazione degli studi clinici
assicurando il rispetto degli standard di
qualità - interagisce con comitati etici

LABORATORIO CLINICO

esegue test sperimentali per verificare gli
obiettivi degli studi clinici e si occupa della
conservazione dei campioni





02

3

Sviluppare le terapie

Per trasformare gli avanzamenti scientifici in terapie fruibili e offrire una reale possibilità di cura ai pazienti, la ricerca accademica deve essere integrata con risorse, competenze e processi tipici dell'industria.

Fondazione Telethon persegue questo obiettivo sia collaborando con investitori e aziende del settore sia mettendo in campo tutte le professionalità necessarie per operare, anche in autonomia, con standard industriali.



UFFICIO SVILUPPO DELLA RICERCA – TRASFERIMENTO TECNOLOGICO

Supporta i ricercatori nell'accesso a strumenti e tecnologie di terze parti

Tutela la proprietà intellettuale per proteggere i risultati della ricerca

Promuove il valore della ricerca di Fondazione Telethon presso biotech, farmaceutiche ed investitori.

Negozia gli accordi per la creazione di partnership e start-up

Accompagna le partnership e le start-up attivate per favorirne il successo e far avanzare i progetti coinvolti.



UFFICIO GESTIONE PROGETTI TRASLAZIONALI E AFFARI REGOLATORI

È costituito da un team di esperti in gestione dello sviluppo del farmaco

Aiuta i ricercatori a orientarsi nel complesso panorama normativo delle terapie avanzate

In ogni fase dello sviluppo preclinico e clinico, opera per massimizzare le opportunità di accesso a incentivi e agevolazioni previsti dalle agenzie regolatorie internazionali

Supporta i team clinici nell'accesso ai programmi nazionali di accesso allargato e precoce ai farmaci



UFFICIO PER LO SVILUPPO CLINICO E GESTIONE STUDI

Ha in carico la gestione operativa di tutti gli studi clinici gestiti da Fondazione Telethon

Garantisce la governance della ricerca clinica e il rispetto della normativa in materia

Aiuta medici e ricercatori a impostare la sperimentazione clinica

Supporta lo svolgimento dello studio con competenze di biostatistica e farmacovigilanza

Presso le unità cliniche dell'ospedale San Raffaele, a Milano, e delle Università Federico II e Vanvitelli, a Napoli, operano, in stretta collaborazione con l'Ufficio gestione studi, i team clinici formati da medici, infermieri clinici e manager che garantiscono gli standard qualitativi e normativi delle sperimentazioni in corso.



02

4

Le collaborazioni per lo sviluppo

Nella creazione di alleanze per accelerare lo sviluppo della ricerca, a beneficio delle persone con malattie genetiche rare, la priorità è generare avanzamenti concreti per le persone con malattie genetiche rare.

Pertanto, al fine di tutelare i propri obiettivi, mantenendo al contempo un equilibrio con i diritti riconosciuti ai partner, Fondazione Telethon imposta le collaborazioni nel rispetto di alcuni principi generali.

Accordi in equilibrio

Per conciliare la propria missione e i diritti riconosciuti ai partner, le collaborazioni della Fondazione sono impostate in base ad alcuni principi fondamentali.

1

SALVAGUARDIA DELL'INDIPENDENZA SCIENTIFICA DEI RICERCATORI

2

RESTITUZIONE ALLA FONDAZIONE DELLA PROPRIETÀ INTELLETTUALE E DEI RISULTATI GENERATI, SE IL PARTNER NON PROSEGUE LO SVILUPPO

3

SUPPORTO ECONOMICO DEL PARTNER PER LA RICERCA COLLABORATIVA

4

IMPEGNO DEL PARTNER A SVILUPPARE LE TERAPIE DELL'ALLEANZA

5

MANTENIMENTO DELLA PROPRIETÀ DI BREVETTI E KNOW-HOW, IN CAPO A FONDAZIONE TELETHON, ACCESSIBILI AI PARTNER TRAMITE LICENZA

6

PROVENTI DA LICENZE DI PROPRIETÀ INTELLETTUALE DA REINVESTIRE IN RICERCA

Le partnership industriali

ALCUNE DELLE PARTNERSHIP INDUSTRIALI ATTIVE

ORCHARD THERAPEUTICS

La partnership riguarda la terapia genica per la leucodistrofia metacromatica (già approvata come farmaco) e quella per la mucopolisaccaridosi 1H.

Nel 2024, l'azienda è stata acquisita dalla giapponese Kyowa Kirin, multinazionale con forte attenzione alle malattie rare.

AKUOS

Nel 2025 è proseguito il trial di terapia genica per sordità causata da mutazione del gene OTOF in parallelo allo studio di storia naturale della malattia.

La terapia utilizza la piattaforma tecnologica sviluppata al Tigem (e in uso nella sperimentazione per la sindrome di Usher 1B), concessa in licenza.

CANFITE

È in corso lo sviluppo clinico di un nuovo potenziale trattamento farmacologico per la sindrome di Lowe, a partire dai risultati su modelli preclinici ottenuti al Tigem.



Gli accordi per lo sviluppo

TIGEM E SR-TIGET NEL 2025

123

accordi di
confidenzialità

10

accordi di
ricerca

36

enti industriali coinvolti (13
per Tigem, 20 SR-Tiget, 3 dti)

117

accordi di trasferimento di materiali, tecnologie e/o know-how, **21** dei quali riguardano materiali generati da SR-Tiget o Tigem

I brevetti

Il brevetto incentiva aziende e start-up a investire sui risultati della ricerca. Quando la terapia arriva a essere distribuita come farmaco, il brevetto conferisce all'azienda un periodo di esclusività commerciale e la possibilità di rientrare dell'investimento fatto in fase di sviluppo.

8

nel 2025

4

da Tigem

4

da SR-Tiget

82

FAMIGLIE DI INVENZIONI BREVETTATE ATTIVE A
DICEMBRE 2025 (48 SR TIGET, 23 TIGEM, 11 DTI)

Con titolarità esclusiva della Fondazione o in condivisione con enti italiani e/o stranieri. Una famiglia comprende più brevetti per la stessa invenzione, depositati in vari paesi



Le start-up

Dall'interesse di fondi di investimento pubblici e privati per le scoperte scientifiche generate dalla ricerca di Fondazione Telethon sono nate diverse start-up. La Fondazione partecipa a cinque di queste come socio fondatore e siede in tre consigli di amministrazione. Nelle quattro start-up non partecipate la Fondazione non è tra i soci pur essendo co-titolare dei brevetti da cui sono nate.

[Partecipate]

PER LO SVILUPPO DI TERAPIE

GENESPIRE

Terapia genica diretta al fegato con vettori lentivirali

AAVANTGARDE BIO

Terapie geniche per malattie ereditarie della retina basate su una piattaforma per il trasferimento di geni di grandi dimensioni

EPSILEN BIO, POI CHROMA MEDICINE.

Terapie di editing genetico per la modifica reversibile dell'espressione del DNA in vari tipi di malattie. Nel 2025 ha ricevuto l'autorizzazione per uno studio clinico di silenziamento epigenetico in pazienti con epatite B cronica.

DI SVILUPPO

INNOVAVECTOR

Produzione di vettori virali adeno-associati per la terapia genica

NEGEDIA

Diagnostica molecolare avanzata di malattie genetiche rare e tumori

[Non partecipate]

IAMA

Prodotti terapeutici per autismo, epilessie e altri disturbi del sistema nervoso centrale

SYBILLA

Scoperta e sviluppo di molecole terapeutiche in grado di interferire con il processo di ripiegamento delle proteine

GENENTA

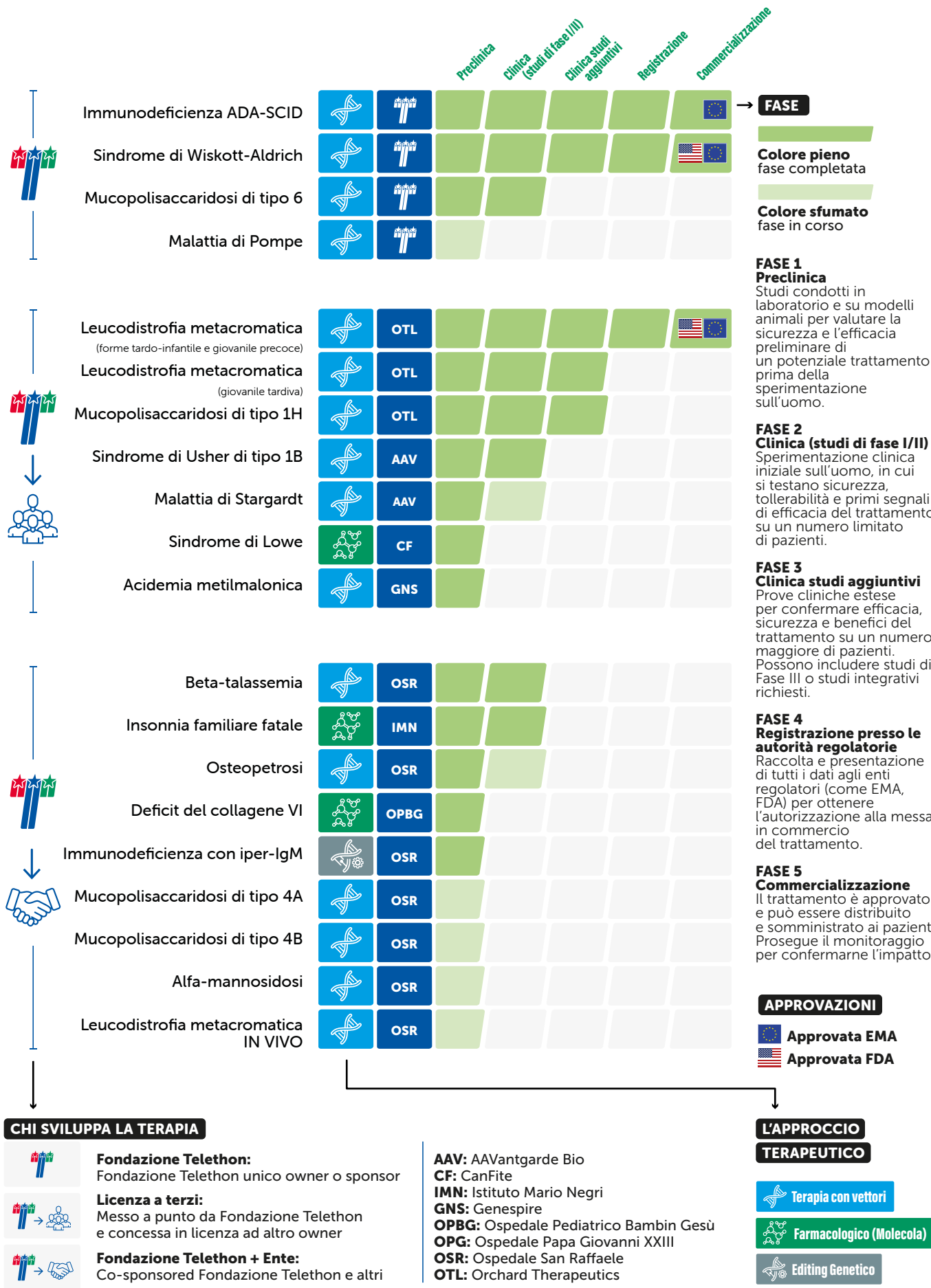
Immunoterapia del cancro con cellule staminali ematopoietiche modificate con vettori lentivirali

TR1X

Terapie cellulari per il trattamento di malattie infiammatorie e autoimmuni.

Nel 2025 ha ottenuto dalla FDA l'approvazione per l'avvio della sperimentazione clinica di un prodotto terapeutico innovativo per il trattamento della sclerosi multipla.

Lo sviluppo delle terapie: la nostra pipeline (al 30 aprile 2026)



Le terapie 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 ex vivo, 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 tardo-infantile e giovanile precoce della leucodistrofia metacromatica, ma se ne sta sperimentando l'impiego anche per la forma giovanile tardiva. SR-Tiget sta portando avanti anche lo sviluppo preclinico di una strategia di terapia genica in vivo per questa patologia. *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. È in corso dal 2024 un nuovo studio clinico multicentrico internazionale di fase 3, in cui è coinvolto anche il centro clinico di SR-Tiget.

Nel 2025, in anticipo rispetto alle previsioni, è stato annunciato il coinvolgimento dell'ultimo paziente per questo studio.

[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 genicaed è attualmente (aprile 2026) in fase di valutazione da parte delle autorità competenti un nuovo studio clinico.

[Sviluppo clinico per osteopetrosi] **C**

Osteopetrosi

- MALATTIA DEL TESSUTO OSSEO
- SPERIMENTAZIONE FASE I/II

Terapia genica con vettore lentivirale sviluppata da SR-Tiget. Nel 2025 è stato approvato dalle autorità regolatorie l'avvio 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.

[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 fase di sottomissione (maggio 2026) un nuovo studio clinico per valutare efficacia e sicurezza di un ulteriore dosaggio di questa terapia.

[Sviluppo clinico per l'immunodeficienza con iper-IgM] **C**

Sindrome da immunodeficienza con iper-IgM

- 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 (aprile 2026) in fase di valutazione da parte delle autorità competenti uno studio clinico di fase I/II.

[Malattia di Pompe] **D**

Glicogenosi di tipo 2

- MALATTIA DA ACCUMULO LISOSOMIALE
- SVILUPPO PRECLINICO

È in corso al Tigem lo sviluppo preclinico di un approccio di terapia genica per questa patologia, conosciuta anche come Glicogenosi di tipo 2.

[Sindrome di Usher di tipo 1B] **C** [Sindrome di Stargardt] **C**

Sindrome di Usher di tipo 1B

- MALATTIA DELLA VISTA E DELL'UDITO
- SPERIMENTAZIONE FASE I/II

Nel 2025 si sono conclusi a Napoli i trattamenti 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. Lo studio iniziato da Fondazione Telethon è stato poi condotto e sponsorizzato dall'azienda AAVantgarde Bio (di cui Fondazione Telethon è socia). Sempre a partire da una tecnologia messa a punto al Tigem, nel 2025 l'azienda ha ottenuto dalla FDA anche l'approvazione per l'avvio di uno studio clinico di fase I/II di terapia genica per la malattia di Stargardt in Gran Bretagna, dove sono stati trattati già alcuni pazienti, ed in Europa.

[Sindrome di Lowe] **I**

Sindrome di Lowe sindrome oculo-cerebrale-renale

- DATA IN LICENZA
- SPERIMENTAZIONE FASE II

Grazie alla ricerca preclinica effettuata al Tigem, è stata individuata una molecola in grado di contrastare la disfunzione renale nella malattia. La terapia è stata data in licenza all'azienda CanFite che sta portando avanti lo sviluppo clinico per la stessa molecola come trattamento per la psoriasi. Ciò ha permesso di avviare nel 2025 una sperimentazione di fase II per la sindrome di Lowe presso l'Ospedale Bambino Gesù di Roma.

[Insonnia fatale familiare] **C**

Insonnia fatale familiare

- MALATTIA DEGENERATIVA DEL CERVELLO
- SPERIMENTAZIONE FASE II

Si è concluso lo studio clinico decennale, di cui Fondazione Telethon è co-sponsor insieme all'Istituto Mario Negri, per la sperimentazione dell'antibiotico doxiciclina come trattamento preventivo nei soggetti a rischio di manifestare la malattia.

[Miopatia da deficit del collagene VI] **C**

Distrofia muscolare congenita di Ullrich Miopatia di Bethlem

- MALATTIE NEUROMUSCOLARI
- IN PREPARAZIONE SPERIMENTAZIONE FASE I/II

Tramite studi preclinici realizzati con il sostegno di Fondazione Telethon, è stata validata una strategia farmacologica per il trattamento delle patologie legate al deficit di collagene VI. Grazie alla collaborazione con l'azienda proprietaria della molecola, è imminente l'avvio di uno studio clinico di cui Fondazione Telethon è co-sponsor insieme all'Ospedale Bambino Gesù di Roma.

[Acidemia Metilmalonica] **I**

Acidemia metilmalonica

- MALATTIA METABOLICA
- DATA IN LICENZA
- IN PREPARAZIONE SPERIMENTAZIONE FASE I/II

Messo a punto da SR-Tiget l'approccio di terapia genica in vivo per questa malattia, basato su un vettore lentivirale diretto al fegato, è stato dato in licenza all'azienda Genespire, che sta procedendo con lo sviluppo clinico.

[Progetto Piattaforma] **C**

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.

PROGETTO PIATTAFORMA: I PASSAGGI SVILUPPABILI IN PARALLELO PER DIVERSE MALATTIE

				
PROGETTAZIONE DEL VETTORE Vettore di terapia genica condiviso, modificando solamente il gene terapeutico	PRODUZIONE DEL FARMACO Processo di produzione del farmaco condiviso	TEST PRECLINICI Pacchetto di studi preclinici ottimizzato	PERCORSO REGOLATORIO Percorso regolatorio più snello	TEST NEI PAZIENTI Sperimentazione clinica unica, comprendente pazienti affetti da più malattie simultaneamente



02

5

Impatto sui pazienti

Le terapie disponibili

A fronte di una crisi di sostenibilità nella produzione industriale delle terapie avanzate per patologie rare e ultrarare, Fondazione Telethon sta costruendo un modello innovativo per salvaguardare l'accesso alla cura.

Tre delle undici terapie geniche attualmente disponibili nel mondo per pazienti con malattie rare sono state sviluppate all'istituto SR-Tiget. A queste va aggiunto il contributo del Tigem allo sviluppo di una quarta terapia per una forma di cecità genetica, frutto di una collaborazione internazionale. La terapia genica per la leucodistrofia metacromatica, portata all'immissione in commercio

tramite un accordo per lo sviluppo, è distribuita dall'azienda Orchard Therapeutics.

Per quanto riguarda, invece, le terapie per le immunodeficienze congenite Ada-Scid e sindrome di Wiskott-Aldrich, già oggetto della medesima alleanza, è stato possibile salvaguardarne la disponibilità perché nel 2023 Fondazione Telethon ne ha riacquisito le licenze

dall'azienda che aveva deciso di dismetterle.

Con questa decisione ha preso il via la costruzione di un modello alternativo di produzione e distribuzione delle terapie che, all'interno di una cornice interamente no-profit, consente a Fondazione Telethon di svolgere un ruolo sussidiario rispetto all'industria e garantire che le terapie realizzate nei laboratori della Fondazione diventino farmaci accessibili ai pazienti.

[Leucodistrofia metacromatica]

La terapia genica per questa grave malattia neurodegenerativa pediatrica è stata data in licenza a Orchard Therapeutics LTD che la distribuisce in Europa con il nome di Libmeldy e come Lenmeldy negli USA.

[Immunodeficienza Ada-Scid]

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, 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 la Fondazione produce e distribuisce Strimvelis, sono stati trattati 10 pazienti di cui 5 nel 2025.

[Sindrome di Wiskott-Aldrich]

Dopo il trasferimento della licenza da Orchard Therapeutics, la Fondazione ha deciso di completare in proprio il percorso registrativo per questa terapia. Nel 2025 è andata a buon fine la registrazione, con il nome di Waskyra, presso l'ente regolatorio americano (FDA) e l'Agenzia europea del farmaco (EMA) – quest'ultima ha finalizzato l'approvazione a inizio 2026. Oggi Waskyra è l'opzione di trattamento per i pazienti con sindrome di Wiskott-Aldrich che non possono accedere al trapianto di midollo. Fondazione Telethon è, così, la prima organizzazione non profit al mondo ad aver portato una terapia dalla ricerca in laboratorio all'immissione in commercio. In attesa della registrazione, la terapia era stata inserita dall'Agenzia italiana del farmaco (AIFA) nel programma di accesso precoce previsto dalla legge 648/96, per cui i pazienti italiani hanno potuto accedervi.

LA DISTRIBUZIONE NEGLI STATI UNITI

La distribuzione di Waskyra negli USA sarà gestita tramite un modello innovativo e completamente non profit che Fondazione Telethon sta impostando con Orphan Therapeutics Accelerator (OTXL), biotech non profit impegnata a portare ai pazienti terapie promettenti in fase clinica per condizioni ultra-rare. Operativamente, la distribuzione della terapia sarà in capo

La persona al centro

Per Fondazione Telethon sviluppare soluzioni efficaci per le malattie genetiche rare vuol dire anche prendersi cura dei pazienti coinvolti nei percorsi di ricerca e terapia e delle loro famiglie.



a Orphan Therapies, una controllata di OTXL che diventerà l'esclusivo partner di commercializzazione della terapia negli Stati Uniti, mentre Fondazione Telethon conserverà la Biologics License Application (BLA). Fondazione Telethon e OTXL condividono la visione di creare una modalità sostenibile di accesso al mercato anche per altre terapie avanzate destinate a gruppi molto ristretti di pazienti, per le quali le aziende profit non trovano un modello economico sostenibile.

COME A CASA **D**

Dal 2016 il programma Come a Casa accompagna nel percorso di trattamento a Milano i bambini che ricevono le terapie geniche sviluppate da SR-Tiget e le loro famiglie. Il team del Programma è un riferimento fondamentale 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 della terapia e del soggiorno lontano da casa. Il trattamento prevede una permanenza a Milano di almeno 4-6 mesi e ricoveri di circa una settimana, effettuati un paio di volte l'anno nei 15 anni successivi.

NEL 2025

428 k€

investiti

17

pazienti accolti, di cui:

15 trattati con terapia genica**2** trattati con trapianto di midollo

DAL 2016

140

pazienti accolti

di cui **15** trattati

con trapianto

I CENTRI CLINICI NEMO **I**

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.

NEL 2025

226 k€

investiti da Fondazione

Telethon nei centri NeMO

SERVIZIO INFO_RARE **D**

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 2025

1.959

richieste

5,5

giorni lavorativi mediamente impiegati per le risposte



02

6

L'impatto di Fondazione Telethon

Trattamento di pazienti con malattie genetiche rare

Nel 2025 15 pazienti sono stati trattati presso l'Unità clinica di SR-Tiget con le terapie geniche messe a punto da Fondazione Telethon per le malattie ADA-SCID, leucodistrofia metacromatica, sindrome di Wiskott-Aldrich.

6 pazienti affetti da sindrome di Usher hanno ricevuto la terapia genica sviluppata al Tigem presso la clinica oculistica dell'ateneo Vanvitelli di Napoli.

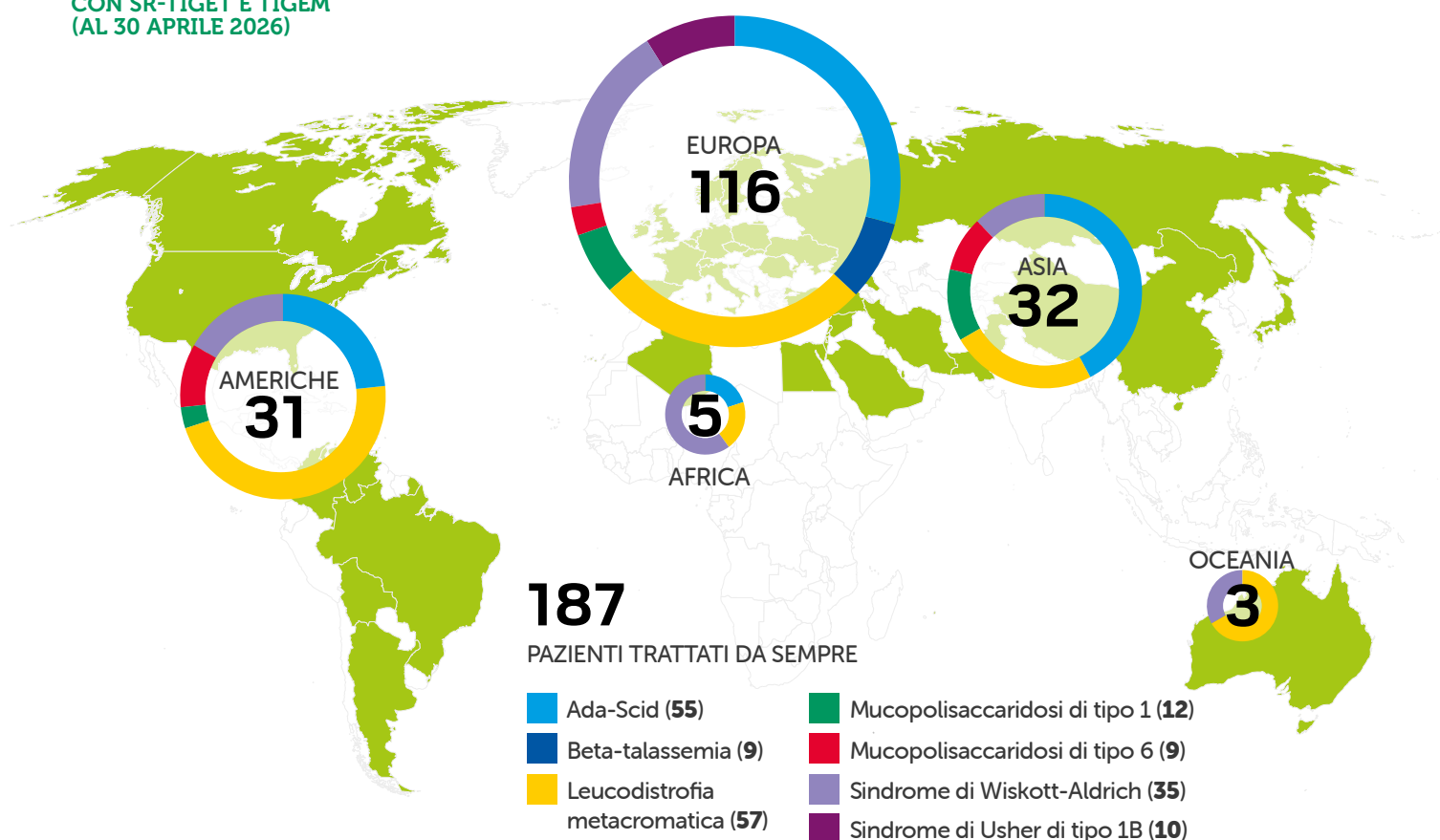
DA DOVE VENGONO I PAZIENTI TRATTATI PRESSO LE UNITÀ CLINICHE CHE COLLABORANO CON SR-TIGET E TIGEM (AL 30 APRILE 2026)



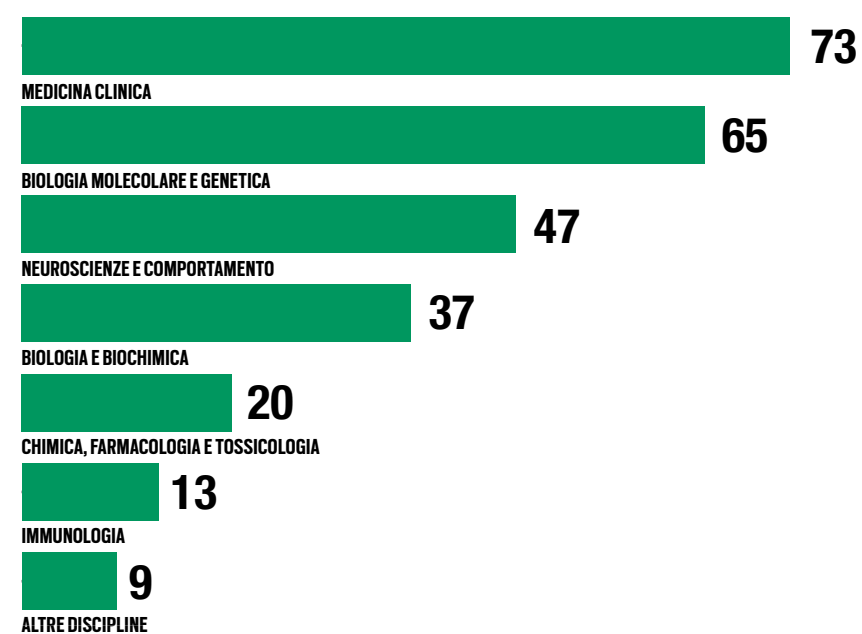
Produzione scientifica

La qualità della produzione scientifica scaturita dai progetti finanziati è un indicatore affidabile del valore che Fondazione Telethon sta costruendo attraverso la ricerca.

Il prestigio di una pubblicazione segnala, infatti, il contributo che quel lavoro apporta all'avanzamento della conoscenza in un determinato ambito e la sua capacità di influenzare l'operato di altri ricercatori generando, a cascata, un impatto molto ampio. Per Fondazione Telethon tutto ciò deve, poi, tradursi in strumenti concreti per cambiare la vita delle persone con malattie genetiche rare: una produzione scientifica di grande qualità segnala che la direzione è quella giusta.



NUMERO DI PUBBLICAZIONI 2025 ISTITUTI E RICERCA EXTRAMURALE



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

Nel 2025 le pubblicazioni sono state 280 e includono articoli originali, review, Editorial Material e Letter to Editor.

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.



03

Personale e volontari



INDICE ANALITICO
DI SEZIONE

3.1 Composizione e descrizione del personale	51
Dipendenti e collaboratori	51
Ripartizione per Direzioni	52
Turnover dipendenti	53
Retribuzione lorda media dirigenti	53
3.2 Sviluppo delle competenze	54
3.3 Qualità, analisi e gestione dei rischi	54
3.4 Gli Istituti	55
3.5 I volontari	56
3.6 Campagne di piazza e sensibilizzazione sul territorio	57



Daniele Eleodori
Direttore Risorse Umane
e Organizzazione

La crescente complessità delle attività di Fondazione Telethon dalla raccolta fondi alla ricerca, fino alla sua applicazione clinica richiede oggi competenze sempre più elevate e mirate in ogni fase del percorso.

È in questo contesto che si colloca l'evoluzione dell'organizzazione, che negli ultimi anni ha rafforzato la propria struttura per operare in modo efficace in ambiti sempre più articolati, anche a livello internazionale.

L'ampliamento del modello di intervento rappresenta una sfida organizzativa senza precedenti nel panorama delle fondazioni italiane e rara anche a livello internazionale: Fondazione Telethon è oggi una delle pochissime realtà al mondo in cui un'organizzazione non profit radicata nella raccolta fondi e nel sostegno alla ricerca è diventata essa stessa produttrice e distributrice di terapie avanzate per malattie genetiche rare. Questo passaggio implica l'integrazione in un unico paradigma organizzativo di professionalità profondamente diverse: ricercatori di base, esperti regolatori, specialisti di market access, comunicatori scientifici e professionisti del fundraising. La sfida non è solo tecnica, ma culturale: trovare un linguaggio comune, una visione condivisa e una capacità di collaborazione tra persone con background e esperienze professionali che raramente si incontrano. Per rispondere a questa sfida, Fondazione Telethon ha scelto di investire in modo consapevole nella qualità delle proprie persone, sia nella struttura sia negli Istituti. Il rafforzamento dell'organico è avvenuto non solo in termini numerici, ma soprattutto attraverso l'inserimento e la valorizzazione di professionalità di alto livello, in grado di sostenere l'evoluzione del modello e garantire il miglior supporto alle attività della Fondazione. Si tratta di una scelta che riflette la responsabilità di accompagnare un percorso orientato alla generazione di impatto concreto, assicurando al tempo stesso efficacia operativa e sostenibilità nel lungo periodo.

In questo senso, le competenze rappresentano una leva fondamentale per affrontare le sfide legate allo sviluppo e all'accesso alle terapie. All'interno di questo percorso di crescita, Fondazione Telethon continua a

riconoscere nelle persone un elemento distintivo della propria identità. I processi di selezione, sviluppo e valorizzazione sono guidati non solo da criteri di competenza, ma anche dalla condivisione dei valori e della Missione della Fondazione. Quattro valori fondamentali orientano questo percorso e costituiscono il filo conduttore di ogni scelta organizzativa: Coraggio, Lungimiranza, Integrità e Cura.

Lavorare in Fondazione Telethon significa contribuire, in modo diretto o indiretto, a migliorare la vita delle persone con malattie genetiche rare. È questa consapevolezza insieme al coraggio di scegliere un modello organizzativo pionieristico, alla lungimiranza di costruire oggi le competenze che serviranno domani, all'integrità nel custodire il mandato affidato da chi sostiene la Fondazione, e alla cura verso ogni persona che vi lavora che continua a rappresentare un fattore di coesione e motivazione, capace di accompagnare e sostenere l'evoluzione dell'organizzazione.

Fondazione Telethon è oggi una realtà in trasformazione, capace di affrontare nuove sfide mantenendo una solida continuità con la propria identità e con i valori che ne hanno guidato lo sviluppo fin dalle origini.



03

1

Composizione e descrizione del personale

La crescita della Fondazione si riflette nel rafforzamento delle competenze. Si consolida un'area scientifica sempre più strutturata, con competenze avanzate anche in ambito clinico e regolatorio. Un'evoluzione che coinvolge tutta l'organizzazione, valorizzando professionalità sempre più qualificate.

Negli ultimi anni Fondazione Telethon ha attraversato un percorso di crescita e trasformazione che ha interessato in modo profondo la sua struttura organizzativa.

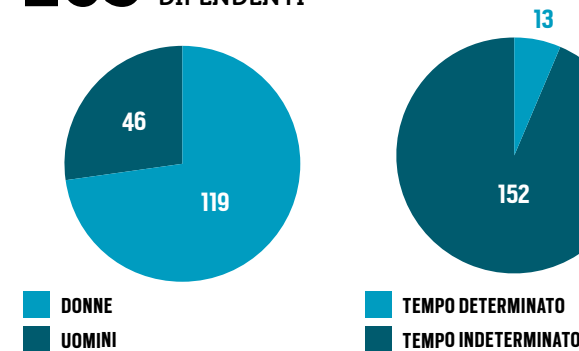
Il consolidamento di un modello sempre più orientato a portare le terapie ai pazienti ha richiesto un rafforzamento significativo delle competenze interne, in particolare nell'ambito della

Direzione Ricerca e Sviluppo. La gestione diretta di fasi sempre più avanzate dello sviluppo terapeutico – dalla ricerca preclinica ai trial clinici fino agli aspetti regolatori e operativi – ha comportato la costruzione di una struttura altamente specializzata, con caratteristiche in parte assimilabili a quelle di un'organizzazione farmaceutica. Questo processo ha portato a una crescita significativa delle professionalità coinvolte, con l'inserimento di figure esperte e lo sviluppo di competenze

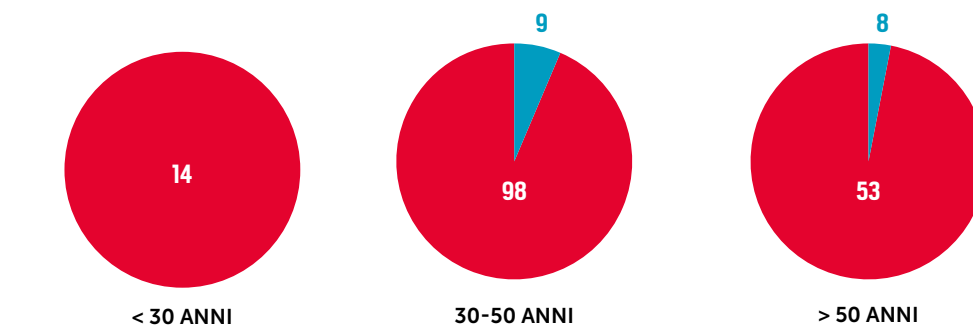
tecniche e manageriali sempre più avanzate. Parallelamente, tutte le aree della Fondazione hanno continuato a evolversi, rafforzando il proprio livello di specializzazione: dalla ricerca scientifica alla raccolta fondi, dall'amministrazione alle funzioni di supporto. Questo percorso ha contribuito a rendere l'organizzazione sempre più solida, integrata e capace di affrontare un contesto complesso, mantenendo al centro la propria missione e il valore delle persone che la rendono possibile.

ANDAMENTO PER GENERE E TIPOLOGIA CONTRATTUALE DEI DIPENDENTI E DEI COLLABORATORI DI FONDAZIONE TELETHON 2025 (PERSONE)

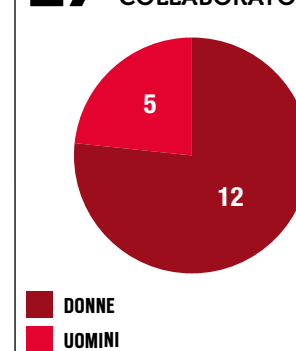
165 TOTALE DIPENDENTI



DIPENDENTI E COLLABORATORI PER ETÀ 2025 (PERSONE)



17 TOTALE COLLABORATORI



44 ANNI | ETÀ MEDIA DIPENDENTI

53 ANNI | ETÀ MEDIA COLLABORATORI

■ DIPENDENTI
■ COLLABORATORI



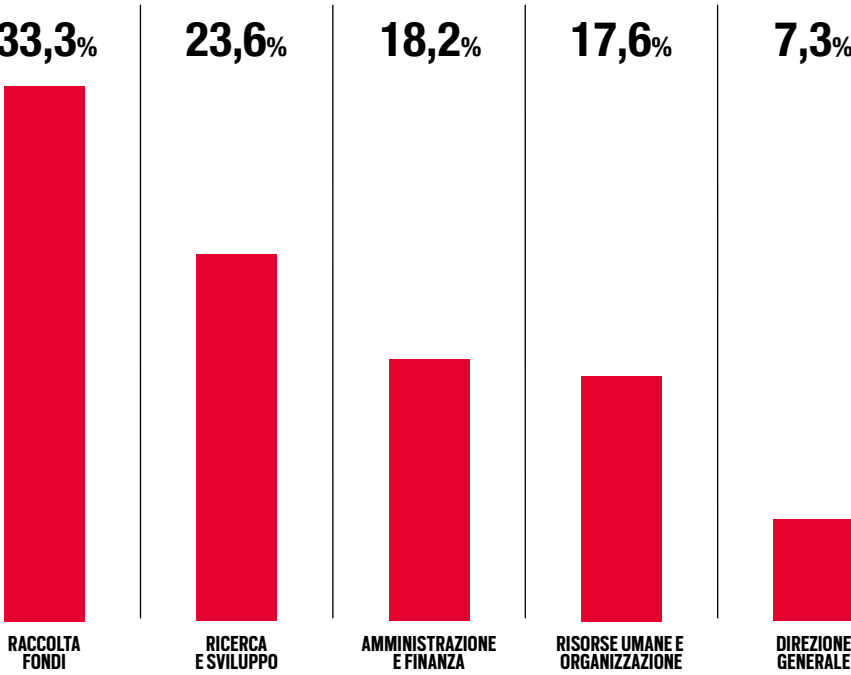
Nel 2025 si registra il consolidamento della Direzione Ricerca e Sviluppo, sempre più strutturata e specializzata, e l'evoluzione della Direzione Generale, con la creazione di un nuovo nucleo dedicato alla comunicazione e al posizionamento istituzionale, alla comunicazione della ricerca e delle terapie e alla divulgazione scientifica.

Nel 2025 la distribuzione del personale tra le diverse aree della Fondazione evidenzia alcuni cambiamenti nella composizione numerica, legati a un'evoluzione organizzativa mirata. In particolare, si osserva un incremento del numero di persone nella Direzione Generale, dovuto anche alla creazione di un nuovo nucleo di comunicazione. Questo gruppo nasce dal trasferimento di alcune professionalità dalla Raccolta fondi, che registra quindi una lieve riduzione in termini di organico, pur mantenendo il proprio peso complessivo.

Si rileva inoltre una crescita nelle Risorse Umane e Organizzazione e un rafforzamento, seppur più contenuto, nell'area Amministrazione e Finanza, coerente con l'aumento della complessità gestionale.

L'area Ricerca e Sviluppo, pur con variazioni numeriche limitate, continua a consolidarsi attraverso l'inserimento e lo sviluppo di competenze sempre più specializzate, in linea con il percorso di strutturazione della Fondazione. Dal punto di vista della composizione di genere, i dati confermano una netta prevalenza femminile nel personale complessivo.

RIPARTIZIONE DIPENDENTI PER DIREZIONI 2025 (%)



RACCOLTA FONDI
Relazioni con i donatori
Organizzazione della maratona televisiva
Comunicazione e diffusione dei risultati scientifici

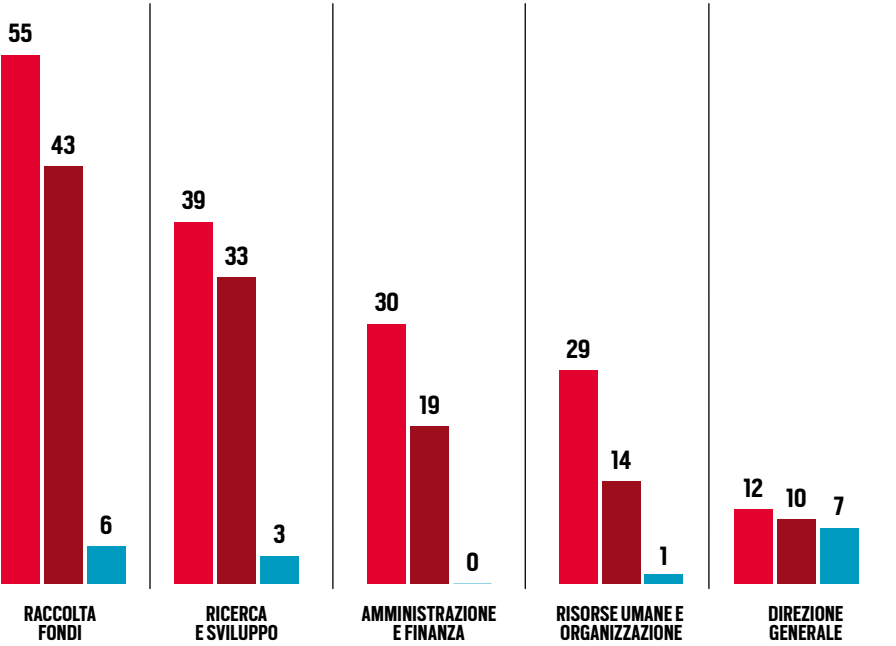
RICERCA E SVILUPPO
Selezione dei progetti di ricerca più meritevoli
Monitoraggio dello stato di avanzamento
Sviluppo preclinico e clinico delle terapie
Gestione delle relazioni con le aziende industriali

AMMINISTRAZIONE E FINANZA
Struttura operativa e di ricerca
Gestione finanziaria e rendicontazione

RISORSE UMANE E ORGANIZZAZIONE
Sviluppo della professionalità e qualità del lavoro
Sistemi informativi
Certificazioni e affari legali

DIREZIONE GENERALE
Sviluppo strategico e relazioni con gli stakeholder

RIPARTIZIONE DIPENDENTI E COLLABORATORI PER AREA IN FONDAZIONE TELETHON 2025 (PERSONE)



TURNOVER DIPENDENTI

Nel 2025 la Fondazione attraversa una fase di trasformazione: aumenta il ricambio del personale, ma si riduce il turnover complessivo, a indicare comunque una maggiore stabilità organizzativa.

Nel 2025 il turnover del personale mostra una dinamica diversa rispetto al 2024. In termini assoluti, crescono sia le uscite (da 11 a 23) sia le nuove assunzioni (da 26 a 31), segno di un'organizzazione in evoluzione e in fase di adattamento. Tuttavia, il turnover complessivo si riduce sensibilmente, passando dal 10,05% del 2024 al 4,97% del 2025, indicando una maggiore capacità di stabilizzazione della struttura nel corso dell'anno. Anche il turnover in entrata aumenta (dal 18% al 20%), riflettendo un rafforzamento mirato dell'organico, mentre il turnover in uscita cresce (dall'8% al 15%), coerentemente con una fase di riorganizzazione interna e di riallineamento delle competenze.

TURNOVER DIPENDENTI 2025 (PERSONE)



TURNOVER IN ENTRATA
(n° entrate nell'anno/organico inizio anno)*100

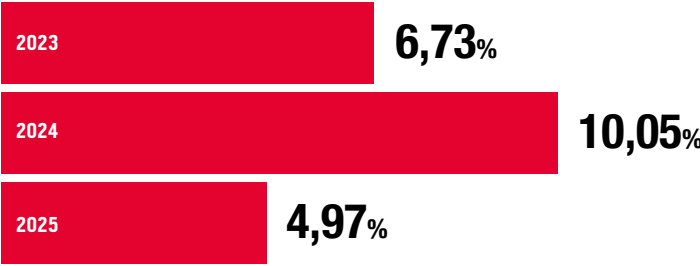


TURNOVER IN USCITA
(n° uscite nell'anno al netto dei pensionamenti/organico inizio anno)*100



TURNOVER IN USCITA
(n° uscite nell'anno/organico inizio anno)*100

TURNOVER COMPLESSIVO 2025 (N° ENTRATI + USCITI NEL PERIODO / ORGANICO MEDIO DEL PERIODO)*100



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

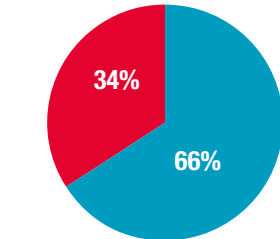
Fondazione Telethon ETS è organizzata in tre unità che contano complessivamente 766 persone, con sei dirigenti (0.78% del totale)

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).



174.814 euro
retribuzione lorda media per dirigente

EFFORT DEDICATO (%)



INDIRIZZO E GESTIONE DEGLI ISTITUTI TIGEM E SR-TIGET
STRUTTURA DELLA FONDAZIONE



03

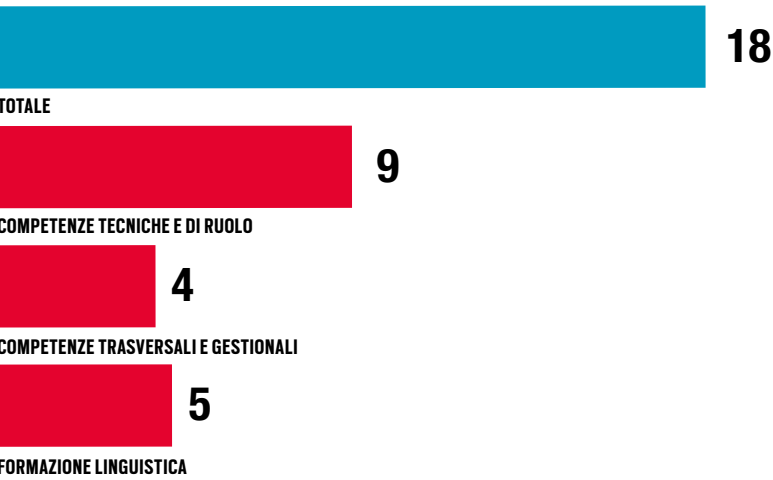
2

Sviluppo delle competenze

Nel 2025 si rafforza l'investimento nella formazione, più estesa e articolata rispetto all'anno precedente.

Nel 2025 aumentano significativamente le ore di formazione, segno di un crescente investimento nello sviluppo delle competenze. Resta stabile il numero di dipendenti coinvolti, confermando una diffusione trasversale. Si evolve anche l'offerta formativa, con una maggiore attenzione alle competenze trasversali e gestionali e l'introduzione di percorsi linguistici, indicativa di un contesto sempre più internazionale.

RIPARTIZIONE PER TIPOLOGIA DI FORMAZIONE 2025 (NUMERO)



280,5

totale ore di formazione erogate al personale di fondazione telethon

160

numero di dipendenti a cui è stata erogato almeno un corso di formazione

PER SAPERNE DI PIÙ



03

3

Qualità, analisi e gestione dei rischi

Operiamo con un sistema di gestione integrato certificato (Qualità, Sicurezza, Ambiente).

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

ISO 9001:2015 (QUALITÀ)

ISO 14001:2015 (AMBIENTE, DAL 2022)

ISO 45001:2018 (SICUREZZA, DAL 2022)

SISTEMA INTEGRATO QSA (QUALITÀ, SICUREZZA, AMBIENTE)

AMBITI DI APPLICAZIONE

FINANZIAMENTO E GESTIONE PROGETTI DI RICERCA

MONITORAGGIO E VALUTAZIONE SCIENTIFICA E AMMINISTRATIVA

SERVIZI DI RICERCA PER MALATTIE GENETICHE RARE

GESTIONE DEL RISCHIO (DAL 2017, ESTESO NEL 2022)

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

03

4

Gli Istituti

In entrambi gli Istituti emerge il ruolo centrale della ricerca fondamentale, come evidenziato dalla prevalenza dello staff dedicato alla ricerca, con una maggiore presenza di figure cliniche nell'SR-TIGET, legata alla sua integrazione nel contesto ospedaliero.

Negli Istituti di ricerca della Fondazione operano figure professionali diverse, che contribuiscono in modo complementare alle attività scientifiche: dipendenti, collaboratori, dottorandi, tirocinanti, assegnisti di ricerca e ricercatori ospitati. Questa pluralità riflette la natura degli Istituti, ambienti altamente qualificati in cui ricerca, formazione e sviluppo convivono. Le differenze nella composizione del personale riflettono anche il diverso assetto organizzativo dei due Istituti.

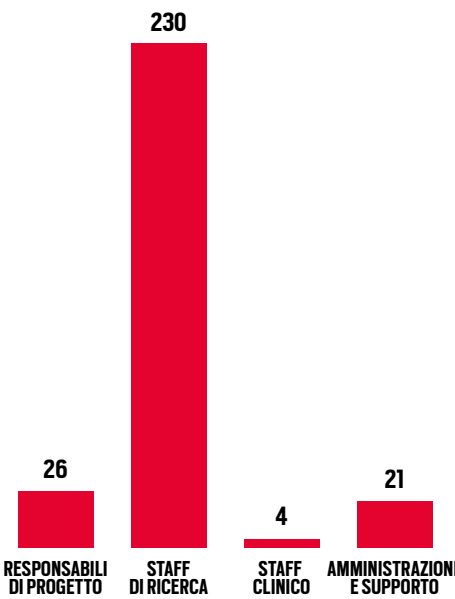
L'SR-Tiget, integrato nel contesto dell'Ospedale San Raffaele, presenta una maggiore presenza di figure cliniche direttamente coinvolte nello sviluppo e nella sperimentazione delle terapie, in linea con la sua forte vocazione traslazionale.

Il Tigem, l'Istituto gestito direttamente dalla Fondazione, mantiene una struttura fortemente orientata alla ricerca, pur evolvendo progressivamente verso un maggiore contributo alle fasi più avanzate dello sviluppo terapeutico.

RIPARTIZIONE PERSONALE ISTITUTI DI RICERCA

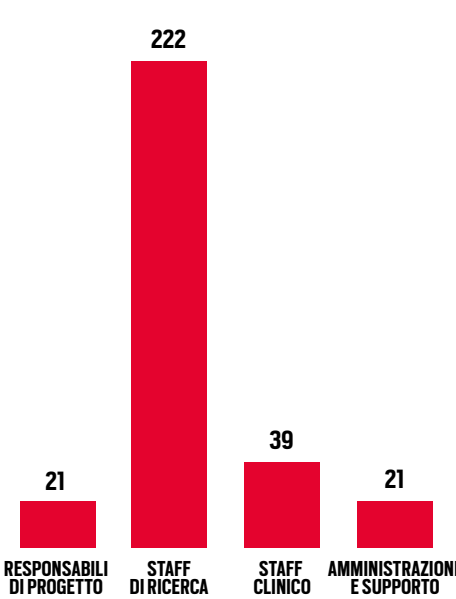
TIGEM

281 TOTALE PERSONALE



SR-TIGET

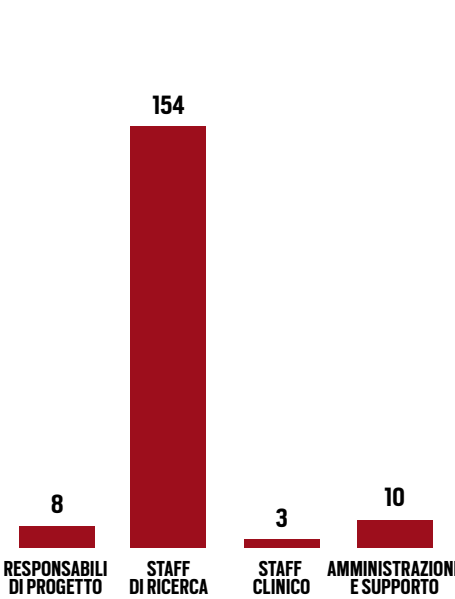
303 TOTALE PERSONALE



DISTRIBUZIONE PRESENZA FEMMINILE PER AREA

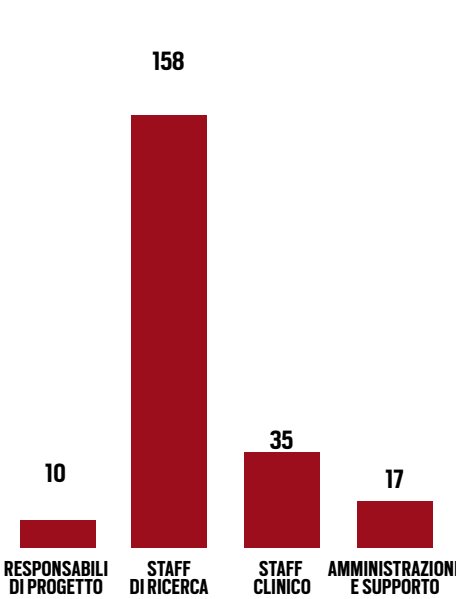
TIGEM

63% TOTALE PERSONALE



SR-TIGET

73% TOTALE PERSONALE





03

5

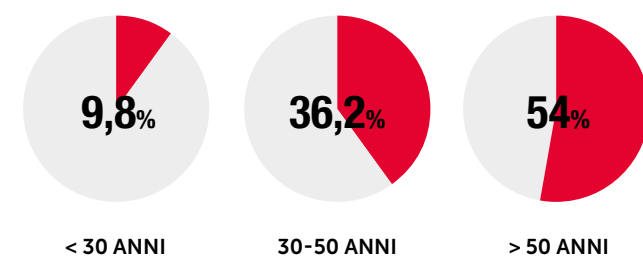
I volontari

Nel 2025 si rafforza la rete di volontariato, con una partecipazione più ampia e un ruolo sempre più strutturato dei volontari sul territorio.

I Coordinatori Provinciali sono l'anima della rete territoriale della Fondazione. Promuovono la raccolta fondi attraverso campagne nazionali ed eventi e sensibilizzano la comunità sulla missione di Fondazione Telethon. Li affiancano i volontari di staff e i volontari di Cuore, che contribuiscono alle diverse iniziative, creando una rete capillare.

Nel 2025 si registra una crescita sia nel numero di persone coinvolte sia nelle ore dedicate alle attività sul territorio. In particolare, aumenta il contributo dei volontari occasionali, segno di una partecipazione sempre più ampia e diffusa.

RIPARTIZIONE VOLONTARI PER FASCIA DI ETÀ (%)



RIPARTIZIONE VOLONTARI PER TIPOLOGIA (NUMERO)

213
COORDINATORI PROVINCIALI E VOLONTARI DI STAFF

1.495
VOLONTARI AGGREGATI A SUPPORTO DELLE CAMPAGNE

3.719
VOLONTARI RESPONSABILI DELLE CAMPAGNE DI PIAZZA NAZIONALI

*volontari delle associazioni partner



03

6

Campagne di piazza e sensibilizzazione sul territorio

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

ORGANIZZATI APPOSITAMENTE PER SOSTENERE LE ATTIVITÀ DI FONDAZIONE TELETHON

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

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

VOLONTARI CONTINUATIVI NEL 2025 (COORDINATORI E VOLONTARI DI STAFF)

62

Coordinatori provinciali

47%

donne

151

volontari di Staff dei coordinamenti

62%

donne

23.414

ore di volontariato (25% donate)

55ANNI

età media

VOLONTARI OCCASIONALI NEL 2025

5.214

totale

71%

donne

71.440

ore di volontariato (75% donate)

51ANNI

età media

RIMBORSI EROGATI NEL 2025

€ 126.533

valore dei 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.

Nel corso dell'anno, i volontari di Fondazione Telethon hanno sostenuto le principali campagne nazionali, garantendo una presenza diffusa sul territorio e contribuendo direttamente alla raccolta fondi.

Il **3 e 4 maggio**, con la campagna di primavera "Io per Lei", sono tornati in piazza con i Cuori di biscotto, contribuendo alla sensibilizzazione e al sostegno della ricerca sulle malattie genetiche rare.

Nelle giornate del **20 e 21 dicembre**, in occasione della campagna di Natale, hanno animato le piazze italiane con la distribuzione dei Cuori di cioccolato, rendendo possibile una parte rilevante della raccolta. Il loro contributo è determinante: senza questa rete capillare, la presenza della Fondazione sul territorio e l'efficacia delle campagne non sarebbero possibili.



FUNDRAISING

Raccolta fondi e comunicazione

INDICE ANALITICO DI SEZIONE

4.1 | Raccolta Fondi 61

Totale proventi da donazioni	61
I donatori regolari	62
I donatori occasionali	62
Sito istituzionale	62
E-shop solidale	62
Direct mailing	62
5x1000	62
Grandi donatori	62
Lasciti testamentari	62
Campagne di piazza	64
Associazioni partner sul territorio	64
Aziende partner	65

4.2 | Comunicazione e sensibilizzazione 66

Fondazione Telethon Magazine	66
Social Media	66
Sito Fondazione Telethon	66
Ufficio Stampa	66
Maratona Televisiva	67
Campagne di comunicazione	68



Alessandro Betti
Direttore Raccolta Fondi

Anche nel 2025 la raccolta fondi di Fondazione Telethon è in crescita, confermando la costante partecipazione di donatori e aziende alla nostra Missione.

In un contesto in costante trasformazione, la Fondazione è impegnata a costruire modalità di relazione sempre più efficaci con i propri donatori, rafforzando la qualità dell'interazione, la continuità del dialogo e la capacità di attivare nuove forme di partecipazione soprattutto attraverso i media digitali.

In questa prospettiva assumono particolare rilevanza i programmi legati ai lasciti testamentari e al 5x1000 che rappresentano leve fondamentali per la crescita e la sostenibilità nel tempo delle attività della Fondazione.

L'attenzione costante alla misurazione e alla lettura dei risultati consente di orientare le scelte in modo sempre più consapevole, valorizzando gli investimenti e rafforzando la capacità della Fondazione di sostenere la propria Missione.



04

1

Raccolta fondi

Il 2025 segna un risultato di particolare rilievo per la raccolta fondi di Fondazione Telethon, espressione di un sistema capace di attivare nel tempo una rete ampia e diversificata di sostenitori. Un risultato che riflette la solidità del rapporto costruito con donatori, partner e volontari.

Nel corso dell'anno, la raccolta fondi si conferma come un elemento centrale per la sostenibilità della Fondazione, grazie al contributo di una comunità sempre più ampia e partecipe. Donatori individuali, sostenitori continuativi, aziende partner, volontari e pubblico delle campagne nazionali contribuiscono in modo complementare a un

modello che si fonda sulla fiducia e sulla continuità della relazione. In particolare, il ruolo dei donatori si conferma determinante: è grazie al loro sostegno che Fondazione Telethon ha potuto affrontare negli ultimi anni scelte complesse e ambiziose, proseguendo nello sviluppo e nella distribuzione di terapie anche in contesti

in cui l'interesse industriale risultava limitato. Questo legame diretto tra contributo individuale e avanzamento della ricerca rappresenta uno degli elementi distintivi della raccolta fondi. Nel 2025 prosegue inoltre il rafforzamento delle attività in ambito digitale, con l'obiettivo di ampliare la base dei sostenitori e costruire relazioni più continuative,

misurabili e coerenti nel tempo. L'evoluzione degli strumenti e dei linguaggi si accompagna a un'attenzione crescente alla qualità del dialogo con i donatori, nella consapevolezza che la fiducia resta il principale fattore abilitante per il sostegno alla missione. In questo contesto, la raccolta fondi si configura sempre più come un sistema integrato, capace di coniugare tradizione e innovazione, relazione e performance, mantenendo al centro il contributo delle persone che scelgono di sostenere la ricerca sulle malattie genetiche rare.

TOTALE PROVENTI 2025

DI CUI:



RACCOLTA FONDI



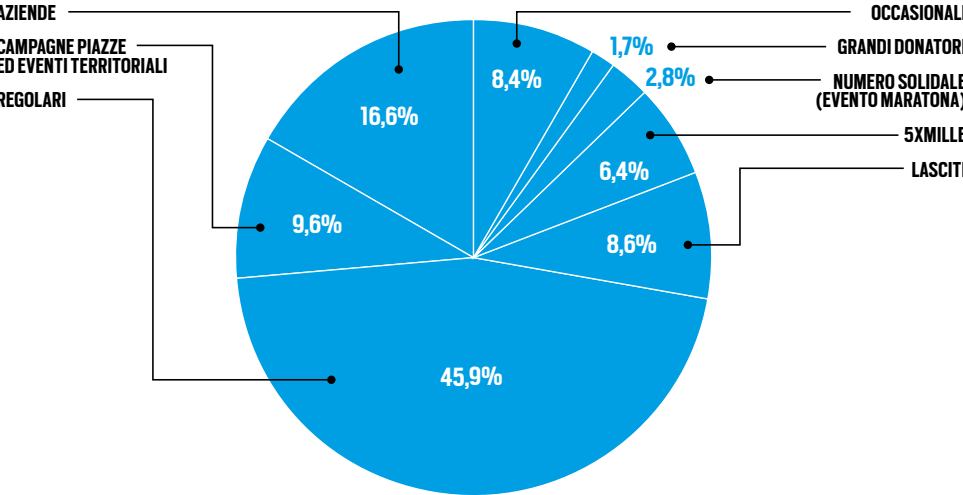
GRANT PUBBLICI E PRIVATI E PARTNERSHIP INDUSTRIALI ED ATTIVITÀ FINANZIARIE E PATRIMONIALI E ALTRI

73.843

126.443

MIGLIAIA DI EURO

PERCENTUALE DELLA RACCOLTA 2025





I DONATORI REGOLARI

Con il programma “lo adottato 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.

186.103

donatori regolari

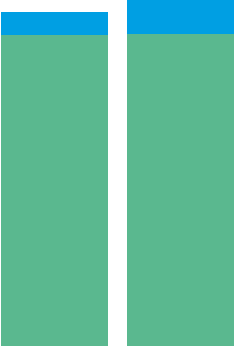
33.857

valore donazioni da donatori regolari

NEL 2025

+4,9%

+9,7%



DONATORI REGOLARI

DONAZIONI COMPLESSIVE

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



PER NATALE

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.



I DONATORI OCCASIONALI

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

FONDAZIONE TELETHON.IT

Dove conoscerci al meglio e fare una donazione nel modo più semplice e diretto.

E-SHOP SOLIDALE

Bomboniere solidali, liste regalo e prodotti fisici e virtuali per sostenere la ricerca in ogni occasione.

DIRECT MAILING

Lettere cartacee per fidelizzare e raccogliere fondi dai già donatori e per acquisirne di nuovi.

5X1000

Per destinare parte dell'Irpef alla ricerca sulle malattie genetiche, senza alcun costo.

GRANDI DONATORI

Destinano alla ricerca un contributo significativo anche nel ricordo di una persona cara.

LASCITI TESTAMENTARI

Un atto di generosità semplice e sicuro, che guarda oltre il proprio orizzonte di vita

Scopri di più sui lasciti testamentali



DONAZIONI DA DONATORI OCCASIONALI (MIGLIAIA DI EURO)

6.235

TOTALE DONAZIONI

1.430

FONDAZIONE TELETHON.IT

1.130

E-SHOP SOLIDALE

3.675

DIRECT MAILING

4.703

5X1000

1.278

GRANDI DONATORI

6.321

LASCITI TESTAMENTARI

NUMERO DONATORI (PERSONE)

117.637

5X1000

856

GRANDI DONATORI

111*

LASCITI TESTAMENTARI

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.

*numero pratiche

INSIEME, POSSIAMO ARRIVARE ALLA META.



5X1000

Per diversi anni, la normativa sul 5x1000 ha previsto un tetto massimo complessivo alle risorse destinabili agli enti beneficiari, indipendentemente dalle scelte espresse dai contribuenti. Questo meccanismo ha comportato, anche per Fondazione Telethon, una riduzione delle somme effettivamente erogate rispetto a quelle assegnate dai cittadini.

Nel concreto, ciò ha significato dover rinunciare a circa 250300 mila euro, pari al finanziamento di un progetto di ricerca. Nel tempo, la crescita costante delle adesioni ha reso sempre più evidente il limite di questo sistema, generando uno scarto tra la volontà dei contribuenti e le risorse distribuite agli enti del Terzo settore.

Con la Legge di Bilancio 2025 (Legge 30 dicembre 2024, n. 213), che ha previsto l'eliminazione del tetto di spesa per il 5x1000, il quadro normativo è stato aggiornato introducendo la piena ripartizione delle somme effettivamente destinate dai contribuenti. Questo risultato è stato reso possibile anche grazie a un lavoro condiviso da alcune organizzazioni non profit, tra cui Fondazione Telethon, che hanno portato all'attenzione delle istituzioni le implicazioni del meccanismo precedente.



LE CAMPAGNE DI PIAZZA

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.

7.094

valore raccolta fondi da Campagne di piazza ed Eventi territoriali (in migliaia euro)



Diventa volontario



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.

12.272

valore delle donazioni da aziende partner (in migliaia euro)

2.671

numero di aziende partner

Per saperne di più



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.



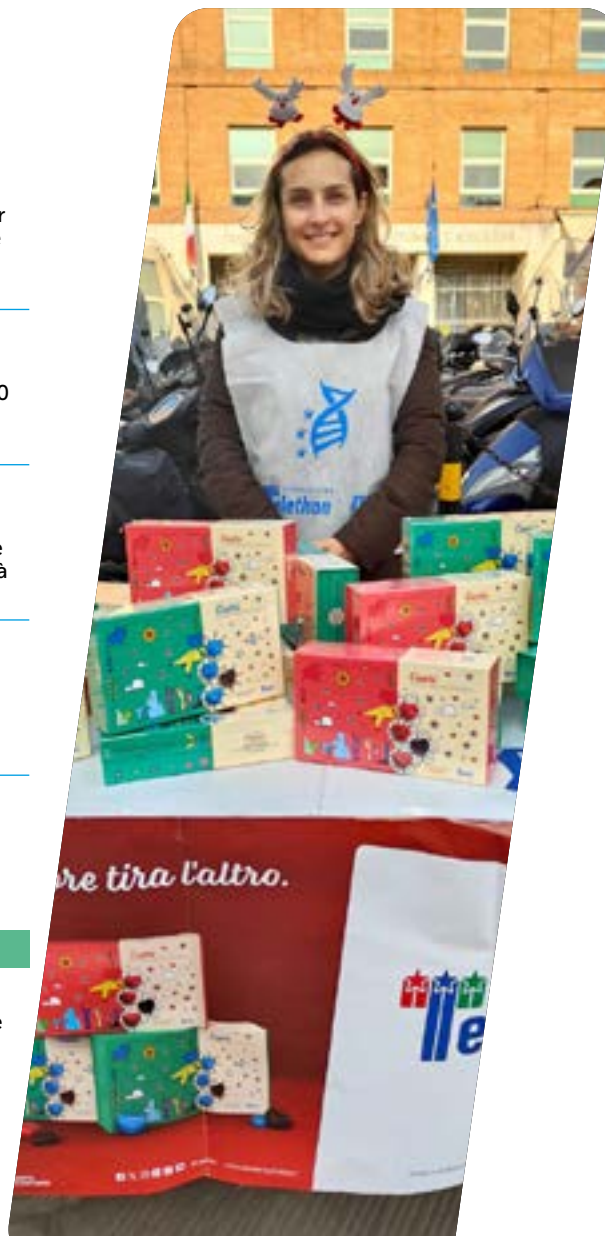
Unione Nazionale Pro Loco d'Italia (UNPLI)

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.G.I.
Sindacato Nazionale
Giornalai d'Italia
Aff.to Sic-Cgil

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.



BNP PARIBAS

Rai

Almaviva

ARVAL
BNP PARIBAS GROUP

B

bofrost*

BNP PARIBAS
CARDIF

CRICH

DHL
Express

ENGIE

ESSELUNGA

EURO
Spin
Lo Spesa intelligente

findomestic
GRUPPO BNP PARIBAS

Fondazione
Deutsche Bank Italia

FONDAZIONE
Ferrarelle

gameLife

GIOCHERIA

GRUPPO
GREENVISION
CENTRI OTTICI SELEZIONATI

Italo

I V E C O
GROUP

lenergia

MERCATI DI CITTÀ
LA PRIMA

NAMEX
ROMA Internet eXchange Point

SNACK
PATA

PayPal

Posteitaliane

REALE
FOUNDATION
REALE GROUP

SireneBlu
Tu... di più

SOFIDEL
ENDLESS CARE, INNOVATIVE LIFE

telesia

VIVI
energia

ZUCCHETTI



04

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.

FONDAZIONE TELETHON MAGAZINE

La rivista trimestrale che racconta ricerca, cure, storie e iniziative

SOCIAL MEDIA

Con i nostri canali raggiungiamo direttamente le persone, lì dove sono

SITO ISTITUZIONALE

Informa sulle malattie rare, la ricerca e le posizioni ufficiali della Fondazione

UFFICIO STAMPA

Diffonde la conoscenza sulla fondazione e la sua missione su tutti i media



1 milione

e oltre, le copie cartacee di Fondazione Telethon Notizie inviate

1.405.321

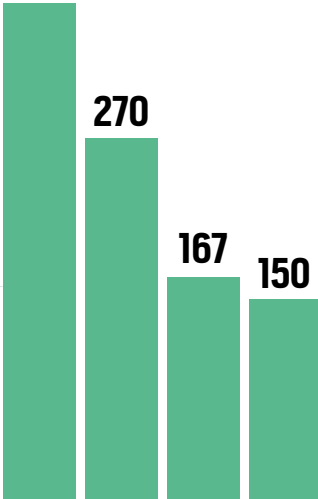
Le sessioni sul sito istituzionale

1.240.482

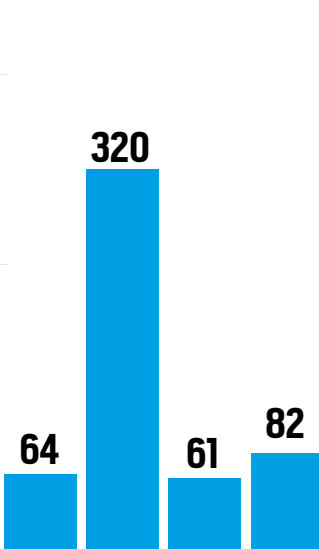
Gli utenti del sito istituzionale

CONTENUTI PUBBLICATI (NUMERO)

371



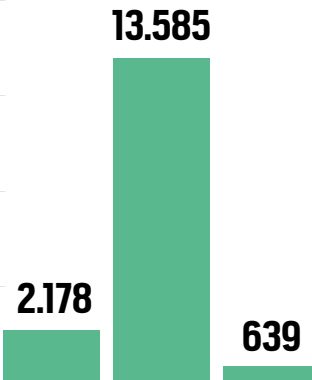
FAN/FOLLOWER (K)



UFFICIO STAMPA (NUMERO)

16.306

USCITE TOTALI (ESPOSIZIONE MEDIATICA)



STAMPA WEB TV/RADIO

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.

Il sito istituzionale della Fondazione



LA MARATONA TELEVISIVA

La 36ª Maratona televisiva di Fondazione Telethon si è svolta dal 13 al 21 dicembre 2025 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.

25 ore

di diretta televisiva dallo studio centrale

50

trasmissioni coinvolte

23

video ideati e realizzati

2,1 M€

di raccolta

93

spazi televisivi dedicati alle malattie genetiche rare

44

storie raccontate e testimonianze delle famiglie

50

interventi in diretta tv tra partner associativi e aziendali e presenze istituzionali





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.



IO PER LEI

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.

CAMPAGNA
DI NATALE

La rarità non è sempre meravigliosa. A volte fa paura. La malattia rara è un evento sconvolgente solitario e trascurato. Ma dietro a ogni diagnosi rara c'è una persona con una vita che vuole vivere

LASCITI

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.

IN MEMORIA DI

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.

CAMPAGNE
DI PRODOTTO

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.

FACCIAMOLI
DIVENTARE GRANDI

La campagna invita a diventare donatori regolari aderendo al programma "Io adottato 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.



Il valore economico



05

INDICE ANALITICO
DI SEZIONE

5.1 Andamento economico	73
Totale proventi	73
Totale oneri	73
L'efficienza della raccolta fondi	73
5.2 Impieghi per attività di interesse generale (di missione)	74



Andrea Arrigo
Direttore Amministrazione
e controllo

La gestione delle risorse di Fondazione Telethon si fonda su un principio chiaro: garantire nel tempo la sostenibilità di un modello che trasforma la fiducia ricevuta in risultati concreti per i pazienti. In un contesto in cui la Fondazione ha progressivamente ampliato il proprio raggio d'azione, assumendo anche responsabilità dirette nello sviluppo, nella produzione e nella messa a disposizione delle terapie, questo principio richiede un approccio sempre più strutturato e rigoroso.

Ogni scelta è guidata da una valutazione attenta degli equilibri economici e delle prospettive di lungo periodo, con l'obiettivo di assicurare la continuità delle attività nel pieno rispetto della natura di Ente del Terzo Settore e della Missione che la Fondazione persegue. In questo quadro, la sostenibilità non rappresenta un vincolo, ma una condizione abilitante per la crescita e per l'estensione dell'impatto.

Il modello sviluppato dalla Fondazione si conferma, in questo senso, un efficace moltiplicatore delle donazioni ricevute. Le risorse raccolte vengono impiegate in modo da generare a loro volta valore lungo l'intera filiera dalla ricerca allo sviluppo, fino all'accesso alle terapie attivando meccanismi che amplificano nel tempo l'efficacia di ogni contributo.

I risultati economico-finanziari del 2025 confermano questa capacità: la crescita dei proventi ha permesso un incremento degli impieghi e degli investimenti destinati alla ricerca, dimostrando un utilizzo delle risorse orientato all'impatto e alla qualità dei progetti sostenuti.

In un panorama sempre più competitivo a livello internazionale, anche nel settore delle terapie avanzate, Fondazione Telethon continua a rafforzare il proprio modello, con l'obiettivo di coniugare sostenibilità economica e capacità di innovazione, mantenendo costante l'impegno verso chi sceglie di sostenerla.



05

1

Andamento economico

Consulta il
Bilancio di Esercizio



Proventi in crescita a 126 mln, impieghi a 128 mln: più risorse alla missione, modello sostenibile ed efficiente.

Nel 2025 Fondazione Telethon registra un deciso incremento dei proventi, che raggiungono 126 milioni rispetto ai 97 milioni dell'anno precedente, trainati in particolare anche da fattori straordinari in ambito istituzionale - come il PNRR e l'accordo con Orchard Therapeutics sulle royalties

collegate a Libmeldy - e dalla tenuta della raccolta fondi, che si conferma su livelli molto elevati. Questo andamento si riflette direttamente sugli impieghi, che salgono a 128 milioni, con un aumento significativo delle risorse destinate alla missione.

La struttura dei costi evidenzia una forte coerenza con il modello: la quota prevalente è assorbita dagli impieghi di missione, mentre restano sotto controllo sia i costi di raccolta sia quelli di struttura. Al tempo stesso, la Fondazione mantiene una

solida dotazione patrimoniale, elemento essenziale per garantire la continuità degli investimenti nella ricerca. Poiché lo sviluppo di nuove terapie richiede risorse ingenti e tempi lunghi, questa capacità patrimoniale consente di sostenere gli impegni dei prossimi anni senza interrompere i programmi di ricerca e assicurando stabilità alle attività scientifiche.

Tra gli eventi di rilievo si segnala il conferimento a Fondazione Telethon, da parte della Food and

Drug Administration (FDA) statunitense, di un Priority Review Voucher, ottenuto nel dicembre 2025 con l'approvazione della terapia per la sindrome di Wiskott-Aldrich (WAS). Si tratta di un diritto trasferibile, previsto dalla normativa USA per incentivare lo sviluppo di terapie per malattie rare, che può essere ceduto a terzi. La Fondazione ha avviato le procedure per il suo trasferimento e gli effetti economici di assoluto rilievo dell'operazione saranno rilevati e commentati nel Bilancio 2026, una volta conclusa la cessione.

/ TOTALE DEI PROVENTI 2025 E CONFRONTO CON IL 2024 (MIGLIAIA DI EURO)

PROVENTI	2025	2024
Proventi da Attività istituzionale	50.949	22.349
Proventi da Raccolta Fondi (*)	73.843	72.808
Proventi Finanziari e Patrimoniali	1.651	1.822
TOTALE PROVENTI	126.443	96.979

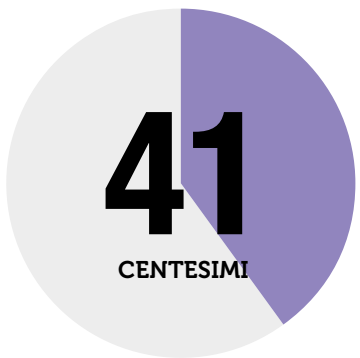
(*) Include valori inseriti in bilancio di esercizio nell'area raccolta fondi, proventi per il 5x1000 ed erogazioni liberali riferibili all'attività di Raccolta Fondi

/ TOTALE DEGLI ONERI 2025 E CONFRONTO CON IL 2024 (MIGLIAIA DI EURO)

ONERI	2025	2024
Impieghi di Missione	85.153	62.622
- Ricerca Scientifica	75.499	54.153
- Attività a supporto della ricerca	9.653	8.469
Oneri Raccolta Fondi	30.217	27.210
Oneri Supporto Generale	3.544	3.088
Oneri Finanziari e Patrimoniali	9.663	1.470
TOTALE ONERI*	128.577	94.390

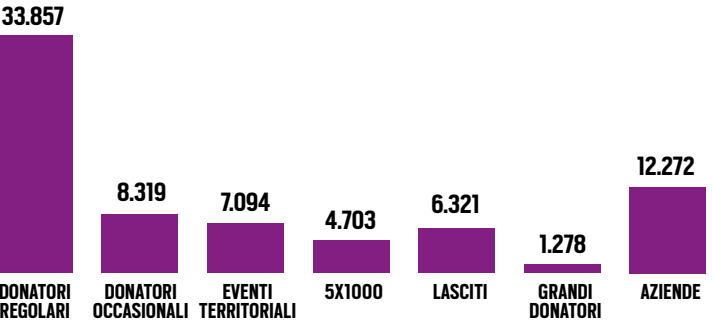
(*) include tasse

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



DA DOVE ARRIVANO I FONDI RACCOLTI (MIGLIAIA DI EURO)

73.843 TOTALE RACCOLTA FONDI



05

2

Impieghi per attività di interesse generale (di missione)

INIZIATIVA	ATTIVITÀ / TITOLO DEL PROGETTO	ENTE RESPONSABILE DEL PROGETTO	IMPORTO € /1.000
Impieghi in Comunicazione e Gestione della Ricerca			9.647
Terapie	Terapia Was	Fondazione Telethon	6.286
Terapie	Terapia Strimvelis	Fondazione Telethon	2.445
Terapie	Assorbimento Fondo Terapie accantonato negli Anni precedenti	Fondazione Telethon	(833)
Impieghi Terapie			7.899
Assistenza	Progetto "Come a Casa"	Fondazione Telethon	428
Assistenza	Supporto Terapia Paziente Libmeldy	Fondazione Telethon	2.309
Altro supporto alla ricerca	Convention Scientifica Fondazione Telethon	Fondazione Telethon	488
Altri Impieghi di Missione			3.225
Tigem	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	19.601
Tigem	Progetto MPS VI	Istituto Telethon di genetica e medicina	3.400
Tigem	Progetto Wolman	Istituto Telethon di genetica e medicina	500
Tigem	Progetto Neuropatie Ottiche	Istituto Telethon di genetica e medicina	500
Tigem	Progetto Retinite Pigmentosa di tipo 4	Istituto Telethon di genetica e medicina	1.000
Tigem	Progetto Malattia Pompe	Istituto Telethon di genetica e medicina	2.500
Tiget	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	11.064
Tiget	Sviluppo Progetti Terapie Genica Betathal	Istituto San Raffaele Telethon per la terapia genica	3.000
Tiget	Sviluppo Progetti Terapie Genica Osteopetrosi	Istituto San Raffaele Telethon per la terapia genica	1.100
Tiget	Sviluppo Progetti Terapie Genica Platform	Istituto San Raffaele Telethon per la terapia genica	3.100
DTI	Rinnovi posizioni DTI	Istituto Telethon Dulbecco	2
Altro supporto alla ricerca	Spese di supporto alla ricerca, incluse attività finanziate da enti esterni	Fondazione Telethon	2.467
Impieghi Ricerca Intramurale			48.234

INIZIATIVA	ATTIVITÀ / TITOLO DEL PROGETTO	ENTE RESPONSABILE DEL PROGETTO	IMPORTO € /1.000
Bando congiunto GGP con CARIPLO	Vedi dettaglio Bando Congiunto Cariplo	Fondazione Telethon	1.762
Seed Grant	Vedi dettaglio SEED GRANT	Fondazione Telethon	1.092
Alleanze con Fondazioni e Associazioni	Bando europeo EJP RD	Fondazione Telethon	970
Alleanze con Fondazioni e Associazioni	Arisla	Fondazione Telethon	400
Alleanze con Fondazioni e Associazioni	Uildm	Fondazione Telethon	450
Alleanze con Fondazioni e Associazioni	Erogazione Uildm (Primavera)	Fondazione Telethon	153
Alleanze con Fondazioni e Associazioni	Fondazione Serena/Centro Nemo	Fondazione Serena Onlus	226
Alleanze con Fondazioni e Associazioni	Alleanza con Associazione Pazienti	Fondazione Telethon	183
Altro supporto alla ricerca	Spese di supporto alla ricerca, incluse attività finanziate da enti esterni	Fondazione Telethon	120
Progetto Speciale	Biobanche	Fondazione Telethon	700
Progetto Speciale	Altri Progetti Speciali	Fondazione Telethon	101
Bando Multiround	Bando Multiround	Fondazione Telethon	4.823
Ricerca Extramurale	Assorbimento Fondo Ricerca Extramurale accantonato negli Anni precedenti	Fondazione Telethon	(5.523)
Impieghi Ricerca Extramurale			5.446
TOTALE (*)			74.460

(*) Include lo storno delle rimanenze finali inserite nei proventi



Approfondimenti

CHI SIAMO

Struttura, Governo e Amministrazione

Il consiglio di amministrazione: funzioni, composizione, principali temi trattati nel 2025	78
La Commissione Medico-Scientifica: funzioni, composizione, attività	80
L'organo di controllo: funzioni e composizione	82
Il consiglio di indirizzo scientifico: funzioni e composizione	83
L'organismo di vigilanza: funzioni e composizione	83
Il modello di organizzazione, gestione e controllo	84
Sistemi di programmazione, gestione e controllo	85
Gratuità delle cariche e dei compensi	85
Struttura del codice etico	85
Il dialogo con gli stakeholder: cosa rappresentano come li coinvolgiamo	86

ATTIVITÀ ISTITUZIONALI

Bando multi-round: il progetto e lo storico	88
Bando Seed Grant: il progetto e lo storico	90
Bando congiunto con Fondazione Cariplo: il progetto e lo storico	92
Programma malattie senza diagnosi: il progetto e i centri	93
Fondazione AriSLA: il progetto e lo storico	94
Bando Telethon Uildm: il progetto e lo storico	94
Piattaforma per la distrofia muscolare di Duchenne: il progetto e i centri coinvolti	95
Centri Clinici NeMO: il progetto	96
Program Project neuromuscolare: il progetto	96
I registri neuromuscolari	96
Progetto pilota per lo screening neonatale della leucodistrofia metacromatica: il progetto	97
Le start-up: partecipate e non partecipate	98
L'Istituto Telethon di genetica e medicina (Tigem): attività e storia	100
L'Istituto San Raffaele Telethon per la terapia genica (SR-Tiget): attività e storia	102
I brevetti attivi	104
Alcune pubblicazioni 2025	105

PERSONALE E VOLONTARI

Personale: andamento contrattuale, età, ripartizione per area di lavoro	108
Turnover dipendenti	110
Sviluppo delle competenze: andamento formazione	111
Benessere e sicurezza: supporto ai dipendenti	112
Gender Equality Plan	113
Gli Istituti: andamento ripartizione personale Tigem e SR-Tiget	114
I volontari di Fondazione Telethon: profilo e rimborsi	116
Campagne, iniziative e collaborazioni: attività di volontariato per la raccolta fondi, le regioni italiane dove è presente il coordinamento	117

RACCOLTA FONDI E COMUNICAZIONE

Raccolta fondi: andamento dei proventi	118
Andamento donatori regolari e servizio donatori	119
Andamento donatori occasionali	120
Andamento donazioni da altri canali	120
Comunicazione e sensibilizzazione: andamento sito istituzionale, andamento social media, andamento esposizione mediatica	121

IL VALORE ECONOMICO

Ricavi, rendite e proventi	122
Costi e oneri	122
Avanzo e disavanzo dell'esercizio	123
Avanzo e disavanzo delle singole gestioni	124
Valore economico generato	124
Valore economico distribuito	124
Valore economico trattenuto	125
Impatto sociale del valore generato	125
Ripartizione del valore generato	125
Delibere Bando Multi-round (2025)	126
Delibere Bando Cariplo (2025)	129
Delibere Seed Grant (2025)	131



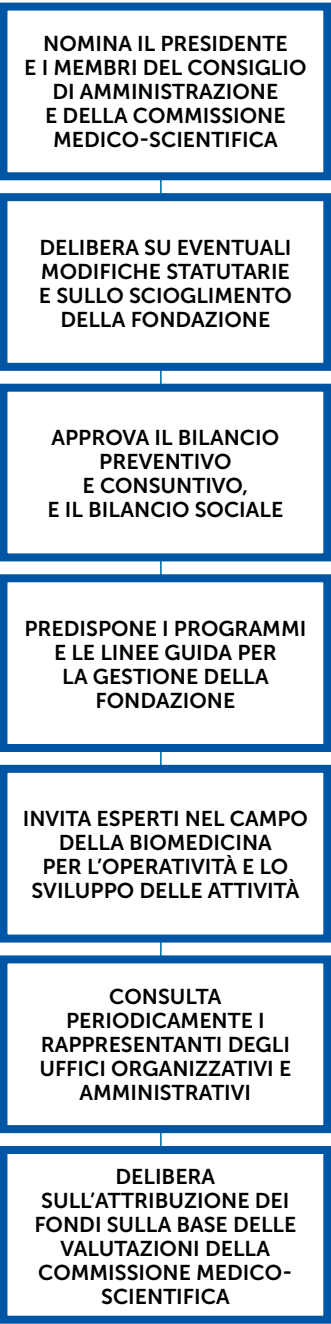
APPROFONDIMENTI CAPITOLO 1

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 4 Novembre 2025 è stato rinnovata la delega di 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.

FUNZIONI DEL CDA



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)	12/09/23
Giovanni Manfredi	(Consigliere)	23/06/2014
Lupo Rattazzi	(Consigliere)	25/07/2018
Alessandra Colonna	(Consigliere)	14/01/2021
Davide Dattoli	(Consigliere)	22/06/2022
Simona Agnes	(Consigliere)	23/01/2023
Michele Pontecorvo	(Consigliere)	08/11/2023
Giovanni Malagò	(Consigliere)	08/11/2023
Elena Patrizia Goitini	(Consigliere)	10/04/2024
Alberto Fontana	(Consigliere)	12/11/2024

RIUNIONI DEL CDA E LIVELLO DI PARTECIPAZIONE (ANNO 2025)



SINTESI DEI PRINCIPALI TEMI TRATTATI (ANNO 2025)





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 BANDO MULTIROUND (2025)

26

Revisori

1

Riunione

189

Progetti da esaminare

567

revisioni da membri della CMS

IMPEGNO DELLA COMMISSIONE MEDICO-SCIENTIFICA BANDI SEED GRANT (2025)

116

progetti analizzati

39

revisori coinvolti nei **10 bandi** Seed grant 2025 e nei **5 rinnovi** 2025

IMPEGNO DELLA COMMISSIONE MEDICO-SCIENTIFICA FONDAZIONE TELETHON- FONDAZIONE CARIPLO

16

Revisori

1

Riunione

136

Progetti da esaminare

408

revisioni da membri della CMS

COMPOSIZIONE COMMISSIONE MEDICO-SCIENTIFICA - BANDO MULTIROUND

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)
Robert Brosh	PhD, Senior Investigator, Helicases and Genomic Integrity Section at th National Institute of Aging	NIH (Bethesda, Maryland, USA)
Fabio Candotti	MD, Professore ordinario e primario di Medicina	Université de Lausanne (Svizzera)
Jeffrey Chamberlain	PhD, Professore di Neurologia e Genetica medica	University of Washington Seattle (Stati Uniti)
Jeffrey Dilworth	Ph.D, Professore presso il Dipartimento di Medicina Cellulare e Molecolare	University of Wisconsin-Madison (Stati Uniti)

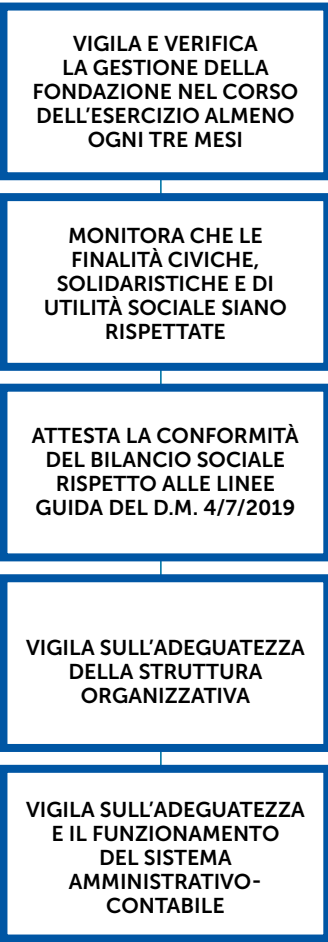
NOME	POSIZIONE ACCADEMICA	AFFILIAZIONE
Mauro Giacca	MD, PhD, Direttore della Facoltà di Medicina e Scienze Cardiovascolari e Metaboliche e Professore di Scienze Cardiovascolari	King’s College London (Gran Bretagna)
Paul Gissen	MD, Professore clinico di Medicina Metabolica Pediatrica presso l’UCL	Great Ormond Street Institute of Child Health, London
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)
Jacques Michaud	PhD, Direttore del Centre di ricerca Azrieli del CHU Sainte-Justine e professore di Pediatria e Neuroscienze	University of Montreal (Canada)
Carlos Moraes	PhD, Professore di Neurologia, Biologia cellulare e Anatomia	University of Miami (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)
Lucia Notterpek	PhD, Professor/Senior Associate Dean Research, Physiology and Cell Biology	University of Nevada Reno (Stati Uniti)
Bradley Olwin	Ph.D, Professore di Biologia Molecolare, Cellulare e dello Sviluppo	University of Colorado, Boulder (Stati Uniti)
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 Raboud, 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 2025 si è riunito 8 volte partecipando ai 3 CDA e nel 2026 due volte prima dell'approvazione di questo Bilancio Sociale, che ha validato.

FUNZIONI DELL'ORGANO DI CONTROLLO



COMPOSIZIONE DELL'ORGANO DI CONTROLLO

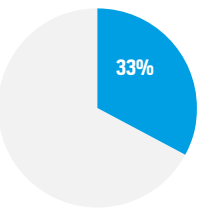
NOME	CARICA
Luciano Festa	Presidente Collegio
Benedetta Navarra	Membro Collegio
Mariella Tagliabue	Membro Collegio
Fabio Fortini	Supplente Collegio
Claudio Sforza	Supplente Collegio

8

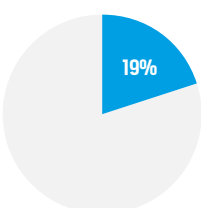
Riunioni nel 2025

La revisione contabile è affidata a Deloitte & Touche SpA, nominata per il triennio 2025-2027 su parere favorevole dell'Organo di Controllo.

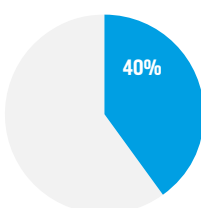
PRESENZA FEMMINILE NEGLI ORGANI DI GOVERNANCE
(IN % RISPETTO AL NUMERO DEI MEMBRI EFFETTIVI, ANNO 2025)



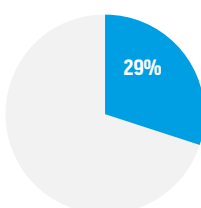
CdA



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)
Iris Loew-Friedrich	Consulente	ILF_Lifesciences
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 2025-2027)

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. La Direttrice Generale, 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 2025 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 2025 un compenso medio di 43.000 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 43.000 € NEL 2025 PER INCARICHI SPECIFICI NON LEGATI ALLE ATTIVITÀ DEL CONSIGLIO

STRUTTURA DEL CODICE ETICO

I criteri di condotta nelle relazioni con il personale:

Guidano Fondazione Telethon nella selezione, gestione e valorizzazione del merito e della competenza delle proprie persone	Disciplinano il processo di selezione, la valutazione delle prestazioni, la tutela della salute e della sicurezza, la tutela della privacy e i doveri delle persone	Dedicano particolare attenzione alla disciplina del conflitto di interesse e alla condotta dei fundraiser
Guidano Fondazione Telethon a identificare i principali interlocutori e a stabilire criteri di rilevanza, ponendo al centro la collettività e i soggetti che ne fanno parte: persone con malattie rare, mondo della ricerca e società civile	Chiariscono il modello di comportamento da adottare nel caso di rapporti partenariali nell'ambito della raccolta fondi, con i fornitori di beni e servizi e con la pubblica amministrazione.	



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.	• Incontri 1:1 • Collaborazione con le Associazioni di malattia • Servizio Info_rare • Biobanche • Registri di patologia • Progetto Malattie senza diagnosi • 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 accomunate da bisogni ed esperienze condivise. 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 • Sensibilizzazione sulle patologie • Partecipazione congiunta nella governance di attività di ricerca e cura (Registri, Centri NeMO, AriSLA)
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 Multiround

Il Bando Multiround è uno degli strumenti principali con cui Fondazione Telethon sostiene la ricerca sulle malattie genetiche rare lungo le fasi di base e preclinica, favorendo la continuità del percorso scientifico verso lo sviluppo di nuove terapie. Il bando è strutturato in round successivi, con l’obiettivo di accompagnare nel tempo i progetti più promettenti, sostenendone l’evoluzione e la maturazione.

Nella prima edizione, articolata in più cicli di finanziamento, il bando ha sostenuto numerosi progetti di ricerca di base e proof of concept, contribuendo a rafforzare il collegamento tra comprensione dei meccanismi biologici e sviluppo di possibili applicazioni terapeutiche.

Nel 2025 è stata avviata la nuova edizione (2025–2027), che conferma l’impianto del bando e introduce alcune evoluzioni nei criteri di partecipazione e finanziamento. In continuità con l’edizione precedente, i progetti sono suddivisi in due percorsi

distinti – ricerca di base e ricerca preclinica – per garantire una valutazione più equa tra studi allo stesso stadio di sviluppo. Tra le principali novità, l’estensione della durata dei progetti fino a tre anni e la possibilità di includere un partner per entrambe le tipologie di ricerca, favorendo una maggiore strutturazione delle progettualità.

Sul piano del finanziamento, il bando 2025 è stato realizzato in partnership con Fondazione Regionale per la Ricerca Biomedica (FRRB) di Regione Lombardia, che ha sostenuto i progetti condotti da enti lombardi. Questa collaborazione rafforza la capacità del bando di attrarre e sostenere competenze su scala territoriale, mantenendo al contempo una visione nazionale.

Nel complesso, il Bando Multiround si conferma uno strumento chiave per sostenere la ricerca nelle fasi intermedie della catena del valore, dove è necessario consolidare i risultati scientifici e avvicinarli a possibili sviluppi clinici.

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
I (2025)	189	16	11	27	7.092.110*

* di cui 2.269.501 € supportati da FRRB di Regione Lombardia

BANDO MULTI-ROUND 2021/2025 - FINANZIAMENTI



•Istituti finanziati nel 2025



Bando Seed Grant

“Seed” in inglese significa “seme” e si riferisce alle caratteristiche peculiari dei progetti di questo bando, che sono finalizzati a “far germogliare” e ad avviare una ricerca su malattie genetiche rare che non sono ancora oggetto di studio o a indirizzarla verso aspetti scientifici ancora inesplorati e di interesse delle associazioni di pazienti. Questi bandi forniscono ai ricercatori l’opportunità di testare ipotesi innovative e generare una base dati solida su una linea d’indagine del tutto nuova con la prospettiva di consentire a questi “germogli” di conoscenza di irrobustirsi e proseguire poi nella ricerca. L’iniziativa, attiva dal 2019, si svolge in collaborazione con le associazioni di pazienti di malattie genetiche rare che desiderano investire i propri fondi in ricerca e prevede l’apertura di bandi ad hoc dedicati alle patologie di loro interesse.

LE ASSOCIAZIONI IN CAMPO

- A.Ge.P.I. - Associazione Gene PIGA Italia
- A.I.A.F - Associazione italiana Anderson-Fabry
- A.I.D Kartagener
- AIG - Associazione Italiana Gaucher
- AIGLICO - Associazione Italiana Glicogenosi
- AISA - Associazione Italiana per la lotta alle Sindromi Atassiche
- AISO - Associazione Italiana Sindrome di Okinawa
- AISPHM - Associazione italiana per la sindrome di Phelan McDermid
- A-ncl Associazione nazionale ceroidolipofusinosi
- ARSACS
- Associazione DDX3X*
- Associazione Famiglie COL4A1-A2
- Associazione Italiana Acidemia Metilmalonica con Omocistinuria - cblC
- Associazione Italiana GLUT1
- Associazione Italiana Sindrome di Pitt-Hopkins – Insieme di più
- Associazione Italiana Sindrome Sturge-Weber
- Associazione Sclerosi Tuberosa
- Associazione UNICI
- CDKL5 Insieme verso la cura

Il modello prevede che la Fondazione metta a disposizione, a titolo gratuito, risorse e competenze per gestire l’intero processo di valutazione, selezione e monitoraggio dei progetti di ricerca finanziati con i fondi delle associazioni di pazienti oppure direttamente da Fondazione Telethon, nel caso di progetti condotti presso gli istituti di ricerca SR-Tiget e Tigem

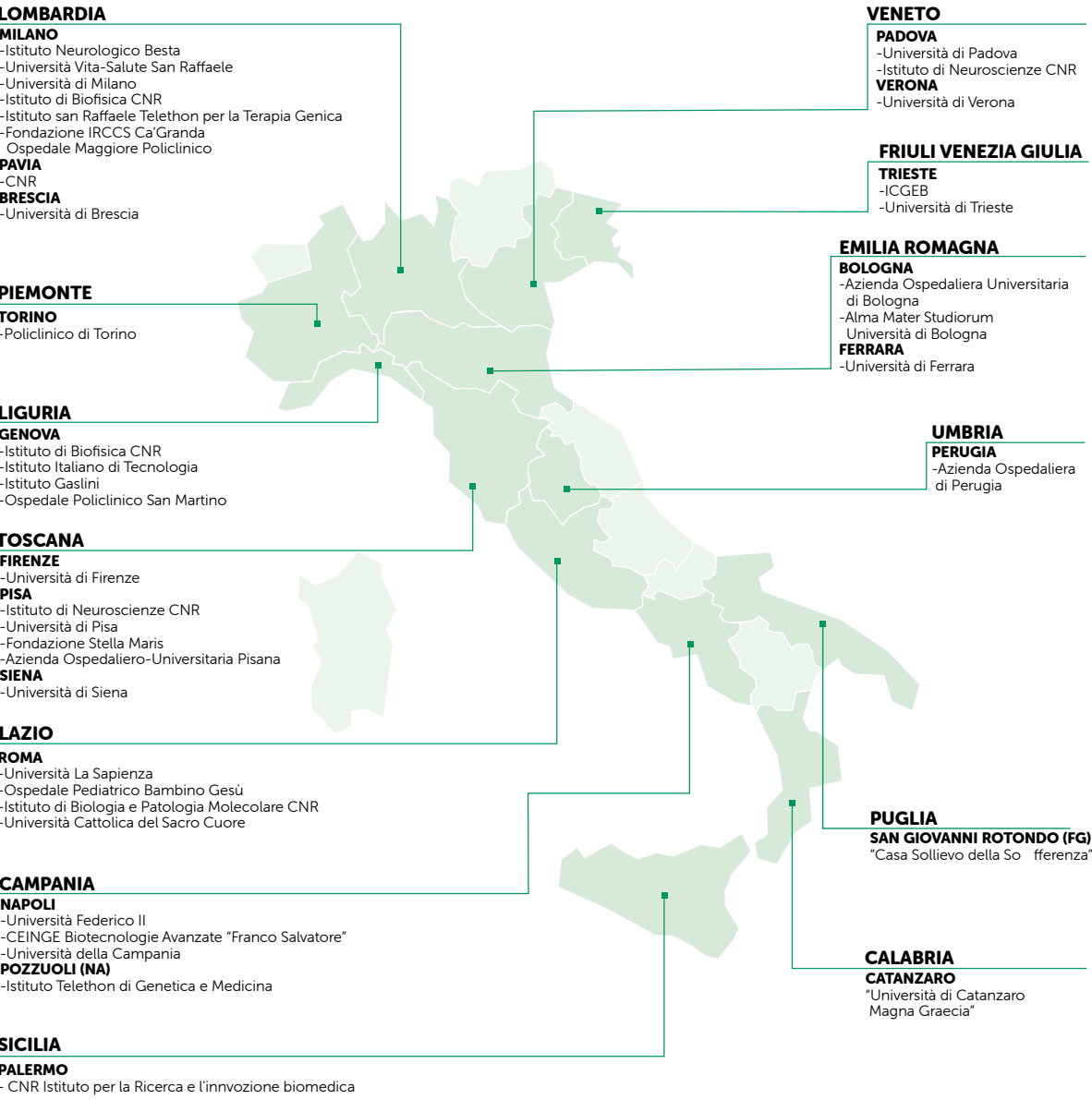
87 progetti tra nuovi finanziati e i rinnovi

38 malattie genetiche rare studiate

39 associazioni coinvolte

- Con Giacomo contro VEDS
- F.O.P. Italia
- Gruppo Famiglie Dravet
- Help Olly
- My Perfect Mistake - Associazione per la ricerca sul gene RBCK1
- Poic e Dintorni
- Pro RETT Ricerca - Associazione per la ricerca sulla sindrome di Rett
- Progetto Alice onlus – Associazione per la lotta alla SEU
- Sanfilippo Fighters
- SATB2 Italia
- SCN8A Italia
- SLC6A1 Connect Italia
- Tempo Zero
- UGDH Italia - Il sorriso di Aurora
- UNA VITA RARA AHDS-MCT8
- Unione Italiana NEXMIF
- UniPhelan
- Uniti per la PIPO
- XIA-GIBBS Italia*
- XP Italia - Associazione Italiana Xeroderma Pigmentoso

BANDO SEED GRANT - FINANZIAMENTI



* associazione che ha partecipato al bando fall 2025 aperto nel 2025 ma finanziato nel 2026

Bando congiunto con Fondazione Cariplo

Avviato nel 2021, il bando congiunto con Fondazione Cariplo nasce per sostenere la ricerca di base sulle malattie rare, con particolare attenzione ai meccanismi genetici e molecolari ancora poco conosciuti. L'obiettivo è contribuire a colmare le lacune nella conoscenza del genoma umano, promuovendo studi su geni, proteine e molecole di RNA la cui funzione non è ancora chiarita (geni T-dark), con potenziali ricadute sulla comprensione e sul trattamento delle malattie rare. Nel primo ciclo (2022–2024), articolato in tre edizioni annuali, il bando ha finanziato complessivamente 59 progetti. Nel 2024 la collaborazione è stata rinnovata con l'avvio del secondo ciclo (2025–2027), confer-

mando l'impianto scientifico e introducendo alcune evoluzioni nel modello di finanziamento. Accanto ai progetti "Full", rivolti a studi con un solido background scientifico e con un budget fino a 250.000 euro, è stata introdotta una nuova linea "Pilot", con finanziamenti fino a 50.000 euro e durata annuale, pensata per sostenere progetti ad alto potenziale nella generazione di dati preliminari e nello sviluppo di nuove ipotesi di ricerca sui geni T-dark. Questa articolazione consente di rafforzare ulteriormente la capacità del bando di intercettare e sostenere sia progetti già maturi sia nuove linee di indagine, contribuendo alla continuità della ricerca nelle fasi più esplorative della catena del valore.

PRIMO CICLO DEL BANDO CONGIUNTO 2022-2024
(3 EDIZIONI ANNUALI)

13,8 mln €

Finanziamento complessivo
(sostenuto in egual misura
dalle due fondazioni)

59

progetti
collegati a: →

71

patologie
rare

LE CITTÀ INTERESSATE AL FINANZIAMENTO NEL TRIENNIO 2022-2024



SECONDO CICLO DEL
BANDO CONGIUNTO
2025-2027

3,6 mln €

Finanziati di cui 1,8 M/euro
finanziati da Fondazione
Cariplo

27

malattie studiate

26

progetti finanziati
14 Pilot - 12 Full

LE CITTÀ CHE HANNO RICEVUTO IL FINANZIAMENTO NEL 2025

- Milano
 - Monza
 - Pavia
 - Varese
 - Torino
 - Trento
 - Padova
 - Trieste
 - Bologna
- Parma
 - Genova
 - Firenze
 - Pisa
 - Roma
 - Pozzilli
 - Napoli
 - Bari

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 pres-

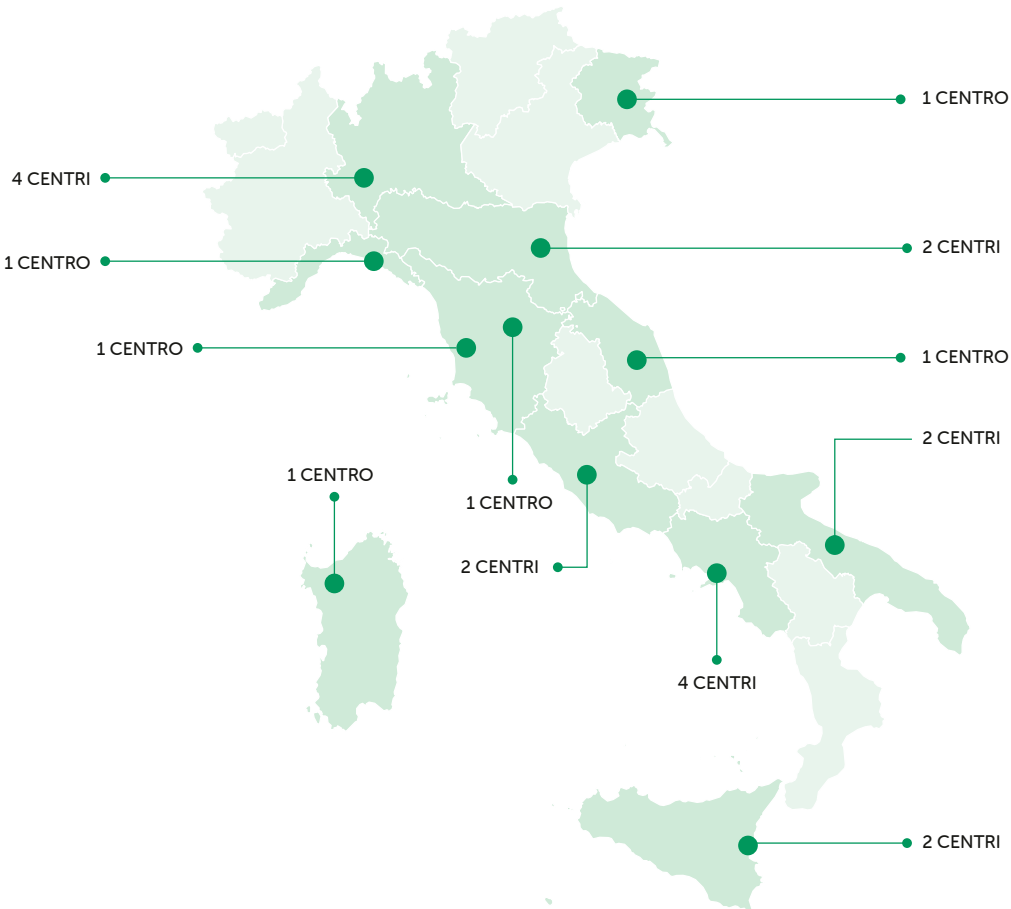
so i centri clinici afferenti alla rete e diffusi sul territorio italiano (vedi mappa) per verificare che il loro caso sia affrontabile tramite le analisi genetiche che sono poi effettuate presso i laboratori del Tigem e dell'Azienda Ospedaliera Universitaria - Università degli Studi della Campania Luigi 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 2025 sono stati studiati 1.075, che hanno portato alla risoluzione di 516 casi.

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. In questi anni Fondazione Telethon ha investito 3.462.000 euro. Sono stati identificati 16 geni nuovi e sono derivate 81 pubblicazioni.

LA RETE DEI CENTRI CLINICI TUDP





Focus malattie neuromuscolari

AriSLA – Fondazione Italiana di Ricerca per la SLA

AriSLA nasce nel 2008 per promuovere e sostenere la ricerca scientifica sulla Sclerosi Laterale Amiotrofica (SLA), una malattia neurodegenerativa ancora priva di una cura risolutiva. La Fondazione è il risultato di un'alleanza tra Fondazione Telethon, Fondazione Cariplo, Fondazione Vialli e Mauro e AISLA, con l'obiettivo di creare un modello coordinato e competitivo di finanziamento della ricerca.

Fin dalla sua nascita, AriSLA ha adottato un sistema di selezione basato sulla peer review internazionale, finanziando progetti di elevata qualità scientifica e

contribuendo a sviluppare una rete di ricerca solida e riconosciuta a livello nazionale e internazionale. Nel tempo, ha sostenuto studi che spaziano dalla ricerca di base alla ricerca preclinica, favorendo una maggiore comprensione dei meccanismi della malattia e l'identificazione di nuovi possibili approcci terapeutici.

Oggi AriSLA rappresenta un punto di riferimento per la ricerca sulla SLA in Italia, capace di attrarre competenze, promuovere collaborazioni e contribuire in modo significativo all'avanzamento della conoscenza e allo sviluppo di prospettive di cura.

PERIODO 2009-2025

17,8 mln €

Investiti in ricerca

165

gruppi di ricerca su tutto il territorio italiano

121

progetti finanziati dalla ricerca di base alla clinica

430

pubblicazioni di alto impatto scientifico

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 (UILDM) e negli anni ha permesso di:

RAFFORZARE LA RETE CLINICA NEUROMUSCOLARE ITALIANA PROMUOVENDO LA COLLABORAZIONE E LA CONDIVISIONE DELLE CONOSCENZE TRA GLI ESPERTI DEL SETTORE

FAR AVANZARE LA CONOSCENZA CLINICA DELLE MALATTIE NEUROMUSCOLARI

ABILITARE I CENTRI ITALIANI ALLA SPERIMENTAZIONE CLINICA DI TERAPIE INNOVATIVE

FACILITARE L'IMPLEMENTAZIONE DI CURE INCENTRATE SUL PAZIENTE E IMPOSTATE SECONDO UN APPROCCIO OLISTICO CHE METTA IN PRIMO PIANO LA PERSONA E LA SUA QUALITÀ DI VITA

PROMUOVERE LA RICERCA SU DIVERSI ASPETTI IMPORTANTI PER I PAZIENTI E LE LORO FAMIGLIE QUALI, TRA GLI ALTRI, IL CARICO DEI CAREGIVER, LA NUTRIZIONE E LA VALUTAZIONE NEUROPSICOLOGICA

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 2021-2025

15,13 mln €

Finanziamento complessivo

72

Progetti

80

Centri coinvolti

oltre

6.500

Pazienti coinvolti negli studi

PIATTAFORMA PER LA DISTROFIA MUSCOLARE DI DUCHENNE

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 con UILDM.

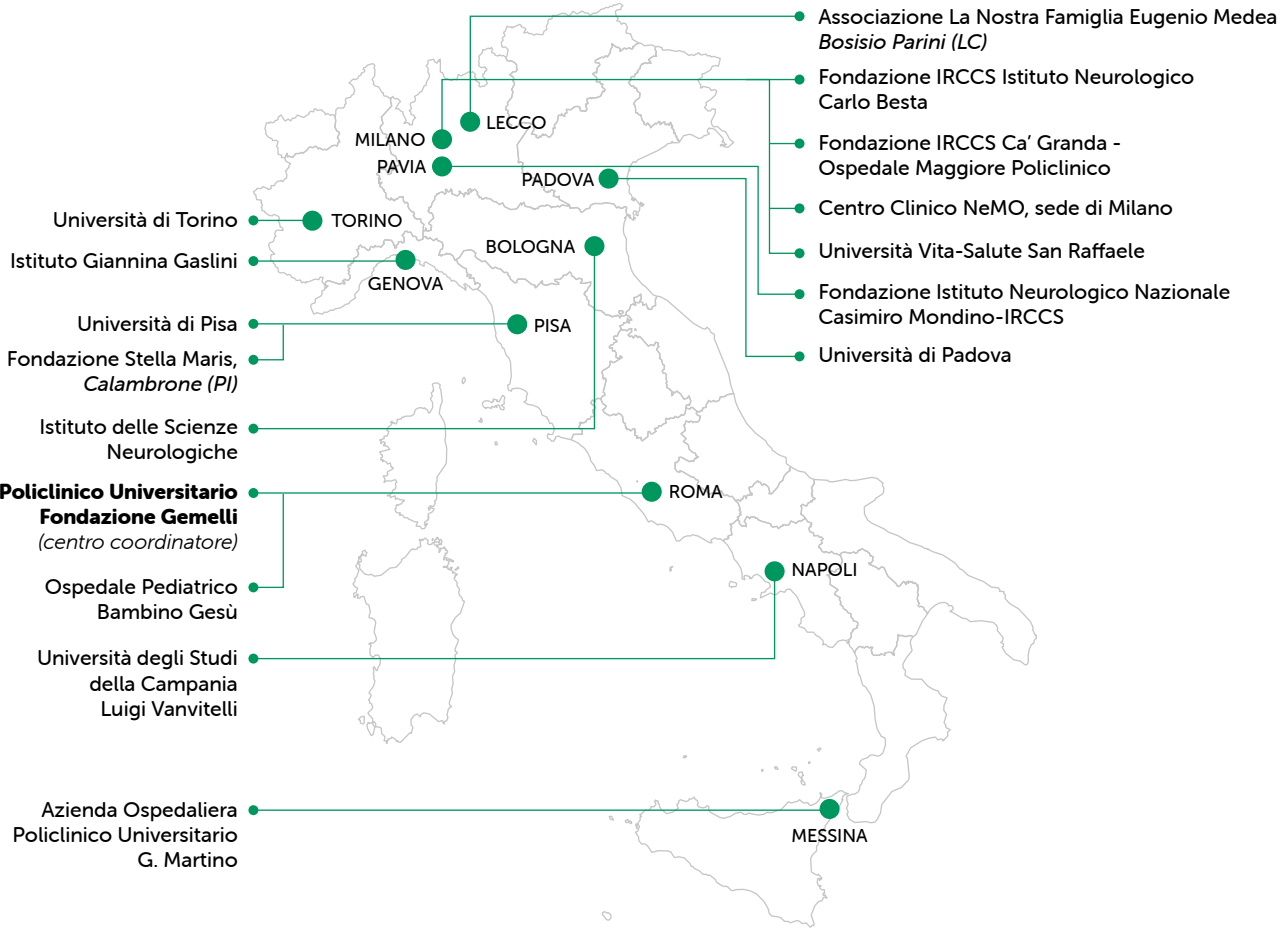
La disponibilità dei dati clinici e genetici di centinaia di pazienti porrà le basi per studi futuri condotti secon-

do 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 è stato 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.





Centri clinici NeMO

Il progetto dei centri NeMO (NeuroMuscular Omnicenter) 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, UILDM e Azienda Ospedaliera Niguarda Ca' Granda (socio fino al 2013). Si sono poi aggiunti come soci l'Associazione Italiana Sclerosi Laterale Amiotrofica Aps, l'Associazione Famiglie Sma e l'Associazione Slanciamoci. I centri NeMO hanno sviluppato un modello innovativo e unico nel panorama internazionale

per la gestione dei bisogni clinico-assistenziali dei pazienti pediatrici e adulti con malattie neuromuscolari. Secono 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.

PROGRAM PROJECT NEUROMUSCOLARE

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 com-

bini 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

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.

Progetto pilota per lo screening della leucodistrofia metacromatica

La leucodistrofia metacromatica (MLD) è una malattia neurodegenerativa: se non diagnosticata prima della comparsa dei primi sintomi, i bambini che vengono colpiti da questa malattia hanno a disposizione solo cure palliative e la maggior parte di loro muoiono in età infantile. Fino a poco tempo fa, la diagnosi arrivava solo dopo la comparsa dei primi sintomi, quando ormai era difficile intervenire.

Ma la ricerca ha fatto grandi progressi: oggi è disponibile anche in Italia una terapia genica - sviluppata presso l'Istituto San Raffaele Telethon - che può fermare o rallentare significativamente la progressione della malattia nelle varianti più aggressive della malattia ad esordio precoce. L'efficacia della terapia genica dipende da un fattore fondamentale: la tempestività. Individuare la malattia alla nascita, prima che si manifesti qualsiasi sintomo, è la condizione per poter offrire al bambino le migliori possibilità di trattamento e di vita. Ecco perché lo screening neonate è così importante: diagnosi precoce = terapia efficace.

Attualmente, la MLD non è inclusa nello screening neonatale obbligatorio nazionale, ma sono attivi progetti pilota in alcune Regioni: in questi progetti, il test viene effettuato sulle stesse gocce di sangue prelevate dal tallone del neonato per gli screening di routine, senza necessità di ulteriori prelievi. La partecipazione è volontaria e richiede il consenso informato dei genitori. Da giugno 2024 è attivo in Lombardia un pro-

getto pilota di screening neonatale, promosso e finanziato da Fondazione Telethon e coordinato dall'ASST Fatebenefratelli Sacco Ospedale dei Bambini Vittore Buzzi, con il coinvolgimento della Fondazione Buzzi per l'Ospedale dei Bambini, con l'obiettivo di individuare in fase precoce (alla nascita) i neonati affetti da MLD raccogliendo le informazioni sull'esito del test di screening, sulla conferma diagnostica, sul follow up ed il trattamento. I risultati del progetto saranno utili ai fini dell'inclusione del test di screening per la MLD tra quelli di routine.

L'adesione avviene su base volontaria, previo consenso informato dei genitori, e richiede il coinvolgimento progressivo dei punti nascita e una corretta informazione alle famiglie. Per favorire una partecipazione consapevole e un'adesione dei punti nascita, sono stati sviluppati materiali informativi multilingua, distribuiti nei punti nascita, nelle terapie intensive neonatali e nei consultori della Lombardia,. L'obiettivo è far in modo che questo screening sia offerto a tutti i bambini lombardi.

Parallelamente, Fondazione Telethon ha promosso un'azione di sensibilizzazione istituzionale sul tema, contribuendo al rafforzamento del quadro normativo: con l'approvazione della Legge di Bilancio a fine 2025 è stato previsto, a partire dal 2026, il finanziamento dello screening per la MLD attraverso la quota "Prevenzione" del Fondo Sanitario Nazionale, rendendo possibile l'estensione da parte delle Regioni.

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] DATO AL 31.12.2025

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 6% (al 31 dicembre 2025).
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. Nel 2025 AAVantgarde Bio ha completato con successo un round di finanziamento series B da 143 milioni di Dollari per sostenere l’avanzamento dello sviluppo clinico delle terapie geniche per la sindrome di Usher 1B e per la malattia di Stargardt. Società partecipata al 6% (al 31 dicembre 2025).
INNOVAVECTOR	Si evidenzia l’azzeramento di valore delle partecipazioni della società riconducibile al socio finanziatore Equiter. Tale valutazione riflette gli esiti di analisi condotte da consulenti esterni, che hanno suggerito un approccio prudenziale rispetto alle prospettive economiche future. Pur in questo contesto, la start up ha generato nel tempo un patrimonio di competenze, know-how, brevetti, attrezzature e capacità operative che rappresentano un valore strategico per Fondazione Telethon e per i suoi istituti. Innovaavector ha infatti contribuito allo sviluppo di competenze e processi produttivi nel campo dei vettori virali, ambito che rimane strategico per il sostegno della pipeline di terapie avanzate della Fondazione e per le attività dell’officina farmaceutica certificata AIFA. Per tali ragioni, al di là della svalutazione contabile della partecipazione, gli investimenti effettuati hanno comunque contribuito a rafforzare asset scientifici, tecnologici e industriali rilevanti per le prospettive future della Fondazione.
NEGEDIA	Si evidenzia l’azzeramento di valore delle partecipazioni della società riconducibile al socio finanziatore Equiter. Tale valutazione riflette, nel caso di Negedia, la messa in liquidazione della società a seguito della mancanza di prospettive di sviluppo autonome. Pur in questo contesto, la start up ha generato nel tempo un patrimonio di competenze, know-how, brevetti, attrezzature e capacità operative che rappresentano un valore strategico per Fondazione Telethon e per i suoi istituti. Per tali ragioni, al di là della svalutazione contabile della partecipazione, gli investimenti effettuati hanno comunque contribuito a rafforzare asset scientifici, tecnologici e industriali rilevanti per le prospettive future della Fondazione.
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 Epsilon 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 è partecipata per un valore residuale (al 31 dicembre 2025).

[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. Ad aprile 2025 IAMA Therapeutics ha annunciato il completamento di un round di finanziamento da 15 milioni di Euro per sostenere l’avanzamento della pipeline.
GENENTA SCIENCE	Fondata nel 2021 a partire dagli studi realizzati da Maria Grazia Roncarolo presso SR-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 2025 l’azienda ha ottenuto dalla FDA l’approvazione per l’avvio della sperimentazione clinica di un prodotto terapeutico innovativo per il trattamento della sclerosi multipla.
TR1X	Fondata nel 2021 a partire dagli studi realizzati da Maria Grazia Roncarolo presso SR-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.



L'Istituto Telethon di genetica e medicina (Tigem)

L'Istituto, diretto dal Prof. Alberto Auricchio, è un centro di eccellenza per la ricerca in Italia. Nel 2013 si è trasferito nella nuova sede dell'ex stabilimento Olivetti di Pozzuoli (Napoli) ed è diventato un polo di attrazione, richiamando ricercatori da tutto il mondo. L'Istituto studia le basi genetiche delle malattie al fine di sviluppare nuove terapie. La competitività di Tigem si riflette anche nella sua capacità di attrarre il sostegno di prestigiosi enti finanziatori internazionali, tra cui il Consiglio europeo della ricerca (ERC).

LINEE DI RICERCA

L'ISTITUTO CONDUCE PROGETTI DI RICERCA LUNGO TRE LINEE PRINCIPALI.

[Biologia cellulare e meccanismi patogenetici]

L'utilizzo di sistemi modello cellulari e animali, con il supporto di tecniche di microscopia avanzate, per studiare i meccanismi alla base delle malattie genetiche: comprenderli è il primo passo verso l'individuazione di una possibile cura. La ricerca sulle malattie genetiche rare, condotta con approcci di biologia cellulare, ci permette di comprendere il comportamento delle singole cellule malate e di svelare i meccanismi che derivano dai difetti genetici. L'obiettivo generale del programma di Biologia Cellulare e Meccanismi delle Malattie (CBDM) è comprendere i meccanismi patologici analizzando l'organizzazione cellulare a livello morfo-funzionale: come i diversi tipi cellulari svolgono i loro compiti individuali, come queste diverse cellule cooperano per formare tessuti e sistemi e come le mutazioni nei geni responsabili delle malattie possono alterare tali funzioni.

L'obiettivo finale è quello di migliorare la gestione delle malattie genetiche e gli strumenti terapeutici. Le tecniche utilizzate nel programma CBDM includono, a titolo esemplificativo, l'analisi genetica, la biochimica delle proteine e dei lipidi, la biologia dello sviluppo, la biologia cellulare del lievito e la farmacologia molecolare. Utilizziamo queste tecniche per studiare il trasporto e lo smistamento di proteine e lipidi, la biogenesi e la regolazione degli organelli e la trasduzione del segnale.

[Medicina genomica]

La bioinformatica viene utilizzata per analizzare il comportamento e l'interazione dei geni, sviluppare modelli matematici di processi biologici, studiare possibili usi alternativi di farmaci convenzionali e scoprire le cause genetiche di malattie non diagnosticate. Forte di questa competenza, Tigem coordina il Programma sulle malattie non diagnosticate della Fondazione Telethon. Il programma di Medicina Genomica (GN) è composto da ricercatori con competenze in ambito bio-medico, ingegneristico e informatico, che lavorano a stretto contatto con i genetisti e i biologi molecolari dell'Istituto. Questo rende Tigem uno dei pochi istituti interdisciplinari ad applicare approcci di biologia computazionale alle malattie genetiche.

Il programma GM riveste un ruolo significativo presso Tigem: i ricercatori sono regolarmente incoraggiati a utilizzare tecnologie innovative e strumenti sperimentali e computazionali robusti nei propri progetti di ricerca. Questi approcci includono il sequenziamento di nuova generazione (NGS) per il sequenziamento del DNA e dell'RNA in singole cellule, approcci di apprendimento automatico per il riposizionamento dei farmaci e la tecnologia microfluidica per la coltura cellulare e la biologia quantitativa.

[Terapia molecolare]

Lo sviluppo di nuovi approcci terapeutici che prevedono l'utilizzo di piccole molecole o la terapia genica per correggere i difetti che sono alla base di gravi malattie genetiche per le quali non esiste ancora una cura efficace. La missione del piano di ricerca sulla terapia molecolare (MT) del Tigem è sviluppare nuove strategie per la prevenzione e il trattamento delle malattie. Una delle nostre principali strategie di ricerca è la terapia genica in vivo mediata da vettori. L'obiettivo generale è sviluppare nuovi sistemi vettoriali e strategie di somministrazione non virali utilizzando vettori adeno-associati (AAV) e nanoparticelle lipidiche (LNP), testarli su modelli animali appropriati e traslare gli approcci più promettenti in ambito clinico.

Qui al Tigem, il sistema vettoriale AAV si è dimostrato particolarmente efficace in diversi studi preclinici sulle malattie da accumulo lisosomiale (LSD) e in una vasta gamma di modelli animali di degenerazione retinica. Utilizziamo inoltre librerie di piccole molecole approvate dalla FDA con l'obiettivo di estendere le potenziali terapie esistenti al campo delle malattie rare (riposizionamento dei farmaci).

LE MALATTIE STUDiate AL TIGEM

MALATTIE CAUSATE DA DIFETTI NELLA COMUNICAZIONE CELLULARE

Fibrosi cistica
Displasia spondiloepifisaria
Sindrome di Lowe
Malattia di Wilson
Sindrome di Fanconi

MALATTIE DA ACCUMULO LISOSOMIALE

Mucopolisaccaridosi di tipo II
Mucopolisaccaridosi di tipo IIIa
Mucopolisaccaridosi di tipo VI
Mucopolisaccaridosi di tipo VI
Deficit multiplo di solfatasi
Malattia di Pompe
Malattia di Fabry

MALATTIE DEGENERATIVE DELLA RETINA

Retinite pigmentosa
Amaurosi congenita di Leber
Malattia di Stargardt

MALATTIE METABOLICHE DEL FEGATO

Iperossaluria primaria di tipo I
Sindrome di Crigler-Najjar
Deficit di alfa-1-antitripsina
Acidemia propionica
Disturbo del ciclo dell'urea



L'Istituto San Raffaele Telethon per la terapia genica (SR-Tiget)

L'Istituto, diretto da Luigi Naldini, è un centro di eccellenza riconosciuto a livello mondiale per la ricerca e la traslazione clinica di terapie avanzate. Fondato nel 1996 come joint venture tra la Fondazione Telethon e l'Ospedale San Raffaele di Milano, ha la missione di svolgere ricerca all'avanguardia nel campo della terapia genica e cellulare e di tradurne i risultati in progressi terapeutici, concentrandosi principalmente sulle malattie genetiche rare.

Più recentemente, SR-SR-Tiget ha anche intrapreso lo sviluppo di applicazioni delle sue piattaforme di terapia cellulare e genica per il trattamento di alcuni tipi di cancro.

SR-SR-Tiget è stato tra i primi istituti di terapia genica al mondo in grado di abbracciare l'intero percorso di sviluppo di un farmaco terapeutico avanzato (ATMP), dalla scoperta di terapie alla modellazione preclinica, dalla strategia regolatoria al trattamento dei pazienti nelle prime sperimentazioni cliniche di fase I/II sull'uomo e infine alla registrazione sul mercato, definendo un nuovo modello per la ricerca traslazionale in terapia genica.

LE LINEE STRATEGICHE DELL'ISTITUTO

La ricerca di SR-SR-Tiget è organizzata lungo cinque linee strategiche, ciascuna dedicata a una specifica strategia e a un obiettivo terapeutico. Queste linee integrano la biologia fondamentale con tecnologie all'avanguardia per promuovere lo sviluppo di terapie innovative.

[Terapia genica ex vivo]

La terapia genica ex vivo prevede la correzione genetica delle cellule staminali ematopoietiche (CSE) del paziente tramite vettori virali modificati per fornire versioni funzionali dei geni difettosi. Una volta corrette, le cellule vengono reinfuse nei pazienti, dove si integrano e sono in grado di ripristinare la funzione mancante nell'organismo. Questo ambito di ricerca ha l'obiettivo a lungo termine di rendere la terapia genica con CSE uno standard di cura per alcune malattie genetiche rare.

Questo approccio è già stato applicato con successo da SR-SR-Tiget per malattie del sistema immunitario (ADA-SCID, sindrome di Wiskott-Aldrich), del sangue (beta talassemia), del sistema nervoso (leucodistrofia metacromatica) e del metabolismo (sindrome di Hurler). L'Istituto sta attualmente conducendo ricerche per applicare la stessa strategia ad altre malattie genetiche, tra cui l'osteopetrosi e le malattie da accumulo lisosomiale come l'alfa-mannosidosi e la mucopolisaccaridosi di tipo 4 A e B.

[Terapia genica in vivo]

La terapia genica in vivo permette di fornire versioni funzionanti di geni difettosi somministrando vettori virali ingegnerizzati direttamente nel corpo del paziente. In quest'area di ricerca, gli scienziati di SR-SR-Tiget si concentrano principalmente su fegato e cervello come organi bersaglio, studiando la biologia delle loro cellule e perfezionando la piattaforma di terapia genica basata su vettori lentivirali per poterli colpire, con l'obiettivo di promuovere applicazioni cliniche per le malattie genetiche che colpiscono il metabolismo epatico e il sistema nervoso centrale.

[Modifica genetica ed epigenetica]

Questi approcci mirano a correggere i difetti genetici modificando la sequenza dei geni mutati (editing genetico) o modulando l'espressione genica attraverso modifiche epigenetiche mirate (editing epigenetico). Analogamente alla terapia genica, l'editing può essere eseguito sia ex vivo che in vivo. Presso SR-SR-Tiget, gli scienziati si concentrano sullo sviluppo e l'ottimizzazione di piattaforme di editing genetico in termini di sicurezza ed efficacia, e sull'analisi della risposta delle cellule bersaglio a queste procedure.

[Modulazione dell'immunità]

Oltre a rappresentare la prima linea di difesa contro agenti patogeni come virus e batteri, il sistema immunitario può modulare in modo determinante l'efficacia degli interventi terapeutici. Gli scienziati di SR-SR-Tiget studiano i meccanismi cellulari e molecolari alla base delle risposte immunitarie innate e adattative, con l'obiettivo di sviluppare strategie per rendere le terapie geniche ancora più efficaci, impedendo al sistema immunitario di neutralizzare l'effetto della terapia e inducendo la tolleranza immunologica.

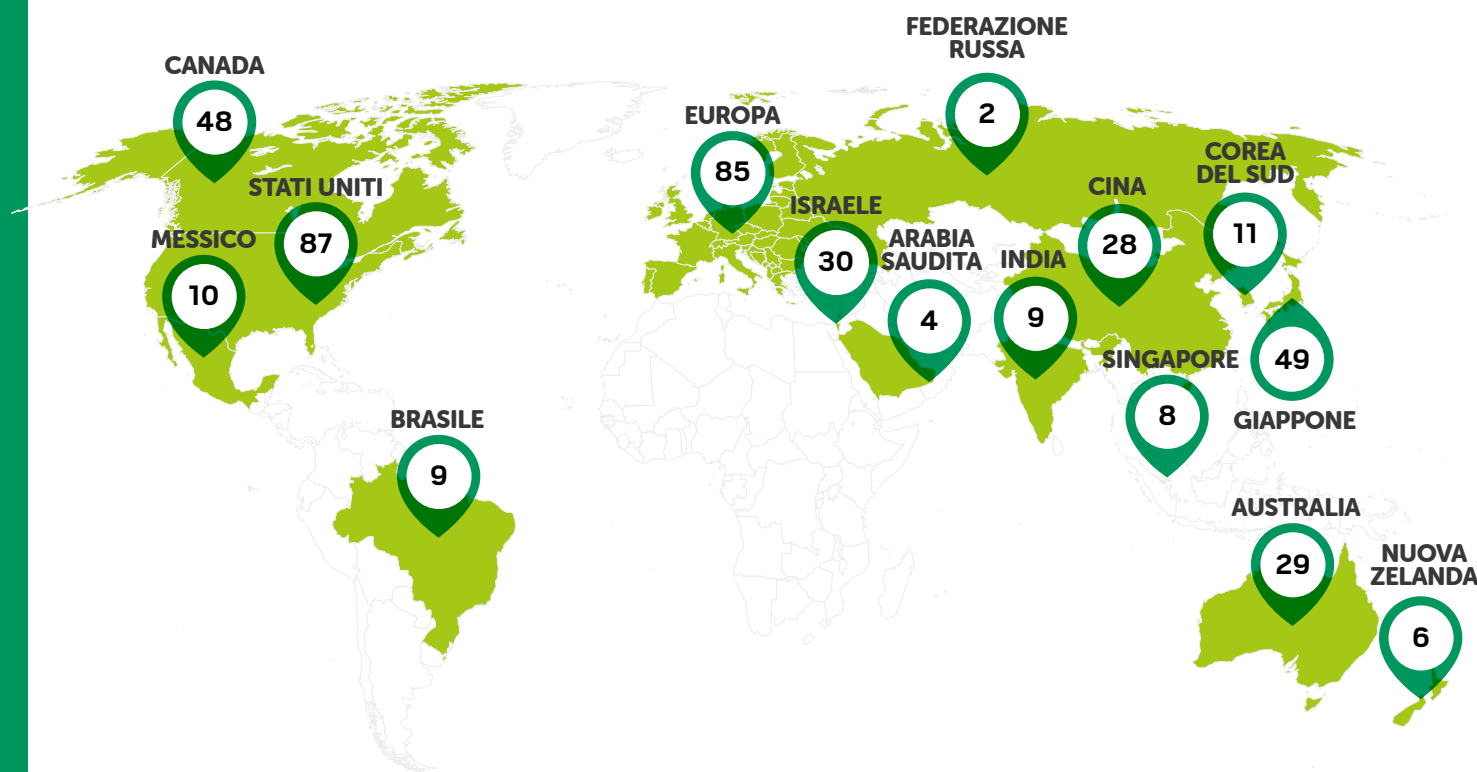
Parallelamente, gli scienziati di SR-SR-Tiget studiano i meccanismi alla base delle malattie autoinfiammatorie, causate da una disregolazione delle vie immunitarie innate. Analizzando le basi molecolari di queste patologie e modellandole in sistemi pertinenti, mirano a identificare bersagli terapeutici che possano gettare le basi per nuove strategie di terapia genica.

[Immunoterapia genica contro il cancro]

Forte di quasi 30 anni di ricerca sulla terapia genica per le malattie genetiche rare, l'Istituto sta sfruttando queste conoscenze e strumenti per ideare nuove strategie per l'immunoterapia genica contro il cancro. In quest'area di ricerca, gli scienziati di SR-SR-Tiget applicano l'aggiunta di geni alla somministrazione genica e cellulare di citochine immunostimolanti per l'immunoterapia del cancro e studiano la biologia e l'epigenetica delle cellule immunitarie all'interno del microambiente tumorale. Le terapie immunogeniche sono attualmente oggetto di studio per il trattamento del glioblastoma multiforme, del cancro al pancreas, del cancro del colon-retto e delle metastasi epatiche.

I brevetti

Il brevetto incentiva aziende e start-up a investire sui risultati della ricerca. Quando la terapia arriva a essere distribuita come farmaco, il brevetto conferisce all'azienda un periodo di esclusività commerciale e la possibilità di rientrare dell'investimento fatto in fase di sviluppo.



Alcune pubblicazioni 2025

Costa-Verdera et al. SR-SR-Tiget

Vettori adeno-associati

NATURE COMMUNICATIONS

AAV vectors trigger DNA damage

response-dependent pro-inflammatory signalling

in human iPSC-derived CNS models and mouse brain

La terapia genica con vettori AAV sta prendendo piede per il trattamento di patologie del sistema nervoso centrale grazie ai risultati incoraggianti ottenuti in alcuni studi clinici. Tuttavia, significativi effetti collaterali sono stati osservati. In questo studio i ricercatori hanno caratterizzato gli effetti dei vettori AAV su modelli sperimentali rilevando meccanismi immunitari tramite i quali il sistema nervoso centrale percepisce la presenza del vettore AAV scatenando una reazione di difesa. Gli autori propongono alcune strategie per minimizzare questi effetti e rendere il trattamento più sicuro.

Fumagalli et al. SR-SR-Tiget

Leucodistrofia metacromatica

NEW ENGLAND JOURNAL OF MEDICINE

Long-Term Effects of Atidarsagene Autotemcel for

Metachromatic Leukodystrophy

Questa pubblicazione riporta i risultati della terapia genica sviluppata al SR-SR-Tiget e oggi disponibile come farmaco per il trattamento della leucodistrofia metacromatica, una patologia ultrarara che causa neurodegenerazione fatale nei bambini.

L'analisi a lungo termine dei pazienti trattati nell'ambito della sperimentazione clinica conferma che, nelle due forme della patologia, "late infantile" e "early juvenile", la terapia genica riesce ad arrestare la progressione della malattia.

Canepari et al. SR-SR-Tiget

Emofilia

NATURE COMMUNICATIONS

Enhancing the potency of in vivo lentiviral vector

mediated gene therapy to hepatocytes

La terapia genica tramite iniezione di vettori lentivirali al fegato può diventare un approccio efficace per molte patologie genetiche. La chiave per il successo di questo approccio è fare sì che i vettori raggiungano la massima capacità di trasferire il gene sano nelle cellule del fegato. In questo studio, effettuato su modelli sperimentali di emofilia, si dimostra che una combinazione di metodi relativamente poco invasivi riesce a potenziare l'efficacia dei vettori lentivirali senza compromettere la sicurezza del trattamento.

Conti et al. SR-SR-Tiget

Editing genetico

CELL REPORTS MEDICINE

Senescence and inflammation are unintended

adverse consequences of CRISPR-Cas9/AAV6

mediated gene editing in hematopoietic stem cells

L'utilizzo dell'editing genetico per inserire in cellule staminali macchinari molecolari in grado di riparare il DNA presenta prospettive promettenti per la correzione a lungo termine dei difetti genetici che causano patologie.

Tuttavia, si è osservato che le cellule corrette tramite il sistema CRISPR-Cas9/AAV6 vanno incontro a senescenza e infiammazione ed hanno una minore capacità di moltiplicarsi dopo il trattamento. Gli autori dello studio propongono alcune strategie farmacologiche che minimizzano queste reazioni avverse.

Tucci et al. SR-SR-Tiget

MPS I

MOLECULAR THERAPY

Non-neurological, non-skeletal outcomes after

hematopoietic stem and progenitor cell-gene

therapy (OTL-203) for Hurler syndrome

L'analisi riguarda lo studio clinico di terapia genica effettuato al SR-SR-Tiget per il trattamento della mucopolisaccaridosi di tipo 1H. I pazienti sono stati seguiti fino a 4 anni dopo il trattamento e l'esito della terapia genica è stato confrontato con i risultati ottenuti su pazienti sottoposti a trapianto di cellule staminali ematopoietiche da donatore. L'analisi rileva un miglior esito della terapia genica rispetto al trapianto sulle manifestazioni della patologia quali opacità corneale, capacità uditiva, sindrome del tunnel carpale, cardiomiopatia e alterazioni delle valvole cardiache.

De Ponti et al. SR-Tiget

MPS I

MOLECULAR THERAPY METHODS AND CLINICAL DEVELOPMENT

Neonatal gene therapy effectively prevents

disease manifestations in a murine model of

Mucopolysaccharidosis type I

Lo studio valuta l'ipotesi di applicare la terapia genica sui pazienti affetti da mucopolisaccaridosi di tipo 1H in fase neonatale, cioè quando i bambini sono ancora asintomatici.

L'analisi effettuata sul modello sperimentale della malattia ha rilevato una buona correzione delle manifestazioni della patologia incluse quelle alterazioni, come quelle che interessano le ossa, che, ad oggi, non sono ripristinate dalla terapia genica. Questa prova di concetto fornisce i presupposti per procedere allo sviluppo clinico della terapia genica neonatale per la MPS I.



Ferrera et al. TIGEM

Fibrosi cistica

CELL MOLECULAR LIFE SCIENCE

Esc peptides and derivatives potentiate the activity of CFTR with gating defects and display antipseudomonal activity in cystic fibrosis-like lung disease

Nonostante l'efficacia dei farmaci in uso per la fibrosi cistica, molti pazienti sono soggetti a infezioni ricorrenti causate da *Pseudomonas aeruginosa*. Dopo aver osservato che alcuni peptidi svolgono un'azione antimicrobica e al tempo stesso stabilizzano la malattia nei pazienti con la variante genetica più diffusa nella fibrosi cistica, i ricercatori hanno individuato altri peptidi efficaci anche in pazienti con le altre mutazioni. In particolare l'azione antimicrobica di questi peptidi è efficace anche contro *Pseudomonas aeruginosa* aprendo allo sviluppo di farmaci innovativi.

Fecarotta et al. TIGEM

Malattie metaboliche ereditarie

ORPHANET JOURNAL OF RARE DISEASES

Combined biochemical profiling and DNA sequencing in the expanded newborn screening for inherited metabolic diseases: the experience in an Italian reference center

Lo screening neonatale, attualmente effettuato con test biochimici, si è dimostrato essenziale per la diagnosi delle malattie metaboliche ereditarie; una naturale evoluzione tecnologica è rappresentata dal sequenziamento del DNA. Gli autori hanno validato un duplice approccio parallelo - biochimico e genomico - per migliorare la diagnosi compensando i limiti delle due metodiche. Il vantaggio di questa strategia riguarda l'applicazione delle analisi genomiche solo ai bambini positivi al test biochimico e l'uso di un pannello minimo di marcatori genetici che consente la massima precisione diagnostica con un contenimento dei costi.

Petruzzelli et al. TIGEM

Malattia di Wilson

NATURE COMMUNICATIONS

Prion protein promotes copper toxicity in Wilson disease

L'omeostasi del rame, le cui alterazioni sono alla base della malattia di Wilson, dipende da una complessa rete di regolazione i cui componenti non sono stati ancora chiariti del tutto. Tramite tecnologie di screening genomico, gli autori del lavoro hanno identificato la proteina prionica cellulare (PrP) come elemento chiave per la re-

golazione dei livelli di rame nella cellula e fattore chiave nella malattia di Wilson. Lo studio apre alla possibilità di sviluppare nuove strategie farmacologiche per il trattamento di questa patologia.

Ferla et al. TIGEM

Malattia di Stargardt

SCIENCE ADVANCES

Retinal gene therapy for Stargardt disease with dual AAV intein vectors is both safe and effective in large animal models

Procede lo sviluppo preclinico della terapia genica per la malattia di Stargardt, una forma di cecità genetica. I ricercatori hanno messo a punto una metodica che consente il trasferimento di geni di grandi dimensioni tramite un sistema basato su due vettori adeno-associati: si tratta di un'ulteriore evoluzione della tecnologia già applicata con successo nello studio clinico per la sindrome di Usher. Il lavoro riporta i risultati promettenti ottenuti sui modelli animali che rappresentano l'ultimo passaggio di validazione della terapia prima di passare alla sperimentazione clinica.

Buonomo et al. TIGEM

Malattie neuromuscolari

EMBO JOURNAL

Two FAM134B isoforms differentially regulate ER dynamics during myogenesis

Il lavoro esplora la complessa rete di fattori che regolano le dinamiche del sistema di endomembrane presente all'interno delle cellule, detto reticolo endoplasmatico. In particolare, grazie a questo studio gli autori hanno evidenziato alcuni fattori chiave che entrano in gioco durante il processo di formazione delle fibre muscolari.

Gorgoglione et al. Università di Padova

Distrofia muscolare di Becker

BRAIN

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

Il lavoro riporta i risultati dello studio condotto dalla rete italiana dei clinici neuromuscolari sulla storia naturale della distrofia muscolare di Becker. Le evidenze raccolte hanno consentito di portare l'attenzione sul grande numero di persone con distrofia di Becker in Italia, caratterizzare questa popolazione di pazienti dal punto di vista clinico e genetico e fornire informazioni cruciali sulla progressione della malattia. Un patrimonio di dati fondamentale per migliorare il disegno degli studi clinici volti all'ottimizzazione della presa in cura e allo sviluppo di terapie mirate.

Cipriani et al. IRCCS Ospedale San Raffaele

Malattia di Charcot-Marie-Tooth

BRAIN COMMUNICATIONS

Niacin ameliorates Charcot-Marie-Tooth 4B1 neuropathy without interfering with nerve regeneration

La malattia di Charcot-Marie-Tooth (CMT) comprende un gruppo di neuropatie causate da un insieme eterogeneo di varianti genetiche per cui non esiste ad oggi una terapia. Un obiettivo della comunità scientifica è l'individuazione di strategie terapeutiche che non dipendano strettamente dai meccanismi molecolari associati alla singola variante genetica. Questo lavoro riporta la prova di concetto preclinica di una strategia farmacologica, basata sul riposizionamento di un farmaco già in uso, in grado di contrastare la produzione aberrante di mielina comune a diverse forme di CMT.

Federti et al. Università di Verona

Anemia falciforme

BLOOD

17(R)-Resolvin D1 protects against sickle cell related inflammatory cardiomyopathy in humanized mice

La malattia cardiovascolare è la prima causa di morte negli adulti affetti da anemia falciforme. Non è stato, tuttavia, ancora chiarito il meccanismo che collega la patologia allo sviluppo di cardiomiopatie. Gli autori dello studio hanno approfondito le dinamiche molecolari scatenate al livello cardiaco dalle crisi acute vaso-occlusive causate dall'anemia falciforme confermando il ruolo di stati infiammatori non risolti nello sviluppo delle complicazioni cardiovascolari. Inoltre, il lavoro mette in evidenza il ruolo protettivo del fattore 17R-RvD1 aprendo allo sviluppo di strategie farmacologiche innovative.

Izzo et al. CNR, Università Sapienza

Distrofia miotonica

CLINICAL TRANSLATIONAL MEDICINE

Muscle-specific gene editing improves molecular and phenotypic defects in a mouse model of myotonic dystrophy type 1

Il lavoro riporta la prova di concetto di una strategia terapeutica basata sull'editing genetico ottenuta su modelli animali della distrofia miotonica. In particolare, la metodica messa a punto dagli autori dello studio prevede la somministrazione sistemica del macchinario molecolare in grado di effettuare la correzione del gene difettoso tramite vettori adeno-associati che si dirigono preferenzialmente al muscolo. I risultati osservati al livello del muscolo scheletrico e cardiaco sono promettenti.

Corrà at al. Istituto Veneto di Medicina Molecolare

Malattia POLG

NATURE COMMUNICATIONS

Modelling POLG mutations in mice unravels a critical role of POLyB in regulating phenotypic severity

La malattia POLG è un disturbo mitocondriale causato da difetti del gene POLG che causano insufficienza multi-organo progressiva. Gli autori dello studio hanno caratterizzato le mutazioni del gene mettendone in evidenza la correlazione con le diverse manifestazioni della patologia. Su questa base di conoscenza hanno realizzato modelli sperimentali che replicano la sintomatologia POLG di diversa gravità e saranno cruciali per la validazione precisa delle strategie terapeutiche attualmente in corso di sviluppo.

Scotti et al. Nature Reviews Genetics

Challenges and solutions to the sustainability of gene and cell therapies

NATURE REVIEWS GENETICS

Il ritiro dal mercato di una terapia sicura ed efficace, specialmente in assenza di un'alternativa migliore, rappresenta un chiaro fallimento per l'intero sistema e, cosa più critica, per i pazienti che perdono l'accesso al trattamento.

L'articolo - a firma Celeste Scotti, Alessandro Aiuti e Luigi Naldini - si concentra sulla sostenibilità economica delle terapie geniche e cellulari dal punto di vista degli sviluppatori, poiché il fallimento commerciale di terapie già approvate è attualmente una delle questioni più urgenti per la comunità legata alle malattie rare. L'esperienza maturata da Fondazione Telethon nello sviluppo di terapie geniche e cellulari per malattie ultra-rare e nella ricerca dell'accesso al mercato per prodotti considerati non sostenibili dal sistema industriale, è stata fondamentale per evidenziare i punti critici del processo e identificare potenziali soluzioni. Gli autori propongono una combinazione di strategie di mitigazione del rischio che potrebbero impedire agli investitori di abbandonare il campo delle malattie ultra-rare e rispondere meglio alle esigenze insoddisfatte dei pazienti.



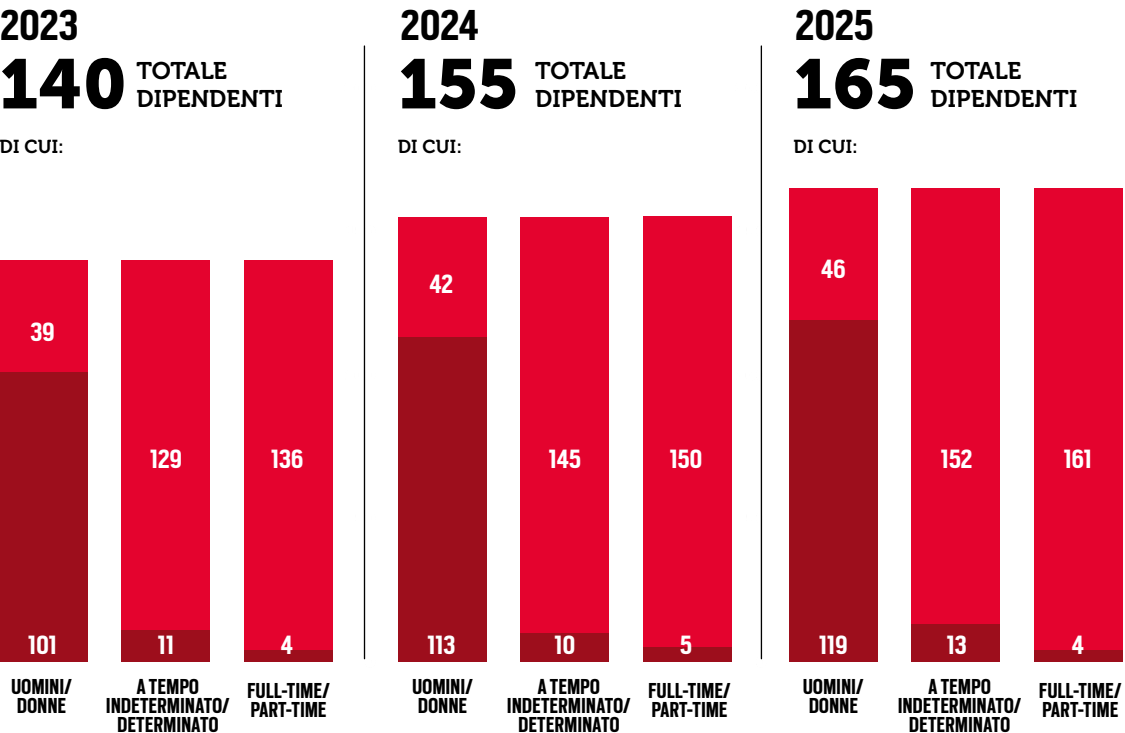
APPROFONDIMENTI CAPITOLO 3

Personale

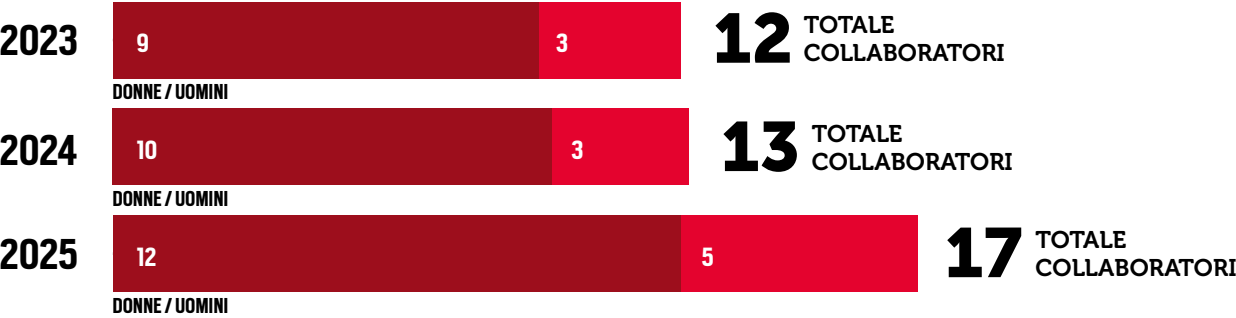
Nel triennio 2023–2025 l'andamento del personale evidenzia una crescita progressiva della struttura, accompagnata da un'evoluzione nella distribuzione tra le diverse aree e nelle caratteristiche dell'organico. I dati mostrano un'organizzazione in sviluppo, che si adatta nel tempo alle esigenze delle proprie attività.

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

DIPENDENTI

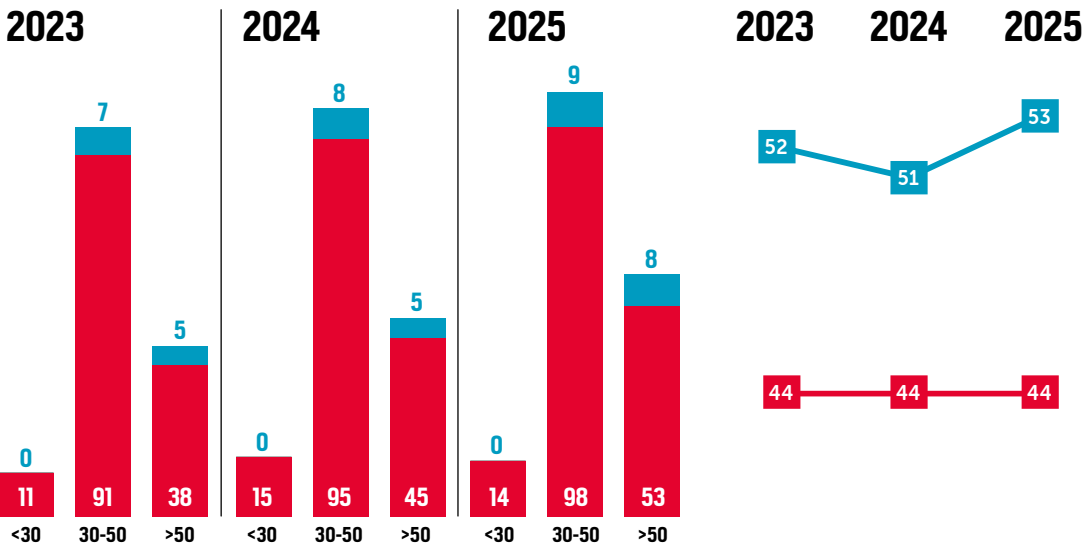


COLLABORATORI



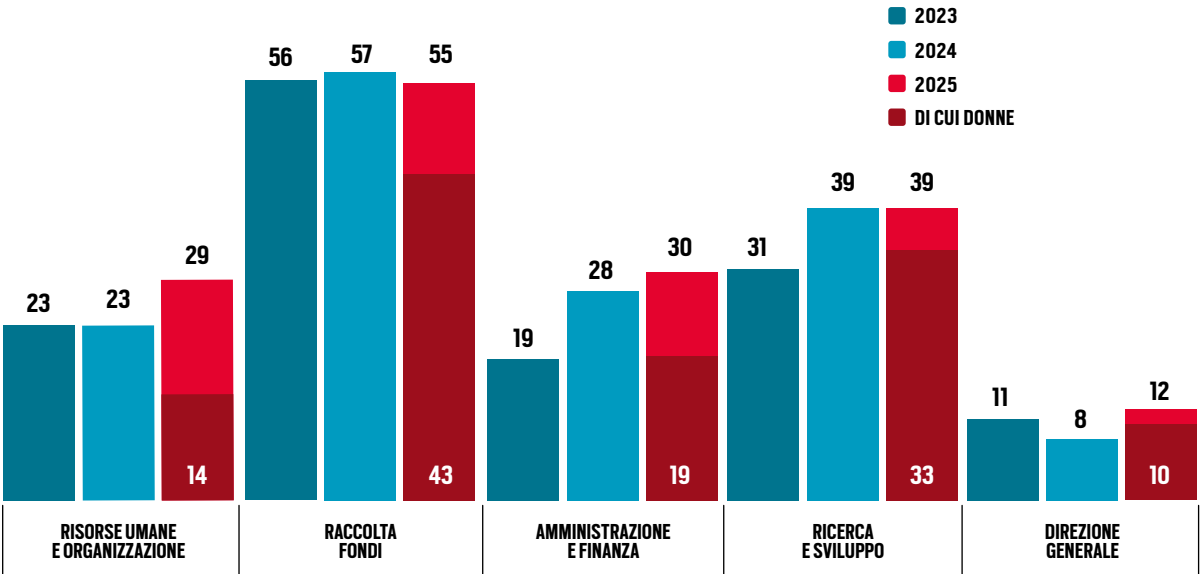
DIPENDENTI E COLLABORATORI PER ETÀ

PERSONE

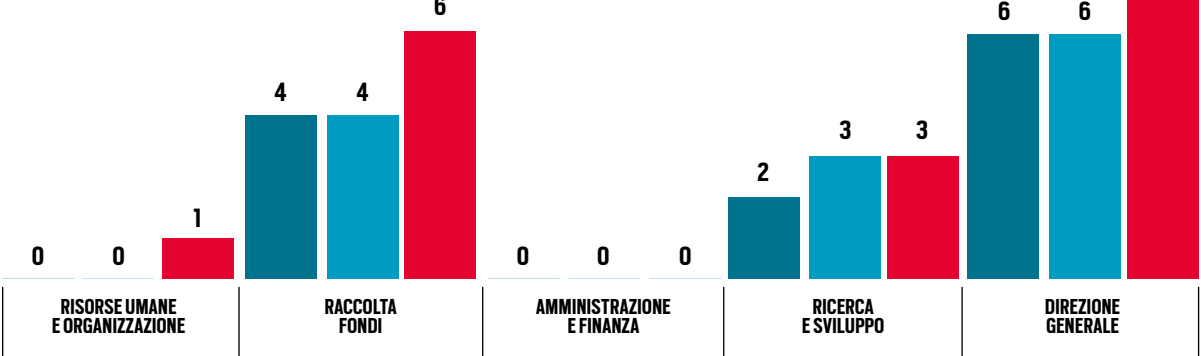


RIPARTIZIONE DIPENDENTI E COLLABORATORI PER AREA IN FONDAZIONE TELETHON (NUMERO)

DIPENDENTI



COLLABORATORI





TURNOVER DIPENDENTI
(PERSONE)

2023

6 NUMERO USCITE **15** NUMERO NUOVE ASSUNZIONI



TURNOVER IN ENTRATA (n° entrate nell'anno/organico inizio anno)*100



TURNOVER IN USCITA (n° uscite nell'anno al netto dei pensionamenti/organico inizio anno)*100



TURNOVER IN USCITA (n° uscite nell'anno/organico inizio anno)*100

2024

11 NUMERO USCITE **26** NUMERO NUOVE ASSUNZIONI



TURNOVER IN ENTRATA (n° entrate nell'anno/organico inizio anno)*100



TURNOVER IN USCITA (n° uscite nell'anno al netto dei pensionamenti/organico inizio anno)*100



TURNOVER IN USCITA (n° uscite nell'anno/organico inizio anno)*100

2025

23 NUMERO USCITE **31** NUMERO NUOVE ASSUNZIONI



TURNOVER IN ENTRATA (n° entrate nell'anno/organico inizio anno)*100



TURNOVER IN USCITA (n° uscite nell'anno al netto dei pensionamenti/organico inizio anno)*100



TURNOVER IN USCITA (n° uscite nell'anno/organico inizio anno)*100

Nel triennio 2023–2025 il turnover del personale evidenzia un andamento dinamico, con un progressivo aumento dei movimenti in entrata e in uscita, accompagnato da una tendenza alla stabilizzazione complessiva della struttura.

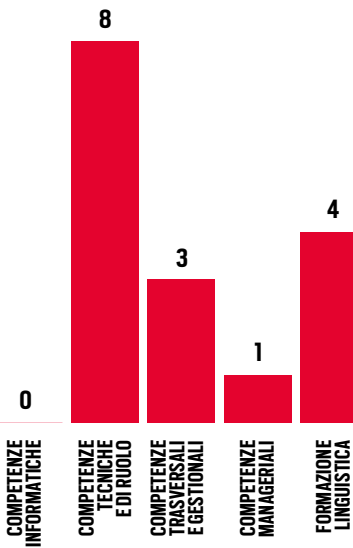
Sviluppo delle competenze

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.

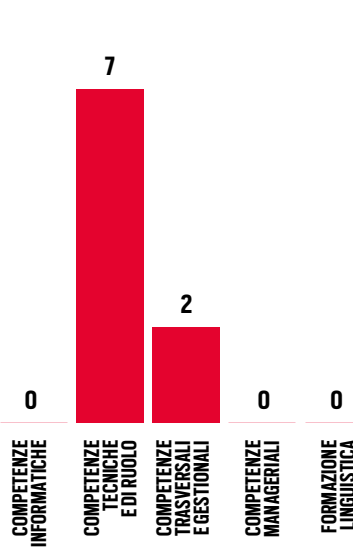


RIPARTIZIONE PER TIPOLOGIA DI FORMAZIONE
(NUMERO)

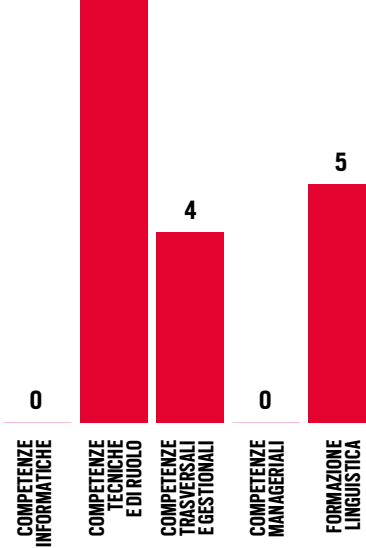
2023



2024



2025





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 che offre servizi per dipendenti e famiglie. A questi si aggiungono coaching e supporto psicologico per chi ne sentisse il bisogno.

EQUILIBRIO VITA-LAVORO

50%
delle ore lavorative
svolte da remoto

FLESSIBILITÀ
ORARIA

INGRESSO,
GIORNALIERA E
SETTIMANALE

WELFARE
AZIENDALE

BENEFICIARI

DIPENDENTI FONDAZIONE TELETHON
DIPENDENTI TIGEM
DIPENDENTI SR-TIGET

CREDITI PER

PREVIDENZA
ASSISTENZA SANITARIA
BENESSERE E SPORT
SUPPORTO ALLA GENITORIALITÀ
FORMAZIONE E SVAGO

BENESSERE E SUPPORTO AI DIPENDENTI

COACHING E SUPPORTO PSICOLOGICO

CON PSICOTERAPEUTA

MONITORAGGIO DEL BENESSERE

ANALISI PERIODICHE
SUL RISCHIO STRESS
LAVORO-CORRELATO

FORMAZIONE SU CRITICITÀ

EMERSE NEL 2021

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.

OBIETTIVI IN LINEA CON L'UE (2020-2025)

STOP ALLA VIOLENZA DI GENERE
LOTTA A STEREOTIPI SESSISTI
PARITÀ NEL MERCATO DEL LAVORO
EQUITÀ RETRIBUTIVA E PENSIONISTICA
EQUILIBRIO DI GENERE NEI
PROCESSI DECISIONALI

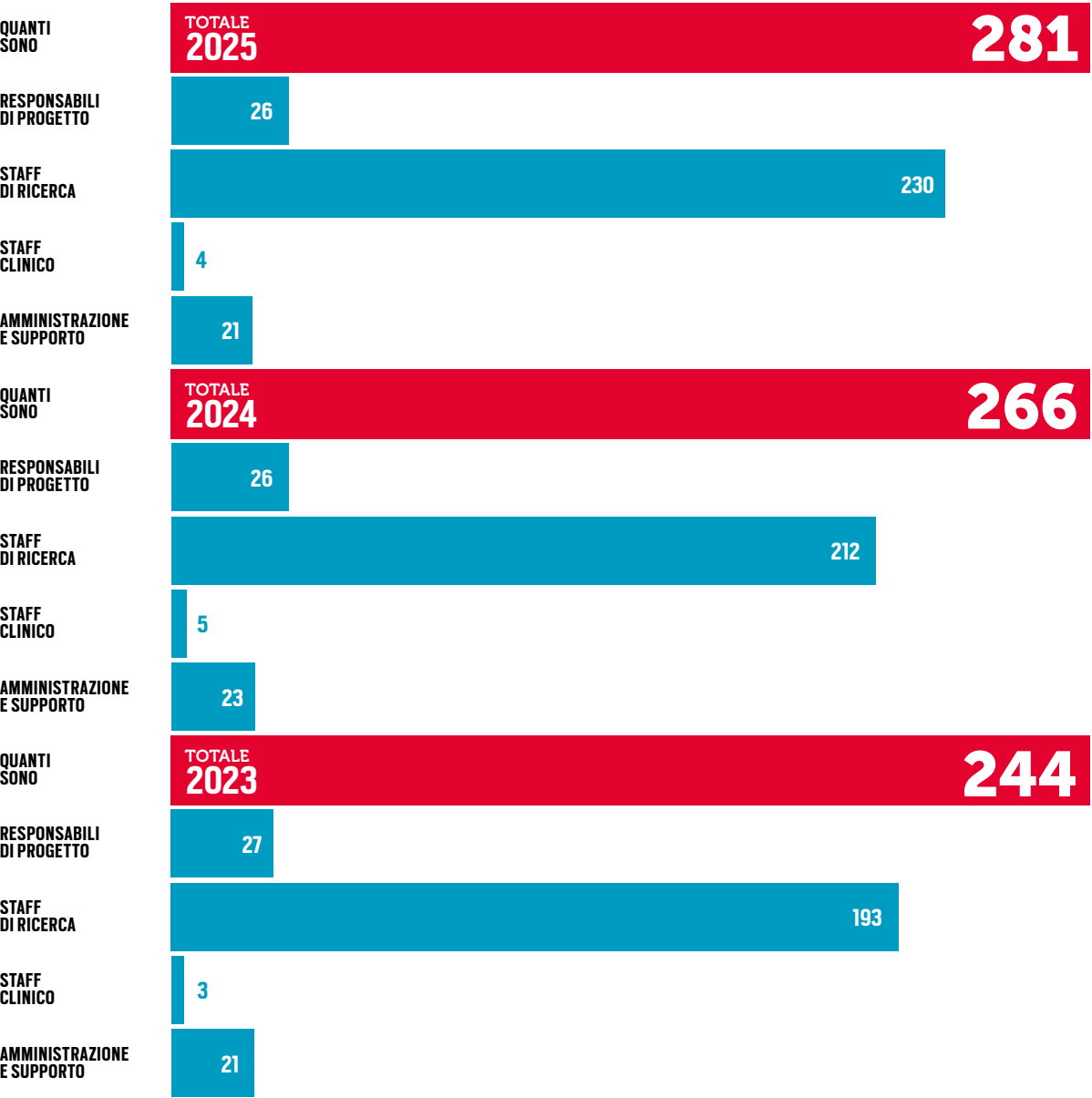
IMPLEMENTAZIONE

REDAZIONE, DIFFUSIONE
E MONITORAGGIO DEL GEP
SENSIBILIZZAZIONE SU STEREOTIPI
DI GENERE
INIZIATIVE DI BENESSERE
E WORK-LIFE BALANCE



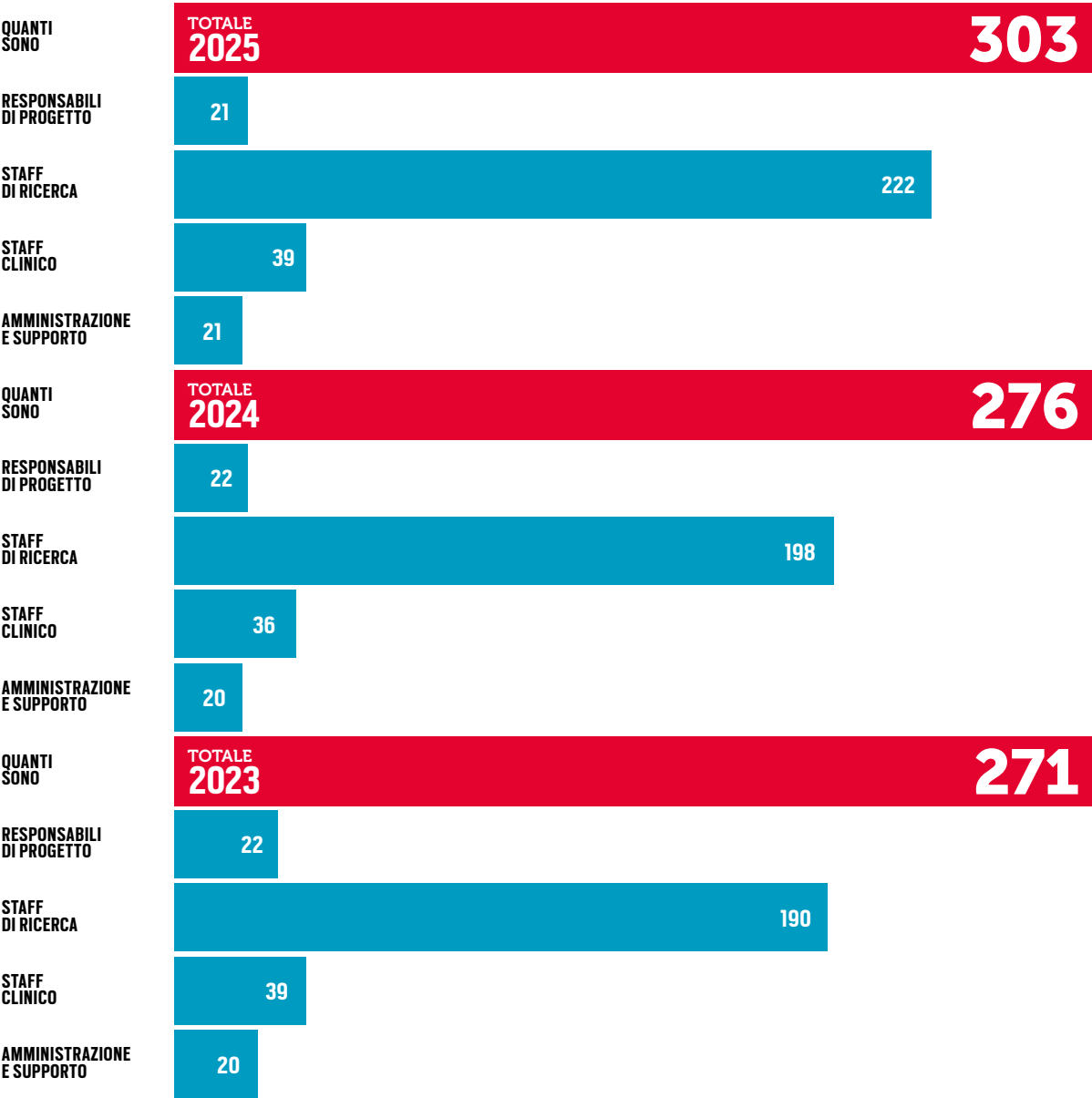
Gli Istituti

RIPARTIZIONE PERSONALE TIGEM
(NUMERO)



Di fronte a un costante trend di crescita del personale degli Istituti confermato anche nel 2025, 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 2025 hanno aderito il 54% del personale Tigem e oltre il 24% del personale SR-Tiget.

I volontari di Fondazione Telethon

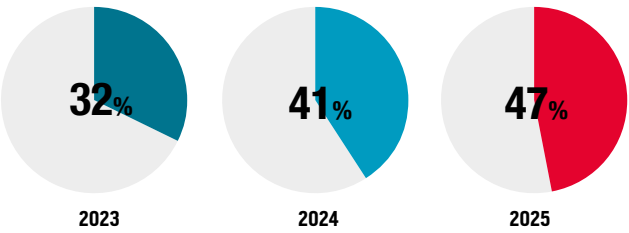
I Coordinatori Provinciali guidano la rete territoriale della Fondazione. Volontari esperti, formano le squadre locali, promuovono la raccolta fondi e sensibilizzano la comunità. Sono affiancati dai volontari di staff nelle attività continuative e dai volontari di Cuore durante le campagne nazionali.

IL PROFILO DEI COORDINATORI PROVINCIALI 2023 2024 2025

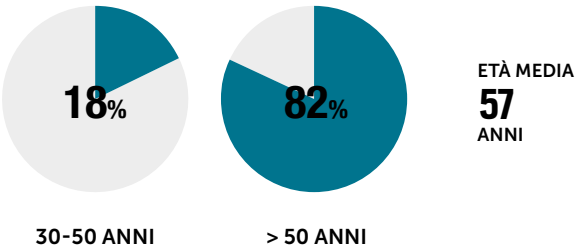
TOTALE COORDINATORI PROVINCIALI



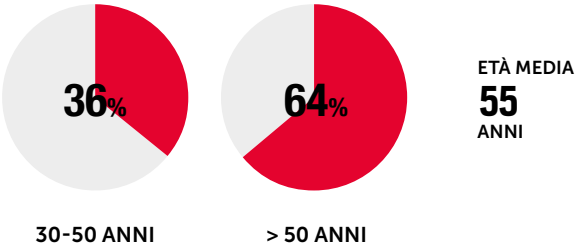
DI CUI DONNE



ETÀ MEDIA



TOTALE ORE DI VOLONTARIATO



VALORE DEI RIMBORSI EROGATI (€)



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

CAMPAGNE DI PIAZZA	IMPLEMENTAZIONE
DUE CAMPAGNE PRINCIPALI: PRIMAVERA E DICEMBRE DISTRIBUZIONE PRODOTTI SOLIDALI IN LUOGHI PUBBLICI E PRIVATI COINVOLGIMENTO DELLA RETE INFORMALE (FAMILIARI, AMICI, COLLEGHI)	MANIFESTAZIONI LOCALI: SENSIBILIZZAZIONE, SPORT, SPETTACOLI, BENEFICENZA DUE TIPOLOGIE DI EVENTI: - ORGANIZZATI PER FONDAZIONE TELETHON - EVENTI CHE DONANO UNA QUOTA O IL RICAVATO ALLA FONDAZIONE

REGIONI ITALIANE DOVE È PRESENTE IL COORDINAMENTO PROVINCIALE



SCOPRI I COORDINATORI PROVINCIALI

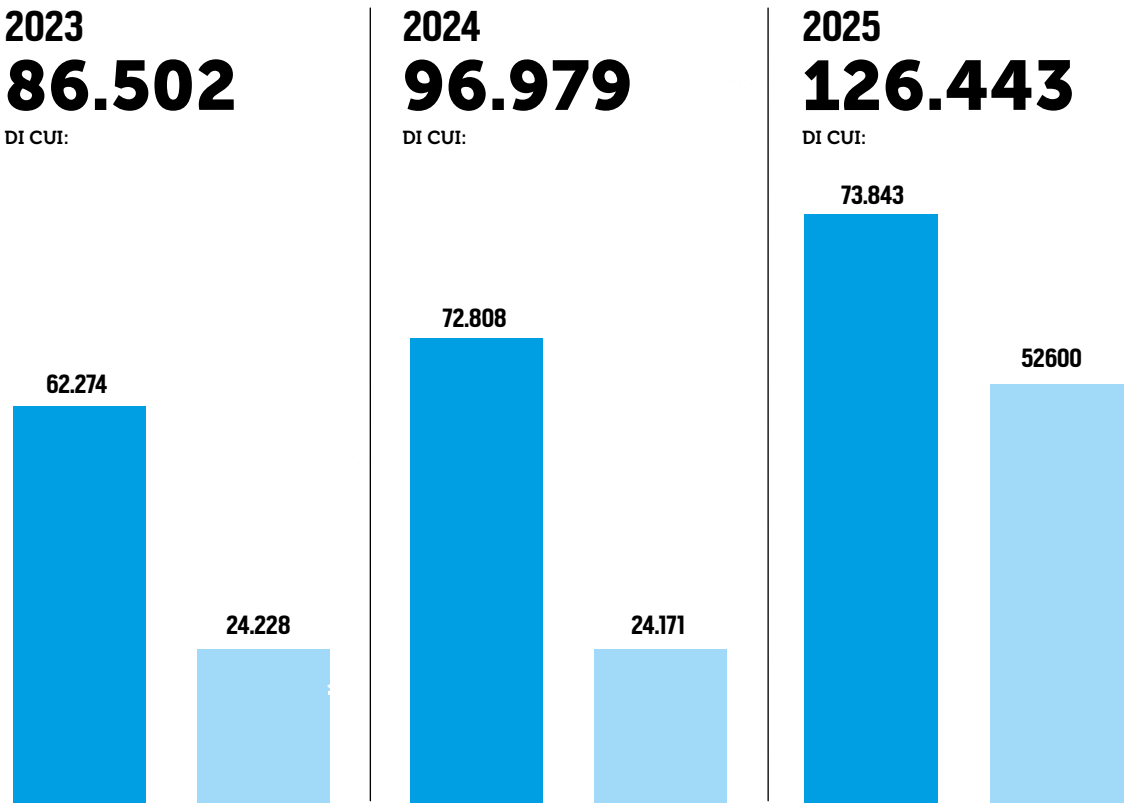


APPROFONDIMENTO CAPITOLO 4

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 2025
(IN MIGLIAIA EURO)



■ DA DONAZIONI RACCOLTA FONDI*

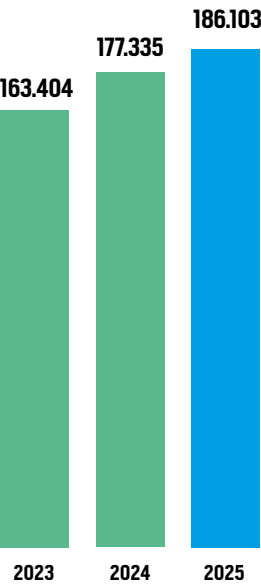
■ DA GRANT PUBBLICI E PRIVATI E PARTNERSHIP INDUSTRIALI E ATTIVITÀ FINANZIARIE E PATRIMONIALI

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

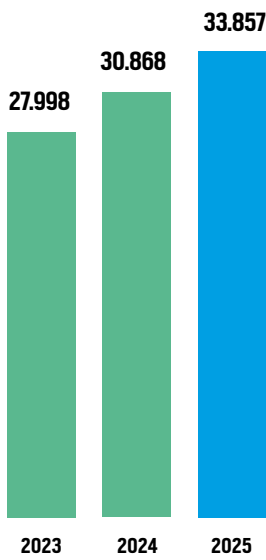
DONATORI REGOLARI

Sostengono la missione con il programma "Io adottato 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



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 Fondazione Telethon Magazine (dal 2026 sostituita da Il filo della ricerca) e le newsletter raccontano la ricerca, celebrano i momenti speciali e invitano a partecipare a nuove iniziative.

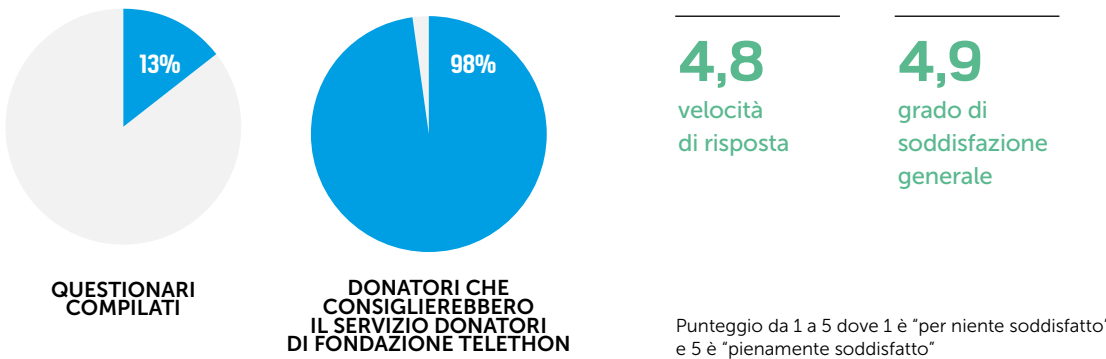
FONDAZIONE TELETHON MAGAZINE
LA RIVISTA CARTACEA TRIMESTRALE

NUMERO DI TELEFONO
06 44015418

INDIRIZZO EMAIL
SERVIZIODONATORI@FONDAZIONETELETHON.IT

NUMERO WHATSAPP
345 8771557

QUESTIONARIO PER VALUTARE VELOCITÀ DI RISPOSTA, EFFICACIA E SODDISFAZIONE GENERALE (2025)

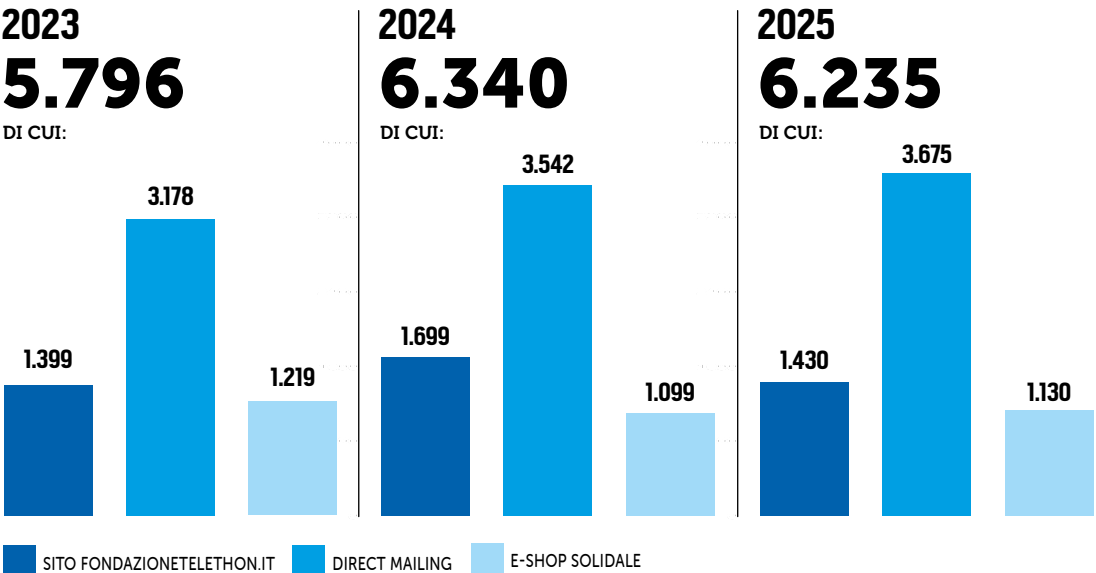




DONATORI OCCASIONALI

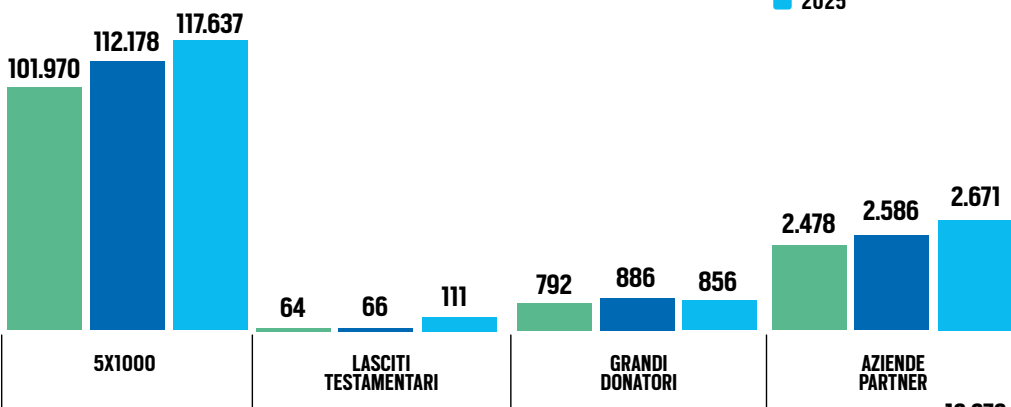
Dal 1990 Fondazione Telethon raccoglie donazioni occasionali da chi contribuisce alla sua missione in modo sporadico, soprattutto a fine anno durante la Maratona Rai.

ANDAMENTO DEL VALORE DELLE DONAZIONI OCCASIONALI
(IN MIGLIAIA EURO)

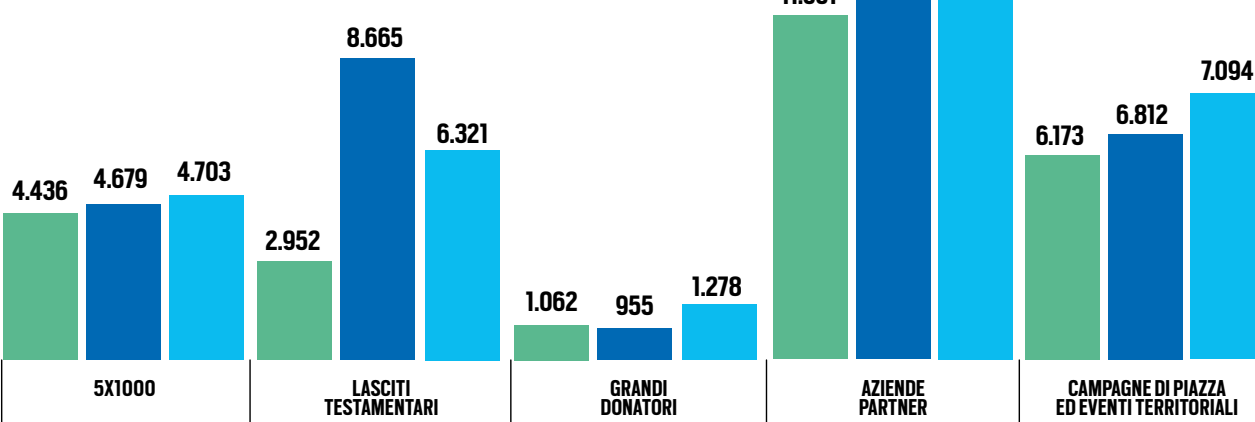


ANDAMENTO DELLE DONAZIONI DA ALTRI CANALI
(IN MIGLIAIA EURO)

NUMERO DONATORI



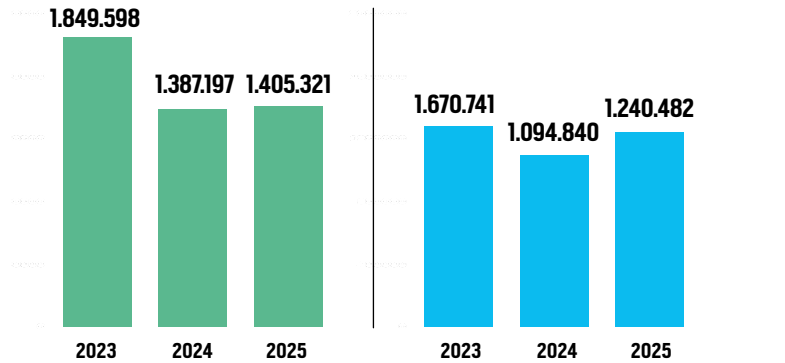
VALORE DONAZIONI (IN MIGLIAIA DI EURO)



COMUNICAZIONE E SENSIBILIZZAZIONE

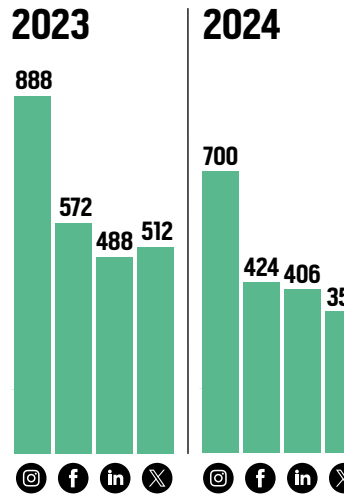
Comunicare significa gettare ponti, costruire legami: sfruttiamo ogni canale, soprattutto digitale, per illustrare la ricerca e i suoi risultati, sensibilizzare sulle malattie genetiche rare, coinvolgere sempre più persone perché facciano propria la nostra missione.

ANDAMENTO FONDAZIONETELETHON.IT

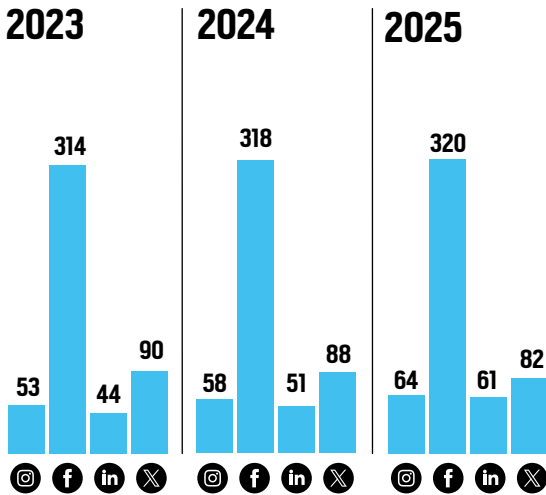


ANDAMENTO SOCIAL MEDIA

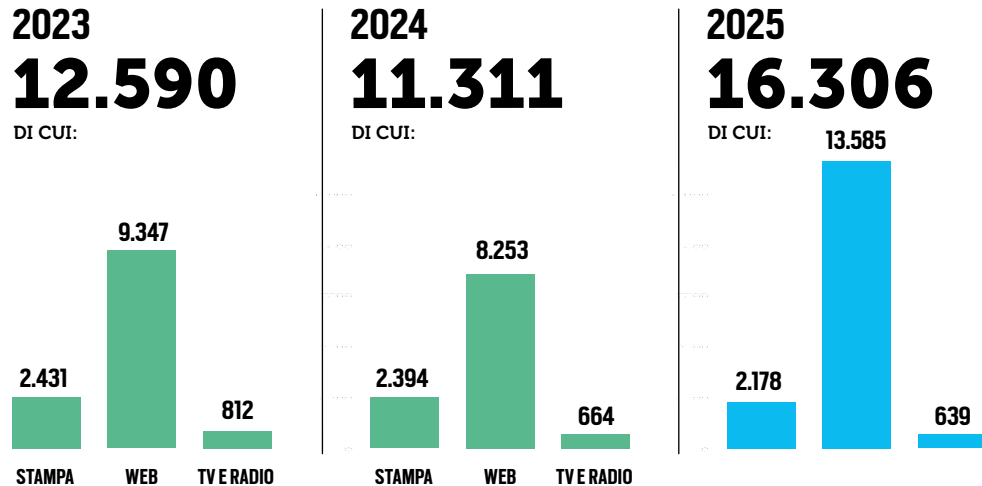
CONTENUTI PUBBLICATI



FAN/FOLLOWER



ESPOSIZIONE MEDIATICA





APPROFONDIMENTI CAPITOLO 5

Sintesi del rendiconto gestionale

€/1.000	2025	2024	VAR %
RICAVI, RENDITE E PROVENTI	126.443	96.979	30,4%
RICAVI, RENDITE E PROVENTI DA ATTIVITA' DI INTERESSE GENERALE	54.668	27.445	99%
1)Proventi da quote associative e apporti dei fondatori	-	-	-
4)Erogazioni liberali	874	496	76%
5)Proventi del 5 per mille	4.703	4.679	1%
6)Contributi da soggetti privati	5.046	4.563	11%
7)Ricavi per prestazioni e cessioni a terzi	25.683	9.624	167%
8)Contributi da enti pubblici	8.662	5.649	53%
9)Proventi da contratti con enti pubblici	-	-	-
10)Altri ricavi, rendite e proventi	1.054	947	11%
11)Rimanenze finali e acconti	8.645	1.488	481%
RICAVI, RENDITE E PROVENTI DA ATTIVITA' DIVERSE	532	328	62%
3)Ricavi per prestazioni e cessioni a terzi	532	328	62%
RICAVI, RENDITE E PROVENTI DA ATTIVITA' DI RACCOLTA FONDI	67.769	67.384	0,6%
1)Proventi da raccolta fondi abituali	41.368	38.166	8%
2)Proventi da raccolte fondi occasionali	20.081	20.726	-3%
3)Altri proventi	6.321	8.492	-26%
RICAVI, RENDITE E PROVENTI DA ATTIVITA' FINANZIARIE E PATRIMONIALI	1.651	1.822	-9%
1)Da rapporti bancari	155	438	-65%
2)Da altri investimenti finanziari	-	-	-
3)Da patrimonio edilizio	52	2	3338%
4)Da altri beni patrimoniali	1.444	1.382	4%
5)Altri proventi	-	-	-
PROVENTI DI SUPPORTO GENERALE	1.822	-	-
2)Altri proventi di supporto generale	1.822	-	-
€/1.000	2025	2024	VAR %
COSTI E ONERI	128.577	94.390	36,2%
COSTI E ONERI DA ATTIVITA' DI INTERESSE GENERALE	84.845	62.512	35,7%
1)Materie prime, sussidiarie, di consumo e di merci	10.184	7.892	29%
2)Servizi	32.471	21.353	52%
3)Godimento beni di terzi	1.057	1.186	-11%

€/1.000	2025	2024	VAR %
4)Personale	11.506	9.694	19%
5)Ammortamenti	1.953	1.347	45%
6)Accantonamenti per rischi ed oneri	-	-	-
7)Oneri diversi di gestione	2.374	677	251%
8)Rimanenze iniziali	1.488	1.491	0%
9)Accantonamento a riserva vincolata per decisione degli organi istituzionali	20.563	18.267	13%
10)Utilizzo riserva vincolata per decisione degli organi istituzionali	-6.150	-7.757	-21%
11) Altri oneri istituzionali e ufficio scientifico	9.399	8.362	12%
COSTI E ONERI DA ATTIVITA' DIVERSE	53	3	1590%
1)Materie prime	44	-	-
2)Servizi	8	3	144%
COSTI E ONERI DA ATTIVITA' DI RACCOLTA FONDI	29.962	27.103	11%
1)Oneri per raccolte fondi abituali	16.056	16.365	-2%
2)Oneri per raccolte fondi occasionali	10.992	8.660	27%
3)Altri oneri	2.915	2.078	40%
COSTI E ONERI DA ATTIVITA' FINANZIARIE E PATRIMONIALI	9.663	1.470	557%
1)Su rapporti bancari	319	275	16%
3)Da patrimonio edilizio	75	61	22%
4)Da altri beni patrimoniali	9.269	1.134	717%
5)Accantonamenti per rischi e oneri	-	-	-
6)Altri oneri	-	0	-100%
COSTI E ONERI DI SUPPORTO GENERALE	3.289	2.981	10,3%
1) Materie prime, sussidiarie, di consumo e di merci	11	13	-15%
2) Servizi	1.098	846	30%
3) Godimento di beni di terzi	92	91	1%
4) Personale	1.631	1.585	3%
5) Ammortamenti	414	119	247%
6) Accantonamenti per rischi e oneri	-	258	-100%
7) Altri oneri	44	69	-36%
8) Utilizzo fondi per rischi e oneri	-	-	-
IMPOSTE	764	320	139%
AVANZO/(DISAVANZO) DELL'ESERCIZIO	-2.134	2.589	-182%

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 avanzi e dei disavanzi 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	2025	2024	VAR%
Attività di interesse generale	-30.177	-35.067	-14%
Attività diverse	480	325	48%
Attività di raccolta fondi	37.807	40.281	-6%
Attività finanziarie e patrimoniali	-8.013	351	-2381%
Attività di supporto generale	-1.467	-2.981	-51%

RIPARTIZIONE DEI PROVENTI PER GESTIONE

Attività di interesse generale	43.2%
Attività diverse	0,4%
Raccolta fondi	53.6%
Attività finanziarie e patrimoniali	1,3%
Supporto generale	1.4%

RIPARTIZIONE DEGLI ONERI PER GESTIONE

Attività di interesse generale	66,4%
Attività diverse	0%
Raccolta fondi	23,3%
Attività finanziarie e patrimoniali	7,5%
Supporto generale	2,6%

SUDDIVISIONE PROVENTI RF*

	2025	2024
Persone Fisiche Regolari	33.857	30.868
Persone Fisiche Occasionali	8.319	8.803
Persone Fisiche Eventi Territoriali	7.094	6.812
Persone Fisiche 5xMille	4.703	4.679
Persone Fisiche Lasciti	6.321	8.665
Persone Fisiche Grandi Donatori	1.278	955
Aziende	12.272	12.027
TOT RACCOLTA FONDI	73.843	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	2025	2024	VAR € 2025/2024	VAR % 2025/2024
VALORE ECONOMICO GENERATO	126.443	96.979	29.463	30%
Proventi da raccolta fondi (contributi, progetti, eventi)	67.769	67.384	385	1%
Proventi da attività istituzionali	54.668	27.445	27.223	99%
Altri proventi	2.354	328	2.026	617%
Proventi finanziari	1.651	1.822	-171	-9%
VALORE ECONOMICO DISTRIBUITO	111.551	82.068	29.483	36%
Costi operativi attività istituzionale	52.989	37.418	15.571	42%
Costi operativi raccolta fondi e supporto	36.911	26.270	10.641	41%
Retribuzioni, benefit e sviluppo attività istituzionale	15.394	13.037	2.357	18%
Retribuzioni, benefit e sviluppo raccolta fondi e supporto	5.493	5.023	470	9%
Fornitori di capitale	-	-	-	n.d.
Pagamenti alla Pubblica Amministrazione (non include IVA)	764	320	444	139%

€/1.000	2025	2024	VAR € 2025/2024	VAR % 2025/2024
VALORE ECONOMICO TRATTENUTO (Calcolato come differenza tra generato e distribuito)	14.892	14.911	-19	0%
Ammortamenti e svalutazioni	2.613	1.812	801	44%
Accantonamenti e utilizzo fondi attività istituzionale	14.413	10.510	3.903	37%
Risultato dell'esercizio	-2.134	2.589	-4.723	-182%

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 2024 (+30%). Vi hanno contribuito, la maggiore valorizzazione del patrimonio finanziario, la capacità di attrarre risorse esterne (vedi Pnrr) grazie alla qualità della ricerca effettuata, l'accordo transattivo con Orchard per il farmaco Libmeldy ed i maggiori ricavi derivanti dalle 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 36%, determinato soprattutto dalla crescita dell'attività di carattere scientifico (+60%)

e dall'attività di comunicazione e raccolta fondi condotta per il sostegno e supporto alla ricerca (+50%). 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 15 milioni di euro, il 74% del costo del personale totale. La quota restante riguarda le retribuzioni del personale impiegato nella raccolta fondi (17%) 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 12% del valore generato, a fronte del 88% 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

	2025	2024
Valore distribuito	88%	85%
Valore trattenuto	12%	15%

RIPARTIZIONE DEL VALORE GENERATO

	2025	2024
Fornitori - Attività Istituzionale	41,9%	38,6%
Fornitori - Raccolta Fondi e Supporto	29,2%	27,1%
Sviluppo strategico - Attività Istituzionali e Risultato d'esercizio	11,8%	15,4%
Personale e Collaboratori - Attività Istituzionale	12,2%	13,4%
Personale e Collaboratori - Raccolta Fondi e Supporto	4,3%	5,2%
Pubblica Amministrazione	0,6%	0,3%
Istituzioni Finanziarie	0,0%	0,0%

Oltre il 71% del valore generato è distribuito ai Fornitori. Il 12% viene trattenuto per finalità strategiche. Il 16% è distribuito al Personale ed una parte residuale è destinato alla Pubblica Amministrazione. In coerenza con la missione, la maggior parte del valore distribui-

to (pari circa al 66%) è stato destinato alla remunerazione dei fornitori e del personale afferenti alle attività istituzionali nonché al sostegno dello sviluppo strategico delle attività di missione.



DELIBERE BANDO MULTIROUND (2025)

RICERCATORE	TITOLO DEL PROGETTO	ISTITUTO	CITTÀ	TOTALE ASSEGNATO EURO
Andrea Becchetti	Epilessia ipermotoria correlata al sonno: nuove strategie farmacologiche per modulare l'epilettogenesi e le crisi nel neocorteccia che esprime subunità nicotiniche β 2-V287L	Dipartimento di Biotecnologie e Bioscienze Università di Milano Bicocca	Milano	147.950
Cristiano Bolchi	Epilessia ipermotoria correlata al sonno: nuove strategie farmacologiche per modulare l'epilettogenesi e le crisi nel neocorteccia che esprime subunità nicotiniche β 2-V287L	Dipartimento di Scienze Farmaceutiche Università degli Studi di Milano	Milano	89.650
Stefano Ricagno	Coinvolgimento epatico nell'amiloidosi ereditaria da lisozima (ALys): analisi dei meccanismi molecolari della malattia (studio LIALA)	Dipartimento di Bioscienze Università degli Studi di Milano	Milano	149.600
Mario Nuvolone	Coinvolgimento epatico nell'amiloidosi ereditaria da lisozima (ALys): analisi dei meccanismi molecolari della malattia (studio LIALA)	Policlinico San Matteo Fondazione - IRCCS	Pavia	89.950
Paola Gavazzo	Riposizionamento di un pannello di bloccanti della corrente sodica tardiva per il trattamento farmacologico dell'emicrania emiplegica familiare tipo 3: uno studio ex vivo a doppio approccio	Istituto di Biofisica Consiglio Nazionale delle Ricerche - CNR	Genova	196.000
Bernadette Basilico	Stratificazione delle mutazioni di SYNGAP1 per sviluppare strategie terapeutiche mirate specifiche per il paziente	Dipartimento di Fisiologia e Farmacologia Università di Roma la Sapienza	Roma	239.610
Serena Carra	Studio del ruolo di HSPB3 nel rimodellamento della cromatina per il mantenimento della giunzione neuromuscolare: implicazioni per le neuropatie motorie periferiche	Dipartimento di Scienze Biomediche, Metaboliche e Neuroscienze Università degli Studi di Modena e Reggio Emilia	Modena	180.000
Alessandro Rosa	Studio del ruolo di HSPB3 nel rimodellamento della cromatina per il mantenimento della giunzione neuromuscolare: implicazioni per le neuropatie motorie periferiche	Dipartimento di Biologia e Biotecnologie Università di Roma la Sapienza	Roma	60.000
Carla Perego	Agonisti del recettore GLP-1 come opportunità terapeutica nella malattia di Parkinson	Dipartimento Scienze Farmacologiche e Biomolecolari Università degli Studi di Milano	Milano	79.970
Giovanni Piccoli	Agonisti del recettore GLP-1 come opportunità terapeutica nella malattia di Parkinson	Centro Interdipartimentale per la Biologia Integrata Università di Trento	Povo (Tn)	79.860

RICERCATORE	TITOLO DEL PROGETTO	ISTITUTO	CITTÀ	TOTALE ASSEGNATO EURO
Antonio Baldini	Decifrare e sfruttare la logica regolatoria dell'espressione del gene Tbx1	Istituto di Genetica e Biofisica Adriano Buzzati Traverso IGB Consiglio Nazionale delle Ricerche - CNR	Napoli	160.000
Laura Silvestri	Targeting della via epatica BMP-SMAD nella carenza del recettore della leptina (LEPRD): una nuova strategia per il trattamento dell'obesità pediatrica grave	Università Vita Salute San Raffaele	Milano	200.000
Flavia Prodam	Targeting della via epatica BMP-SMAD nella carenza del recettore della leptina (LEPRD): una nuova strategia per il trattamento dell'obesità pediatrica grave	Dipartimento di Scienze della Salute Università del Piemonte Orientale "A. Avogadro"	Novara	39.996
Gianfranco Bocchiunfuso	Terapia personalizzata e mirata per le RASopatie tramite inibizione delle interazioni proteina-proteina della fosfatasi SHP2	Dipartimento di Scienze e Tecnologie Chimiche Università di Roma Tor Vergata	Roma	150.363
Simona Rossi	Chiarire il ruolo dei fattori di splicing NOVA nella neurodegenerazione cerebellare associata all'atassia spinocerebellare di tipo 37	Istituto di Farmacologia Traslazionale (IFT) Consiglio Nazionale delle Ricerche - CNR	Roma	180.000
Nadia D'Ambrosi	Chiarire il ruolo dei fattori di splicing NOVA nella neurodegenerazione cerebellare associata all'atassia spinocerebellare di tipo 37	Dipartimento di Biologia Università di Roma Tor Vergata	Roma	60.000
Maria Rosaria Matarazzo	Modelli di cellule staminali corretti geneticamente per invertire i fenotipi immunitari nella sindrome ICF, una rara immunodeficienza congenita	Istituto di genetica e biofisica "Adriano Buzzati Traverso" (IGB) Consiglio Nazionale delle Ricerche - CNR	Napoli	160.000
Laura Baroncelli	Sviluppo di terapie geniche di nuova generazione per migliorare la qualità della vita nella carenza del trasportatore della creatina	Fondazione Stella Maris - IRCCS	Calambrone (Pi)	239.250
Alessandro Gozzi	Sviluppo di terapie geniche di nuova generazione per migliorare la qualità della vita nella carenza del trasportatore della creatina	Istituto Italiano di Tecnologia (IIT)	Rovereto	119.900
Graziella Messina	Potenziare il trattamento della distrofia muscolare: esplorazione del potenziale di un composto identificato per colpire il fattore nucleare 1 X	Università degli Studi di Milano	Milano	304.240
Anna Urciuolo	Potenziare il trattamento della distrofia muscolare: esplorazione del potenziale di un composto identificato per colpire il fattore nucleare 1 X	Dipartimento di Medicina Molecolare Università di Padova	Padova	54.000
Ester Zito	Targeting dello stress del reticolo endoplasmatico nella miopatia correlata a SEPN1 tramite chaperoni molecolari	Istituto di Ricerche Farmacologiche Mario Negri - IRCCS	Milano	210.000



< segue

RICERCATORE	TITOLO DEL PROGETTO	ISTITUTO	CITTÀ	TOTALE ASSEGNATO EURO
Bert Blaauw	Targeting dello stress del reticolo endoplasmatico nella miopatia correlata a SEP11 tramite chaperoni molecolari	Università di Padova	Padova	150.000
Lucia De Franceschi	Un nuovo approccio terapeutico che mira ai meccanismi pro-risolutivi nella cardiomiopatia della malattia falciforme	Dipartimento di Ingegneria per la Medicina di Innovazione (DIMI) Università di Verona	Verona	356.000
Roberta Sacchetto	Ripristino di SERCA1 con correttori CFTR: modello innovativo in zebrafish per la terapia della miopatia di Brody (RESTORE)	Dipartimento di Biomedicina Comparata e Alimentazione Università di Padova	Padova	297.440
Claudia Bagni	Nanoparticelle biodegradabili mirate al cervello per una terapia innovativa della sindrome dell’X fragile	Dipartimento di Biomedicina e Prevenzione Università di Roma Tor Vergata	Roma	254.400
Alessandro Bertucci	Nanoparticelle biodegradabili mirate al cervello per una terapia innovativa della sindrome dell’X fragile	Dipartimento di Scienze Chimiche, della Vita e della Sostenibilità Ambientale Università di Parma	Parma	105.600
Enrica Boda	Terapia basata su cellule progenitrici degli oligodendrociti in un modello preclinico di microcefalia primaria autosomica recessiva 17 (MCPH17): ottimizzazione e meccanismi	Istituto di Neuroscienze Cavalieri Ottolenghi	Orbassano (To)	163.900
Marco Cambiaghi	Terapia basata su cellule progenitrici degli oligodendrociti in un modello preclinico di microcefalia primaria autosomica recessiva 17 (MCPH17): ottimizzazione e meccanismi	Dipartimento di Neuroscienze, Biomedicina e Movimento Università di Verona	Verona	64.900
Ferdinando Fiumara	Terapie molecolari basate sull’interferenza della separazione di fase liquido-liquido (LLPS) per la sindrome NEDAMSS	Dipartimento di Neuroscienze “Rita Levi-Montalcini” Università di Torino	Torino	240.000
TOTALE BANDO MULTIROUND				4.822.579

BANDO CARIPLO (2025)

RICERCATORE	TITOLO DEL PROGETTO	ISTITUTO	CITTÀ	TOTALE ASSEGNATO EURO
Vania Broccoli	Svelare i meccanismi di PRR12 nella sindrome neuro-oculare: un approccio multi-modello e prospettive terapeutiche	Istituto di Neuroscienze Consiglio Nazionale delle Ricerche - CNR	Vedano al Lambro (MB)	150.000
Massimiliano Andreazzoli	Svelare i meccanismi di PRR12 nella sindrome neuro-oculare: un approccio multi-modello e prospettive terapeutiche	Dipartimento di Biologia Università di Pisa	Pisa	99.000
Riccardo Percudani	Far luce sui target dei geni “dark” attraverso la coevoluzione	Dipartimento di Scienze Chimiche, della Vita e della Sostenibilità Ambientale Università di Parma	Parma	148.900
Francesco Sansone	Far luce sui target dei geni “dark” attraverso la coevoluzione	Dipartimento di Scienze Chimiche, della Vita e della Sostenibilità Ambientale Università di Parma	Parma	69.100
Daniela Alfano	Approfondimenti molecolari sul ruolo del gene Ripply3 nella sindrome di DiGeorge e nei disturbi correlati	Istituto di genetica e biofisica “Adriano Buzzati Traverso” (IGB) Consiglio Nazionale delle Ricerche - CNR	Roma	150.000
Paola Luisa Cattaneo	Approfondimenti molecolari sul ruolo del gene Ripply3 nella sindrome di DiGeorge e nei disturbi correlati	Dipartimento di Scienze Farmacologiche e Biomolecolari Università di Milano	Milano	100.000
Valerio Conti	Caratterizzazione di TMEM63B: un nuovo gene che codifica per un canale ionico meccanosensibile, le cui mutazioni causano encefalopatia dello sviluppo ed epilettica con anomalie della sostanza bianca	Azienda Ospedaliera Universitaria Meyer IRCCS Università di Firenze	Firenze	129.800
Pasquale Bianco	Caratterizzazione di TMEM63B: un nuovo gene che codifica per un canale ionico meccanosensibile, le cui mutazioni causano encefalopatia dello sviluppo ed epilettica con anomalie della sostanza bianca	Dipartimento di Biologia Università di Firenze	Sesto Fiorentino (FI)	119.570
Francesco Ferrari	Studio dell’impatto della rete TDark associata alla lamina sulla disfunzione dell’architettura della cromatina nella distrofia muscolare di Emery-Dreifuss	Istituto di Genetica Molecolare Consiglio Nazionale delle Ricerche - CNR	Pavia	124.960
Chiara Lanzuolo	Studio dell’impatto della rete TDark associata alla lamina sulla disfunzione dell’architettura della cromatina nella distrofia muscolare di Emery-Dreifuss	Fondazione Istituto Nazionale di Genetica Molecolare (INGM)	Milano	125.000
Graziano Martello	Caratterizzazione molecolare del gene “dark” Fbxo34 come soppressore della tossicità della Huntingtina mutata	Dipartimento di Biologia Università di Padova	Padova	210.000

segue >



< segue

RICERCATORE	TITOLO DEL PROGETTO	ISTITUTO	CITTÀ	TOTALE ASSEGNATO EURO
Vittorio Maglione	Caratterizzazione molecolare del gene "dark" Fbxo34 come soppressore della tossicità della Huntingtina mutata	Fondazione Neuromed	Pozzilli (IS)	40.000
Luca Murru	Analisi del ruolo di TT12 nel contesto del disturbo dello sviluppo intellettivo autosomico recessivo	Istituto di Neuroscienze Consiglio Nazionale delle Ricerche - CNR	Vedano al Lambro (MB)	49.980
Pietro Cacialli	Caratterizzazione molecolare e funzionale in vivo della proteina 2 interagente con Telo2 (TT12) durante lo sviluppo embrionale dello zebrafish	Dipartimento di Biologia Università di Bologna	Bologna	48.800
Elisa Lazzari	Studio del ruolo di RSPRY1 nell'osteogenesi per chiarire i meccanismi patogenetici della displasia spondilo-epimetafisaria, tipo Faden-Alkuraya	Dipartimento di Scienze della Vita Università di Trieste	Trieste	49.980
Brigida Boccanegra	STRIDE-DMD - Studio del ruolo di STK11IP nell'innescò della fibrosi e del disaccoppiamento mecano-metabolico nella distrofia muscolare di Duchenne	Dipartimento di Farmacia - Scienze del Farmaco Università di Bari	Bari	50.000
Claudia Bagni	Attori nascosti nei deficit sensoriali: recettori olfattivi "dark" nella sindrome dell'X fragile	Dipartimento di Biomedicina e prevenzione Università di Roma Tor Vergata	Roma	49.350
Stefano Lutz	Ruolo di VPS37D nelle alterazioni neuronali morfologiche e funzionali nella sindrome di Williams-Beuren	Ospedale Policlinico San Martino - IRCCS	Genova	47.205
TOTALE BANDO CARIPLO				1.761.645

SEED GRANT (2025)

RICERCATORE	TITOLO DEL PROGETTO	ISTITUTO	CITTÀ	TOTALE ASSEGNATO EURO
Marianna Caterino	Analisi multi-omica dell'equilibrio mitocondriale, autofagico e lisosomiale nell'acidemia metilmalonica cblC (MAMBA)	Università di Napoli Federico II	Napoli	50.000
Alessio Cantore	Verso una terapia genica in vivo per l'acidemia metilmalonica con omocistinuria	Università Vita Salute San Raffaele	Milano	49.980
Laura Cancedda	Tecnologia iPSC umana per indagare i meccanismi alla base e i potenziali target terapeutici della disabilità intellettiva legata all'X non sindromica dovuta a mutazioni del gene NEXMIF	Istituto Italiano di Tecnologia (Iit)	Genova	49.996
Alessandro Fantin	Un approccio microfluidico per rivalutare le strategie terapeutiche nella sindrome di Ehlers-Danlos vascolare da una prospettiva endoteliale – prova di concetto	Università degli Studi di Milano Statale	Milano	50.000
Marco Castori	Riposizionamento di farmaci nella sindrome di Ehlers-Danlos vascolare utilizzando firme multi-omiche in fibroblasti umani	IRCCS Casa Sollievo della Sofferenza - Opera Padre Pio	San Giovanni Rotondo (FG)	49.875
Roberta Roberti	Espressione dei miRNA e composizione del microbiota intestinale come potenziali biomarcatori per la sindrome di Dravet	Università di Catanzaro Magna Graecia	Catanzaro	31.500
Gaia Colasante	Analisi dell'interazione funzionale tra i geni Scn1a e Scn3a in una prospettiva terapeutica per la sindrome di Dravet	Università Vita Salute San Raffaele	Milano	50.000
Alessandro Arcovito	Ingegnerizzazione di nanocarrier per il trattamento della sindrome di Allan-Herndon-Dudley: superare il deficit di trasporto MCT8	Università Cattolica del Sacro Cuore	Roma	47.250
Emanuela Bottani	Stimolazione farmacologica del metabolismo mitocondriale come approccio terapeutico in un modello murino di AHDS	Università di Verona	Verona	49.980
Marcella Zollino	Analisi omiche combinate con valutazione del neurosviluppo in pazienti con sindrome di Pitt-Hopkins per identificare indicatori di efficacia di nuove terapie	Università Cattolica del Sacro Cuore	Roma	100.000
Michela Ori	Meglio insieme: un approccio multi-modello per la sindrome di Pitt-Hopkins	Università di Pisa	Pisa	49.350
Matthias Carl	Meglio insieme: un approccio multi-modello per la sindrome di Pitt-Hopkins	Università di Trento	Povo (TN)	15.650

segue >



< segue

RICERCATORE	TITOLO DEL PROGETTO	ISTITUTO	CITTÀ	TOTALE ASSEGNATO EURO
Dario Balestra	Valutazione preclinica del potenziale terapeutico del Prime Editing nel modello murino della sindrome di Rett portatore della frequente mutazione MECP2 p.R168X	Università di Ferrara	Ferrara	50.000
Emanuela Bottani	Studio del potenziale terapeutico della supplementazione di acido UDP-glucuronico in organoidi cerebrali murini che modellano la sindrome di Jamuar	Dipartimento di Diagnostica e Salute Pubblica Università di Verona	Verona	49.875
Daniele Canarutto	Integrazione mirata di grandi cassette geniche in alleli essenziali con controselezione spontanea degli esiti NHEJ (CLEAN) per il trattamento della malattia di Anderson-Fabry	Fondazione Centro San Raffaele	Milano	49.875
Irene Salamon	Analisi trascrittomica spazialmente risolta dell'architettura cardiaca nella malattia di Anderson-Fabry: identificazione di nuovi meccanismi patogenetici	IRCCS Azienda Ospedaliero - Universitaria di Bologna	Bologna	50.000
Fabio Falleroni	Regolazione meccanosensibile dello switch GABAergico nella sindrome di Jamuar	Ospedale Policlinico San Martino - IRCCS	Genova	49.500
Laura Piccardi	Studio del profilo neuropsicologico della sindrome di Sturge-Weber per lo sviluppo di interventi riabilitativi personalizzati	Dipartimento di Psicologia Università di Roma La Sapienza	Roma	49.300
Eugenio Fornasiero	Analisi e correzione delle alterazioni nella nanoarchitettura sinaptica nella sindrome associata a SATB2	Dipartimento Scienze della vita Università di Trieste	Trieste	49.875
Anna Letizia Allegra Mascaro	Prevenire le regressioni nella sindrome di Phelan-McDermid tramite neuromodulazione non invasiva	Consiglio Nazionale delle Ricerche - CNR	Pisa	49.875
Luca Colnaghi	Un nuovo minigene SHANK3 per approcci di terapia genica	Università Vita Salute San Raffaele	Milano	49.875
Elvira De Leonibus	Nuovi meccanismi della neurodegenerazione nella sindrome di Sanfilippo	Telethon Institute Of Genetics And Medicine (Tigem)	Pozzuoli (NA)	49.980
TOTALE SEED GRANT				1.091.736



Allegati

07

INDICE ANALITICO
DI SEZIONE

7.1 | Indice dei contenuti 136
7.2 | Tabella corrispondenze 140
**7.3 | Relazione dell’Organo
di Controllo 142**
Come sostenere la Fondazione 144



Global Reporting Initiative

DICHIARAZIONE D'USO	Fondazione Telethon ETS ha rendicontato le informazioni citate in questo indice dei contenuti GRI per il periodo dal 1/1/2025 al 31/12/2025 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, 3.4 + Approf. cap. 3
2-8	Collaboratori e altre figure professionali	Par. 3.1, 3.4 + 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 2025 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, Approf. Cap. 3
2-25	Processo per rimediare agli impatti negativi	Par. 3.3 + Approf. cap. 1, Approf. Cap. 3
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. 2.1
Coinvolgimento degli stakeholder		
2-29	Approccio allo stakeholder engagement	Par. 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 + Par. 2.1 + 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	Par. 3.1 + 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 2025 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 + Cap 1, + Approf. cap. 1, approf. cap. 3
405-2	Rapporto dello stipendio base e retribuzione delle donne rispetto agli uomini	
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.

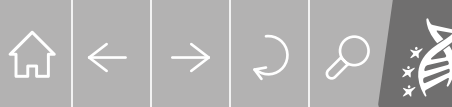


Tabella corrispondenze

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
	Anagrafica, forma giuridica	Par. 1.3 + Approf. cap.1
Informazioni generali sull’ente	Sedi e aree territoriali di operatività	Par. 1.3
	Valori e finalità perseguite	Par. 1.1
	Attività statutarie e altre attività	Cap. 2
	Collegamenti con altri Enti	Cap. 2
	Contesto di riferimento	Par. 1.2
Struttura, governo e amministrazione	Sistema di governo e controllo, articolazione, responsabilità e composizione degli organi	Par. 1.3 + Approf. cap.1
	Aspetti relativi alla democraticità interna e alla partecipazione	Par. 1.4 + Approf. cap.1
	Mappatura dei principali stakeholder e modalità di coinvolgimento	Approf. cap.1
Persone che operano per l’ente	Tipologie, consistenza e composizione del personale	Par 3.1, 3.4 + Approf. cap.3
	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 + Par.4.1
	Struttura dei compensi, delle retribuzioni e delle indennità di carica e modalità e importi dei rimborsi ai volontari	Par.3.5 + Approf. cap.3
	Rapporto tra retribuzione annua lorda massima e minima dei lavoratori dipendenti dell’Ente	Par.3.1

AMBITI	INDICATORI	CORRISPONDENZA
Obiettivi e attività	Informazioni qualitative e quantitative sulle azioni realizzate nelle diverse aree di attività	Par.1.3+ 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. 2.1, 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	Approf. cap 1
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

Relazione dell'Organo di Controllo

RELAZIONE DELL'ORGANO DI CONTROLLO Bilancio sociale al 31.12.2025 - 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, d.lgs. n.117/2017 (d'ora in avanti Codice del Terzo Settore), abbiamo svolto nel corso dell'esercizio 2025 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, Codice del Terzo Settore 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.

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 2025 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 2025 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 risulti 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, attualmente applicabili. 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 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, 9 giugno 2026

L'organo di controllo

MARIELLA TAGLIABUE



Come sostenere la Fondazione



PROGRAMMA

"IO ADOTTO IL FUTURO"

"Io adotto 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@fondazionetelethon.it** oppure chiamare lo **06 44015396** o scrivere a **cbrandi@fondazionetelethon.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

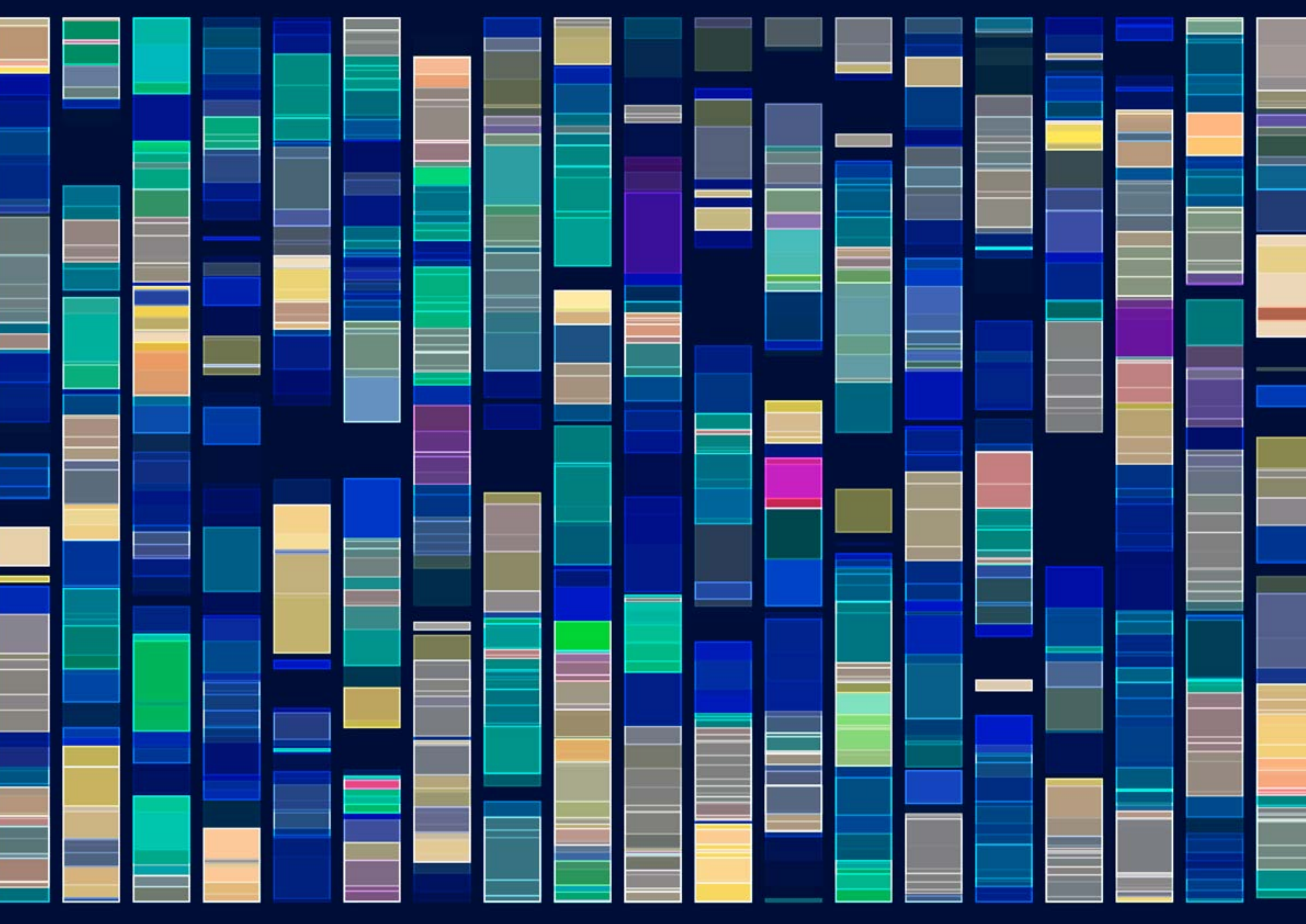
Per festeggiare il tuo compleanno ed ogni altra occasione speciale della vita condividendo con amici e familiari l'emozione di sostenere la ricerca sulle malattie genetiche. Per creare una Lista Regalo o saperne di più: **shop.fondazionetelethon.it/liste** o chiama il **02 44578581**

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.fondazionetelethon.it
info@fondazionetelethon.it

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

PROGETTO GRAFICO
Silvia Vollera