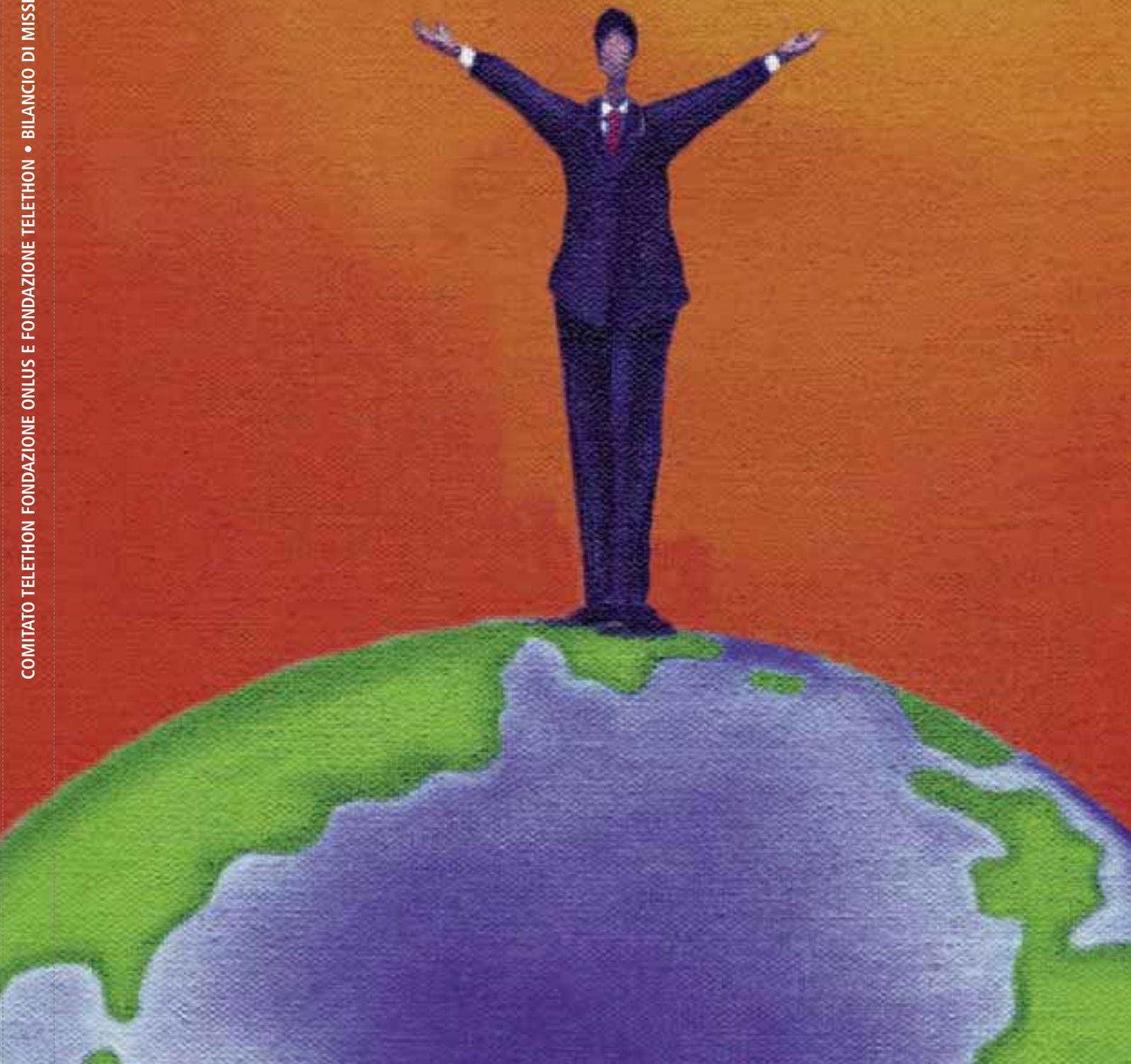


Comitato Telethon Fondazione ONLUS e
Fondazione Telethon



Bilancio di missione al 30 giugno **2007**

COMITATO TELETHON FONDAZIONE ONLUS E FONDAZIONE TELETHON • BILANCIO DI MISSIONE AL 30 GIUGNO 2007





Comitato Telethon Fondazione ONLUS e Fondazione Telethon

Bilancio di missione al 30 giugno **2007**

Comitato Telethon Fondazione ONLUS e Fondazione Telethon

IL CONSIGLIO DI AMMINISTRAZIONE

Susanna Agnelli | Presidente
Omero Toso | Vice Presidente
Boris Biancheri Chiappori
Carlo Ferdinando Carnacini
Staffan de Mistura
Salvatore Di Mauro
Pietro Spirito¹

LA COMMISSIONE MEDICO-SCIENTIFICA*

Renato Dulbecco | Presidente Onorario
Roderick McInnes | Presidente
Jacques Beckmann | Vice Presidente
Genevieve Almouzni
Francesco Bernardi
Paola Bovolenta
Michael Caplan
Marco Cassatella
Gino A. Cortopassi
Beverly Davidson
Peter Heutink
Ole Isacson
Petra Kaufmann
Dimitri M. Kullmann
James R. Lupski
Alexander E. MacKenzie
Giovanni Manfredi
Mark McCarthy
Frank McKeon
Elizabeth McNally
Istvan Mody
David Nelson
Terence Partridge
Vincenzo Pirrotta
Tullio Pozzan
Mani Ramaswami
Stephen Rich
Annie Ridley
Paolo Sassone-Corsi
Sangram S. Sisodia
Harel Weinstein
Alan Wright
Rolf Zeller

IL COLLEGIO DEI REVISORI

Guglielmo Carducci
Guglielmo Marengo
Massimo Pagani Guazzugli Bonaiuti

GLI ORGANI DI DIREZIONE

Pietro Spirito¹ | Direttore Generale
Niccolò Contucci | Direttore Raccolta Fondi
Angelo Maramai | Direttore Amministrativo e Finanziario
Francesca Pasinelli | Direttore Scientifico

LA SOCIETÀ DI REVISIONE

KPMG SpA

¹ Il 10 luglio 2007 Pietro Spirito è stato nominato Direttore Generale dal Consiglio di Amministrazione di Telethon. Il dott. Spirito, dopo essersi dimesso dal ruolo di consigliere, ha assunto formalmente la nuova carica a partire dal 1 settembre 2007

* «La Fondazione si avvale della Commissione Medico-Scientifica del Comitato Telethon Fondazione ONLUS, fintantoché la Fondazione stessa non delibera la nomina di una propria Commissione». (art. 9 dello Statuto della Fondazione Telethon)

PRONTI AD AFFRONTARE NUOVE RESPONSABILITÀ

di **Susanna Agnelli**, Presidente di Telethon

Carissimi lettori,

nel 2006-2007 si è svolta la diciassettesima edizione della Maratona Telethon.

Siamo quindi prossimi a raggiungere la maggiore età e - come tutti gli organismi adulti - pronti ad affrontare maggiori responsabilità. Ci siamo già incamminati nel percorso verso la cura e nel Piano Strategico della Ricerca - presentato lo scorso anno - abbiamo rafforzato l'orientamento delle nostre attività di finanziamento della ricerca soprattutto verso l'applicazione terapeutica a beneficio dei pazienti.

Si tratta di una strada irta di complessità, non solo per la necessità di investire maggiori risorse finanziarie (uno studio clinico richiede un investimento di gran lunga maggiore rispetto al finanziamento di una ricerca di base), ma anche per la difficoltà organizzativa e gestionale che richiede supportare la sperimentazione clinica.

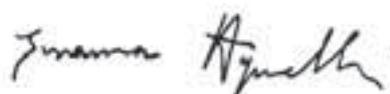
Siamo consapevoli della sfida ed orgogliosi del cammino percorso fin qui.

Solo grazie alla qualità della ricerca che abbiamo finanziato, è concreta la prospettiva di partire con protocolli clinici sulla leucodistrofia metacromatica, sulla talassemia e sulla emofilia già a partire dai prossimi anni. Cresce il livello dell'impegno e dobbiamo essere in grado di sostenere il relativo carico di responsabilità e di risorse. È per questa ragione che riteniamo necessario rafforzare il rapporto con gli italiani, indispensabili alleati per affrontare le prossime sfide.

Siamo nati come maratona televisiva e questa nostra caratteristica resterà certamente una solida base di riferimento. Per questa ragione stiamo lavorando a sottoscrivere un protocollo di intesa triennale con la RAI che ci offra la possibilità di pianificare nel medio periodo la nostra iniziativa più rilevante di comunicazione pubblica e di raccolta fondi. Allo stesso tempo, però, intendiamo proporci alla società civile evidenziando, in altri momenti dell'anno e con forme di comunicazione più idonee, i risultati della ricerca che si sono raggiunti e gli impegni che dovremo affrontare negli anni futuri.

A partire dal 2008, proporremo la pubblicazione di un Rapporto annuale sulla ricerca biomedica in Italia sia per fare partecipi i tanti italiani, che con generosità donano a Telethon, dei risultati conseguiti grazie alla loro solidarietà sia per allargare la platea di alleati a sostegno dei nostri studi clinici.

Sono convinta che la serietà del nostro lavoro e la determinazione a rendere disponibili le cure ai pazienti, saranno il motore che ci potrà condurre a far progredire il lavoro di Telethon anche negli anni a venire.

A handwritten signature in black ink, appearing to read "Susanna Agnelli".

INTRODUZIONE AL BILANCIO DI MISSIONE

Il presente bilancio è organizzato in sei sezioni:

- **la prima, "Telethon in pillole"** fotografa sinteticamente l'universo della ricerca finanziata mettendo in evidenza i soggetti coinvolti, il valore dei finanziamenti erogati dal 1991 e la qualità della ricerca finanziata. In questo ambito vengono anche presentati i principali indicatori di performance gestionale degli ultimi 5 anni;
- **la seconda sezione - "Che cos'è Telethon"** - descrive il contesto organizzativo, con particolare riferimento alla missione, alla struttura di governo e alle attività di Telethon;
- **la terza sezione - "Le attività istituzionali"** - si sofferma sui criteri di valutazione, finanziamento e gestione della ricerca e sui risultati scientifici raggiunti;
- **la quarta sezione - "Le attività di supporto"** - è dedicata alle attività che danno un importante contributo alla vita di Telethon: la raccolta dei fondi che assicura la continuità della ricerca, la comunicazione sociale che permette di sensibilizzare e informare la società civile sulle malattie genetiche, la gestione delle risorse umane e finanziarie necessarie alla vita dell'ente e il funzionamento della struttura in cui rientra l'impegno amministrativo ed organizzativo di Telethon;
- **la quinta sezione - "I prospetti"** - contiene le principali tabelle contabili del Comitato e della Fondazione per rendicontare i risultati economico-finanziari e consentire un confronto con i numeri indicati all'interno della relazione;
- **la sesta e ultima sezione - "Le delibere alla ricerca"** - presenta l'elenco completo di tutte le delibere di finanziamento alla ricerca nel periodo 1 luglio 2006 - 30 giugno 2007.

LEGENDA



> visita il sito



> approfondimento



> vai a pagina



> aggiornamenti



> richiamo alla missione

Sommario

parte 1

TELETHON IN PILLOLE

- 8 L'universo della ricerca Telethon
- 9 I soggetti finanziati
- 12 Gli indicatori di performance organizzativa
- 13 La qualità e l'efficacia dei finanziamenti
- 15 L'efficienza gestionale (2002-2007)
- 18 Le date principali di Telethon

parte 2

CHE COS'È TELETHON

- 23 La missione
- 24 Gli *stakeholder*
- 25 Il Comitato e la Fondazione
- 26 Il modello organizzativo
- 28 Le attività

parte 3

LE ATTIVITÀ ISTITUZIONALI

- 32 La ricerca biomedica
- 36 La valutazione dei progetti
- 44 La ricerca esterna
- 47 La ricerca interna
- 59 I risultati della ricerca
- 66 La ricerca tecnologica

parte 4

LE ATTIVITÀ DI SUPPORTO

- 70 La raccolta dei fondi
- 77 La comunicazione sociale
- 80 La gestione delle risorse
- 82 Il funzionamento della struttura

parte 5

I PROSPETTI

- 88 Stato patrimoniale del Comitato
- 90 Rendiconto della gestione a proventi ed oneri del Comitato
- 92 Stato patrimoniale della Fondazione
- 94 Rendiconto della gestione a proventi ed oneri della Fondazione
- 96 Rendiconto degli oneri per destinazione del Comitato
- 97 Rendiconto degli oneri per destinazione della Fondazione

parte 6

LE DELIBERE ALLA RICERCA

- 100 Elenco dei progetti finanziati (2006-2007)

1



parte 1

TELETHON IN PILLOLE

BILANCIO DI MISSIONE AL 30 GIUGNO 2007

- L'UNIVERSO DELLA RICERCA TELETHON
 - > I SOGGETTI FINANZIATI
- GLI INDICATORI DI PERFORMANCE ORGANIZZATIVA
 - > LA QUALITÀ E L'EFFICACIA DEI FINANZIAMENTI
 - > L'EFFICIENZA GESTIONALE (2002-2007)
- LE DATE PRINCIPALI DI TELETHON

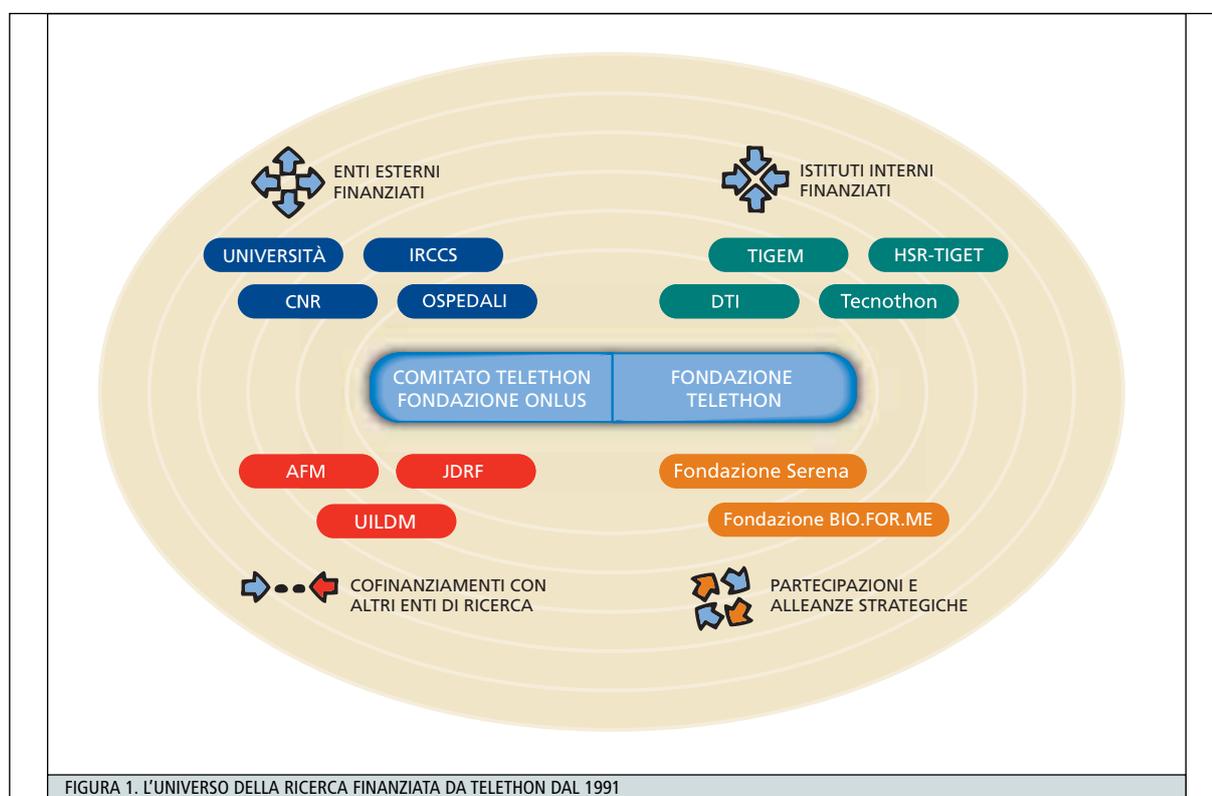
L'UNIVERSO DELLA RICERCA TELETHON

Combattere le malattie genetiche. È l'impegno che Telethon ha preso a partire dal 1990 nei confronti di centinaia di migliaia di persone che soffrono di queste patologie.

Dal 1991, anno del primo bando di ricerca, Telethon ha finanziato **2083 progetti** su circa **400 malattie genetiche**, con un investimento diretto di **254 milioni di Euro** e la pubblicazione di oltre **5.700 articoli scientifici** di livello internazionale.

Dietro questi pochi numeri c'è un'organizzazione che nel tempo ha strutturato un sistema ricco e articolato di relazioni con diversi soggetti che a vario titolo costituiscono l'"universo della ricerca" di Telethon (rappresentato nella figura seguente), i cui valori di riferimento sono:

- la creazione di reti di conoscenza e cooperazione all'interno della comunità scientifica e dei ricercatori in particolare;
- la focalizzazione verso la cura delle malattie genetiche;
- la sinergia economica volta al conseguimento di una maggiore efficienza organizzativa.



I SOGGETTI FINANZIATI

Al centro del sistema ci sono i due enti non profit che compongono Telethon: il Comitato Telethon Fondazione ONLUS e la Fondazione Telethon. Il primo raccoglie e assegna i fondi; il secondo gestisce propri istituti di ricerca (📄 p. 25).



ENTI ESTERNI FINANZIATI

Il Comitato finanzia enti pubblici e privati non profit, approvando progetti condotti da ricercatori afferenti a questi enti, che abbiano risposto a un bando pubblico e superato il rigoroso processo di valutazione del *peer review* (📄 p. 38).

Dal 1991 - anno di pubblicazione del suo primo bando competitivo - Telethon ha finanziato complessivamente **1.855 progetti di ricerca** per un valore complessivo di **oltre 162 milioni di Euro**.

In virtù dei finanziamenti multicentrici, questi progetti hanno coinvolto 2.109 centri di ricerca suddivisi tra:

- **48 Università** con 1.234 finanziamenti e un importo pari a 92.262.395 Euro;
- **24 Istituti di Ricovero e Cura a Carattere Scientifico (IRCCS)** con 358 finanziamenti e un importo pari a 32.254.891 Euro;
- **il Consiglio Nazionale delle Ricerche (CNR)** con 140 centri finanziati e un importo pari a 12.142.235 Euro;
- **28 Enti Ospedalieri** con 61 centri finanziati e un importo di 3.072.351 Euro;
- **109 Altri Istituti di Ricerca** con 316 finanziamenti e un importo pari a 22.645.505 Euro (di cui 5.337.183 Euro per finanziare 151 borse di studio di giovani ricercatori italiano presso 80 istituti stranieri).



ISTITUTI INTERNI FINANZIATI

Telethon ha costituito anche tre istituti interni di ricerca biomedica:

- **TIGEM** (Telethon Institute of Genetics and Medicine)
- **HSR-TIGET** (San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy)
- **DTI** (Dulbecco Telethon Institute)

e un istituto di ricerca tecnologica, che progetta ausili per disabili:

- **Tecnothon**

Gli istituti sono gestiti direttamente dalla Fondazione Telethon in modo da garantire progetti di ricerca eccellenti e altamente competitivi in ambito internazionale, un ambiente di ricerca adeguato sia alla formazione sia alla carriera di giovani scienziati e un luogo di lavoro dove i diversi gruppi possano lavorare in sinergia e generare massa critica.

Telethon ha finanziato complessivamente **197 progetti di ricerca interna** per **84,9 milioni di Euro**².

² A partire dal 1998, gli istituti interni di ricerca Telethon ricevono per lo svolgimento delle proprie attività di ricerca importanti finanziamenti da parte di contributori italiani e internazionali che istituzionalmente si dedicano al finanziamento nel settore non profit di pubblica utilità. Tra i principali enti finanziatori figurano a titolo esemplificativo la Commissione Europea, il Ministero dell'Università e Ricerca, l'Istituto di Sanità, alcune fondazioni di origine bancaria e gli enti americani National Institutes of Health e Muscular Dystrophy Association. Questi contributi vengono assunti da Telethon tra i proventi istituzionali come fondi vincolati per la ricerca interna. Al 30 giugno 2007 tali contributi ammontano a oltre 30 milioni di Euro e vanno aggiunti al finanziamento diretto di Telethon per misurare il volume di risorse complessive destinate agli istituti interni di ricerca.

Il **TIGEM**, con sede a Napoli, è un centro di eccellenza internazionale nella ricerca sulla genetica e i meccanismi delle malattie ereditarie. Ospita 12 gruppi di studio, sotto la direzione di Andrea Ballabio. I suoi ricercatori hanno contribuito a far avanzare la conoscenza sulla regolazione genica e sulle cause di malattie come l'albinismo oculare, la paraplegia spastica ereditaria e la sindrome di Down. Dalla nascita del TIGEM nel 1994, Telethon ha finanziato **82 progetti** per un importo di **36.013.952 Euro**.

L'**HSR-TIGET**, con sede a Milano, nasce da una collaborazione tra la Fondazione San Raffaele del Monte Tabor e la Fondazione Telethon. L'HSR-TIGET è un centro di riferimento mondiale nella ricerca di base e clinica sulla terapia genica. È diretto da Maria Grazia Roncarolo (condirettore: Luigi Naldini) con lo scopo di sviluppare protocolli di terapia genica per la cura delle malattie genetiche. All'HSR-TIGET si deve un risultato eccezionale, finora unico al mondo: diversi bambini malati di una grave forma di immunodeficienza congenita, la ADA-SCID, sono stati definitivamente curati grazie a un innovativo protocollo di terapia genica. Presso l'HSR-TIGET è attualmente in corso la sperimentazione clinica di nuove terapie per altre due gravi malattie genetiche (la leucodistrofia metacromatica e la sindrome di Wiskott-Aldrich). Dalla nascita dell'HSR-TIGET nel 1995, Telethon ha finanziato **55 progetti** per un importo di **22.689.686 Euro**.

Il **DTI** è un istituto virtuale creato per garantire a giovani ed eccellenti ricercatori la possibilità di una carriera indipendente. I ricercatori del DTI sono disseminati presso enti pubblici e privati non profit su tutto il territorio italiano (da qui istituto virtuale) in grado di offrire loro un adeguato ambiente di ricerca. L'istituto porta il nome del premio Nobel Renato Dulbecco, presidente onorario della Commissione Scientifica di Telethon, che nel 1999 decise di devolvere a Telethon il compenso ricevuto per la partecipazione al Festival di Sanremo, ponendo le basi per questa importante iniziativa. Dalla nascita del DTI nel 1999, Telethon ha finanziato **50 progetti carriere** per un importo di **21.436.238 Euro**.

Il **TECNOTHON**, con sede a Sarcedo (Vicenza), è il laboratorio di ricerca tecnologica dove vengono sviluppati e implementati ausili per favorire l'autonomia in tutte le attività del vivere quotidiano delle persone con disabilità motoria (non solo a seguito di malattie genetiche, ma anche di altre cause patologiche). Dalla nascita del Tecnothon nel 1994, Telethon ha finanziato **10 progetti** per un valore complessivo di **4.764.287 Euro**.



COFINANZIAMENTI CON ALTRI ENTI DI RICERCA

Oltre a finanziare enti pubblici e privati non profit, il Comitato Telethon collabora anche con altre fondazioni che finanziano ricerca scientifica. Unendo gli sforzi, infatti, si evita la dispersione dei fondi e la duplicazione dei finanziamenti e si mette a disposizione una maggiore quantità di denaro in aree mirate della ricerca.

Telethon ha realizzato programmi di collaborazione con:

- **AFM** (Association Française contre les Myopathies);
- **JDRF** (Juvenile Diabetes Research Foundation);
- **UILDM** (Unione Italiana per la Lotta alla Distrofia Muscolare);

I finanziamenti relativi seguono le regole di valutazione del *peer review* e sono effettuate da una commissione scientifica mista, composta dagli esperti in materia della commissione di Telethon e dell'ente di ricerca di volta in volta coinvolto (AFM, JDRF o UILDM).

Al 30 giugno 2007, Telethon ha finanziato **31 progetti** per un valore di **6,5 milioni di Euro**.

TELETHON-AFM

AFM (Association Française contre les Myopathies) è una fondazione francese che ha due obiettivi principali: la ricerca sulle malattie neuromuscolari e genetiche rare e l'assistenza ai malati di queste patologie. AFM e Telethon hanno stabilito una collaborazione per finanziare lo sviluppo di nuovi metodi di terapia (intesi come terapia cellulare e genica, trattamenti farmacologici o trattamenti enzimatici) per le malattie rare e per creare reti di cooperazione a livello europeo, con gruppi di ricerca composti da almeno un'unità italiana e un'unità francese.

3 progetti svolti in 12 laboratori hanno ricevuto il finanziamento Telethon-AFM.

Telethon ha erogato un importo di **1.299.007 Euro** e l'AFM ha messo a disposizione una quota equivalente.

TELETHON - JDRF

JDRF (Juvenile Diabetes Research Foundation) è una fondazione americana che ha come obiettivo la cura del Diabete di tipo I. JDRF e Telethon hanno stabilito una collaborazione per cofinanziare (ognuno con il 50% dei fondi) la ricerca su questa patologia.

Sono stati realizzati **8 progetti** in 12 centri. Il finanziamento Telethon è stato di **2.353.437 Euro**.

TELETHON-UILDM

UILDM (Unione Italiana per la Lotta alla Distrofia Muscolare) ha dato impulso alla nascita di Telethon nel 1990 e da allora ne è il più completo e attento osservatore. La UILDM è un'associazione italiana che:

- promuove con tutti i mezzi la ricerca scientifica e l'informazione sanitaria sulla distrofia muscolare;
- promuove e favorisce l'integrazione sociale della persona disabile.

A partire dal 2001, UILDM e Telethon hanno deciso di dedicare i fondi raccolti dai volontari UILDM durante la maratona Telethon a un bando speciale per progetti di ricerca clinica che abbiano come obiettivo il miglioramento della qualità della vita dei malati. Sono ammessi studi clinici mirati alla prevenzione, diagnosi, terapia e/o riabilitazione nel campo delle malattie

neuromuscolari (aree della cardiologia, gastroenterologia, medicina interna, neurologia, ortopedia, psicologia e pneumologia).

Sono stati istituiti 6 bandi e approvati **20 progetti** presso 88 centri (di cui oltre 30 sono centri clinici che hanno coinvolto più di 2.000 pazienti con malattie neuromuscolari). Il finanziamento è stato di **2.910.468 Euro**.



PARTECIPAZIONI E ALLEANZE STRATEGICHE

FONDAZIONE SERENA, nata nell'ottobre del 2005 dalla collaborazione tra la UILDM, la Fondazione Telethon e la Regione Lombardia, è l'ente che gestisce il **Centro Clinico Nemo**.

Lo scopo del centro è quello di assistere le persone affette da patologia neuromuscolari, sostenere l'attività terapeutica a loro rivolta e promuovere la ricerca clinica su queste malattie. Il centro ha la sua sede a Milano presso l'Ospedale Niguarda. Si tratta di una struttura unica e dedicata, capace di intervenire efficacemente nelle terapie riabilitative innovative tese a migliorare la qualità della vita delle persone con patologie neuromuscolari e che nel futuro si candida come polo di sperimentazione clinica sulla distrofia e le altre malattie neuromuscolari: è soprattutto in quest'ottica che la Fondazione Telethon ha sostenuto la nascita e la costituzione della Fondazione Serena con un finanziamento di **400 mila Euro**.

FONDAZIONE BIO.FOR.ME (Fondazione Biology for Medicine) con sede a Napoli, è l'iniziativa di più recente costituzione (16 luglio 2007), i cui protagonisti sono: la Regione Campania, il Consiglio Nazionale delle Ricerche e la Fondazione Telethon, ognuno dei quali ha conferito un importo di **150 mila Euro**.

La Fondazione **BIO.FOR.ME**, riunendo le migliori competenze scientifiche della ricerca biomedica di base e applicata sviluppate dagli istituti del CNR e della Fondazione Telethon, vuole diventare un polo di riferimento per la trasformazione della ricerca di base in applicazioni cliniche e in sviluppo industriale nel campo biomedicale. In particolare gli obiettivi sono: il sostegno della ricerca scientifica e tecnologica; lo sviluppo di nuove terapie e la loro sperimentazione anche attraverso accordi con le strutture sanitarie; lo sviluppo didattico e l'alta formazione nel campo della ricerca scientifica e lo sviluppo economico e industriale.

GLI INDICATORI DI PERFORMANCE ORGANIZZATIVA

Il monitoraggio e la misurazione delle performance organizzative di Telethon tiene conto di due importanti ambiti di risultati: quelli di utilità sociale e quelli economico-finanziari.

Nel primo caso, il riferimento è agli indici legati al perseguimento della missione di Telethon e alla sua efficacia istituzionale; nel secondo caso, si prendono in esame gli indici di efficienza nell'impiego delle risorse.

LA QUALITÀ E L'EFFICACIA DEI FINANZIAMENTI

PROGRESSIONE VERSO LA CURA

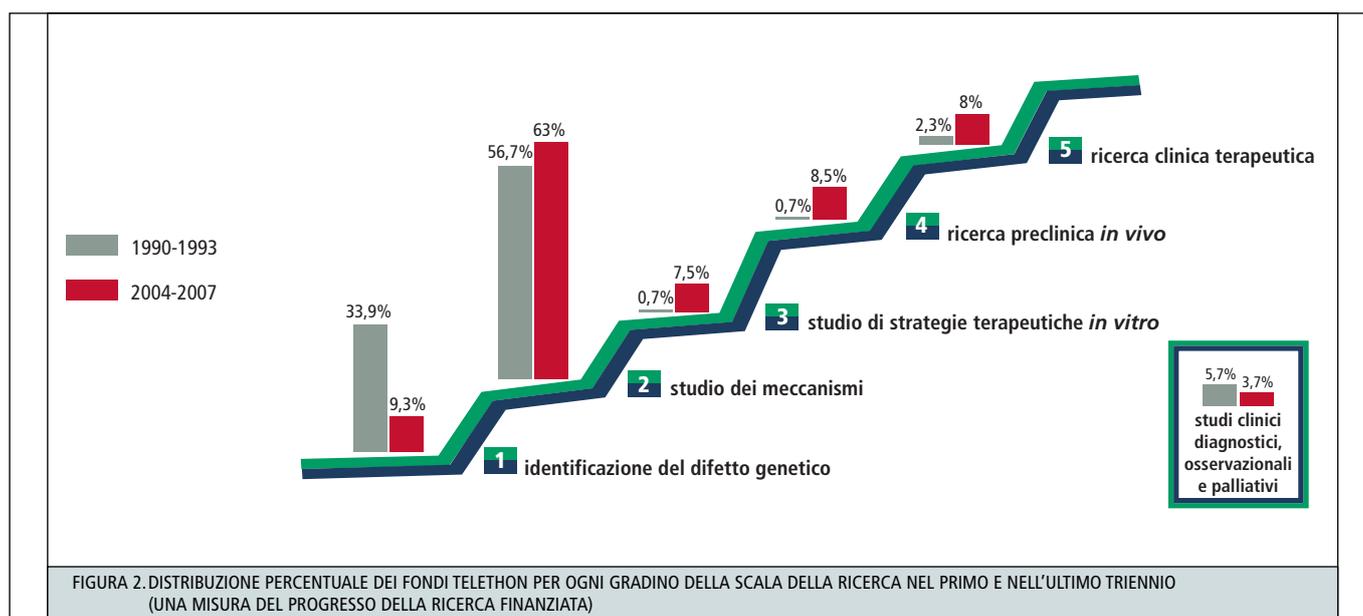
La misura più diretta del successo di Telethon è rappresentata dalle applicazioni terapeutiche scaturite dalle sue ricerche. Nel 2002 presso l'HSR-TIGET si è ottenuto il primo successo al mondo di terapia genica per una forma di immunodeficienza combinata grave (ADA-SCID). Grazie a questo protocollo sono stati curati 10 bambini affetti dalla malattia e nel 2006 l'ente regolatorio europeo dei farmaci (EMA) ha riconosciuto a questa terapia la designazione di farmaco orfano.

La strada che porta dalla ricerca di base alle possibili cure, tuttavia, segue un percorso lungo e graduale. Per questo, nella verifica dei progressi è importante includere non solo i risultati nella terapia clinica ma anche indicatori che misurino la qualità della ricerca finanziata, e il progresso che i progetti finanziati generano sulla scala della ricerca.

Il percorso ideale di avanzamento della ricerca, dalla malattia alla cura, procede attraverso tappe progressive che possiamo schematizzare in una scala (□ p. 32). Ciascun gradino indica una fase della ricerca, da quella di base a quella progressivamente traslazionale. Etichettando ognuno dei 2083 progetti finanziati dal 1991 in modo da collocarlo su uno dei gradini della scala è possibile verificare l'andamento e il progresso della ricerca finanziata dal laboratorio al letto del paziente.

Le colonne poste sui gradini nella figura seguente rappresentano rispettivamente la percentuale di fondi collocati sulla scala nel primo triennio d'attività di Telethon (1990/91-1991/92-1992/3) e nell'ultimo (2004/5-2005/6-2006/7). Nel corso degli anni la ricerca finanziata è progredita verso i gradini più alti, cioè verso la cura, sebbene, come è prevedibile visto lo stato attuale delle conoscenze, la gran parte dei finanziamenti sia ancora concentrata sullo studio dei meccanismi genetici e fisio-patologici.

Questo risultato esprime la bontà e l'efficacia del sistema di finanziamento di Telethon nel perseguire obiettivi applicativi coerenti con la propria missione.



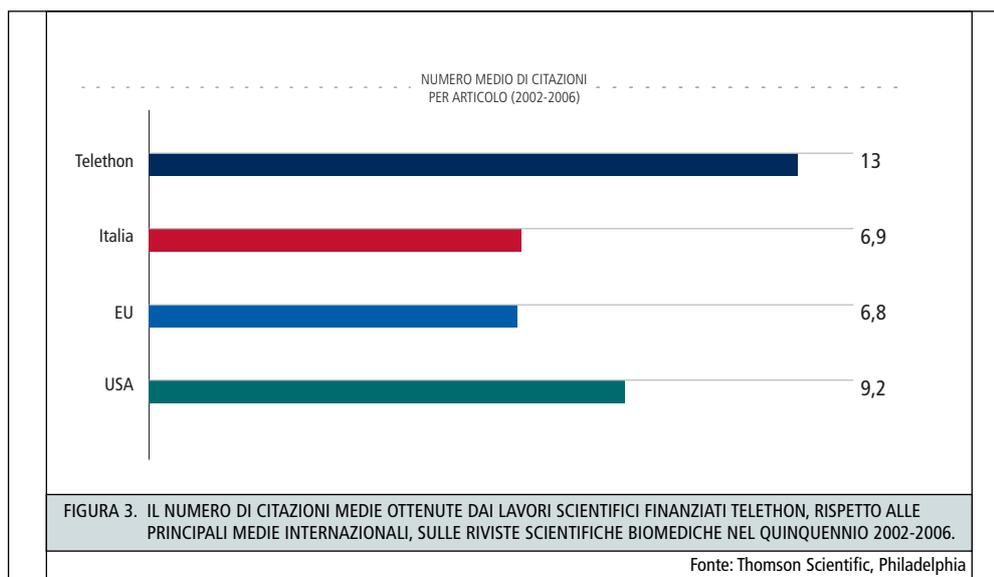
INDICATORI BIBLIOMETRICI

Un sistema universalmente condiviso per misurare la rilevanza di un articolo scientifico consiste nel calcolare il numero di citazioni ottenute da quel lavoro nella letteratura scientifica: più volte è citato l'articolo, maggiore si presume siano l'interesse, l'impatto e l'utilità dello stesso per la comunità scientifica.

La ricerca biomedica finanziata da Telethon ha prodotto complessivamente oltre **5.700 pubblicazioni** su riviste scientifiche di rilievo internazionale.

È possibile calcolare il numero medio di citazioni degli articoli scaturiti dalla ricerca finanziata da Telethon - rispetto alla media italiana, europea e statunitense - sulle riviste scientifiche delle principali aree della biomedicina (biologia e biochimica, medicina clinica, immunologia, biologia molecolare e genetica, neuroscienze e comportamento).

Il dato, calcolato dal Thomson Scientific di Philadelphia e rappresentato dalla Figura 3, avvalorata la crescente reputazione di cui gode il sistema di valutazione e selezione dei progetti adottato da Telethon.



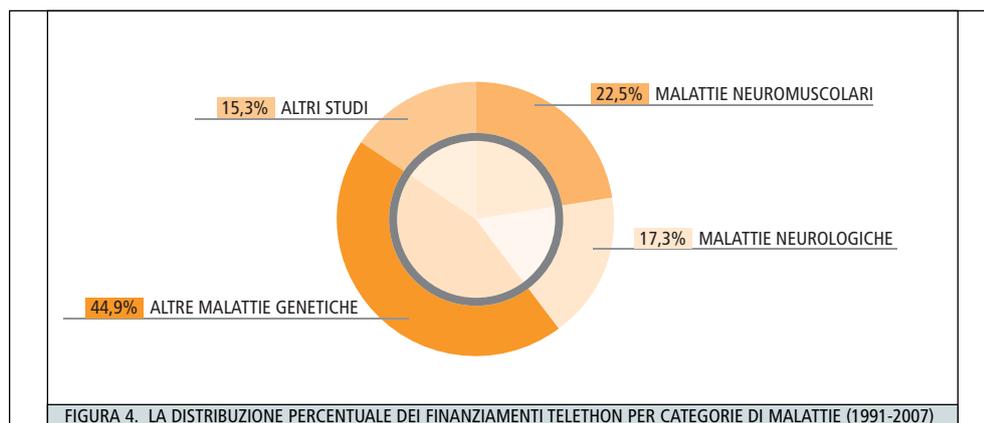
AMBITO DI STUDIO DEI PROGETTI BIOMEDICI FINANZIATI

Dal 1991 al 30 giugno 2007 i progetti di ricerca biomedica finanziati da Telethon hanno riguardato oltre 400 malattie genetiche per un importo complessivo di quasi 250 milioni di Euro (non sono considerati, quindi, i finanziamenti che riguardano la ricerca tecnologica).

Il 40% circa è stato indirizzato alle malattie neuromuscolari (come le distrofie muscolari, la malattia di Charcot-Marie-Tooth e l'atrofia muscolare spinale) e neurologiche (come la sclerosi laterale amiotrofica e la malattia di Huntington); il 45% del finanziamento è stato destinato alle altre malattie genetiche, come l'immunodeficienza combinata grave e la fibrosi cistica.

Le patologie citate sopra a titolo esemplificativo figurano ai primi posti nell'elenco delle malattie più finanziate da Telethon dal 1991 ad oggi.

Il restante 15% dei progetti (altri studi) riguarda malattie con cause non esclusivamente genetiche, studi di base trasversali alla conoscenza di più patologie, o servizi alla ricerca, e non è quindi assimilabile ad una specifica categoria di patologie.



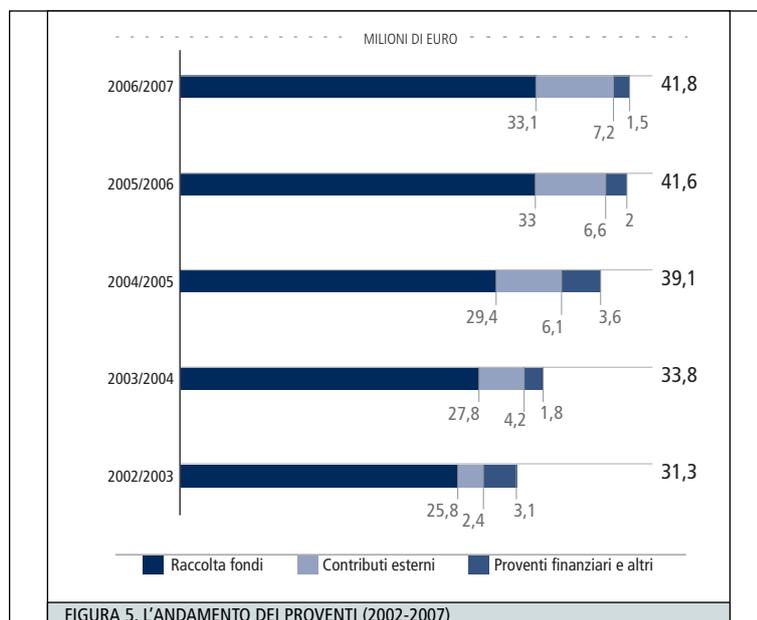
L'EFFICIENZA GESTIONALE (2002-2007)

A partire dal 2005, Telethon - per misurare le proprie performance gestionali - ha scelto di utilizzare indici di efficienza e di capacità organizzativa riconosciuti a livello internazionale (fonte: www.charitynavigator.org) e fatti propri anche dalla Commissione Aziende Non Profit del Consiglio Nazionale dei Dottori Commercialisti.

Gli indici di efficienza organizzativa dell'ultimo anno (che misurano quanto costa la raccolta fondi e come vengono impiegate le risorse nell'esercizio) sono esposti in dettaglio a pag. 84 del presente bilancio. Di seguito invece vengono presentati i principali indicatori di capacità organizzativa del periodo 2002-2007: l'andamento dei proventi, l'andamento degli impieghi e in particolare degli impieghi in ricerca.

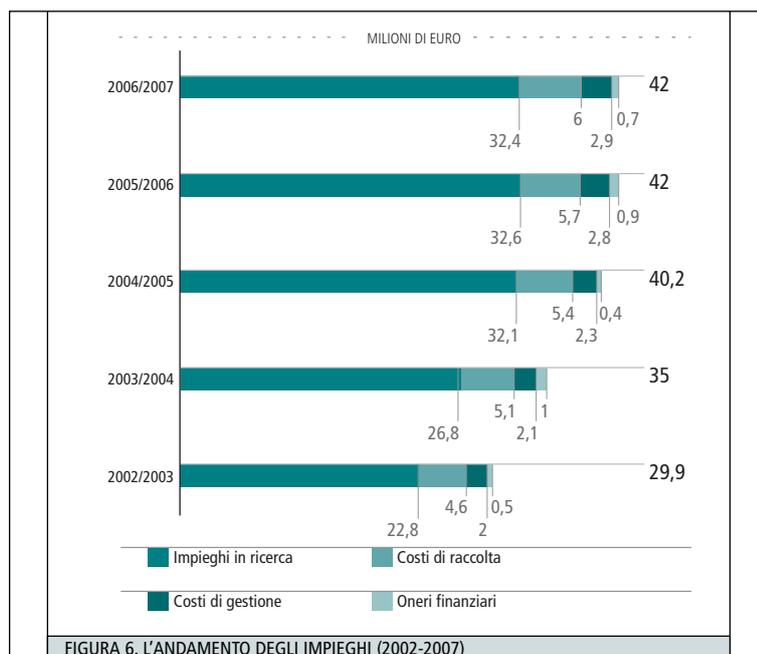
L'ANDAMENTO DEI PROVENTI

La raccolta pubblica di fondi, di cui la maratona televisiva costituisce l'evento culminante, rappresenta la principale fonte di finanziamento di Telethon. Particolarmente rilevante è anche la quota dei contributi esterni vincolati che Telethon riceve per i progetti dei propri istituti interni di ricerca da parte di altri enti finanziatori esterni (National Institutes of Health, Unione Europea, Ministero dell'Università e Ricerca, fondazioni di origine bancaria, ecc...).



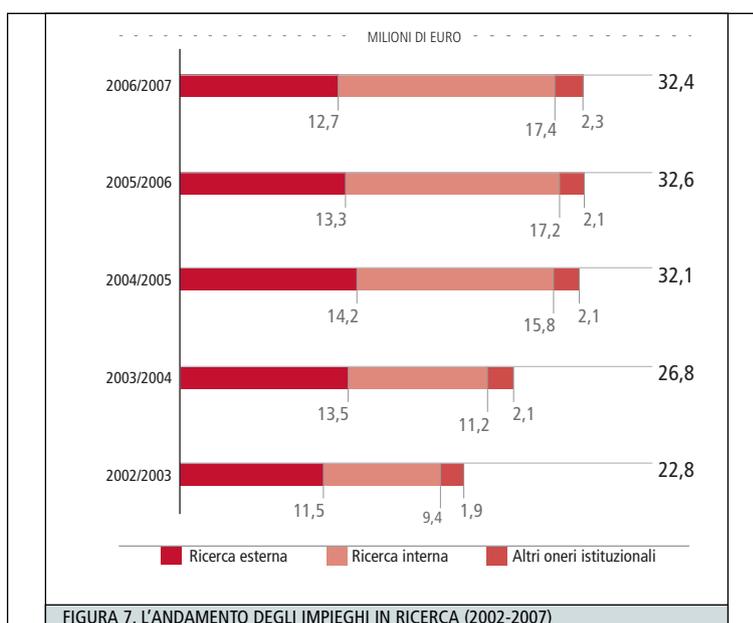
L'ANDAMENTO DEGLI IMPIEGHI

La distribuzione degli impieghi permette di valutare quante risorse Telethon dedichi alle attività di ricerca e quanto invece incidano i costi di raccolta e di gestione. Al fine di assicurare la maggior parte delle risorse alle attività scientifiche (80%), Telethon si impegna affinché i costi di supporto (raccolta fondi e funzionamento generale) non superino il 20% circa di quanto speso in un anno.



L'ANDAMENTO DEGLI IMPIEGHI IN RICERCA

Negli ultimi anni il finanziamento alla ricerca interna è cresciuto considerevolmente, in particolare grazie ai contributi che gli istituti interni di ricerca ricevono da altri enti finanziatori. Tra i costi istituzionali di ricerca rientrano anche quelli sostenuti per le attività della Commissione Medico-Scientifica, dell'Ufficio scientifico, della Convention scientifica e per la prima volta quest'anno, le attività di sensibilizzazione e divulgazione scientifica (tali costi sono stati riclassificati anche per gli anni passati).



LE DATE PRINCIPALI DI TELETHON

- 1966** L'attore americano **Jerry Lewis inventa negli USA una maratona televisiva** per raccogliere fondi a favore della ricerca sulla distrofia muscolare. È un successo senza precedenti sia in termini di spettatori sia in termini di solidarietà.
- 1987** L'Association Française contre le Myopathies - **AFM ripete l'esperienza in Francia.**
- 1990** L'associazione che riunisce le famiglie di malati di distrofia muscolare si appella a Susanna Agnelli per portare anche in Italia l'iniziativa Telethon. **Nasce il Comitato Promotore** sotto gli auspici dell'Unione Italiana Lotta alla Distrofia Muscolare (UILDM). Il 7 e 8 dicembre va in onda su Rai1 la prima maratona televisiva che raccoglie quasi 20 miliardi di lire.
- 1991** **Viene pubblicato il primo bando di concorso** Telethon per finanziare i progetti di ricerca sui diversi tipi di distrofia muscolare.
- 1992** Il Comitato Telethon estende i propri **finanziamenti alla ricerca su tutte le malattie genetiche.**
- 1994** **Nasce il TIGEM**, l'Istituto Telethon di Genetica e Medicina che studia i difetti genetici che stanno alla base di alcune malattie ereditarie e **viene istituito il Tecnothon**, laboratorio di ricerca tecnologica che si occupa della realizzazione di ausili per migliorare la qualità della vita delle persone disabili.
- 1995** In collaborazione con la Fondazione San Raffaele **nasce l'HSR-TIGET**, l'Istituto San Raffaele Telethon per la Terapia Genica. Con sede a Milano, studia terapie geniche per la cura delle malattie genetiche. Per gestire gli istituti di ricerca nati dall'iniziativa e dai finanziamenti di Telethon, nello stesso anno, **nasce la Fondazione Telethon.**
- 1998** **Il Comitato Promotore diventa Comitato Telethon Fondazione ONLUS**, modificando il suo statuto sulla base della normativa del 1997 che regola le organizzazioni non lucrative di utilità sociale. Ottiene così le agevolazioni previste dalla legge, tra le quali la parziale detraibilità fiscale delle offerte per i donatori.

- 1999** Viene creato il **DTI**, l'Istituto Telethon Dulbecco, un istituto virtuale nato per offrire a ricercatori qualificati la possibilità di una carriera indipendente all'interno di istituzioni scientifiche italiane. Il Comitato Telethon riceve l'Alto Patronato della Presidenza della Repubblica.
- 2001** Telethon vince il premio "**Oscar di Bilancio e della Comunicazione delle Organizzazioni Non Profit**" per la completezza, chiarezza e rigore della sua rendicontazione e per la sua efficienza organizzativa.
- 2002** Per la prima volta al mondo, grazie a un intervento di terapia genica svolto **presso l'HSR-TIGET, guariscono in modo definitivo due bambine affette dalla malattia ADA-SCID**, una grave immunodeficienza ereditaria.
- 2004** Il **Comitato Telethon Fondazione ONLUS** ottiene la **certificazione ISO 9001** per le attività di "Programmazione, valutazione iniziale, attivazione, monitoraggio e valutazione finale dei progetti", a conferma del rigore con cui viene svolto il lavoro di valutazione della ricerca biomedica.
- 2005** L'ente governativo americano che autorizza le terapie, **la Food and Drug Administration, riconosce il protocollo clinico dell'ADA-SCID adottato dall'HSR-TIGET** come quello più valido, imponendone l'adozione anche negli Stati Uniti. La ricerca italiana riesce ad essere competitiva anche a livello mondiale.
- 2006** Con la consulenza del suo Consiglio di Indirizzo Scientifico, **la Fondazione Telethon realizza il primo piano strategico della ricerca** per guidare la ricerca biomedica fino al 2010.
- 2007** Grazie a uno studio finanziato principalmente da Telethon - **curati cani affetti da una forma spontanea di distrofia muscolare di Duchenne** con il trapianto di cellule staminali adulte chiamate mesangioblasti. Il trattamento ha migliorato nettamente la deambulazione e la forza muscolare degli animali. Si lavora adesso per trasferire la sperimentazione sull'uomo, anche se il passaggio richiede tempi lunghi e molta cautela.

2



parte **2**

CHE COS'È TELETHON

BILANCIO DI MISSIONE AL 30 GIUGNO 2007

- LA MISSIONE
- GLI *STAKEHOLDER*
- IL COMITATO E LA FONDAZIONE
- IL MODELLO ORGANIZZATIVO
- LE ATTIVITÀ

LA MISSIONE DI TELETHON

L'ECCELLENZA DELLA RICERCA FINANZIATA, LA TRASPARENZA DELLA GESTIONE DEI FONDI E IL SOSTEGNO DEGLI ITALIANI SONO I VALORI CHE ISPIRANO TELETHON NEL LAVORO DI OGNI GIORNO

- [Vogliamo far avanzare la ricerca scientifica verso la cura della distrofia muscolare e delle altre malattie genetiche
- [Vogliamo dare priorità a quelle malattie che per la loro rarità sono trascurate dai grandi investimenti pubblici e industriali
- [Vogliamo dare fondi a eccellenti progetti di ricerca e ai migliori ricercatori in Italia
- [Vogliamo che gli italiani partecipino a questa lotta contro le malattie genetiche
- [Vogliamo far sapere a chi ci aiuta come vengono spesi i soldi che raccogliamo

LE MALATTIE GENETICHE: UNA PIAGA SOCIALE



Nato nel 1990 per volontà dei pazienti affetti da distrofia muscolare allo scopo di sostenere la ricerca scientifica su questa malattia, Telethon due anni dopo ha esteso il suo programma di ricerca a tutte le malattie genetiche. Queste patologie sono causate da alterazioni nel DNA e si trasmettono per via ereditaria; possono colpire qualsiasi organo e manifestarsi a qualunque età. Si stima che ne esistano diverse migliaia, la maggior parte con un decorso grave o letale e ad oggi senza una terapia efficace. Promuovere la ricerca scientifica verso la cura della malattie genetiche è l'obiettivo attorno a cui Telethon ha strutturato tutte le sue attività, finanziando finora progetti su circa 400 diverse patologie. Considerato nel suo complesso, il problema delle malattie genetiche assume le dimensioni di una vera e propria piaga sociale. Un recente rapporto della March of Dimes Foundation (USA) stima ad esempio che in tutto il mondo nascano ogni anno otto milioni di bambini con un grave difetto di origine totalmente o parzialmente genetica. Questo senza contare le tante malattie genetiche che si manifestano nella tarda infanzia o nell'età adulta. Prese singolarmente, tuttavia, le malattie genetiche sono in genere rare e, quindi, trascurate dalla ricerca farmaceutica (per l'esiguo mercato che esse rappresentano) e dai grandi investimenti pubblici (per la difficoltà di realizzare un programma sanitario per ciascuna malattia rara). Per questo, riferendosi alle malattie genetiche, si parla spesso di patologie e pazienti "orfani". Telethon esiste proprio per far progredire la ricerca su queste malattie altrimenti neglette, mettendo a disposizione fondi adeguati e vincolandoli a criteri di scelta rigorosi e competitivi.

GLI STAKEHOLDER

LA TRASPARENZA È UN DOVERE VERSO TUTTI I SOGGETTI CHE CONTRIBUISCONO ALLA REALIZZAZIONE DELLA MISSIONE DI TELETHON

Il principale interlocutore di Telethon è la collettività: solo l'utilità prodotta verso la collettività legittima l'esistenza di un'organizzazione non profit. All'interno della collettività è possibile individuare gruppi più specifici di portatori di interesse (*stakeholder*), in base alla relazione che essi hanno nei confronti di Telethon (Figura 8):

- **chi contribuisce**, ossia tutti coloro che partecipano alla lotta contro le malattie genetiche offrendo un sostegno economico o logistico;
- **chi opera nella struttura** di Telethon garantendo professionalità e condivisione della missione;
- **i beneficiari**, ossia i destinatari dell'utilità prodotta. I beneficiari diretti di Telethon sono i malati di distrofia muscolare e delle altre malattie genetiche, le loro famiglie e, in seconda istanza, le associazioni di malattia e tutta la collettività (incluse le generazioni future). Ad essi si aggiungono i ricercatori finanziati, considerati beneficiari indiretti in quanto a loro vengono affidati i fondi raccolti da Telethon per far avanzare la ricerca verso la cura.

CHI CONTRIBUISCE	CHI OPERA NELLA STRUTTURA	I BENEFICIARI
<ul style="list-style-type: none"> • DONATORI • PARTNER DELLA RACCOLTA FONDI • VOLONTARI-SOSTENITORI 	<ul style="list-style-type: none"> • AMMINISTRATORI • MANAGER • DIPENDENTI E COLLABORATORI 	<ul style="list-style-type: none"> • MALATI E COLLETTIVITÀ (BENEFICIARI DIRETTI) • RICERCATORI (BENEFICIARI INDIRETTI)

FIGURA 8. LA MAPPA DELLE PRINCIPALI CATEGORIE DI *STAKEHOLDER* DI TELETHON

IL SISTEMA TELETHON: AUTONOMIA ED EQUILIBRIO



Il modello di Telethon si basa sulla relazione fra tre realtà: i pazienti (e le loro famiglie), la società civile e il mondo della ricerca. Autonomia ed equilibrio sono le caratteristiche irrinunciabili su cui si regge questo sistema. Autonomia, per un fondazione come Telethon, significa essere indipendente da condizionamenti politici e commerciali ma anche mantenere un sistema di finanziamento che assicuri la distanza fra chi chiede, chi decide e chi eroga. Per questo, nessuno scienziato può contemporaneamente richiedere fondi a Telethon e sedere nei suoi organi di governo o nelle sue commissioni di indirizzo e valutazione. Allo stesso modo, né il pubblico donatore, né le aziende che contribuiscono possono influenzare la strategia di Telethon e la scelta dei progetti: gli obiettivi sono chiari ed espliciti, le regole trasparenti, e chi dona decide di aderirvi. Equilibrio significa anzitutto il rispetto delle regole della scienza che impongono qualità, rigore, pazienza e costante confronto internazionale: se da una parte vanno evitate le promesse di soluzioni miracolose e immediate, dall'altro è doveroso non disperdere i fondi dalle aree di interesse dei malati, nel rispetto della missione. A Telethon spetta il compito di rendicontare in modo preciso i propri investimenti e risultati. Ma in questo equilibrio anche chi dona ha un ruolo importante: quello di una attenta e informata vigilanza. Perché il sistema funzioni, i cittadini hanno il diritto e il dovere di sapere come sono stati investiti i loro soldi.

IL COMITATO E LA FONDAZIONE

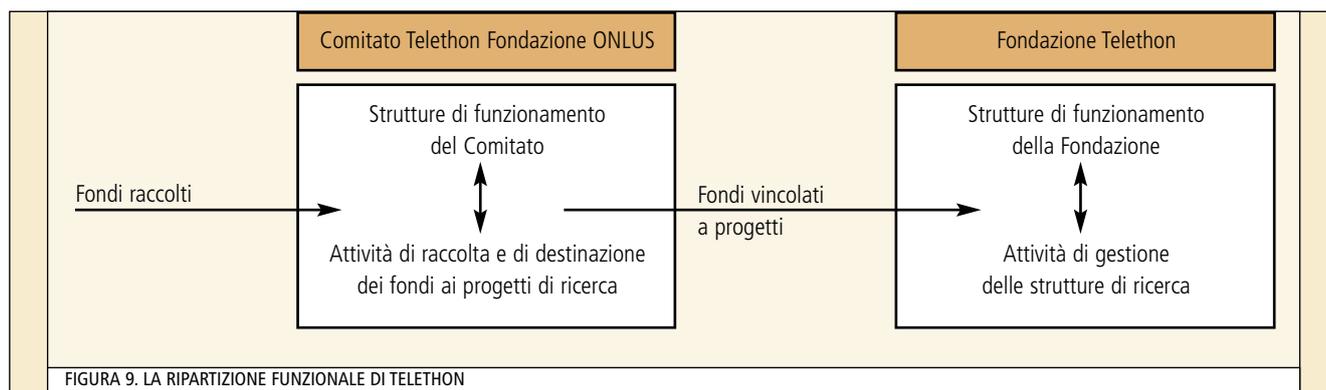
IL COMITATO RACCOGLIE I FONDI E FINANZIA I MIGLIORI PROGETTI; LA FONDAZIONE GESTISCE I PROPRI ISTITUTI E, SU RICHIESTA, I FONDI DI RICERCA ESTERNA

Telethon è un'organizzazione senza fini di lucro che ha come obiettivo generale l'avanzamento della ricerca verso la cura delle distrofie muscolari e delle altre malattie genetiche. È composto dal Comitato Telethon Fondazione ONLUS e dalla Fondazione Telethon, due enti privati non profit, distinti e complementari, riconosciuti dal Ministero dell'Università e della Ricerca. Questa divisione, risalente al 1995, è dovuta alla volontà di separare le attività di promozione, raccolta e assegnazione fondi da quelle di gestione degli istituti e dei progetti di ricerca (Figura 9). Il Comitato si occupa dell'organizzazione del noto evento televisivo annuale (la Maratona Telethon), della raccolta dei fondi e della loro assegnazione a progetti di ricerca rigorosamente valutati e approvati da una Commissione Medico-Scientifica indipendente e internazionale, il cui presidente onorario è il Premio Nobel Renato Dulbecco.

Il Comitato trasferisce le risorse alla Fondazione sotto forma di fondi vincolati per specifici progetti di ricerca.

La Fondazione si occupa principalmente della gestione degli istituti interni di ricerca (TIGEM, HSR-TIGET, DTI e Tecnothon). L'obiettivo in questo caso è quello di rispondere a una doppia esigenza: avere centri d'avanguardia nell'ambito della ricerca biomedica sulle malattie genetiche e ottenere la maggiore utilità sociale dall'impiego controllato ed efficiente delle risorse a disposizione.

A richiesta, la Fondazione si occupa della gestione diretta dei fondi di ricerca assegnati dal Comitato a istituti esterni. In questo caso i ricercatori finanziati affidano alla Fondazione l'assegnazione delle borse di studio e l'acquisto di prodotti e servizi necessari ai loro progetti di ricerca.



IL MODELLO ORGANIZZATIVO

COMITATO E FONDAZIONE SONO GOVERNATE DA UNA STESSA STRUTTURA DECISIONALE PER GARANTIRE UN SISTEMA INTEGRATO DI GESTIONE

Per garantire una gestione armonica del Comitato e della Fondazione sono state inserite alcune disposizioni nei relativi statuti che stabiliscono che i membri in carica del Consiglio di Amministrazione del Comitato sono membri di diritto del Consiglio della Fondazione.

I membri del Consiglio di Amministrazione svolgono volontariamente e gratuitamente la loro opera nei confronti di Telethon.

Susanna Agnelli è il Presidente. Omero Toso è il Vice Presidente.

I consiglieri sono Boris Biancheri, Carlo Ferdinando Carnacini, Staffan de Mistura, Salvatore Di Mauro e Pietro Spirito.

Al Consiglio di Amministrazione rispondono quattro organi consultivi, una direzione operativa e quattro istituti interni di ricerca (Figura 10).

Gli organi consultivi sono: il Collegio dei Revisori, che vigila sull'osservanza della legge e dell'atto costitutivo, sul rispetto dei principi di corretta amministrazione e sull'adeguatezza organizzativa del sistema amministrativo e contabile; il Revisore Esterno che accerta la regolare tenuta della contabilità sociale e delle scritture contabili e verifica la conformità del Bilancio alle norme che lo disciplinano; la Commissione Medico-Scientifica, nel ruolo chiave di valutazione dei progetti di ricerca; il Consiglio di Indirizzo Scientifico, che supporta le scelte di indirizzo e gestione del Consiglio di Amministrazione nell'ambito della ricerca biomedica.

La struttura operativa è composta da una Direzione Generale, che coordina le attività delle tre direzioni funzionali: la Direzione Amministrativa, Finanziaria, Risorse Umane e Supporto Generale, la Direzione Scientifica e la Direzione Raccolta Fondi.

★ ★ ★ Il 10 luglio 2007, Pietro Spirito è stato nominato Direttore Generale dal Consiglio di Amministrazione di Telethon. Il dott. Spirito, dopo essersi dimesso dal ruolo di consigliere, ha assunto formalmente la nuova carica a partire dal 1 settembre 2007.

Al Direttore Generale risponde il Responsabile della Comunicazione e dei rapporti con la stampa con il compito di garantire la corretta attuazione degli obiettivi di comunicazione, integrando i piani e le attività di comunicazione istituzionale con quelli di raccolta fondi.

Gli istituti di ricerca Telethon sono: il TIGEM (Telethon Institute of Genetics and Medicine), l'HSR-TIGET (San Raffaele-Telethon Institute for Gene Therapy) e il DTI (Dulbecco Telethon Institute) che si occupano di ricerca biomedica sulla distrofia muscolare e sulle altre malattie genetiche; a questi si affianca il Tecnothon, l'istituto di ricerca tecnologica finalizzato a progettare ausili per disabili.



“ IN ITALIA È ASSOLUTAMENTE INDISPENSABILE PROMUOVERE LO SVILUPPO DELLA RICERCA SCIENTIFICA: È LA CONDIZIONE PERCHÉ IL NOSTRO PAESE NON RESTI INDIETRO, ED È UNA CONDIZIONE ANCHE PER RISOLVERE PROBLEMI NON SOLO ECONOMICI MA SOCIALI. E LA RICERCA SI SVILUPPA ANCHE ATTRAVERSO INIZIATIVE PRIVATE COME QUELLA DI TELETHON, UNA GRANDE CAUSA DI UMANITÀ E DI CIVILTÀ ”

GIORGIO NAPOLITANO | PRESIDENTE DELLA REPUBBLICA ITALIANA

FUNZIONI DI GOVERNANCE

Per garantire un miglior coordinamento tra il CdA, la struttura operativa e gli istituti di ricerca, Telethon ha definito alcuni strumenti di governance. Di seguito vengono sintetizzati i principali aspetti:

- ciascun Direttore è responsabile nei confronti del CdA delle deleghe operative che gli sono state formalmente assegnate;
- gli istituti interni di ricerca sono collocati a riporto diretto delle Direzioni Scientifica e Amministrativa. Per le questioni inerenti le politiche di allocazione degli investimenti istituzionali e per la consulenza in merito a nuovi ambiti di ricerca viene mantenuto il riporto al CdA che si avvale del parere del Consiglio di Indirizzo Scientifico;
- al Consiglio di Indirizzo Scientifico sono sottoposte, partendo dalla missione di Telethon, alcune questioni aperte riguardanti la gestione della ricerca;
- il Comitato di Direzione ha il compito di elaborare e istruire le proposte per il vertice e di implementare le decisioni condivise con il CdA.

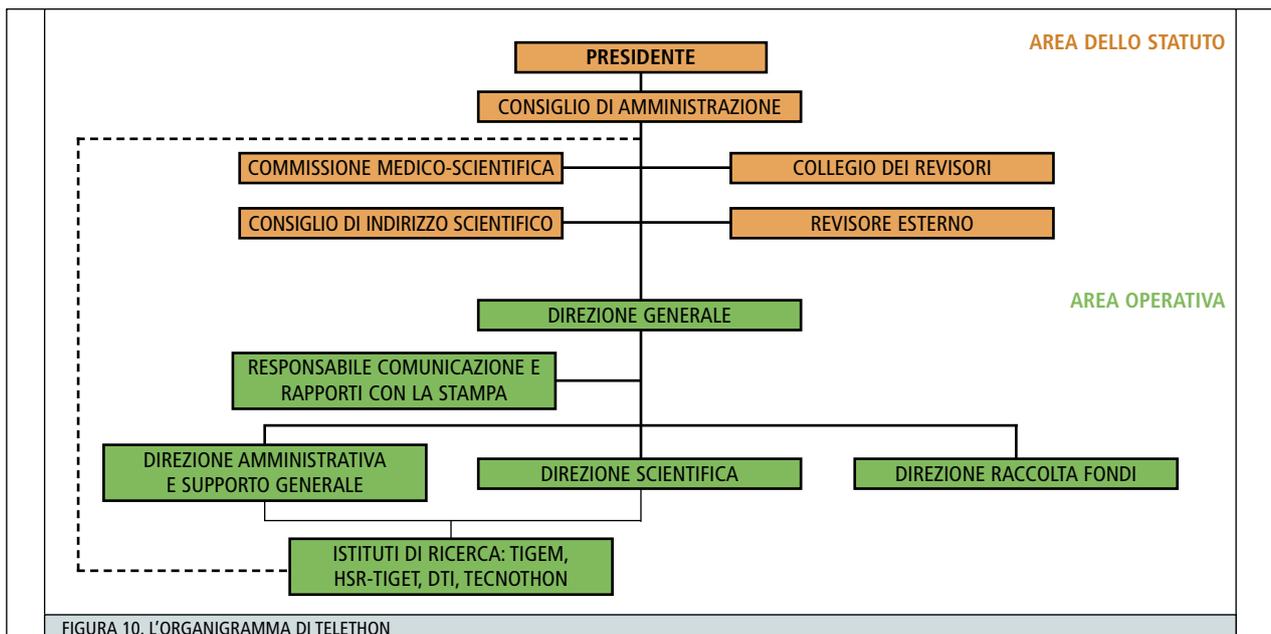


FIGURA 10. L'ORGANIGRAMMA DI TELETHON

LE ATTIVITÀ

IL PRESENTE BILANCIO DISTINGUE TRA ATTIVITÀ ISTITUZIONALI E ATTIVITÀ DI SUPPORTO E UTILIZZA QUESTO SCHEMA PER RENDICONTARE IL LAVORO DI UN ANNO

Le attività di Telethon, come quelle di ogni organizzazione non profit, si distinguono in attività istituzionali, che sono le attività immediatamente dirette a realizzare gli scopi indicati dallo Statuto (finanziamento e avanzamento della ricerca scientifica), e attività di supporto, che hanno la caratteristica di porsi obiettivi strumentali rispetto al raggiungimento dei fini istituzionali (Figura 11).

LE ATTIVITÀ ISTITUZIONALI

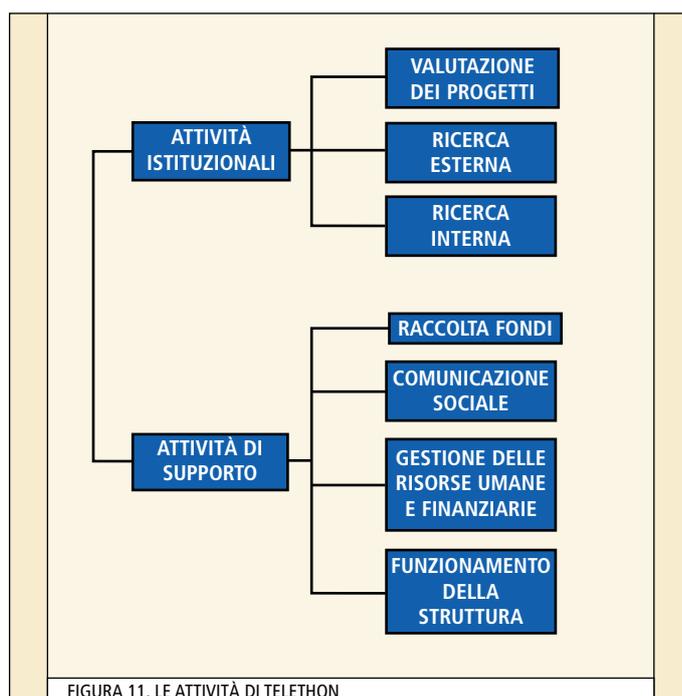
Le attività istituzionali riguardano:

- la valutazione e la selezione dei progetti di ricerca, attraverso il ruolo centrale della Commissione Medico-Scientifica;
- il finanziamento di progetti di ricerca scientifica esterna - nel caso di fondi erogati a ricercatori che lavorano presso enti di ricerca italiani, pubblici o privati non profit - e progetti di ricerca scientifica interna, coordinati da ricercatori che operano all'interno di uno degli istituti Telethon;
- la gestione della ricerca biomedica sulle malattie genetiche svolta presso gli istituti interni (TIGEM, HSR-TIGET e DTI) e la gestione dei progetti di ricerca svolti in istituti esterni ma che si avvalgono dei servizi amministrativi della Fondazione;
- la sensibilizzazione scientifica sulle malattie genetiche attraverso i servizi Scrivi a Informagene e Filo Diretto, che forniscono informazioni riguardanti la ricerca sulle suddette malattie e i riferimenti utili per la diagnosi;
- il finanziamento e la gestione della ricerca tecnologica svolta presso il Tecnothon, il laboratorio Telethon che progetta ausili per le persone colpite da disabilità motorie.

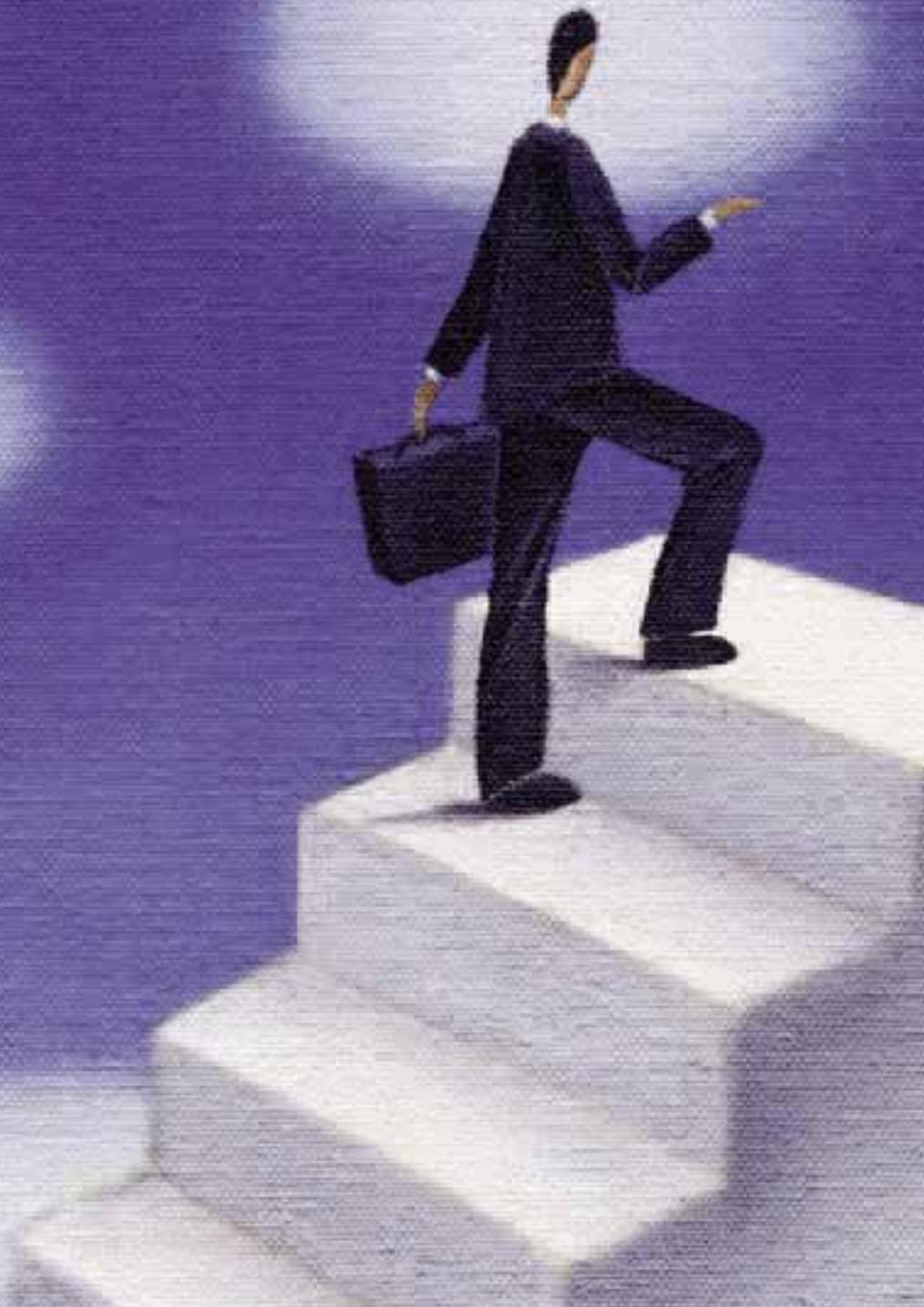
LE ATTIVITÀ DI SUPPORTO

Rientrano tra queste attività:

- la raccolta dei fondi, che culmina nella famosa maratona televisiva e si avvale del supporto di numerosi sostenitori;
- la comunicazione sociale, che contribuisce a informare il largo pubblico sulle attività di Telethon. Questa attività viene svolta principalmente attraverso la produzione televisiva e radiofonica, le pubblicazioni del sito internet, le attività dell'ufficio stampa;
- la gestione delle risorse umane e delle risorse finanziarie necessarie alla vita dell'ente;
- il funzionamento della struttura, che comprende le attività amministrative e organizzative generali degli uffici di Telethon.



3



parte **3**

LE ATTIVITÀ ISTITUZIONALI

BILANCIO DI MISSIONE AL 30 GIUGNO 2007

- LA RICERCA BIOMEDICA
 - > LA VALUTAZIONE DEI PROGETTI
 - > LA RICERCA ESTERNA
 - > LA RICERCA BIOMEDICA INTERNA
 - > I RISULTATI DELLA RICERCA
- LA RICERCA TECNOLOGICA

LA RICERCA BIOMEDICA

UN PERCORSO SERIO DALLA RICERCA DI BASE ALLA CURA NON CONTEMPLA MIRACOLI E SEGUE UNA STRADA PROGRESSIVA LUNGO I GRADINI DI UNA SCALA IDEALE

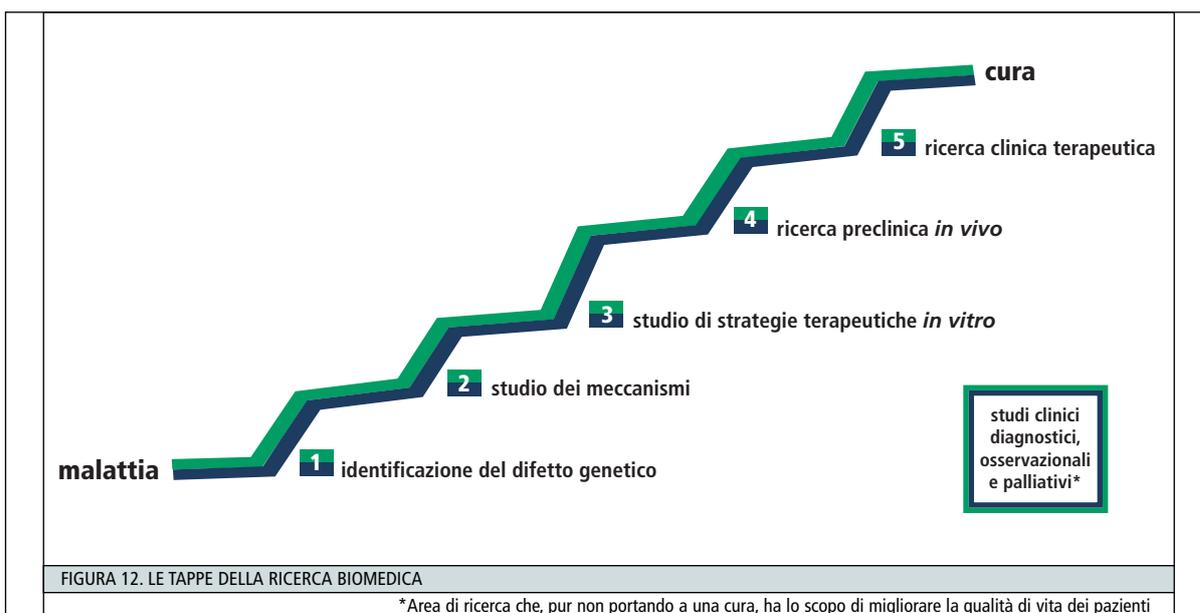
Il percorso ideale di avanzamento della ricerca, dalla malattia alla cura, procede attraverso tappe progressive che possiamo schematizzare in una scala (Figura 12).

Il primo gradino è rappresentato dall'individuazione del difetto genetico che causa la malattia.

Nel secondo gradino, i ricercatori studiano a fondo i geni-malattia alterati per comprendere qual è il loro funzionamento normale nell'organismo e i meccanismi che, se alterati, causano i sintomi della malattia. Da queste informazioni si parte per ideare strategie terapeutiche, la cui efficacia verrà studiata in modelli cellulari (*in vitro*, gradino 3) o animali (*in vivo*, gradino 4).

Soltanto le terapie che si dimostrano efficaci nei modelli animali e potenzialmente sicure nell'uomo sono adatte a passare alla sperimentazione clinica sui pazienti (gradino 5). Un ulteriore filone di ricerca (rappresentato fuori dalla scala) riguarda gli studi clinici di tipo diagnostico, osservazionale e palliativo che, pur non portando ad una cura, hanno lo scopo di migliorare la diagnosi e la qualità di vita dei pazienti. Per quanto semplificato rispetto alla realtà, il modello della scala è uno strumento utile per valutare le attività di ricerca di Telethon. Questo modello verrà riproposto ad esempio per capire a quale stadio di progresso si collocano i progetti di ricerca Telethon (☐ p. 43) e i principali risultati conseguiti nell'anno 2006-2007 (☐ p. 59 e seguenti).

La sfida di Telethon è quella di avanzare il più possibile verso i gradini più alti di questa scala ideale, verso la cura.





“ MI ACCOSTO A QUESTO NUOVO IMPEGNO CON IL SENSO DI UNA MISSIONE. CERCHERÒ DI METTERE A DISPOSIZIONE DELLA MIGLIORE RICERCA ITALIANA UNA QUANTITÀ CRESCENTE DI RISORSE FINANZIARIE, MANTENENDO IL RIGORE AMMINISTRATIVO E ASSICURANDO ALLA COMUNITÀ SCIENTIFICA LA SUA AUTONOMIA E IL SUO PRIMATO DI GIUDIZIO ”

PIETRO SPIRITO | DIRETTORE GENERALE DI TELETHON DAL 1 SETTEMBRE 2007

UN PIANO STRATEGICO PER LA RICERCA

Per perseguire al meglio la propria missione, contribuendo ad accelerare la salita verso gradini sempre più alti nella scala della ricerca, nel 2005 il Consiglio di Amministrazione ha chiesto al Consiglio di Indirizzo Scientifico di mettere a punto un piano strategico per guidare la ricerca di Telethon nei cinque anni successivi. Eccellenza nella ricerca, progresso verso le terapie, flessibilità dei finanziamenti e alleanze sono le parole chiave sulle quali si articola il Piano Strategico della Ricerca 2006-2010.

Il piano si basa sulla visione di che cosa Telethon vuole essere nel 2010, dalla quale derivano quattro priorità strategiche che ne guideranno le azioni. Per ciascuna priorità strategica, il piano identifica una o più aree di intervento dove verranno concentrati gli sforzi nel campo della ricerca scientifica (Figura 13).

Il piano strategico 2006-2010 è disponibile sul sito (www.telethon.it/ricerca/piano.asp)

LA NOSTRA VISIONE Che cosa vogliamo essere nel 2010	PRIORITÀ STRATEGICHE Come realizzeremo la nostra visione	AREE DI INTERVENTO Dove indirizzeremo le nostre azioni
<p>SAREMO UNA <i>CHARITY</i> RICONOSCIUTA INTERNAZIONALMENTE CHE TRASFORMA RICERCA ECCELLENTE IN TERAPIE DISPONIBILI PER I PAZIENTI</p>	<p>1 Perseguire l'eccellenza nella ricerca</p>	<p>1A Continuare a sostenere eccellente ricerca di base nel campo delle malattie genetiche 1B Promuovere l'integrazione di scienziati di valore in Italia</p>
	<p>2 Avanzare verso le terapie e renderle disponibili ai pazienti</p>	<p>2A Sfruttare il potenziale terapeutico della ricerca di base 2B Promuovere la sperimentazione clinica dei progetti più promettenti 2C Creare una piattaforma per gli studi clinici 2D Ottenere la registrazione delle nostre nuove terapie</p>
	<p>3 Accrescere la flessibilità dei finanziamenti</p>	<p>3A Adottare lo stesso modello di finanziamento per tutte le iniziative di ricerca e assicurare fondi alternativi per la ricerca interna</p>
	<p>4 Creare alleanze</p>	<p>4A Rafforzare le relazioni con i pazienti e il pubblico 4B Creare alleanze internazionali</p>

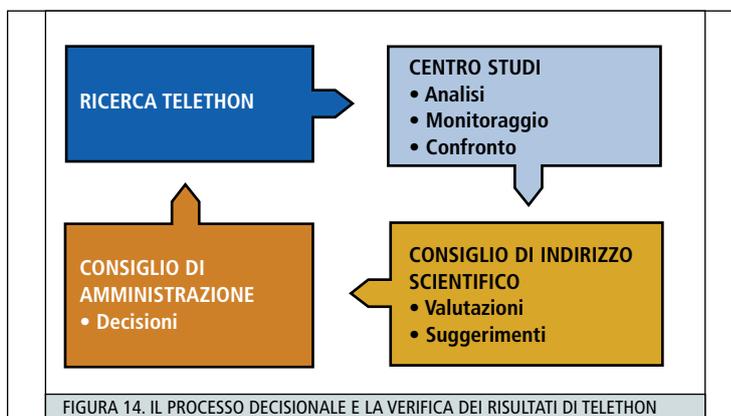
FIGURA 13. IL PIANO STRATEGICO DELLA RICERCA 2006-2010: VISIONE, PRIORITÀ E AREE DI INTERVENTO

L'attuazione del piano strategico (Figura 14) segue un processo decisionale che si basa sulla verifica continua dei risultati e che coinvolge tre importanti attori:

- Il Centro Studi Telethon, una struttura professionale interna creata nel 2005, responsabile del monitoraggio, analisi e confronto della ricerca Telethon. Il Centro Studi produce rapporti sui finanziamenti, i risultati e lo stato dell'arte della ricerca per il Consiglio di Indirizzo Scientifico;
- Il Consiglio di Indirizzo Scientifico (CIS)³, composto da eminenti esperti in diversi campi della ricerca biomedica, che valuterà periodicamente i progressi di Telethon e offrirà consulenza continua per il raggiungimento degli obiettivi delineati nel piano;

³ Il CIS di Telethon è composto da: Salvatore Di Mauro, Columbia University, New York (USA) (presidente); Pietro De Camilli, Yale University, New Haven (USA); Robert Goldstein, Juvenile Diabetes Research Foundation, New York (USA); Michio Hirano, Columbia University, New York (USA); Robertson Parkman, Children's Hospital, Los Angeles (USA); Roderick R. McInnes, The Hospital for Sick Children, Toronto (CANADA); Paul Robbins, University of Pittsburgh, Pittsburgh (USA).

- Il Consiglio di Amministrazione, che terrà conto delle indicazioni del Consiglio di Indirizzo Scientifico nel prendere decisioni chiave per la strategia di ricerca di Telethon.



LE ATTIVITÀ SCIENTIFICHE FINANZIATE DA TELETHON

La finalità istituzionale del Comitato Telethon Fondazione ONLUS, valutare e selezionare i progetti ed erogare i fondi per la ricerca, riguarda diversi tipi di attività scientifiche.

RICERCA ESTERNA

- **PROGETTI DI RICERCA**
Studi proposti dal singolo ricercatore, o progetti multicentrici sulle malattie genetiche sviluppati presso enti di ricerca pubblici e privati non profit
- **SERVIZI ALLA RICERCA**
Iniziative che offrono alla comunità scientifica servizi tecnologici o infrastrutture utili alla ricerca sulle malattie genetiche (es. biobanche, microscopia, librerie di DNA etc.)
- **BORSE DI STUDIO**
Fellowships per la formazione di studenti post-dottorali all'estero

RICERCA INTERNA (ISTITUTI DI RICERCA TELETHON)

- **TIGEM (Telethon Institute of Genetics and Medicine)**
ANNO DI FONDAZIONE: 1994
CITTÀ: Napoli
AREA DI INTERESSE: Identificazione di geni-malattia, studi funzionali
- **HSR-TIGET (San Raffaele-Telethon Institute for Gene Therapy)**
ANNO DI FONDAZIONE: 1995 (Joint Venture con l'Ospedale San Raffaele)
CITTÀ: Milano
AREA DI INTERESSE: Sviluppo di protocolli di terapia genica per le malattie ereditarie
- **DTI (Dulbecco Telethon Institute)**
ANNO DI FONDAZIONE: 1999
CITTÀ: Centri situati in varie città italiane (istituzioni che offrono un adeguato ambiente di ricerca)
AREA DI INTERESSE: Sviluppo delle carriere di ricercatori eccellenti senza incarico permanente in Italia

Il portafoglio di ricerca Telethon comprende molteplici iniziative, con diversi modelli di finanziamento, come riassunto nella Figura 15.

INIZIATIVA	RICERCA ESTERNA	HSR-TIGET	DTI	TIGEM
DURATA	1- 3 ANNI	5 ANNI	5 ANNI	5 ANNI
BANDO COMPETITIVO	SI	NO	SI	NO
MODELLO DI FINANZIAMENTO	TELETHON • costi di ricerca ISTITUTI OSPITANTI • salari • costi strutturali	TELETHON • costi di ricerca OSPEDALE SAN RAFFAELE • salari • costi strutturali	TELETHON • costi di ricerca • salari ISTITUTI OSPITANTI • costi strutturali	TELETHON • costi di ricerca • salari • costi strutturali

FIGURA 15. I MODELLI DI FINANZIAMENTO TELETHON ALLA RICERCA

Il finanziamento alla ricerca esterna avviene attraverso bandi competitivi (Figura 16) ai quali possono partecipare ricercatori che operano in istituti pubblici e non profit in Italia e riguarda unicamente i costi vivi di ricerca (con l'esclusione quindi di salari e costi strutturali).

La ricerca interna è invece quella direttamente operata da Telethon attraverso i propri istituti (TIGEM, HSR-TIGET e DTI). Il finanziamento riguarda le spese vive di ricerca e in alcuni casi, salari e spese strutturali. A differenza della ricerca esterna e del DTI, il finanziamento agli istituti TIGEM e HSR-TIGEM non avviene attraverso bandi competitivi.

TIPO DI FINANZIAMENTO	ACCESSIBILE A	PRESSO	DURATA (ANNI)	SCADENZA BANDO	VALUTAZIONE PROGETTI
Progetti di ricerca (ricerca esterna)	Ricercatori italiani e stranieri residenti in Italia	Istituti di ricerca italiani	1-3	Gennaio 2007	Giugno 2007
Servizi alla ricerca- <i>Facility</i> (ricerca esterna)	Ricercatori italiani e stranieri residenti in Italia	Istituti di ricerca italiani	1-3	Settembre 2006	Novembre 2006
Servizi alla ricerca- <i>Biobanche</i> 2 bandi (ricerca esterna)	Ricercatori italiani e stranieri residenti in Italia	Istituti di ricerca italiani	5	Ottobre 2006 Maggio 2007	Novembre 2006 Giugno 2007
Borse di studio* (ricerca esterna)	Ricercatori italiani	Istituti di ricerca stranieri	1-3	n.c.	n.c.
DTI* (ricerca interna)	Ricercatori italiani e stranieri	Istituti di ricerca italiani	5	n.c.	n.c.
Telethon-UILDM** (ricerca esterna)	Ricercatori italiani e stranieri residenti in Italia	Istituti di ricerca clinica italiani	1-3	Luglio 2006	Novembre 2006

FIGURA 16. I BANDI DI TELETHON 2006-2007

* nel corso dell'anno Telethon ha deciso di non finanziare borse di studio (□ p. 45) e nuove posizioni all'interno del Dulbecco Telethon Institute (□ p. 53).

** □ p. 46 per la descrizione del bando

Prima di passare a relazionare sui finanziamenti erogati e sui risultati della ricerca biomedica, nel periodo 1 luglio 2006 - 30 giugno 2007, il Bilancio si sofferma sul processo di valutazione e selezione dei progetti di ricerca che vengono presentati a Telethon dai ricercatori; è questo, infatti, il primo e fondamentale passo per una ricerca scientifica competitiva.

LA VALUTAZIONE DEI PROGETTI

Al fine di sostenere soltanto ricerca eccellente e coerente con la propria missione, Telethon adotta un rigoroso processo di valutazione schematizzato nella figura seguente.



La valutazione *ex ante* riguarda tutte le proposte di progetto, sia quelle ricevute in risposta ai bandi di concorso che quelle provenienti dagli istituti interni. Tutte le decisioni riguardo ai finanziamenti di Telethon fanno seguito ad un rigoroso processo di *peer review* (p. 38) da parte di una Commissione Medico-Scientifica internazionale, che si avvale di revisori esterni e gruppi di revisione *ad hoc*.

La valutazione *ex post* riguarda tutti i progetti conclusi dai ricercatori, ai quali è richiesto un accurato resoconto scientifico del lavoro svolto e dei risultati ottenuti. Qualora lo stesso ricercatore concorra a nuovi finanziamenti, l'esame del resoconto scientifico da parte della Commissione Medico-Scientifica è uno dei parametri nella valutazione della nuova proposta.

DARE FONDI A ECCELLENTI
PROGETTI E AI MIGLIORI
RICERCATORI IN ITALIA

LA COMMISSIONE MEDICO-SCIENTIFICA E IL PROCESSO DI *PEER REVIEW*

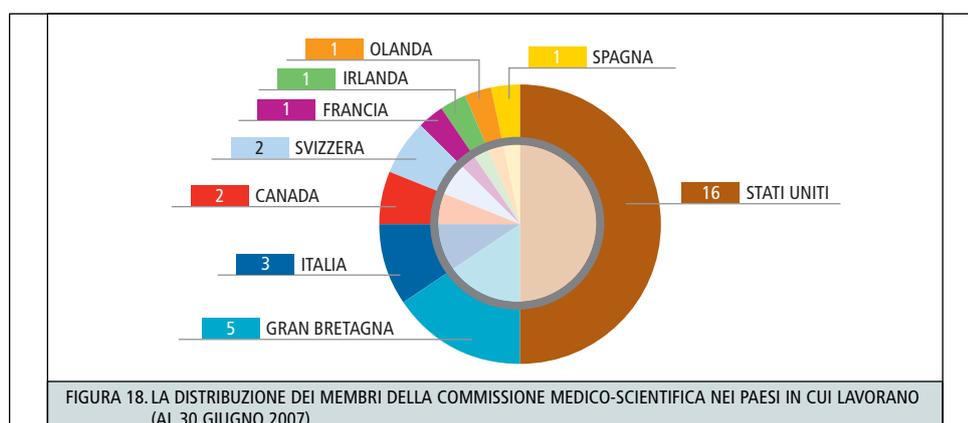
La Commissione Medico-Scientifica rappresenta il principale attore delle attività valutative di Telethon. Il Comitato Telethon si è sempre impegnato affinché la Commissione rispetti le seguenti caratteristiche:

- massima competenza tecnica sugli oggetti di valutazione;
- massima indipendenza di giudizio.

Ciascun membro della Commissione resta in carica per quattro anni.

★ ★ ★ Al 30 giugno 2007 la Commissione è composta da 32 scienziati di fama internazionale (Figura 18). Le presenze italiane sono volutamente ridotte per limitare possibili conflitti di interesse (attualmente sono soltanto tre i commissari che lavorano in Italia).

La lista e i curricula dei membri della Commissione sono disponibili on line sul sito (www.telethon.it/ricerca/cms.asp).



I COMPONENTI DELLA COMMISSIONE MEDICO-SCIENTIFICA AL 30 GIUGNO 2007

Presidente Onorario

Renato Dulbecco
Nobel Prize for Physiology and Medicine 1975

Presidente

Roderick McInnes
The Hospital for Sick Children
Toronto (Canada)

Vice Presidente

Jacques Beckmann
Université de Lausanne
Lausanne (Svizzera)

ALTRI COMPONENTI

Genevieve Almouzni
Institut Curie
Paris (Francia)

Francesco Bernardi
University of Ferrara
Ferrara (Italia)

Paola Bovolenta
Cajal Institute
Madrid (Spagna)

Michael Caplan
Yale University School of Medicine
New Haven (Stati Uniti)

Marco Cassatella
University of Verona
Verona (Italia)

Gino A. Cortopassi
University of California
Davies (Stati Uniti)

Beverly Davidson
University of Iowa
Iowa City (Stati Uniti)

Peter Heutink
VU University Medical Center
Amsterdam (Olanda)

Ole Isacson
McLean Hospital
Boston (Stati Uniti)

Petra Kaufmann
Columbia University
New York (Stati Uniti)

Dimitri M. Kullmann
University College London
London (Gran Bretagna)

James R. Lupski
Baylor College of Medicine
Houston (Stati Uniti)

Alexander E. MacKenzie
Children's Hospital of Eastern Ontario
Ottawa (Canada)

Giovanni Manfredi
Weill Cornell Medical College
New York (Stati Uniti)

Mark McCarthy
Oxford Centre for Diabetes, Endocrinology and
Metabolism (OCDEM)
Oxford (Gran Bretagna)

Frank McKeon
Harvard Medical School
Boston (Stati Uniti)

Elizabeth McNally
University of Chicago
Chicago (Stati Uniti)

Istvan Mody
UCLA School of Medicine
Los Angeles (Stati Uniti)

David Nelson
Baylor College of Medicine
Houston (Stati Uniti)

Terence Partridge
Children's National Medical Center
Washington (Stati Uniti)

Vincenzo Pirrotta
Rutgers University
New Jersey (Stati Uniti)

Tullio Pozzan
University of Padova
Padova (Italia)

Mani Ramaswami
University of Dublin,
Dublin (Irlanda)

Stephen Rich
Wake Forest University School of Medicine
Winston-Salem (Stati Uniti)

Anne Ridley
University College London
London (Gran Bretagna)

Paolo Sassone-Corsi
University of California
Irvine (Stati Uniti)

Sangram S. Sisodia
University of Chicago
Chicago (Stati Uniti)

Harel Weinstein
Weill Cornell Medical College
New York (Stati Uniti)

Alan Wright
Western General Hospital
Edinburgh (Gran Bretagna)

Rolf Zeller
University of Basel Medical School
Basel (Svizzera)



UN MOMENTO DEI LAVORI DI VALUTAZIONE DELLA
COMMISSIONE SCIENTIFICA DI TELETHON

Per la valutazione delle proposte, la Commissione Medico-Scientifica si avvale anche del giudizio di revisori esterni e indipendenti, competenti sull'argomento del progetto. Il processo di *peer review* adottato da Telethon, schematizzato nella Figura 19, prevede che ciascun progetto proposto venga assegnato a tre membri della Commissione Medico-Scientifica e ad almeno due revisori esterni prima della discussione plenaria.

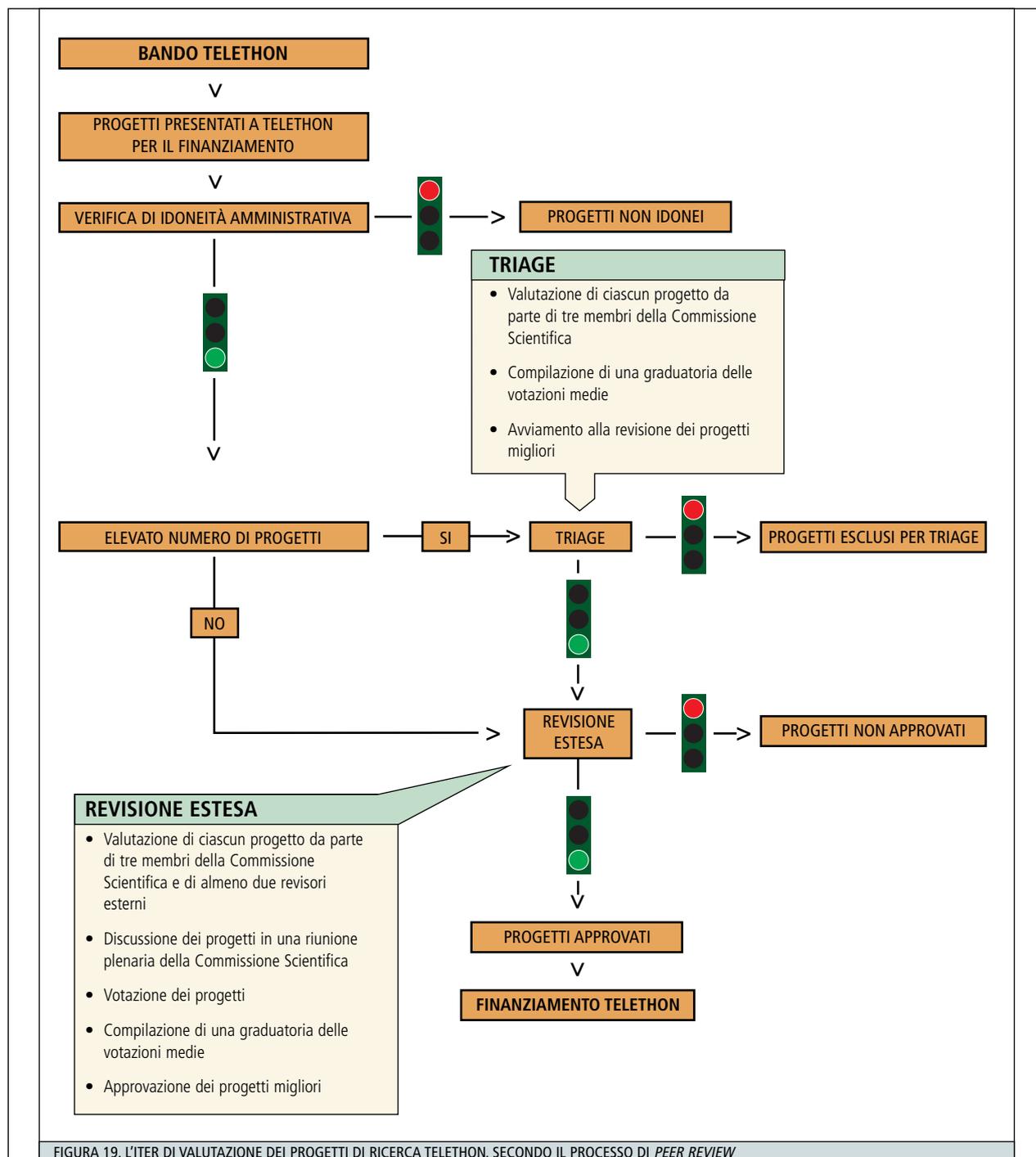


FIGURA 19. L'ITER DI VALUTAZIONE DEI PROGETTI DI RICERCA TELETHON, SECONDO IL PROCESSO DI *PEER REVIEW*



“ TELETHON È UN'ORGANIZZAZIONE DI ALTISSIMO LIVELLO, CON PERSONALE ECCELLENTE E UNA COMMISSIONE SCIENTIFICA COMPOSTA DA PREMINENTI SCIENZIATI PROVENIENTI DA TUTTO IL MONDO, CHE SOSTIENE MOLTI DEI MIGLIORI RICERCATORI IN ITALIA. E' UN ONORE POTER LAVORARE CON TELETHON ”

RODERICK MCINNES | PRESIDENTE DELLA COMMISSIONE MEDICO-SCIENTIFICA

Il processo di *peer review* dei servizi alla ricerca non si avvale dell'apporto di revisori esterni, in considerazione della minore complessità delle relative proposte di progetto. Per la selezione dei ricercatori del "Progetto Carriere Telethon" da inserire presso il DTI (Dulbecco Telethon Institute), viene adottato un ulteriore strumento di valutazione: l'intervista con il candidato. La Commissione Medico-Scientifica, prima della riunione plenaria, valuta le proposte arrivate in risposta al bando e seleziona quelle più meritevoli. I candidati titolari di tali progetti vengono invitati a presentare vari aspetti del loro lavoro di ricerca a tutti i membri della Commissione.



CHE COS'È IL PEER REVIEW

Il termine anglosassone *peer review* (letteralmente "revisione da parte dei pari") indica il metodo condiviso dalla comunità scientifica internazionale con il quale gli enti finanziatori scelgono i progetti su cui investire. Questo sistema si basa sulla valutazione di ogni progetto da parte di revisori indipendenti, scelti fra i ricercatori esperti nell'area a cui il lavoro si riferisce. Il giudizio di revisori altamente imparziali e competenti, insieme a criteri di estrema selettività, è essenziale affinché vengano scelti i progetti più meritevoli. A riprova del suo valore, il processo di *peer review* adottato da Telethon è citato nella letteratura scientifica come esempio di efficienza insieme a quello dei National Institutes of Health statunitensi (*Eur. J Cell Biol.* 2004 Apr; 83 (3): 93-5). La selezione è estremamente competitiva: nell'ultimo bando Telethon per progetti di ricerca esterni, è stato finanziato solo il 20% delle proposte presentate.

Il compito di gestire il processo di valutazione dei progetti è affidato ai *Research Program Manager*, figure professionali con una solida esperienza nella ricerca biomedica che lavorano a tempo pieno per l'Ufficio Scientifico di Telethon. La loro attività è coordinata dal Direttore Scientifico di Telethon.

I *Research Program Manager* assegnano ciascun progetto a tre membri della Commissione Medico-Scientifica, in base alle competenze scientifiche di ciascuno, e individuano, ove previsto, i revisori esterni: scienziati stranieri o italiani che lavorino all'estero, che siano in grado di fornire una valutazione esperta di ogni progetto e che non abbiano conflitti di interessi rispetto al progetto da esaminare.

I dati di tutti i revisori esterni contattati da Telethon sono raccolti in una banca dati che registra ad oggi più di 6.248 scienziati. In occasione di ogni bando, vengono interpellati sia revisori già inseriti nella banca dati, sia nuovi scienziati.

★ ★ ★ I dati dei revisori contattati nella valutazione dei progetti di ricerca e delle carriere scientifiche 2006-2007 sono riassunti nella Figura 20.

BANDO	PROGETTI SOTTOPOSTI A REVISIONE ESTERNA	REVISIONI EFFETTUATE	REVISIONI EFFETTUATE PER PROGETTO
Progetti di ricerca	176	355	2,02
Progetti Telethon-UILD	14	28	2
Dulbecco Telethon Institute (DTI)	4	9	2,25

FIGURA 20. LA REVISIONE ESTERNA DEI PROGETTI NEL 2006-2007

Ai revisori viene chiesto di presentare una valutazione scritta riguardo al progetto proposto. Il giudizio sul merito scientifico tiene conto di criteri come l'originalità e la fattibilità del progetto, l'adeguatezza della richiesta di finanziamento rispetto agli obiettivi proposti e il curriculum vitae dei proponenti.

La decisione finale sul finanziamento dei progetti avviene in una riunione plenaria della Commissione Medico-Scientifica, in cui le valutazioni dei membri stessi della commissione e dei revisori esterni vengono discusse approfonditamente per giungere a una votazione finale di ciascun progetto.

Il voto, risultante dalla media matematica dei giudizi espressi dai commissari, va da un minimo di 1, per i progetti il cui contenuto è definito "poor", ad un massimo di 5, per i progetti particolarmente promettenti di risultati scientifici di rilievo che vengono definiti "outstanding", secondo la seguente scala:

- *outstanding* (eccellente) 5
- *very good* (molto buono) 4
- *good* (buono) 3
- *fair* (discreto) 2
- *poor* (scarso) 1

Nel caso di bandi competitivi, la Commissione Medico-Scientifica stabilisce una graduatoria dei progetti di ricerca in base ai voti espressi. Il Consiglio di Amministrazione delibera quindi il finanziamento dei progetti seguendo la graduatoria, fino ad esaurimento dei fondi allocati per il bando.

A partire dal bando di gennaio 2006, al voto sul merito scientifico si affiancano altre due valutazioni riguardanti, rispettivamente, la rilevanza (cioè l'attinenza del progetto rispetto agli obiettivi di Telethon) e il potenziale terapeutico (cioè lo stadio in cui il progetto si situa lungo la scala della ricerca, □ p. 32). Questi nuovi criteri, previsti dal piano strategico della ricerca 2006-2010, incidono nella valutazione finale in percentuale minoritaria rispetto al voto sul merito scientifico, che rimane perciò il parametro fondamentale per l'assegnazione dei fondi. Tuttavia, a parità di merito scientifico, essi hanno lo scopo di premiare i progetti maggiormente in linea con gli obiettivi di Telethon e più vicini alla cura.



LA VALUTAZIONE DEGLI ISTITUTI TIGEM E HSR-TIGET

Anche le assegnazioni dei fondi agli istituti interni di ricerca del TIGEM e dell'HSR-TIGET seguono i criteri sopra descritti e sono soggette al parere della Commissione Medico-Scientifica ma, proprio per l'importanza di tali impegni economici, si utilizzano degli strumenti di valutazione aggiuntivi.

Viene nominata una Commissione di revisione *ad hoc*, alla quale partecipano alcuni membri della Commissione Medico-Scientifica ed altri ricercatori internazionali con competenze specifiche relative agli ambiti di ricerca degli istituti.

Gli istituti preparano un documento esaustivo che riporta la descrizione della struttura, dei risultati ottenuti, dei piani strategici e dei singoli progetti di ricerca proposti. Questo documento viene inviato a tutti i membri della Commissione di revisione affinché esprimano le loro valutazioni.

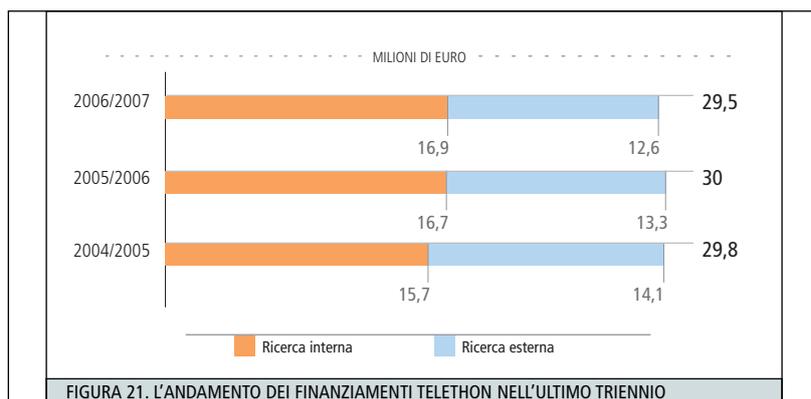
Viene poi organizzata una *site visit* presso l'istituto stesso in coincidenza con la sessione di valutazione. In tale occasione la commissione passa al vaglio il progetto generale dell'istituto e i singoli progetti condotti al suo interno (per ognuno dei quali la commissione si avvale anche del parere di tre revisori esterni) e discute personalmente con il Direttore Scientifico dell'istituto e con i vari responsabili di progetto gli aspetti tecnici e gestionali che risultano particolarmente critici. La Commissione di revisione *ad hoc* infine, esprime una valutazione complessiva sulla proposta di rinnovo dell'istituto grazie alla quale il Consiglio d'Amministrazione di Telethon delibera i finanziamenti agli istituti e ai singoli progetti.

A partire dall'esercizio 2005-2006 per dare maggiore continuità alle attività scientifiche degli istituti, la valutazione complessiva sulla proposta di rinnovo avviene con cadenza quinquennale (e non più triennale come in precedenza).

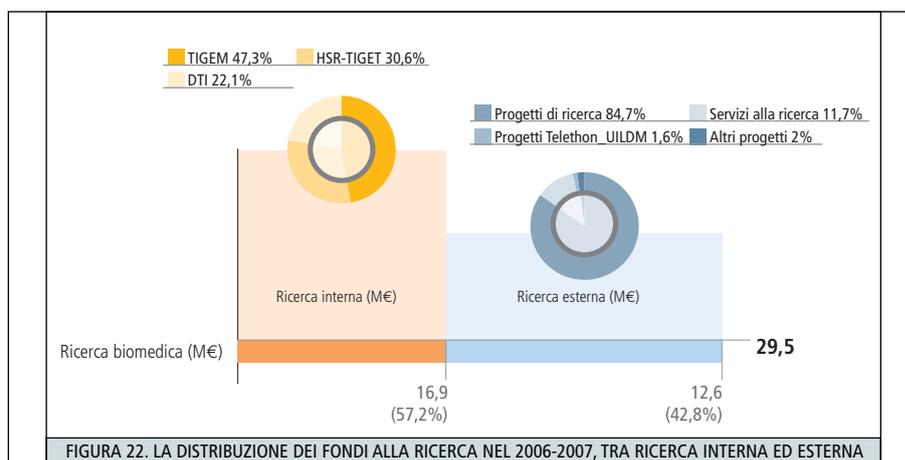


I FINANZIAMENTI ALLA RICERCA BIOMEDICA

★★★ Nell'esercizio 2006-2007 l'impiego di fondi nella ricerca biomedica è stato di **29.552.096 Euro**. Alla ricerca interna (senza considerare gli impegni per Tecnothon) sono andati **16.901.892 Euro** (di cui 6.669.963 provenienti da contributi esterni) e alla ricerca esterna **12.650.204 Euro**.



Alle attività di ricerca biomedica esterna, rivolte a ricercatori che lavorano presso enti di ricerca pubblici o privati non profit, è andato il 42,8% del finanziamento totale dell'anno (☞ p. 44) mentre il restante 57,2% (☞ p. 47) è servito a finanziare le attività degli istituti di ricerca biomedica Telethon (TIGEM, HSR-TIGET e DTI).

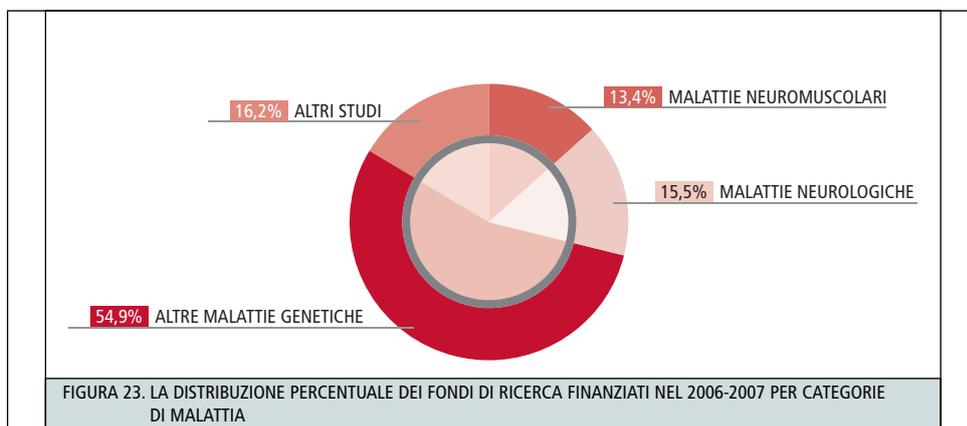


L'AMBITO DI STUDIO DEI PROGETTI FINANZIATI

★★★ Telethon, attraverso l'assegnazione dei fondi sopra descritta, ha deliberato il finanziamento di **116 progetti** (☞ p. 100) nel corso dell'anno 2006-2007.

La figura 23 illustra la suddivisione dei progetti secondo tre grandi categorie di malattie genetiche studiate: malattie neuromuscolari, come le distrofie muscolari, la malattia di Charcot-Marie-Tooth e l'atrofia muscolare spinale; malattie neurologiche, come la sclerosi laterale amiotrofica e la malattia di Huntington; altre malattie genetiche, come l'immunodeficienza combinata grave e la fibrosi cistica. Le patologie citate sopra a titolo esemplificativo figurano ai primi posti nell'elenco delle malattie più finanziate da Telethon dal 1991 ad oggi.

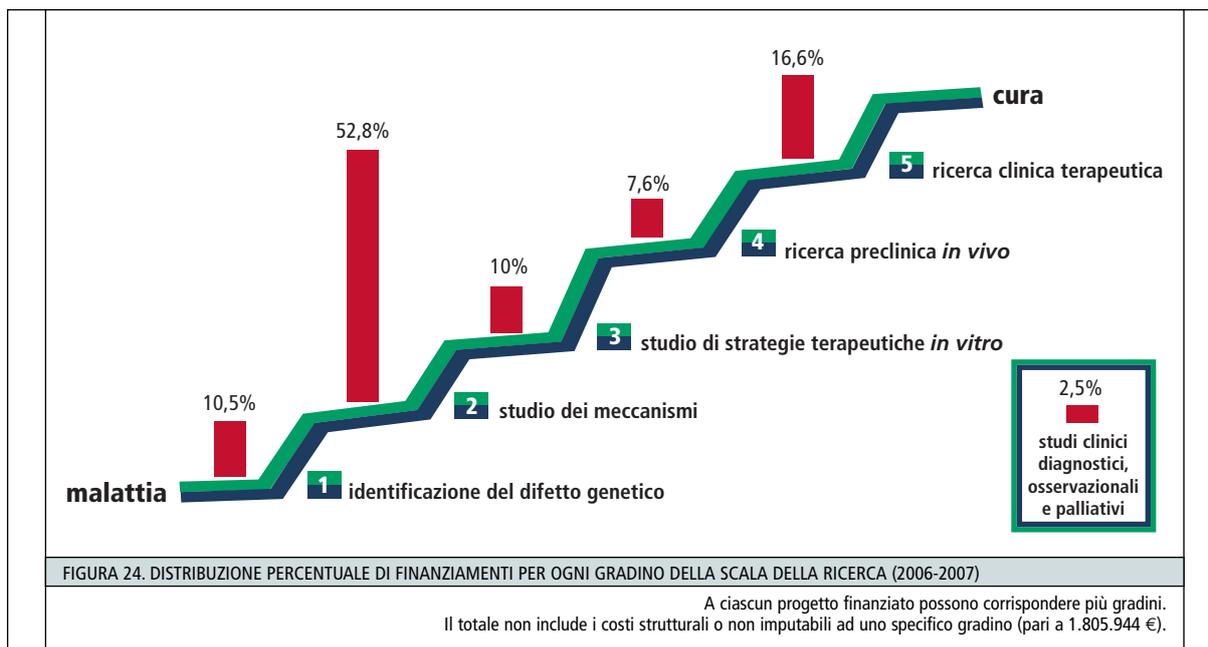
Una parte dei progetti (altri studi) riguarda malattie con cause non esclusivamente genetiche, studi di base trasversali alla conoscenza di più patologie, o servizi alla ricerca e non è quindi assimilabile ad una specifica categoria di patologie.



Ciascun progetto finanziato è stato collocato su uno o più gradini della scala della ricerca in base all'ambito di studio e agli obiettivi proposti (Figura 24).

★ ★ ★ La distribuzione percentuale dei finanziamenti 2006-2007 mostra che la maggior parte dei fondi sono stati destinati a progetti che riguardano lo studio di base sui meccanismi genetici e fisio-patologici delle malattie (secondo gradino), che costituiscono il fondamento per il progresso verso gli approcci terapeutici. Una considerevole quota dei fondi (34,2%) è destinata alla messa a punto di strategie terapeutiche (gradini 3, 4 e 5).

Tale distribuzione è in linea con la ricerca a livello internazionale, dove gran parte degli sforzi mirano ad approfondire le conoscenze di base sulle malattie genetiche per aprire la strada a studi terapeutici mirati.



LA RICERCA ESTERNA

- ★ ★ ★ Il finanziamento alla ricerca biomedica esterna, nel 2006-2007 ha riguardato 67 progetti, con una media di 188.809 Euro a progetto (distribuiti secondo lo schema della Figura 25).

LE DELIBERE 2006-2007 PER LA RICERCA ESTERNA

I progetti presentati in risposta ai bandi per progetti di ricerca e servizi alla ricerca sono stati valutati durante le riunioni della Commissione Medico-Scientifica in sessione plenaria in due principali occasioni: a novembre del 2006 e a giugno del 2007. Una commissione ad hoc ha valutato i progetti Telethon-UILDm nel novembre 2006, mentre per alcuni altri progetti (3, già approvati negli esercizi precedenti) è stato necessario procedere con piccole integrazioni di delibere a seguito di valutazioni supplementari fornite dai membri della Commissione Medico-Scientifica.

TIPOLOGIA DI PROGETTO	PROGETTI VALUTATI	PROGETTI APPROVATI	FINANZIAMENTO TOTALE (EURO)	FINANZIAMENTO MEDIO (EURO)
Progetti di ricerca	176	55	10.718.300	194.878
Servizi alla ricerca e Biobanche di materiale genetico	14	7	1.482.820	211.831
Progetti Telethon-UILDm	13	2	192.000	96.000
Altri progetti		3	257.084	85.695
Totale generale		67	12.650.204	188.809

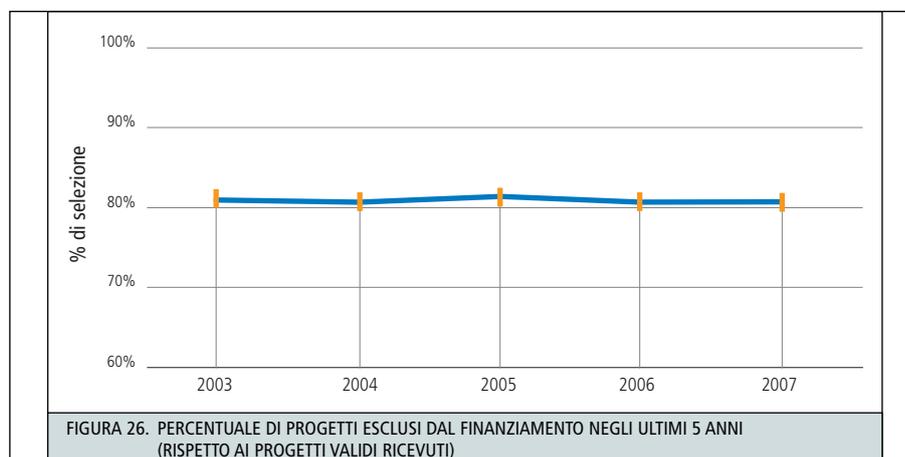
FIGURA 25. PROSPETTO RIEPILOGATIVO DELLE DELIBERE DEL COMITATO ALLA RICERCA ESTERNA (2006-2007)

I PROGETTI DI RICERCA

Dei 284 progetti validi presentati, 176 hanno superato la selezione preliminare denominata Triage (applicata quando si riceve un alto numero di proposte da vagliare; si veda la Figura 19).

- ★ ★ ★ La Commissione Medico-Scientifica ha individuato 55 progetti meritevoli di finanziamento, per i quali il Consiglio di Amministrazione del Comitato ha deliberato una disponibilità finanziaria di **10.718.300 Euro**.

Per i progetti di ricerca, nel bando 2007, la soglia di selezione si è mantenuta ad un livello elevato e simile a quelli degli anni precedenti, escludendo dal finanziamento più dell'80% dei progetti presentati. Questo dato mostra l'elevata selettività del processo di revisione.





“ SIAMO MOLTO GRATI A TELETHON CHE HA CREDUTO NEL PROGETTO FIN DALL’INIZIO E CHE CI FINANZIA ININTERROTTAMENTE DAL 1992 ”

PAOLO BERNARDI* | DIPARTIMENTO DI SCIENZE BIOMEDICHE SPERIMENTALI UNIVERSITÀ DI PADOVA

*Paolo Bernardi insieme a Paolo Bonaldo ha coordinato un progetto i cui risultati sono stati pubblicati sulla prestigiosa rivista Proceedings of the National Academy of Sciences (PNAS) e che hanno portato ad autorizzare la sperimentazione clinica con ciclosporina A in uno studio pilota su un gruppo di bambini affetti dalla distrofia muscolare congenita di Ulrich con difetti nel gene per il collagene VI. Il farmaco già in uso per altri scopi, ripara il guasto che scatena la malattia, proprio come era successo nel modello animale.

I SERVIZI ALLA RICERCA

★★★ **Nell’anno di competenza del Bilancio, sono stati emessi bandi diversi suddivisi per tipologia di servizio: un bando dedicato al finanziamento delle facility di ricerca (ovvero infrastrutture in grado di mettere a disposizione della comunità scientifica servizi, tecnologie o tecniche di analisi particolari) e due finalizzati al finanziamento delle biobanche di materiale genetico.**

Nell’ambito delle facility, la Commissione ha valutato 6 progetti approvandone 3, per un totale di 467.600 Euro.

Nell’ambito della seconda fattispecie, l’intento è stato quello di istituire un network delle biobanche già finanziate con l’obiettivo di mettere in rete le risorse disponibili nelle varie sedi e creare una gestione comune e centralizzata. Nel novembre 2006, in attesa di una completa definizione e presentazione della nuova struttura del network, la Commissione ha approvato il rifinanziamento di 3 biobanche - che avevano esauriti i fondi precedenti - per un importo complessivo pari a 95.000 Euro. Nel corso della riunione di giugno 2007, la Commissione ha approvato la costituzione della rete che riunisce e coordina le sette biobanche genetiche (vedi box di approfondimento) attualmente finanziate da Telethon, per un ammontare complessivo di 920.220 Euro corrispondenti ai primi due anni di attività del network.



RETE TELETHON DI BANCHE BIOLOGICHE GENETICHE

Le banche biologiche (biobanche) genetiche sono strutture che preservano campioni biologici da pazienti e li rendono disponibili alla comunità scientifica. Nell’ambito dei finanziamenti per i servizi alla ricerca, Telethon ha finanziato, dal 1993 al 2006, 15 biobanche, con un investimento pari a 2.300.000 Euro.

Le biobanche finanziate da Telethon custodiscono campioni estremamente rari e la loro attività si inserisce nell’ambito di gradini fondamentali della scala di progressione della ricerca verso la cura. Il processo di valutazione applicato da Telethon prevede che le biobanche vengano selezionate in base a criteri di eccellenza riguardanti la presenza di una struttura con attività consolidata nel tempo, il rispetto dei principi bio-etici, la certificazione di qualità delle procedure e l’efficienza nella gestione operativa e dei dati.

L’esigenza di promuovere la costituzione di una rete tra le biobanche genetiche finanziate da Telethon è nata con l’obiettivo strategico di valorizzare l’impatto di queste strutture presso la comunità scientifica italiana e internazionale. La Commissione Medico-Scientifica ha raccomandato, quali processi fondamentali in questa direzione, l’introduzione di sistemi di gestione integrata e l’ottimizzazione di standard operativi comuni. Per la costituzione della rete, Telethon si è impegnato per un finanziamento complessivo di 2.170.840 Euro nell’arco di 5 anni, al fine di garantire la continuità di sostegno necessaria al completamento di un intervento strutturale di tale entità.

Il progetto multicentrico per la Rete Telethon di Banche Biologiche Genetiche è stato approvato dopo aver superato un processo di valutazione che ha riguardato sia la qualità delle singole biobanche sia la struttura complessiva della rete in termini di sinergia, organizzazione, modalità di governance, coordinamento e omogeneizzazione delle procedure operative.

Il finanziamento delle annualità successive alla prima dipenderà dall’esito positivo delle verifiche annuali dell’efficienza e della qualità dell’infrastruttura.

La composizione della Rete prevede anche l’ingresso di nuove biobanche approvate dalla commissione nell’arco del periodo di finanziamento.

LE BORSE DI STUDIO ALL’ESTERO

★★★ **Nel corso del presente esercizio non sono stati emessi bandi per borse di studio in quanto è stato definito prioritario concentrare le risorse su altre iniziative.**

I PROGETTI TELETHON-UILDM

Dal 2001, Telethon e l'Unione Italiana Lotta alla Distrofia Muscolare (UILDM) hanno deciso di dedicare i fondi raccolti dai volontari UILDM durante la maratona Telethon ad un bando speciale per progetti di ricerca clinica che abbiano come obiettivo il miglioramento della qualità della vita dei malati neuromuscolari. Al bando sono ammessi esclusivamente studi clinici mirati alla prevenzione, diagnosi, terapia e riabilitazione nel campo delle malattie neuromuscolari. Il processo di *peer review* viene condotto da un comitato scientifico misto composto da esperti clinici selezionati tra i membri delle Commissioni Medico-Scientifiche di Telethon e UILDM. Nell'ambito di questo programma, dal 2003 è stata istituita una collaborazione fra Telethon e il Centro Cochrane Italiano per promuovere e migliorare la qualità della ricerca clinica delle malattie genetiche neuromuscolari. In questi anni sono stati coinvolti oltre 30 centri clinici italiani e oltre 2.000 pazienti con malattie neuromuscolari.

★ ★ ★ In risposta al bando 2006 per progetti clinici Telethon-UILDM, sono stati valutati 13 progetti, 2 dei quali sono stati ammessi al finanziamento per un totale di **192.000 Euro**.

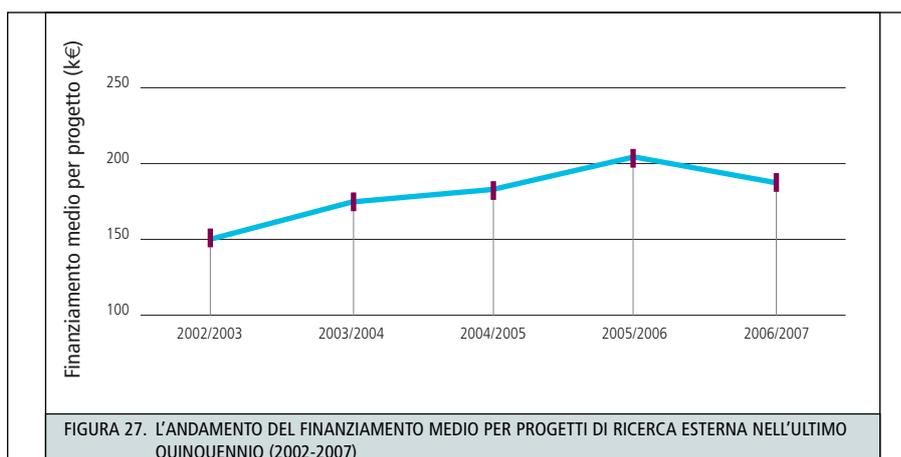
ALTRI PROGETTI

★ ★ ★ Oltre a quelli sopra elencati, nel 2006-2007 il finanziamento Telethon alla ricerca esterna ha riguardato anche altri progetti per un valore complessivo di **257.084 Euro**.

FINANZIAMENTI ADEGUATI E CRESCENTI NEL TEMPO

Sostenere ricerca di eccellenza significa anche fornire ai progetti selezionati la quantità di fondi adeguata per portare a compimento gli obiettivi proposti. Per questo, Telethon non stabilisce a priori la somma minima o massima da assegnare a ciascun progetto: al contrario, ogni proposta presentata deve essere accompagnata da una stima precisa e giustificata dei costi, che viene attentamente valutata dalla Commissione Medico-Scientifica.

Da una panoramica del finanziamento alla ricerca esterna negli ultimi 5 anni (Figura 27), risulta che il finanziamento medio per progetto è cresciuto costantemente, con una leggera flessione nell'ultimo anno rispetto al precedente (nel quale il finanziamento medio ha risentito di un'erogazione straordinaria di 400.000 Euro a favore della Fondazione Serena). Questo dato indica non solo l'adeguamento naturale ai costi sempre più elevati della ricerca, ma anche l'impegno di Telethon a sostenere ricerche sempre più complesse ed impegnative, organizzate anche in progetti multicentrici, che offrono ai ricercatori una maggiore competitività e migliori speranze di successo.



LA RICERCA INTERNA

★★★ Il finanziamento agli istituti interni di ricerca, nel 2006-2007 è stato complessivamente di **16.901.892 Euro**, suddiviso tra le delibere del Comitato, gli oneri gestionali della Fondazione e i contributi vincolati ricevuti da enti esterni.

ISTITUTO	IMPORTI DELIBERATI DAL COMITATO	ONERI GESTIONALI SOSTENUTI DALLA FONDAZIONE	CONTRIBUTI DA ENTI ESTERNI	FINANZIAMENTO TOTALE (EURO)
TIGEM	3.103.260	-	4.891.984	7.995.244
HSR-TIGET	5.169.480	-	*	5.169.480
DTI	1.820.000	139.189	1.777.979	3.737.168
Totale generale	10.092.740	139.189	6.669.963	16.901.892
FIGURA 28. PROSPETTO RIEPILOGATIVO DEI FONDI ASSEGNATI DA TELETHON ALLA RICERCA INTERNA PER OGNI SUO ISTITUTO (2006-2007)				
* I contributi di enti esterni all'HSR-TIGET non entrano nel bilancio di Telethon, ma sono gestiti direttamente dalla Fondazione San Raffaele (p. 51, Figura 32)				



IL TELETHON INSTITUTE OF GENETICS AND MEDICINE (TIGEM)

Il TIGEM, sotto la direzione scientifica di Andrea Ballabio, è un centro di riferimento a livello internazionale nel campo della genetica.

Inizialmente situato presso il San Raffaele di Milano, da sei anni ha sede a Napoli ed è ospitato presso l'Area della Ricerca Napoli 1 del CNR. Il TIGEM attualmente occupa una superficie di 2.200 mq. Per questi locali il CNR non richiede il pagamento dell'affitto e al TIGEM vengono addebitati solo i costi delle utenze di sua pertinenza.

La ricerca di TIGEM è attualmente focalizzata su cinque principali linee di studio:

- 1) Disturbi dello sviluppo: studio dei meccanismi responsabili di malformazioni e sindromi dello sviluppo;
- 2) Malattie oculari ereditarie: studio dei meccanismi e degli approcci terapeutici nel campo delle malattie genetiche dell'occhio;
- 3) Errori congeniti del metabolismo: studio dei meccanismi e degli approcci terapeutici nel campo delle malattie metaboliche;
- 4) Genomica funzionale: studio della funzione e della regolazione di famiglie di geni importanti nelle patologie ereditarie;
- 5) *Systems Biology*: studio e modellizzazione su larga scala delle relazioni esistenti fra diversi geni, con metodi biologici e bioinformatici.

Nell'ambito di queste linee di ricerca, sono in fase di implementazione studi sperimentali sulla terapia genica delle malattie oculari e metaboliche, per le quali si è anche avviata una collaborazione con centri clinici.

★★★ A giugno del 2007, nel corso della conferenza annuale della European Society of Human Genetics, Andrea Ballabio è stato insignito dell'ESHG AWARD per avere diretto un istituto scientifico (il TIGEM) conosciuto a livello internazionale, i cui interessi spaziano in campi diversi, dalla ricerca dei geni alla terapia genica, passando attraverso la patogenesi.

Al TIGEM sono presenti 12 gruppi di ricerca che operano nelle aree sopra descritte, ciascuno sotto la supervisione di un group leader. Di questi, oltre al Prof. Ballabio, Professore di Genetica Medica dell'Università degli Studi di Napoli "Federico II", altri cinque sono docenti universitari. Nel complesso al TIGEM, al 30 giugno 2007 lavoravano 130 persone.

Dipendenti	21
Collaboratori	55
Professionisti	2
Borsisti	52
Totale personale	130
Uomini	49
Donne	81
Group Leader (Ricercatori principali)	12
Ricercatori junior e tecnici	109
Personale amministrativo e di supporto	9
FIGURA 29. IL PERSONALE DEL TIGEM AL 30 GIUGNO 2007	

Il TIGEM è sede di svolgimento di dottorati di ricerca dell'Università di Napoli "Federico II", della Seconda Università di Napoli, dell'Open University e della Scuola Superiore di Medicina Molecolare. Sono attualmente 44 i dottorandi che svolgono il loro training al TIGEM e ad essi si aggiungono i 32 che hanno concluso il dottorato nei periodi precedenti.

Dalla sua nascita, l'istituto TIGEM ottiene i finanziamenti secondo la procedura di revisione descritta nella sezione relativa alla valutazione degli istituti interni di ricerca (p. 41). L'ultima valutazione è avvenuta a marzo 2006 per il periodo 1 luglio 2006 - 30 giugno 2011.

★★★ Nel corso del presente esercizio è stata deliberata la seconda annualità pari a **3.103.260 Euro**, (relativo al periodo luglio 2007 - giugno 2008) per coprire i progetti di ricerca, i costi strutturali e quelli relativi ai servizi e laboratori comuni (microscopia, colture cellulari, bioinformatica etc.).

Il TIGEM riceve finanziamenti anche da altri enti, principalmente per lo svolgimento di progetti di ricerca, ma anche come supporto ai costi della struttura (Figura 30).

★★★ Nel presente esercizio il TIGEM ha ottenuto nuovi contributi per un valore totale di **4.891.894 Euro** da:

- enti europei (Commissione Europea nell'ambito del VI Programma Quadro e la Wellcome Trust);
- enti pubblici italiani (Ministero dell'Istruzione, Università e Ricerca attraverso i fondi FIRB e Regione Campania);
- enti privati italiani (Associazione Italiana per la Ricerca sul Cancro);
- enti americani (National Institutes of Health e la National Mucopolysaccharidosis Society).

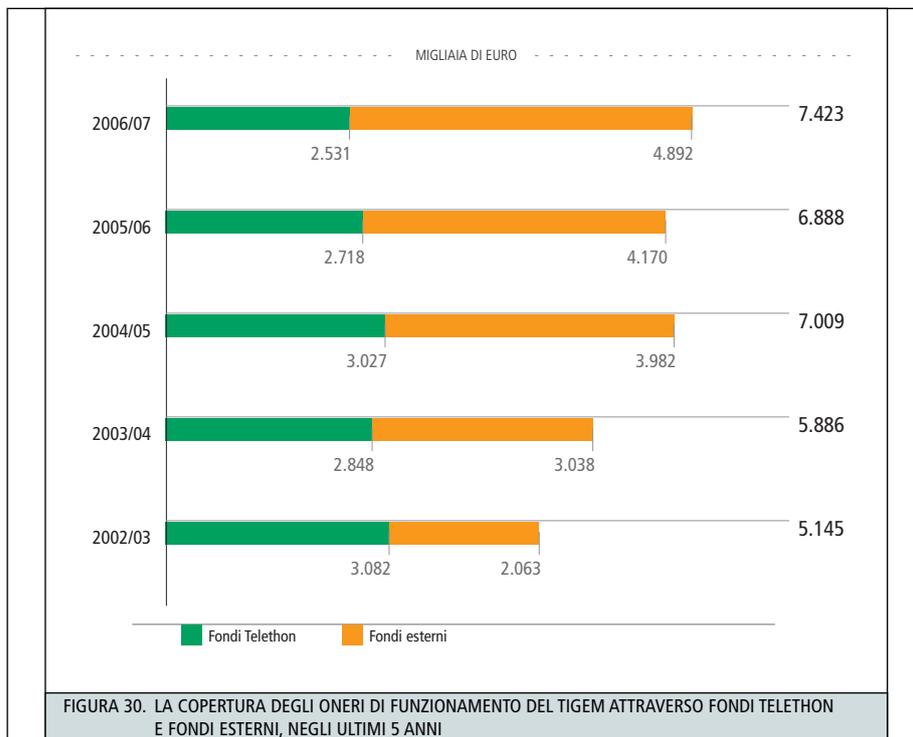


“ NON FOSSE STATO PER IL TIGEM SAREI ANCORA NEGLI USA, MA AVER ACCETTATO LA SFIDA È STATO IMPORTANTE: MI DA LA CONSAPEVOLEZZA DI FARE QUALCOSA DI GRANDE VALORE PER IL MIO PAESE ”

ANDREA BALLABIO | DIRETTORE DEL TIGEM

I fondi ottenuti dagli enti esterni hanno costituito negli anni un volano di crescita per il TIGEM. Dalla Figura 30 si può notare, infatti, come i suoi oneri siano aumentati nel tempo e come si sia fatto fronte alla loro copertura con i finanziamenti esterni, mantenendo allo stesso tempo stabili gli impieghi di Telethon.

Ogni progetto del TIGEM costituisce un centro di costo e questo permette di allocare con precisione le spese delle singole linee di ricerca. I ricercatori responsabili dei progetti sono così informati periodicamente sullo stato dei loro fondi.





IL SAN RAFFAELE - TELETHON INSTITUTE FOR GENE THERAPY (HSR-TIGET)

L'HSR-TIGET è un'iniziativa congiunta di Telethon e della Fondazione San Raffaele del Monte Tabor ed è situato all'interno del Dipartimento di Biotecnologie dell'istituto scientifico San Raffaele di Milano. L'istituto è co-diretto da Maria Grazia Roncarolo e Luigi Naldini, entrambi docenti presso la Facoltà di Medicina e Chirurgia dell'Università Vita-Salute San Raffaele e rappresenta il più grande investimento di Telethon in uno dei campi più promettenti nella lotta alle malattie genetiche, quello della terapia genica. Questo campo di ricerca mira alla cura attraverso l'immissione, nelle cellule dei pazienti affetti da malattie genetiche, di geni "sani" in grado di sopperire al funzionamento di quelli difettosi. I geni terapeutici vengono trasferiti nelle cellule dei pazienti attraverso vettori genetici, in genere ricavati da virus resi innocui. A questo proposito, i ricercatori sono impegnati in progetti d'avanguardia che riguardano lo studio e la messa a punto di particolari vettori, detti lentivirali, che risultano particolarmente efficienti e versatili. L'HSR-TIGET è composto da due unità. La prima, attiva dal 1995, è dedicata ai progetti di ricerca preclinica per la terapia genica di malattie ereditarie. L'altra, l'Unità di Ricerca Clinica (CRU), nata nel 2000, ha l'obiettivo di effettuare studi clinici per testare l'efficacia e la sicurezza dei protocolli terapeutici messi a punto all'HSR-TIGET.

Le attività dell'HSR-TIGET sono suddivise in tre aree principali:

- 1) Progetti di terapia genica: studi di base e pre-clinici sulle malattie genetiche;
- 2) Studi di biologia molecolare e cellulare del trasferimento genico: miglioramento dell'efficacia e sicurezza dei vettori lentivirali e studio della risposta immune al trasferimento genetico;
- 3) Unità di ricerca clinica pediatrica: studi clinici di terapia genica sulle malattie genetiche.

L'istituto scientifico San Raffaele, nel quale si trova l'HSR-TIGET, rappresenta un ambiente ideale per la terapia genica: la struttura è infatti focalizzata sullo sviluppo della medicina molecolare e in essa operano importanti gruppi di ricerca sulle cellule staminali. Inoltre la vicinanza con la struttura ospedaliera facilita il passaggio della ricerca dal laboratorio alla clinica.

Nel 2002 l'HSR-TIGET ha raggiunto un importante successo, mettendo a punto il primo protocollo sicuro ed efficace per la terapia genica della ADA-SCID, una grave immunodeficienza congenita, che ha portato finora alla guarigione completa di dieci bambini affetti da questa grave patologia.

Tale protocollo aveva ottenuto ad agosto del 2005 la designazione di "farmaco orfano" da parte dell'EMA, l'ente regolatorio europeo sui farmaci.

★★★ **Nell'anno 2006-2007 cinque nuovi pazienti sono stati trattati con il protocollo clinico.**

Il personale dell'istituto HSR-TIGET è composto da 77 unità tra ricercatori, tecnici, personale clinico e amministrativo. I progetti attivi sono 12; presso l'HSR-TIGET si svolgono anche corsi di dottorato e tirocini formativi.



“ OGGI PRESSO IL TIGET STIAMO SPERIMENTANDO I PRIMI SUCCESSI CLINICI DELLA TERAPIA GENICA. SPERO CHE, COME ME, ALTRI RICERCATORI, GRAZIE AL SOSTEGNO DI TELETHON, POSSANO RIENTRARE IN ITALIA E INSERIRSI CON SUCCESSO NELLA COMUNITÀ SCIENTIFICA DEL NOSTRO PAESE ”

LUIGI NALDINI | CONDIRETTORE DELL'HSR-TIGET

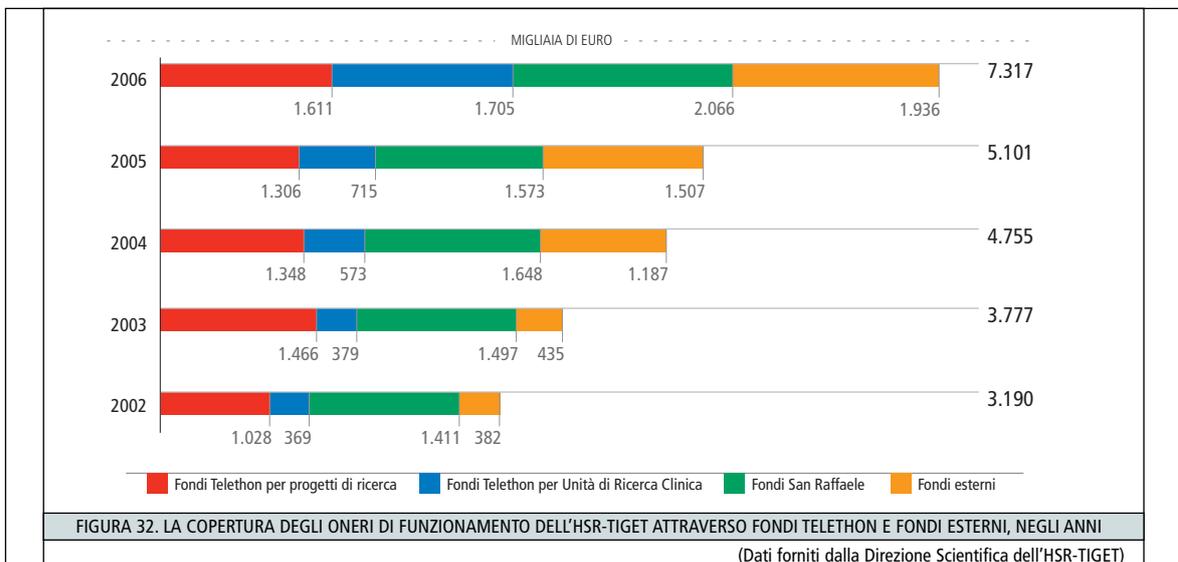
Direttori, <i>group leader</i> e <i>project leaders</i>	13
Ricercatori, tecnici e dottorandi	53
Personale clinico	7
Personale amministrativo	4
Totale personale	77
Uomini	20
Donne	57
FIGURA 31. IL PERSONALE DELL'HSR-TIGET A DICEMBRE 2006	
(Dati forniti dalla Direzione Scientifica dell'HSR-TIGET)	

Dalla sua nascita, anche l'istituto HSR-TIGET così come il TIGEM ottiene i finanziamenti secondo la procedura di revisione descritta nella sezione relativa alla valutazione degli istituti interni di ricerca (p. 41) . L'ultima valutazione dell'HSR-TIGET è avvenuta a novembre 2005 per il periodo 2006-2010.

★ ★ ★ Nel corso dell'esercizio è stato deliberato un totale di **2.789.580 Euro** relativo alla seconda annualità, gennaio-dicembre 2007, per i progetti di ricerca (2.004.900 Euro) e per l'Unità di Ricerca Clinica (784.680 Euro). Fondi addizionali, per un importo totale di 179.900 Euro, sono stati ottenuti dall'HSR-TIGET attraverso la partecipazione di una sua ricercatrice a progetti multicentrici presentati a Telethon ed approvati dalla Commissione Medico-Scientifica.

Telethon finanzia circa il 30% dei costi necessari all'attività di ricerca dell'HSR-TIGET e una quota equivalente è messa a disposizione dalla Fondazione San Raffaele. La parte restante viene coperta da enti esterni tra i quali figurano: la Commissione Europea, il Ministero dell'Università e Ricerca, l'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA), i National Institutes of Health (NIH-USA), la Fondazione Americana per il Diabete Giovanile (JDRF) e altri enti e fondazioni private come la Fondazione Cariplo.

Per quanto riguarda l'Unità di Ricerca Clinica, i costi sono stati coperti quasi interamente dai fondi Telethon.



Nel corso del 2005-2006 si era dato l'avvio a due nuovi progetti clinici per i quali è necessario lo sviluppo dei vettori lentivirali per uso clinico. Tali progetti sono finalizzati alla messa a punto del protocollo terapeutico per la cura della Sindrome di Wiskott-Aldrich (una immunodeficienza primaria) e della leucodistrofia metacromatica (una malattia lisosomiale). Per entrambe le terapie l'EMA ha riconosciuto lo stato di "farmaco orfano". Nel primo caso tale designazione è stata concessa a Genethon (istituto francese con il quale l'HSR-TIGET sta conducendo lo studio), mentre nel secondo caso la designazione è stata concessa direttamente a Telethon. Allo scopo di finanziare tali progetti la Fondazione Telethon ha attivato contratti con ditte specializzate in produzioni secondo lo standard GMP (Good Manufacturing Practices).

★★★ Per la copertura dei costi da sostenersi nel corso del bilancio 2006-2007 Telethon ha deliberato **2.200.000 Euro** (il costo totale previsto per tutta la produzione è stimato in circa 5.300.000 Euro).



IL DULBECCO TELETHON INSTITUTE (DTI)

Fondato nel 1999, il DTI ha come obiettivo la creazione, nel nostro Paese, di percorsi di carriera per ricercatori di grande qualità che svolgano la loro attività scientifica nel campo delle malattie genetiche. Si tratta di un istituto virtuale, i cui scienziati sono ospitati in varie istituzioni pubbliche e private non profit che offrono un adeguato ambiente di ricerca. L'istituto è intitolato a Renato Dulbecco, premio Nobel e presidente onorario della Commissione Medico-Scientifica di Telethon, che nel 1999 decise di devolvere a Telethon il compenso ricevuto per la partecipazione al Festival di Sanremo gettando le basi per questa importante iniziativa. La valutazione delle candidature, che pervengono a Telethon attraverso un bando di concorso specifico, avviene secondo le rigorose procedure di *peer review*. L'istituto prevede tre livelli di carriera a seconda dell'esperienza e del merito dei candidati: *Assistant*, *Associate* e *Senior Telethon Scientist* (Figura 33). La posizione dura cinque anni, al termine dei quali il *Telethon Scientist* può chiedere di essere valutato per un rinnovo o una promozione.

TIPOLOGIA	IMPORTO ASSEGNATO (EURO)	DURATA	IMPORTO TOTALE PER CIASCUN TIPO DI POSIZIONE (EURO)
Assistant Telethon Scientists (ricercatori con almeno 3 anni di esperienza post-dottorale, pubblicazioni internazionali e capacità di lavoro indipendente)	<ul style="list-style-type: none"> • 210.000 per il salario • 240.000 totali di grant di ricerca • 25.000 totali come starting grant • 42.000 per borse di studio 	5 anni	517.000
Associate Telethon Scientists (ricercatori che guidano da almeno 3 anni un gruppo indipendente e riconosciuti a livello internazionale)	<ul style="list-style-type: none"> • 310.000 per il salario • 490.000 totali di grant di ricerca • 25.000 totali come starting grant • 42.000 per borse di studio 	5 anni	867.000
Senior Telethon Scientists (scienziati al più alto livello della produzione scientifica)	da negoziare	5 anni	da negoziare

FIGURA 33. LO SCHEMA DEL DULBECCO TELETHON INSTITUTE



“ SONO FELICISSIMO ED EMOZIONATO DI AVERE RICEVUTO UNO DEI PIÙ PRESTIGIOSI PREMI EUROPEI PER GIOVANI SCIENZIATI; ESSERE IL PRIMO ITALIANO A VINCERLO DALLA SUA ISTITUZIONE MI ONORA ANCORA DI PIÙ. È IN OGNI CASO UN GRANDE RICONOSCIMENTO SOPRATTUTTO PER L'ISTITUTO TELETHON DULBECCO ”

LUCA SCORRANO* | SENIOR TELETHON SCIENTIST

*Luca Scorrano, vincitore del Premio Eppendorf Young Investigator Award che da 11 anni identifica in Europa i migliori scienziati con meno di 35 anni: viene assegnato in collaborazione con la rivista Nature

La Fondazione considera i ricercatori del Dulbecco Telethon Institute come parte integrante della propria struttura di ricerca e stipula con loro un contratto di tipo professionale. Parallelamente, gli enti ospitanti sottoscrivono una convenzione di collaborazione con la Fondazione Telethon che permette al ricercatore ospitato di condurre al meglio la propria attività di ricerca e di avere i suoi spazi, il suo gruppo di ricerca e un adeguato accesso alle infrastrutture di laboratorio. L'ente di ricerca ospitante conferisce spazi ed attrezzature di base trattenendo un *overhead* (il 10% dell'assegnazione per il progetto di ricerca) per la copertura dei costi generali di struttura.

A partire dal bando del 2002, la procedura di selezione include anche un colloquio personale tra la Commissione Scientifica di Telethon e i migliori candidati selezionati.

★ ★ ★ Nel corso del presente esercizio non si sono aperti bandi per l'arruolamento di nuovi *Telethon Scientist*. Le risorse disponibili sono state investite per rinnovare le posizioni del DTI attualmente in corso di finanziamento e per l'attivazione dei nuovi trial clinici dell'HSR-TIGET.

A marzo 2007 si è svolta, infatti, la valutazione per rinnovi e promozioni di due ricercatori del Dulbecco Telethon Institute.

Per la prima volta un *Telethon Scientists* è stato promosso al livello di *Senior* (a partire dal 1 luglio 2007) in considerazione dell'eccellente livello raggiunto nella conduzione del suo progetto di ricerca. L'altro ricercatore è stato invece confermato al livello di *Assistant* per altri due anni. A fronte di tali valutazioni sono stati stanziati **1.658.750 Euro** e, in seguito a nuovi accordi di integrazione dei ricercatori nelle istituzioni ospitanti, il Comitato Telethon ha deliberato anche un importo aggiuntivo di **161.250 Euro**.

A fronte di adeguamenti salariali già approvati nei periodi precedenti, la Fondazione Telethon ha sostenuto oneri operativi aggiuntivi per il DTI pari a **139.189,32 Euro**.

Al 30 giugno 2007 i *Telethon Scientists* sono 25. La tabella della pagina seguente indica i nomi e le aree di ricerca di ciascuno di loro. In totale, il personale del DTI conta 100 unità, tutte remunerate dalla Fondazione Telethon.

Dipendenti	1
Collaboratori	50
Professionisti	2
Borsisti	47
Totale personale	100
Uomini	36
Donne	64
Group leader	25
Ricercatori junior e tecnici	75
Personale amministrativo	0
FIGURA 34. IL PERSONALE DEL DTI AL 30 GIUGNO 2007	

RICERCATORI DTI ATTIVI AL 30 GIUGNO 2007	
LIVELLI DI CARRIERA	AREA DI RICERCA
Associate Telethon Scientist	
Valerio Orlando	Epigenetica e riprogrammazione del genoma
Francesco Ceconi	Malattie neurodegenerative (Alzheimer)
Alessandra Bolino	Malattie neuromuscolari (Charcot-Marie-Tooth)
Francesca Fanelli	Studi strutturali di proteine
Elizabeth Illingworth	Basi genetiche delle sindromi da microdelezioni (Sindrome di DiGeorge)
Pier Lorenzo Puri	Malattie neuromuscolari
Assistant Telethon Scientists	
Daniela Barilà	Malattie neurodegenerative (ataxia telangectasia)
Alessandra Boletta	Rene policistico
Valentina Bonetto	Malattie neurodegenerative (sclerosi laterale amiotrofica)
Enzo Calautti	Cellule staminali epiteliali per la terapia di malattie genetiche
Maria Capovilla	Cardiopatie congenite
Roberto Chiesa	Malattie neurodegenerative (malattie familiari da prioni)
Davide Corona	Sindrome di Williams-Beuren e rimodellamento della cromatina
Patrizia D'Adamo	Ritardo mentale legato al cromosoma X
Andrea Daga	Malattie neurodegenerative (distonia da torsione, sindrome di Leigh, paraplegia spastica)
Manolis Fanto	Malattie neurodegenerative (atrofia dentatorubropallidoluisiana)
Davide Gabellini	Distrofia Facioscapulomerale
Margherita Maffei	Obesità
Giorgio Merlo	Sviluppo embrionale (malformazioni congenite craniofacciali)
Giovanna Musco	Studi strutturali di proteine
Maria Passafaro	Malattie neurodegenerative (ritardo mentale legato al cromosoma X)
Luca Rampoldi	Malattie cistiche renali
Marco Sandri	Distrofia muscolare
Luca Scorrano*	Malattie mitocondriali (atrofia ottica dominante)
Manuela Zoccolo	Malattie neuromuscolari (cardiomiopatia ipertrofica)

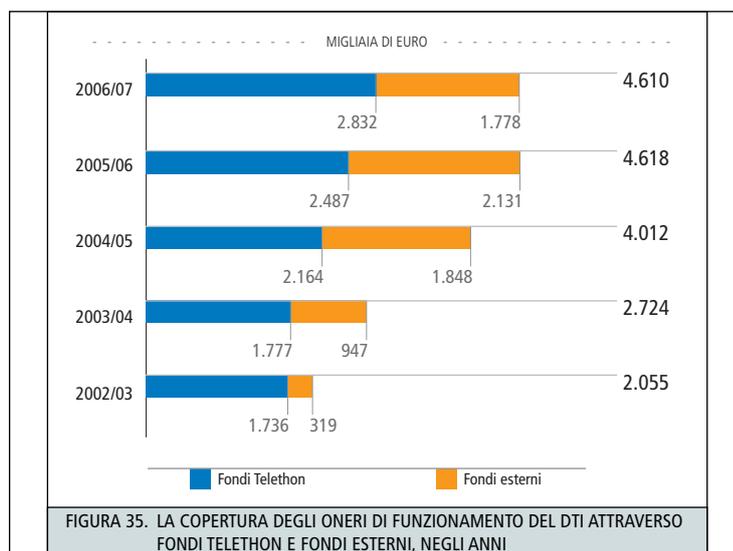
* Dal 1 luglio 2007, Luca Scorrano ricopre la posizione di *Senior Telethon Scientist*

Un risultato di rilievo del DTI è il riconoscimento di molti dei suoi laboratori come sedi di svolgimento di dottorati di ricerca. Ad oggi sono 6 i corsi di dottorato svolti presso le varie sedi. A riprova della qualità della ricerca effettuata dai *Telethon Scientists*, il DTI beneficia anche di finanziamenti da parte di enti nazionali e internazionali, portando all'istituto ulteriori fondi esterni vincolati allo svolgimento di progetti di ricerca (Figura 35).

- ★☆☆ Nell'esercizio, nuovi finanziamenti esterni per un valore di **1.777.979 Euro** sono arrivati da:
- enti europei (Commissione Europea nell'ambito del VI Programma Quadro RTD; European Molecular Biology Organization; Association Française contre les Myopathies; Fondation Leducq);
 - enti italiani (Associazione Italiana per la Ricerca sul Cancro; Fondazione Cariplo; Associazione Italiana Sindrome di Williams, Molmed S.p.A.);
 - enti americani (Giovanni Armenise - Harvard Foundation; National Institutes of Health).

Una citazione speciale la merita anche la Compagnia di San Paolo che da anni sostiene le attività del DTI.

La crescita dell'istituto e il conseguente impegno dedicato dagli uffici amministrativi della Fondazione Telethon sono testimoniati anche dall'aumento degli oneri sostenuti nel corso degli anni.



LA GESTIONE DIRETTA

La Gestione Diretta dei fondi è un servizio offerto gratuitamente dalla Fondazione ai ricercatori titolari di progetti di ricerca esterna per ottimizzare l'amministrazione dei fondi a loro assegnati. Lo svolgimento della Gestione Diretta garantisce ai ricercatori la rapidità, la puntualità nell'applicare gli aggiornamenti in materia fiscale e un punto di riferimento in merito a questioni di natura amministrativa. Secondo tale sistema di gestione i ricercatori, afferenti ad istituzioni italiane, pubbliche o private non profit, che abbiano ricevuto dal Comitato Telethon assegnazioni per propri progetti di ricerca, possono richiedere che i fondi relativi siano amministrati dalla Fondazione Telethon (Figura 36). In questo caso è la Fondazione stessa che provvede agli impegni di spesa necessari per il lavoro di ricerca (nei limiti del fondo di ricerca assegnato). Le regole cui si ispira la conduzione amministrativa di questa attività sono quelle del mandato senza rappresentanza, in modo che la gestione rappresenti sempre l'interesse del titolare del fondo. I ricercatori, grazie a questo sistema, possono usufruire di una gestione snella e flessibile ed evitare le quote percentuali dei fondi di ricerca trattenute dagli istituti ospitanti a titolo di copertura dei costi strutturali, i cosiddetti *overhead*.

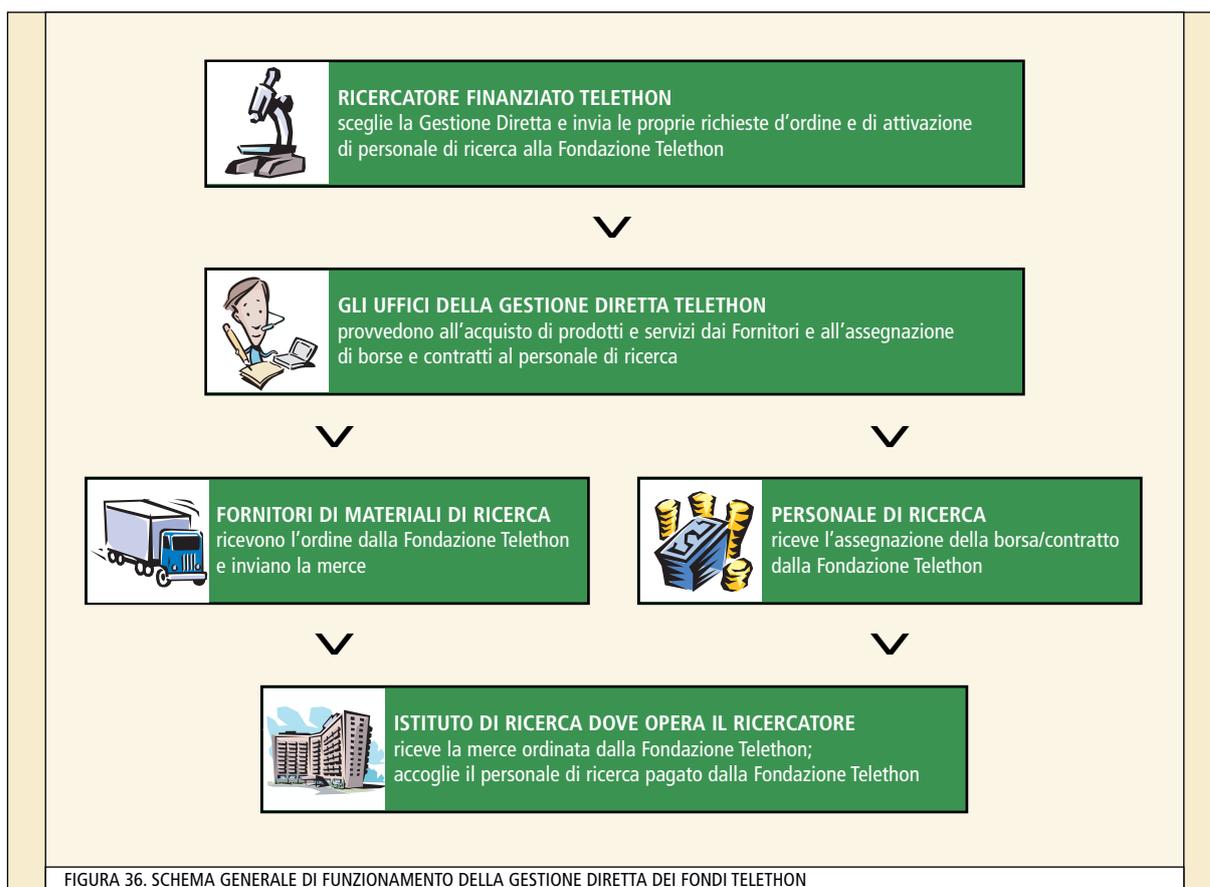
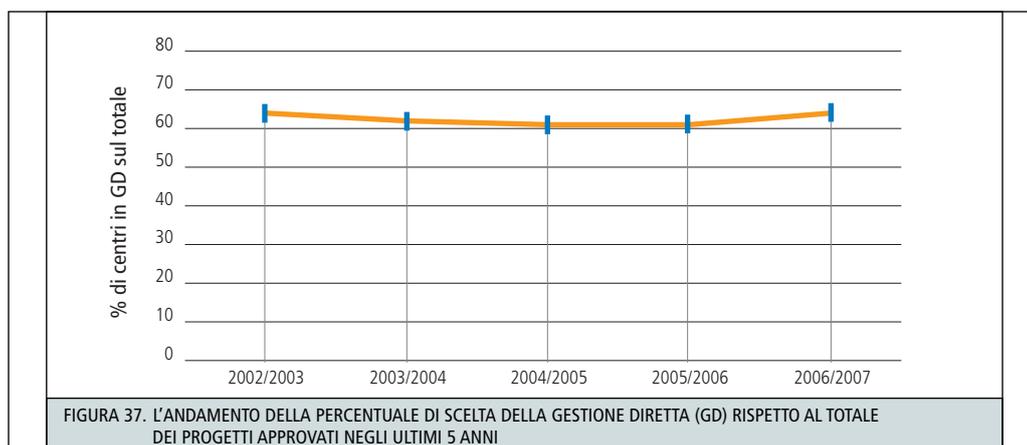


FIGURA 36. SCHEMA GENERALE DI FUNZIONAMENTO DELLA GESTIONE DIRETTA DEI FONDI TELETHON

La Gestione Diretta è svolta da un apposito Ufficio della Fondazione. Il ricercatore invia la propria richiesta di materiali, di accensione di contratti o borse di studio, di iscrizione a congressi, o di quant'altro sia inscrivibile nella vita gestionale di un progetto di ricerca. L'Ufficio si attiva per procedere con l'impegno di spesa, dopo aver verificato che la richiesta risponda ai criteri di economicità e sia inerente al progetto di ricerca. Il ricercatore può in ogni momento riferirsi agli uffici della Fondazione Telethon per conoscere la situazione dei suoi fondi in gestione. Le persone dedicate a questa attività all'interno degli uffici Telethon sono 4. Nel corso dell'ultimo anno ciascun incaricato ha gestito in media un budget di circa 2,5 milioni di Euro. Il successo di tale servizio è dimostrato dalle percentuali di scelta della Gestione Diretta che è andato consolidandosi negli anni.

★★★ Nel corso dell'ultimo esercizio, dei 98 centri finanziati, 63 (pari al 64%) hanno scelto la Gestione Diretta della Fondazione Telethon.



IL CONTROLLO DI GESTIONE DEI FONDI PER LA RICERCA



Oltre che sul processo di selezione dei progetti, l'attenzione di Telethon è rivolta anche al controllo sull'utilizzo dei fondi assegnati. I principi che devono essere rispettati sono essenzialmente due: la pertinenza con il progetto e l'economicità degli impegni sostenuti. Già nella definizione dei bandi vengono poste delle regole su quali spese sono ammissibili per la conduzione del progetto. Inoltre, prima della revisione da parte della Commissione Medico-Scientifica, i budget vengono analizzati singolarmente per evidenziare richieste particolari da far valutare ai revisori. I controlli proseguono poi nel corso della vita di un progetto.

I budget degli istituti TIGEM e DTI sono interamente gestiti presso gli uffici amministrativi di Telethon. Viene utilizzato un attento controllo di gestione che consente di attribuire i costi ai singoli progetti sia nel caso in cui essi usufruiscano di fondi Telethon, sia nel caso in cui i fondi provengano da altri enti. Ogni spesa è fatta nel rispetto del criterio di economicità e per acquisti di particolare rilievo vengono valutate più offerte. I fondi destinati all'HSR-TIGET sono gestiti presso l'Istituto San Raffaele che periodicamente ne rendiconta l'utilizzo alla Fondazione Telethon.

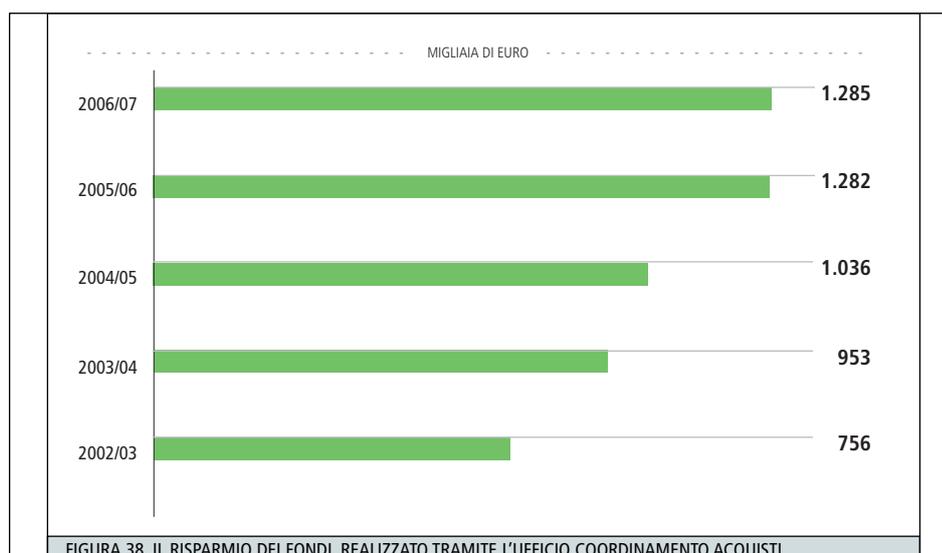
Per i progetti esterni, i ricercatori, in accordo con la propria istituzione, possono decidere se far gestire i fondi Telethon presso l'Ente dove operano (in questo caso l'Ente è tenuto a presentare una rendicontazione annuale delle spese) o se affidarne la gestione alla Fondazione Telethon attraverso il servizio di Gestione Diretta. In entrambi i casi, durante la vita del progetto vengono effettuati controlli sulle spese effettuate.

L'accesso al budget delle annualità successive viene approvato solo dopo l'esaurimento quasi completo dei fondi dell'anno precedente. Vengono definite scadenze precise per l'utilizzo dei fondi e, in casi di particolari inadempienze, Telethon può decidere la chiusura d'ufficio del progetto o una decurtazione dei residui del progetto. Questa procedura consente di evitare la dispersione dei fondi.

L'UFFICIO COORDINAMENTO ACQUISTI

Creato per supportare le attività di gestione, l'Ufficio Coordinamento Acquisti (UCA) ha consentito di raggiungere ottimi risultati in termini di risparmio di energie e di risorse finanziarie.

L'UCA sfrutta la centralizzazione degli acquisti che la Fondazione Telethon opera sia per i progetti in Gestione Diretta che per gli istituti interni di ricerca, in modo da ottenere condizioni contrattuali vantaggiose dalle aziende che forniscono materiale per ricerca. Secondo una stima effettuata internamente (attraverso il sistema informatico utilizzato per la gestione dei budget) emerge che la gestione centralizzata degli acquisti ha prodotto nell'ultimo esercizio un risparmio pari a **1.285.373 Euro** realizzato grazie all'applicazione di sconti da parte delle aziende che hanno sottoscritto un accordo di fornitura con Telethon. Nel corso degli ultimi anni, questo dato sta riscontrando degli incrementi significativi (Figura 38) e ciò si traduce in una produzione di maggiore valore dei fondi a disposizione dei ricercatori.



I RISULTATI DELLA RICERCA

La misura più diretta del successo di Telethon è rappresentata dalle applicazioni terapeutiche scaturite dalla sua ricerca.

I RISULTATI NELLA TERAPIA CLINICA

FAR AVANZARE LA RICERCA
SCIENTIFICA VERSO LA CURA

A coronamento di un decennio di ricerche, nel 2002 gli scienziati dell'HSR-TIGET hanno messo a punto il primo protocollo sicuro ed efficace di terapia genica per l'ADA-SCID, una gravissima immunodeficienza ereditaria che rende potenzialmente letale anche la più banale infezione. Il protocollo ha permesso finora di curare 10 bambini affetti dalla grave malattia, restituendo loro una vita completamente normale.

★★★ Nell'anno 2006-2007 cinque nuovi pazienti sono stati trattati con il protocollo clinico; il prossimo passo sarà quello di fare uscire la terapia dalla fase sperimentale, promuovendone la registrazione presso le autorità sanitarie.

La strada che porta dalla ricerca di base alle possibili cure segue, tuttavia, un percorso lungo e graduale. Per questo, nella verifica dei progressi è importante includere non solo i risultati nella terapia clinica ma anche indicatori che misurino la qualità della ricerca finanziata, i risultati scientifici della ricerca di base e il progresso che questi generano sulla scala della ricerca.

LA QUALITÀ DELLE PUBBLICAZIONI

DARE FONDI A ECCELLENTI
PROGETTI E AI MIGLIORI
RICERCATORI IN ITALIA

Numerosi indicatori dimostrano l'eccellente qualità della ricerca scientifica finanziata da Telethon. In particolare, il numero medio di citazioni ottenute dalle pubblicazioni scientifiche scaturite da Telethon - una misura indiretta della loro qualità - è cresciuto costantemente dal 1991 ad oggi in tutte le aree della ricerca sulle malattie genetiche ed è oggi superiore alla media europea, e comparabile a quella degli Stati Uniti (☐ p. 14). Questo si deve in gran parte all'alto livello qualitativo, internazionalmente riconosciuto, del sistema di selezione dei progetti adottati da Telethon.

I PRINCIPALI RISULTATI PUBBLICATI

★★★ Nell'anno 2006-2007 sono stati pubblicati, su riviste di prestigio internazionale, **484 articoli scientifici** scaturiti da ricerche finanziate da Telethon.

Di seguito è riportata una selezione dei principali risultati, raggruppati nei diversi livelli della scala ideale che porta dalla ricerca di base alla cura delle malattie genetiche (☐ p. 32). Il titolare del progetto Telethon e la relativa pubblicazione sono riportati in fondo a ciascun risultato.

1 Identificazione del difetto genetico

- Identificato un nuovo gene-malattia responsabile della **paraparesi spastica familiare con corpo calloso sottile**, abbreviata ARHSP-TTC, che causa una forma di disturbo motorio e cognitivo. Filippo Maria Santorelli e Enrico Bertini, Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Roma. Nature Genetics, 2007 Mar;39(3):366-72
- Individuata una nuova regione sul cromosoma 11 che probabilmente contiene geni coinvolti nell'**autismo** e un difetto nel gene per la neurexina 1, che insieme ad altri regola i contatti e la comunicazione tra i neuroni, facendo ipotizzare che questo rappresenti uno dei meccanismi comunemente alterati in questa malattia. Elena Maestrini, Università di Bologna. Nature Genetics, 2007 Mar;39(3):319-28

- Identificato un nuovo gene e il suo prodotto, una proteina finora sconosciuta. A questa proteina è stato dato il nome di **iccina** poiché è responsabile di una grave sindrome neurologica infantile: la ICC o **Ipomielinizzazione e Cataratta Congenita**.

Carlo Minetti, Istituto Giannina Gaslini, Genova. Nature Genetics 38, 1111 – 1113, 01 Oct 2006

- Identificato **SOS1**, il terzo gene che, se alterato, provoca la **sindrome di Noonan**, un difetto dello sviluppo caratterizzato da bassa statura, difetti congeniti del cuore e anomalie scheletriche. Sale così al 60% la proporzione di pazienti affetti per i quali è nota l'origine della malattia.

Marco Tartaglia, ISS, Roma. Nature Genetics 39, 75 – 79.13 Dec 2006

2 Studio dei meccanismi genetici e fisio-patologici

- Svelato un nuovo ruolo della proteina FMRP (Fragile Mental Retardation Protein), responsabile della **sindrome dell'X fragile**, la più frequente forma di ritardo mentale ereditario. Lo studio ha evidenziato che FMRP è implicato in un meccanismo cruciale per la struttura e il funzionamento dei neuroni.

Claudia Bagni, Università di Roma Tor Vergata – Fondazione IRCCS Santa Lucia, Roma. Nature Neuroscience, 2007 May;10(5):578-87

- Scoperto nuovo meccanismo alla base del danno ai motoneuroni, le cellule nervose che risultano colpite nella **sclerosi laterale amiotrofica**. Il danno è causato da mutazioni della proteina SOD1 (superossido dismutasi) che interviene nei meccanismi di difesa contro gli agenti ossidanti.

Angelo Poletti, CEND, Centro di eccellenza per lo studio delle malattie neurodegenerative dell'Università di Milano; Silvia De Biasi, Università degli Studi di Milano e Caterina Bendotti, Istituto di Ricerche Farmacologiche Mario Negri, Milano. Hum Mol Genet. 2007 Jul 1;16(13):1604-18

- Scoperta una via che, a partire dallo sviluppo, collega i neuroni olfattivi con il cervello per tutta la vita. Possibili ricadute sullo studio della **sindrome di Kallmann**, rara malattia genetica caratterizzata, fra gli altri sintomi, dall'incapacità di riconoscere gli odori (anosmia) e da gravi deficit riproduttivi. I risultati fanno nuova luce anche sul meccanismo della rigenerazione nervosa.

Giorgio Merlo, Istituto Telethon Dulbecco, CNR di Segrate (Mi). J. Neurosci., 2007, 27: 9757-9768

- Identificata una proteina che organizza i cromosomi all'interno del nucleo. Potrebbe essere coinvolta nella **sindrome di Williams-Beuren**, una rara malattia genetica causata dalla mancanza di una piccola parte del cromosoma 7.

Davide Corona, Istituto Telethon Dulbecco, Università di Palermo. PlosBiology, Vol. 5, issue 9, September 2007

- Individuato un meccanismo che regola la suddivisione in aree nella corteccia cerebrale. Il processo potrebbe fornire la base neurologica per lo sviluppo di attitudini e comportamenti individuali. Il malfunzionamento del gene alla base del processo potrebbe inoltre essere la causa di **disordini comportamentali** complessi.

Michéle Studer, TIGEM, Napoli. Nature Neuroscience, 2007 Oct;10(10):1277-1286

- Senza **Ambra 1** l'organismo è più esposto a **malattie neurodegenerative e cancro**. Ambra 1 infatti partecipa al controllo del numero di cellule staminali nel cervello e le aiuta a sopravvivere agli stress richiesti dallo sviluppo embrionale.

Francesco Cecconi, Istituto Telethon Dulbecco, Università di Roma Tor Vergata. Nature, 2007 Jun 28;447(7148):1121-5



“ IL NOSTRO MOTTO È “NELLA RICERCA LA CERTEZZA”. ALLA LUCE DEGLI OBIETTIVI CHE ABBIAMO VISTO RAGGIUNGERE, POSSIAMO SOLO CONFERMARE TUTTA LA NOSTRA FIDUCIA A TELETHON, RICONOSCENDO IN ESSO L'UNICA OPPORTUNITÀ CONCRETA ED EFFICACE PER SCONFIGGERE LE MALATTIE NEUROMUSCOLARI ”

ALBERTO FONTANA | PRESIDENTE NAZIONALE UILDM
(UNIONE ITALIANA LOTTA ALLA DISTROFIA MUSCOLARE)

3 Studio di strategie terapeutiche *in vitro*

- Un farmaco già in commercio per altre indicazioni limita i danni nelle cellule prelevate da alcuni pazienti affetti dalla **malattia di Pompe**, o glicogenosi di tipo II, una malattia metabolica ereditaria altamente invalidante.

Giancarlo Parenti, TIGEM, Napoli. Mol Ther. 2007 Mar;15(3):508-14

- Una nuova strategia terapeutica funziona su cellule in provetta, isolate da pazienti affetti dalla **distrofia di Ullrich**, una malattia ereditaria dei muscoli. I risultati hanno permesso di dare il via ad una sperimentazione clinica.

Paolo Bonaldo, Università di Padova. PNAS 2007, Jan 16, vol. 104, pp. 991-6.

- Ricercatori dell'Istituto San Raffaele-Telethon per la Terapia Genica (HSR-TIGET) e dell'Università Vita Salute San Raffaele, hanno messo a punto una tecnica per **correggere la sequenza del DNA** di cellule umane. Importanti prospettive per la terapia di malattie genetiche.

Naldini Luigi, HSR-TIGET, Milano. Nat Biotechnol. 2007 Nov;25(11):1298-306. Epub 2007 Oct 28.

4 Studio di strategie terapeutiche *in vivo*

- **Terapia genica:** Dopo aver paragonato l'efficacia e la sicurezza di due tipi di virus utilizzati nel trasporto dei geni dentro le cellule malate, i ricercatori dell'HSR-TIGET hanno trovato quello che garantisce i risultati clinici più sicuri e vantaggiosi. Grazie a questo risultato la sperimentazione clinica per la **leucodistrofia metacromatica** (che causa un progressivo ed inesorabile deterioramento delle funzioni neurologiche e mentali) per la **sindrome di Wiskott-Aldrich** (una malattia legata al cromosoma X), è più vicina.

Naldini Luigi, HSR-TIGET, Milano. Nat Biotechnol. 2006 Jun;24(6):687-96. Epub 2006 May 28.

VERSO LA CURA. I TRIAL CLINICI DI TELETHON

La sperimentazione clinica di una terapia per una malattia genetica rappresenta il culmine di un lungo e laborioso processo di ricerca che parte dallo studio delle cause e passa attraverso fasi successive di indagini e verifiche di laboratori, per arrivare all'applicazione sul paziente.

Per alcuni progetti, Telethon è già partito con la sperimentazione clinica.

È il caso dello studio di Davide Pareyson sulla **malattia di Charcot-Marie-Tooth** e consiste nella somministrazione di acido ascorbico (vitamina C) a 222 persone affette da questa malattia. Allo stesso modo e sempre con terapie farmacologiche, ricercatori Telethon stanno somministrando ciclosporina A ad un gruppo di bambini affetti dalla **distrofia di Ullrich**.

Sul versante della terapia genica, quello che ha reso possibile il successo sui bambini affetti da ADA-SCID, è imminente la sperimentazione clinica su piccoli pazienti affetti dalla **leucodistrofia metacromatica** e dalla **sindrome di Wiskott-Aldrich**.

È dello scorso anno, infine, un importante risultato che ha dimostrato che la terapia genica funziona per una grave malattia genetica della pelle, l'**epidermolisi bullosa**.



COS'È IL TRIAL CLINICO

Trial è una parola inglese che significa letteralmente "prova". I trial clinici vengono effettuati per capire se un trattamento (somministrazione di un dato farmaco) sia applicabile agli esseri umani, se possa essere dannoso, se abbia o meno effetti collaterali, se sia efficace nel contrastare la malattia, e quali siano i dosaggi più opportuni.

Quando si sperimenta un nuovo trattamento, devono essere superate tre tappe consecutive, definite convenzionalmente di fase I, II e III.

Fase I: è uno studio pilota in cui per la prima volta un nuovo trattamento è somministrato a esseri umani. Lo scopo principale è determinarne la sicurezza, chiarire se sia ben tollerato e verificare se agisca come previsto. Il numero dei partecipanti a questa fase è ridottissimo.

Fase II: viene avviata solo se nella fase precedente sono stati ottenuti risultati soddisfacenti. Qui, per la prima volta, si cerca di curare la malattia.

Fase III: il farmaco viene confrontato con un medicamento inattivo (detto placebo) e, quando possibile, con un altro trattamento standard già adottato per la malattia in questione. Né i pazienti né il medico che somministra il trattamento devono sapere se il soggetto riceve il placebo o il farmaco.

IL TRASFERIMENTO TECNOLOGICO DELLA RICERCA TELETHON

★★★ La Fondazione Telethon, al 30 giugno 2007 è titolare di 7 brevetti, due dei quali sono già stati trasferiti all'industria per lo sviluppo di terapie prossime all'ingresso in studi clinici.

I brevetti sono lo strumento fondamentale per la protezione di un'idea innovativa e per il suo sfruttamento commerciale. Senza tale strumento, infatti, nessuna industria potrebbe portare avanti lo sviluppo di un farmaco o di una molecola utile per la cura di una malattia genetica. Non è la semplice scoperta che può essere brevettata, ma solo quella che - dotata di novità e realizzata attraverso attività inventiva - consenta l'identificazione e la realizzazione di un prodotto che presenti concreta utilità e sia idoneo ad avere un'applicazione industriale.



Per decidere cosa brevettare, Telethon ha istituito un proprio Ufficio di Trasferimento Tecnologico (TTTO, Telethon Technology Transfer Office) e si avvale di un comitato tecnico internazionale di esperti in materia brevettuale, scientifica e industriale.

Si tratta di un servizio attivo per i ricercatori Telethon che lavorano nei tre istituti interni di ricerca e si occupa di proteggere le invenzioni scaturite dalla loro ricerca e di trasferirle all'industria. Scopo di tale servizio è permettere lo sviluppo di farmaci e terapie per la cura della distrofia muscolare e delle malattie genetiche e renderli disponibili sul mercato, in linea con la missione di Telethon, reinvestendo le risorse ricavate da questa attività per finanziare ulteriore ricerca scientifica d'eccellenza.

SONO LA MAMMA DI UNA BAMBINA CHE HA UNA MALATTIA RARA. AVREI TANTA VOGLIA DI COSTITUIRE UN'ASSOCIAZIONE PER QUESTA PATOLOGIA PERCHÉ LE FAMIGLIE COLPITE POSSANO SENTIRSI PIÙ VICINE LE UNE ALLE ALTRE E AIUTARSI

Il messaggio, dalla bacheca delle associazioni di Telethon, è arrivato dritto al cuore di altre famiglie colpite dalla malattia. La prima associazione sindrome di Aicardi (www.sindromediaicardi.com) si è costituita nel mese di marzo 2007.

L'INFORMAZIONE SCIENTIFICA

Negli anni, Telethon ha realizzato numerose iniziative per promuovere una maggiore informazione sulle malattie genetiche e sui progressi della ricerca scientifica.

INFORMAGENE

Creato e gestito da Telethon, Informagene è un sito di informazione scientifica (www.telethon.it/informagene) che contiene notizie chiare e aggiornate sulla genetica e sulle malattie genetiche. È riconosciuto dalla Health on the Net Foundation, il principale organismo internazionale per la qualità dell'informazione medica on line. Il sito comprende diverse sezioni, descritte di seguito.

- *Le Guide di Informagene* sono pagine divulgative che riassumono in modo semplice ed esauriente i concetti principali della genetica e alcuni temi correlati come terapia genica, diagnosi prenatale e sperimentazione di nuovi farmaci.
- *L'Indice Malattie* è la sezione dedicata alle malattie genetiche e contiene 103 schede aggiornate e dettagliate su altrettante patologie. Redatte in collaborazione con ricercatori e clinici esperti di ciascuna patologia trattata, le schede riportano informazioni sulla malattia, sui centri diagnostici e specialistici, e i riferimenti delle associazioni dedicate. All'interno di ciascuna scheda sono riassunti e periodicamente aggiornati i risultati della ricerca scientifica sulla malattia.
- *I Link di Informagene* è la pagina che riporta i collegamenti a numerosi altri siti, italiani e stranieri, che si occupano di genetica, malattie genetiche, medicina, ricerca e divulgazione scientifica.
- *I Progetti Finanziati* è il motore di ricerca per consultare i progetti finanziati da Telethon.
- *Le Associazioni Amiche* è la sezione dedicata alle associazioni che si occupano di malattie genetiche, che hanno a loro disposizione uno spazio, la "Bacheca", in cui esprimersi, lanciare appelli, divulgare informazioni e farsi conoscere.
- *Scrivi a Informagene e Filo Diretto* sono i due servizi accessibili dal sito Informagene, attraverso cui il pubblico può richiedere informazioni generali sulle malattie genetiche e ricevere i riferimenti di centri per la diagnosi e la consulenza genetica.

★ ★ ★ Da luglio 2006 a giugno 2007, il sito Informagene ha registrato una media mensile di oltre 25.000 pagine viste. Il numero di pagine raggiunge un picco annuale in corrispondenza della maratona televisiva di dicembre.

SCRIVI A INFORMAGENE

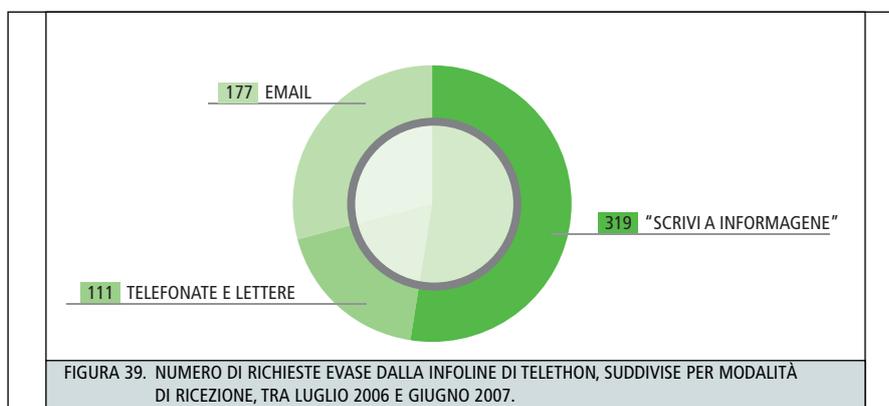
È il servizio attraverso cui è possibile inviare per iscritto richieste di informazioni sulle malattie genetiche e sulla ricerca. Compilando il modulo disponibile sul sito Informagene si può scegliere di inviare una richiesta in forma anonima oppure corredata dai propri dati personali, che vengono inseriti in un database in ottemperanza alle vigenti leggi sulla privacy⁴.

⁴ In data 21/03/2007 il Comitato Telethon Fondazione ONLUS e la Fondazione Telethon hanno redatto il Documento Programmatico sulla Sicurezza in ottemperanza al decreto legislativo 196/2003 (codice in materia di protezione dei dati personali).

FILO DIRETTO

È la infoline di Telethon e risponde a tutte le richieste su malattie genetiche e ricerca scientifica. Il Comitato Telethon riceve quotidianamente numerose richieste via telefono, email, fax o lettera cartacea; la maggior parte delle domande riguarda informazioni generali sulle malattie genetiche, sui progressi della ricerca scientifica, sui centri di riferimento per la diagnosi e sulle associazioni dedicate alle malattie genetiche. I dati personali del richiedente e la tipologia della richiesta vengono inseriti in un database, lo stesso che raccoglie le richieste a Scrivi a Informagene, in ottemperanza alle vigenti leggi sulla privacy.

★★★ Dall'Aprile 2006, il servizio si avvale della consulenza di due medici specialisti di genetica medica. Da Luglio 2006 a Giugno 2007, Filo Diretto e Scrivi a Informagene hanno risposto a oltre 600 richieste.



L'UFFICIO FILO DIRETTO CON I PAZIENTI

Riunisce e coordina i servizi di informazione scientifica (Scrivi a Informagene e Filo Diretto) e gestisce il sito Informagene. Negli ultimi due anni ha realizzato un punto di incontro tra i pazienti, i loro famigliari e le associazioni che si occupano di malattie genetiche ideando la "Bacheca", uno spazio on line dedicato ad annunci, appelli e notizie sui temi d'interesse. Questa iniziativa nasce dalla consapevolezza che per molte malattie genetiche la strada che porta alla cura è lunga e difficile e passa attraverso fasi in cui i frutti della ricerca non sono evidenti, generando un senso di abbandono e solitudine nei pazienti e nelle loro famiglie. Per queste ragioni, l'Ufficio Filo Diretto con i Pazienti ha creato un sistema che consenta alle persone che condividono problemi analoghi di incontrarsi, scambiarsi informazioni, promuovere la nascita di organizzazioni dedicate, ma soprattutto non sentirsi soli.



“ A TUTTO LO STAFF DI TELETHON VA IL MIO GRAZIE PER UN’ECCELLENTE CONVENTION. CONFESSO CHE NUTRIVO QUALCHE DIFFIDENZA PER LA VOSTRA “PATINA” TELEVISIVA, INVECE SONO RIMASTA SORPRESA DALLA GRANDISSIMA EFFICIENZA. UN LUOGO SANO, ECCELLENTE UTILE PER LA RICERCA ITALIANA E PER I PAZIENTI: UN LUOGO RARO ”

GIUSEPPINA BARSACCHI | PROFESSORESSA ORDINARIA DIPARTIMENTO DI BIOLOGIA,
UNITÀ BIOLOGIA CELLULARE DELLO SVILUPPO, UNIVERSITÀ DI PISA
Presente alla Convention Telethon di Salsomaggiore

★★★ Dal 2005, la Bacheca (www.telethon.it/speciali/associazioni/bacheca.asp) è stata luogo d’incontro tra molte famiglie colpite da malattie genetiche; grazie all’aiuto di Telethon alcune di queste hanno avuto la possibilità di conoscersi e di fondare associazioni. Grazie a questa iniziativa, nel 2006 -2007, sono nate 2 nuove associazioni:

- Associazione Italiana Sindrome di Stargardt (AISSt);
 - Associazione “Il Cigno” ONLUS per le craniostenosi;
- che si aggiungono alle 4 già esistenti:
- Associazione Italiana Sindrome di Aicardi ONLUS (AISA);
 - Associazione Italiana Sindromi Neurodegenerative da Accumulo di Ferro (AISNAF);
 - Associazione Italiana Sindrome di Joubert e Atassie Congenite (AISJAC);
 - Associazione Italiana Rene Policistico ONLUS (AIRP);



LA CONVENTION SCIENTIFICA DI TELETHON

È la tradizionale vetrina della ricerca scientifica italiana sulle malattie genetiche. La Convention raduna gli scienziati finanziati da Telethon e provenienti da tutta Italia in un grande evento scientifico, unico nel suo genere, per fare il punto sull’attività svolta, fornire una visione complessiva della ricerca Telethon e illustrare progressi e prospettive sulle malattie genetiche. La Convention rappresenta una straordinaria occasione di verifica, confronto e scambio scientifico ed è un’ottima opportunità per i ricercatori per instaurare nuove collaborazioni scientifiche e per progettare ricerca innovativa a livello internazionale.

I risultati, esposti in uno spazio comune attraverso grandi poster che illustrano tutti i progetti in corso, sono disponibili anche per il pubblico interessato, in particolare le associazioni dei pazienti, per dimostrare con la massima visibilità e trasparenza come sono stati spesi i soldi donati dagli italiani.

Il tutto viene raccolto in un volume pubblicato anche in italiano e disponibile su richiesta a convention@telethon.it.

LA XIV CONVENTION TELETHON

★★★ Dal 12 al 14 marzo 2007 a Salsomaggiore Terme (Parma), oltre 700 ricercatori in corso di finanziamento hanno partecipato alla XIV edizione della Convention, incentrata sul passaggio dalla ricerca di base alla ricerca clinica per alcune malattie genetiche. Una prima sessione scientifica è stata dedicata ai risultati sui più recenti approcci terapeutici per le malattie neuromuscolari (sia farmacologici sia di terapia cellulare o genica) e ai problemi che si incontrano nel progredire verso una ricerca traslazionale. Una seconda sessione ha riguardato la messa a punto e i progressi di terapie farmacologiche (per le malattie metaboliche) e di terapie geniche (per le malattie dell’occhio e per la talassemia). L’ultima sessione del convegno ha riguardato i meccanismi di degenerazione e rigenerazione nelle malattie neurodegenerative. Nel corso della Convention, sono stati presentati 311 poster in lingua inglese. Una commissione composta da membri della attuale Commissione Scientifica presenti all’evento ha scelto i 5 migliori per contenuto scientifico ed esposizione ai cui autori è stato consegnato un premio da 500 Euro.

LA RICERCA TECNOLOGICA

TECNOTHON, IL CENTRO TELETHON PER LA RICERCA TECNOLOGICA, PROVVEDE A SVILUPPARE E IMPLEMENTARE AUSILI PER PERSONE DISABILI



Se la ricerca biomedica di Telethon si concentra sullo studio delle malattie genetiche, la ricerca tecnologica vuole aiutare le persone disabili (non solo a seguito di malattie genetiche, ma anche di altre cause patologiche) nella loro vita quotidiana, privata e sociale. Il Tecnothon è il laboratorio dove vengono sviluppati e implementati i progetti di ausilio tecnologico per l'handicap e ha sede a Sarcedo (Vicenza).

LA MISSIONE DEL TECNOTHON



Vogliamo sviluppare una ricerca tecnologica che favorisca l'autonomia, ventiquattr'ore su ventiquattro, in tutte le attività del vivere quotidiano, delle persone con disabilità motoria e dei loro familiari.

La nostra ricerca vuole anticipare soluzioni innovative, in grado di stimolare dibattiti culturali, sensibilizzando sulla realtà e sulle esigenze della persona con disabilità, e di orientare la cultura industriale, finalizzandola ad una progettazione che sia realmente per tutti.

All'interno del laboratorio lavorano 9 persone, come indicato nella figura seguente.

Dipendenti	6
Collaboratori	2
Professionisti	1
Totale personale	9
Uomini	7
Donne	2
Ricercatori	4
Tecnici	3
Personale amministrativo	2

FIGURA 40. IL PERSONALE DEL TECNOTHON AL 30 GIUGNO 2007

Una volta brevettati e corredati dello studio di industrializzazione e dei disegni costruttivi, i progetti vengono ceduti gratuitamente alle imprese, che si impegnano a produrre e vendere l'ausilio a un prezzo "etico" pattuito con Telethon.

PROGETTAZIONE (TECNOTHON)

>

PRODUZIONE (AZIENDA)

>

DISTRIBUZIONE SUL MERCATO A UN
PREZZO "ETICO"

FIGURA 41. IL PROCESSO APPLICATO PER RENDERE DISPONIBILI SUL MERCATO GLI AUSILI PROGETTATI DAL TECNOTHON



“ CHI L'HA DETTO CHE UN DISABILE NON POSSA GUIDARE, O USCIRE IN MARE CON UNA VELA? CHE NON POSSA VIAGGIARE? TECNOTHON CREDE FERMAMENTE NELLA VALENZA CULTURALE E PRATICA DEL PROGETTARE PER TUTTI, DISABILI E NON, E INTENDE ADOPERARSI PER DIFFONDERE SEMPRE DI PIÙ QUESTO APPROCCIO ”

FRANCESCO MIOTTO | PRESIDENTE COMMISSIONE TECNICA DI TECNOTHON

La Commissione Tecnica fornisce le linee guida delle attività da svolgere, valuta i nuovi progetti e i risultati raggiunti.

★★★ Nel periodo 2006-2007, per le attività del Tecnothon, Telethon ha messo a disposizione una cifra pari a **391.899 Euro**. Inoltre nel corso dell'esercizio Tecnothon ha sostenuto ulteriori costi per 29.947,50 Euro coperti con i fondi ottenuti nell'esercizio precedente da parte della Regione Veneto.

I PRINCIPALI RISULTATI DEL TECNOTHON (2006-2007)

QUATTRO (CARROZZINA 4 RUOTE MOTRICI)

Obiettivo: migliorare l'aderenza delle attuali carrozzine elettroniche con ruote posteriori motorizzate.

Risultati raggiunti: realizzazione di un prototipo, prove e migliorie. Consegna del prototipo all'azienda partner per l'industrializzazione.

KURVA (SISTEMA DI STERZATURA)

Obiettivo: consentire, con poca forza e poco movimento, la sterzata di un veicolo attraverso un dispositivo economico ed affidabile.

Risultati raggiunti: realizzazione di un prototipo, prove e migliorie. Consegna del prototipo all'azienda partner per l'industrializzazione.

MAGNETIKO (ABBIGLIAMENTO)

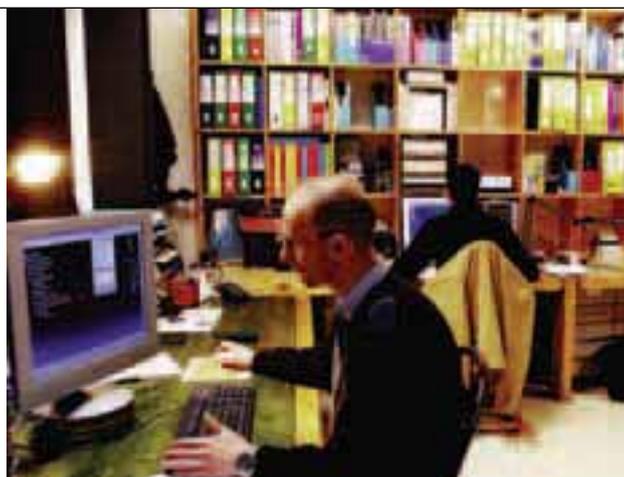
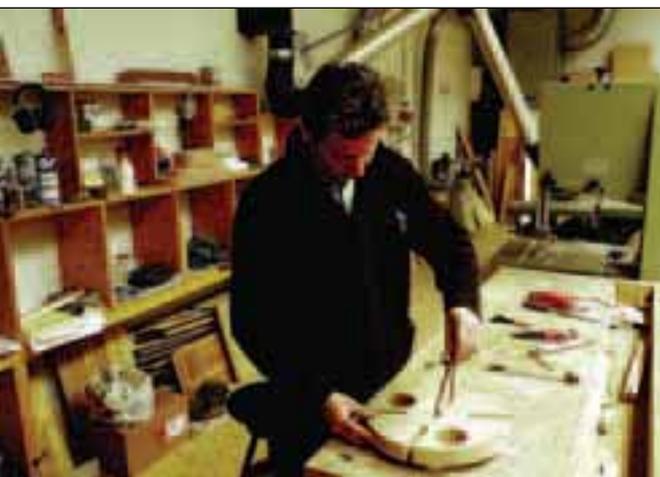
Obiettivo: consentire, a chi non è in grado di farlo autonomamente, di indossare un indumento prima di uscire all'esterno specialmente nei periodi freddi.

Risultati raggiunti: il partner industriale è stato trovato ed il dispositivo è in vendita online.

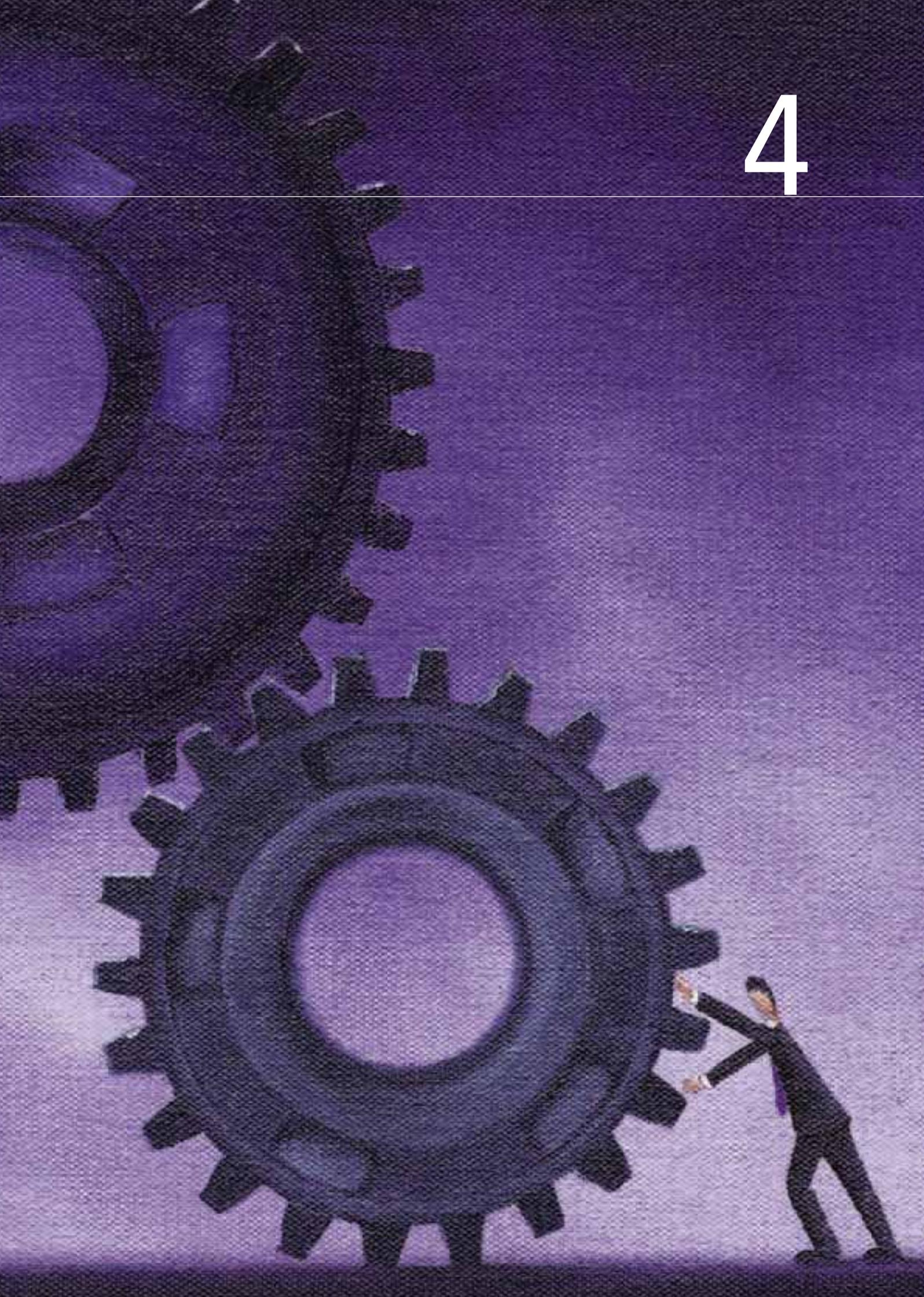
OSPEDALE NIGUARDA - CENTRO NEMO

Obiettivo: contribuire all'allestimento del Centro NEMO (📄 p. 12).

Risultati raggiunti: presso il Centro clinico NEMO è stata allestita una stanza con alcuni ausili progettati da Tecnothon: letto Nontikiamo, sollevatore Akuakalda, carrozzina Rampega e verticalizzatore Struzzo (🔗 www.telethon.it/tecnothon/prototipi.asp). Con la supervisione di fisioterapisti ben preparati, questi ausili possono essere testati dai degenti del centro. Il bagno della stanza è accessibile secondo le esperienze illustrate nel sito 🔗 www.unbagnopertutti.org.



PROGETTISTI AL LAVORO
PRESSO IL LABORATORIO
TECNOTHON



parte 4

LE ATTIVITÀ DI SUPPORTO

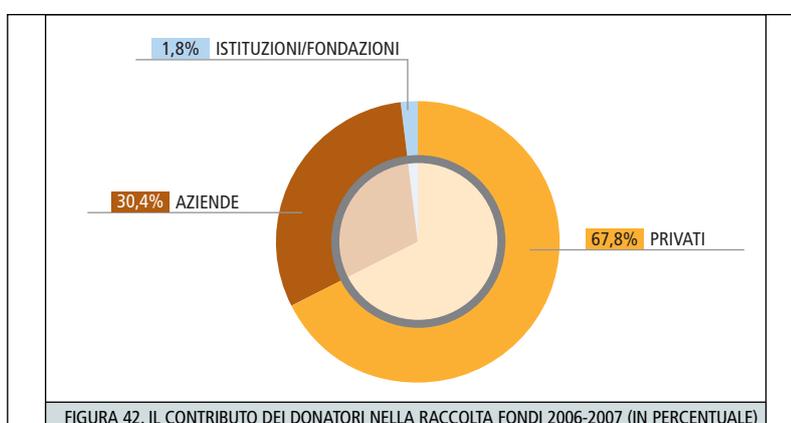
BILANCIO DI MISSIONE AL 30 GIUGNO 2007

- LA RACCOLTA DEI FONDI
- LA COMUNICAZIONE SOCIALE
- LA GESTIONE DELLE RISORSE
- IL FUNZIONAMENTO DELLA STRUTTURA

LA RACCOLTA DEI FONDI

I RISULTATI DELLA RACCOLTA SONO IL FRUTTO DELL'IMPEGNO E DELLA DEDIZIONE DI TUTTI: PRIVATI CITTADINI, AZIENDE, ASSOCIAZIONI, FONDAZIONI ED ENTI PUBBLICI

★★★ I fondi raccolti al 30 giugno 2007 - principalmente attraverso la nota maratona televisiva di dicembre - ammontano a **33.071.101 Euro** (in linea con quelli raccolti l'anno precedente, 33.041.247 Euro).
Per ciascun Euro raccolto nel 2006-2007, Telethon ha speso 18 centesimi (📄 p. 84).



I PARTNER DELLA RACCOLTA FONDI

I 33 milioni di Euro raccolti testimoniano la relazione di fiducia che esiste tra Telethon e la comunità italiana. Un ruolo fondamentale lo svolgono i partner della raccolta fondi: aziende, fondazioni, istituzioni, associazioni di volontariato che ogni anno si mobilitano per sostenere la ricerca biomedica e che dal 2005 possono contare sui coordinatori provinciali di Telethon, la rete di volontari dedicati a promuovere le iniziative di raccolta territoriale (📄 p. 74).

CHE GLI ITALIANI PARTECIPINO
ALLA LOTTA CONTRO
LE MALATTIE GENETICHE

PARTNER DI VOLONTARIATO E DELLA COMUNITÀ CIVILE	Associazioni di volontariato	UILDM, AVIS
	Pubbliche Amministrazioni	Agenzia delle Entrate, Amministrazione Autonoma dei Monopoli di Stato, Enti Locali, Scuole
PARTNER AZIENDALI	Partner di Raccolta	BNL, SMA, Auchan, Gruppo Ferrovie dello Stato, GlaxoSmithKline, Oviessse, Ras
	Partner Tecnici	CartaSi, Gruppo Telecom Italia, Tim, Vodafone, Wind

FIGURA 43. LA SQUADRA DELLA RACCOLTA FONDI 2006-2007

PARTNER DI VOLONTARIATO E DELLA COMUNITÀ CIVILE

Associazioni di volontariato

UILDM (Unione Italiana Lotta alla Distrofia Muscolare) ha dato impulso alla nascita di Telethon ed è il più completo ed attento osservatore delle attività della Fondazione. È nata nel 1961 con lo scopo di promuovere con tutti i mezzi la ricerca scientifica e l'informazione sanitaria sulla distrofia muscolare progressiva e favorire l'integrazione sociale della persona disabile. Nei mesi di novembre e dicembre le strade e le piazze d'Italia, insieme a tanti altri luoghi pubblici e alle sedi locali dell'associazione, sono state teatro dell'incessante opera di informazione, sensibilizzazione e raccolta fondi dei volontari. I fondi raccolti dalla UILDM vengono destinati al finanziamento di progetti di ricerca che abbiano come obiettivo il miglioramento della qualità della vita dei malati di distrofia muscolare (☞ p. 11).

AVIS (Associazione Volontari Italiani del Sangue) è con Telethon dal 2001. L'AVIS, un'associazione con oltre un milione di soci, è la più numerosa associazione di donatori di sangue in Italia. La partnership con Telethon nasce da una comune solidarietà nei confronti di chi vive quotidianamente una patologia. I molti punti di raccolta, di informazione e di sensibilizzazione su tutto il territorio sono stati preziosi nella sfida a favore delle ricerche scientifiche di Telethon e hanno testimoniato la cultura del dono, della partecipazione e della responsabilità sociale dei volontari "avisini".

Pubbliche amministrazioni

Agenzia delle Entrate, l'ente che si occupa della riscossione e del controllo dei tributi erariali, ha sostenuto Telethon per il terzo anno consecutivo, considerandolo un punto di riferimento affidabile nell'ambito del settore non profit: gli uffici, su tutto il territorio nazionale, hanno organizzato eventi di natura gastronomica, sportiva ed artistica richiamando un grande numero di persone.

Amministrazione Autonoma dei Monopoli di Stato (AAMS) è l'organismo regolatore del gioco pubblico in Italia. Ha confermato per il terzo anno consecutivo il proprio impegno a sostegno di Telethon con il progetto "Il gioco fa rotta verso la ricerca" coinvolgendo la direzione generale, le 21 sedi regionali (che si sono impegnate nella distribuzione delle Telethon Card) e tutti i suoi principali provider di giochi.



Enti Locali. Tra Comuni, Province e Regioni sono state circa 880 le Pubbliche Amministrazioni che hanno partecipato alla sfida per sconfiggere le malattie genetiche. Le protagoniste di questo impegno per la ricerca sono state le amministrazioni piccole e grandi, ma alcune realtà si sono distinte in maniera particolare. Tra i principali protagonisti del 2006-2007, spiccano la Regione Sicilia e le Amministrazioni della Campania.

Ministero della Pubblica Istruzione. Per il quarto anno consecutivo Telethon ha portato la ricerca scientifica nelle scuole primarie e secondarie di primo grado attraverso il Progetto "Telethon Young", un'iniziativa che abbina sensibilizzazione e solidarietà e che prevede la distribuzione, agli istituti che ne fanno richiesta, di un kit didattico con schede informative, giochi, poster e una videocassetta. Il progetto Telethon Young nel luglio 2005 è stato oggetto di un protocollo d'intesa siglato con il Ministero della Pubblica Istruzione a conferma dell'interesse e della bontà dell'iniziativa. Nel 2006-2007 sono stati coinvolti 1.317 istituti scolastici.

PARTNER AZIENDALI

Partner di raccolta

BNL è il partner principale della raccolta fondi di Telethon. La collaborazione è nata nel 1992 e da allora, in occasione della maratona di dicembre, la Banca organizza eventi di sensibilizzazione nelle proprie agenzie: 650 sedi sul territorio che eccezionalmente lasciano aperti i loro sportelli anche fuori dagli orari consueti e che anno dopo anno garantiscono una raccolta crescente. Nel corso del 2006-2007 BNL, grazie alla capacità organizzativa e al coinvolgimento degli oltre 16.000 dipendenti, ha organizzato 1.800 eventi sensibilizzando 120.000 donatori, (dei quali 100.000 privati e famiglie e 20.000 imprese ed enti pubblici) e contribuendo in modo determinante alla raccolta fondi complessiva.

SMA e Auchan, le aziende leader nella grande distribuzione, sono rispettivamente da cinque e quattro anni a fianco di Telethon. Durante la maratona mobilitano la rete di vendita presente su tutto il territorio nazionale e, grazie soprattutto alle hostess di cassa, sensibilizzano e coinvolgono sulla ricerca di Telethon i clienti che ogni settimana acquistano presso gli oltre 1.200 punti vendita Sma, Cityper, Punto Sma, Simply e i 43 ipermercati Auchan. Ogni contributo alla ricerca scientifica che SMA e Auchan ricevono viene documentato sugli scontrini fiscali emessi al momento del pagamento.



Gruppo Ferrovie dello Stato è un partner storico, al fianco di Telethon dal 1991. Nel 2006 la raccolta ha coinvolto le biglietterie delle principali stazioni, i volontari della Rete Ferroviaria Italiana e di Trenitalia (che hanno raccolto fondi a bordo treno) e per la prima volta sia il Dopolavoro Ferroviario Nazionale con le sue sedi territoriali sia le biglietterie self-service. Una menzione particolare la meritano i dipendenti di Ferrovie dello Stato che hanno donato a Telethon parte della loro retribuzione mensile di novembre e dicembre.

GlaxoSmithKline, multinazionale farmaceutica, nel giugno 2007 ha ospitato ancora una volta a Verona, nel suo prestigioso centro di ricerca internazionale, gli scienziati della Commissione Medico-Scientifica di Telethon provenienti da 15 Paesi diversi, coprendo i costi di questo importante evento di ricerca (oltre 250.000 Euro). In occasione della Maratona 2006, inoltre, GlaxoSmithKline ha messo a disposizione la sua squadra di informatori scientifici del farmaco che ha svolto presso 21.000 studi medici un'importante attività di sensibilizzazione della missione di Telethon e di raccolta su tutto il territorio nazionale.

Ovieste, dopo un primo anno di collaborazione, è entrata a far parte della squadra dei partner di Telethon nel 2006. Dal 5 novembre al 31 dicembre, presso tutti i punti vendita, ritirando alla cassa una Telethon Card da 5 Euro i clienti Ovieste hanno contribuito a sostenere la ricerca in favore di Telethon.

Ras si colloca fra i leader del mercato assicurativo e finanziario. Nel 2006 è entrato a far parte della squadra dei partner di Telethon coinvolgendo oltre 500 agenzie nella raccolta fondi attraverso la distribuzione del "Telethonino", il porta-cellulare solidale di Telethon.

Partner tecnici

CartaSi, con sensibilità e attenzione ai temi della responsabilità sociale, ha permesso ai propri titolari e ai possessori di carte di credito dei circuiti Visa, Mastercard, American Express e Diners di effettuare una donazione a favore di Telethon. Gli atti di donazione sono stati 17.467. A questo impegno si è aggiunto quello diretto della società con una donazione a Telethon di 50.000 Euro.

Gruppo Telecom Italia, la principale compagnia italiana di telecomunicazione, nel 2006 ha ricevuto, al numero unico 48548, 562.826 donazioni. Telecom, oltre a una donazione di 35.000 Euro, ha offerto un importante supporto tecnologico nell'elaborazione dati del numeratore durante la Maratona Telethon.

Infine, moltissimi italiani hanno contribuito alla raccolta con un sms del valore di 2 Euro (esente Iva e quindi interamente devoluto alla ricerca). Le società di telefonia mobile grazie alle quali è stato possibile ricevere 1.922.025 sms sono: **TIM, Vodafone, Wind e 3.**



“ LA REALIZZAZIONE DI UNA RETE SUL TERRITORIO È DI FONDAMENTALE IMPORTANZA PER ESSERE SEMPRE PIÙ VICINI AI CITTADINI E AI NOSTRI DONATORI, ARMONIZZANDO L'IMPEGNO DI TANTE PERSONE, ENTI E ASSOCIAZIONI CHE, A LIVELLO LOCALE, SI DANNO DA FARE PER PORTARE FINANZIAMENTI ALLA RICERCA SCIENTIFICA SULLE MALATTIE GENETICHE ”

OMERO TOSO | VICE PRESIDENTE DI TELETHON

LA RETE DEI COORDINATORI PROVINCIALI

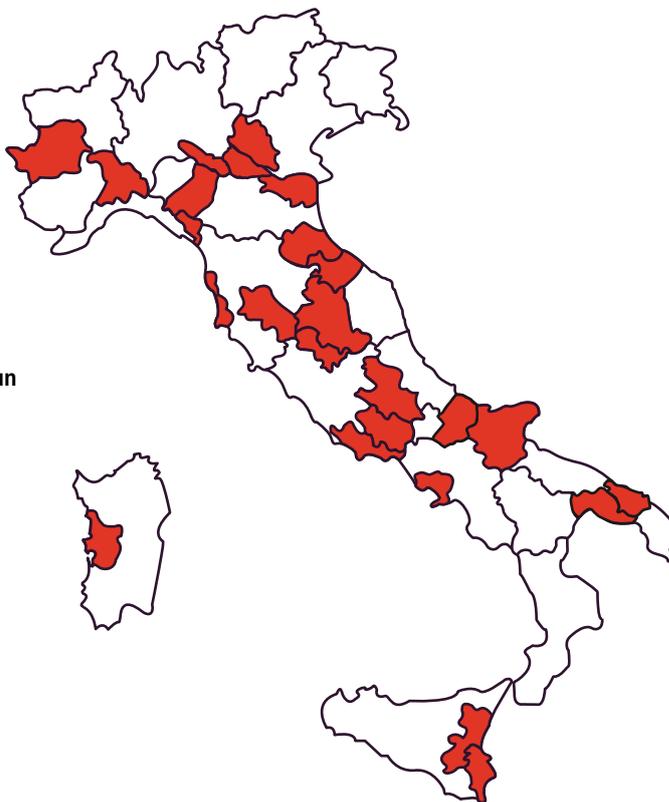


Nell'intento di coinvolgere il maggior numero possibile di italiani nella lotta contro la distrofia muscolare e le altre malattie genetiche, nel 2004 Telethon ha avviato un importante progetto per la creazione di una rete di volontari - i coordinatori provinciali - uomini e donne che rappresentassero il Comitato Telethon Fondazione ONLUS nella loro provincia di appartenenza e che fossero un costante punto di riferimento organizzativo per lo sviluppo della raccolta fondi sul territorio. Attraverso i Coordinatori Provinciali, Telethon cerca di radicarsi in maniera sempre più attiva ed efficace nel tessuto territoriale, con l'obiettivo di incrementare la raccolta fondi nella provincia e contribuire alla diffusione territoriale della conoscenza delle sue attività scientifiche e dei risultati realizzati dai ricercatori finanziati. Dal nord al Sud sono 24 i coordinatori presenti sul territorio, ma la campagna di arruolamento continua tutto l'anno. Maggiori informazioni sono disponibili on line ( www.telethon.it/speciali/territoriali), unitamente alla lista e ai curricula dei coordinatori già attivi.



Le province in cui è presente un coordinatore Telethon:

Alessandria
Aosta
Catania
Cremona
Ferrara
Foggia
Forlì-Cesena
Frosinone
L'Aquila
Latina
Livorno
Massa-Carrara
Oristano
Perugia e Terni
Pesaro-Urbino
Siena
Siracusa
Torino
Verona
Campobasso
Napoli
Mantova
Taranto e Brindisi



GRANDI DONATORI

Alla squadra della raccolta fondi si affiancano i grandi donatori; soggetti pubblici e privati che si impegnano a sostenere progetti di ricerca biomedica finanziati da Telethon, offrendo un contributo pari o superiori a 50.000 Euro, attraverso una donazione diretta e in qualche caso accompagnata da raccolte promosse nei confronti del personale, cittadini o clienti.

GRANDI DONATORI	Aziende	Artigiancassa, Autodromo di Adria, BT Albacom, Conbipel, Eli Lilly Italia, Fait, Garboli-Conicos, Gruppo Poste Italiane, Gruppo Sixty, IBM Italia, Lottomatica, Meridiana, Microsoft, RCS Media Group, Seat Pagine Gialle, Sisal, Snai, Tamoil, Acqua Pia Antica Marcia, Valleverde
	Fondazioni	Compagnia di San Paolo, Fondazione Monte Paschi di Siena, Consulta delle Fondazioni Umbre, Fondazione Ermenegildo Zegna

FIGURA 44. I GRANDI DONATORI DI TELETHON, NEL 2006-2007

TELETHON E LEFONDAZIONI BANCARIE



Le fondazioni di origine bancaria sostengono Telethon attraverso contributi vincolati alla ricerca - molto significativi - che vengono assunti in misura pari agli oneri sostenuti per attività condotte nell'ambito della ricerca interna della Fondazione Telethon. Questi contributi sono contemplati tra i proventi "Da attività istituzionale" nel "Prospetto di sintesi" (p. 83).

La Fondazione Monte Paschi di Siena ha stanziato nel corso del 2006-2007 un importo di 400.000 Euro mentre la Fondazione Compagnia di San Paolo ha deliberato 900.000 Euro per il 2007-2008. Entrambe le fondazioni sostengono da tempo le attività di ricerca di Telethon.

La Consulta delle Fondazioni Umbre si è impegnata a coprire il 50% delle spese per gli incontri scientifici annuali degli istituti interni di ricerca della Fondazione Telethon, fino a un massimo di 150.000 Euro.

Oltre ai partner di volontariato e della comunità civile, ai partner aziendali e ai grandi donatori meritano una citazione e un ringraziamento particolare tutti quei soggetti che nel corso dell'esercizio 2006-2007 hanno sostenuto la ricerca di Telethon con una donazione pari o superiore a **10.000 Euro** (pagina seguente).



“ TELETHON HA IN SÉ TRE VALORI FONDAMENTALI PER LA CRESCITA DEL NOSTRO PAESE: CONCORRENZA, RICERCA E SOLIDARIETÀ SOCIALE. COME PRESIDENTE DI CONFIDUSTRIA RINGRAZIO TUTTE LE AZIENDE CHE STANNO CON TELETHON, UN MARCHIO CREDIBILE NEI FATTI, SINONIMO DI RICERCA DI QUALITÀ ”

LUCA CORDERO DI MONTEZEMOLO | PRESIDENTE DI CONFIDUSTRIA

UNA CITAZIONE SPECIALE PER...

ACC	BNL Gestioni SGR	ECO	Ing. E.Mantovani Spa
Accenture	Calme	Federalberghi Bologna	Istituto per il Credito Sportivo
Acmi	Carbofin	Ferriera Valsider	KPMG Business Advisory Service
AGMIN ITALY	Caronte & Tourist	Filmauro	La Nuova Adelchi
Amg Promotion	Cartolombarda	Finicos	Manutencoop
Amministrazione Comunale di Napoli	Casa di Cura Tortorella	Fintecna	Nicoletti
Amministrazione Comunale di Samarate	Cattleya	Fondazione Impresa Europa	Opere Pubbliche
Amministrazione Provinciale di Avellino	Ceramiche Appia Nuova	Occupazione e Solidarietà	Parsitalia
Amministrazione Provinciale di Napoli	Cerved	Fonte	Pfizer
Antonio Paride De Masi & C	Ciaccia Costruzioni	Gefimar	Pirelli Servizi Finanziari
Arval	Co.Ba.R. Regione Carabinieri Toscana	Geocenter	Pro Loco Lama dei Peligni
ASD Polisportiva Borgonuovo Collegno	Cogetech	Giuffrè Editore	Punto Lis
Associazione Culturale Arcipelago Italia	Comitato Organizzatore dei Campionati Mondiali di Nuoto - Roma 2009	Globet	Rai. Cal
Astaldi	Comitato Pro Fondazione Viti Vincenzo	Gr Cartotecnica	Sace
Azimut-Benetti	Comitato Solidarietà Nuragus	Gruppo Bonifaci	S.E.L.I.
Banca Ucb	Compar	Gruppo D'alesio	S.I.Di.Gas
Bartolini	Coni Servizi	Gruppo Franci	Sindacato Ristoratori Bologna
Bassilichi	Dalmare	Gruppo Frates Puglia	SO.FI.A
Blu Cinematografica G.F.	D'assario	Gruppo Rad	Società per i Servizi Bancari
Blue Juice	Diadora	Hotel Marina Di Castello	Ssb
	Domitia Village	Ideamorphosy	Swatch Group
		Il Sole 24 Ore	Tamoil
		Immobiliare Ricasoli Livorno	The Boston Consulting Group
		Impresa Dr. Ing. G.Tognozzi	Universal Point
			Villa Ruffo

TELETHON E LE SUE "IMPRESE INDISPENSABILI"



Il 6 giugno 2007 nella sede romana della Confindustria, alla presenza di Luca Cordero di Montezemolo e di Susanna Agnelli, Telethon ha premiato la squadra della raccolta che gli ha consentito di raggiungere, nell'ultimo anno, la cifra di 33 milioni di Euro per finanziare la ricerca sulle malattie genetiche. Una squadra composta non solo da imprese, ma anche da associazioni di volontariato, enti e istituzioni pubbliche e private. Nel corso dell'evento si è tenuta anche la tavola rotonda "Dalla ricerca al farmaco: una nuova prospettiva per le malattie genetiche" moderata da Battista Gardoncini, caporedattore del TG Leonardo. Nell'occasione, il direttore scientifico di Telethon, Francesca Pasinelli ha proposto l'istituzione di un tavolo operativo al quale il governo convochi le Autorità regolatorie, l'industria farmaceutica e le associazioni di malati. Per consentire il trasferimento delle cure dalla fase di studio a quella dell'applicazione pratica sono infatti necessari l'intervento dell'Autorità regolatoria governativa, che riconosca e garantisca la validità delle terapie e l'impegno del mondo industriale, che prepari e renda disponibili eventuali farmaci per le malattie rare, fino ad oggi quasi sempre prive di prospettive terapeutiche.

LA COMUNICAZIONE SOCIALE

TELETHON UTILIZZA VARI CANALI PER SENSIBILIZZARE L'OPINIONE PUBBLICA SULLE MALATTIE GENETICHE, INFORMARE SULL'USO DEI FONDI RACCOLTI E DIVULGARE I RISULTATI RAGGIUNTI

LA MARATONA TELEVISIVA

La maratona televisiva, evento culminante della campagna di raccolta fondi, è anche un'importante occasione per sensibilizzare e informare il pubblico sulle malattie genetiche, sugli sviluppi della ricerca e sulle condizioni di vita dei malati nelle loro famiglie e nella società. Il Comitato Telethon Fondazione ONLUS affida alla RAI la direzione della maratona televisiva, che va in onda ogni anno nella prima metà di dicembre⁵.

La collaborazione della Rai è fondamentale: oltre a coprodurre l'evento, coinvolge nella maratona moltissimi personaggi noti e amati dal pubblico, i quali prestano gratuitamente la loro immagine per la causa di Telethon⁶.

CHE GLI ITALIANI PARTECIPINO
ALLA LOTTA CONTRO
LE MALATTIE GENETICHE

★★★ La Maratona Telethon 2006 è durata complessivamente 61 ore, di cui circa 58 di trasmissione effettiva, coinvolgendo 10 trasmissioni televisive del palinsesto RAI. Nell'edizione 2006, 3 ore e 41 minuti sono state dedicate ad approfondire il tema delle malattie genetiche, trattando 21 diverse patologie attraverso il racconto di 21 casi malattia e la messa in onda di 8 cortometraggi. Una parte altrettanto importante di divulgazione scientifica in maratona è stata quella dedicata alle testimonianze in studio di 28 ricercatori tra quelli finanziati da Telethon.

RADIORAI

Anche nel 2006 Radio Rai è stata a fianco di Telethon, con una maratona radiofonica parallela a quella televisiva. La maratona è iniziata con Emanuela Falcetti su Radio1, con il programma "Italia, istruzioni per l'uso", proseguendo all'interno di tutto il palinsesto, attraverso i programmi più noti e affermati di Radio1, Radio2 e Radio3 e si è conclusa su Radio2 con il programma "Strada facendo".

★★★ Nel corso del 2006, sono state 72 le trasmissioni che hanno partecipato all'iniziativa con interviste ai ricercatori scientifici finanziati da Telethon, servizi, ospiti, lanci informativi che sotto diversi aspetti hanno affrontato i temi della ricerca scientifica e delle malattie genetiche.

⁵ In occasione della maratona 2007, Telethon e la RAI hanno siglato un accordo di collaborazione triennale (fino al 2009) grazie al quale la Fondazione potrà contenere i costi di produzione e allo stesso assicurare continuità alla propria raccolta fondi in TV.

⁶ Per quanto riguarda gli oneri riferibili all'opera di sensibilizzazione relativi alla trasmissione televisiva, il Comitato ha dovuto affrontare spese connesse agli aspetti tecnici della produzione televisiva dello spettacolo (774.685 Euro rimborsati direttamente alla RAI per i soli costi tecnici vivi; non vengono infatti corrisposti cachet artistici) e all'organizzazione degli eventi in piazza ripresi in diretta televisiva (622.366 Euro).



UNA CAMPAGNA DI TRASPARENZA FIRMATA RAI E TELETHON

★ ★ ★ A sei mesi dalla maratona televisiva 2006, Telethon e la Rai, per il secondo anno consecutivo, hanno fatto insieme il punto, con una parola d'ordine: trasparenza. Dal 3 al 6 maggio 2007, una finestra interamente dedicata alla rendicontazione dei fondi raccolti e dei risultati scientifici raggiunti da Telethon.

La campagna, che ha interessato radio e tv, ha coinvolto dal 3 al 5 maggio le trasmissioni "Cominciamo bene" di Rai 3, "Unomattina" e "Sabato, Domenica &..." di Rai 1. Si è parlato di Telethon anche nel corso di "Tv Talk" (Rai 3) e "Domenica In" (Rai 1) e "L'Italia istruzioni per l'uso" (Radio Rai Uno).

Durante i tre giorni, si è dedicato ampio spazio alla ricerca di Telethon e in particolare ai nuovi trial clinici sull'uomo per la cura di alcune malattie genetiche: leucodistrofia metacromatica, malattia di Charcot-Marie-Tooth e sindrome di Wiskott Aldrich.

FAR SAPERE A CHI CI AIUTA
COME VENGONO SPESI I SOLDI
CHE RACCOGLIAMO

GLI ALTRI STRUMENTI DI COMUNICAZIONE

Il quadro delle attività di comunicazione del Comitato Telethon Fondazione ONLUS è completato da altri strumenti descritti di seguito.

TELETHON.IT

★ ★ ★ Il sito internet di Telethon (www.telethon.it) ha accolto durante l'anno una media di oltre 57.216 "visite" al mese con un picco massimo di oltre 92.925 visite nel mese di dicembre e uno minimo di 29.621 nel mese di agosto.

Le pagine più viste sono quelle relative all'informazione scientifica e alle malattie genetiche e comprendono notizie e informazioni utili per i ricercatori, le associazioni, le famiglie dei malati e i giornalisti. Il sito è anche uno strumento utile per sostenere la ricerca.

★ ★ ★ Nel corso del 2006-2007 la raccolta complessiva on line è stata di 81.792 Euro, di cui 38.728 donati nei giorni della maratona 2006.

ALCUNI MOMENTI DELLA
MARATONA 2006





“ SE NON CREDI IN PRIMA PERSONA IN QUELLO CHE FAI È DIFFICILE COINVOLGERE E MOTIVARE A DONARE LE PERSONE CHE TI GUARDANO DA CASA ”

FLAVIO INSINNA* | CONDUTTORE TELEVISIVO

* Con lo speciale "Affari tuoi per Telethon", Insinna ha fatto registrare il record di sms ricevuti in una singola trasmissione

L'UFFICIO STAMPA

Ha il compito di fornire informazioni ai giornalisti, sia delle testate specializzate che di quelle generaliste.

★★★ Nel periodo 1 luglio 2006 - 30 giugno 2007, ha realizzato 39 comunicati (di cui 16 scientifici) e 13 conferenze stampa.

TELETHON NOTIZIE

È la rivista trimestrale di informazione scientifica con una copertura media di 400.000 famiglie di donatori ogni anno. Telethon Notizie informa inoltre sulle iniziative di comunicazione e raccolta fondi e documenta i risultati di gestione delle attività di Telethon.

TELETHON YOUNG

Il Progetto Telethon Young è un'iniziativa didattica sorta nel 2003, promossa dal Comitato Telethon Fondazione ONLUS con lo scopo di fornire informazioni didattiche e conoscitive sulla ricerca scientifica contro le malattie genetiche agli alunni del secondo biennio delle scuole primarie e ai ragazzi delle scuole secondarie di primo grado.

Il progetto Telethon Young nel luglio 2005 è stato oggetto di un protocollo d'intesa siglato con il Ministero della Pubblica Istruzione a conferma dell'interesse e della bontà dell'iniziativa.

Il Progetto si avvale di un kit di materiali didattici utili ai docenti come supporto per lo sviluppo di un percorso educativo ad integrazione delle unità di apprendimento. Mediante il kit i ragazzi, aiutati dai loro insegnanti, possono avvicinarsi alle problematiche legate alle malattie genetiche utilizzando in maniera chiara e semplice mappe concettuali, giochi ed esercizi divertenti.

Due gli obiettivi dell'iniziativa: diffondere informazioni scientifiche sulle malattie genetiche negli istituti scolastici, pubblici e privati, e sensibilizzare i giovani e le famiglie al sostegno della ricerca scientifica, attraverso iniziative di raccolta fondi, al fine di attivare una rete di supporto, intesa come vero e proprio impegno sociale.

★★★ Il progetto ha ottenuto un ottimo riscontro: complessivamente negli anni 2003-2007 ha registrato oltre 4.450 adesioni di scuole (1.317 solo nel 2006-2007).



LA GESTIONE DELLE RISORSE

PER GESTIRE LE PROPRIE RISORSE TELETHON SI ISPIRA AL MIGLIORAMENTO CONTINUO, ALLA MOTIVAZIONE E ALL'ADESIONE ALLA MISSIONE

LE RISORSE UMANE

Lavorare in Telethon implica una motivazione al lavoro basata sulla forte condivisione della missione, sulla collaborazione tra diverse professionalità e sulla tensione comune al raggiungimento degli obiettivi statuari.

★ ★ ★ Le persone che lavorano in Telethon sono 354, di cui 239 - pari al 67,5% del totale - compongono il personale degli istituti (Figura 45).

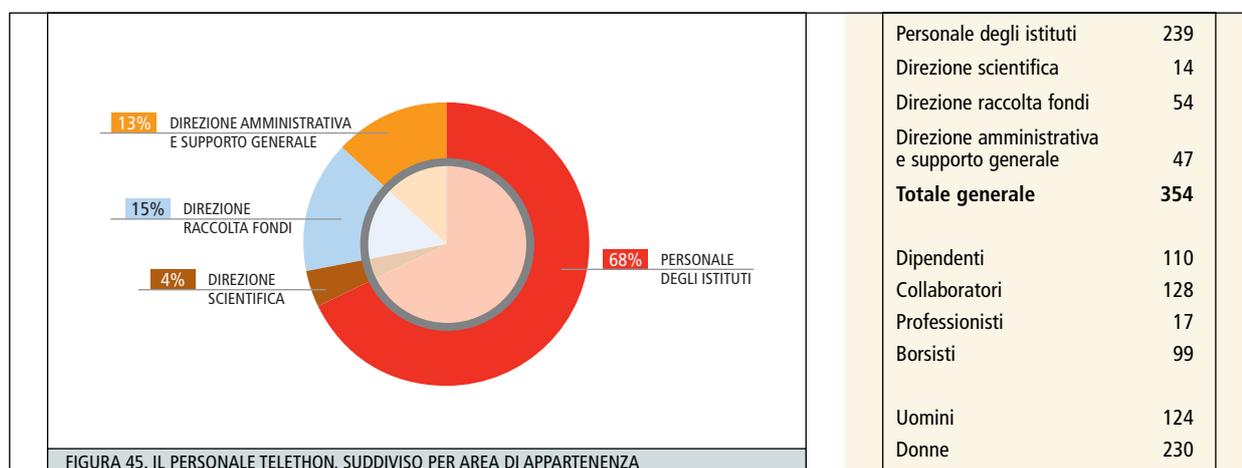


FIGURA 45. IL PERSONALE TELETHON, SUDDIVISO PER AREA DI APPARTENENZA

Per quanto riguarda gli istituti di ricerca Telethon, la figura successiva ripropone un profilo sintetico e d'insieme del personale di ricerca.

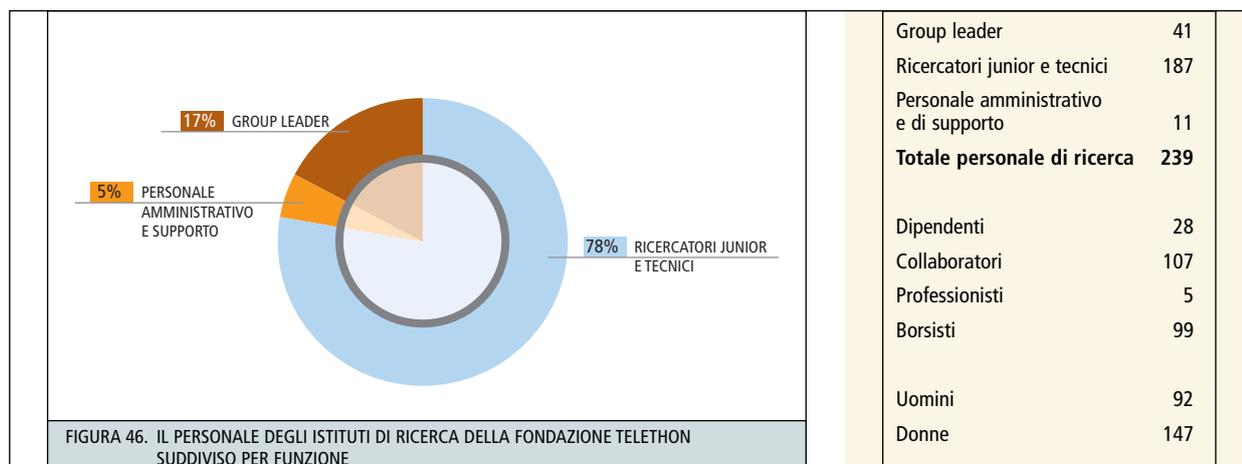
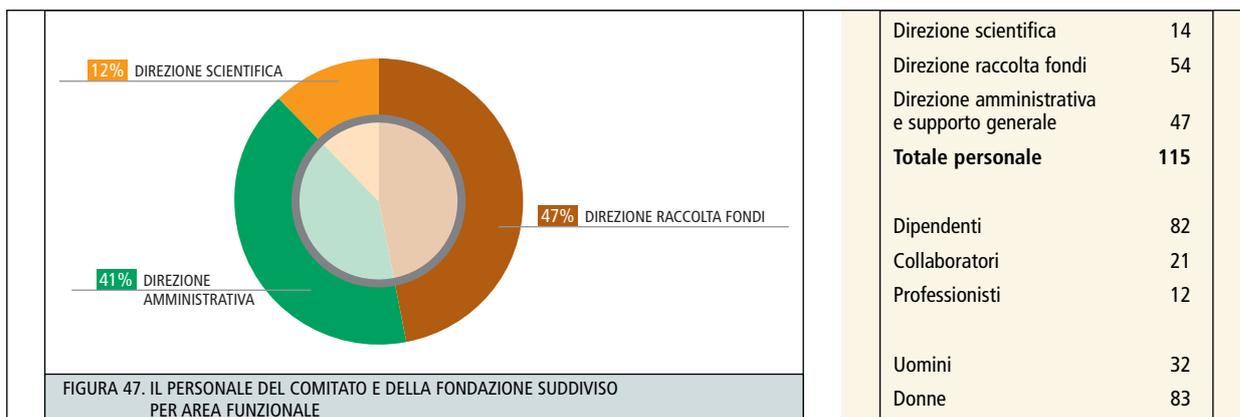


FIGURA 46. IL PERSONALE DEGLI ISTITUTI DI RICERCA DELLA FONDAZIONE TELETHON SUDDIVISO PER FUNZIONE

Senza considerare il personale direttamente impegnato negli istituti di ricerca interna, le risorse umane impegnate nei due enti Telethon, sono 115 con le caratteristiche evidenziate nella figura successiva.



LE RISORSE FINANZIARIE

Telethon, in attesa di erogare i fondi, si ispira a sistemi di investimento del patrimonio improntati a principi di responsabilità sociale. La gestione delle risorse finanziarie avviene attraverso diversi oggetti di investimento (tra queste il Fondo BNL per Telethon che si ispira alle linee guida indicate dal Comitato Etico di tale fondo) caratterizzati da una bassa rischiosità e che prevedono impieghi prevalentemente in titoli di stato. Le politiche di investimento vengono definite nell'ambito di un comitato interno di investimento i cui soggetti sono: Telethon, il gestore (SGR) e una società di gestione del risparmio indipendente.

Per informazioni relative alla gestione delle risorse finanziarie si suggerisce di prendere visione degli allegati "Titoli al 30 giugno 2007" ai Bilanci contabili del Comitato e della Fondazione (📄 disponibili sul sito www.telethon.it/telethon/fondi.asp).

Di seguito si propone una sintesi dei risultati degli investimenti obbligazionari, che rappresentano la parte principale degli investimenti in essere, tratti dalle rendicontazioni del gestore, sia per il Comitato (Figura 48) che per la Fondazione (Figura 49).

	PATRIMONIO FINALE (MIGLIAIA DI EURO)	RENDIMENTO LORDO (%)	BENCHMARK (%)
Luglio-settembre 2006	19.131	0.86	1.91
Ottobre-dicembre 2006	18.712	0.10	-0.29
Gennaio-marzo 2007	17.650	0.79	0.64
Aprile-giugno 2007	21.886	0.20	-0.92

FIGURA 48. I RISULTATI DEGLI INVESTIMENTI OBBLIGAZIONARI DEI FONDI GESTITI DAL COMITATO TELETHON FONDAZIONE ONLUS

	PATRIMONIO FINALE (MIGLIAIA DI EURO)	RENDIMENTO LORDO (%)	BENCHMARK (%)
Luglio-settembre 2006	18.360	0.85	1.91
Ottobre-dicembre 2006	21.455	0.30	-0.29
Gennaio-marzo 2007	23.902	0.71	0.64
Aprile-giugno 2007	21.036	0.26	-0.92

FIGURA 49. I RISULTATI DEGLI INVESTIMENTI OBBLIGAZIONARI DEI FONDI GESTITI DALLA FONDAZIONE TELETHON

IL FUNZIONAMENTO DELLA STRUTTURA

NEL FUNZIONAMENTO RIENTRA LO SFORZO ORGANIZZATIVO GENERALE, BASATO SU UNA CORRETTA AMMINISTRAZIONE E SULL'ATTENTO MONITORAGGIO DEI COSTI

IL CONTROLLO DI GESTIONE

Il controllo di gestione di Telethon si svolge su un doppio binario: il controllo dei risultati economico-finanziari e il controllo dei risultati di utilità sociale.

Il controllo dei risultati di utilità sociale si basa su strumenti che misurano la qualità e la quantità degli interventi realizzati durante l'anno in termini di numero di malattie curate, numero di pubblicazioni scientifiche e loro posizionamento sui gradini della scala della ricerca. Il controllo dei risultati economico-finanziari, che si avvale dell'impostazione di strumenti di budget e contabilità, è basato su indicatori che misurano la quantità di risorse messe a disposizione per le attività istituzionali e l'economicità delle attività di supporto.

Nella tabella successiva (Figura 50) vengono presentati i principali indici utilizzati da Telethon nel controllo di gestione, specificando le modalità di calcolo e che cosa misurano.

INDICE	COSA MISURA	MODALITÀ DI CALCOLO
Efficienza raccolta fondi	quanto si spende per raccogliere 1 Euro	"Oneri raccolta fondi e comunicazione" <i>diviso</i> "Proventi raccolta fondi"
Incidenza oneri attività istituzionali (%)	quanto gli oneri delle attività istituzionali incidono sul totale degli oneri sostenuti	"Oneri attività istituzionali" <i>diviso</i> "Volume complessivo oneri"
Incidenza oneri raccolta fondi (%)	quanto gli oneri della raccolta fondi incidono sul totale degli oneri sostenuti	"Oneri raccolta fondi e comunicazione" <i>diviso</i> "Volume complessivo oneri"
Incidenza oneri supporto generale (%)	quanto gli oneri del supporto generale incidono sul totale degli oneri sostenuti	"Oneri supporto generale" <i>diviso</i> "Volume complessivo oneri"

FIGURA 50. I PRINCIPALI INDICI UTILIZZATI DA TELETHON NEL CONTROLLO DI GESTIONE

IL RENDICONTO DELLA GESTIONE

Nel seguente prospetto sono sintetizzate le informazioni contenute nei bilanci contabili del Comitato e della Fondazione certificati dalla società di revisione KPMG.



“ TRASPARENZA ED EFFICIENZA SONO CONDIZIONI INDISPENSABILE PER POTER CRESCERE NELLA STIMA DELLA GENTE E PER RASSICURARE TUTTI I NOSTRI DONATORI CHE I LORO SOLDI GIUNGONO A DESTINAZIONE ”

ANGELO MARAMAI | DIRETTORE AMMINISTRATIVO E FINANZIARIO DI TELETHON

RENDICONTO DELLA GESTIONE AL 30 GIUGNO 2007			
Prospetto di sintesi (Euro)			
	BILANCIO COMITATO (A)	BILANCIO FONDAZIONE (B)	AGGREGATO 2007 (A+B)
PROVENTI			
Da attività istituzionali (contributi da enti esterni vincolati per istituti di ricerca Telethon)	213.085	6.960.147	7.173.232
Da attività promozionale e raccolta fondi	29.945.249	3.125.852	33.071.101
Da attività finanziaria	523.239	582.951	1.106.190
Da attività straordinaria e rettifiche a delibera	385.428	35.033	420.461
Volume complessivo proventi (1)	31.067.001	10.703.983	41.770.984
ONERI			
Da attività istituzionali	(24.155.342)	(8.277.948)	(32.433.290)
Da raccolta fondi e comunicazione	(5.279.395)	(682.059)	(5.961.454)
Da attività finanziaria e straordinaria	(317.657)	(382.565)	(700.222)
Da attività di supporto generale	(1.158.101)	(1.715.006)	(2.873.107)
Volume complessivo oneri (2)	(30.910.495)	(11.057.578)	(41.968.073)
Risultato gestionale (1+2)	156.506	(353.595)	(197.089)
Fondi disponibili iniziali	2.803.940	2.124.562	4.928.502
Fondi disponibili finali	2.960.446	1.770.967	4.731.413

LA VALUTAZIONE DELL'EFFICIENZA ORGANIZZATIVA

Ma quanto costa la raccolta fondi? E come vengono impiegate le risorse durante l'anno? Per rispondere a queste due domande centrali della propria gestione, fornire agli amministratori chiari elementi di valutazione sull'operato svolto e incrementare il livello di trasparenza nei confronti di tutti i suoi *stakeholder*, Telethon integra l'informativa di bilancio con l'analisi di indici di efficienza organizzativa utilizzati a livello internazionale per misurare l'efficienza nella raccolta fondi e nell'impiego delle risorse. Gli indici sono quelli proposti da Charity Navigator, un'organizzazione americana che gestisce un sito interamente dedicato al *rating* degli enti non profit statunitensi e che offre una guida consapevole per indirizzare le donazioni verso le organizzazioni più virtuose ( www.charitynavigator.org). Questi indici sono stati ripresi dal Consiglio Nazionale dei Dottori Commercialisti che, con la raccomandazione n. 10 del 2007, ha definito gli ambiti di applicazione e la tipologia di organizzazioni italiane per le quali questi indici assumono un rilievo centrale nella valutazione delle attività gestionali svolte.

FAR SAPERE A CHI CI AIUTA COME VENGONO SPESI I SOLDI CHE RACCOGLIAMO

L'EFFICIENZA DELLA RACCOLTA FONDI

L'efficienza della raccolta fondi evidenzia in forma sintetica e trasparente quanto costano le iniziative di fund raising nel loro complesso.

L'indice di efficienza è dato dal rapporto tra il totale degli oneri della raccolta fondi (ossia tutte le spese connesse alle iniziative di raccolta fondi) e il totale dei proventi correlati a tali oneri.

Nel 2006-2007 Telethon ha speso quasi 6 milioni di Euro per le attività di raccolta fondi e ha realizzato proventi per oltre 33 milioni di Euro.

Il rapporto tra queste grandezze indica la spesa per ogni Euro raccolto: 18 centesimi è il costo sostenuto da Telethon nel 2006-2007.

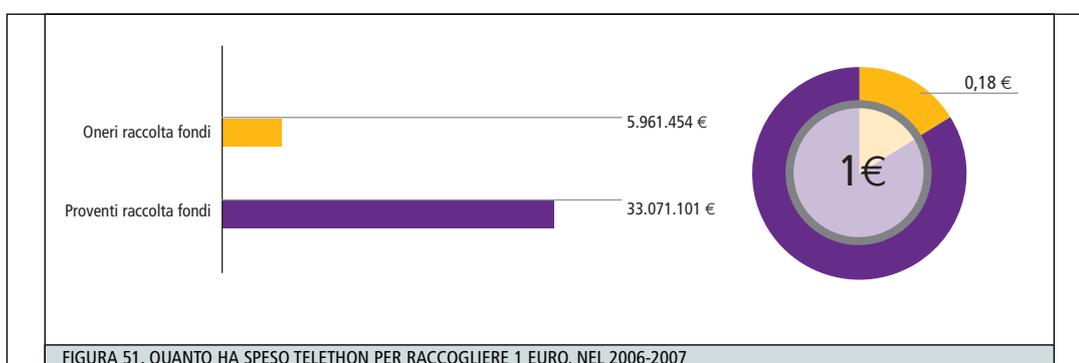


FIGURA 51. QUANTO HA SPESO TELETHON PER RACCOLGERE 1 EURO, NEL 2006-2007

L'IMPIEGO DELLE RISORSE

Nel corso del 2006-2007, per sostenere le attività istituzionali, Telethon ha impiegato complessivamente il 78,6% delle risorse (pari a 32,4 milioni di Euro).

Il 14,4% è andato a coprire le attività di raccolta fondi e il 7% alle spese di supporto generale: una performance in linea con le migliori pratiche internazionali.

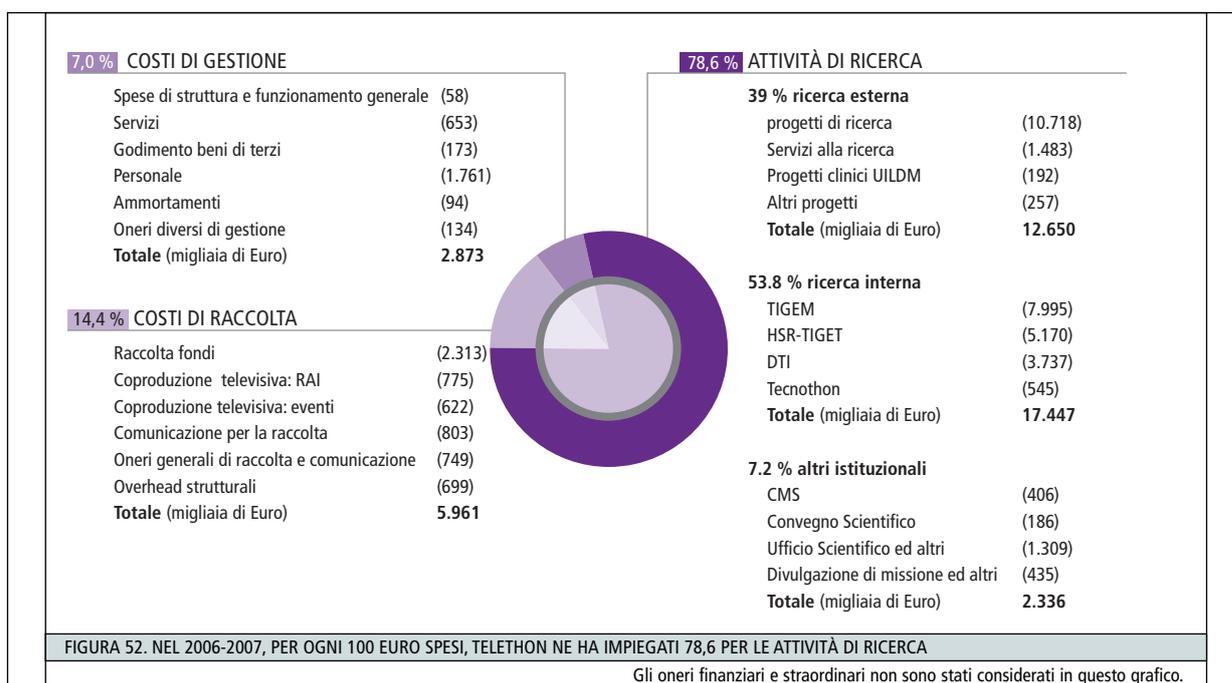


FIGURA 52. NEL 2006-2007, PER OGNI 100 EURO SPESI, TELETHON NE HA IMPIEGATI 78,6 PER LE ATTIVITÀ DI RICERCA

Gli oneri finanziari e straordinari non sono stati considerati in questo grafico.

Nel rispetto di una coerente politica di responsabilità informativa, Telethon s'impegna a rendere noti i risultati economico-finanziari e di utilità sociale attraverso la pubblicazione dei suoi bilanci.

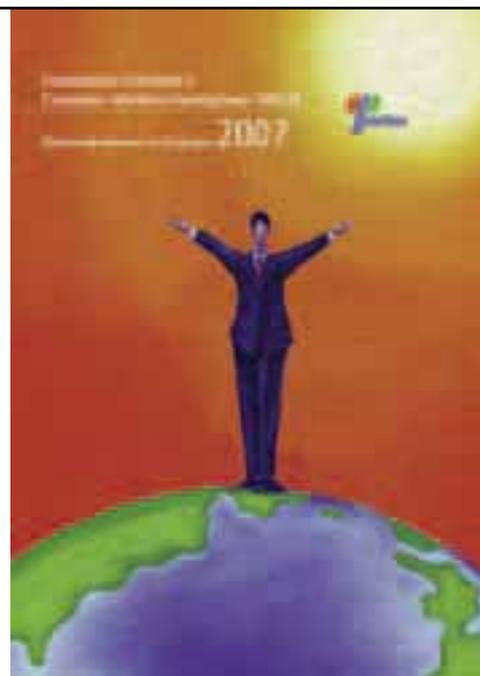
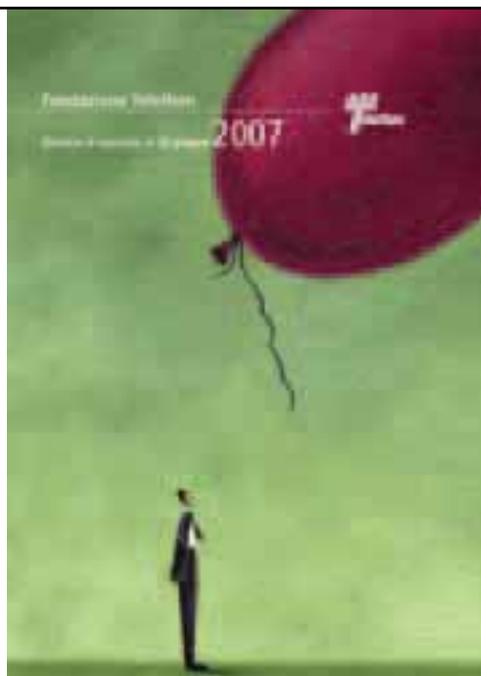
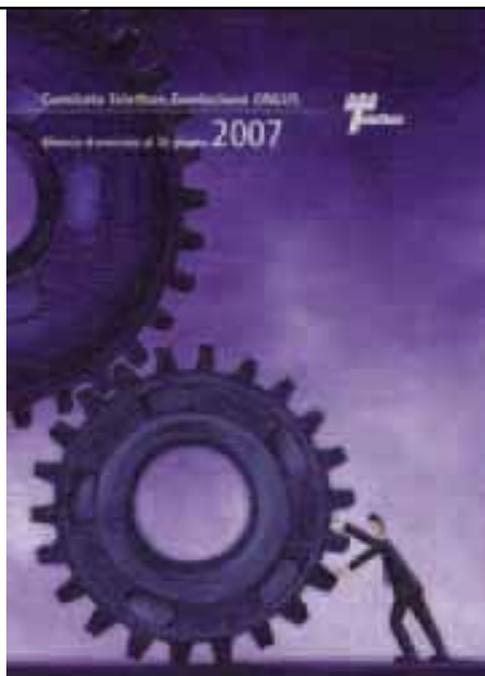
I BILANCI

Ogni anno Telethon elabora un rendiconto delle proprie attività redigendo bilanci che documentano gli impegni e i risultati dell'esercizio. Al termine di ciascun anno finanziario vengono approvati i bilanci contabili del Comitato Telethon Fondazione ONLUS e della Fondazione Telethon, i due enti che si occupano rispettivamente della raccolta ed erogazione dei fondi e della gestione dei fondi di ricerca.

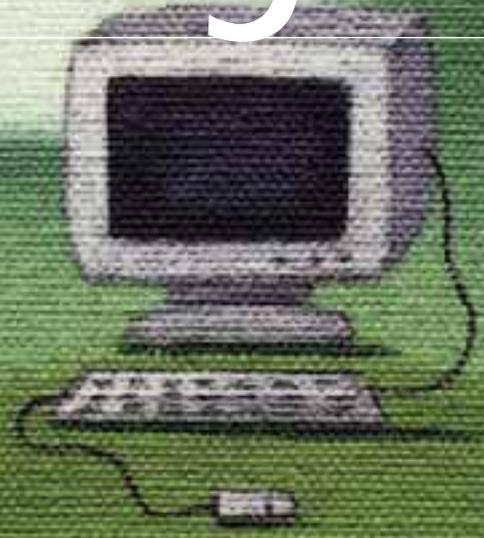
L'esercizio finanziario di entrambi gli enti si conclude il 30 giugno di ogni anno, coerentemente con il ciclo di attività di preparazione e gestione della manifestazione Telethon, che si svolge nel mese di dicembre. La società internazionale KPMG effettua la revisione contabile.

Prima della campagna di raccolta pubblica dei fondi, Telethon pubblica sui principali quotidiani italiani un estratto dei propri bilanci in una versione sintetica e divulgativa.

Infine, viene pubblicato il Bilancio di missione che state leggendo, con la relazione sulle principali attività svolte da Telethon. Questi documenti, distribuiti ai principali *stakeholder* di Telethon, vengono pubblicati sul sito istituzionale (www.telethon.it/telethon/fondi.asp) e sono disponibili a richiesta.



5



parte 5

I PROSPETTI

BILANCIO DI MISSIONE AL 30 GIUGNO 2007

- STATO PATRIMONIALE DEL COMITATO
- RENDICONTO DELLA GESTIONE A PROVENTI E ONERI DEL COMITATO
- STATO PATRIMONIALE DELLA FONDAZIONE
- RENDICONTO DELLA GESTIONE A PROVENTI E ONERI DELLA FONDAZIONE
- ALLEGATO 1 - RENDICONTO DEGLI ONERI PER DESTINAZIONE DEL COMITATO
- ALLEGATO 2 - RENDICONTO DEGLI ONERI PER DESTINAZIONE DELLA FONDAZIONE

COMITATO TELETHON FONDAZIONE ONLUS
STATO PATRIMONIALE
AL 30 GIUGNO 2007 (UNITÀ DI EURO)

ATTIVO	30 GIUGNO 2007	30 GIUGNO 2006
B) Immobilizzazioni		
I) Immobilizzazioni immateriali		
3) Diritti di brevetto industriale e diritti di utilizzazione delle opere dell'ingegno	157.624	14.688
6) Immobilizzazioni in corso e acconti	0	57.864
7) Altre	2.211	4.421
Totale	159.835	76.973
II) Immobilizzazioni materiali		
3) Altri beni	46.257	45.582
Totale	46.257	45.582
III) Immobilizzazioni finanziarie, con separata indicazione, per ciascuna voce dei crediti, degli importi esigibili entro l'esercizio successivo		
2) Crediti	52.184	52.054
Totale	52.184	52.054
C) Attivo circolante		
II) Crediti, con separata indicazione, per ciascuna voce dei crediti, degli importi esigibili oltre l'esercizio successivo		
5) Verso altri	613.950	1.649.223
Totale	613.950	1.649.223
III) Attività finanziarie che non costituiscono immobilizzazioni		
2) Altri titoli	26.753.915	26.034.836
Totale	26.753.915	26.034.836
IV) Disponibilità liquide		
1) Depositi bancari e postali	1.341.629	811.814
2) Liquidità presso società di gestione del risparmio	31.742	66.234
3) Assegni	0	135.016
4) Denaro e valori in cassa	2.847	2.066
Totale	1.376.218	1.015.130
D) Ratei e risconti attivi	361.348	276.051
TOTALE ATTIVO	29.363.707	29.149.849

PASSIVO	30 GIUGNO 2007	30 GIUGNO 2006
A) Patrimonio netto		
I) Patrimonio libero		
1) Risultato gestionale dell'esercizio in corso	156.505	1.421.514
2) Risultato gestionale da esercizi precedenti	2.803.940	1.382.426
Totale	2.960.445	2.803.940
III) Patrimonio vincolato		
1) Fondi vincolati destinati da terzi	692.570	654.670
2) Fondi vincolati per decisione degli organi istituzionali	23.640.320	23.763.074
Totale	24.332.890	24.417.744
Totale patrimonio netto	27.293.335	27.221.684
B) Fondi per rischi ed oneri		
2) Altri	0	0
Totale	0	0
C) Trattamento di fine rapporto di lavoro subordinato	197.875	154.318
D) Debiti, con separata indicazione, per ciascuna voce, degli importi esigibili oltre l'esercizio successivo		
5) Debiti verso fornitori	1.183.402	1.251.891
6) Debiti tributari	105.551	80.920
7) Debiti verso istituti di previdenza e di sicurezza sociale	66.900	51.278
8) Altri debiti	516.644	389.758
Totale	1.872.497	1.773.847
E) Ratei e risconti passivi	0	0
TOTALE PASSIVO	29.363.707	29.149.849
CONTI D'ORDINE		
1) Impegni assunti per attività istituzionali	3.046.580	5.779.140

COMITATO TELETHON FONDAZIONE ONLUS
RENDICONTO DELLA GESTIONE A PROVENTI E ONERI
SEZIONI DIVISE E CONTRAPPOSTE AL 30 GIUGNO 2007 (UNITÀ DI EURO)

ONERI	30 GIUGNO 2007	30 GIUGNO 2006
1) Oneri da attività istituzionali		
1.1.1) Delibere di assegnazione ricerca interna	10.092.740	10.157.563
1.1.2) Delibere di assegnazione ricerca esterna	12.650.204	12.887.066
Subtotale	22.742.944	23.044.629
1.2) Organizzazione Convention	185.808	0
1.3) Altri istituzionali e ufficio scientifico	1.226.590	1.294.599
Totale	24.155.342	24.339.228
2) Oneri promozionali e di raccolta fondi		
2.1) Maratona Telethon		
2.1.1) Raccolta fondi	1.829.406	2.129.466
2.1.2) Coproduzione televisiva: RAI	774.685	774.685
2.1.3) Coproduzione televisiva: eventi	622.366	662.720
2.1.4) Comunicazione per la raccolta	802.593	705.104
2.1.5) Oneri generali comunicazione e raccolta fondi	699.285	338.106
2.1.6) <i>Overhead</i> strutturali comunicazione e raccolta fondi	551.060	560.364
Subtotale	5.279.395	5.170.445
2.2) Altre raccolte		
2.2.1) Oneri altre raccolte	0	41.583
Subtotale	0	41.583
Totale	5.279.395	5.212.028
4) Oneri finanziari e patrimoniali		
4.1) Da operazioni bancarie e postali	31.424	35.518
4.2) Da altri beni patrimoniali	258.421	317.354
Totale	289.845	352.872
5) Oneri straordinari		
5.3) Da altre attività	27.812	38.002
Totale	27.812	38.002
6) Oneri di supporto generale		
6.1) Spese di struttura	48.846	54.173
6.2) Servizi	442.304	446.046
6.3) Godimento beni di terzi	142.902	159.715
6.4) Personale	418.258	346.441
6.5) Ammortamenti	41.623	49.143
6.6) Oneri diversi di gestione	64.168	58.747
Totale	1.158.101	1.114.265
TOTALE ONERI	30.910.495	31.056.395
Avanzo gestionale	156.505	1.421.514

PROVENTI	30 GIUGNO 2007	30 GIUGNO 2006
1) Proventi da attività istituzionali e rettifiche ad assegnazioni di fondi vincolati per la ricerca		
1.1.1) Rettifiche a delibere ricerca interna	0	0
1.1.2) Rettifiche a delibere ricerca esterna	268.023	377.355
Subtotale	268.023	377.355
1.3) Altri istituzionali	213.085	220.487
Totale	481.108	597.842
2) Proventi da raccolta fondi		
2.1) Maratona Telethon	29.945.249	30.783.391
2.2) Altre raccolte		
2.2.1) Da fondazioni bancarie e altri enti	0	237.035
Subtotale	0	237.035
Totale	29.945.249	31.020.426
4) Proventi finanziari e patrimoniali		
4.1) Da depositi bancari e postali	17.228	15.969
4.2) Da altri beni patrimoniali	506.011	439.687
Totale	523.239	455.656
5) Proventi straordinari		
5.3) Da altre attività	116.049	396.158
Totale	116.049	396.158
6) Proventi straordinari di supporto generale		
6.1) Proventi straordinari	1.356	7.827
Totale	1.356	7.827
TOTALE PROVENTI	31.067.001	32.477.909
Disavanzo gestionale	0	0

FONDAZIONE TELETHON
STATO PATRIMONIALE
AL 30 GIUGNO 2007 (UNITÀ DI EURO)

ATTIVO	30 GIUGNO 2007	30 GIUGNO 2006
B) Immobilizzazioni		
I) Immobilizzazioni immateriali		
3) Diritti di brevetto industriale e diritti di utilizzazione delle opere dell'ingegno	13.881	17.713
6) Immobilizzazioni in corso e acconti	0	5.544
7) Altre	0	0
Totale	13.881	23.257
II) Immobilizzazioni materiali		
1) Fabbricati	120.889	126.070
2) Impianti e attrezzature	160.560	261.353
3) Altri beni	166.780	216.569
4) Immobilizzazioni in corso e acconti	0	0
Totale	448.229	603.992
III) Immobilizzazioni finanziarie, con separata indicazione, per ciascuna voce dei crediti, degli importi esigibili entro l'esercizio successivo		
1) Partecipazioni	15.194	15.194
2) Crediti	13.170	13.170
Totale	28.364	28.364
C) Attivo circolante		
I) Rimanenze		
7) Altre	2.785.000	2.785.000
Totale	2.785.000	2.785.000
II) Crediti, con separata indicazione, per ciascuna voce dei crediti, degli importi esigibili oltre l'esercizio successivo		
5) Verso altri	17.412.206	18.191.894
Totale	17.412.206	18.191.894
III) Attività finanziarie che non costituiscono immobilizzazioni		
1) Partecipazioni	6.000	6.000
2) Altri titoli	31.938.746	32.496.908
Totale	31.944.746	32.502.908
IV) Disponibilità liquide		
1) Depositi bancari e postali	1.377.125	1.255.743
2) Liquidità presso società di gestione del risparmio	37.616	106.812
3) Denaro e valori in cassa	6.122	4.689
Totale	1.420.863	1.367.244
D) Ratei e risconti attivi	329.158	285.683
TOTALE ATTIVO	54.382.447	55.788.342

PASSIVO	30 GIUGNO 2007	30 GIUGNO 2006
A) Patrimonio netto		
I) Patrimonio libero		
1) Risultato gestionale dell'esercizio in corso	(353.595)	(1.788.460)
2) Risultato gestionale da esercizi precedenti	2.124.562	3.913.022
Totale	1.770.967	2.124.562
II) Fondo di dotazione e fondi permanentemente vincolati per decisione degli organi istituzionali		
1) Fondo di dotazione	206.583	206.583
2) Fondo Paudice per Tigem	8.892.077	8.768.177
3) Altri fondi permanentemente vincolati	142.026	142.026
Totale	9.240.686	9.116.786
III) Patrimonio vincolato		
1) Fondi vincolati destinati da terzi	34.152.811	34.417.086
2) Fondi vincolati per decisione degli organi istituzionali	0	210.840
Totale	34.152.811	34.627.926
Totale patrimonio netto	45.164.464	45.869.274
C) Trattamento di fine rapporto di lavoro subordinato	631.503	655.847
D) Debiti, con separata indicazione, per ciascuna voce, degli importi esigibili oltre l'esercizio successivo		
5) Debiti verso fornitori	2.265.128	1.789.525
6) Debiti tributari	271.993	187.324
7) Debiti verso istituti di previdenza e di sicurezza sociale	199.208	125.327
8) Altri debiti	5.137.975	7.161.045
Totale	7.874.304	9.263.221
E) Ratei e risconti passivi	712.176	0
TOTALE PASSIVO	54.382.447	55.788.342
CONTI D'ORDINE		
1) Impegni assunti per attività istituzionali	4.181.905	6.516.140
2) Impegni ricevuti per attività istituzionali	3.046.580	5.779.140

FONDAZIONE TELETHON

RENDICONTO DELLA GESTIONE A PROVENTI E ONERI

SEZIONI DIVISE E CONTRAPPOSTE AL 30 GIUGNO 2007 (UNITÀ DI EURO)

ONERI	30 GIUGNO 2007	30 GIUGNO 2006
1) Oneri da attività istituzionali		
1.1) Oneri da attività di gestione istituti di ricerca su fondi vincolati		
1.1.1) Personale degli istituti di ricerca	5.226.043	4.613.199
1.1.2) Ammortamenti immobilizzazioni	183.124	178.356
1.1.3) Oneri di funzionamento istituti di ricerca	10.520.174	8.832.818
Subtotale	15.929.341	13.624.373
1.2) Oneri da attività deliberativa e di gestione degli istituti di ricerca		
1.2.2) Delibere di assegnazione ricerca esterna	0	400.000
1.2.3) Oneri operativi istituti di ricerca	559.045	697.626
Subtotale	559.045	1.097.626
1.3) Altri oneri istituzionali e ufficio scientifico	923.378	754.736
Totale	17.411.764	15.476.735
2) Oneri promozionali e di raccolta fondi		
2.1) Oneri di raccolta	483.996	243.109
2.2) Oneri generali comunicazione e raccolta fondi	50.211	3.711
2.3) Overhead strutturali comunicazione e raccolta fondi	147.852	210.624
Totale	682.059	457.444
4) Oneri finanziari e patrimoniali		
4.1) Da operazioni bancarie e postali	16.946	16.027
4.2) Da altri beni patrimoniali	516.498	488.434
Totale	533.444	504.461
5) Oneri straordinari		
5.1) Da attività finanziarie	1.242	3.369
5.3) Da altre attività	28.887	36.590
Totale	30.129	39.959
6) Oneri di supporto generale		
6.1) Spese di struttura	8.835	8.657
6.2) Servizi	211.137	203.957
6.3) Godimento beni di terzi	29.903	33.654
6.4) Personale	1.343.188	1.337.538
6.5) Ammortamenti	51.513	73.000
6.6) Oneri diversi di gestione	70.430	64.738
Totale	1.715.006	1.721.544
TOTALE ONERI	20.372.402	18.200.143
Avanzo gestionale	0	0

PROVENTI	30 GIUGNO 2007	30 GIUGNO 2006
1) Proventi da attività istituzionali		
1.1) Proventi da terzi per attività di gestione istituti di ricerca su fondi vincolati		
1.1.1) Contributi vincolati destinati da terzi	6.795.528	6.366.200
1.1.2) Contributi vincolati destinati da CTFO	9.100.225	7.258.172
1.1.3) Altri proventi vincolati	33.590	-
Subtotale	15.929.343	13.624.372
1.3) Altri proventi istituzionali	164.620	16.734
Totale	16.093.963	13.641.106
2) Proventi da raccolta fondi		
2.1) Maratona Telethon	2.991.039	1.859.933
2.2) Altre raccolte		
2.2.1) Da fondazioni bancarie e altri enti	134.813	160.888
Subtotale	134.813	160.888
Totale	3.125.852	2.020.821
4) Proventi finanziari e patrimoniali		
4.1) Da depositi bancari e postali	4.260	6.363
4.2) Da altri beni patrimoniali	883.598	677.795
Totale	887.858	684.158
5) Proventi straordinari		
5.1) Da attività finanziarie	5.222	2.120
5.3) Da altre attività	29.811	61.878
Totale	35.033	63.998
6) Proventi straordinari di supporto generale		
6.1) Proventi diversi	0	1.600
Totale	0	1.600
TOTALE PROVENTI	20.142.706	16.411.683
Disavanzo gestionale	229.696	1.788.460

COMITATO TELETHON FONDAZIONE ONLUS
ALLEGATO 1 • RENDICONTO DEGLI ONERI PER DESTINAZIONE
AL 30 GIUGNO 2007 (MIGLIAIA DI EURO)

Oneri	ATTIVITÀ ISTITUZIONALE			ATTIVITÀ DI SUPPORTO			TOTALE
	Ricerca	Divulgazione di missione e altri	Ufficio scientifico	Raccolta fondi	Amministrazione e supporto generale	Finanziari e straordinari	
<i>Grant</i>	22.743						22.743
Convention			186				186
Oneri indiretti di ricerca e CMS			493				493
Altri oneri		1	0				1
Acquisti			8	576	49		633
Servizi		297	170	3.182	441		4.090
Godimento beni terzi			52	143	143		338
Personale			167	1.336	419		1.922
Ammortamenti			39	42	42		123
Oneri diversi					64		64
Oneri finanziari e straordinari						317	317
TOTALE ONERI	22.743	298	1.115	5.279	1.158	317	30.910

FONDAZIONE TELETHON
ALLEGATO 2 • RENDICONTO DEGLI ONERI PER DESTINAZIONE
AL 30 GIUGNO 2007 (MIGLIAIA DI EURO)

Oneri	ATTIVITÀ ISTITUZIONALE			ATTIVITÀ DI SUPPORTO			TOTALE
	Ricerca	Divulgazione di missione	Ufficio scientifico	Raccolta fondi	Amministrazione e supporto generale	Finanziari e straordinari	
Personale istituti di ricerca	5.634						5.634
Ammortamenti istituti di ricerca	213						213
Oneri di funzionamento istituti di ricerca	10.641						10.641
Delibere di assegnazione ricerca esterna	0						0
Oneri indiretti di ricerca			186				186
Altri oneri		137					137
Acquisti			14	6	9		29
Servizi			126	373	211		710
Godimento beni terzi			0	30	30		60
Personale			461	220	1.344		2.025
Ammortamenti			0	52	52		104
Oneri diversi					70		70
Oneri finanziari e straordinari						563	563
TOTALE ONERI	16.488	137	787	681	1.716	563	20.372

6



parte 6

LE DELIBERE ALLA RICERCA

BILANCIO DI MISSIONE AL 30 GIUGNO 2007

- ELENCO DELLE DELIBERE DI FINANZIAMENTO
COMITATO ALLA RICERCA ESTERNA
- ELENCO DELLE DELIBERE DI FINANZIAMENTO
COMITATO ALLA RICERCA INTERNA
- ELENCO ONERI OPERATIVI FONDAZIONE
ALLA RICERCA INTERNA

ELENCO DELLE DELIBERE DI FINANZIAMENTO DALL'1 LUGLIO 2006 AL 30 GIUGNO 2007

RICERCATORE RESPONSABILE	TITOLO DEL PROGETTO	NUMERO PROGETTO
DELIBERE COMITATO TELETHON FONDAZIONE ONLUS		
RICERCA ESTERNA		
PROGETTI DI RICERCA		
Clementi Emilio	Basi molecolari dell'azione terapeutica del nitroflurbiprone (HCT1026), un anti-infiammatorio che rilascia nitrossido, nella distrofia muscolare: analisi della struttura e funzionalità dei mitocondri nella rigenerazione e sviluppo muscolare	GGP07006
De Franceschi Lucia	Analisi di modificazioni funzionale e post-tralazionali nei globuli rossi di pazienti affetti da neuroacantocitosi	GGP07007
Borgese Dominica	Meccanismo di inserimento nella membrana del reticolo endoplasmico di proteine ancorate da una coda carbossi-terminale: caratterizzazione di un nuovo meccanismo di biogenesi delle membrane e sue implicazioni per la fisiologia e la patologia cellulare	GGP07010
Brunelli Silvia	Il ruolo di necdin nel differenziamento e nella rigenerazione muscolare: meccanismo di azione e applicazione alla terapia cellulare della distrofia muscolare	GGP07013
Schwartz Peter J.	Variabilità del rischio per aritmie e morte improvvisa nella sindrome del QT lungo. Identificazione e ruolo dei geni modificatori.	GGP07016
Carri' Maria Teresa	Studio di nuove strategie per riparare il danno mitocondriale motoneuronale nella SLA familiare	GGP07018
Zeviani Massimo	Identificazione e caratterizzazione di geni nucleari responsabili di malattie mitocondriali.	GGP07019
Nistri Andrea	Fattori genetici e locali regolano il ruolo dell'ATP quale trasmettitore del dolore in un modello di emicrania	GGP07032
Brahe Christina	Studio in vitro e in vivo del salbutamolo, un potenziale agente terapeutico per l'atrofia muscolare spinale	GGP07035
Di Natale Paola	Mucopolisaccaridosi tipo IIIB: dalla patogenesi alla terapia	GGP07043
Bozzoni Irene	Uso dell'RNA per la terapia della Distrofia Muscolare di Duchenne: produzione e validazione di costrutti antisense capaci di indurre exon skipping in diversi tipi di mutazioni DMD	GGP07049
Sobacchi Cristina	La genetica dell'Osteopetrosi Autosomica Recessiva con assenza di osteoclasti	GGP07059
Poletti Angelo	Morte dei motoneuroni nell'Atrofia Muscolare Spinale e Bulbare: dai meccanismi molecolari ai potenziali approcci terapeutici	GGP07063
Wilson Cathal	Studio del ruolo della sedlina nella patogenesi della spondiloeipifisodisplasia tarda (SED)	GGP07075
Ginelli Enrico	Analisi dei meccanismi epigenetici responsabili dell'insorgenza della Distrofia Facioscapolomereale (FSHD)	GGP07078
Sebastio Gianfranco	Intolleranza alle proteine con lisinuria: studio dei meccanismi fisiopatologici della malattia per disegnare nuove ed efficaci terapie	GGP07085
Riccio Andrea	Difetti di imprinting genomico come causa di disordini della crescita congeniti	GGP07086
Wrabetz Lawrence	Traffico intracellulare e controllo di qualità della glicoproteina P0 nella neuropatia CMTB1	GGP07100
Di Rocco Giuliana	Progenitori miogenici derivati dal tessuto adiposo per il trattamento della distrofia muscolare.	GGP07106
Brusco Alfredo	Caratterizzazione funzionale delle mutazioni missense in SCA28, sviluppo di un modello murino, e screening di geni candidati per atassia cerebellare.	GGP07110
Tartaglia Marco	Basi molecolari della sindrome di Noonan e dei disturbi correlati	GGP07115
Gulino Alberto	Regolazione della via di segnalazione di Hedgehog nello sviluppo delle cellule nervose e nelle cellule staminali.	GGP07118
Tagliatela Maurizio	"convulsioni neonatali familiari benigne e corrente m: dall'analisi mutazionale dei geni kcnq2/3 ai meccanismi molecolari della liberazione di neurotrasmettitori e di voltaggio-dipendenza nei canali del potassio"	GGP07125
Calabresi Laura	Caratteristiche genetiche, biochimiche e cliniche del deficit di LCAT in Italia	GGP07132
Poggesi Corrado	Alterazioni nelle proprietà di contrazione e rilasciamento di sarcomeri cardiaci nella cardiomiopatia ipertrofica familiare (HCM): studio a livello di singole miofibrille	GGP07133
Viola Antonella	La patogenesi della Sindrome WHIM: nuovi ruoli del CXCR4 nell'attivazione linfocitaria.	GGP07134
Frontali Laura	Molte gravi malattie neurodegenerative sono causate da mutazioni nei geni mitocondriali per tRNA. Alcuni fattori della sintesi proteica mitocondriale codificati dal nucleo possono alleviare o 'curare' i difetti respiratori dovuti a tali mutazioni.	GGP07164
Gianfrancesco Fernando	Genetica delle Malformazioni Cavernose Cerebrali: identificazione dei geni responsabili.	GGP07170

ISTITUTO	CITTÀ	DURATA DEL PROGETTO (ANNI)	IMPORTO (A LORDO DI RETTIFICHE)
Dibit - Fondazione Centro San Raffaele del Monte Tabor	Milano	3	268.400,00
Dipartimento di Medicina Clinica e Sperimentale, Università di Verona	Verona	3	104.600,00
Istituto di Neuroscienze - Sezione di Farmacologia Cellulare e Molecolare, CNR	Milano	2	136.300,00
Dipartimento di Medicina Sperimentale Ambientale e Biotecnologie Mediche, Università di Milano Bicocca	Monza	2	191.900,00
Dipartimento di Scienze Ematologiche, Pneumologiche, Cardiovascolari Mediche e Chirurgiche, Università di Pavia - IRCCS, Fondazione Policlinico San Matteo	Pavia	3	220.900,00
Fondazione Santa Lucia IRCCS, Università di Roma Tor Vergata	Roma	3	258.700,00
Fondazione IRCCS, Istituto Nazionale Neurologico Carlo Besta	Milano	3	389.000,00
Dipartimento di Neurobiologia, Scuola Internazionale Superiore di Studi Avanzati (SISSA)	Trieste	2	204.200,00
Istituto di Genetica Medica - Facoltà di Medicina e Chirurgia, Università Cattolica Del Sacro Cuore	Roma	1	77.500,00
Dipartimento di Biochimica e Biotecnologie Mediche, Università di Napoli Federico II	Napoli	2	87.900,00
Dipartimento di Genetica e Biologia Molecolare, Università di Roma La Sapienza	Roma	3	211.000,00
Istituto di Tecnologie Biomediche - Dipartimento Genoma Umano, CNR	Segrate	1	40.500,00
Istituto di Endocrinologia - Centro di Eccellenza Sulle Malattie Neurodegenerative, Università di Milano	Milano	3	141.300,00
Dipartimento di Biologia Cellulare ed Oncologia, Consorzio Mario Negri Sud	Santa Maria Imbaro	3	215.900,00
Dipartimento di Biologia e Genetica per Le Scienze Mediche, Università di Milano	Milano	2	129.900,00
Dipartimento di Pediatria, Università di Napoli Federico II	Napoli	2	295.600,00
Dipartimento di Scienze Ambientali, Seconda Università di Napoli	Caserta	3	172.600,00
Dibit - Fondazione Centro San Raffaele del Monte Tabor	Milano	3	380.200,00
Laboratorio Di Biologia Vascolare e Terapia Genica, Centro Cardiologico Fondazione Monzino IRCCS	Milano	2	119.300,00
Dipartimento di Genetica Biologia e Biochimica Medica, Università di Torino	Torino	3	223.900,00
Dipartimento di Biologia Cellulare e Neuroscienze, Istituto Superiore di Sanità	Roma	2	258.200,00
Dipartimento di Medicina Sperimentale, Università di Roma La Sapienza	Roma	3	237.600,00
Dipartimento di Neuroscienze - Facoltà di Medicina, Università di Napoli Federico II	Napoli	3	141.900,00
Dipartimento di Scienze Farmacologiche, Università di Milano	Milano	2	189.000,00
Centro Interuniversitario di Medicina Molecolare e Biofisica Applicata (Cimmba), Università di Firenze	Firenze	2	104.000,00
Fondazione Humanitas per la Ricerca	Rozzano	2	165.000,00
Dipartimento di Biologia Cellulare e dello Sviluppo, Università di Roma La Sapienza	Roma	3	68.000,00
Istituto di Genetica e Biofisica A. Buzzati Traverso, CNR	Napoli	1	49.500,00

ELENCO DELLE DELIBERE DI FINANZIAMENTO DALL'1 LUGLIO 2006 AL 30 GIUGNO 2007

RICERCATORE RESPONSABILE	TITOLO DEL PROGETTO	NUMERO PROGETTO
Giacca Mauro	Modificazione genica mirata tramite vettori AAV: determinanti molecolari che regolano la trasduzione dei vettori AAV, l'integrazione sito-specifica e la correzione del gene indotta dal vettore.	GGP07176
Mattei Elisabetta	Modelli animali per la validazione di nuovi fattori trascrizionali sintetici nella terapia genica delle distrofie muscolari.	GGP07177
Simonelli Francesca	Sperimentazione clinica di fase I in soggetti con Amaurosi Congenita di Leber (LCA) tramite vettore adeno-associato per trasferire il gene RPE65 umano nell'epitelio pigmentato della retina (RPE): trattamento e follow up in 3 pazienti italiani.	GGP07180
Broccoli Vania	Identificazione dei meccanismi molecolari dipendenti dal gene Arx nel controllo dello sviluppo del cervello e della migrazione neuronale: studio della genesi delle malattie neurologiche Arx dipendenti.	GGP07181
Del Sal Giannino	Ruolo della prolyl-isomerasi Pin1 nella malattia di Huntington.	GGP07185
Caprioli Jessica	Anomalie genetiche delle molecole che regolano il complemento nella sindrome emolitico uremica	GGP07193
Gatti Maurizio	La Drosophila come organismo modello per lo studio della Nijmegen Breakage Syndrome e delle malattie ad essa correlate.	GGP07200
Valente Enza Maria	PINK1, una chinasi mitocondriale, interagisce con una proteina autofagica: studio della prima interazione diretta tra mitocondri e autofagia nella malattia di Parkinson recessiva	GGP07210
De Coppi Paolo	Terapia cellulare per le distrofie muscolari: rilascio di cellule precursori miogeniche e di cellule staminali amniotiche attraverso matrici polimeriche	GGP07216
Piccolo Stefano	Nuovi meccanismi per il controllo del segnale TGF-beta/miostatina in distrofia muscolare: microRNA, nuovi effettori e crosstalk con altre vie di trasduzione	GGP07218
Mostacciolo Maria Luisa	Identificazione dei geni di suscettibilità in famiglie con alta ricorrenza di Disturbi Psichiatrici (Schizofrenia e Disturbo Bipolare) appartenenti ad una popolazione italiana caratterizzata da endogamia	GGP07219
Rampazzo Alessandra	Sviluppo di modelli sperimentali in vitro e in vivo per studiare la patogenesi molecolare della cardiomiopatia aritmogena del ventricolo destro	GGP07220
Dri Pietro	La malattia cronica granulomatosa: studi sui meccanismi molecolari responsabili del difetto di attività microbica e proposta di nuove strategie terapeutiche per il trattamento della malattia.	GGP07221
Battaglia Giorgio Stefano	Proteina a-SMN o SMN assonale, nuova isoforma del gene Survival Motor Neuron: suo ruolo nella patogenesi della atrofia muscolare spinale (SMA) e nei meccanismi della assonogenesi	GGP07223
Minetti Carlo	Caratterizzazione funzionale dell'iccina, una nuova proteina di membrana coinvolta nei processi di mielinizzazione centrale e periferica	GGP07225
Zuffardi Orsetta	Dissezione dei meccanismi genetici dei difetti d'ostruzione del tratto d'efflusso del ventricolo sinistro tramite array-CGH ad alta risoluzione	GGP07235
Martini Alberto	La sindrome TRAPS (Tumor necrosis factor receptors associated syndrome). nuovi aspetti patogenetici e risposta al trattamento anti-IL-1 in età pediatrica	GGP07236
Bacchetta Rosa	Sindrome da Immunodisfunzione Poliendocrinopatia Enteropatia Legata all'X (IPEX).	GGP07241
Dianzani Irma	Definizione della patogenesi della Anemia di Diamond-Blackfan.	GGP07242
Novelli Giuseppe	Sviluppo di un sistema per la terapia cellulare della distrofia miotonica basato sull'RNA antisense.	GGP07250
Barilà Daniela	Ruolo della Chinasi Mutata nell'Atassia Telangiectasia (ATM) nel controllo della qualità e della stabilità di altre proteine.	GGP07252
Gambari Roberto	Modificatori dell'espressione di geni globinici per il trattamento terapeutico della beta-talassemia	GGP07257
Catania Maria Vincenza	Coinvolgimento dei recettori metabotropici del gruppo I nella fisiopatologia della sindrome del cromosoma X fragile	GGP07264
Lupetti Pietro	Analisi ultrastrutturale ad alta risoluzione dei complessi proteici responsabili del trasporto intraflagellare (IFT): sistema molecolare essenziale per la formazione delle ciglia e alla base della malattia del rene policistico (PKD, Polycystic Kidney Disease)	GGP07269
Barsacchi Giuseppina	Come trasformare cellule staminali embrionali in cellule retiniche: ruolo di geni specifici dell'occhio	GGP07275
Mantegazza Massimo	Studio funzionale di mutazioni epilettogene in neuroni trasfettati e in modelli animali.	GGP07277
Carmignoto Giorgio	Interazione astrociti-neuroni nel controllo dell'eccitabilità e del circolo cerebrale in modelli genetici e acquisiti di epilessia	GGP07278

ISTITUTO	CITTÀ	DURATA DEL PROGETTO (ANNI)	IMPORTO (A LORDO DI RETTIFICHE)
ICGEB (International Centre for Genetic Engineering and Biotechnology)	Trieste	3	223.000,00
Istituto di Neurobiologia e Medicina Molecolare, CNR	Roma	2	93.000,00
Dipartimento di Oftalmologia, Seconda Università di Napoli	Napoli	3	185.400,00
Dibit - Fondazione Centro San Raffaele del Monte Tabor	Milano	3	231.000,00
Laboratorio Nazionale Consorzio Interuniversitario Biotecnologie	Trieste	2	273.800,00
Dipartimento di Medicina Molecolare, Istituto di Ricerche Farmacologiche Mario Negri	Ranica	3	292.000,00
Dipartimento di Genetica e Biologia Molecolare, Università di Roma La Sapienza	Roma	3	212.700,00
Istituto di Neurogenetica, Casa Sollievo Della Sofferenza IRCCS - Sezione Mendel	Roma	1	173.200,00
Dipartimento di Pediatria, Università di Padova	Padova	1	63.100,00
Dipartimento di Istologia, Microbiologia e Biotecnologie Mediche, Università di Padova	Padova	3	305.700,00
Dipartimento di Biologia, Università di Padova	Padova	2	125.500,00
Dipartimento di Biologia, Università di Padova	Padova	2	175.000,00
Dipartimento di Fisiologia e Patologia, Università di Trieste	Trieste	2	112.800,00
Dipartimento di Neurofisiologia Sperimentale - Laboratorio di Neuroanatomia Funzionale e Molecolare, Fondazione IRCCS Istituto Nazionale Neurologico Carlo Besta	Milano	2	232.400,00
Dipartimento di Scienze Pediatriche, Istituto Scientifico Giannina Gaslini	Genova	2	156.000,00
Dipartimento di Patologia Umana ed Ereditaria, Università di Pavia	Pavia	2	269.900,00
Dipartimento di Pediatria - II Clinica Pediatrica, Istituto Scientifico Giannina Gaslini	Genova	2	183.400,00
San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy - Hsr-Tiget, Dibit - Fondazione Centro San Raffaele del Monte Tabor	Milano	3	359.800,00
Dipartimento di Scienze Mediche, Università del Piemonte Orientale "A. Avogadro"	Novara	3	225.600,00
Dipartimento di Biopatologia e Diagnostica per Immagini - Sezione di Genetica, Università di Roma Tor Vergata	Roma	2	109.000,00
Dipartimento di Medicina Sperimentale e Scienze Biochimiche, Università di Roma Tor Vergata - Fondazione IRCCS Santa Lucia	Roma	3	293.100,00
Dipartimento di Biochimica e Biologia Molecolare, Università di Ferrara	Ferrara	2	116.000,00
Istituto di Scienze Neurologiche, CNR	Catania	3	279.000,00
Dipartimento di Biologia Evolutiva, Università di Siena	Siena	3	208.300,00
Dipartimento di Biologia, Università di Pisa	Ghezzano	2	218.000,00
Dipartimento di Neurofisiopatologia ed Epilettologia Diagnostica, Fondazione IRCCS Istituto Nazionale Neurologico Carlo Besta	Milano	2	130.100,00
Istituto di Neuroscienze, CNR	Padova	3	388.700,00
Totale Progetti di Ricerca			10.718.300,00

ELENCO DELLE DELIBERE DI FINANZIAMENTO DALL'1 LUGLIO 2006 AL 30 GIUGNO 2007

RICERCATORE RESPONSABILE	TITOLO DEL PROGETTO	NUMERO PROGETTO
SERVIZI ALLA RICERCA E BIOBANCHE		
Dagna Bricarelli Franca	Rete Telethon di banche biologiche genetiche	GTB07001
Angelini Corrado	Banca neuromuscolare di tessuti e campioni di dna	GTF05003
Renieri Alessandra	Banca di linee cellulari e dna di pazienti affetti da sindrome di Rett e altre forme di ritardo mentale x-legato	GTF05005
Mora Marina	Banca biologica di tessuti, dna e cellule di pazienti con malattie neuromuscolari	GTF05008
Gasparini Paolo	Servizio di genotipizzazione burlo-cbm	GTF06003
Horenstein Alberto Leonardo	Core-facility Telethon di immunogenetica per la produzione di anticorpi monoclonali 'clinical grade'	GTF06004
Nigro Vincenzo	Analisi di mutazioni	GTF06006
PROGETTI CLINICI TELETHON-UILDM		
Bertini Enrico Silvio	Studio di correlazione genotipo-fenotipo nella distrofia muscolare congenita con deficienza di distroglicano e altre forme di distrofia associate a ritardo mentale	GUP06004
Cossu Giulio	Terapia cellulare della distrofia di Duchenne tramite trasferimento intra-arteria di mesangioblasti da donatore hla-compatibile	GUP06006
ALTRI PROGETTI		
Rugarli Elena Irene	Convenzione con l'Istituto Besta: comprensione della patogenesi della paraplegia spastica ereditaria causata da deficienzadi paraplegina	F05001
Roncarolo Maria Grazia	Un trial europeo multi-centrico per la terapia genica della ADA-SCID	GAT0205
Bonifacio Ezio	Studi immunologici in seguito a trapianto di isole pancreatiche	JT01Y01
RICERCA INTERNA		
TIGEM (TELETHON INSTITUTE OF GENETICS AND MEDICINE)		
Franco Brunella	La sindrome orofacioidigitale di tipo I come modello per lo studio della funzione ciliare	TGM06A01
Studer Michele	Meccanismi di sviluppo del tronco encefalico e patologie	TGM06A03
Studer Michele	Regolazione genetica dello sviluppo della corteccia cerebrale	TGM06A04
Baldini Antonio	Ruolo dei fattori di trascrizione T-box nelle malattie congenite del cuore e in altri difetti dello sviluppo	TGM06A05
Auricchio Alberto	Strategie di terapia genica per le malattie ereditarie gravi dei fotorecettori	TGM06B01
Ballabio Andrea	Solfatasi e patologie umane: informazioni dalla deficienza multipla di solfatasi	TGM06C01
Cosma Maria Pia	Caratterizzazione del sistema di modificazione delle solfatasi nei mammiferi	TGM06C02
Auricchio Alberto	Trasferimento genetico mediato da virus adeno-associati in modelli animali di mucopolisaccaridosi VI	TGM06C03
Cosma Maria Pia	Verso una terapia genica mediata da vettori adeno-associati per la sindrome di Hunter	TGM06C04
Parenti Giancarlo	Identificazione di nuovi approcci terapeutici per le malattie lisosomiali	TGM06C05
Banfi Sandro	Ruolo degli RNA non codificanti nello sviluppo e nel funzionamento dell'occhio dei mammiferi	TGM06D01

ISTITUTO	CITTÀ	DURATA DEL PROGETTO (ANNI)	IMPORTO (A LORDO DI RETTIFICHE)
Dipartimento di Scienze Genetiche, Perinatali e Ginecologiche, E. O. Ospedali Galliera	Genova	2	920.220,00
Dipartimento di Neuroscienze Istituto Veneto di Medicina Molecolare (VIMM), Università di Padova	Padova	2	25.000,00
Dipartimento di Biologia Molecolare - Sezione di Genetica Medica - Policlinico Le Scotte, Università di Siena	Siena	2	35.000,00
Dipartimento di Malattie Neuromuscolari e Neuroimmunologia, Fondazione IRCCS Istituto Nazionale Neurologico Carlo Besta	Milano	2	35.000,00
Dipartimento di Scienze della Riproduzione e dello Sviluppo, Università di Trieste	Trieste	3	300.000,00
Dipartimento di Genetica Biologia e Biochimica Medica, Università di Torino	Torino	1	50.000,00
Centro Servizi di Ateneo Grandi Apparecchiature, Seconda Università di Napoli	Napoli	2	117.600,00
Totale Servizi alla Ricerca			1.482.820,00
Dipartimento dei Laboratori Unità di Medicina Molecolare, Ospedale Pediatrico Bambin Gesù	Roma	2	142.000,00
Stem Cell Research Institute (S.C.R.I.), Dibit - Fondazione Centro San Raffaele del Monte Tabor	Milano	1	50.000,00
Totale Progetti Telethon-Uildm			192.000,00
Fondazione IRCCS Istituto Nazionale Neurologico Carlo Besta	Milano	6	53.652,94
San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy - Hsr-Tiget, Dibit - Fondazione Centro San Raffaele del Monte Tabor	Milano	3	38.430,70
Dipartimento di Medicina 1, Dibit - Fondazione Centro San Raffaele del Monte Tabor	Milano	6	165.000,00
Totale altri progetti			257.083,64
Totale delibere Comitato alla ricerca esterna (A)			12.650.203,64
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	2	102.310,00
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	2	43.033,25
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	2	52.238,55
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	2	100.000,00
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	2	169.500,00
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	2	100.690,90
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	2	70.000,00
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	2	82.047,00
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	2	205.285,00
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	2	76.500,00
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	2	120.502,00

ELENCO DELLE DELIBERE DI FINANZIAMENTO DALL'1 LUGLIO 2006 AL 30 GIUGNO 2007

RICERCATORE RESPONSABILE	TITOLO DEL PROGETTO	NUMERO PROGETTO
Meroni Germana	Una nuova classe di ligasi E3 delle ubiquitine: la famiglia TRIM	TGM06D02
Di Bernardo Diego	Reti genetiche nelle patologie umane	TGM06E01
Ballabio Andrea	Spese strutturali	TGM06S01
Auricchio Alberto	Gruppo di lavoro per le applicazioni cliniche	TGM06S02
Franco Brunella	Programmi di dottorato	TGM06S03
Meroni Germana	Laboratorio di microscopia e imaging	TGM06Z02
Meroni Germana	Laboratorio di colture cellulari e tissutali	TGM06Z03
Studer Michele	Servizio per la produzione di topi transgenici e knock-out	TGM06Z04
Franco Brunella	Laboratorio per l'analisi delle mutazioni	TGM06Z05
Di Bernardo Diego	Laboratorio di bioinformatica	TGM06Z06
Traditi Mario	Servizio di informatica	TGM06Z07
Franco Brunella	Servizi generali	TGM06Z08
Studer Michele	Stabulario	TGM06Z09
Studer Michele	Studi comportamentali nel topo	TGM06Z10
HSR-TIGET (SAN RAFFAELE-TELETHON INSTITUTE FOR GENE THERAPY)		
Aiuti Alessandro	Terapia genica dell'ADA-SCID	TGT06A01
Villa Anna	Sindrome di Wiskott-Aldrich: caratterizzazione dei difetti immunologici e studi preclinici di terapia genica	TGT06A02
Bacchetta Rosa	Trasferimento cellulare e genetico nella IPEX	TGT06A03
Villa Anna	Genetica e biologia della sindrome di OMENN	TGT06A04
Biffi Alessandra	Terapia ex vivo delle leucodistrofie metacromatica e globoide tramite cellule staminali ematopoietiche	TGT06B01
Gritti Angela	Approcci combinati basati sul trasferimento genetico e di cellule staminali neuronali (NSC) per le leucodistrofie metacromatica e globoide	TGT06B02
Ferrari Giuliana	Valutazione preclinica di un approccio di terapia genica per la beta talassemia	TGT06C01
Naldini Luigi	Miglioramento della sicurezza del trasferimento genetico	TGT06D01
Naldini Luigi	Miglioramento dell'efficacia del trasferimento genetico nelle cellule staminali ematopoietiche	TGT06D02
Naldini Luigi	Sviluppo di vettori lentivirali per il trasferimento genetico nel fegato e applicazioni alla terapia della emofilia	TGT06D03
Gregori Silvia	Ruolo delle cellule T regolatorie di tipo 1 nella tolleranza immunitaria	TGT06E01
Roncarolo Maria Grazia	Risposta immunitaria al transgene a seguito di trasferimento con vettori lentivirali: meccanismi e modulazione tramite terapie cellulari	TGT06E02

ISTITUTO	CITTÀ	DURATA DEL PROGETTO (ANNI)	IMPORTO (A LORDO DI RETTIFICHE)
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	2	104.175,00
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	2	71.325,00
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	2	975.361,05
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	2	64.774,75
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	2	125.930,00
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	2	32.325,00
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	2	9.000,00
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	2	54.450,00
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	2	115.862,00
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	2	93.737,50
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	2	105.800,50
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	2	33.000,00
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	2	165.912,50
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	1	29.500,00
Totale Progetti Tigem			3.103.260,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	2	147.984,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	2	59.869,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	2	86.199,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	1	79.800,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	2	102.013,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	2	106.947,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	2	230.000,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	2	172.200,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	2	114.393,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	2	83.200,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	2	80.606,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	2	123.689,00

ELENCO DELLE DELIBERE DI FINANZIAMENTO DALL'1 LUGLIO 2006 AL 30 GIUGNO 2007

RICERCATORE RESPONSABILE	TITOLO DEL PROGETTO	NUMERO PROGETTO
Aiuti Alessandro	Sperimentazione clinica di terapia genica per l'ADA-SCID	TGT06F01
Roncarolo Maria Grazia	Sperimentazione clinica di terapia genica per la sindrome di Wiskott-Aldrich	TGT06F02
Roncarolo Maria Grazia	Sperimentazione clinica di terapia genica per la distrofia metacromatica	TGT06F03
Naldini Luigi	Produzione vettori per la terapia genica (sindrome di Wiskott-Aldrich e leucodistrofia metacromatica)	TGT06F04
Roncarolo Maria Grazia	Spese strutturali	TGT06S01
Roncarolo Maria Grazia	Spese strutturali: Unità di Ricerca Clinica	TGT06S02
Bacchetta Rosa	Sindrome da Immunodisfunzione Poliendocrinopatia Enteropatia Legata all'X (IPEX).	GGP07241*
<i>*Non è stato considerato come ulteriore progetto: già contato tra le delibere Comitato Ricerca Esterna (vedi progetto di ricerca GGP07241 pagina 102)</i>		
DTI (DULBECCO TELETHON INSTITUTE)		
Rinnovi		
Bonetto Valentina	Approcci proteomici allo sviluppo di strategie terapeutiche innovative per la sclerosi laterale amiotrofica	TCR07001
Scorrano Luca	Estensione del processo di rimodellamento delle cristae dipendente da Opa1: approcci integrati alla comprensione della patogenesi e all'individuazione di una terapia per l'atrofia ottica dominante	TCR07002
Integrazioni a rinnovi precedenti		
Merlo Giorgio	Coinvolgimento dei fattori di trascrizione appartenenti alla famiglia dei geni omeotici Dlx nel controllo dello sviluppo cranio-facciale, degli arti e dell'encefalo anteriore: studi funzionali in vivo	TCR04001
Maffei Margherita	Caratterizzazione dei geni che sono regolati in maniera differenziata nel tessuto adiposo chiaro nell'obesità: studi sul loro ruolo nel metabolismo e nell'insorgenza dell'obesità associata a complicazioni	TCR04002
Orlando Valerio	Gruppo delle proteine polycomb e trithorax e meccanismi di mantenimento dell'identità cellulare	TCR05001
Puri Pier Lorenzo	Caratterizzazione dei processi che regolano il ciclo cellulare e la trascrizione muscolo-specifica nel corso del differenziamento miogenico: implicazioni terapeutiche per la rigenerazione muscolare	TCR05004
ONERI GESTIONALI FONDAZIONE TELETHON		
DTI (DULBECCO TELETHON INSTITUTE)	Integrazioni salariali ricercatori DTI**	
<i>**Non considerate come progetti di ricerca</i>		
TECNOTHON		

ISTITUTO	CITTÀ	DURATA DEL PROGETTO (ANNI)	IMPORTO (A LORDO DI RETTIFICHE)
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	2	549.430,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	2	32.250,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	2	103.000,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	2	2.200.000,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	2	618.000,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	2	100.000,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	3	179.900,00
Totale Progetti HSR-TIGET			5.169.480,00
Laboratorio di Biochimica e Chimica delle Proteine, Istituto di Ricerche Farmacologiche Mario Negri	Milano	2	210.000,00
Centro di Ricerca della Fondazione per la Ricerca Biomedica Avanzata, Istituto Veneto Di Medicina Molecolare (VIMM)	Padova	5	1.448.750,00
Istituto di Tecnologie Biomediche Avanzate Itba Lita, CNR	Segrate	3	48.750,00
Dipartimento di Endocrinologia e Metabolismo, Ortopedia e Traumatologia, Medicina del Lavoro, Azienda Ospedaliera Universitaria Pisana	Pisa	3	52.500,00
Chromatin and Epigenetics Lab, CNR	Napoli	5	30.000,00
Parco Scientifico Biomedico di Roma San Raffaele S.P.A, Parco Scientifico Biomedico di Roma San Raffaele S.P.A..	Roma	5	30.000,00
Totale Progetti DTI			1.820.000,00
Totale Delibere Comitato alla Ricerca Biomedica Interna (B)			10.092.740,00
TOTALE DELIBERE COMMITATO ALLA RICERCA BIOMEDICA (A+B)			22.742.943,64
Istituto Telethon Dulbecco	loro sedi	1	139.189,32
Laboratorio di ausili per disabili, Tecnothon	Sarcedo (VI)	1	391.898,79
TOTALE ONERI OPERATIVI FONDAZIONE			531.088,11



SUL SITO WWW.TELETHON.IT È POSSIBILE CONSULTARE "IL MOTORE DELLA RICERCA" LA BANCA DATI DEI PROGETTI DI RICERCA BIOMEDICA FINANZIATI, ATTIVI E CONCLUSI, FINANZIATI DAL 1991. SI POSSONO CERCARE INFORMAZIONI SULLE MALATTIE E GLI ARGOMENTI DELLA RICERCA TELETHON (RICERCA SEMPLICE) O IDENTIFICARE PARTICOLARI PROGETTI, RICERCATORI O ISTITUTI (RICERCA AVANZATA). LE INFORMAZIONI DISPONIBILI DERIVANO DAL PROGETTO ORIGINALE PRESENTATO DA OGNI RICERCATORE AL MOMENTO DELLA RICHIESTA DI FINANZIAMENTO.

Telethon

Via Saliceto, 5/A • 00161 Roma • www.telethon.it

