

2008 Comitato Telethon Fondazione ONLUS e
Fondazione Telethon
Bilancio di missione al 30 giugno



2008 Comitato Telethon Fondazione ONLUS e
Fondazione Telethon
Bilancio di missione al 30 giugno



Comitato Telethon Fondazione ONLUS e Fondazione Telethon al 30 giugno 2008

IL CONSIGLIO DI AMMINISTRAZIONE

Susanna Agnelli | Presidente
Omero Toso | Vice Presidente
Boris Biancheri Chiappori
Carlo Ferdinando Carnacini
Staffan de Mistura
Salvatore Di Mauro
Francesca Pasinelli¹

LA COMMISSIONE MEDICO-SCIENTIFICA*

Renato Dulbecco | Presidente Onorario
Roderick McInnes | Presidente
Jacques Beckmann | Vice Presidente
Francesco Bernardi
Daniel Bertrand
Paola Bovolenta
Han Brunner
Michael Caplan
Marco Cassatella
Beverly Davidson
Peter Heutink
Katherine High
Ole Isacson
Petra Kaufmann
James R. Lupski
Alexander E. MacKenzie
Giovanni Manfredi
Mark McCarthy
Elizabeth McNally
Istvan Mody
David Nelson
Terence Partridge
Josef Penninger
Vincenzo Pirrotta
Mani Ramaswami
Stephen Rich
Annie Ridley
Paolo Sassone-Corsi
Stephen Tapscott
Harel Weinstein
Alan Wright
Rolf Zeller

IL COLLEGIO DEI REVISORI

Guglielmo Carducci
Guglielmo Marengo
Massimo Pagani Guazzugli Bonaiuti

GLI ORGANI DI DIREZIONE

Pietro Spirito | Direttore Generale
Angelo Maramai | Condirettore Generale
Lucia Monaco | Direttore Ufficio Scientifico

LA SOCIETÀ DI REVISIONE

KPMG SpA

¹ Francesca Pasinelli, già Direttore dell'Ufficio Scientifico di Telethon, è stata nominata consigliere di amministrazione di Telethon con delibera del 22 ottobre 2007 e ha assunto l'incarico a partire dal 1 dicembre 2007

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

DICIOTTO ANNI DI SUCCESSI

di **Susanna Agnelli**, Presidente di Telethon

Nell'anno che si chiude, Telethon è diventato maggiorenne. Sono passati diciotto anni, infatti, da quel giorno del 1990 in cui un gruppo di donne della Unione italiana lotta alla distrofia muscolare bussò alla mia porta. La richiesta di quelle mamme sembrava una sfida impossibile: raccogliere fondi con una trasmissione televisiva per finanziare la ricerca su una malattia sconosciuta ai più, la distrofia muscolare. Promisi loro che mi sarei impegnata per farlo, ma sinceramente non avevo idea di come si sarebbe sviluppato il progetto, né potevo immaginare quante soddisfazioni questa impresa ci avrebbe riservato.

Una cosa, però, fu chiara fin da subito: se volevamo conquistare gli italiani dovevamo essere trasparenti, far sapere sempre e a chiunque in che modo utilizzavamo i soldi donati. Diciotto anni dopo eccoci quindi di nuovo qui, come ogni anno, a raccontare in un documento di bilancio i risultati di un'altra stagione di generosità e di ricerca.

Diciamo subito che dal punto di vista scientifico stiamo entrando in una fase nuova. Dopo più di un decennio in cui i nostri scienziati si sono concentrati sulla ricerca di base, per conoscere i geni responsabili delle malattie genetiche, studiarne i meccanismi e sperimentare in laboratorio i primi approcci terapeutici oggi, per un gruppo di malattie, la parola "terapia" non è più proibita. Parliamo per ora di poche patologie. Ma il segnale è forte: ce la possiamo fare.

Come già ottenuto per il protocollo di terapia per la malattia ADA-SCID, la designazione come "terapia orfana" è stata concessa anche ai protocolli di trattamento per la leucodistrofia metacromatica e per la malattia di Stargardt, ora in fase di sviluppo rispettivamente presso gli istituti HSR-TIGET e TIGEM. Altri risultati importanti si sono raggiunti nella ricerca clinica terapeutica per la distrofia di Ulrich e la miopatia di Bethlem con l'avvio dello studio pilota su 5 pazienti. Primi ma molto incoraggianti segnali vengono anche dalla sperimentazione clinica sull'amaurosi congenita di Leber. Nel 2008 si è avuta anche un'importante conferma scientifica nella ricerca preclinica *in vivo* per la talassemia beta.

Nel portafoglio degli investimenti maggiori risorse sono state destinate alle malattie neuromuscolari per dare forza e concretezza alla missione primaria della nostra fondazione, nata per iniziativa della UILDM (Unione Italiana Lotta alla Distrofia Muscolare).

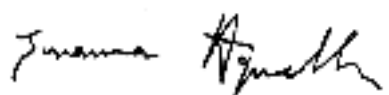
Sul fronte della ricerca biomedica interna si registra uno sforzo crescente degli istituti Telethon per procurarsi risorse aggiuntive da soggetti esterni (in particolare le istituzioni comunitarie), per fare fronte ai maggiori bisogni di finanziamento della ricerca scientifica. L'intensificazione dei rapporti di collaborazione e confronto con i principali centri di ricerca in Italia ha portato a 15 il numero di ricercatori degli istituti Telethon che al 30 giugno 2008 si sono integrati con successo nell'ambito di istituzioni di ricerca, mettendo a frutto l'esperienza da loro acquisita in Italia e all'estero.

Prosegue anche il percorso di costruzione di una rete di alleanze per far crescere la sensibilità e l'attenzione istituzionale del Paese sul tema della ricerca e della cura sulle malattie genetiche, con il consolidamento delle attività svolte dal Centro Clinico Nemo presso l'Ospedale Niguarda di Milano e con la costituzione della Fondazione Bioforme, un soggetto con sede a Napoli che punta a diventare un polo di riferimento per la trasformazione della ricerca di base in applicazioni cliniche.

Tutto questo, è sempre opportuno ricordarlo, è reso possibile dalla generosità degli italiani. Che continuano, ogni anno di più, a fidarsi di Telethon e ad affidargli le loro donazioni. La strada per arrivare alla cura è ancora molto lunga. Ma sono convinta che la nostra ricetta, fatta di passione, di trasparenza e di meritocrazia, continuerà a darci grandi soddisfazioni.



SUSANNA AGNELLI, SI È SPENTA
A ROMA IL 15 MAGGIO 2009



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 3 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 generale 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 2007 - 30 giugno 2008.

★ ★ ★ Nel corso del 2008 Telethon, insieme ad Airc, Aism, Cesvi, Comitato Italiano Unicef, Lega del Filo d'Oro, Save the Children e WWF Italia, ha dato avvio a un tavolo di confronto per condividere indici di efficienza e di efficacia nel settore non profit. Un primo risultato raggiunto tra queste organizzazioni è stata l'adozione di indici di efficienza comuni e confrontabili, pubblicati già sui rispettivi Bilanci di missione 2008. In questo modo, le organizzazioni sopra citate contano da un lato di aumentare la propria trasparenza permettendo a un interlocutore terzo di fare un'analisi comparata valida anche per diversi ambiti di attività (ricerca, assistenza, ambiente, cooperazione) e dall'altro di aumentare la trasparenza del settore non profit in generale, auspicando che gli stessi criteri di efficienza vengano adottati anche da molte altre organizzazioni.

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
13	Gli indicatori di performance organizzativa
13	La qualità e l'efficacia dei finanziamenti
15	L'efficienza gestionale (2005-2008)
18	Le date principali di Telethon
parte 2	CHE COS'È TELETHON
23	La missione
24	Gli <i>stakeholder</i>
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
45	La ricerca esterna
50	La ricerca interna
61	I risultati della ricerca
70	La ricerca tecnologica
parte 4	LE ATTIVITÀ DI SUPPORTO
74	La raccolta dei fondi
81	La comunicazione sociale
86	La gestione delle risorse
89	Il funzionamento della struttura
parte 5	I PROSPETTI
96	Stato patrimoniale del Comitato
98	Rendiconto della gestione a proventi ed oneri del Comitato
100	Stato patrimoniale della Fondazione
102	Rendiconto della gestione a proventi ed oneri della Fondazione
104	Rendiconto degli oneri per destinazione del Comitato
105	Rendiconto degli oneri per destinazione della Fondazione
parte 6	LE DELIBERE ALLA RICERCA
108	Elenco dei progetti finanziati (2007-2008)



1. TELETHON IN PILLOLE

BILANCIO DI MISSIONE AL 30 GIUGNO 2008

- L'UNIVERSO DELLA RICERCA TELETHON
 - > I SOGGETTI FINANZIATI
- GLI INDICATORI DI PERFORMANCE ORGANIZZATIVA
 - > LA QUALITÀ E L'EFFICACIA DEI FINANZIAMENTI
 - > L'EFFICIENZA GESTIONALE (2005-2008)
- LE DATE PRINCIPALI DI TELETHON

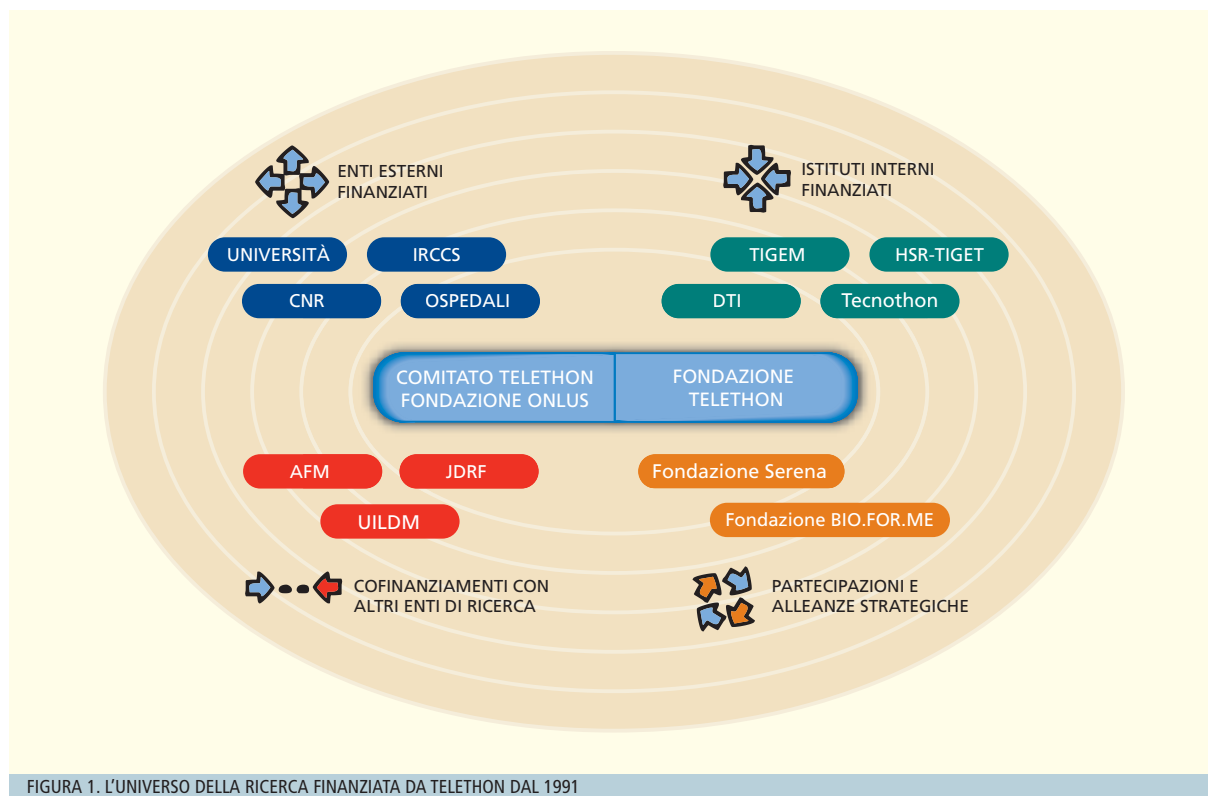
L'UNIVERSO DELLA RICERCA TELETHON

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

★ ★ ★ Dal 1991, anno del primo bando di ricerca, al 30 giugno 2008 Telethon ha finanziato **2.141 progetti su oltre 400 malattie genetiche**, con un investimento diretto di **276.536.760 Euro** e la pubblicazione di **6.410 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 Telethon e superato il rigoroso processo di valutazione del *peer review* (📄 p. 36).

★ ★ ★ Dal 1991 - anno di pubblicazione del suo primo bando competitivo - Telethon ha finanziato complessivamente **1.896 progetti di ricerca esterna per un valore complessivo di 172.066.715 Euro.**

In virtù dei finanziamenti multicentrici, questi progetti hanno coinvolto 2.166 centri di ricerca suddivisi tra:

- **49 Università** con 1.262 finanziamenti e un importo pari a 96.142.519 Euro;
- **24 Istituti di Ricovero e Cura a Carattere Scientifico (IRCCS)** con 368 finanziamenti e un importo pari a 35.456.804 Euro;
- **il Consiglio Nazionale delle Ricerche (CNR)** con 149 centri finanziati e un importo pari a 13.895.835 Euro;
- **31 Enti Ospedalieri** con 62 centri finanziati e un importo di 3.228.792 Euro;
- **112 Altri Istituti di Ricerca** con 325 finanziamenti e un importo pari a 23.342.766 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 Teraphy)
- **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 **206 progetti di ricerca interna per 96.395.155 Euro².**

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 Institute of Health e Muscular Dystrophy Association. Questi contributi vengono assunti da Telethon tra i proventi istituzionali come fondi vincolati per la ricerca interna. Dal 1998 al 30 giugno 2008 tali contributi ammontano a 37 milioni di Euro e vanno aggiunti al finanziamento diretto di Telethon (96,4 milioni di Euro) 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 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. Attualmente sono in fase di implementazione studi sperimentali sulla terapia genica delle malattie oculari e metaboliche, per le quali sono state avviate anche collaborazioni con centri clinici.

★ ★ ★ Dalla nascita del TIGEM nel 1994, Telethon ha finanziato **83 progetti per un importo di 38.947.535 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 Luigi Naldini³ 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, alla luce dei risultati positivi ottenuti nel modello animale, si sta preparando l'avvio della 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 26.290.719 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 sul 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 la carriera di **34 Dulbecco Telethon Scientist attraverso 57 progetti per un importo di 25.916.906 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 **11 progetti per un valore complessivo di 5.239.996 Euro.**



COFINANZIAMENTI CON ALTRI ENTI DI RICERCA

Oltre ai finanziamenti esterni di enti pubblici e privati non profit, il Comitato Telethon collabora anche con altri soggetti che finanziano ricerca scientifica. Unendo gli sforzi, infatti, si possono affrontare obiettivi più ambiziosi evitando la dispersione dei fondi e la duplicazione dei finanziamenti e mettendo a disposizione una maggiore quantità di denaro in aree mirate della ricerca.

³ Già condirettore dell'istituto, è subentrato a Maria Grazia Roncarolo in data 01/10/2008 dopo la nomina di quest'ultima a Direttore Scientifico della Fondazione San Raffaele

I programmi di collaborazione realizzati sono:

- Telethon-AFM;
- Telethon-JDRF;
- Telethon-UILDM;

Questi finanziamenti 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 2008, Telethon ha finanziato **37 progetti** per un valore di **7.424.900 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 oggi. AFM e Telethon hanno stabilito una collaborazione tra il 2002 e il 2006 per finanziare lo sviluppo di nuovi metodi di terapia (intesi come terapia cellulare e genica, trattamenti farmacologici o trattamenti enzimatici) per le malattie rare. Tra gli obiettivi del programma c'era anche la creazione di reti di cooperazione a livello europeo, formati di 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 **1.296.815 Euro**⁴ 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 o di una delle sue complicanze. Nel 2001 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 bando autunnale del 2001, UILDM e Telethon hanno deciso di dedicare i fondi raccolti dai volontari UILDM durante la maratona Telethon per un bando speciale di ricerca clinica che abbia come obiettivo il miglioramento della qualità della vita dei malati di oggi. Sono ammessi studi clinici mirati alla prevenzione, diagnosi, terapia e/o riabilitazione nel campo delle malattie neuromuscolari.

★☆☆ Al 30 giugno 2008 sono stati istituiti **7 bandi** e approvati **26 progetti** presso **122 centri** (30 dei quali sono centri clinici che hanno coinvolto **3.500** pazienti con malattie neuromuscolari). Il finanziamento Telethon è stato di **3.774.638 Euro**.

⁴ Nel corso dell'ultimo esercizio (2007-2008) non sono stati deliberati ulteriori finanziamenti congiunti Telethon-AFM, ma l'importo complessivo dei contributi Telethon è diminuito rispetto all'anno precedente di 2.192 Euro in virtù di un rientro di fondi erogati ma non spesi

PARTECIPAZIONI E ALLEANZE STRATEGICHE

Dalla fine del 2005 Telethon, seguendo l'orientamento strategico di sviluppo del proprio Piano della Ricerca (2006-2010), partecipa alla costituzione di nuovi soggetti con una propria autonomia statutaria in aree dedicate della ricerca biomedica. Questi soggetti possono contare su risorse e competenze tecnico-specialistiche degli enti partecipanti che in questo modo contribuiscono a far crescere la sensibilità, l'attenzione e l'impegno concreto verso la cura della distrofia muscolare e delle altre malattie genetiche.

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.

★ ★ ★ In quest'ottica, la Fondazione Telethon ha sostenuto la nascita e la costituzione della Fondazione Serena con un finanziamento complessivo al 30 giugno 2008 di **500 mila Euro**.

FONDAZIONE BIO.FOR.ME (Fondazione Biology for Medicine) con sede a Napoli, è un'iniziativa costituita nel 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 della Fondazione **BIO.FOR.ME** 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 dalla sua ricerca. Nel 2002 presso l'HSR-TIGET (Istituto Telethon-San Raffaele di Terapia Genica) si è ottenuto il primo successo al mondo di terapia genica di una forma di immunodeficienza combinata grave (ADA-SCID). Grazie a questo protocollo sono stati curati 12 bambini affetti dalla malattia e nel 2006 l'ente regolatorio europeo dei farmaci (EMA) ha riconosciuto a questa terapia la designazione di farmaco orfano.

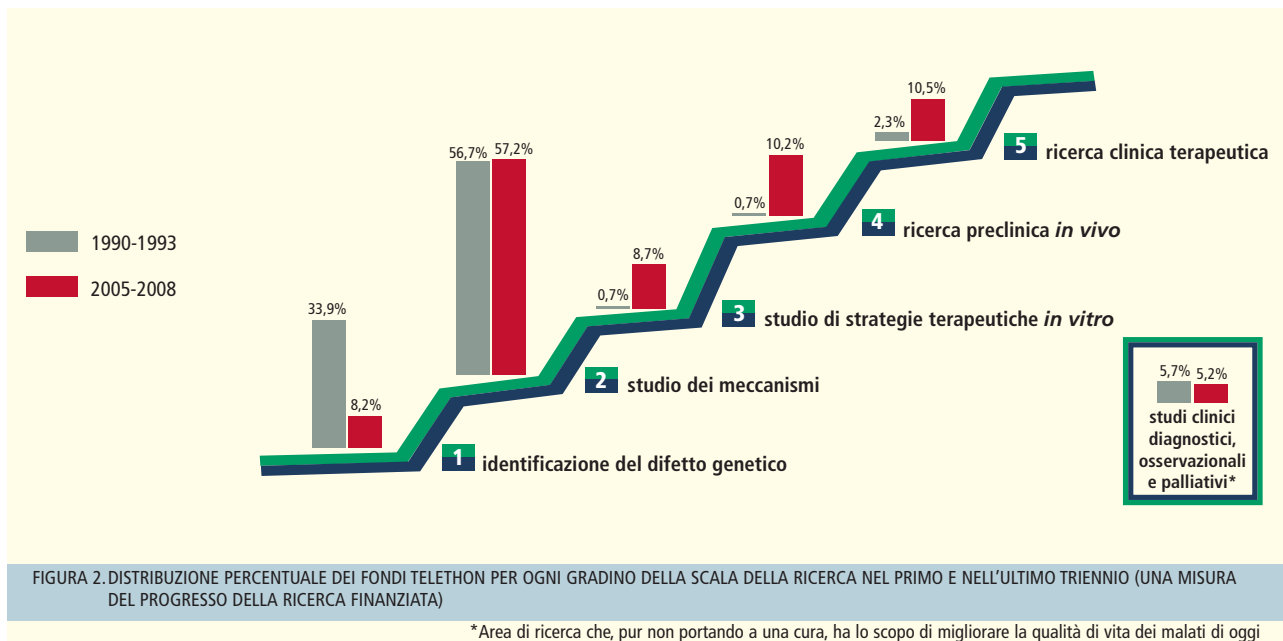
★★★ Nel corso dell'anno la designazione come "terapia orfana" (p. 61) è stata concessa anche ai protocolli di trattamento per la leucodistrofia metacromatica e per la malattia di Stargardt, in fase di sviluppo rispettivamente presso gli istituti HSR-TIGET e TIGEM. Altri risultati importanti si sono raggiunti nella ricerca clinica terapeutica per la distrofia di Ulrich e miopia di Bethlem con l'avvio dello studio pilota su 5 pazienti. Segnali molto incoraggianti vengono anche dalla sperimentazione clinica sull'amaurosi congenita di Leber.

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 (Figura 2).

Il percorso ideale di avanzamento della ricerca, dalla malattia alla cura, procede attraverso tappe progressive che possiamo schematizzare in una scala. Ciascun gradino indica una fase della ricerca da quella di base a quella progressivamente traslazionale. Classificando ognuno dei 2.141 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 progetti collocati sulla scala nel primo triennio d'attività di Telethon (1990/91-1991/92-1992/93) e nell'ultimo (2005/06-2006/07-2007/08). 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 sugli studi dei meccanismi genetici e fisiopatologici.

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



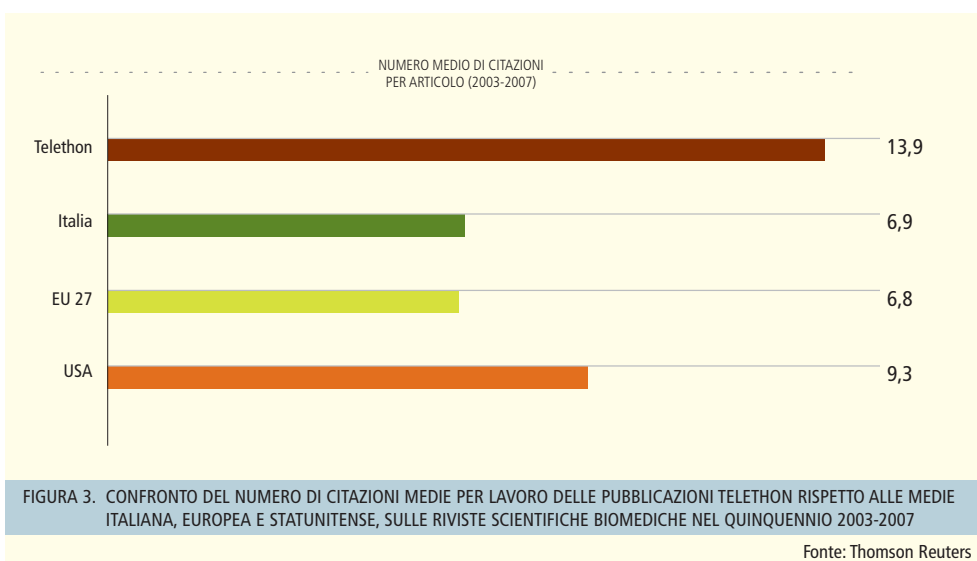
INDICATORI BIBLIOMETRICI

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 **6.410 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 Reuters e rappresentato in Figura 3 conferma la qualità del sistema di valutazione e selezione dei progetti adottato da Telethon e l'efficacia del suo sistema di finanziamento.



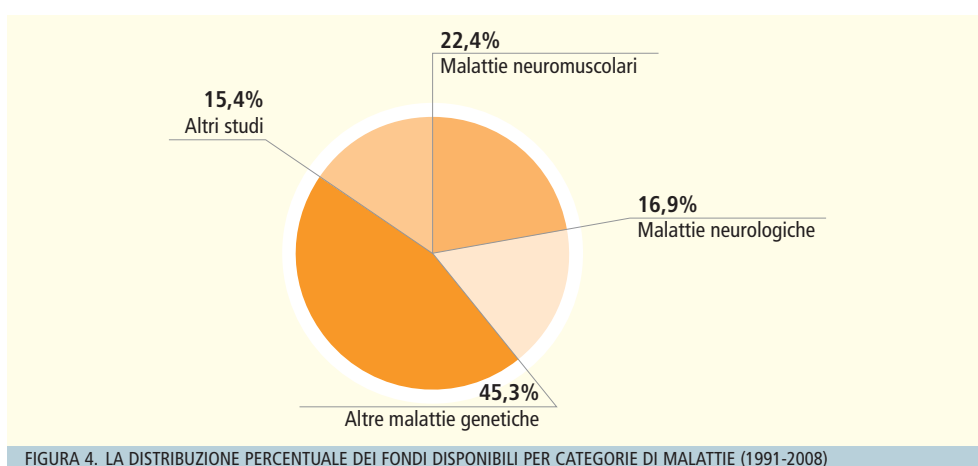
AMBITO DI STUDIO DEI PROGETTI BIOMEDICI FINANZIATI

Dal 1991 al 30 giugno 2008 i progetti di ricerca biomedica finanziati da Telethon hanno riguardato oltre 400 malattie genetiche per un importo complessivo di oltre 270 milioni di Euro (non sono considerati, quindi, i finanziamenti che riguardano la ricerca tecnologica).


Il 40% circa dei finanziamenti 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 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 (2005-2008)

A partire dal 2005 Telethon - per misurare le proprie performances 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 2007-2008 (che misurano quanto costa la raccolta fondi e come vengono impiegate le risorse durante l'anno) sono esposti a  p. 90 e 91 del bilancio. Questi stessi indici sono stati adottati in Italia anche da Airc, Aism, Cesvi, Comitato Italiano Unicef, Lega del Filo d'Oro, Save the Children e WWF Italia che li pubblicano sui loro rispettivi Bilanci. Di seguito invece vengono presentati i principali indicatori di capacità organizzativa del periodo 2005-2008: 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 enti finanziatori esterni (National Institutes of Health statunitensi, Unione Europea, Ministero dell'Università e Ricerca, fondazioni di origine bancaria ecc...).

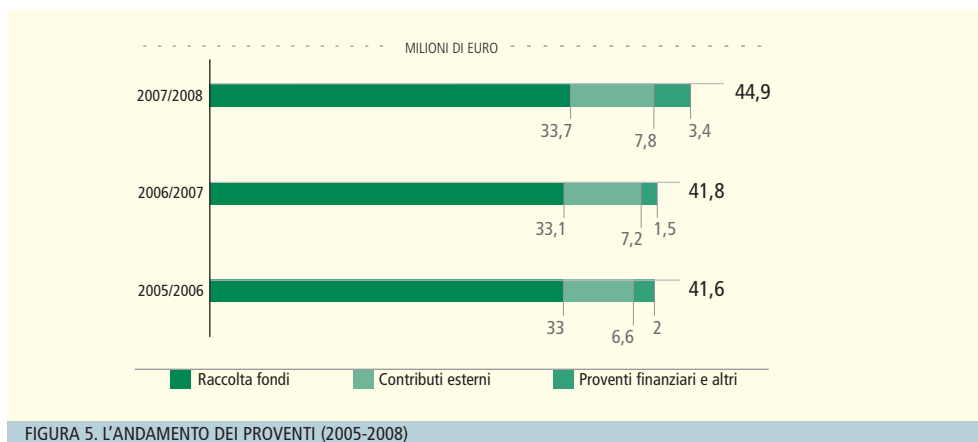


FIGURA 5. L'ANDAMENTO DEI PROVENTI (2005-2008)

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, Telethon si impegna affinché i costi di supporto (al netto degli oneri finanziari), si attestino intorno al 20% di quanto speso in un anno.

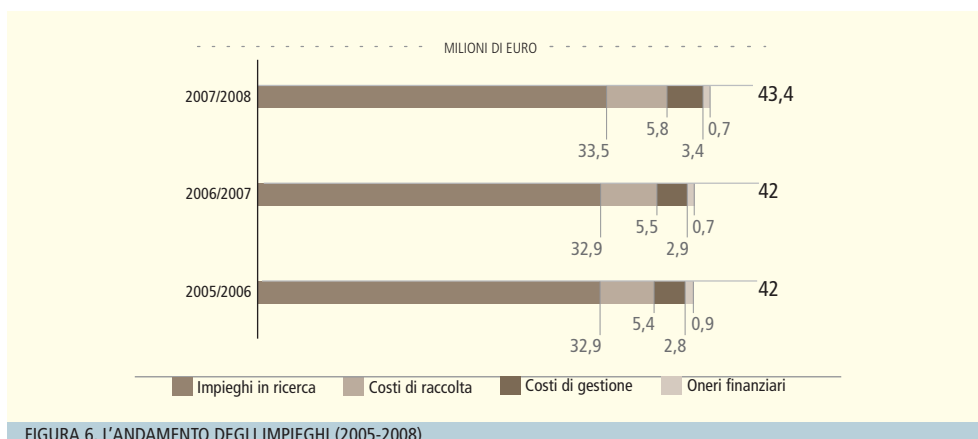
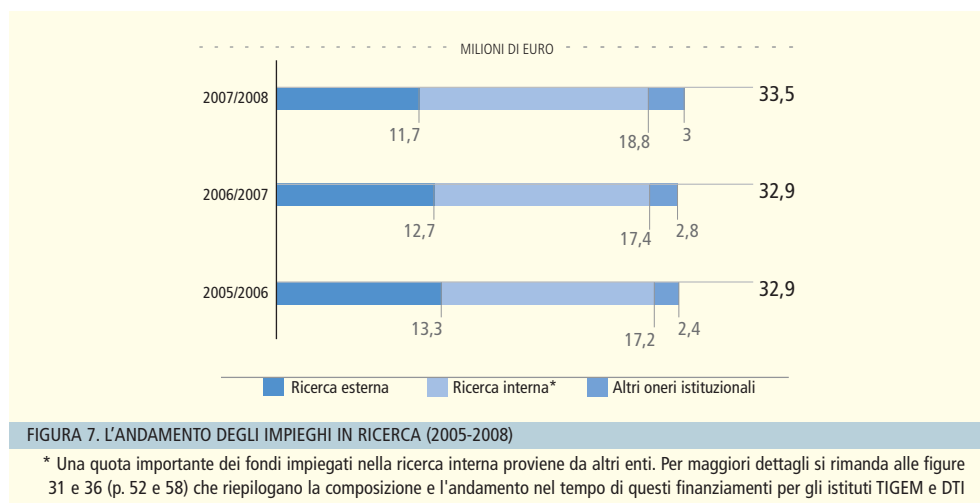


FIGURA 6. L'ANDAMENTO DEGLI IMPIEGHI (2005-2008)

L'ANDAMENTO DEGLI IMPIEGHI IN RICERCA

Il finanziamento complessivo medio annuo delle attività di programma è stato di 33 milioni di Euro. Nell'ultimo triennio si registra una crescita del finanziamento alla ricerca interna, in particolare grazie ai contributi che gli istituti interni di ricerca ricevono da altri enti finanziatori, mentre diminuisce il finanziamento alla ricerca esterna. Tra gli altri costi istituzionali rientrano quelli sostenuti per le attività della Commissione Medico-Scientifica, dell'Ufficio Scientifico, della Convention e quelli per le attività di sensibilizzazione e comunicazione di missione. In particolare, i costi di divulgazione di missione riguardano spese per acquisti, servizi e personale direttamente imputabile al sito internet, all' house organ (Telethon Notize), all'ufficio

stampa e alla pubblicazione di bilancio e sono inseriti tra gli "altri costi istituzionali" in virtù del ruolo di programma dato alla sensibilizzazione e diffusione dell'informazione scientifica e istituzionale di Telethon⁵.



⁵ Nel corso dell'ultimo esercizio i costi di divulgazione di missione includono per la prima volta le spese del personale riferite all'Ufficio stampa, al Telethon Notizie e al sito Internet (sono stati, quindi, riclassificati anche i costi relativi ai due anni precedenti). Questa scelta è stata condivisa con altre importanti organizzazioni non profit italiane che hanno scelto di adottare gli stessi criteri anche dopo aver verificato che questa prassi è seguita da molte charities a livello internazionale

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.
- 2008** Primo intervento al mondo di terapia genica di una malattia ereditaria dell'occhio, l'amaurosi congenita di Leber, iniettando nello spazio sottoretinico dell'occhio un "virus navicella" contenente la versione sana del gene alterato. Grazie ai progressi nella messa a punto di questi virus navicella la ricerca sta progredendo verso la terapia anche di altre malattie genetiche dell'occhio.



2. CHE COS'È TELETHON

BILANCIO DI MISSIONE AL 30 GIUGNO 2008

- 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 oltre 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 di volontariato;
- **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.

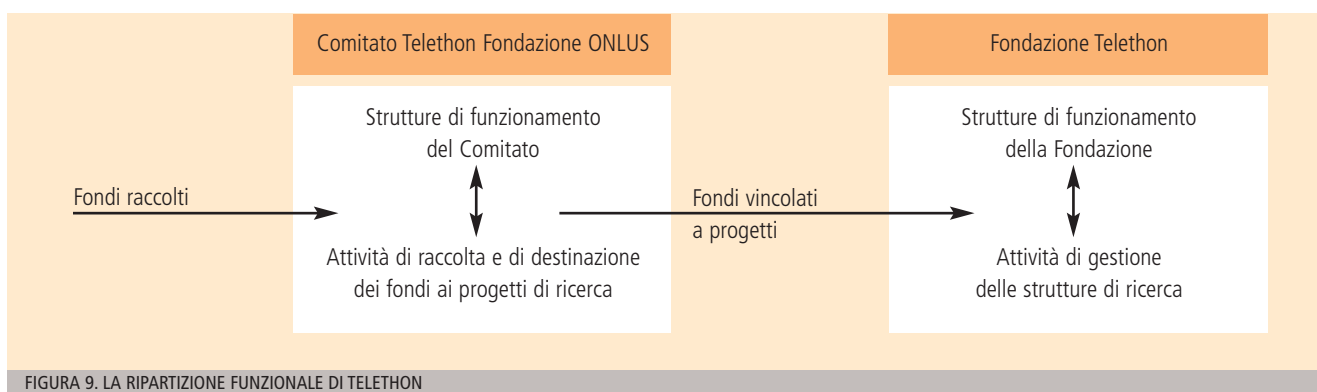


FIGURA 9. LA RIPARTIZIONE FUNZIONALE DI TELETHON

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 al 30 giugno 2008 sono Boris Biancheri, Carlo Ferdinando Carnacini, Staffan de Mistura, Salvatore Di Mauro e Francesca Pasinelli.

★ ★ ★ Francesca Pasinelli, già direttore dell'Ufficio Scientifico di Telethon dal 1997 al novembre 2007, ha assunto l'incarico di consigliere di amministrazione a partire dal 1 dicembre 2007. Telethon continua così ad avvalersi delle sue competenze professionali e può consolidare il lavoro svolto dall'Ufficio Scientifico in questi anni, rilanciandolo in coerenza con i contenuti del Piano strategico della ricerca.

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.

★ ★ ★ Anche la struttura operativa è stata riorganizzata. Nel corso dell'esercizio, infatti, prima il Direttore dell'Ufficio Scientifico Francesca Pasinelli (novembre 2007) e poi il Direttore della Raccolta Fondi Niccolò Contucci (maggio 2008) hanno rassegnato le loro dimissioni. Al 30 giugno 2008:

- **Direttore Generale è Pietro Spirito.** Ha il compito dell'impostazione strategica, della definizione delle indicazioni generali e dell'assunzione delle decisioni finali. Presenta al Consiglio di Amministrazione il piano di raccolta fondi; indirizza e controlla l'attività delle strutture operative della Fondazione per assicurare il rispetto degli indirizzi decisi dal Consiglio di Amministrazione; alla direzione generale è stato dato mandato di arruolare un nuovo direttore della raccolta fondi; fino al suo reclutamento la direzione generale, gestisce ad interim la funzione;



“ ABBIAMO ASSOLUTO BISOGNO DI PORTARE PIÙ AVANTI LA RICERCA, DI OTTENERE TRAGUARDI CHE SONO POSSIBILI GRAZIE ALLE COMPETENZE E ALLE INTELLIGENZE DI CUI DISPONIAMO NEL CAMPO DELLA SCIENZA. E IN QUESTO SENSO TELETHON FA MOLTO ”

GIORGIO NAPOLITANO | PRESIDENTE DELLA REPUBBLICA ITALIANA

- **Condirettore Generale per la gestione è Angelo Maramai**, già Direttore Amministrativo e Finanziario. Svolge il ruolo di direzione delle aree gestionali (gestione fondi di ricerca inclusi quelli degli istituti di ricerca interna; amministrazione generale; pianificazione e controllo di gestione, acquisti e logistica; affari legali e contratti; gestione del personale; sistemi informativi); ha la supervisione del progetto maratona e di altri progetti strategici della Fondazione;
- **Direttore Ufficio Scientifico è Lucia Monaco**, già *Research Program Manager* e Responsabile del Centro Studi di Telethon, che aveva assunto l'incarico *ad interim* dal momento delle dimissioni di Francesca Pasinelli e che in data 26 giugno 2008 ha ricevuto l'incarico definitivo da parte del Consiglio di Amministrazione. Collabora alla definizione delle strategie scientifiche coordinando le attività del Consiglio di Indirizzo Scientifico; supervisiona i meccanismi di selezione e valutazione dei progetti secondo i criteri del *peer review*; valuta i risultati della ricerca; si occupa del trasferimento tecnologico e delle attività regolatorie; produce i principali documenti scientifici e assicura la comunicazione diretta con le associazioni di malattie.

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.

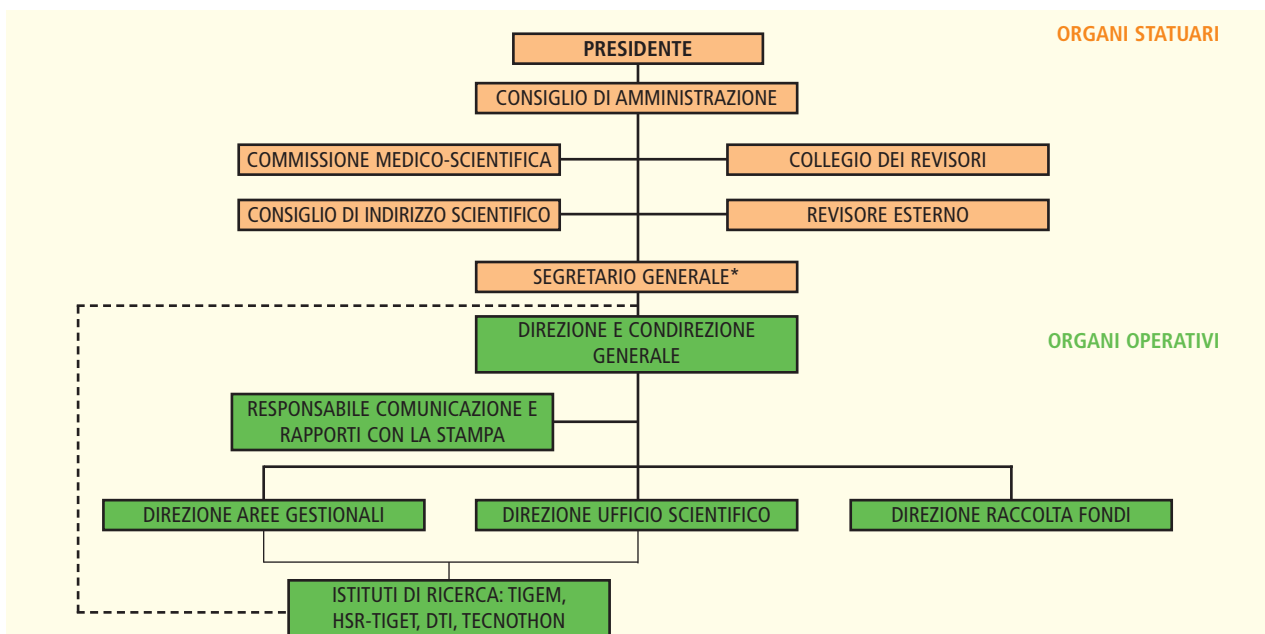


FIGURA 10. L'ORGANIGRAMMA DI TELETHON

*Dal 12 luglio 2006 la funzione di Segretario Generale non è più ricoperta, pur rimanendo contemplata nelle disposizioni statutarie 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 l' "Ufficio Filo Diretto con i Pazienti" che fornisce 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.

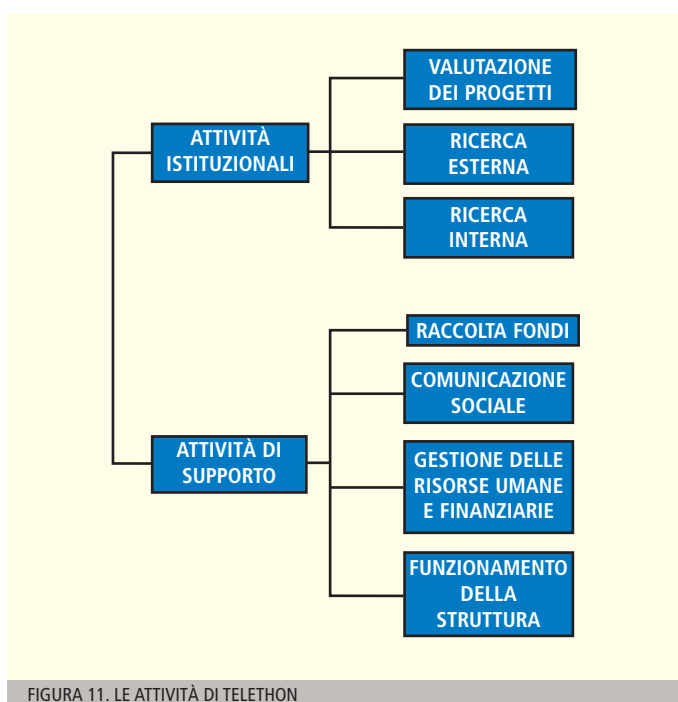


FIGURA 11. LE ATTIVITÀ DI TELETHON



3. LE ATTIVITÀ ISTITUZIONALI

BILANCIO DI MISSIONE AL 30 GIUGNO 2008

- 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 modificati 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. 44) e i principali risultati conseguiti nell'anno 2007-2008 (□ p. 63 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.



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 (CIS)⁶ 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.

Per ciascuna priorità strategica, il piano identifica una o più aree di intervento dove si stanno concentrando gli sforzi (Figura 13).

Il piano strategico è anche disponibile sul sito (www.telethon.it/ricercainforma/pianostrategico).

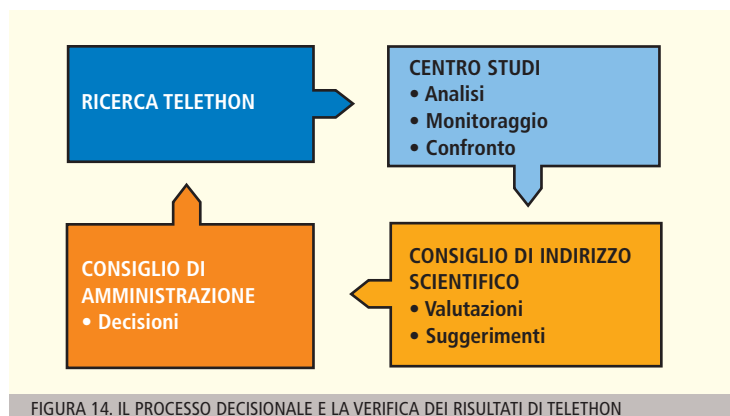
LA NOSTRA VISIONE Che cosa vogliamo essere nel 2010	PRIORITÀ STRATEGICHE Come realizzeremo la nostra visione	AREE DI INTERVENTO Dove indirizzeremo le nostre azioni
<p>SAREMO UNA <i>CHARITY</i> RICONOSCIUTA INTERNAZIONALMENTE CHE TRASFORMA RICERCA ECCELLENTE IN TERAPIE DISPONIBILI PER I PAZIENTI</p>	<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 dell'analisi e del monitoraggio della ricerca Telethon. Il Centro Studi produce rapporti sui finanziamenti, i risultati e lo stato dell'arte della ricerca biomedica per il Consiglio di Indirizzo Scientifico (CIS);
- Il CIS, composto da eminenti esperti in diversi campi della ricerca biomedica, che valuta periodicamente i progressi di Telethon e offre consulenza continua per il raggiungimento degli obiettivi delineati nel piano;
- Il Consiglio di Amministrazione, che tiene conto delle indicazioni del CIS nel prendere decisioni chiave per la strategia di ricerca di Telethon.

⁶ 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)



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 (non più attive)

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, approcci terapeutici
- **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 per il personale strutturato 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 2008	Giugno 2008
Servizi alla ricerca-Facility (ricerca esterna)	Ricercatori italiani e stranieri residenti in Italia	Istituti di ricerca italiani	1-3	Settembre 2007	Novembre 2007
DTI (ricerca interna)	Ricercatori italiani e stranieri	Istituti di ricerca italiani	5	Settembre 2007	Novembre 2007
Telethon-UILDM* (ricerca esterna)	Ricercatori italiani e stranieri residenti in Italia	Istituti di ricerca clinica italiani	1-3	Luglio 2007	Settembre 2007

FIGURA 16. I BANDI DI TELETHON 2007-2008

* p. 48 per la descrizione del bando

★☆☆ Oltre a quelli sopra elencati, nel 2007-2008 il finanziamento Telethon alla ricerca esterna ha riguardato anche altri progetti per un valore complessivo di 250.000 Euro (p. 48).

Prima di passare a relazionare sui finanziamenti erogati e sui risultati della ricerca biomedica, nel periodo 1 luglio 2007-30 giugno 2008, 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 sottostante.



FIGURA 17. LE FASI PRINCIPALI DELLA VALUTAZIONE DEI PROGETTI DI RICERCA TELETHON

La valutazione *ex ante* riguarda tutte le proposte di progetto, sia quelle ricevute in risposta ai bandi di concorso che quelle provenienti dagli istituti Telethon. Tutte le decisioni riguardo ai finanziamenti di Telethon fanno seguito ad un rigoroso processo di *peer review* 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 2008 la Commissione è composta da 31 scienziati di fama internazionale (Figura 18). Le presenze italiane sono volutamente ridotte per limitare possibili conflitti di interesse (soltanto 2 commissari italiani su 6 lavorano in Italia). La lista e i curricula dei membri della Commissione sono disponibili on line sul sito (www.telethon.it/ricercainforma/valutazione/cms).

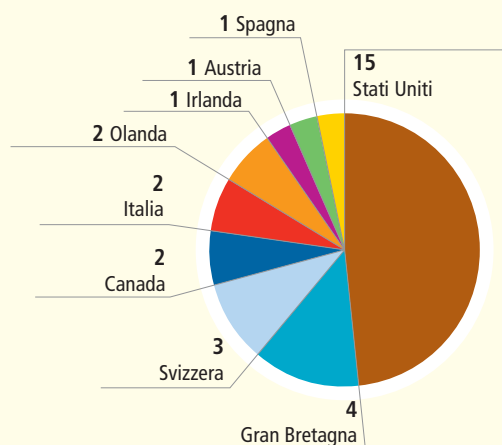


FIGURA 18. LA DISTRIBUZIONE DEI MEMBRI DELLA COMMISSIONE MEDICO-SCIENTIFICA NEI PAESI IN CUI LAVORANO (AL 30 GIUGNO 2008)

I COMPONENTI DELLA COMMISSIONE MEDICO-SCIENTIFICA AL 30 GIUGNO 2008

Presidente Onorario

Renato Dulbecco
Nobel Prize for Physiology and Medicine 1975

Presidente

Roderick McInnes
Department of Developmental Biology,
The Hospital for Sick Children
Toronto (Canada)

Vice Presidente

Jacques Beckmann
Departement de Genetique Medicale
Lausanne (Svizzera)

ALTRI COMPONENTI

Francesco Bernardi
University of Ferrara
Ferrara (Italia)

Daniel Bertrand
Department of Neuroscience CMU
Geneve (Svizzera)

Paola Bovolenta
Cajal Institute
Madrid (Spagna)

Han Brunner
Nijmegen Centre for Molecular Life Sciences,
Radboud University *Nijmegen (Olanda)*

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

Marco Cassatella
Department of Pathology, University of Verona,
Verona (Italia)

Beverly Davidson
University of Iowa
Iowa City (Stati Uniti)

Peter Heutink
Department of Clinical Genetics and Human Genetics
VU University Medical Center
Amsterdam (Olanda)

Katherine High
Children's Hospital of Philadelphia,
Philadelphia (Stati Uniti)

Ole Isacson
Center for Neuroregeneration Research
Neuroregeneration Laboratories
McLean Hospital - Belmont
Harvard Medical School
Boston (Stati Uniti)

Petra Kaufmann
The Neurological Institute
New York (Stati Uniti)

James R. Lupski
Department Molecular and Human Genetics
Baylor College of Medicine
Houston (Stati Uniti)

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

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

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

Elizabeth McNally
University of Chicago
Chicago (Stati Uniti)

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

David Nelson
Department of Molecular & Human Genetics
Baylor College of Medicine
Houston (Stati Uniti)

Terence Partridge
MRC Clinical Sciences Centre, ICSM, Hammersmith
Hospital Site
London (Gran Bretagna)

Josef Penninger
IMBA - Institute of Molecular Technology, Austrian
Academy of Sciences
Vienna (Austria)

Vincenzo Pirrotta
Rutgers University
New Jersey (Stati Uniti)

Mani Ramaswami
University of Dublin, Trinity College
Dublin (Irlanda)

Stephen Rich
Department of Public Health Sciences
Wake Forest University School of Medicine
Winston-Salem (Stati Uniti)

Anne Ridley
Department of Biochemistry and Molecular Biology
University College London
London (Gran Bretagna)

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

Stephen Tapscott
Fred Hutchinson Cancer Research Center
Seattle (Stati Uniti)

Harel Weinstein
Weill Medical
College of Cornell University,
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



“ CONOSCONO MOLTI SCIENZIATI BRILLANTI E NON POSSO CHE RICONOSCERE LA VALIDITÀ DELLA FONDAZIONE TELETHON, UNA SQUADRA COSTRUITA SOLO DA GRANDI ECCELLENZE ”

TORSTEN WIESEL | PREMIO NOBEL PER LA MEDICINA 1981

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.

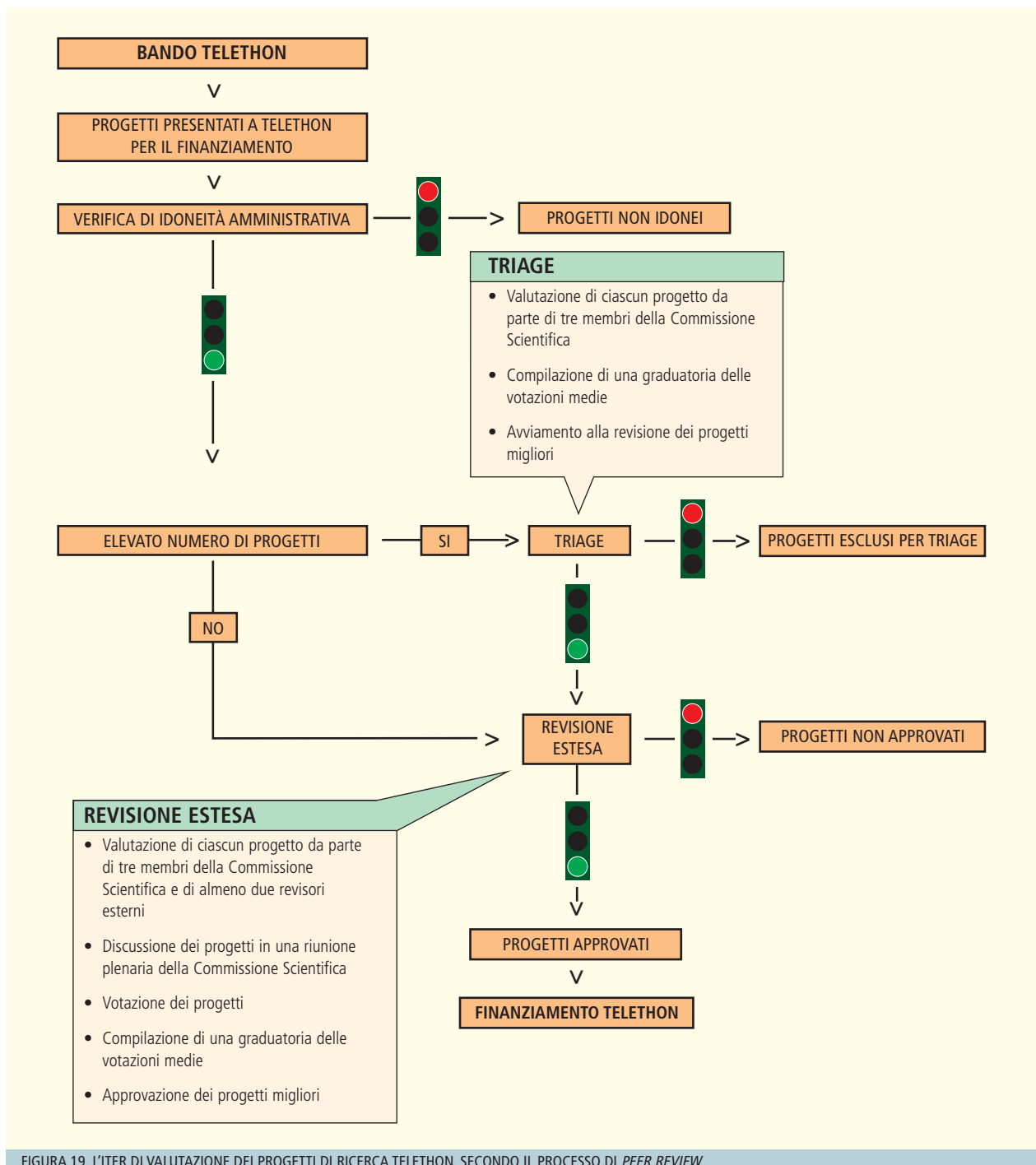


FIGURA 19. L'ITER DI VALUTAZIONE DEI PROGETTI DI RICERCA TELETHON, SECONDO IL PROCESSO DI *PEER REVIEW*



“ IN ITALIA NON PIÙ DEL 10% DEI FINANZIAMENTI È ASSEGNATO IN BASE AD UNA VALUTAZIONE SCIENTIFICA DEL MERITO, REGOLAMENTATA, ANONIMA, COMPETENTE, TERZA E INDIPENDENTE ”

TONI SCARPA | DIRETTORE DEL CENTER FOR SCIENTIFIC REVIEW* PRESSO I NATIONAL INSTITUTES OF HEALTH (NIH)

*Il Center Scientific Review gestisce l'intero processo di *peer review* dell'NIH e rappresenta un riferimento mondiale per chi si occupa di selezione e finanziamento dei progetti scientifici

Il processo di *peer review* dei servizi alla ricerca e delle borse di studio 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 del National Institute of Health statunitense (Eur. J Cell Biol. 2004 Apr; 83 (3): 93-5).

Il compito di gestire il processo di valutazione dei progetti è affidato ai *Research Program Managers*, 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 dell'Ufficio Scientifico di Telethon.

I *Research Program Managers* 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 6.935 scienziati. In occasione di ogni bando, vengono interpellati sia revisori già inseriti nella banca dati, sia nuovi scienziati.

★★★ I dati delle revisioni svolte nella valutazione dei progetti di ricerca e delle carriere scientifiche 2007-2008 sono riassunti nella Figura 20.

BANDO	PROGETTI SOTTOPOSTI A REVISIONE ESTERNA	REVISIONI EFFETTUATE	REVISIONI EFFETTUATE PER PROGETTO	PROGETTI APPROVATI
Progetti di ricerca	249	514	2,06	40
Progetti Telethon-UILDIM	14	28	1,71	6
Dulbecco Telethon Institute (DTI)	4	9	2,25	2

FIGURA 20. LA REVISIONE ESTERNA DEI PROGETTI NEL 2007-2008

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.

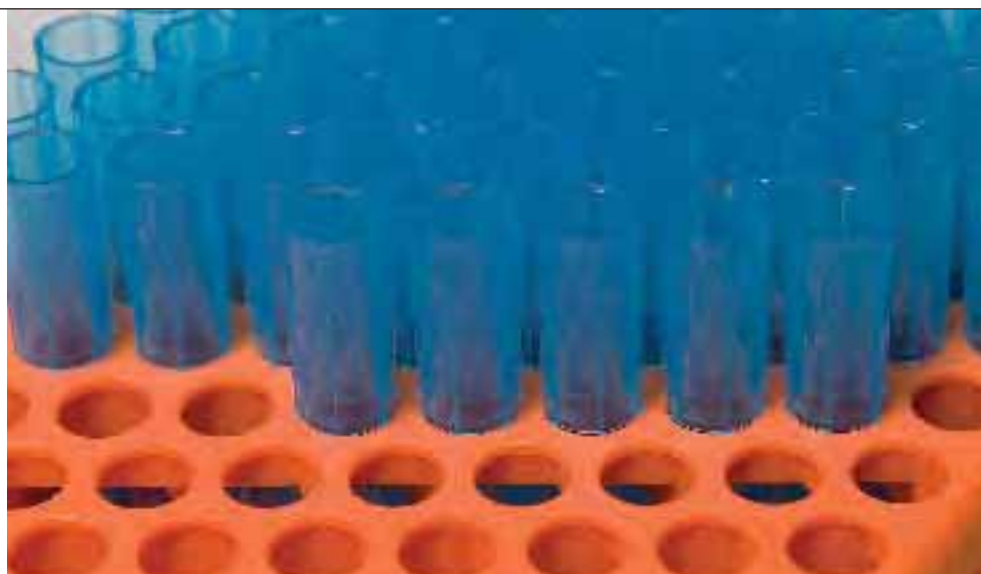
Il voto, risultante dalla media matematica dei giudizi espressi dai commissari, va da un minimo di 1, per i progetti il cui contenuto è definito "poor", ad un massimo di 5, per i progetti particolarmente promettenti di risultati scientifici di rilievo che vengono definiti "outstanding", secondo la seguente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

Per ogni progetto sottoposto a revisione, l'Ufficio Scientifico di Telethon stila un documento che riassume in maniera chiara e dettagliata il processo di selezione svolto e che comprende i commenti scritti dei revisori e il riassunto della discussione.



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.

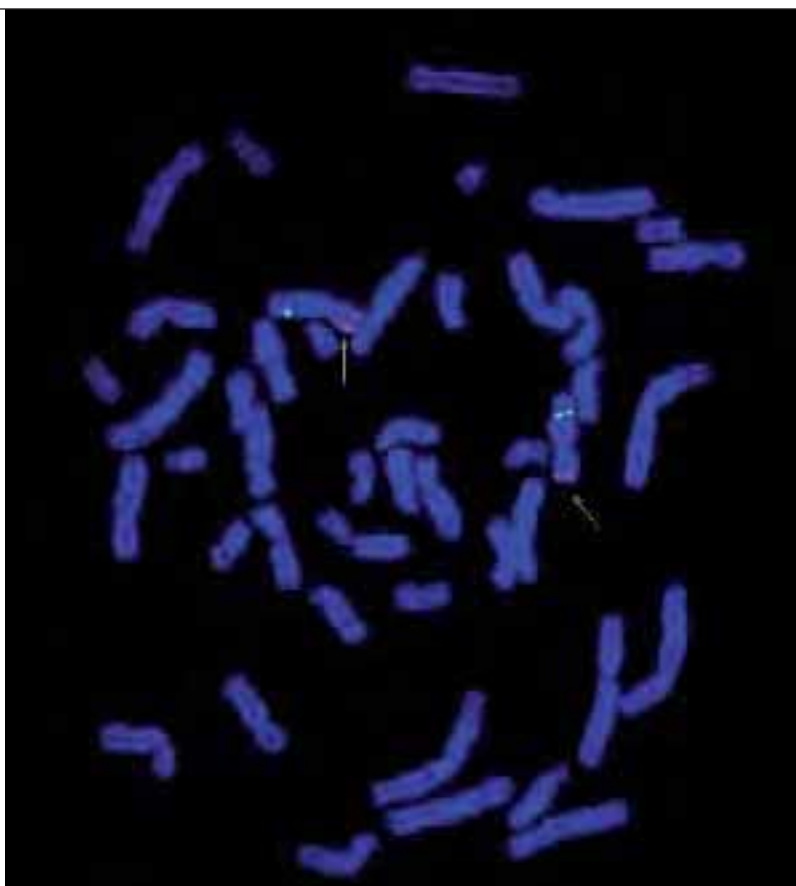
Viene nominata una Commissione di revisione *ad hoc*, alla quale partecipano alcuni membri della Commissione Medico-Scientifica ed altri ricercatori internazionali con competenze specifiche relative agli ambiti di ricerca degli istituti.

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).



UFFICIO SCIENTIFICO: LA VALUTAZIONE DEI RICERCATORI

★ ★ ★ Nel corso del 2007-2008, nel rispetto dei criteri indicati dal Sistema di Gestione della Qualità (SGQ), Telethon ha somministrato un questionario a tutti i 405 ricercatori che hanno presentato domanda di finanziamento per il bando relativo ai progetti di ricerca 2008, allo scopo di valutare l'efficienza del proprio Ufficio Scientifico. Per non influenzare le valutazioni, il questionario è stato somministrato prima che venissero rese note le graduatorie dei vincitori del bando. Ai ricercatori è stato chiesto di attribuire un giudizio sulla qualità e sull'importanza di alcune attività collegate al bando. Le valutazioni andavano da un minimo di 1 a un massimo di 4. Hanno risposto 77 ricercatori (pari al 19% del totale).

I risultati sono riassunti nella figura seguente. Il giudizio complessivo è molto lusinghiero.



FIGURA 21. LA VALUTAZIONE DEI RICERCATORI DELLE PRINCIPALI ATTIVITÀ DELL'UFFICIO SCIENTIFICO TELETHON COLLEGATE AL BANDO DI FINANZIAMENTO DEI PROGETTI DI RICERCA 2008

I FINANZIAMENTI ALLA RICERCA BIOMEDICA

★ ★ ★ Nell'esercizio 2007-2008 l'impiego di fondi nella ricerca biomedica è stata di **29.966.045 Euro** (con un incremento dell'1,4% rispetto all'anno precedente). Alla ricerca interna (senza considerare gli impegni per Tecnothon) sono andati **18.319.415 Euro** (di cui 7.209.579 provenienti da contributi esterni p. 50) e alla ricerca esterna **11.646.630 Euro**.

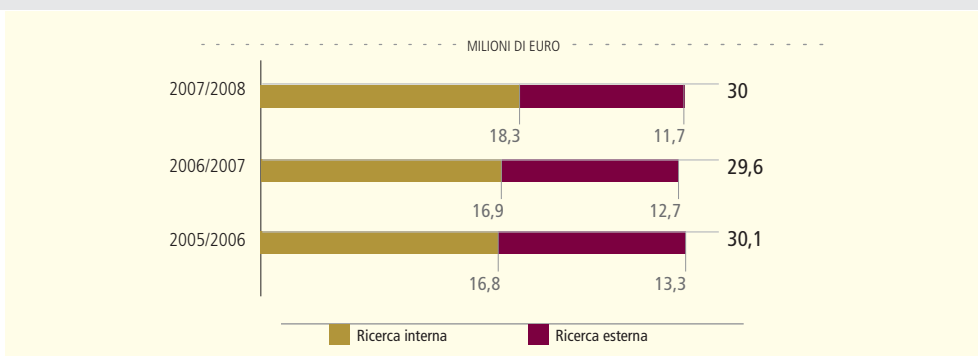
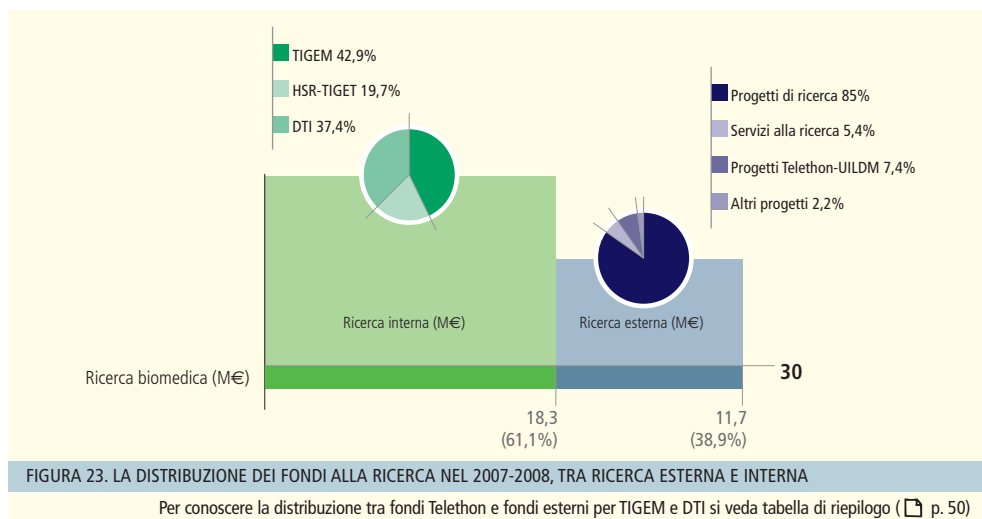


FIGURA 22. L'ANDAMENTO DEI FINANZIAMENTI ALLA RICERCA BIOMEDICA NELL'ULTIMO TRIENNIO

Alle attività di ricerca biomedica esterna, rivolte a ricercatori che lavorano presso enti di ricerca pubblici o privati non profit, è andato il 38,9% del finanziamento totale dell'anno (☞ p. 45) mentre il restante 61,1% (☞ p. 50) è servito a finanziare le attività degli istituti di ricerca biomedica Telethon (TIGEM, HSR-TIGET e DTI).

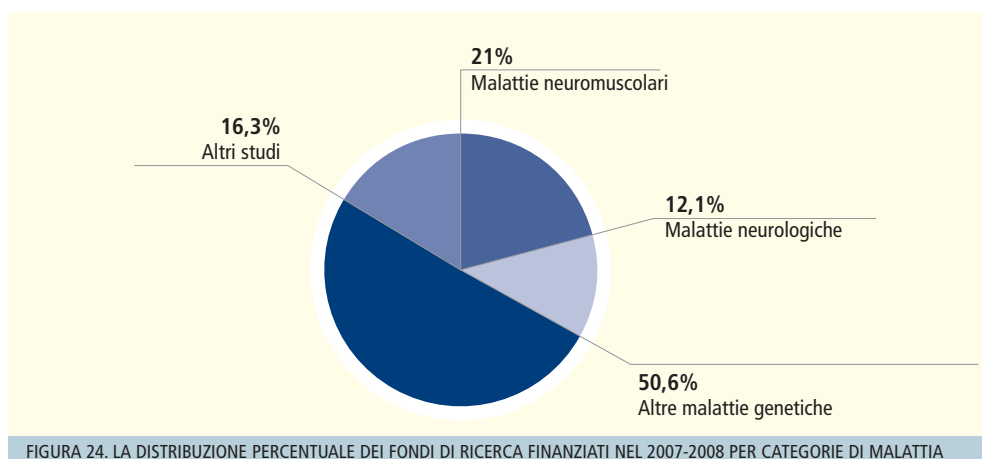


L'AMBITO DI STUDIO DEI PROGETTI FINANZIATI

★★★ Nel corso dell'anno 2007-2008, senza considerare i contributi vincolati ricevuti da enti esterni per il TIGEM e il DTI, Telethon ha assegnato **22.756.465 Euro** a **105 progetti** di ricerca biomedica (☞ p. 108)

La figura 24 illustra la suddivisione di questi fondi 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 al 30 giugno 2008. 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.

DARE PRIORITÀ ALLE MALATTIE RARE TRASCURATE DAI GRANDI INVESTIMENTI



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 2007-2008 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 (32,3%) è destinata alla messa a punto di strategie terapeutiche (gradini 3, 4 e 5); inoltre, rispetto all'anno precedente (2.5%), è cresciuto sensibilmente anche il finanziamento degli studi clinici diagnostici, osservazionali e palliativi.

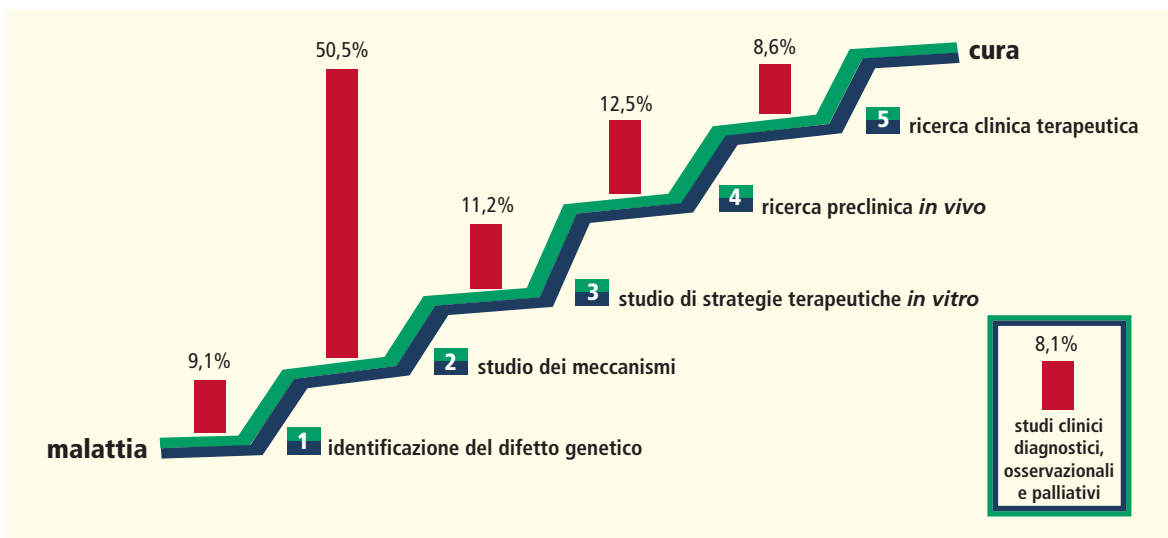
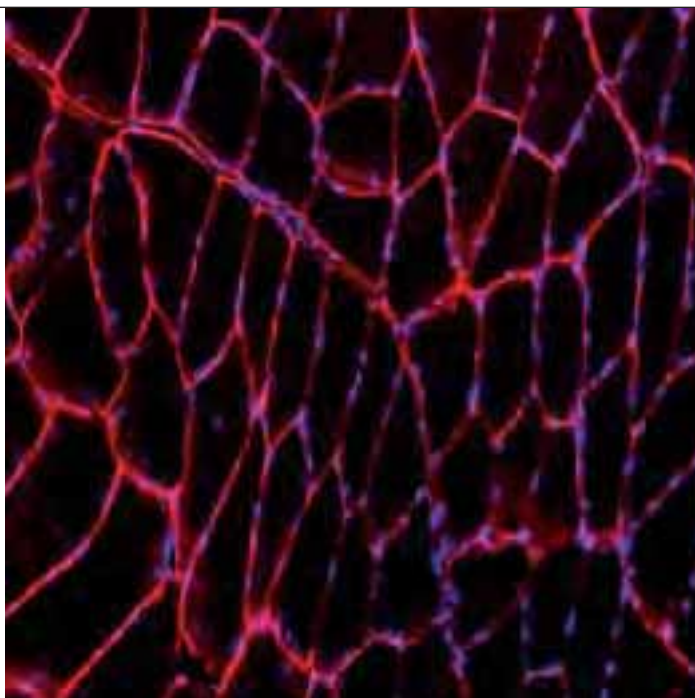


FIGURA 25. DISTRIBUZIONE PERCENTUALE DI FINANZIAMENTI PER OGNI GRADINO DELLA SCALA DELLA RICERCA (2007-2008)

A ciascun progetto finanziato possono corrispondere più gradini. Il totale non include i costi strutturali o non imputabili ad uno specifico gradino (pari a 1.874.800 Euro)



LA RICERCA ESTERNA

★★★ Il finanziamento alla ricerca biomedica esterna, nel 2007-2008 ha riguardato 50 progetti, con una media di 232.933 Euro a progetto (distribuiti secondo lo schema della Figura 26).

LE DELIBERE 2007-2008 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 2 principali occasioni: a novembre 2007 e a giugno 2008. Una commissione *ad hoc* ha valutato i progetti Telethon-UILDM nel settembre 2007, mentre il Consiglio di Amministrazione della Fondazione Telethon ha deliberato il finanziamento di due altri progetti.

TIPOLOGIA DI PROGETTO	PROGETTI VALUTATI	PROGETTI APPROVATI	FINANZIAMENTO TOTALE (EURO)	FINANZIAMENTO MEDIO (EURO)
Progetti di ricerca	249	40	9.901.800	247.545
Servizi alla ricerca	6	2	629.760	314.880
Progetti Telethon-UILDM	14	6	865.070	144.178
Altri progetti*		2	250.000	125.000
Totale generale		50	11.646.630	232.933

FIGURA 26. PROSPETTO RIEPILOGATIVO DELLE DELIBERE ALLA RICERCA ESTERNA (2007-2008)

*Delibere Fondazione Telethon (a favore della Fondazione Serena e della Fondazione Bioforme)

I PROGETTI DI RICERCA

Al bando dedicato ai progetti di ricerca partecipano ricercatori che operano in istituti pubblici e non profit in Italia per il finanziamento dei costi vivi di ricerca (con l'esclusione quindi di salari e costi strutturali).

★★★ Dei 249 progetti validi presentati, il Consiglio di Amministrazione del Comitato ha deliberato il finanziamento di 40 progetti, tra quelli valutati positivamente dalla Commissione Medico-Scientifica, per un importo complessivo di **9.901.800 Euro**. Nel bando 2008, la soglia di selezione si è ridotta sensibilmente rispetto alla media dei 4 anni precedenti, escludendo dal finanziamento l'84% dei progetti presentati (Figura 26). In media il 20% è considerata una soglia ottimale di selezione di progetti eccellenti; nell'ultimo anno questa soglia è scesa al 16,1% a causa della minore disponibilità di fondi allocati per il bando e ciò ha impedito di finanziare progetti valutati positivamente dalla Commissione. Questo dato, unito alla crescita del finanziamento medio dei progetti (Figura 27), dimostra la necessità da parte di Telethon di disporre di maggiori fondi per non perdere l'opportunità di finanziare un maggior numero di progetti nell'ambito di un processo di revisione comunque molto selettivo.

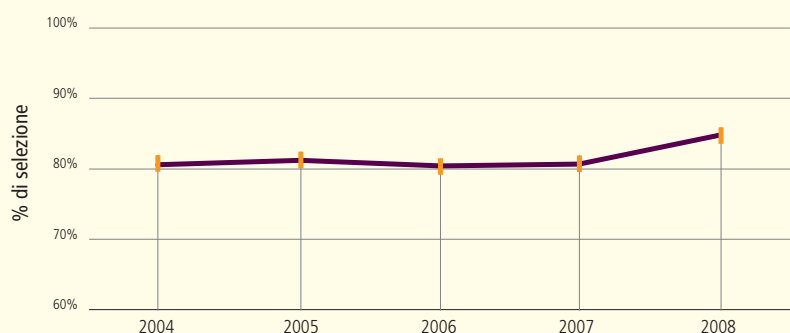


FIGURA 27. PERCENTUALE DI PROGETTI ESCLUSI DAL FINANZIAMENTO NEGLI ULTIMI 5 ANNI (RISPETTO AI PROGETTI VALIDI RICEVUTI)

I SERVIZI ALLA RICERCA

Il bando relativo ai servizi è 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).

- ★ ★ ★ Nel corso dell'esercizio, la Commissione ha valutato 6 progetti approvandone 2, per un totale di **629.760 Euro**.


IL NETWORK DI BIOBANCHE GENETICHE TELETHON

Le banche biologiche (biobanche) genetiche sono strutture che preservano campioni biologici estremamente rari e rilevanti per la ricerca sulle malattie genetiche, rendendoli disponibili alla comunità scientifica. Non solo: questi campioni sono molto preziosi anche per i pazienti, che spesso riescono a ricevere una diagnosi proprio grazie al servizio offerto dalle biobanche. L'attività delle biobanche genetiche favorisce inoltre la comunicazione e l'interazione tra diversi gruppi di studiosi a livello mondiale.

Nel corso 2006-2007 la Commissione Scientifica di Telethon aveva approvato la costituzione di una rete che riunisce e coordina 7 biobanche genetiche finanziate da Telethon.

L'esigenza di promuovere la costituzione di una rete tra le biobanche genetiche finanziate da Telethon è nata quindi con l'obiettivo strategico di valorizzare l'impatto di queste strutture presso la comunità scientifica italiana e internazionale.

Per la costituzione della rete, Telethon si è impegnato per un finanziamento complessivo di 2.170.840 Euro nell'arco di 5 anni. Nel giugno 2007 (esercizio precedente) Telethon ha deliberato 920.220 Euro per i primi due anni di attività del *network*, mentre il finanziamento delle annualità successive sarà vincolato all'esito positivo delle verifiche dell'efficienza e della qualità dell'infrastruttura.

- ★ ★ ★ Nel corso del 2008 queste biobanche si sono riunite nel "*Network delle Biobanche Genetiche Telethon*" (TGNB), e sono state poste le basi per la costruzione di una rete efficiente in termini di sinergia, organizzazione, governance, coordinamento e omogeneizzazione delle modalità operative in modo da facilitare la richiesta dei servizi per le famiglie e i ricercatori di tutto il mondo. Per facilitare l'utilizzo delle biobanche, è disponibile un sito web ( www.biobanknetwork.org) che permette la consultazione approfondita del catalogo di tutte le banche facenti parte della rete. Attraverso il sito, chiunque potrà conoscere la disponibilità di campioni biologici su una determinata malattia genetica e richiederne l'invio per scopi di ricerca. Inoltre, per favorire la condivisione delle conoscenze e l'avanzamento della ricerca, il sito permetterà di conoscere anche i risultati scientifici ottenuti grazie a ciascuno dei campioni custoditi.



“ IL *NETWORK* TELETHON DELLE BIOBANCHE GENETICHE È UN'ESPERIENZA UNICA IN EUROPA, ALLA QUALE I NOSTRI COLLEGHI STRANIERI GUARDANO CON ESTREMO INTERESSE ”

FRANCA DAGNA BRICARELLI | COORDINATRICE EMERITA DEL *NETWORK* TELETHON DELLE BIOBANCHE GENETICHE

Attualmente il “*Network* delle Biobanche Genetiche Telethon” (TGNB) è composto da:

- **Galliera Genetic Bank** del S.C. Laboratorio di Genetica E.O. Ospedali Galliera - Genova;
- **Biobanca di Linee Cellulari e DNA di pazienti affetti da Malattie Genetiche** del S.S. D. Laboratorio di Diagnosi pre e post-natale di Malattie Metaboliche - Istituto G. Gaslini - Genova;
- **Biobanca di Genetica Umana di pazienti affetti da Parkinson e Parkinsonismo** del Centro Parkinson e Disturbi del Movimento, Istituti Clinici di Perfezionamento - Milano;
- **Biobanca di Linee Cellulari e DNA di pazienti affetti da Sindrome di Rett e da Ritardi Mentali da X-Linked** del Laboratorio di Genetica Medica - Dipartimento di Biologia Molecolare - Università di Siena;
- **Biobanca Neuromuscolare di Tessuto e Campioni di DNA** del Dipartimento di Neuroscienze - Università di Padova;
- **Biobanca di DNA, Linee Cellulari e Tessuto Neuro-muscolare-cardiaco** del U.O.S. Diagnostica Malattie Neuromuscolari - U.O. Neurologia - Centro Dino Ferrari, Università Studi - Fondazione, Ospedale Maggiore Policlinico Mangiagalli e Regina Elena - Milano;
- **Biobanca di Cellule, Tessuto e DNA di pazienti con Malattie Neuromuscolari** del Laboratorio di Biologia Cellulare - U.O. Malattie Neuromuscolari e Neuroimmunologia - Istituto Neurologico Besta Fondazione IRCCS - Milano.



LE BORSE DI STUDIO ALL'ESTERO

- ★ ★ ★ Come per l'anno 2006-2007, anche nel corso del 2007-2008 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 composto da esperti clinici di malattie neuromuscolari e da un referente indicato dalla 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 3.500 pazienti con malattie neuromuscolari. La Fondazione Telethon è anche uno dei 21 partner del TREAT-NMD, un *network* internazionale d'eccellenza nell'ambito della ricerca per la cura delle malattie neuromuscolari.

- ★ ★ ★ In risposta al bando 2007 per progetti clinici Telethon-UILDM, sono stati valutati 14 progetti, 6 dei quali sono stati ammessi al finanziamento per un totale di **865.070 Euro**.

ALTRI PROGETTI

- ★ ★ ★ Nel corso dell'anno la Fondazione Telethon ha deliberato il finanziamento complessivo di **250.000 Euro** a favore della Fondazione Serena (100.000 Euro) e della Fondazione Bioforme (150.000 Euro), due importanti iniziative che si iscrivono nell'ambito del percorso di costruzione e partecipazione di una rete di alleanze strategiche cui la Fondazione Telethon partecipa per far crescere la sensibilità, l'attenzione e la cooperazione sul tema della ricerca e della cura sulle malattie genetiche. Queste due iniziative sono descritte nella sezione dedicata "I soggetti finanziati" (📄 p. 12), mentre di seguito si propone un approfondimento del Centro Clinico Nemo, l'ente gestito dalla Fondazione Serena, operativo dal 1 gennaio 2008.



ALCUNI INTERNI DEL CENTRO NEMO



“ NEL 2004 LA UILD M AVEVA UN “SO GNO NEL CASSETTO” CHE SI È TRASFORMATO IN REALTÀ. OGGI NEMO È UNA STRUTTURA UNICA E DEDICATA IN GRADO DI INTERVENIRE EFFICACEMENTE NELLE TERAPIE CLINICHE E RIABILITATIVE E IN FUTURO POTRÀ DARE UN FORTE IMPULSO ALLA PREVENZIONE E ALLA RICERCA ”

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



NEMO: NEUROMusCOLAROMNICENTRE

Dal primo gennaio 2008 è operativo Nemo, la struttura polifunzionale e riabilitativa, prima in Italia a prendersi cura di chi soffre di malattie neuromuscolari. Un nuovo punto di riferimento per circa 25 mila pazienti affetti in Italia da distrofia muscolare o sclerosi laterale amiotrofica, la cui gestione è affidata alla Fondazione Serena, Onlus nata dalla collaborazione tra Unione italiana lotta alla distrofia muscolare, Fondazione Telethon e Azienda Ospedaliera Niguarda.

Al suo interno lavora uno staff di 32 professionisti, pronti a prendersi carico del malato in tutti i suoi bisogni fisici, psichici e relazionali. Una struttura con 20 posti letto - il 30 per cento dei quali è destinato a bambini e adolescenti - più 4 in day hospital, che nel primo anno di attività ha preso in cura circa 500 pazienti.

Oltre ai servizi riabilitativi, di prevenzione, diagnosi, dal sito www.centrocliniconemo.it è possibile consultare i servizi di Telemedicina e di Consulenza Ausili, pensati per produrre informazione e creare una banca dati statistica dei centri che si occupano di queste malattie. Un'attenzione particolare, poi, è dedicata alla ricerca scientifica sulle patologie neuromuscolari, che prevede la stesura di protocolli clinici e linee guida, nel tentativo di accorciare la distanza tra laboratori e pazienti.

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 28), risulta che il finanziamento medio per progetto è cresciuto costantemente, con una leggera flessione nel 2006-2007 rispetto all'esercizio precedente (nel quale il finanziamento medio ha risentito di un' erogazione straordinaria di 400.000 Euro a favore della Fondazione Serena). Questo dato indica l'adeguamento naturale ai costi sempre più elevati della ricerca e 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 ma anche la necessità di Telethon di disporre di una crescente quantità di fondi da investire nella ricerca.

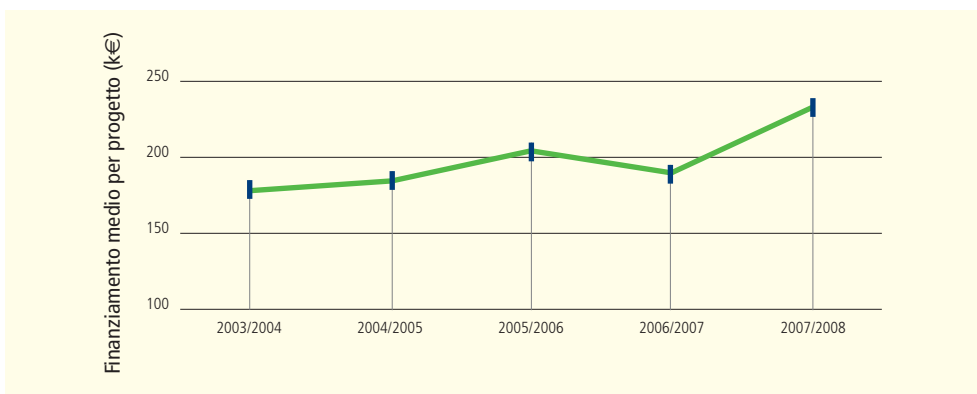


FIGURA 28. L'ANDAMENTO DEL FINANZIAMENTO MEDIO PER PROGETTI DI RICERCA ESTERNA NELL'ULTIMO QUINQUENNIO (2003-2008)

LA RICERCA INTERNA

★★★ Il finanziamento agli istituti interni di ricerca biomedica, nel 2007-2008 è stato complessivamente di **18.319.415 Euro**, suddiviso tra le delibere del Comitato, gli oneri gestionali della Fondazione e i contributi vincolati ricevuti da enti esterni. La tabella seguente evidenzia la capacità degli istituti interni Telethon di attrarre fondi alternativi a riprova della qualità della ricerca condotta.

ISTITUTO	IMPORTI DELIBERATI DAL COMITATO	ONERI GESTIONALI SOSTENUTI DALLA FONDAZIONE (EURO)	CONTRIBUTI DA ENTI ESTERNI (EURO)	FINANZIAMENTO COMPLESSIVO (EURO)
TIGEM	2.933.583	-	4.935.161	7.868.744
HSR-TIGET	3.601.033	-	*	3.601.033
DTI	4.472.220	103.000	2.274.418	6.849.638
Totale	11.006.836	103.000	7.209.579	18.319.415

FIGURA 29. PROSPETTO RIEPILOGATIVO DEI FONDI ASSEGNATI DA TELETHON ALLA RICERCA BIOMEDICA INTERNA PER OGNI SUO ISTITUTO (2007-2008)

*1 contributi di enti esterni all'HSR-TIGET non entrano nel bilancio di Telethon, ma sono direttamente gestiti dalla Fondazione San Raffaele (p. 54, Figura 33)

★★★ La Fondazione Telethon è anche impegnata a promuovere l'integrazione di propri ricercatori di valore. Al 30 giugno 2008 gli scienziati che operano negli istituti Telethon che si sono integrati con successo negli enti di ricerca italiani sono 15 di cui 6 del TIGEM, 1 dell'HSR-TIGET e 8 del DTI.



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 otto 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.

- ★☆☆ Nel corso dell'anno il TIGEM ha pubblicato, tra gli altri, due risultati molto prestigiosi. Per la prima volta al mondo è stato eseguito con successo un intervento di terapia genica sull'uomo per curare una grave forma di cecità ereditaria, l'amaurosi congenita di Leber. Si è trattato di un complesso lavoro di equipe internazionale che oltreoceano ha fatto capo al *Children Hospital* di Philadelphia e, nel capoluogo partenopeo, al TIGEM e al Dipartimento di Oftalmologia della Seconda Università degli Studi di Napoli. Il secondo risultato ha riguardato la cura nel modello animale della malattia di Stargardt, degenerazione maculare ereditaria. Lo studio condotto interamente al TIGEM ha dimostrato che anche geni molto grandi possono essere "impacchettati" ed introdotti ricorrendo a vettori di capienza maggiore rispetto ai cosiddetti "virus-navicella" finora utilizzati. Per maggiori dettagli si rinvia alla sezione "I risultati della ricerca" (📄 p. 61).

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 2008 lavoravano 175 persone.

Dipendenti	25
Collaboratori	81
Professionisti	2
Borsisti	67
Totale personale	175
Uomini	70
Donne	105
Group Leader (Ricercatori principali)	12
Ricercatori junior e tecnici	154
Personale amministrativo e di supporto	9

FIGURA 30. IL PERSONALE DEL TIGEM AL 30 GIUGNO 2008

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 terza annualità pari a **2.933.583 Euro**, (relativo al periodo luglio 2008 - giugno 2009) per coprire i progetti di ricerca, i costi strutturali e quelli relativi ai servizi e laboratori comuni (microscopia, colture cellulari, bioinformatica etc.).



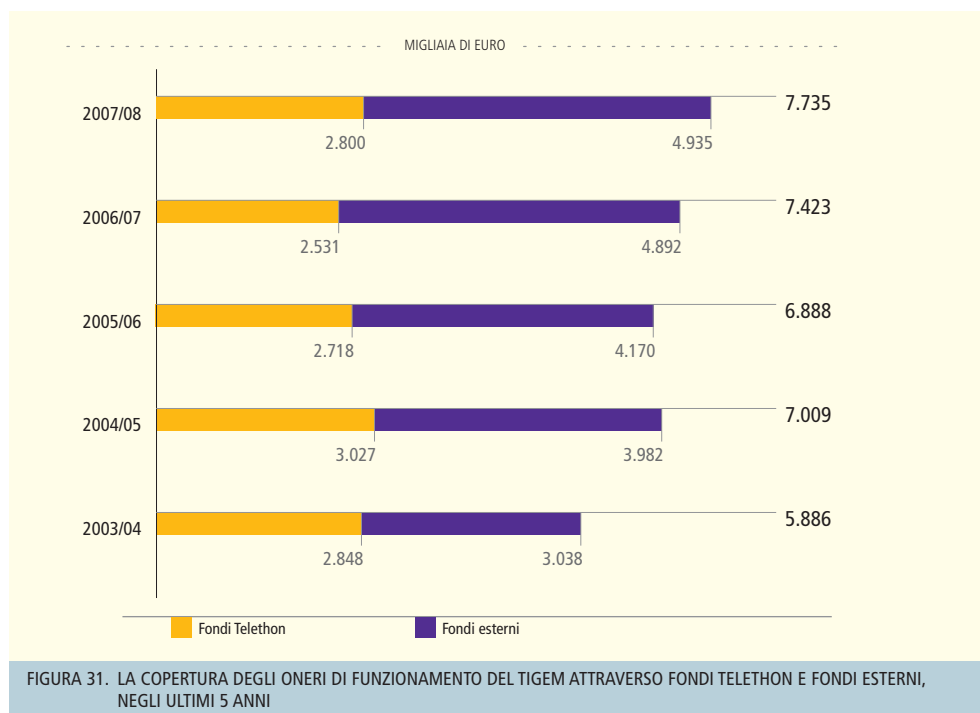
“ GRAZIE A TELETHON È NATO IL TIGEM, DOVE LAVORANO CIRCA 170 PERSONE. SEMPRE GRAZIE A TELETHON I RICERCATORI HANNO POTUTO OTTENERE NOTEVOLI FINANZIAMENTI ADDIZIONALI ESTERNI. E GRAZIE AI FINANZIAMENTI, RIUSCIAMO A REALIZZARE IMPORTANTI RISULTATI, COME IL PRIMO INTERVENTO AL MONDO DI TERAPIA INNOVATIVA PER UNA FORMA DI CECITÀ EREDITARIA DELL’OCCHIO ”

ANDREA BALLABIO | DIRETTORE DEL TIGEM

★★★ Nel presente esercizio il TIGEM ha utilizzato **4.935.161 Euro** di fondi esterni per la copertura dei propri oneri di funzionamento (figura 31) e ha inoltre ottenuto nuovi contributi da:

- a) enti europei (la Commissione Europea nell’ambito del VI e del VII Programma Quadro, la Wellcome Trust, l’Association Française contre les Myopathies, la Fondation Jerome Lejeune);
- b) enti pubblici italiani (la Regione Campania);
- c) enti privati italiani (Associazione Italiana per la Ricerca sul Cancro, Molmed S.p.A.);
- d) enti americani (National Institute of Health, la Polycystic Kidney Disease Foundation, la Shire HGT).

I fondi ottenuti dagli enti esterni hanno costituito negli anni un volano di crescita per il TIGEM. Dalla Figura 31 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 abbastanza stabili gli impieghi di Telethon. Ogni progetto del TIGEM costituisce, inoltre, 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 dalla Fondazione Telethon 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 diretto da Luigi Naldini, docente 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 dodici 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.

Il personale dell'istituto HSR-TIGET è composto da 93 unità tra ricercatori, tecnici, personale clinico e amministrativo. Presso l'HSR-TIGET si svolgono anche corsi di dottorato e tirocini formativi.

Direttori, group leader e project leaders	14
Ricercatori, tecnici e dottorandi	62
Personale clinico	9
Personale amministrativo e supporto	8
Totale personale	93
Uomini	26
Donne	67

FIGURA 32. IL PERSONALE DELL'HSR-TIGET AL 30 GIUGNO 2008

(Dati forniti dalla Direzione Scientifica dell'HSR-TIGET)

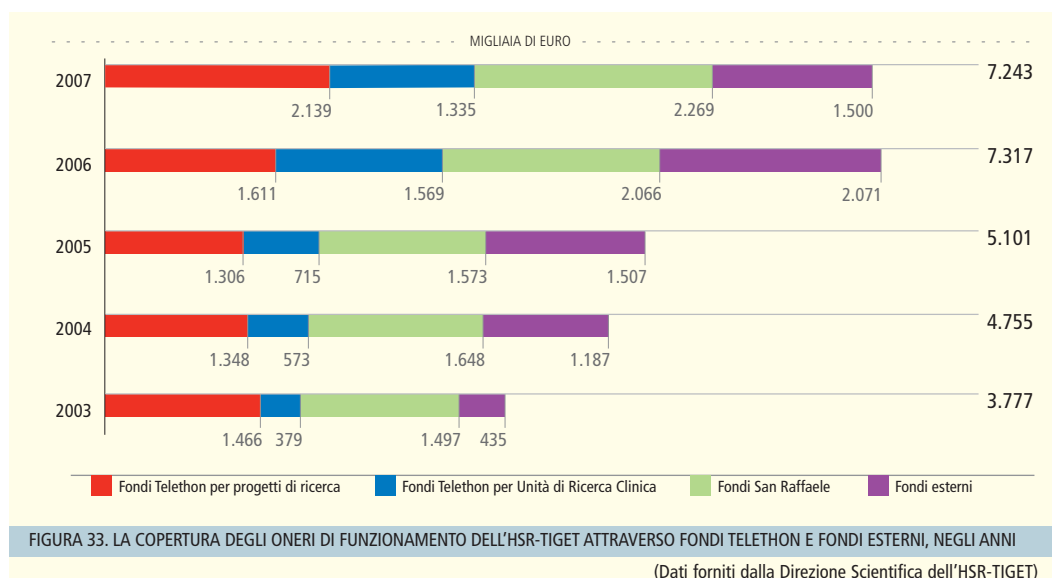


Dalla sua nascita, anche l'istituto HSR-TIGET così come il TIGEM ottiene i finanziamenti secondo la procedura di revisione descritta nella sezione relativa alla valutazione degli istituti interni di ricerca (p. 41). L'ultima valutazione dell'HSR-TIGET è avvenuta a novembre 2005 per il periodo 2006 -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

★★★ Nel corso dell'esercizio è stato deliberato un totale di **2.701.033 Euro** relativo alla seconda annualità, gennaio-dicembre 2008, per i progetti di ricerca (2.043.435 Euro) e per l'Unità di Ricerca Clinica (657.598 Euro).

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, l'Istituto Superiore di Sanità, l'Istituto Mediterraneo di Ematologia, il National Institute of Health (NIH - USA), la Fondazione Americana per il Diabete Giovanile (JDRF), l'Associazione Italiana per la Ricerca sul Cancro 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 suddette, l'EMA ha riconosciuto lo stato di "farmaco orfano". Nel primo caso tale designazione è stata concessa a Genethon (istituto di ricerca francese fondato dall'AFM 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 2007-2008 Telethon ha deliberato **900.000 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 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 34). 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 <i>grant</i> di ricerca • 25.000 totali come <i>starting grant</i> • 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 <i>grant</i> di ricerca • 25.000 totali come <i>starting grant</i> • 42.000 per borse di studio 	5 anni	867.000
Senior Telethon Scientists (scienziati al più alto livello della produzione scientifica)	<i>da negoziare</i>	5 anni	<i>da negoziare</i>

FIGURA 34. LO SCHEMA DEL DULBECCO TELETHON INSTITUTE

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.



“ I GIOVANI RICERCATORI IN GENERE FANNO MOLTA FATICA AD INSERIRSI CON INDIPENDENZA NELLE REALTÀ ACCADEMICHE LOCALI. LA MIA È UN 'ECCEZIONE' VOLUTA FORTEMENTE DA TELETHON, CHE SOSTIENE UNA RICERCA SCIENTIFICA SINONIMO DI VALORE E RICCHEZZA PER LE NOSTRE E LE FUTURE GENERAZIONI ”

DAVIDE CORONA | ASSISTANT TELETHON SCIENTIST

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 è stato aperto un bando per l'arruolamento di due nuovi *Assistant Telethon Scientist*. Le posizioni sono state assegnate a:

- Marta Serafini, presso la Clinica Pediatrica Ospedale S. Gerardo - Fondazione M. Tettamanti;
- Marie-Louise Bang presso l'Istituto di Tecnologie Biomediche Avanzate ITBA - LITA del CNR di Milano.

L'importo deliberato per ciascuna posizione è stato di 517.000 Euro per un totale di **1.034.000 Euro**.

★ ★ ★ A novembre 2007, si è svolta la valutazione per rinnovi e promozioni di cinque *Assistant Telethon Scientist* del Dulbecco Telethon Institute.

Quattro di loro sono stati promossi al livello di *Associate Telethon Scientist*, mentre in un caso è stata prolungata di ulteriori due anni l'attuale posizione di *Assistant* per il completamento dei progetti di ricerca attualmente in corso.

A fronte di tali valutazioni sono stati stanziati **3.370.000 Euro**.

In seguito a nuovi accordi di integrazione dei ricercatori nelle istituzioni ospitanti o in seguito alla necessità di prolungare per periodi limitati alcuni contratti dei ricercatori per arrivare alla data della valutazione, il Comitato Telethon ha deliberato anche un importo aggiuntivo di **68.220 Euro**.

A fronte di adeguamenti salariali già approvati nei periodi precedenti, la Fondazione Telethon ha sostenuto inoltre oneri operativi aggiuntivi per il DTI pari a **103.000 Euro**.

Al 30 giugno 2008 i *Telethon Scientists* sono 26. La tabella della pagina seguente indica i nomi e le aree di ricerca di ciascuno di loro. In totale, il personale del DTI conta 133 unità, tutte remunerate dalla Fondazione Telethon.

Dipendenti	0
Collaboratori	64
Professionisti	2
Borsisti	67
Totale personale	133
Uomini	39
Donne	94
Group leader	26
Ricercatori junior e tecnici	107
Personale amministrativo	0

FIGURA 35. LA SUDDIVISIONE DEL PERSONALE DEL DTI AL 30 GIUGNO 2008



“ SONO STATO FORTUNATO A INCONTRARE TELETHON NEL MIO PERCORSO. PER ME È STATA LA GRANDE OPPORTUNITÀ DI CONCILIARE LA PASSIONE PROFESSIONALE CON LA MISSIONE DELL'ENTE. PENSO CHE SIA UNA REALTÀ UNICA SICURAMENTE IN ITALIA, E FORSE ANCHE IN EUROPA ”

FRANCESCO CECCONI | ASSOCIATE TELETHON SCIENTIST

RICERCATORI DTI ATTIVI AL 30 GIUGNO 2008

LIVELLI DI CARRIERA	AREA DI RICERCA
Senior Telethon Scientist	
Luca Scorrano	Malattie mitocondriali (atrofia ottica dominante)
Associate Telethon Scientist	
Valerio Orlando	Epigenetica e riprogrammazione del genoma
Francesco Cecconi	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
Alessandra Boletta	Rene policistico
Margherita Maffei	Obesità
Giovanna Musco	Studi strutturali di proteine
Assistant Telethon Scientists	
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
Giorgio Merlo	Sviluppo embrionale (malformazioni congenite craniofacciali)
Luca Rampoldi	Malattie cistiche renali
Marco Sandri	Distrofia muscolare
Marie-Louise Bang	Miopatia nemalinica
Marta Serafini	Sindrome di Hurler
Manuela Zaccolo	Malattie neuromuscolari (cardiomiopatia ipertrofica)

Un altro 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. 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 (Figura 36).

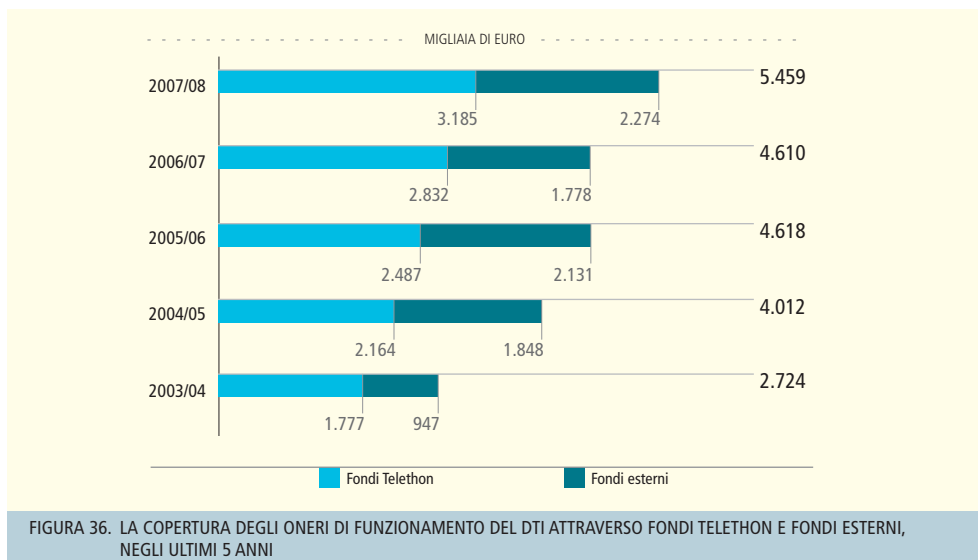
A riprova della qualità della ricerca effettuata dai *Telethon Scientists*, il DTI beneficia anche di finanziamenti da parte di enti nazionali e internazionali, portando all'istituto ulteriori fondi esterni vincolati allo svolgimento di progetti di ricerca.

★ ★ ★ Nell'esercizio, nuovi finanziamenti esterni per un valore di **2.274.418 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; Human Frontier Science Program);
- enti italiani (Compagnia di San Paolo; Associazione Italiana per la Ricerca sul Cancro; Fondazione Cariplo; Associazione Italiana Sindrome di Williams, Molmed S.p.A.; Ministero dell'Università e Ricerca - fondi FIRB; RBM S.p.A. - Istituto di Ricerche Biomediche "Antoine Marxer");
- enti americani (Giovanni Armenise - Harvard Foundation; National Institutes of Health; Parent Project).

★★★ Merita una citazione speciale la Compagnia di San Paolo, che da anni sostiene le attività del DTI e che nell'anno 2007-2008 ha deliberato un contributo di 900.000 Euro.

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.



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.

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 37). 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*.

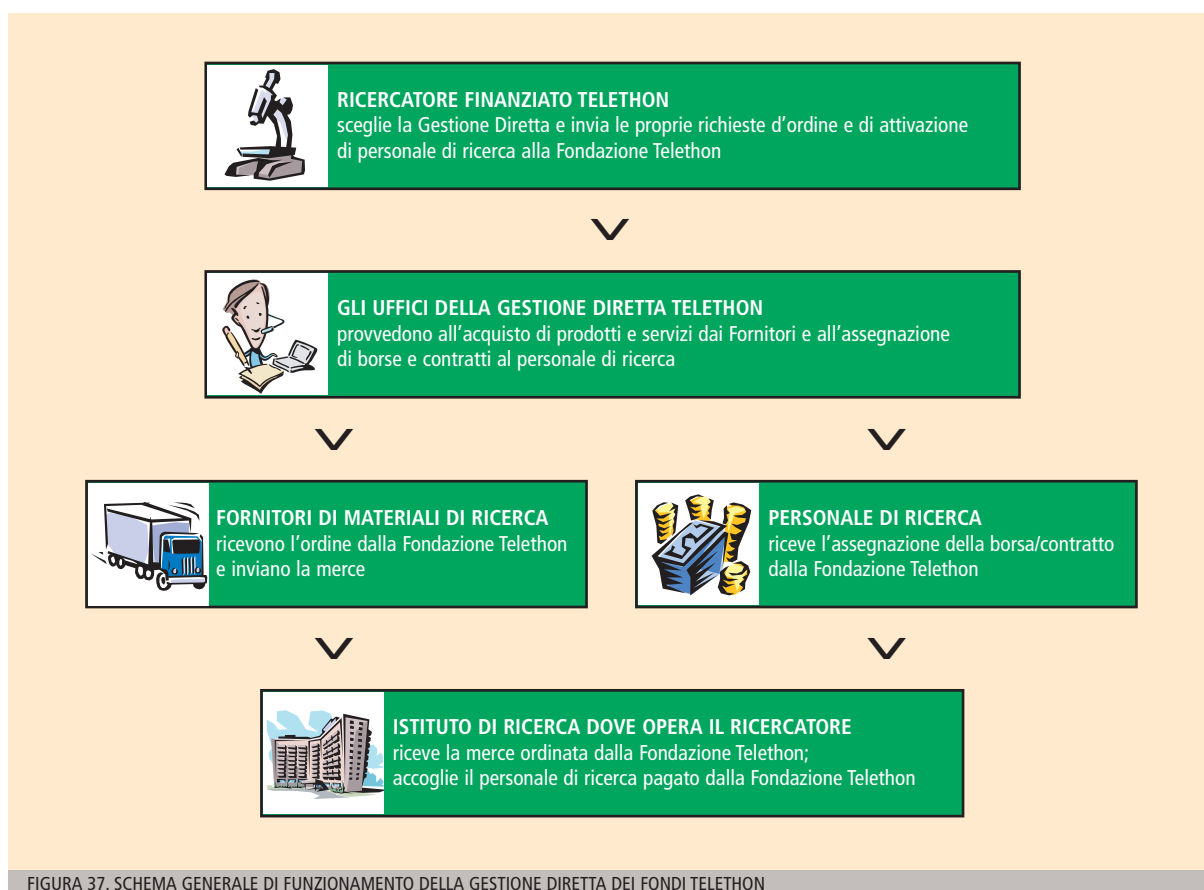
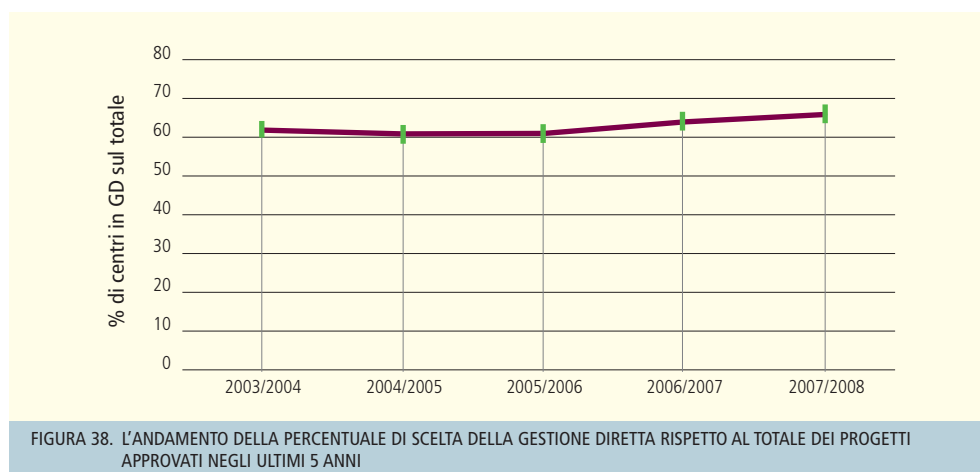


FIGURA 37. SCHEMA GENERALE DI FUNZIONAMENTO DELLA GESTIONE DIRETTA DEI FONDI TELETHON

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 (Figura 38).

★ ★ ★ Al 30 giugno 2008, dei 202 progetti in corso di finanziamento, il 66% (pari a 133 progetti) era gestito dalla Fondazione Telethon.



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

- ★ ★ ★ L'ADA-SCID, una gravissima immunodeficienza ereditaria che rende potenzialmente letale anche la più banale infezione, è ormai una patologia sconfitta. Il protocollo ha permesso di curare **12 bambini** affetti dalla grave malattia, restituendo loro una vita completamente normale.

Un successo dell'HSR-TIGET che, attraverso una ricerca clinica iniziata nel 2000, ha messo a punto il primo protocollo sicuro ed efficace di terapia genica per questa patologia. Prima della terapia genica, le soluzioni prospettate erano due: il trapianto di midollo osseo, che però poneva il problema del reperire donatori compatibili oppure la somministrazione di farmaco a base dell'enzima mancante. Purtroppo anche quest'ultima scelta aveva dei limiti: la terapia richiedeva iniezioni settimanali e non risultava sempre efficace.

Il lavoro dei ricercatori dell'HSR-TIGET ha dimostrato che è sufficiente una sola infusione di cellule staminali del midollo osseo, preventivamente corrette con la terapia genica, per ripristinare nei bambini un sistema immunitario perfettamente funzionante e permettere loro di crescere sani.

- ★ ★ ★ Per la prima volta al mondo è stato eseguito con successo un intervento di terapia genica sull'uomo per curare l'**amaurosi congenita di Leber**, una grave malattia genetica che colpisce la retina e provoca cecità o grave danneggiamento della vista già nei primi mesi di vita. Questo risultato è stato raggiunto da un'equipe internazionale. La parte italiana dello studio, finanziata da Telethon, è stata coordinata da Alberto Auricchio, ricercatore del TIGEM e professore associato dell'Università "Federico II" di Napoli.

- ★ ★ ★ Telethon ha posto le basi per l'avvio di studi clinici anche per la **leucodistrofia metacromatica** e la **malattia di Stargardt**. I protocolli di trattamento della due malattie in fase di sviluppo rispettivamente presso gli istituti HSR-TIGET e TIGEM hanno infatti ottenuto la designazione di "terapia orfana" da parte dell'EMA e della FDA (si veda il box di approfondimento seguente).

FAR AVANZARE LA RICERCA
SCIENTIFICA VERSO LA CURA

DESIGNAZIONE DI "TERAPIA ORFANA"

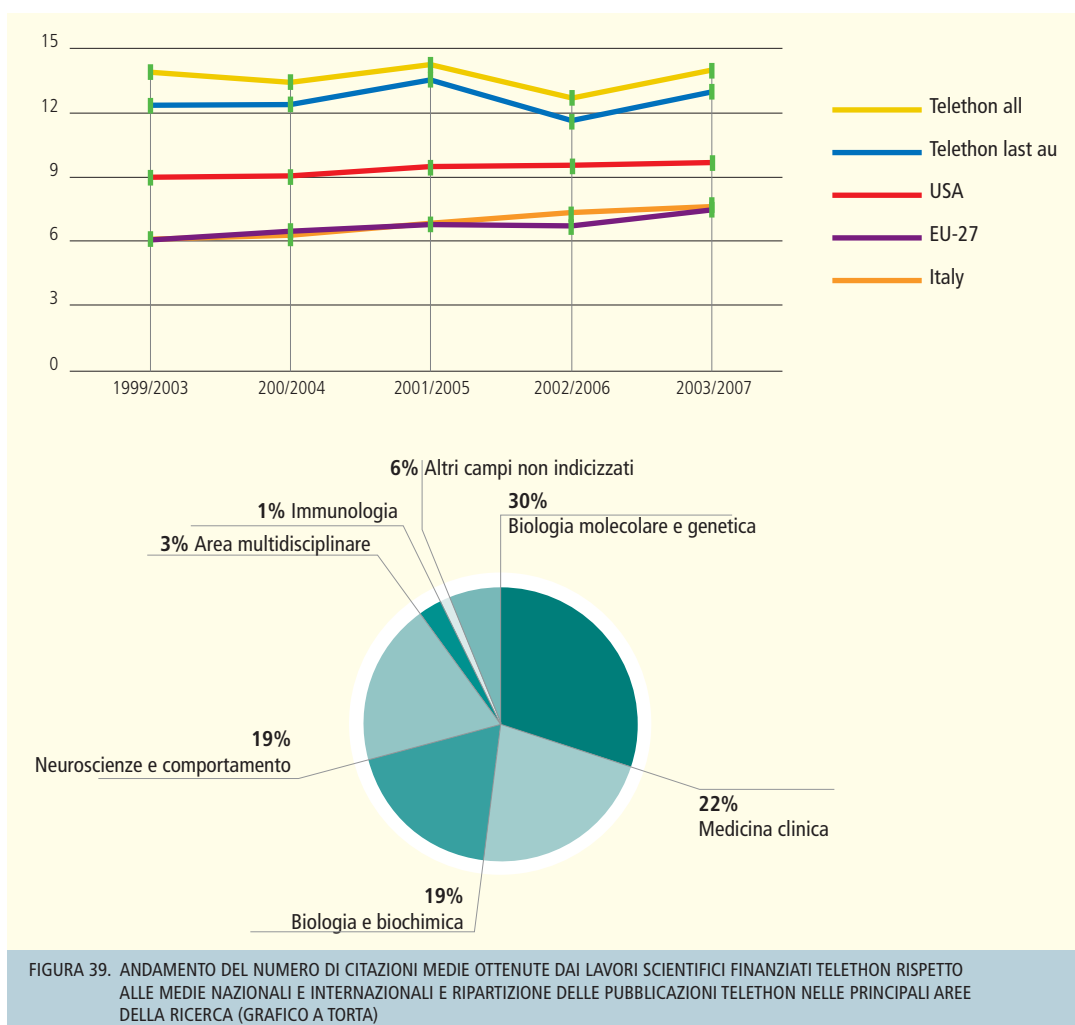
La designazione di "terapia orfana" consente ad un determinato approccio terapeutico di godere dei benefici legislativi volti a promuovere lo sviluppo di terapie per le malattie rare e l'accesso agevolato a tali terapie per i pazienti che ne sono affetti. Tale designazione è concessa dall'Agenzia Europea del Farmaco (EMA) e dall'agenzia statunitense Food and Drug Administration (FDA) secondo criteri uniformi tra le due agenzie.

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, i risultati scientifici della ricerca di base e il progresso che questi generano sulla scala della ricerca.

LA QUALITÀ DELLE PUBBLICAZIONI

Numerosi indicatori dimostrano l'eccellente qualità della ricerca scientifica finanziata da Telethon. Dal 1991 al giugno 2008 sono 6.410 le pubblicazioni scientifiche scaturite dai finanziamenti Telethon. Esse sono annualmente indicizzate da Thomson Reuters, un'agenzia internazionale di analisi specializzata a calcolare il citation index, ossia il numero medio di citazioni ottenute dalle pubblicazioni scientifiche. Il grafico seguente illustra l'andamento negli anni del citation index per tutte le pubblicazioni risultanti dalla ricerca Telethon (Telethon all) e per quelle (46%) per cui i ricercatori titolari di progetti Telethon hanno ottenuto la posizione di ultimo autore, ovvero la paternità principale della ricerca (Telethon last au). I valori riportati sono confrontati con quelli relativi alle pubblicazioni statunitensi, europee ed italiane. I risultati espressi nel grafico dimostrano che il numero medio di citazioni per articolo delle pubblicazioni scientifiche scaturite dai finanziamenti Telethon è maggiore rispetto alla media italiana, europea e perfino a quella degli Stati Uniti e ciò si deve in gran parte al valore, internazionalmente riconosciuto, del sistema di selezione dei progetti adottati da Telethon.

DARE FONDI A ECCELLENTI
PROGETTI E AI MIGLIORI
RICERCATORI IN ITALIA



I PRINCIPALI RISULTATI PUBBLICATI

★★★ Nell'anno 2007-2008 sono stati pubblicati, su riviste di prestigio internazionale, **466** 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 (nome rivista e data) sono riportati in fondo a ciascun risultato.

1 Identificazione del difetto genetico

- Una ricerca italo-giapponese ha permesso di localizzare la posizione (locus) del difetto genico responsabile della **sindrome di Silver**, una variante della **paraplegia spastica ereditaria** (HSP), malattia caratterizzata da spasticità progressiva e debolezza degli arti inferiori, che nella sua variante della sindrome di Silver è complicata da amiotrofia dei muscoli intrinseci delle mani. La scoperta è rilevante per la neurologia e per la genetica clinica: è, infatti, la tappa fondamentale per arrivare all'identificazione anche del gene difettoso che causa la HSP. Una volta identificato anche il gene la proteina che esso codifica potrà rappresentare un bersaglio molecolare per un razionale sviluppo di nuovi farmaci.

Antonio Orlacchio, Fondazione Santa Lucia, Roma. Neurology, maggio 2008.

2 Studio dei meccanismi genetici e fisio-patologici

- Uno studio sulle cellule della glia - componenti fondamentali del nostro tessuto nervoso che, oltre a scambiare informazioni con i neuroni, forniscono loro nutrimento e supporto - apre nuove prospettive per la terapia della **sclerosi laterale amiotrofica**. Per molti anni si è pensato che questa grave malattia neurodegenerativa riguardasse unicamente i motoneuroni, le cellule del sistema nervoso deputate alla trasmissione degli stimoli motori alle fibre muscolari. Recentemente, però, si è visto che la perdita dei motoneuroni che caratterizza la malattia risente del contesto cellulare circostante; in particolare, lo studio ha dimostrato come una classe particolare di cellule della glia - gli astrociti - possa avere un ruolo determinante nella patogenesi della SLA.

Daniela Rossi, Università degli Studi di Milano. Cell Death Differentiation, luglio 2008.

- Scoperta la proteina TMEM16a che potrebbe sostituirsi alla proteina CFTR alterata nelle persone affette da **fibrosi cistica** e deputata a regolare il passaggio degli ioni cloruro, particelle con carica elettrica negativa essenziali per il funzionamento di diversi organi umani. TMEM16a, se opportunamente stimolata con un farmaco, si è infatti dimostrata in grado di regolare il trasporto degli ioni cloruro, proprio come fa CFTR negli individui normali. La prossima sfida sarà comprenderne meglio il funzionamento, per poter eventualmente avviare lo sviluppo di nuovi farmaci.

Luis Galletta, Istituto Giannina Gaslini, Genova. Science, settembre 2008.

- Scoperto uno dei meccanismi responsabili della trasmissione dei segnali nervosi, che vede coinvolta la proteina FMRP, principale responsabile della **sindrome dell'X fragile**. FMRP, infatti, si è dimostrata in grado di funzionare come un "vigile" all'interno del complicato processo di produzione delle proteine coinvolte nelle sinapsi, i punti di contatto tra un cellula nervosa e l'altra. A conferma della scoperta, nei pazienti affetti da sindrome dell'X fragile - che sono privi quindi di FMRP - le sinapsi non si formano nel modo giusto.

Claudia Bagni, Università "Tor Vergata" di Roma. Cell, settembre 2008.



“ PRIMA NON VEDEVO NEANCHE LE LUCI, ORA RIESCO A LEGGERE FINO A CINQUE RIGHE DEL TABELLONE. È STATO OPERATO IL MIO OCCHIO DESTRO, IL PIÙ MALANDATO, MA ANCHE IL SINISTRO HA OTTENUTO BENEFICI ”

TOMMASO FERRARO*

*26 anni, di Ragusa, uno dei tre italiani affetti da grave forma di cecità ereditaria, l'amaurosi congenita di Leber, che si è sottoposto al primo intervento di terapia genica sull'uomo in un complesso lavoro di equipe internazionale

- Chiariti i dettagli del meccanismo epigenetico che vede coinvolte le proteine ISWI e PARP nell'organizzazione spaziale dei cromosomi. Il risultato rafforza l'ipotesi che queste proteine - se mutate - possano essere coinvolte nello sviluppo di patologie caratterizzate da un problema di accesso al DNA, tra cui alcuni tumori e la sindrome di Williams-Beuren. Davide Corona, Istituto Telethon Dulbecco, Università di Palermo. PLoS Biology, settembre 2008.

3 Studio di strategie terapeutiche *in vitro*

- Per la prima volta, un gruppo di ricercatori dell'Istituto San Raffaele-Telethon per la Terapia Genica (HSR-TIGET) e dell'Università Vita Salute San Raffaele ha riscritto una sequenza di DNA in cellule staminali umane, sfruttando dei virus modificati. I virus, fungendo da "veicoli", hanno veicolato una sorta di "equipe di chirurghi", che ha sostituito i pezzi di DNA difettosi direttamente nelle cellule *in vitro*. Rispetto alle tecniche precedenti di terapia genica - in cui per correggere un difetto genetico bisognava introdurre dall'esterno una copia artificiale del gene da sostituire - questo nuovo approccio permetterà di ripristinare non solo la sequenza corretta, ma anche il normale meccanismo di controllo del gene in questione.

Luigi Naldini, HSR-TIGET, Milano. Nature Biotechnology, novembre 2007.

4 Ricerca preclinica *in vivo*

- Superato uno dei limiti degli attuali "virus-navicella" usati come vettori. Prima di questo studio la terapia genica, tecnica in grado di sostituire un gene malato, era considerata possibile solo per un numero ridotto di malattie. Il limite era rappresentato dalla "capacità di carico" del vettore utilizzato per reintrodurre il gene sano nell'organismo. Questo studio dimostra invece che anche geni molto grandi possono essere impacchettati e introdotti ricorrendo a vettori di capienza maggiore rispetto a quelli finora utilizzati. La nuova tecnica è stata provata con successo su modelli animali affetti dalla **malattia di Stargardt**, la più frequente degenerazione maculare ereditaria, causata da mutazioni in un gene di grandi dimensioni. Il nuovo vettore, AAV5, ha permesso infatti di trasferire sequenze di Dna di lunghezza doppia rispetto al passato.

Alberto Auricchio, TIGEM, Napoli. Journal of Clinical Investigation, maggio 2008.

- Passo avanti verso la terapia genica della **beta-talassemia**, malattia dovuta a un difetto nel gene della beta-globina, una delle porzioni che formano l'emoglobina: nel modello animale le cellule staminali emopoietiche (cioè quelle cellule destinate a crescere e a differenziarsi in cellule del sangue), corrette con la terapia genica e trapiantate nell'organismo, dimostrano un forte vantaggio rispetto a quelle malate e riescono - seppure in minoranza - ad assicurare una normale produzione di globuli rossi. In altre parole nel modello animale di malattia basta l'attecchimento del 30-50% delle cellule trapiantate con il gene corretto per ripopolare completamente il sangue di globuli rossi funzionanti. La scoperta dà importanti indicazioni operative a tutti quegli scienziati che in diversi laboratori del mondo stanno lavorando alla messa a punto di una strategia sicura ed efficace per la terapia genica di questa gravissima forma di anemia ereditaria.

Giuliana Ferrari, HSR-TIGET, Milano. PNAS, luglio 2008.



“ IL SUCCESSO È STATO CONFEZIONARE UN VETTORE, “UNA NAVETTA BIOLOGICA” IN GRADO DI TRASPORTARE UNA SIGNIFICATIVA QUANTITÀ DI DNA ALL'INTERNO DELLE CELLULE BERSAGLIO. L'INTERVENTO CI HA REGALATO RISULTATI INCORAGGIANTI: ALLARGAMENTO DEL CAMPO VISIVO, RIDUZIONE MOVIMENTO CONTINUO DEGLI OCCHI, CAPACITÀ SVILUPPATA DI EVITARE OSTACOLI PRIMA NON VISIBILI ”

ALBERTO AURICCHIO | RICERCATORE TIGEM*

*Coordinatore della parte italiana dello studio sull'amaurosi congenita di Leber

- Per la prima volta un trapianto di cellule staminali modifica il decorso dell'**atrofia muscolare spinale** in un modello murino. La SMA è una malattia genetica che colpisce i motoneuroni (le cellule nervose che impartiscono ai muscoli il comando di movimento) ed è dovuta a un difetto del gene SMN1, essenziale per garantire la sopravvivenza di queste cellule. Dopo aver iniettato nel liquido cerebro-spinale cellule staminali neurali prelevate da altri topolini, i ricercatori hanno visto che queste erano in grado di raggiungere il midollo spinale e di trasformarsi in motoneuroni. Dopo il trapianto, la sopravvivenza dei topolini è cresciuta di circa il 40%, un dato che sembra indicare come questa sia una strada da percorrere. Prossimo passo sarà studiare il processo del differenziamento, per capire quali sono i meccanismi e le condizioni che permettono alle cellule staminali di diventare dei motoneuroni funzionanti.

Giacomo Comi, Università degli Studi di Milano. Journal of Clinical Investigation, settembre 2008.

5 Ricerca clinica terapeutica

- I risultati di uno studio a cui hanno partecipato 8 centri tra Italia, Spagna e Francia aprono nuove prospettive per il trattamento sicuro dei bambini affetti da **sindrome dell'X fragile** con ADHD, la forma più comune di ritardo mentale dopo la sindrome di Down. Lo studio multicentrico in doppio cieco (nel quale cioè né lo sperimentatore né l'ammalato sono a conoscenza di chi ha ricevuto il farmaco e di chi ha ricevuto il placebo) ha coinvolto oltre 60 piccoli, di età compresa tra i 6 e i 13 anni che presentavano in gran parte iperattività e problemi nella capacità di socializzare, oltre al ritardo mentale. Dopo un anno di somministrazione di L-acetilcarnitina (LAC), l'iperattività è diminuita in modo significativo ed è migliorato il loro comportamento adattativo, in totale assenza di effetti collaterali. I risultati suggeriscono inoltre che la L-acetilcarnitina potrebbe essere efficace anche nei bambini con ADHD senza ritardo mentale.

Giovanni Neri, Maria Giulia Torrioli, Università Cattolica-Policlinico Gemelli di Roma. American Journal of Medical Genetics, aprile 2008.

- In uno studio pilota 5 pazienti portatori di diversi difetti genetici tutti a carico del gene per il collagene VI (4 affetti da **distrofia di Ullrich** e 1 da **miopatia di Bethlem**) sono stati trattati con ciclosporina A (CsA). Da studi precedenti degli stessi ricercatori era emerso che il meccanismo alla base della malattia risiede nei mitocondri, le “centrali energetiche” delle cellule. Si tratta di un “corto circuito” provocato dall'apertura di un canale mitocondriale che in laboratorio può essere chiuso impiegando la ciclosporina A. Dopo essere riusciti a curare la malattia nel topo, i ricercatori hanno provato a capire se il farmaco potesse avere efficacia anche nell'uomo. Misurando la funzionalità dei mitocondri in biopsie muscolari effettuate sui pazienti prima e dopo il trattamento con CsA, i ricercatori hanno dimostrato che entro un mese dall'inizio della terapia si verifica un netto miglioramento, con diminuzione parallela della morte delle fibre muscolari. Lo studio rappresenta un punto di svolta, che permetterà presto di partire con un protocollo clinico su più vasta scala.

Paolo Bernardi e Paolo Bonaldo dell'Università di Padova, Luciano Merlini e Alessandra Ferlini dell'Università di Ferrara, Nadir Maraldi, Istituti Ortopedici Rizzoli, Bologna. PNAS, aprile 2008.

- Per la prima volta al mondo è stato eseguito con successo un intervento di terapia genica sull'uomo per curare l'**amaurosi congenita di Leber**, una grave malattia genetica che colpisce la retina e provoca cecità o grave danneggiamento della vista già nei primi mesi di vita. L'intervento è stato eseguito con l'iniezione nello spazio sottoretinico dell'occhio di un vettore virale, contenente la versione sana del gene alterato. Il gene corretto si è inserito stabilmente nella retina e ha prodotto la proteina mancante negli individui malati. I risultati aprono prospettive incoraggianti: in tutti i pazienti sottoposti a questa prima fase dello studio, infatti, non si sono riscontrati effetti tossici e, ad alcuni mesi di distanza, si sono già potuti osservare miglioramenti significativi della funzionalità visiva. Per esempio, nei pazienti sono migliorate la percezione del campo visivo, la risposta della retina alla luce e la capacità di eseguire alcuni test di mobilità.

Alberto Auricchio, Enrico Maria Surace e Sandro Banfi del TIGEM, Francesca Simonelli, Seconda Università di Napoli. *New England Journal of Medicine*, maggio 2008.

IL TRASFERIMENTO TECNOLOGICO DELLA RICERCA TELETHON

- ★ ★ ★ La Fondazione Telethon, al 30 giugno 2008 è titolare di **13 brevetti**, quattro 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 farmaceutica 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 scientifica 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 nel 2005 ha istituito un proprio Ufficio di trasferimento tecnologico (TTTO, Telethon Technology Transfer Office) che si avvale di un comitato tecnico internazionale di esperti in materia brevettuale, scientifica e industriale.

Si tratta di un servizio attivo per tutti i ricercatori Telethon e si occupa di tutelare 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 altre 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.

L'INFORMAZIONE SCIENTIFICA

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

RICERCAINFORMA

- ★ ★ ★ La sezione dedicata all'informazione scientifica è stata rinnovata. "Informagene" ha lasciato il posto a "RicercaInforma" ( www.telethon.it/ricercainforma). Questa nuova sezione fornisce informazioni semplici e chiare su tutti gli aspetti della ricerca Telethon: gli istituti, le modalità di finanziamento, il sistema di valutazione dei

progetti, la politica della Fondazione in tema di trasferimento tecnologico e proprietà intellettuale, il Piano Strategico della Ricerca, la Convention Scientifica che raduna tutti i ricercatori finanziati.

La novità principale sta nella presenza di un'area espressamente dedicata alle notizie dalla ricerca Telethon, che permette al pubblico interessato di tenersi aggiornato sui principali risultati ottenuti dai ricercatori finanziati dalla Fondazione nella lotta alle malattie genetiche. Per gli utenti più fidelizzati esiste anche la possibilità di ricevere periodicamente le notizie di interesse nella propria casella di posta elettronica, grazie al servizio di newsletter offerto dal sito.

Non mancano infine le schede informative sulle malattie genetiche, che appaiono in una nuova veste più agile e "multimediale": oltre a una sintetica ma completa descrizione delle diverse patologie, le schede contengono collegamenti ai progetti di ricerca finanziati da Telethon su quella malattia, nonché link a materiali audio video, ai siti delle associazioni di malattia "amiche", agli approfondimenti di Orphanet Italia, il portale europeo sulle malattie rare. Il database di "RicercaInforma" è continuamente implementato e aggiornato dalla redazione, con il supporto costante dei ricercatori Telethon.

Come tutto il resto del sito, "RicercaInforma" è riconosciuto dalla Health on the Net Foundation, il principale organismo internazionale per la qualità dell'informazione medica on line.


L'UFFICIO FILO DIRETTO CON I PAZIENTI

È l'ufficio che si relaziona con i pazienti e le associazioni di malattia e si occupa di:

- informare sulle malattie genetiche e sullo stato della ricerca scientifica;
- indirizzare ai centri di riferimento e agli specialisti;
- favorire il contatto e lo scambio tra persone che condividono situazioni simili;
- collaborare con le associazioni dei pazienti affinché la ricerca progredisca nel suo percorso verso la cura delle malattie genetiche.

L'Ufficio Filo Diretto con i Pazienti utilizza strumenti diversi per realizzare i propri obiettivi:


- il sito RicercaInforma, che contiene notizie chiare e aggiornate sulla ricerca scientifica e sulle malattie genetiche;
- l'Infoline, ovvero un servizio informativo che fornisce risposte alle numerose richieste di informazione che ogni giorno pervengono a Telethon per telefono, e-mail, fax o lettera;
- la Bacheca on line, un vero e proprio blog messo a disposizione dei pazienti e dei loro familiari per favorire l'incontro, lo scambio di informazioni e lo sviluppo di una catena sociale per le malattie genetiche.

★ ★ ★ L'Ufficio Filo Diretto con i Pazienti ha realizzato nell'anno 2008 un sito internet ( www.telethon.it/sites/filodiretto) che contiene tutte le informazioni relative al funzionamento dell'Infoline e al progetto "Amiche Associazioni".

INFOLINE

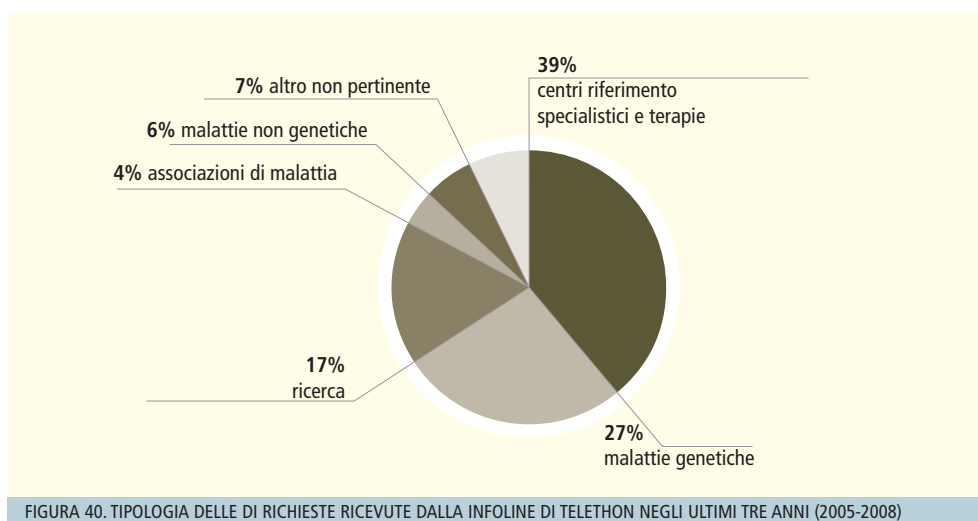
Infoline è il servizio informativo messo a disposizione di tutti coloro che necessitano di informazioni sulle malattie genetiche e risponde alle richieste che giungono a Telethon, fornendo i riferimenti utili per la diagnosi e per la presa in carico dei pazienti, e le ultime notizie riguardanti gli studi in corso sulle patologie genetiche. Il servizio si avvale della consulenza medica e scientifica di due medici specialisti in Genetica Medica presso la Fondazione Ospedale Maggiore Policlinico, Mangiagalli e Regina Elena (Milano), Servizio di Genetica Medica. I dati delle persone e la tipologia delle richieste inoltrate vengono inseriti in un database gestito in ottemperanza alle vigenti leggi sulla privacy⁷.

Per contattare l'Infoline è possibile:

- compilare un modulo disponibile online sul sito Filo Diretto con i Pazienti
 www.telethon.it/sites/filodiretto/Pagine/Infoline
- telefonare al 06440151
- inviare un fax al 02 20240688
- inviare una email a info@telethon.it
- scrivere a Comitato Telethon Fondazione ONLUS, Via Nino Bixio, 30 - 20100 Milano

★ ★ ★ Da Luglio 2007 a Giugno 2008, sono state erogate circa **650 risposte** attraverso il servizio Infoline.

Una recente analisi dell'Ufficio Filo Diretto con i Pazienti, effettuata su un campione di 1.300 richieste pervenute negli ultimi tre anni per email o attraverso il modulo on line, ha evidenziato che la maggior parte delle domande riguarda i centri di riferimento specialistici per le diverse malattie, seguite dalle richieste di informazioni sulle malattie specifiche e sullo stato della ricerca. La percentuale di richieste non pertinenti o legate a patologie lontane dalla missione di Telethon è molto bassa e decresce progressivamente nel tempo, rivelando che il servizio di Infoline si è caratterizzato nel contesto nazionale come un punto di riferimento per l'informazione sulle malattie genetiche e sulla ricerca in questo ambito.



⁷ Nel mese di marzo 2008 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)

GENTILE TELETHON VI RINGRAZIO DELLA VOSTRA RISPOSTA, QUESTO MI FA CAPIRE ANCORA MEGLIO QUANTO IL VOSTRO LAVORO SIA IMPORTANTE, ANCHE SE GIÀ LO SAPEVO VISTO CHE STUDIO BIOLOGIA MOLECOLARE UMANA (FAMILIARE DI UN MALATO AFFETTO DA SINDROME DI STARGARDT)

LA BACHECA DELLE ASSOCIAZIONI

La Bachecca è un punto di incontro virtuale per i pazienti affetti da malattie genetiche, ideato per favorire l'incontro e il confronto tra persone che vivono problemi analoghi e per promuovere una maggiore diffusione di informazioni sulle malattie genetiche.

Con la costituzione dell'Ufficio Filo Diretto con i Pazienti, all'inizio dell'anno 2005, è stato dato avvio ad un progetto di comunicazione rivolto ai pazienti affetti da malattie genetiche e alle associazioni che li rappresentano, che ha nella Bachecca uno dei suoi cardini.

Nell'ultimo anno, la Bachecca si è trasformata da pagina statica, nella quale i messaggi venivano pubblicati e commentati solo con il tramite degli amministratori, a blog. Ed è quindi divenuta più dinamica poiché nel nuovo formato permette una maggiore e più libera interazione tra gli utenti.

★★★ In tre anni, grazie a questo strumento, Telethon ha favorito e guidato la nascita di sette diverse associazioni di malattia. Tra queste, l'Associazione ALBINT, che si occupa di albinismo, è l'ultima nata (maggio 2008).

- Associazione Italiana Sindrome di Stargardt (AISSt);
- Associazione "Il Cigno" ONLUS per le craniostenosi;
- 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);
- Associazione Italiana per l'Albinismo (ALBINIT)

MALATI E LORO FAMILIARI, OSPITI DELLA FONDAZIONE TELETHON, PER COSTITUIRE UNA NUOVA ASSOCIAZIONE DI MALATTIA



LA RICERCA TECNOLOGICA

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 10 persone, come indicato nella Figura seguente.

Dipendenti	6
Collaboratori	2
Professionisti	1
Borsista	1
Totale personale	10
Uomini	8
Donne	2
Ricercatori	5
Tecnici	3
Personale amministrativo	2

FIGURA 41. IL PERSONALE DEL TECNOTHON SUDDIVISO PER FUNZIONI

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

★★★ Nel periodo 2007-2008, per le attività del Tecnothon, Telethon ha sostenuto costi per **527.423 Euro**.



“ L'ACCESSIBILITÀ NON PUÒ RIDURSI ALL'ADATTAMENTO DEGLI OGGETTI O DELL'AMBIENTE, ALL'ABBATTIMENTO DELLE BARRIERE: È NECESSARIO ROVESCiare LA CULTURA, PARTIRE DALLA PROGETTAZIONE, "RI-PENSANDO" ALLE NECESSITÀ DI TUTTI E NON DI POCHI ”

FRANCESCO MIOTTO | PRESIDENTE COMMISSIONE TECNICA DI TECNOTHON

I PRINCIPALI RISULTATI DEL TECNOTHON (2007-2008)

POLTRONA

Obiettivo: permettere una postura più confortevole a chi trascorre parecchio tempo in poltrona, favorendone il riposo.

Risultati raggiunti: realizzazione di alcuni prototipi. Prove. Deposito di un brevetto per invenzione industriale.

SOLLEVATORE

Obiettivo: consentire il trasferimento di una persona dal letto alla carrozzina o dalla carrozzina alla poltrona mediante un ausilio compatto e leggero.

Risultati raggiunti: realizzazione di alcuni prototipi. Prove. Analisi strutturali.

COMANDO VOCALE

Obiettivo: comandare un carico elettrico esterno sfruttando onde acustiche.

Risultati raggiunti: realizzazione di un prototipo su PC che comanda il letto Nontikiamo. Prove.

ABBIGLIAMENTO

Obiettivo: facilitare il trasferimento dalla carrozzina ad un'altra seduta e viceversa in ambienti particolarmente angusti.

Risultati raggiunti: realizzazione di prototipi di capi di abbigliamento speciali dotati di accortezze che facilitino lo spostamento.

ALCUNI AUSILI PROGETTATI DA
TECNOTHON. PER MAGGIORI
INFORMAZIONI:
WWW.TELETHON.IT/SITES/TECNOTHON





4. LE ATTIVITÀ DI SUPPORTO

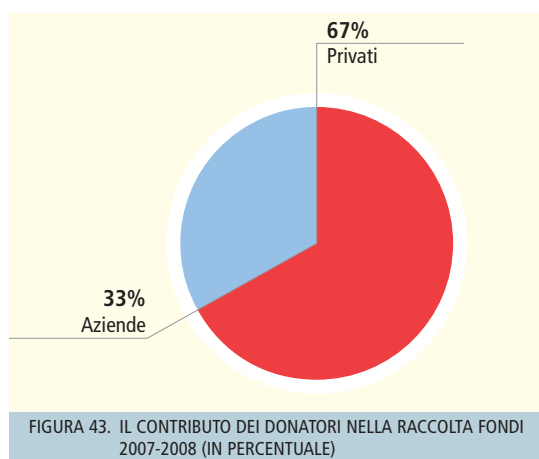
BILANCIO DI MISSIONE AL 30 GIUGNO 2008

- 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 ammontano a **33.691.513 Euro** (con un incremento dell'1,87% rispetto all'anno precedente).
 Per ciascun Euro raccolto nel 2007-2008, Telethon ha speso 17 centesimi (📄 p. 91).
 La maggior parte della raccolta è stata realizzata attraverso la consueta maratona televisiva di dicembre ma una quota del totale - pari al 4% - è da imputare all'istituto del 5 per mille per l'anno 2006 (si veda box di approfondimento).



IL 5 PER MILLE 2006

La Legge Finanziaria del 2005 ha previsto, per la prima volta, la possibilità per i contribuenti di destinare, senza alcun costo, una quota pari al 5 per mille delle imposte relative all'anno fiscale 2005 al finanziamento dei soggetti del terzo settore. Nel 2006 oltre 30.000 persone hanno scelto di dare il proprio sostegno alla ricerca sulle malattie genetiche, destinando a Telethon complessivamente 1.378.165 Euro, come risulta dalla tabella seguente.

Enti	Numero di scelte	Importo scelte espresse	Importo proporzionale scelte generiche	Importo totale
Fondazione Telethon (tra gli enti di ricerca scientifica)	29.372	774.963,81	567.940,46	1.342.904,27
Comitato Telethon Fondazione ONLUS (tra gli enti del volontariato)	1.079	32.983,67	2.277,27	35.260,94
Totale	30.451	807.947,48	570.217,73	1.378.165,21

I PARTNER DELLA RACCOLTA FONDI

CHE GLI ITALIANI PARTECIPINO ALLA LOTTA CONTRO LE MALATTIE GENETICHE

I quasi 34 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, 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. 79).



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. 48). La raccolta della UILDM nel 2007 è stata di **1.020.285 Euro**.



AVIS (Associazione Volontari Italiani del Sangue) è con Telethon dal 2001. L'Avis, con oltre un milione di soci, è l'associazione di donatori di sangue più numerosa in Italia e in Europa. 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 organizzati da Avis su tutto il territorio nazionale sono stati preziosi nella sfida a favore della ricerca scientifica di Telethon e hanno testimoniato la cultura del dono, della partecipazione e della responsabilità sociale dei volontari "avisini" che, con la loro partecipazione a Telethon sostengono 4 progetti di ricerca sulle malattie genetiche del sangue. Nel 2007 la raccolta dell'AVIS è stata di **359.525 Euro**.

Pubbliche amministrazioni

Amministrazione autonoma dei monopoli di Stato (AAMS) è l'organismo regolatore del gioco pubblico in Italia. Per il quarto anno consecutivo Aams ha scelto di impegnarsi a favore della ricerca scientifica sulle malattie genetiche con la promozione de "Il gioco fa rotta sulla ricerca", il consolidato progetto di raccolta fondi che ha visto il coinvolgimento di tutti i suoi principali provider di giochi che hanno rinnovato il proprio impegno a fianco di Telethon effettuando una raccolta complessiva di **574.215 Euro**.

Enti Locali. Tra Comuni, Province e Regioni sono state circa 450 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 2007-2008, spiccano ancora la Regione Sicilia e le Amministrazioni della Campania.

Ministero della Pubblica Istruzione. Per il quinto anno consecutivo Telethon ha portato la ricerca scientifica nelle scuole attraverso il Progetto "Telethon Young - Missione Possibile", 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 un dvd) e del materiale per la raccolta fondi. 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 2007-2008 sono state raccolte oltre 2.250 adesioni per più di 4.000 classi coinvolte.



PARTNER AZIENDALI

Partner di raccolta

BNL Gruppo BNP-Paribas è il partner principale della raccolta fondi di Telethon. La collaborazione è nata nel 1992 ma negli anni la Banca ha perfezionato il suo modello di partnership attraverso una partecipazione sempre più attiva dei suoi dipendenti. Nel 2007 BNL ha ufficializzato il ruolo dei "volontari per Telethon": 150 persone impegnate tutto l'anno, 16.000 dipendenti a dicembre, 2.000 eventi di raccolta organizzati e 650 agenzie aperte eccezionalmente, durante la maratona, oltre il normale orario di lavoro. Grazie a questo impegno costante e appassionato BNL è riuscita a sensibilizzare 100.000 donatori, (dei quali il 20% imprese ed enti pubblici), contribuendo con **13.293.909 Euro** in modo determinante alla raccolta fondi complessiva.

Allianz S.p.A ha coinvolto tutte le società del Gruppo nella gara per la lotta contro le malattie genetiche di Telethon. Dal 19 novembre al 31 dicembre 2007 le agenzie Allianz LloydAdriatico, Allianz Ras e Allianz Subalpina presenti sul territorio italiano hanno promosso la raccolta fondi sollecitando la solidarietà dei loro clienti. La raccolta complessiva è stata di **168.117 Euro**.

GlaxoSmithKline 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 molti paesi diversi, coprendo i costi di questo importante evento di ricerca (oltre 213.084 Euro). In occasione della maratona 2007, inoltre, GlaxoSmithKline ha messo a disposizione di Telethon la sua squadra di informatori scientifici che ha svolto presso 21.000 studi medici un'importante attività di sensibilizzazione e di raccolta su tutto il territorio nazionale per un valore di circa 67.399 Euro. Il contributo di GlaxoSmithKline alla ricerca di Telethon nel 2007 è stato dunque pari a **280.483 Euro**.

Gruppo Ferrovie dello Stato è un partner storico, al fianco di Telethon dal 1991. Nel 2007 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), il Dopolavoro Ferroviario Nazionale con le sue sedi territoriali e 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. La raccolta del Gruppo Ferrovie dello Stato nel 2007 è stata di **513.417 Euro**.



OVS Industry, leader nel mercato italiano dell'abbigliamento, è oggi il punto di riferimento dell'abbigliamento fast fashion. Dal 5 novembre al 31 dicembre 2007 ha sostenuto Telethon nei suoi 300 negozi d'abbigliamento presenti su tutto il territorio nazionale. Grazie all'opera di sensibilizzazione e promozione della raccolta operata dai suoi dipendenti, Oviessa ha potuto contribuire a finanziare la ricerca biomedica sulle malattie genetiche con una raccolta di **590.785 Euro**.

SMA e Auchan, sono rispettivamente da sei e cinque 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 1.600 punti vendita Sma, Cityper, Punto Sma, Simply, Ipersimply, i 45 ipermercati Auchan e dal 2007 anche i 3.215 punti vendita CRAI. Ogni contributo alla ricerca scientifica che SMA e Auchan ricevono viene documentato sugli scontrini fiscali emessi al momento del pagamento. La raccolta di Sma e Auchan è stata rispettivamente di **1.196.991** e di **1.068.025 Euro**.

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 13.817. A questo impegno si è aggiunto quello diretto dell'azienda con una donazione a Telethon di 50.000 Euro.

Gruppo Telecom Italia, nel 2007 ha ricevuto, al numero unico 48548, 563.449 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.

Per la prima volta, anche i clienti **Fastweb**, **Infostrada** e **Tiscali** hanno potuto contribuire attivamente alla raccolta fondi chiamando il 48548 da rete fissa.

Grazie a **TIM**, **Vodafone**, **Wind** e **3** è stato inoltre possibile ricevere **1.829.352 sms** del valore di 2 Euro (esenti da Iva e quindi interamente devoluti alla ricerca).



LA RETE DEI VOLONTARI TELETHON: I COORDINAMENTI 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 che rappresentasse il Comitato Telethon Fondazione ONLUS sul territorio. Il progetto del volontariato Telethon si sviluppa su base provinciale attraverso l'istituzione dei Coordinamenti Provinciali e la nomina del Coordinatore Provinciale Telethon. I Coordinamenti Provinciali sono gruppi organizzati di volontari che diventano un punto di riferimento organizzativo per lo sviluppo della raccolta fondi territoriale. Attraverso il progetto sul volontariato, 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 della conoscenza delle sue attività scientifiche e dei risultati realizzati dai ricercatori finanziati.

Al 30 giugno 2008 i coordinatori presenti sul territorio sono saliti a 33 (rispetto ai 24 dell'anno precedente) per una copertura di 35 province. Nei mesi successivi la rete si è ulteriormente estesa, portando a più di 50 le province in cui è attivo un coordinamento provinciale Telethon.

La campagna di arruolamento, infatti, continua tutto l'anno.

Informazioni aggiornate sono disponibili all'indirizzo: www.telethon.it/chisiamo/coordinamenti_provinciali

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.

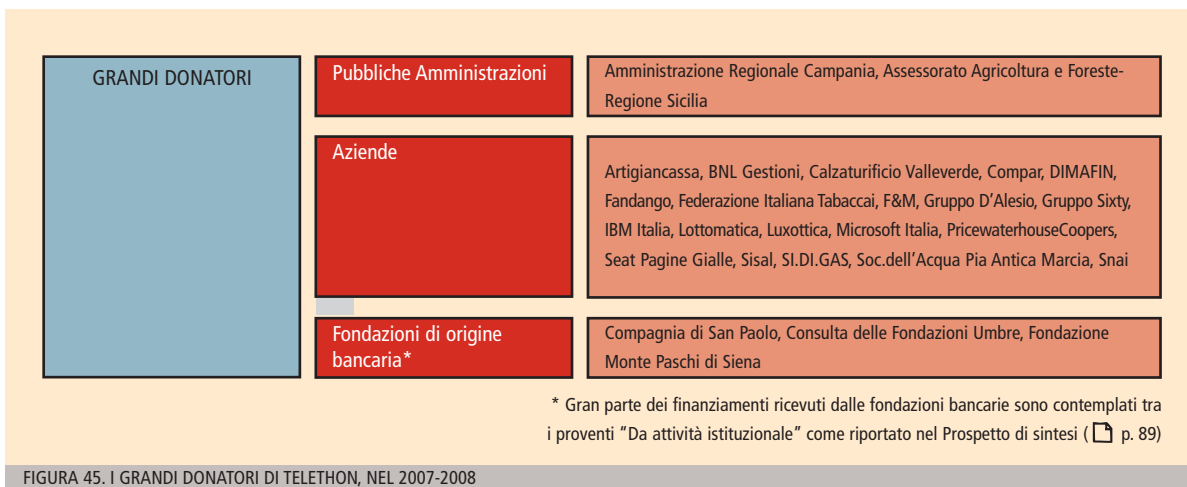


FIGURA 45. I GRANDI DONATORI DI TELETHON, NEL 2007-2008

COORDINATORI PROVINCIALI DI TELETHON E VOLONTARI, IN UNA FOTO DI GRUPPO



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 2007-2008 hanno sostenuto la ricerca di Telethon con una donazione pari o superiore a **10.000 Euro**.

UNA CITAZIONE SPECIALE PER...

ACC	Comitato Organizzatore Mondiali di Nuoto - Roma 2009	Ideamorphosy
Agmin Italy	Comitato Pro Fondazione V. Viti	Impresa Ing. Tognozzi
Airone	Comitato Solidarietà Castelvetro	Intralot
Amministrazione Comunale di Samarate	Conbipel	La Nuova Adelchi
Amministrazione Provinciale di Avellino	Coni Servizi	Ladbrokes
Amministrazione Provinciale di Caserta	Conicos	Marchesi Antinori
Amministrazione Provinciale di Napoli	Consorzio Enti Locali della Valle d'Aosta	Marcia della Solidarietà AILU
Amministrazione Provinciale di Verona	Corsa della Solidarietà FIDAL Latina	Marenghi Monica
Arval Service Lease Italia	Corsini Giuseppe	Mercedes-Benz Italia
ASD Polisportiva Borgonuovo Collegno	Esperia	Meridiana
ASI - Automotoclub Storico Italiano	Eurobet	Moi Caterina
Astaldi	F&M	Officina delle Idee per Telethon
Atlantis World	Federazione Italiana Pesca Sportiva e Attività Subacquee	Opere Pubbliche
Banco di Credito Cooperativo di Roma	Federazione Italiana Scherma	Parsitalia
Basilichi	Ferriera Valsider	Plusvalore
BT	Fidi Toscana	Pmg
Btp	Filmauro	Polizia di Stato
BWIN Italia	Gemmo	Pro Loco Lama dei Peligni
Cal.Me.	Geovillage	Risanamento
Caronte & Tourist	Giuffrè Editore	SEA Aeroporti di Milano
Casa di Cura Tortorella	Globet	Seli
Cattleya	Gruppo Bonificaci	Sia Ssb
Cemat	Gruppo Cesaro - Sport e Benessere	Sindacato Ristoratori Bologna
Ceramiche Appia Nuova	Gruppo Kerself	Tamoil
Cherubini Menchetti Maria Giulia	Gruppo Paganini	Valdadige Costruzioni
Ciaccia Costruzioni	Gruppo Sorain Cecchini	Villa San Carlo Borromeo
Co.Ba.R. Regione Carabinieri Toscana	I militari del Contingente Italiano in Libano	Yves Rocher
Cogesfin	Ibm	Zoratti Nello
Cogetetch		
Comitato Organizzatore Ciclo Tandem 2007		

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

Il Comitato Telethon Fondazione ONLUS affida alla RAI la direzione della maratona televisiva, che va in onda ogni anno nella prima metà di dicembre⁸. La collaborazione della Rai è fondamentale: oltre a coprodurre l'evento, coinvolge nella maratona molte trasmissioni televisive del palinsesto RAI (14 nel 2007 contro le 10 dell'anno precedente) e moltissimi personaggi noti e amati dal pubblico, i quali prestano gratuitamente la loro immagine per la causa di Telethon⁹.

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.

★★★ Nell'edizione 2007, la Maratona Telethon ha trattato 20 diverse patologie attraverso le testimonianze in studio di 22 ricercatori tra quelli finanziati da Telethon e di 22 famiglie nelle quali si convive con una malattia genetica. In 11 casi, alla testimonianza in diretta tv, si è affiancata la messa in onda di un cortometraggio dedicato.

"CORTOMETRAGGI TELETHON": GIOVANI REGISTI PER STORIE SPECIALI



Il progetto cortometraggi Telethon è nato nel 2004 come risposta all'esigenza di rappresentare la malattia non solo con la presenza in studio del malato, ma grazie a uno strumento più artistico e autorale in grado di far entrare il telespettatore in una realtà intensa ma difficile.

Per il quarto anno consecutivo sono state individuate 11 storie che, affidate a giovani registi, sono diventati soggetti cinematografici.

I corti raccontano in 240 secondi la vita dei malati e delle loro famiglie, che si mostrano senza riserve alle prese con le piccole e grandi difficoltà di ogni giorno. Il primo mini-film "Mi chiamo Tommaso" ha vinto nel 2005 il premio "L'anello debole" promosso dalla comunità di Capodarco.

Particolarmente degna di nota è anche la collaborazione con Rai Cinema che dal 2005 al 30 giugno 2008 ha prodotto per Telethon tre cortometraggi, tutti filmati da Filippo Soldi e destinati anche alla sale cinematografiche.

Il primo è stato "Storia di Mario" con Mario Melazzini, Ron e Ricky Memphis. Poi "Solo cinque minuti" interpretato da Valeria Golino e Franco Bonprezzi, finalista ai David di Donatello e vincitore del Premio Nice 2007. Nel corso del 2007-2008 è stato, infine, prodotto "Esserci", un ritratto di Ileana Argentini, con la partecipazione di Raz Degan.

Consapevole di svolgere una funzione sociale molto importante anche nei confronti delle stesse famiglie coinvolte nella maratona, Telethon ha sottoposto loro un breve questionario di valutazione.

⁸ 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

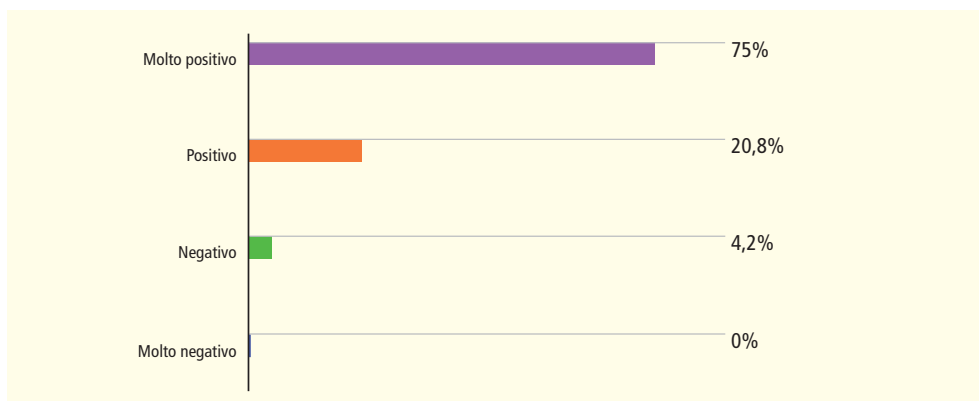
⁹ Per quanto riguarda gli oneri riferibili all'opera di sensibilizzazione relativi alla trasmissione televisiva, il Comitato ha dovuto affrontare spese connesse agli aspetti tecnici della produzione televisiva dello spettacolo (774.685 Euro rimborsati direttamente alla Rai per i soli costi tecnici vivi; non vengono infatti corrisposti cachet artistici) e all'organizzazione degli eventi in piazza ripresi in diretta televisiva (622.366 Euro)



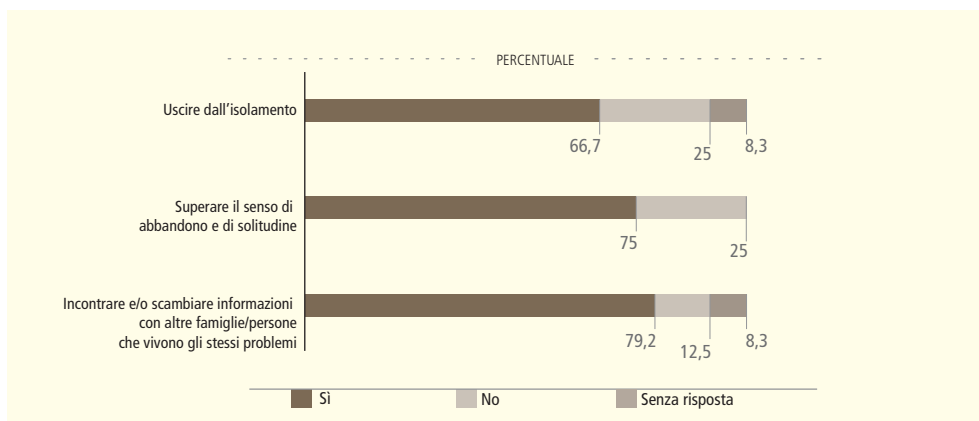
“ IO SOGNO CHE TANTE DONNE, VEDENDOMI IN TV, ABBIANO CAPITO CHE SI PUÒ SORRIDERE, NONOSTANTE LA MALATTIA ”

MARINA GARCEA | OSPITE DELLA MARATONA 2007, HA RACCONTATO LA SUA ESPERIENZA DI PERSONA AFFETTA DA CHARCOT MARIE-TOOTH

Il questionario anonimo è stato inviato a 33 famiglie tra quelle che hanno partecipato alle ultime due edizioni della maratona televisiva. Ha risposto il 73% del totale, pari a 24 famiglie. Il giudizio complessivo sulla partecipazione in maratona è stato:



La testimonianza in maratona ha aiutato queste famiglie a:



ALCUNI MOMENTI DELLA MARATONA 2007

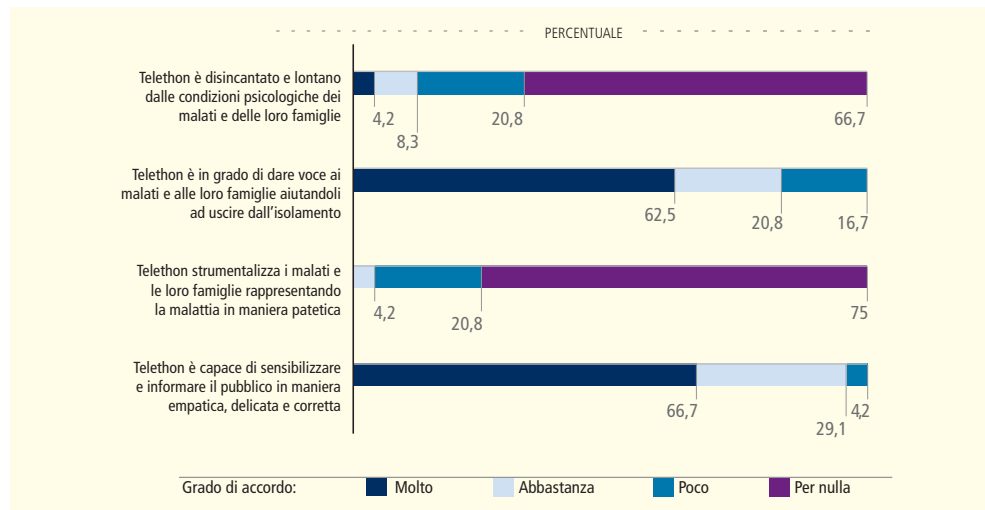




“ CI SONO TANTI RICERCATORI CHE DEVONO DARE SENSO AD ANNI DI RICERCA E CI SONO TANTE FAMIGLIE CHE NON VEDONO L'ORA DI RISOLVERE I LORO PROBLEMI; IO NON POSSO CHE ESSERE ORGOGLIOSO NEI GIORNI DELLA MARATONA DI ESSERE A LORO SERVIZIO ”

FABRIZIO FRIZZI | CONDUTTORE TELEVISIVO INSIEME A MILLY CARLUCCI DELLA MARATONA TELETHON

A queste famiglie è stato poi chiesto, come parte direttamente in causa, di esprimere il loro grado di accordo con alcune affermazioni relative al modo in cui Telethon rappresenta in tv la storia dei malati e delle loro famiglie:



RADIORAI


Radio Rai anche nel 2007 è stata a fianco di Telethon, con una maratona radiofonica parallela a quella televisiva. Come l'anno precedente, 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 2007 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.

GLI ALTRI STRUMENTI DI COMUNICAZIONE

Il quadro delle attività di comunicazione di Telethon 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 57.535 "visite" al mese con un picco massimo di 111.885 visite nel mese di dicembre e uno minimo di 30.675 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 2007-2008 la raccolta complessiva è stata di **115.358 Euro**, di cui 63.048 donati nei giorni della maratona 2007.

L'UFFICIO STAMPA

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

- ★★★ Nel periodo 1 luglio 2007-30 giugno 2008, ha realizzato 27 comunicati (di cui il 70% scientifici-istituzionali) e 6 conferenze stampa.

TELETHON NOTIZIE

È la rivista trimestrale di informazione scientifica che nel corso del 2007-2008 ha raggiunto circa 500.000 famiglie di donatori. 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 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 2003-2008 ha registrato oltre 6.710 adesioni di scuole (2.260 solo nel 2007-2008)

EVENTI DI MISSIONE

Nel mese di giugno 2008, Telethon ha organizzato 2 eventi di comunicazione istituzionale dedicati ai propri *stakeholder* con l'obiettivo di divulgare la propria missione e aumentare la conoscenza delle attività e dei risultati di Telethon.

★★★ Il 4 giugno 2008, presso la sede de "Il Sole 24 Ore" e con la collaborazione di Farindustria è stato presentato il volume Telethon "Le malattie genetiche: dalla ricerca alla cura" pensato per dare conto dell'importante lavoro di ricerca che la generosità dei donatori consente di fare e per testimoniare lo sforzo di Telethon di andare sempre più verso la terapia, attraverso il percorso dal laboratorio di ricerca al letto del paziente. Un volume che spiega, con il linguaggio della scienza ma anche con attenzione alla divulgazione, che cosa si intende per malattia genetica, fornendo una panoramica sulla vastità e le cifre del problema e quali sono le principali prospettive di cura e quale il ruolo del non profit nella ricerca scientifica e nell'innovazione.

★★★ Il 7 giugno 2008 la Fondazione Telethon ha poi aperto i suoi laboratori al pubblico, in contemporanea in otto città (Roma, Milano, Napoli, Torino, Bari, Chieti, Padova e Pisa). L'evento "Vicini alla ricerca" è stato l'occasione per far toccare con mano l'impiego delle donazioni e far comprendere i fondamenti della genetica, per mostrare come lavorano gli scienziati e per aggiornare i malati e tutte le persone interessate sullo stato dell'arte della ricerca su alcune malattie genetiche. In ciascun laboratorio, i ricercatori finanziati da Telethon hanno fatto il punto sulla ricerca che la Fondazione conduce su specifiche patologie. Si è parlato di distrofia muscolare di Duchenne e Becker (Bari), sindrome di Lowe (Chieti), sclerosi laterale amiotrofica (Milano), amaurosi congenita di Leber (Napoli), miopia di Bethlem e distrofia di Ullrich (Padova), sindrome di Rett (Pisa), autismo (Roma), emocromatosi (Torino).

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 statutari.

★ ★ ★ Le persone che lavorano in Telethon sono 434, di cui 318 - pari al 73,3% del totale - compongono il personale degli istituti (Figura 46).

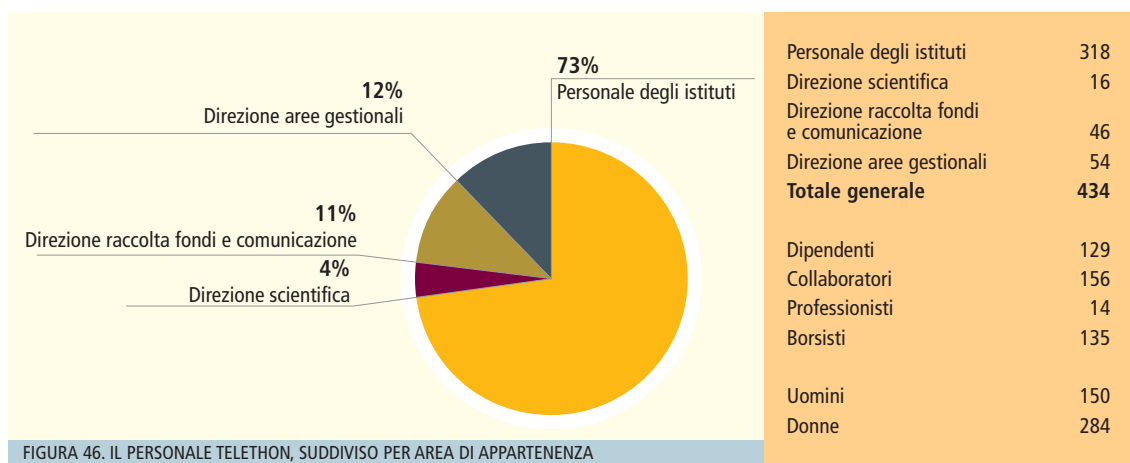


FIGURA 46. IL PERSONALE TELETHON, SUDDIVISO PER AREA DI APPARTENENZA

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

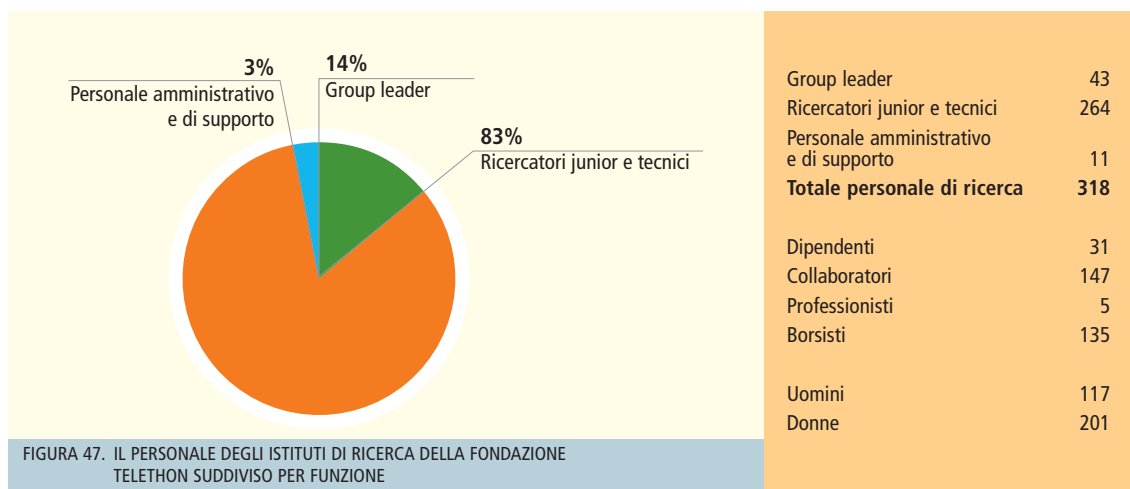


FIGURA 47. IL PERSONALE DEGLI ISTITUTI DI RICERCA DELLA FONDAZIONE TELETHON SUDDIVISO PER FUNZIONE

Senza considerare il personale direttamente impegnato negli istituti di ricerca interna, le risorse umane impegnate nei due enti Telethon sono 116 con le caratteristiche evidenziate nella figura seguente.

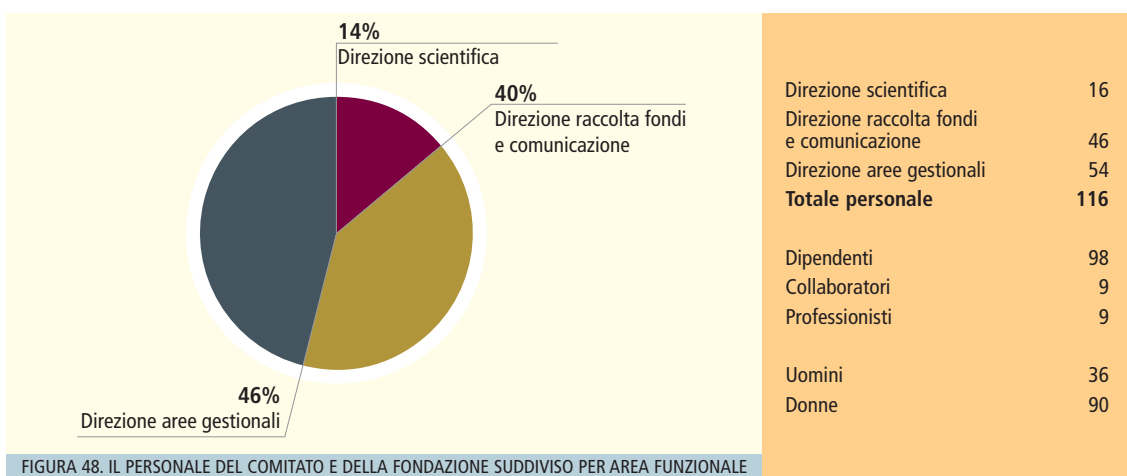


FIGURA 48. IL PERSONALE DEL COMITATO E DELLA FONDAZIONE SUDDIVISO PER AREA FUNZIONALE

INDAGINE DI SODDISFAZIONE DEL PERSONALE

★★★ Tra la fine di settembre e l'inizio di ottobre 2007, Telethon ha voluto verificare la soddisfazione del proprio personale e gli eventuali miglioramenti da apportare all'organizzazione e a tal scopo ha affidato a una società specializzata, un'analisi di gradimento dei dipendenti e collaboratori che lavorano nei due enti Telethon.

Le interviste sono state realizzate con sistema CAWI (Computer Aided Web Interviewing) attraverso l'invio di e-mail contenenti un link per l'accesso al questionario su web. Ha risposto il 66% del campione intervistato pari a 77 persone su 116.

La società di ricerca per assodare la soddisfazione ha utilizzato una scala di valutazione da 1 a 10 (1 = per niente soddisfatto, 10 = molto soddisfatto).

L'indagine ha valutato la soddisfazione sui diversi aspetti della condizione lavorativa. La figura seguente riassume gli items indagati e per ciascuno la distribuzione % per classi di valutazioni (legenda) e il valore medio.

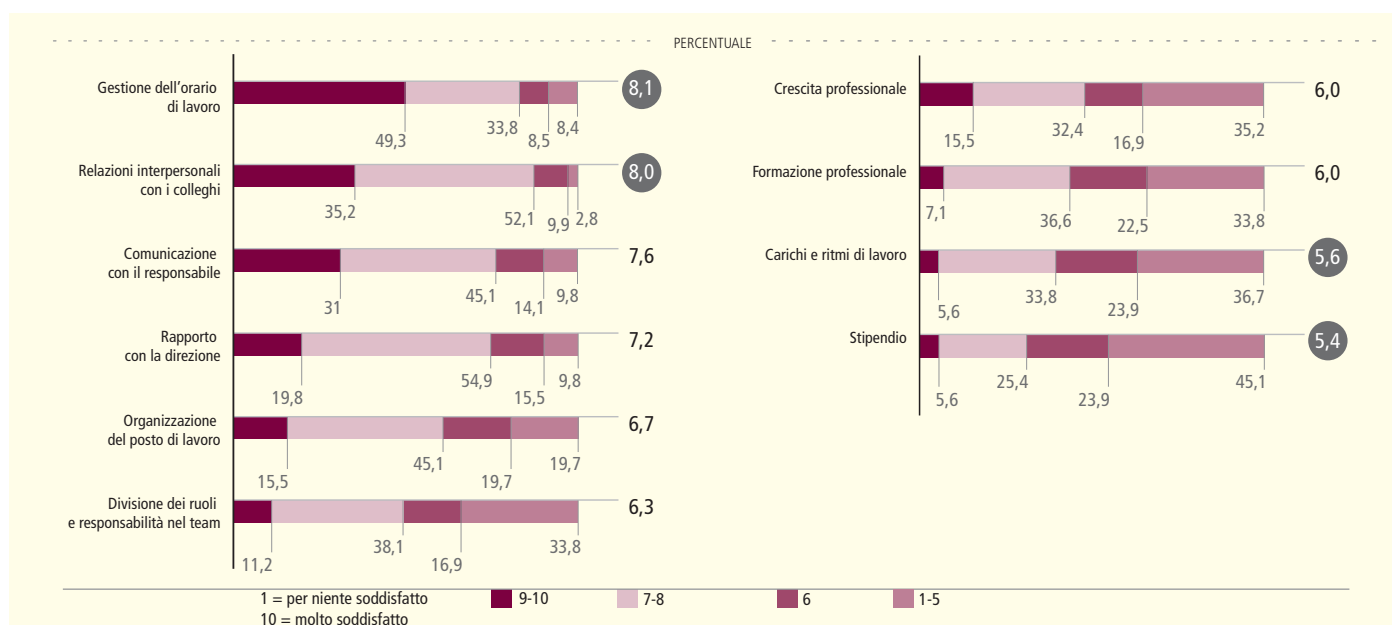


FIGURA 49. LE VALUTAZIONI DEI DIPENDENTI TELETHON SUI DIVERSI ASPETTI DELLA CONDIZIONE LAVORATIVA

Gli aspetti meno soddisfacenti della condizione lavorativa si riferiscono a una non adeguata attenzione dell'organizzazione verso i temi della professionalità del personale. I risultati dell'indagine sono stati condivisi con tutto il personale nel mese di dicembre 2007. Nell'occasione sono stati comunicati anche i passi successivi relativi all'indagine. Per l'anno 2008-2009, Telethon ha infatti deciso di:

- realizzare focus interni di ascolto per approfondire alcuni temi e avere indicazioni più chiare e precise in particolare su sviluppo professionale, politiche retributive, equità interna e legame con la missione;
- elaborare un programma di formazione sia sulle competenze tecnico-specialistiche di ciascuno, sia sulla conoscenza generale di Telethon.

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 un advisor finanziario indipendente.

Per informazioni relative alla gestione delle risorse finanziarie si suggerisce di prendere visione degli allegati "Titoli al 30 giugno 2008" ai Bilanci contabili del Comitato e della Fondazione (disponibili sul sito www.telethon.it/chiamo/bilanci).

Di seguito si propone una sintesi dei risultati degli investimenti obbligazionari (GPM), che rappresentano la parte principale degli investimenti in essere, tratti dalle rendicontazioni del gestore principale, sia per il Comitato (Figura 50) che per la Fondazione (Figura 51).

	PATRIMONIO FINALE (MIGLIAIA DI EURO)	RENDIMENTO LORDO (%)	BENCHMARK (%)
Luglio-settembre 2007	14.210	1.36	2.05
Ottobre-dicembre 2007	5.330	1.75	1.32
Gennaio-marzo 2008	7.789	1.34	2.24
Aprile-giugno 2008	7.842	-0.42	-1.88

FIGURA 50. I RISULTATI DEGLI INVESTIMENTI OBBLIGAZIONARI DEI FONDI GESTITI DAL COMITATO TELETHON FONDAZIONE ONLUS

	PATRIMONIO FINALE (MIGLIAIA DI EURO)	RENDIMENTO LORDO (%)	BENCHMARK (%)
Luglio-settembre 2007	21.802	1.40	2.05
Ottobre-dicembre 2007	20.286	1.16	1.32
Gennaio-marzo 2008	29.199	1.32	2.24
Aprile-giugno 2008	23.741	-0.35	-1.88

FIGURA 51. 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.

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.

RENDICONTO DELLA GESTIONE AL 30 GIUGNO 2008

Prospetto di sintesi (Euro)			
	BILANCIO COMITATO (A)	BILANCIO FONDAZIONE (B)	AGGREGATO 2008 (A+B)
PROVENTI			
Da attività istituzionali (contributi da enti esterni vincolati per istituti di ricerca Telethon)	262.634	7.521.908	7.784.542
Da attività promozionale e raccolta fondi	28.308.808	5.382.705	33.691.513
Da attività finanziaria	582.531	1.008.562	1.591.093
Da attività straordinaria e rettifiche a delibera	1.009.619	761.179	1.770.798
Volume complessivo proventi (1)	30.163.592	14.674.354	44.837.946
ONERI			
Da attività istituzionali	(24.370.192)	(9.131.198)	(33.501.390)
Da raccolta fondi e comunicazione	(4.866.051)	(922.878)	(5.788.929)
Da attività finanziaria e straordinaria	(229.492)	(497.848)	(727.340)
Da attività di supporto generale	(1.143.300)	(2.230.330)	(3.373.630)
Volume complessivo oneri (2)	(30.609.035)	(12.782.254)	(43.391.289)
Risultato gestionale (1+2)	(445.443)	1.892.100	1.446.657
Fondi disponibili iniziali	2.690.445	1.770.697	4.731.412
Fondi disponibili finali	2.515.002	3.663.067	6.178.069



“ OGNI ANNO CENTINAIA DI MIGLIAIA DI CITTADINI DONANO A TELETHON E SI ASPETTANO DA NOI UNA GESTIONE EFFICIENTE E TRASPARENTE DELLE RISORSE CHE CI METTONO A DISPOSIZIONE. ABBIAMO IL DOVERE DI FAR VEDERE LORO, IN OGNI MOMENTO, COME QUEI SOLDI VENGONO IMPIEGATI ”

ANGELO MARAMAI | CONDIRETTORE GENERALE DI TELETHON

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

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

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 52. I PRINCIPALI INDICI UTILIZZATI DA TELETHON NEL CONTROLLO DI GESTIONE

★ ★ ★ Questi indici sono stati adottati anche da Airc, Aism, Cesvi, Comitato Italiano Unicef, Lega del Filo d'Oro, Save the Children e WWF Italia e sono pubblicati sui rispetti Bilanci di missione a partire dall'edizione 2008.

L'adozione di indici di efficienza comuni e confrontabili consente di aumentare la trasparenza di queste organizzazioni permettendo a un interlocutore terzo di fare un'analisi comparata valida anche per diversi ambiti di attività (ricerca, assistenza, ambiente, cooperazione).

L'auspicio è che gli stessi criteri di efficienza vengano adottati anche da molte altre organizzazioni senza scopo di lucro, in modo da aumentare la trasparenza generale del settore non profit.

L'EFFICIENZA DELLA RACCOLTA FONDI

L'efficienza della raccolta fondi evidenzia in forma sintetica 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.

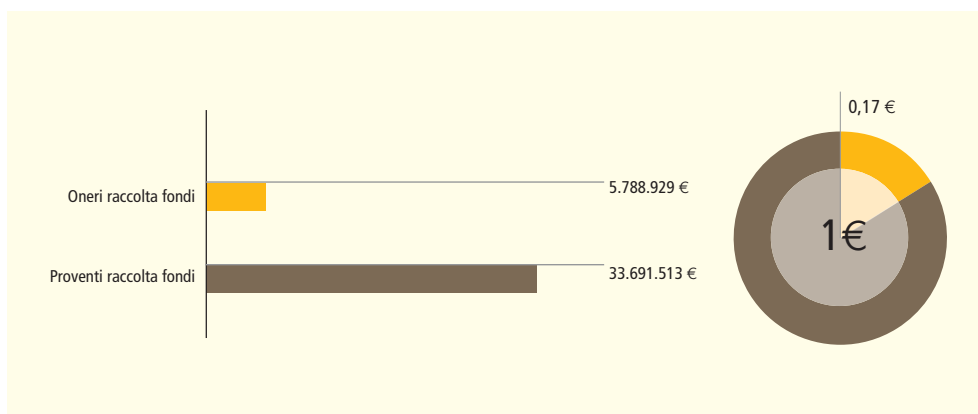


FIGURA 53. TELETHON HA SPESO 17 CENTESIMI PER OGNI EURO RACCOLTO NEL 2007-2008

L'IMPIEGO DELLE RISORSE

Nel corso del 2007-2008, per sostenere le attività istituzionali (di programma) Telethon ha impiegato complessivamente il 78,5% delle risorse (pari a 33,5 milioni di Euro). Il 13,6% è stato impiegato per le attività di raccolta fondi (5,8 milioni di Euro) e il 7,9% è stato impiegato per spese di supporto generale (pari a 3,4 milioni di Euro).

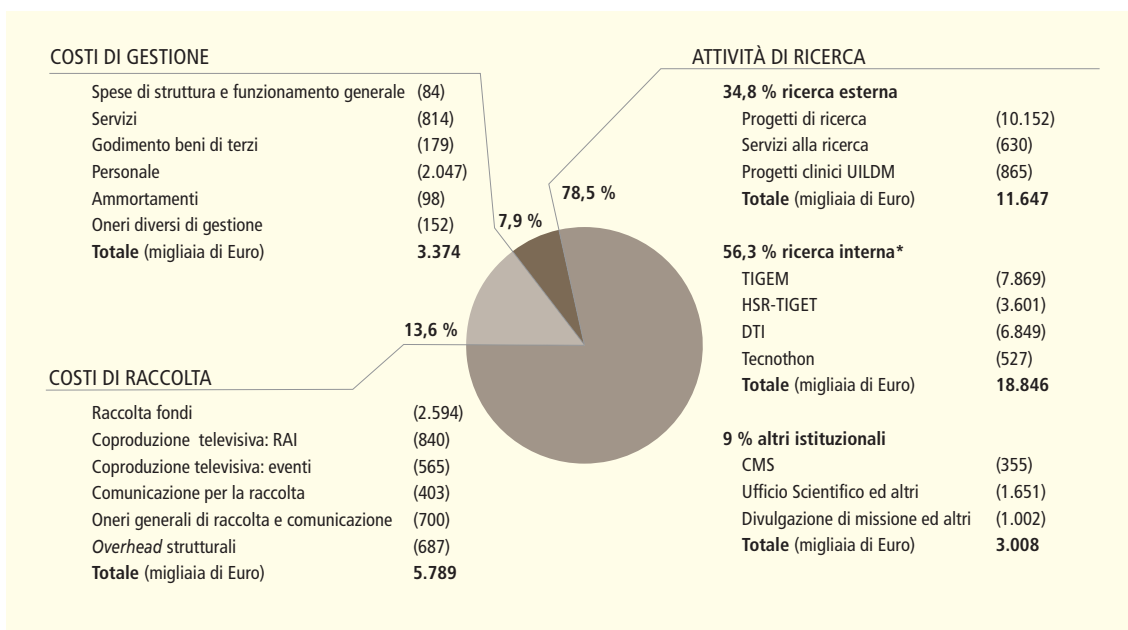


FIGURA 54. NEL 2007-2008, OGNI 100 EURO SPESI, TELETHON NE HA IMPIEGATI 78,5 PER LE ATTIVITÀ DI PROGRAMMA

* Per conoscere la distribuzione tra fondi Telethon e fondi esterni per TIGEM e DTI si veda tabella di riepilogo (□ p. 50)

LA RAPIDITÀ NELLA DESTINAZIONE DEI FONDI

Un ulteriore indicatore di efficienza organizzativa è rappresentato dal tempo che intercorre tra la delibera dei progetti finanziati e la messa a disposizione dei fondi per i progetti stessi.

Il processo prevede che dopo la delibera del Consiglio di Amministrazione, l'Ufficio di Gestione dei Fondi di Telethon invii ai ricercatori le comunicazioni amministrative contenenti i moduli di accettazione e il regolamento di gestione del finanziamento. I ricercatori assegnatari del finanziamento hanno quattro mesi di tempo per rispondere. Una volta ricevuta la risposta del ricercatore, Telethon procede ad una serie di controlli amministrativi volti a verificare la corretta compilazione, confrontando i dati con quelli riportati nel bando e in seguito all'esito positivo dei suddetti controlli, effettua il bonifico.

Questo processo può essere sintetizzato nello schema seguente che evidenzia tra l'altro come la rapidità nella destinazione dei fondi dipenda anche dai tempi di risposta dell'ente presso cui lavora il ricercatore:

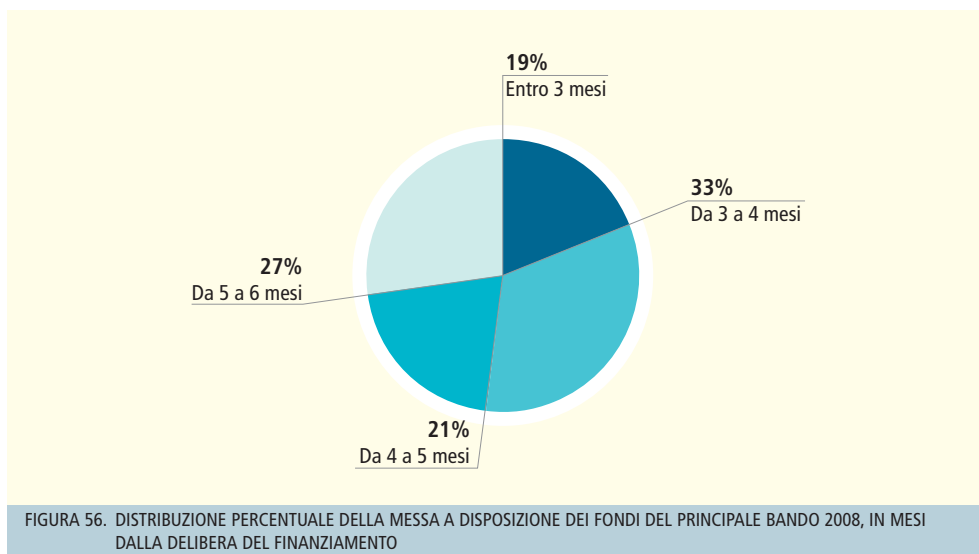


FIGURA 55. SCHEMA SINTETICO DEL PROCESSO DI DESTINAZIONE DEI FONDI

A giugno 2008 Telethon ha deliberato 9.901.800 Euro per i progetti di ricerca esterna, principale bando dedicato a studi proposti dal singolo ricercatore o progetti multicentrici sulle malattie genetiche sviluppati presso enti di ricerca pubblici e privati non profit.

Il primo progetto a cui sono stati assegnati i fondi è stato lo GGP08258, 81 giorni dopo la delibera (pari a 2,7 mesi); l'ultimo è stato lo GGP08244, con un intervallo di 184 giorni (pari a 6,13 mesi).

Entro sei mesi dalla delibera tutti gli enti di ricerca hanno ricevuto i bonifici relativi ai fondi loro assegnati; oltre 50% entro i 4 mesi (figura seguente).



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/chiamo/bilanci) e sono disponibili a richiesta.





5. I PROSPETTI

BILANCIO DI MISSIONE AL 30 GIUGNO 2008

- 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 2008 (UNITÀ DI EURO)

ATTIVO	30 GIUGNO 2008	30 GIUGNO 2007
B) Immobilizzazioni		
I) Immobilizzazioni immateriali		
3) Diritti di brevetto industriale e diritti di utilizzazione delle opere dell'ingegno	129.012	157.624
6) Immobilizzazioni in corso e acconti	87.232	0
7) Altre	0	2.211
Totale	216.244	159.835
II) Immobilizzazioni materiali		
3) Altri beni	19.475	46.257
6) Immobilizzazioni in corso e acconti	6.232.119	0
Totale	6.251.594	46.257
III) Immobilizzazioni finanziarie, con separata indicazione, per ciascuna voce dei crediti, degli importi esigibili entro l'esercizio successivo		
2) Crediti	52.184	52.184
Totale	52.184	52.184
C) Attivo circolante		
II) Crediti, con separata indicazione, per ciascuna voce dei crediti, degli importi esigibili oltre l'esercizio successivo		
5) Verso altri	2.259.602	613.950
Totale	2.259.602	613.950
III) Attività finanziarie che non costituiscono immobilizzazioni		
2) Altri titoli	10.932.467	26.753.915
Totale	10.932.467	26.753.915
IV) Disponibilità liquide		
1) Depositi bancari e postali	1.025.841	1.341.629
2) Liquidità presso società di gestione del risparmio	3.156.105	31.742
3) Assegni	0	0
4) Denaro e valori in cassa	2.692	2.847
Totale	4.184.638	1.376.218
D) Ratei e risconti attivi	191.295	361.348
TOTALE ATTIVO	24.088.024	29.363.707

PASSIVO	30 GIUGNO 2008	30 GIUGNO 2007
A) Patrimonio netto		
I) Patrimonio libero		
1) Risultato gestionale dell'esercizio in corso	(445.440)	156.505
2) Risultato gestionale da esercizi precedenti	2.960.445	2.803.940
Totale	2.515.005	2.960.445
III) Patrimonio vincolato		
1) Fondi vincolati destinati da terzi	545.436	692.569
2) Fondi vincolati per decisione degli organi istituzionali	19.554.623	23.640.321
Totale	20.100.059	24.332.890
Totale patrimonio netto	22.615.064	27.293.335
B) Fondi per rischi ed oneri		
2) Altri	0	0
Totale	0	0
C) Trattamento di fine rapporto di lavoro subordinato	208.649	197.875
D) Debiti, con separata indicazione, per ciascuna voce, degli importi esigibili oltre l'esercizio successivo		
5) Debiti verso fornitori	748.251	1.183.402
6) Debiti tributari	86.080	105.551
7) Debiti verso istituti di previdenza e di sicurezza sociale	100.505	66.900
8) Altri debiti	329.475	516.644
Totale	1.264.311	1.872.497
E) Ratei e risconti passivi	0	0
TOTALE PASSIVO	24.088.024	29.363.707
CONTI D'ORDINE		
1) Impegni assunti per attività istituzionali	2.868.286	3.046.580

COMITATO TELETHON FONDAZIONE ONLUS
RENDICONTO DELLA GESTIONE A PROVENTI E ONERI
SEZIONI DIVISE E CONTRAPPOSTE AL 30 GIUGNO 2008 (UNITÀ DI EURO)

ONERI	30 GIUGNO 2008	30 GIUGNO 2007
1) Oneri da attività istituzionali		
1.1.1) Delibere di assegnazione ricerca interna	11.006.836	10.092.740
1.1.2) Delibere di assegnazione ricerca esterna	11.396.630	12.650.204
Subtotale	22.403.466	22.742.944
1.2) Organizzazione Convention	0	185.808
1.3) Altri istituzionali e ufficio scientifico	1.966.726	1.688.946
Totale	24.370.192	24.617.698
2) Oneri promozionali e di raccolta fondi		
2.1) Maratona Telethon		
2.1.1) Raccolta fondi	2.006.680	1.829.406
2.1.2) Coproduzione televisiva: RAI	840.000	774.685
2.1.3) Coproduzione televisiva: eventi	565.496	622.366
2.1.4) Comunicazione per la raccolta	403.182	340.237
2.1.5) Oneri generali comunicazione e raccolta fondi	538.522	699.285
2.1.6) <i>Overhead</i> strutturali comunicazione e raccolta fondi	512.170	551.060
Subtotale	4.866.050	4.817.039
2.2) Altre raccolte		
2.2.1) Oneri altre raccolte	0	0
Subtotale	0	0
Totale	4.866.050	4.817.039
4) Oneri finanziari e patrimoniali		
4.1) Da operazioni bancarie e postali	29.600	31.424
4.2) Da altri beni patrimoniali	163.128	258.421
Totale	192.728	289.845
5) Oneri straordinari		
5.3) Da altre attività	36.764	27.812
Totale	36.764	27.812
6) Oneri di supporto generale		
6.1) Spese di struttura	43.555	48.847
6.2) Servizi	409.672	442.304
6.3) Godimento beni di terzi	148.777	142.902
6.4) Personale	421.522	418.258
6.5) Ammortamenti	44.360	41.623
6.6) Oneri diversi di gestione	75.413	64.168
Totale	1.143.299	1.158.102
TOTALE ONERI	30.609.033	30.910.495
Avanzo gestionale		156.505

PROVENTI	30 GIUGNO 2008	30 GIUGNO 2007
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	282.229	268.023
Subtotale	282.229	268.023
1.3) Altri istituzionali	262.634	213.085
Totale	544.863	481.108
2) Proventi da raccolta fondi		
2.1) Maratona Telethon	28.308.808	29.945.249
2.2) Altre raccolte	0	0
2.2.1) Da fondazioni bancarie e altri enti	0	0
Subtotale	0	0
Totale	28.308.808	29.945.249
4) Proventi finanziari e patrimoniali		
4.1) Da depositi bancari e postali	24.143	17.228
4.2) Da altri beni patrimoniali	558.389	506.011
Totale	582.532	523.239
5) Proventi straordinari		
5.3) Da altre attività	727.390	116.049
Totale	727.390	116.049
6) Proventi straordinari di supporto generale		
6.1) Proventi straordinari	0	1.356
Totale	0	1.356
TOTALE PROVENTI	30.163.593	31.067.001
Disavanzo gestionale	445.440	0

FONDAZIONE TELETHON
STATO PATRIMONIALE
 AL 30 GIUGNO 2008 (UNITÀ DI EURO)

ATTIVO	30 GIUGNO 2008	30 GIUGNO 2007
B) Immobilizzazioni		
I) Immobilizzazioni immateriali		
3) Diritti di brevetto industriale e diritti di utilizzazione delle opere dell'ingegno	38.001	13.881
6) Immobilizzazioni in corso e acconti	14.280	0
7) Altre	0	0
Totale	52.281	13.881
II) Immobilizzazioni materiali		
1) Fabbricati	115.708	120.889
2) Impianti e attrezzature	149.019	160.560
3) Altri beni	119.340	166.780
4) Immobilizzazioni in corso e acconti	0	0
Totale	384.067	448.229
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	868.000	2.785.000
Totale	868.000	2.785.000
II) Crediti, con separata indicazione, per ciascuna voce dei crediti, degli importi esigibili oltre l'esercizio successivo		
5) Verso altri	16.254.799	17.412.206
Totale	16.254.799	17.412.206
III) Attività finanziarie che non costituiscono immobilizzazioni		
1) Partecipazioni	6.000	6.000
2) Altri titoli	37.063.077	31.938.746
Totale	37.069.077	31.944.746
IV) Disponibilità liquide		
1) Depositi bancari e postali	936.058	1.377.125
2) Liquidità presso società di gestione del risparmio	535.800	37.616
3) Denaro e valori in cassa	4.721	6.122
Totale	1.476.579	1.420.863
D) Ratei e risconti attivi	560.517	329.158
TOTALE ATTIVO	56.693.684	54.382.447

PASSIVO	30 GIUGNO 2008	30 GIUGNO 2007
A) Patrimonio netto		
I) Patrimonio libero		
1) Patrimonio libero: risultato gestionale dell'esercizio	1.892.100	(353.595)
2) Patrimonio libero da esercizi precedenti	1.770.967	2.124.562
Totale	3.663.067	1.770.967
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: risultato gestionale dell'esercizio	278.173	123.899
2a) Fondo Paudice per Tigem da esercizi precedenti	8.892.076	8.768.177
3) Altri fondi permanentemente vincolati	142.026	142.026
Totale	9.518.858	9.240.685
III) Patrimonio vincolato		
1) Fondi vincolati destinati da terzi	33.817.818	34.152.812
2) Fondi vincolati per decisione degli organi istituzionali	250.000	0
Totale	34.067.818	34.152.812
Totale patrimonio netto	47.249.743	45.164.464
C) Trattamento di fine rapporto di lavoro subordinato	570.401	631.503
D) Debiti, con separata indicazione, per ciascuna voce, degli importi esigibili oltre l'esercizio successivo		
5) Debiti verso fornitori	1.957.378	2.265.128
6) Debiti tributari	236.479	271.993
7) Debiti verso istituti di previdenza e di sicurezza sociale	278.881	199.208
8) Altri debiti	5.671.724	5.137.975
Totale	8.144.462	7.874.304
E) Ratei e risconti passivi	729.078	712.176
TOTALE PASSIVO	56.693.684	54.382.447
CONTI D'ORDINE		
1) Impegni assunti per attività istituzionali	4.085.291	4.181.905
2) Impegni ricevuti per attività istituzionali	2.868.286	3.046.580

FONDAZIONE TELETHON
RENDICONTO DELLA GESTIONE A PROVENTI E ONERI
SEZIONI DIVISE E CONTRAPPOSTE AL 30 GIUGNO 2008 (UNITÀ DI EURO)

ONERI	30 GIUGNO 2008	30 GIUGNO 2007
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	6.180.235	5.226.043
1.1.2) Ammortamenti immobilizzazioni	212.211	183.124
1.1.3) Oneri di funzionamento istituti di ricerca	11.223.216	10.520.174
Subtotale	17.615.662	15.929.341
1.2) Oneri da attività deliberativa e di gestione degli istituti di ricerca		
1.2.2) Delibere di assegnazione ricerca esterna	250.000	0
1.2.3) Oneri operativi istituti di ricerca	630.423	559.045
Subtotale	880.423	559.045
1.3) Altri oneri istituzionali e ufficio scientifico	1.041.196	923.378
Totale	19.537.281	17.411.764
2) Oneri promozionali e di raccolta fondi		
2.1) Oneri di raccolta	585.423	483.996
2.2) Oneri generali comunicazione e raccolta fondi	162.356	50.211
2.3) Overhead strutturali comunicazione e raccolta fondi	175.099	147.852
Totale	922.878	682.059
4) Oneri finanziari e patrimoniali		
4.1) Da operazioni bancarie e postali	16.464	16.946
4.2) Da altri beni patrimoniali	878.305	516.498
Totale	894.769	533.444
5) Oneri straordinari		
5.1) Da attività finanziarie	860	1.242
5.3) Da altre attività	27.449	28.887
Totale	28.309	30.129
6) Oneri di supporto generale		
6.1) Spese di struttura	40.604	8.835
6.2) Servizi	404.174	211.137
6.3) Godimento beni di terzi	30.435	29.903
6.4) Personale	1.624.506	1.343.188
6.5) Ammortamenti	53.855	51.513
6.6) Oneri diversi di gestione	76.756	70.430
Totale	2.230.330	1.715.006
TOTALE ONERI	23.613.567	20.372.402
Avanzo gestionale	2.170.273	0
RIPARTO AVANZO GESTIONALE		
1) A incremento del Patrimonio libero	1.892.100	
2) A incremento del Fondo Paudice per Tigem	278.173	

PROVENTI	30 GIUGNO 2008	30 GIUGNO 2007
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	7.209.579	6.795.528
1.1.2) Contributi vincolati destinati da CTFO	10.406.083	9.100.225
1.1.3) Altri proventi vincolati	0	33.590
Subtotale	17.615.662	15.929.343
1.3) Altri proventi istituzionali	312.329	164.620
Totale	17.927.991	16.093.963
2) Proventi da raccolta fondi		
2.1) Maratona Telethon	5.285.868	2.991.039
2.2) Altre raccolte	0	0
2.2.1) Da fondazioni bancarie e altri enti	96.836	134.813
Subtotale	96.836	134.813
Totale	5.382.704	3.125.852
4) Proventi finanziari e patrimoniali		
4.1) Da depositi bancari e postali	15.836	4.260
4.2) Da altri beni patrimoniali	1.413.129	883.598
Totale	1.428.965	887.858
5) Proventi straordinari		
5.1) Da attività finanziarie	5.338	5.222
5.3) Da altre attività	1.038.842	29.811
Totale		35.033
6) Proventi straordinari di supporto generale		
6.1) Proventi diversi	0	0
Totale	0	0
TOTALE PROVENTI	25.783.840	20.142.706
Disavanzo gestionale	0	229.696
RIPARTO DISAVANZO GESTIONALE		
1) A decremento del Patrimonio libero		353.595
2) A decremento del Fondo Paudice per Tigem		(123.899)

COMITATO TELETHON FONDAZIONE ONLUS
ALLEGATO 1 • RENDICONTO DEGLI ONERI PER DESTINAZIONE
AL 30 GIUGNO 2008 (MIGLIAIA DI EURO)

Oneri	ATTIVITÀ ISTITUZIONALI			ATTIVITÀ DI SUPPORTO			TOTALE
	Ricerca	Divulgazione di missione e altri	Ufficio scientifico	Raccolta fondi	Amministrazione e supporto generale	Finanziari e straordinari	
<i>Grant</i>	22.403						22.403
Convention			0				0
Oneri indiretti di ricerca e CMS			622				622
Altri oneri		2	0				2
Acquisti		7	3	343	43		396
Servizi		842	135	3.082	410		4.469
Godimento beni terzi			47	149	149		345
Personale		45	205	1.248	422		1.920
Ammortamenti			59	44	44		147
Oneri diversi					75		75
Oneri finanziari e straordinari						230	230
TOTALE ONERI	22.403	896	1.071	4.866	1.143	230	30.609

FONDAZIONE TELETHON
ALLEGATO 2 • RENDICONTO DEGLI ONERI PER DESTINAZIONE
AL 30 GIUGNO 2008 (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	6.680						6.680
Ammortamenti istituti di ricerca	242						242
Oneri di funzionamento istituti di ricerca	11.324						11.324
Delibere di assegnazione ricerca esterna	250						250
Oneri indiretti di ricerca			292				292
Altri oneri		106					106
Acquisti			11	29	40		80
Servizi			85	484	404		973
Godimento beni terzi			0	30	30		60
Personale			547	325	1.625		2.497
Ammortamenti			0	54	54		108
Oneri diversi					77		77
Oneri finanziari e straordinari						924	924
TOTALE ONERI	18.496	106	935	922	2.230	924	23.613



6. LE DELIBERE ALLA RICERCA

BILANCIO DI MISSIONE AL 30 GIUGNO 2008

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

ELENCO DELLE DELIBERE DI FINANZIAMENTO DALL'1 LUGLIO 2007 AL 30 GIUGNO 2008

DELIBERE COMITATO TELETHON FONDAZIONE ONLUS
RICERCA ESTERNA
PROGETTI DI RICERCA

RICERCATORE RESPONSABILE	TITOLO DEL PROGETTO	NUMERO PROGETTO
Arbustini Eloisa	Effetti del Losartan vs. Nebivololo vs. l'associazione dei due farmaci sui livelli di TGFb attivo e sui profili di espressione quantitativa dei geni del pathway del TGFb in 300 pazienti con Sindrome di Marfan e mutazioni del gene FBN1	GGP08238
Bernardi Paolo	Verso una terapia mitocondriale delle distrofie muscolari del collagene VI	GGP08107
Bertini Enrico Silvio	Studio clinico e molecolare della sindrome di Joubert e condizioni correlate	GGP08145
Bruni Paola	Ruolo del metabolismo della sfigomieline nella rigenerazione del muscolo scheletrico	GGP08053
Camaschella Clara	Emocromatosi: dai geni alla clinica e ritorno	GGP08089
Campione Marina Monica	Analisi del ruolo di Pitx2, gene mutato nella Rieger syndrome, nella morfogenesi ventricolare: implicazioni per la funzionalità del cuore adulto	GGP08112
Capra Valeria	Analisi dei geni appartenenti alla via di segnale della Polarità Cellulare Planare (PCP) nella patogenesi dei Difetti del Tubo Neurale (DTN)	GGP08051
Caruso Maurizia	Ruolo della ciclina D3 nella regolazione dell'attività delle cellule satelliti durante la rigenerazione muscolare	GGP08126
Casari Giorgio	Sviluppo e neurodegenerazione di cervelletto e midollo spinale sono connessi da un legame mitocondriale: il ruolo di Afg3l2 nella dinamica e metabolismo mitocondriale	GGP08138
Cassata Giuseppe	Modello animale invertebrato per studiare la Disautonomia Familiare	GGP08119
Chimenti Cristina	Meccanismi strutturali e funzionali di disfunzione miocardica sistolica e diastolica nella cardiomiopatia di Fabry	GGP08167
Cicardi Marco	Regolazione dei geni coinvolti nella patogenesi dell'angioedema ereditario da carenza di C1 inibitore	GGP08223
Ciccone Roberto	Array-CGH ad alta risoluzione ad analisi d'espressione genica nello studio dei disordini dello spettro autistico	GGP08226
Cossu Giulio	Immortalizzazione reversibile e trasduzione di mesoangioblasti DMD con un cromosoma artificiale esprimente la distrofina per la terapia cellulare della distrofia muscolare	GGP08030
D'Adamo Adamo Pio	Identificazione delle componenti genetiche nella menopausa precoce	GGP08155
D'Adda Di Fagagna Fabrizio	Controllo dell'attività di ATM da parte del macchinario dell'interferenza da RNA	GGP08183
De Falco Sandro	Nuovi inibitori dell'angiogenesi VEGF-dipendente associata a malattie neovascolari dell'occhio	GGP08062
Denti Michela Alessandra	Skipping esonico indotto da RNA antisense per la terapia genica della demenza fronto-temporale con parkinsonismo legata al cromosoma 17 (ftdp-17)	GGP08244
Elvassore Nicola	Realizzazione <i>in vitro</i> di un modello umano di distrofia muscolare per lo screening highthroughput e lo sviluppo di nuove strategie terapeutiche	GGP08140
Federici Massimo	Utilizzo di Timp3 per bloccare le complicanze metaboliche e vascolari dell'obesità	GGP08065
Feltri Maria Laura	Laminine e loro recettori nelle neuropatie ereditarie	GGP08021
Fleischhauer Katharina	Strategie innovative per la cura delle malattie genetiche mediante il trapianto di midollo osseo	GGP08201
Foiani Marco	Sistemi modello per identificare geni e fattori nei processi molecolari difettivi nei pazienti di ataxia telangiectasia	GGP08066
Ghiggeri Gian Marco	Determinanti genetiche dell'ipodisplasia renale non sindromica e fenotipi associati	GGP08050
Gomaschi Monica	Struttura ed attività ateroprotettive delle HDL in difetti genetici delle HDL	GGP08052

ISTITUTO	CITTÀ	DURATA DEL PROGETTO (ANNI)	IMPORTO (A LORDO DI RETTIFICHE)
Centro per le Malattie Genetiche Cardiovascolari	Pavia	3	194.700,00
Dipartimento di Scienze Biomediche Sperimentali	Padova	2	892.400,00
Dipartimento dei Laboratori - Unità di Medicina Molecolare per Malattie Neuromuscolari e Neurodegenerative	Roma	2	204.500,00
Dipartimento di Scienze Biochimiche	Firenze	2	138.700,00
Università Vita Salute San Raffaele	Milano	3	256.200,00
Istituto di Neuroscienze	Padova	3	293.000,00
Istituto Scientifico Giannina Gaslini	Genova	3	267.000,00
Istituto di Neurobiologia e Medicina Molecolare	Roma	3	199.000,00
Università Vita Salute San Raffaele	Milano	3	304.600,00
Istituto Firc di Oncologia Molecolare - Ifom	Milano	3	145.200,00
Centro di Ricerca Cellulare e Cardiologia Molecolare	Roma	1	61.000,00
Dipartimento di Scienze Mediche "Luigi Sacco"	Milano	3	411.500,00
Dipartimento di Patologia Umana ed Ereditaria - Sezione di Biologia Generale e Genetica Medica	Pavia	3	384.800,00
Stem Cell Research Institute (S.C.R.I.)	Milano	3	329.900,00
Dipartimento di Medicina di Laboratorio	Trieste	1	53.900,00
Istituto Firc di Oncologia Molecolare - Ifom	Milano	2	107.800,00
Istituto di Genetica e Biofisica Adriano Buzzati Traverso	Napoli	3	195.400,00
Centro Interdipartimentale per la Biologia Integrata	Mattarello	3	183.400,00
Dipartimento di Principi e Impianti di Ingegneria Chimica	Padova	2	135.900,00
Dipartimento di Medicina Interna	Roma	3	263.000,00
Dibit - Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	Milano	3	376.200,00
Dibit - Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	Milano	2	291.700,00
Istituto Firc di Oncologia Molecolare - Ifom	Milano	3	316.800,00
Laboratorio di Fisiopatologia Dell'Uremia	Genova	3	355.700,00
Dipartimento di Scienze Farmacologiche	Milano	2	86.500,00

ELENCO DELLE DELIBERE DI FINANZIAMENTO DALL'1 LUGLIO 2007 AL 30 GIUGNO 2008

DELIBERE COMITATO TELETHON FONDAZIONE ONLUS
RICERCA ESTERNA

RICERCATORE RESPONSABILE	TITOLO DEL PROGETTO	NUMERO PROGETTO
Krausz Csilla Gabriella	Il cromosoma Y fragile: origine e conseguenze delle delezioni/duplicazioni dei geni AZF	GGP08204
Liberi Giordano	Caratterizzazione molecolare dei processi metabolici controllati dalla proteina SEN1/SETX e difettivi nelle sindromi neurodegenerative AOA2 e ASL4	GGP08057
Maggio Aurelio	Ottimizzazione dell'efficienza di vettori lentivirali per la terapia genica della beta-talassemia major	GGP08221
Minchiotti Gabriella	Un nuovo bersaglio molecolare per la terapia del danno muscolare e delle miopatie	GGP08120
Moschetta Antonio	Attivazione intestinale del recettore nucleare per gli acidi biliari FXR nel trattamento della Colestasi Intraepatica Progressiva Familiare	GGP08259
Previtali Stefano	Ristabilire le interazioni tra cellule e matrice extracellulare per contrastare la degenerazione tissutale e favorire i processi di riparazione nelle neuropatie ereditarie	GGP08037
Protasi Feliciano	Le calsequestrine nell'omeostasi del calcio e loro potenziale ruolo in miopatie scheletriche umane ereditarie	GGP08153
Pusch Michael	Meccanismi di trasporto delle proteine CLC coinvolte in malattie genetiche umane, e loro regolazione da parte di ligandi intracellulari ed extracellulari	GGP08064
Ragnini In Wilson Antonella	Malattie correlate a difetti nella funzione delle miosine di classe V: basi molecolari del meccanismo di riconoscimento del cargo	GGP08143
Recchia Alessandra	Sviluppo pre-clinico di vettori lentivirali per la terapia genica dell'epidermolisi bollosa giunzionale	GGP08095
Schiaffino Maria Vittoria	Alla ricerca delle basi molecolari dell'albinismo oculare di tipo 1: un'eccezionale opportunità per far luce sulla trasduzione del segnale nel sistema delle endomembrane	GGP08156
Sobacchi Cristina	Studio e terapia dell'osteopetrosi autosomica recessiva con assenza di osteoclasti: l'asse RANKL-RANK	GGP08176
Tongiorgi Enrico	Approcci farmacologici per il ripristino dei livelli di BDNF in modelli cellulari ed animali della sindrome di Rett	GGP08258
Ursini Matilde Valeria	Meccanismi molecolari dell'attivazione di NEMO e correlazione con la patogenesi dell'Incontinentia Pigmenti	GGP08125
Zorzato Francesco	Patologia molecolare di mutanti del recettore della rianodina associati alla Central Core Disease ed alla ipertemia maligna	GGP08020

SERVIZI ALLA RICERCA E BIOBANCHE

Bianchi Marco E.	Centro per la Mutagenesi Condizionale	GTF07004
Tacchetti Carlo	Servizio Telethon per la Microscopia Elettronica: analisi ultrastrutturale e immuno-localizzazione su modelli di malattie genetiche	GTF07002

PROGETTI CLINICI TELETHON UILDM

Bellocchi Fulvio	Lo studio RAMYD (valutazione del rischio aritmico nella Distrofia Miotonica tipo I): la fase 2	GUP07013
Cossu Giulio	Allotrapianto di mesoangioblasti per la Distrofia Muscolare di Duchenne: trial clinico di fase I	GUP07006
Ferlini Alessandra	Modulazione tramite oligonucleotidi antisense di cellule miogeniche di 14 pazienti con Distrofia Muscolare di Duchenne al fine di caratterizzare <i>in vitro</i> la risposta al trattamento come prerequisito per il reclutamento dei pazienti nel trial multicentrico	GUP07011

ISTITUTO	CITTÀ	DURATA DEL PROGETTO (ANNI)	IMPORTO (A LORDO DI RETTIFICHE)
Dipartimento di Fisiopatologia Clinica - Scuola di Medicina	Firenze	2	84.500,00
Istituto Firc di Oncologia Molecolare - Ifom	Milano	3	235.800,00
U.O.C. di Ematologia II con Talassemia	Palermo	2	298.000,00
Istituto di Genetica e Biofisica Adriano Buzzati Traverso	Napoli	3	261.800,00
Dipartimento di Farmacologia Traslazionale Laboratorio di Fisiopatologia del Metabolismo Lipidico	Santa Maria Imbaro	3	205.700,00
Dibit - Istituto Scientifico Ospedale San Raffaele	Milano	3	267.200,00
Centro Scienze dell'Invecchiamento - Cesi	Chieti	3	484.900,00
Istituto di Cibernetica e Biofisica (Icb)	Genova	3	195.000,00
Dipartimento di Biologia Cellulare ed Oncologia	Santa Maria Imbaro	3	222.400,00
Dipartimento di Scienze Biomediche	Modena	2	171.700,00
Dibit - Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	Milano	3	384.500,00
Istituto di Tecnologie Biomediche - Dipartimento Genoma Umano	Segrate	2	120.000,00
Dipartimento di Scienze della Vita	Trieste	3	99.700,00
Istituto di Genetica e Biofisica Adriano Buzzati Traverso	Napoli	3	351.800,00
Dipartimento di Medicina Sperimentale e Diagnostica - Sezione di Patologia Generale	Ferrara	2	70.000,00
Totale Progetti di Ricerca (40)			9.901.800,00
DIBIT -Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	Milano	3	375.000,00
Dipartimento di Medicina Sperimentale - Sezione di Anatomia	Genova	3	254.760,00
Totale Servizi alla Ricerca (2)			629.760,00
Istituto di Cardiologia - Dipartimento di Medicina Cardiovascolare	Roma	2	197.370,00
Stem Cell Research Institute (S.C.R.I.)	Milano	1	100.000,00
Dipartimento di Medicina Sperimentale e Diagnostica - Sezione di Genetica Medica	Ferrara	1	71.700,00

ELENCO DELLE DELIBERE DI FINANZIAMENTO DALL'1 LUGLIO 2007 AL 30 GIUGNO 2008

DELIBERE COMITATO TELETHON FONDAZIONE ONLUS
RICERCA ESTERNA

RICERCATORE RESPONSABILE	TITOLO DEL PROGETTO	NUMERO PROGETTO
Gualandi Francesca	Identificazione e caratterizzazione funzionale di mutazioni nei geni COL6 in pazienti con Distrofia Muscolare Congenita di Ullrich e Miopatia di Bethlem mirati al reclutamento di pazienti eleggibili per un trial clinico con ciclosporina A	GUP07004
Mercuri Eugenio	Misure di outcome nella Distrofia Muscolare di Duchenne	GUP07009
Tupler Rossella Ginevra	Criteri clinici e di laboratorio per la diagnosi di Distrofia Muscolare Facio-Scapolo-Omerale (F5HD) in previsione di un registro nazionale della malattia	GUP07001

RICERCA INTERNA

TIGEM (TELETHON INSTITUTE OF GENETICS AND MEDICINE)

Auricchio Alberto	Trasferimento genetico mediato da virus adeno-associati in modelli animali di mucopolisaccaridosi VI	TGM06C03
Auricchio Alberto	Gruppo di lavoro per le applicazioni cliniche	TGM06S02
Auricchio Alberto, Surace Enrico	Strategie di terapia genica per le malattie ereditarie gravi dei fotorecettori	TGM06B01
Baldini Antonio	Ruolo dei fattori di trascrizione T-box nelle malattie congenite del cuore e in altri difetti dello sviluppo	TGM06A05
Ballabio Andrea	Solfatasi e patologie umane: informazioni dalla deficienza multipla di solfatasi	TGM06C01
Ballabio Andrea	Fondi strutturali	TGM06S01
Banfi Sandro	Ruolo degli RNA non codificanti nello sviluppo e nel funzionamento dell'occhio dei mammiferi	TGM06D01
Cosma Maria Pia	Caratterizzazione del sistema di modificazione delle solfatasi nei mammiferi	TGM06C02
Cosma Maria Pia	Terapia genica in modelli murini della mucopolisaccaridosi II con vettori adenoassociati	TGM06C04
Di Bernardo Diego	Reti genetiche nelle patologie umane	TGM06E01
Di Bernardo Diego	Laboratorio di bioinformatica	TGM06Z06
Franco Brunella	La sindrome orofaciodigitale di tipo I come modello per lo studio della funzione ciliare	TGM06A01
Franco Brunella	Programmi di dottorato	TGM06S03
Franco Brunella	Laboratorio per l'analisi delle mutazioni	TGM06Z05
Franco Brunella	Servizi generali	TGM06Z08
Meroni Germana	Laboratorio di microscopia e imaging	TGM06Z02
Meroni Germana	Laboratorio di colture cellulari e tissutali	TGM06Z03
Meroni Germana, Nigro Vincenzo	Una nuova classe di ligasi E3 delle ubiquitine: la famiglia TRIM	TGM06D02
Nigro Vincenzo	Terapia genica della cardiomiopatia e della distrofia muscolare nel modello Hamster BIO14.6	TGM06F01
Parenti Giancarlo	Identificazione di nuovi approcci terapeutici per le malattie lisosomiali	TGM06C05
Studer Michele	Meccanismi di sviluppo del tronco encefalico e patologie	TGM06A03
Studer Michele	Regolazione genetica dello sviluppo della corteccia cerebrale	TGM06A04

ISTITUTO	CITTÀ	DURATA DEL PROGETTO (ANNI)	IMPORTO (A LORDO DI RETTIFICHE)
Dipartimento di Medicina Sperimentale e Diagnostica - Sezione di Genetica Medica	Ferrara	1	87.000,00
Istituto di Neurologia	Roma	2	159.000,00
Dipartimento di Scienze Biomediche	Modena	2	250.000,00
Totale Progetti Telethon-UILDM (6)			865.070,00
Totale delibere Comitato alla ricerca esterna (A)			11.396.630,00

Telethon Institute of Genetics and Medicine - TIGEM	Napoli	3	76.500,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine - TIGEM	Napoli	3	64.774,75
Telethon Institute of Genetics and Medicine - TIGEM	Napoli	3	170.000,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine - TIGEM	Napoli	3	30.000,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine - TIGEM	Napoli	3	109.490,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine - TIGEM	Napoli	3	1.003.620,88
Telethon Institute of Genetics and Medicine - TIGEM	Napoli	3	99.722,50
Telethon Institute of Genetics and Medicine - TIGEM	Napoli	3	70.000,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine - TIGEM	Napoli	3	76.283,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine - TIGEM	Napoli	3	72.529,37
Telethon Institute of Genetics and Medicine - TIGEM	Napoli	3	93.737,50
Telethon Institute of Genetics and Medicine - TIGEM	Napoli	3	99.510,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine - TIGEM	Napoli	3	152.640,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine - TIGEM	Napoli	3	56.450,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine - TIGEM	Napoli	3	32.000,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine - TIGEM	Napoli	3	33.500,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine - TIGEM	Napoli	3	9.000,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine - TIGEM	Napoli	3	89.150,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine - TIGEM	Napoli	2	50.000,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine - TIGEM	Napoli	3	80.000,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine - TIGEM	Napoli	3	53.362,50
Telethon Institute of Genetics and Medicine - TIGEM	Napoli	3	49.000,00

ELENCO DELLE DELIBERE DI FINANZIAMENTO DALL'1 LUGLIO 2007 AL 30 GIUGNO 2008

DELIBERE COMITATO TELETHON FONDAZIONE ONLUS
RICERCA INTERNA

RICERCATORE RESPONSABILE	TITOLO DEL PROGETTO	NUMERO PROGETTO
Studer Michele	Servizio per la produzione di topi transgenici e knock-out	TGM06Z04
Studer Michele	Stabulario	TGM06Z09
Studer Michele	Studi comportamentali nel modello murino	TGM06Z10
Traditi Mario	Servizio di informatica	TGM06Z07

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

Aiuti Alessandro	Terapia genica dell'ADA-SCID	TGT06A01
Bacchetta Rosa	Trasferimento cellulare e genetico nella IPEX	TGT06A03
Ferrari Giuliana	Valutazione preclinica di un approccio di terapia genica per la beta talassemia	TGT06C01
Gritti Angela	Approcci combinati basati sul trasferimento genetico e di cellule staminali neuronali (NSC) per le leucodistrofie metacromatica e globoide	TGT06B02
Luigi Naldini	Produzione vettori per la terapia genica (sindrome di Wiskott-Aldrich e leucodistrofia metacromatica)	TGT06F04
Naldini Luigi	Miglioramento della sicurezza del trasferimento genetico	TGT06D01
Naldini Luigi	Miglioramento dell'efficacia del trasferimento genetico nelle cellule staminali ematopoietiche	TGT06D02
Naldini Luigi, Biffi Alessandra	Terapia <i>ex vivo</i> delle leucodistrofie metacromatica e globoide tramite cellule staminali ematopoietiche	TGT06B01
Naldini Luigi, Roncarolo Maria Grazia	Sviluppo di vettori lentivirali per il trasferimento genetico nel fegato e applicazioni alla terapia della emofilia	TGT06D03
Naldini Luigi, Roncarolo Maria Grazia	Risposta immunitaria al transgene a seguito di trasferimento con vettori lentivirali: meccanismi e modulazione tramite terapie cellulari	TGT06E02
Naldini Luigi, Roncarolo Maria Grazia	Spese strutturali	TGT06S01
Roncarolo Maria Grazia	Spese strutturali: Unità di Ricerca Clinica	TGT06S02
Roncarolo Maria Grazia, Aiuti Alessandro	Sperimentazione clinica di terapia genica per l'ADA-SCID	TGT06F01
Roncarolo Maria Grazia, Aiuti Alessandro	Sperimentazione clinica di terapia genica per la sindrome di Wiskott-Aldrich	TGT06F02
Roncarolo Maria Grazia, Gregori Silvia	Ruolo delle cellule T regolatorie di tipo I nella tolleranza immunitaria	TGT06E01
Roncarolo Maria Grazia, Sessa Maria	Sperimentazione clinica di terapia genica per la distrofia metacromatica	TGT06F03
Roncarolo Maria Grazia, Villa Anna	Sindrome di Wiskott-Aldrich: caratterizzazione dei difetti immunologici e studi preclinici di terapia genica	TGT06A02
Villa Anna	Genetica e biologia della Sindrome di Omenn	TGT06A04

DTI (DULBECCO TELETHON INSTITUTE)

NUOVE POSIZIONI

Serafini Marta	Valutazione di un approccio di terapia genica con cellule staminali per il trattamento della Sindrome di Hurler	TCP07004
Bang Marie-Louise	Ruolo della nebulina nella miopia nemalinica	TCP07006

ISTITUTO	CITTÀ	DURATA DEL PROGETTO (ANNI)	IMPORTO (A LORDO DI RETTIFICHE)
Telethon Institute of Genetics and Medicine - TIGEM	Napoli	3	55.037,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine - TIGEM	Napoli	3	171.075,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine - TIGEM	Napoli	2	46.000,00
Telethon Institute of Genetics and Medicine - TIGEM	Napoli	3	90.200,50
Totale Progetti TIGEM (26)			2.933.583,00
San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy - HSR-TIGET	Milano	4	159.751,00
San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy - HSR-TIGET	Milano	4	50.000,00
San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy - HSR-TIGET	Milano	4	204.000,00
San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy - HSR-TIGET	Milano	4	136.794,00
San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy - HSR-TIGET	Milano	3	900.000,00
San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy - HSR-TIGET	Milano	4	180.810,00
San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy - HSR-TIGET	Milano	4	118.970,00
San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy - HSR-TIGET	Milano	4	112.463,00
San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy - HSR-TIGET	Milano	4	86.529,00
San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy - HSR-TIGET	Milano	4	132.573,00
San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy - HSR-TIGET	Milano	4	636.540,00
San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy - HSR-TIGET	Milano	4	100.000,00
San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy - HSR-TIGET	Milano	4	422.098,00
San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy - HSR-TIGET	Milano	4	32.500,00
San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy - HSR-TIGET	Milano	4	82.049,00
San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy - HSR-TIGET	Milano	4	103.000,00
San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy - HSR-TIGET	Milano	4	60.556,00
San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy - HSR-TIGET	Milano	3	82.400,00
Totale Progetti HSR-TIGET (18)			3.601.033,00
Clinica Pediatrica Ospedale S. Gerardo - Fondazione M. Tettamanti	Monza	5	517.000,00
Istituto di Tecnologie Biomediche Avanzate ITBA LITA	Segrate	5	517.000,00
Totale Progetti DTI "nuove posizioni" (2)			1.034.000,00

ELENCO DELLE DELIBERE DI FINANZIAMENTO DALL'1 LUGLIO 2007 AL 30 GIUGNO 2008

DELIBERE COMITATO TELETHON FONDAZIONE ONLUS RICERCA INTERNA

RICERCATORE RESPONSABILE	TITOLO DEL PROGETTO	NUMERO PROGETTO
RINNOVI Boletta Alessandra	Malattia policistica renale autosomica dominante (ADPKD): studi <i>in vitro</i> e <i>in vivo</i> per comprendere i meccanismi molecolari della patologia	TCR07005
Maffei Margherita	Caratterizzazione di geni regolati in maniera differenziale nel tessuto adiposo bianco in condizioni di obesità. Studio del loro ruolo nel metabolismo e nella insorgenza delle complicanze associate all'obesità	TCR07007
Merlo Giorgio	Regolazioni molecolari ad ampio spettro durante lo sviluppo e il riparo della via assonale olfattiva: verso la comprensione delle basi biologiche della sindrome di Kallmann	TCR07004
Musco Giovanna	Basi molecolari della poliendocrinopatia autoimmune di tipo I: studi funzionali e strutturali sul dominio PHD finger della proteina AIRE	TCR07003
Passafaro Maria Pia	Identificazione della funzione di geni mutati nel ritardo mentale associato al cromosoma X	TCR07006
INTEGRAZIONI POSIZIONI PRECEDENTI		
Fanelli Francesca	Recettori accoppiati a proteine G: analisi struttura-funzione di mutazioni patologiche	TCR05003
Fanto Manolis	Il moscerino della frutta, <i>Drosophila melanogaster</i> , come modello per studiare l'atrofia dentatorubropallidoluisiana, una malattia neurodegenerativa	TCP02006
Daga Andrea	La <i>Drosophila</i> come modello per le malattie neurodegenerative umane. Analisi funzionale degli omologhi di torsina, surf1 e spastina nel moscerino	TCR05007
Chiesa Roberto	Malattie familiari da prioni: sviluppo di modelli sperimentali per studiare i meccanismi patogenetici e potenziali approcci terapeutici	TCR05006

DELIBERE FONDAZIONE TELETHON RICERCA ESTERNA ALTRI PROGETTI

Andrea Ballabio	Fondazione Bioforme	GSP07001
Alberto Fontana	Fondazione Serena	GSP06001

ONERI OPERATIVI FONDAZIONE TELETHON RICERCA INTERNA DTI (DULBECCO TELETHON INSTITUTE)

Integrazioni salariali ricercatori DTI*

*Non considerate come progetti di ricerca

TECNOTHON

Ausili tecnologici per disabili	TEC06000
---------------------------------	----------



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.



ISTITUTO	CITTÀ	DURATA DEL PROGETTO (ANNI)	IMPORTO (A LORDO DI RETTIFICHE)
Dibit - Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	Milano	5	800.000,00
Dipartimento di Endocrinologia e Metabolismo, Ortopedia e Traumatologia, Medicina del Lavoro	Pisa	5	800.000,00
Centro Interdipartimentale di Biotecnologie Molecolari	Torino	2	170.000,00
Dipartimento Di Neurobiologia Cellulare e Molecolare	Milano	5	800.000,00
Centro per lo Studio della Farmacologia Cellulare e Molecolare - Dipartimento di Farmacologia Medica	Milano	5	800.000,00
Totale Progetti DTI "rinnovi" (5)			3.370.000,00
Università di Modena e Reggio Emilia	Modena - Reggio Emilia	5	15.720,00
Dibit - Fondazione San Raffaele del Monte Tabor	Milano	5	15.000,00
Università di Padova	Padova	3	15.000,00
Istituto di Ricerche Farmacologiche Mario Negri	Milano	2	22.500,00
Totale Progetti DTI "integrazioni" (4)			68.220,00
Totale delibere Comitato alla ricerca interna (B)			11.006.836,00
TOTALE DELIBERE COMITATO ALLA RICERCA BIOMEDICA (C = A+B)			22.403.466,00
Fondazione Bioforme presso Telethon Institute of Genetics and Medicine - TIGEM	Napoli	1	150.000,00
Fondazione Serena presso Ospedale Niguarda	Milano	1	100.000,00
Totale Altri Progetti (2)			250.000,00
TOTALE DELIBERE FONDAZIONE ALLA RICERCA BIOMEDICA			250.000,00
Istituto Telethon Dulbecco	loro sedi	1	103.000,00
Laboratorio di ausili per disabili	Sarcedo	1	527.423,00
TOTALE ONERI OPERATIVI FONDAZIONE			630.423,00

Telethon

Via Carlo Spinola, 16 • 00154 Roma • www.telethon.it