

Fondazione Telethon  
e Comitato Telethon  
Fondazione ONLUS

2006

Bilancio di missione  
al 30 giugno





**Fondazione Telethon  
e Comitato Telethon  
Fondazione ONLUS**

**2006**

**Bilancio di missione  
al 30 giugno**



# Fondazione Telethon e Comitato Telethon Fondazione ONLUS

<b>IL CONSIGLIO DI AMMINISTRAZIONE</b>	Susanna Agnelli   Presidente Carlo Ferdinando Carnacini   Segretario Generale <sup>1</sup> Boris Biancheri Chiappori Staffan de Mistura Salvatore Di Mauro Pietro Spirito Omero Toso
<b>LA COMMISSIONE MEDICO-SCIENTIFICA*</b>	Renato Dulbecco   Presidente Onorario Paul Robbins   Presidente Ruggero Pardi   Vice Presidente M. Flint Beal Jacques Beckman Paola Bovolenta Gino A. Cortopassi Alessandra D'Azzo Beverly Davidson Peter Heutink Ole Isacson Grazia Isaya Dimitri M. Kullmann James R. Lupski Alexander E. MacKenzie Mark McCarthy Roderick R. McInnes Frank McKeon Elizabeth McNally Istvan Mody Terence Partridge Tullio Pozzan Gudrun A. Rappold Stephen Rich Annie Ridley Paolo Sassone - Corsi Sangram S. Sisodia Michele Solimena Harel Weinstein Rolf Zeller
<b>IL COLLEGIO DEI REVISORI</b>	Guglielmo Carducci Guglielmo Marengo Massimo Pagani Guazzugli Bonaiuti
<b>IL COMITATO DI DIREZIONE</b>	Niccolò Contucci   Direttore Raccolta Fondi Angelo Maramai   Direttore Amministrativo e Finanziario Francesca Pasinelli   Direttore Scientifico
<b>LA SOCIETÀ DI REVISIONE</b>	KPMG SpA

\* «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)

<sup>1</sup> Dal 12 luglio 2006 la funzione di Segretario Generale non è più ricoperta. L'Avvocato Carlo Ferdinando Carnacini rimane consigliere del CDA.

---

## UN ANNO IMPORTANTE

di Susanna Agnelli, Presidente di Telethon



Carissimi lettori,

il bilancio che avete tra le mani si riferisce a un anno particolarmente importante.

Importante anzitutto per i risultati scientifici ottenuti, che confermano l'eccellenza della nostra ricerca. Nuovi pazienti sono stati arruolati nel protocollo clinico dell'ADA-SCID, la gravissima immunodeficienza ereditaria per la quale Telethon ha messo a punto la terapia genica che dal 2002 ha già curato in modo definitivo sette bambini. Il protocollo ha anche ottenuto la designazione di farmaco orfano da parte delle autorità europee: un passo importante per far uscire la terapia dalla fase sperimentale e renderla disponibile a tutti.

Sul versante della distrofia muscolare, l'anno ha portato risultati estremamente incoraggianti dagli studi su animali. Successi che si aggiungono ai tanti traguardi della nostra ricerca di base su centinaia di malattie genetiche e che spiegano il crescente riconoscimento da parte della comunità scientifica internazionale. Al di là di facili entusiasmi che non fanno bene alla ricerca, il messaggio è chiaro: la cura non è più così lontana.

Un altro motivo di grande soddisfazione è stata la messa a punto del Piano Strategico per la Ricerca 2006-2010, che si è avvalso della consulenza di eminenti esperti internazionali e che guiderà la nostra attività scientifica nei prossimi cinque anni. Il titolo, "Progredire verso nuove terapie", riassume la determinazione di Telethon nel trasformare l'eccellenza della ricerca in terapie disponibili ai pazienti.

Infine, la raccolta dei fondi ha segnato il suo nuovo record: 33 milioni di Euro raccolti nella maratona più lunga della televisione italiana grazie all'impegno della RAI e soprattutto alla generosità degli italiani che sempre di più confermano di credere nella ricerca di Telethon. Per noi è un motivo in più per dimostrare che quanto ci viene concesso in termini di fiducia viene restituito ogni giorno al bene comune.

Il mio augurio è che il bilancio che vi accingete a leggere riesca ad esprimere questo impegno nei confronti delle persone malate, delle loro famiglie e più in generale di tutta la società.

Grazie.

A handwritten signature in black ink that reads "Susanna Agnelli". The signature is written in a cursive, flowing style.

---

## INTRODUZIONE AL BILANCIO DI MISSIONE

Il presente bilancio è organizzato in sei sezioni:

- la prima - "Che cos'è Telethon" - descrive il contesto organizzativo con particolare riferimento alla missione, alla struttura di governo e alle attività di Telethon;
- la seconda sezione - "Le attività istituzionali" - si sofferma sui criteri di valutazione, sul finanziamento e sulla gestione della ricerca e sui risultati scientifici raggiunti;
- la terza 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 quarta 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 quinta sezione - "Le delibere alla ricerca" - presenta l'elenco completo di tutte le delibere di finanziamento alla ricerca nel periodo 1 luglio 2005 - 30 giugno 2006;
- la sesta ed ultima sezione - "Telethon in pillole" - ripropone sinteticamente la storia di Telethon attraverso le principali date e i più significativi numeri di Telethon dal 1990: l'andamento della raccolta fondi negli anni, il finanziamento complessivo alla ricerca interna ed esterna e gli esiti delle pubblicazioni scientifiche di Telethon nel contesto della ricerca internazionale.

## Sommario

### parte 1

#### CHE COS'È TELETHON

- 9 La missione
- 10 Gli *stakeholder*
- 11 Il Comitato e la Fondazione
- 12 Il modello organizzativo
- 14 Le attività

### parte 2

#### LE ATTIVITÀ ISTITUZIONALI

- 18 La ricerca biomedica
- 22 La valutazione dei progetti
- 30 La ricerca esterna
- 34 La ricerca interna
- 46 I risultati della ricerca
- 52 La ricerca tecnologica

### parte 3

#### LE ATTIVITÀ DI SUPPORTO

- 56 La raccolta dei fondi
- 64 La comunicazione sociale
- 68 La gestione delle risorse
- 70 Il funzionamento della struttura

### parte 4

#### I PROSPETTI

- 76 Stato patrimoniale del Comitato
- 78 Rendiconto della gestione a proventi ed oneri del Comitato
- 80 Stato patrimoniale della Fondazione
- 82 Rendiconto della gestione a proventi ed oneri della Fondazione
- 84 Rendiconto degli oneri per destinazione del Comitato
- 85 Rendiconto degli oneri per destinazione della Fondazione

### parte 5

#### LE DELIBERE ALLA RICERCA

- 88 Elenco dei progetti finanziati (2005-2006)

### parte 6

#### TELETHON IN PILLOLE

- 100 Le date principali
- 102 I numeri dal 1990 al 2006

#### LEGENDA



> visita il sito



> approfondimento



> vai a pagina



> aggiornamenti

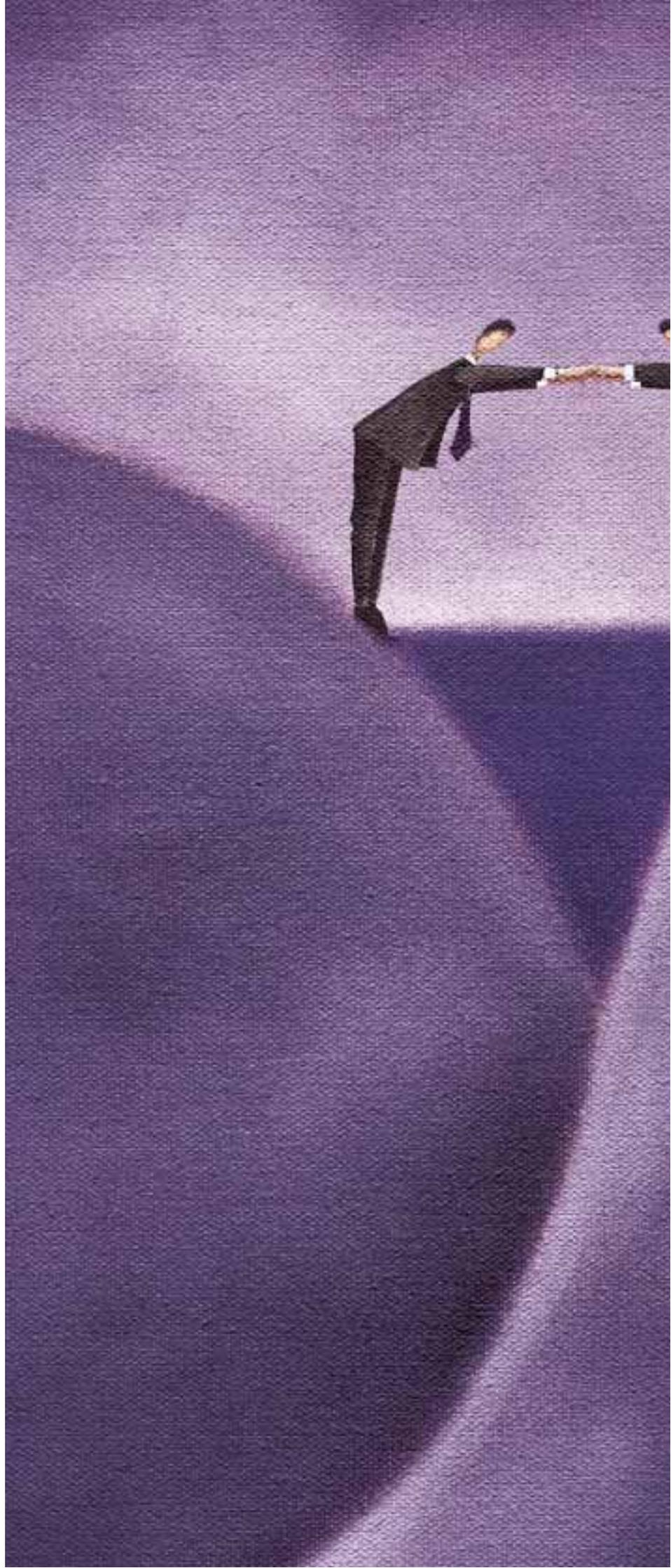


> richiamo alla missione



parte 1

# CHE COS'È TELETHON





# 1 parte

BILANCIO DI MISSIONE AL 30 GIUGNO 2006

## CHE COS'È TELETHON

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





## LA MISSIONE DI TELETHON

L'ECCELLENZA DELLA RICERCA

FINANZIATA, LA TRASPARENZA

DELLA GESTIONE DEI FONDI

E IL SOSTEGNO DEGLI ITALIANI

SONO I VALORI CHE ISPIRANO

TELETHON NEL LAVORO

DI OGNI GIORNO

Vogliamo far avanzare la ricerca scientifica verso la cura della distrofia muscolare e delle altre malattie genetiche

Vogliamo dare priorità a quelle malattie che per la loro rarità sono trascurate dai grandi investimenti pubblici e industriali

Vogliamo dare fondi a eccellenti progetti di ricerca e ai migliori ricercatori in Italia

Vogliamo che gli italiani partecipino a questa lotta contro le malattie genetiche

Vogliamo far sapere a chi ci aiuta come vengono spesi i soldi che raccogliamo

### LE MALATTIE GENETICHE: UNA PIAGA SOCIALE



Nato nel 1990 per volontà dei pazienti affetti da distrofia muscolare allo scopo di sostenere la ricerca scientifica su questa malattia, Telethon due anni dopo ha esteso il suo programma di ricerca a tutte le malattie genetiche. Queste patologie sono causate da alterazioni nel DNA e si trasmettono per via ereditaria; possono colpire qualsiasi organo e manifestarsi a qualunque età. Si stima che ne esistano diverse migliaia, la maggior parte con un decorso grave o letale e ad oggi senza una terapia efficace. Promuovere la ricerca scientifica verso la cura della malattie genetiche è l'obiettivo attorno a cui Telethon ha strutturato tutte le sue attività, finanziando finora progetti su circa 340 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 1):

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

CHI CONTRIBUISCE	CHI OPERA NELLA STRUTTURA	I BENEFICIARI
<ul style="list-style-type: none"> <li>• DONATORI</li> <li>• PARTNER DELLA RACCOLTA FONDI</li> <li>• VOLONTARI-SOSTENITORI</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• AMMINISTRATORI</li> <li>• MANAGER</li> <li>• DIPENDENTI E COLLABORATORI</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• MALATI E COLLETTIVITÀ (BENEFICIARI DIRETTI)</li> <li>• RICERCATORI (BENEFICIARI INDIRETTI)</li> </ul>
<p>FIGURA 1. LA MAPPA DELLE PRINCIPALI CATEGORIE DI <i>STAKEHOLDER</i> DI TELETHON</p>		

### 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.

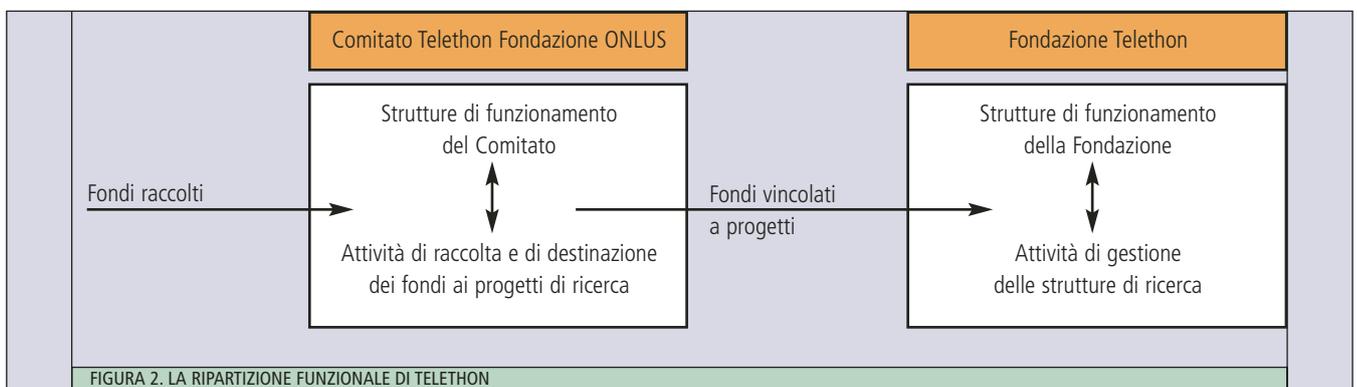
Questa divisione, risalente al 1995, è dovuta alla volontà di separare le attività di promozione, raccolta e assegnazione fondi da quelle di gestione degli istituti e dei progetti di ricerca (Figura 2).

Il Comitato si occupa dell'organizzazione del noto evento televisivo annuale (la Maratona Telethon), della raccolta dei fondi e della loro assegnazione a progetti di ricerca rigorosamente valutati e approvati da una Commissione Medico-Scientifica indipendente e internazionale, il cui presidente onorario è il Premio Nobel Renato Dulbecco.

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

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

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



## IL MODELLO ORGANIZZATIVO

COMITATO E FONDAZIONE SONO

GOVERNATE DA UNA STESSA

STRUTTURA DECISIONALE PER

GARANTIRE UN SISTEMA INTEGRATO

DI GESTIONE

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

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

Susanna Agnelli è il Presidente.

★ ★ ★ Dal 12 luglio 2006 la funzione di Segretario Generale, svolta fino a quel momento da Carlo Ferdinando Carnacini, non è più ricoperta. Carnacini rimane in carica come consigliere insieme a Boris Biancheri, Salvatore Di Mauro, Pietro Spirito e Omero Toso (quest'ultimo è anche Vice Presidente del Comitato Telethon Fondazione ONLUS).

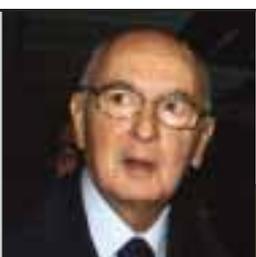
★ ★ ★ Nel gennaio 2006 si è aggiunto come consigliere Staffan de Mistura, la cui nomina è stata deliberata dal CdA del Comitato su proposta del Presidente Susanna Agnelli e con l'unanimità di tutto il consiglio.

Al Consiglio di Amministrazione rispondono quattro organi consultivi, una direzione operativa e quattro istituti interni di ricerca (Figura 3).

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

La struttura operativa è composta da tre direzioni funzionali: la Direzione Amministrativa, Finanziaria, Risorse Umane e Supporto Generale, la Direzione Scientifica e la Direzione Raccolta Fondi. Le loro attività sono coordinate attraverso il Comitato di Direzione che svolge il ruolo di direzione generale.

“ MI UNISCO CON GRANDE CONVINZIONE ALL'APPELLO DI TELETHON. ESSENZIALE È IL CONTRIBUTO DEI CITTADINI, UNA GENEROSITÀ CHE MERITA IL PIENO RICONOSCIMENTO DI TUTTO IL PAESE ”



**GIORGIO NAPOLITANO**  
PRESIDENTE DELLA REPUBBLICA ITALIANA

★☆☆ Al Comitato di Direzione risponde il Responsabile della Comunicazione e dei rapporti con la Stampa con il compito di garantire la corretta attuazione degli obiettivi di comunicazione ricevuti dal Comitato di Direzione, integrando i piani e le attività di comunicazione istituzionale con quelli di raccolta fondi.

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

**FUNZIONI DI GOVERNANCE**

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

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

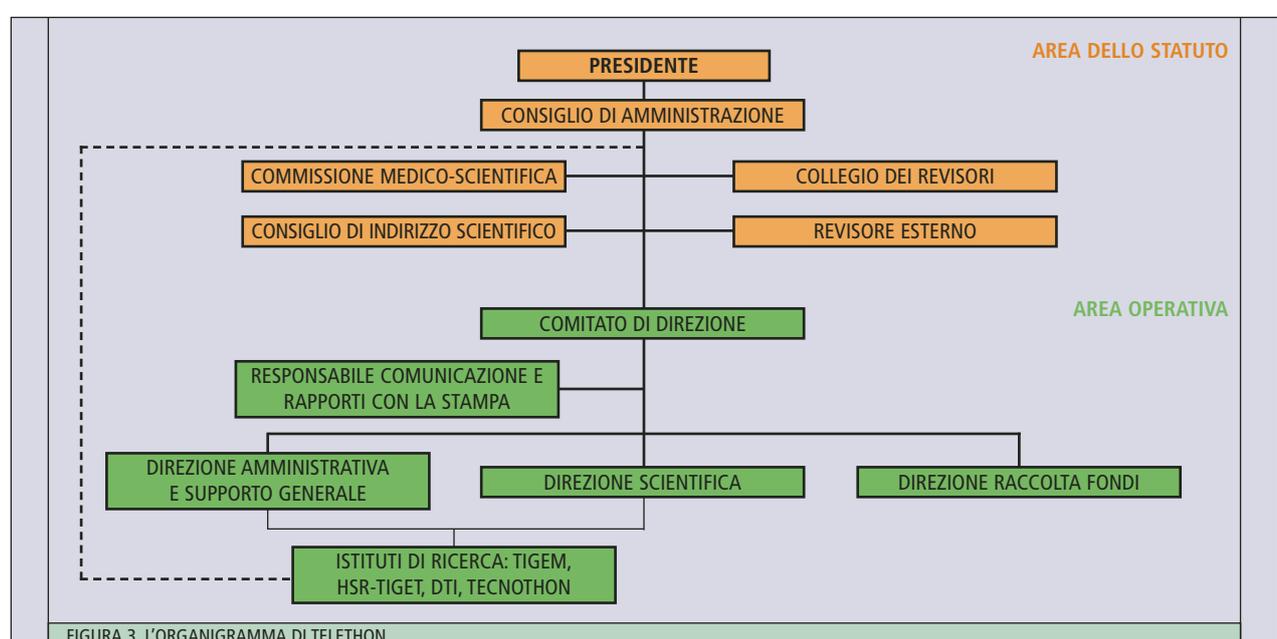


FIGURA 3. L'ORGANIGRAMMA DI TELETHON

## LE ATTIVITÀ

---

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

Le attività di Telethon, come quelle di ogni organizzazione non profit, si distinguono in attività istituzionali, che sono le attività immediatamente dirette a realizzare gli scopi indicati dallo Statuto (finanziamento e avanzamento della ricerca scientifica), e attività di supporto, che hanno la caratteristica di porsi obiettivi strumentali rispetto al raggiungimento dei fini istituzionali (Figura 4).

### LE ATTIVITÀ ISTITUZIONALI

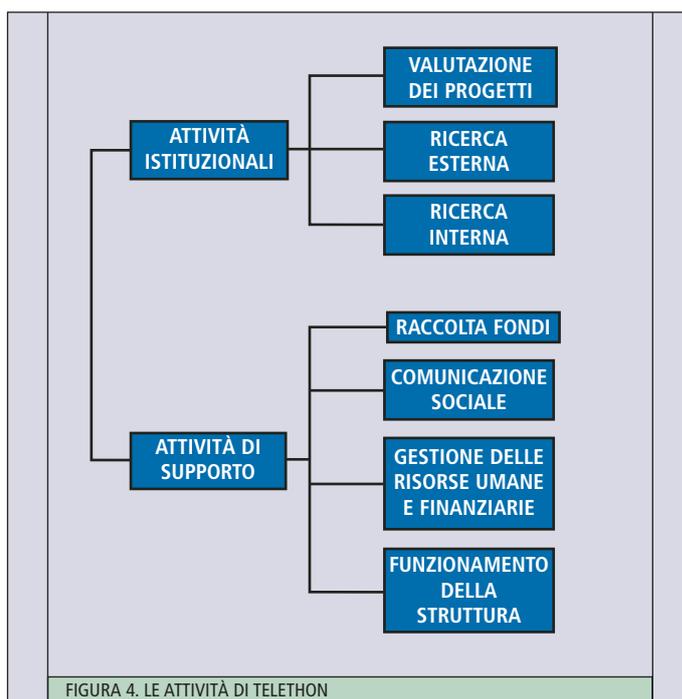
Le attività istituzionali riguardano:

- 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 i suoi istituti (TIGEM, HSR-TIGET e DTI) e la gestione dei progetti di ricerca svolti in istituti esterni ma che si avvalgono dei servizi amministrativi della Fondazione;
- la sensibilizzazione scientifica sulle malattie genetiche attraverso i servizi Scrivi a Informagene e Filo Diretto, che forniscono informazioni riguardanti la ricerca sulle suddette malattie e i riferimenti utili per la diagnosi;
- il finanziamento e la gestione della ricerca tecnologica svolta presso il Technothon, il laboratorio Telethon che progetta ausili per le persone colpite da disabilità motorie.

## LE ATTIVITÀ DI SUPPORTO

Rientrano tra queste attività:

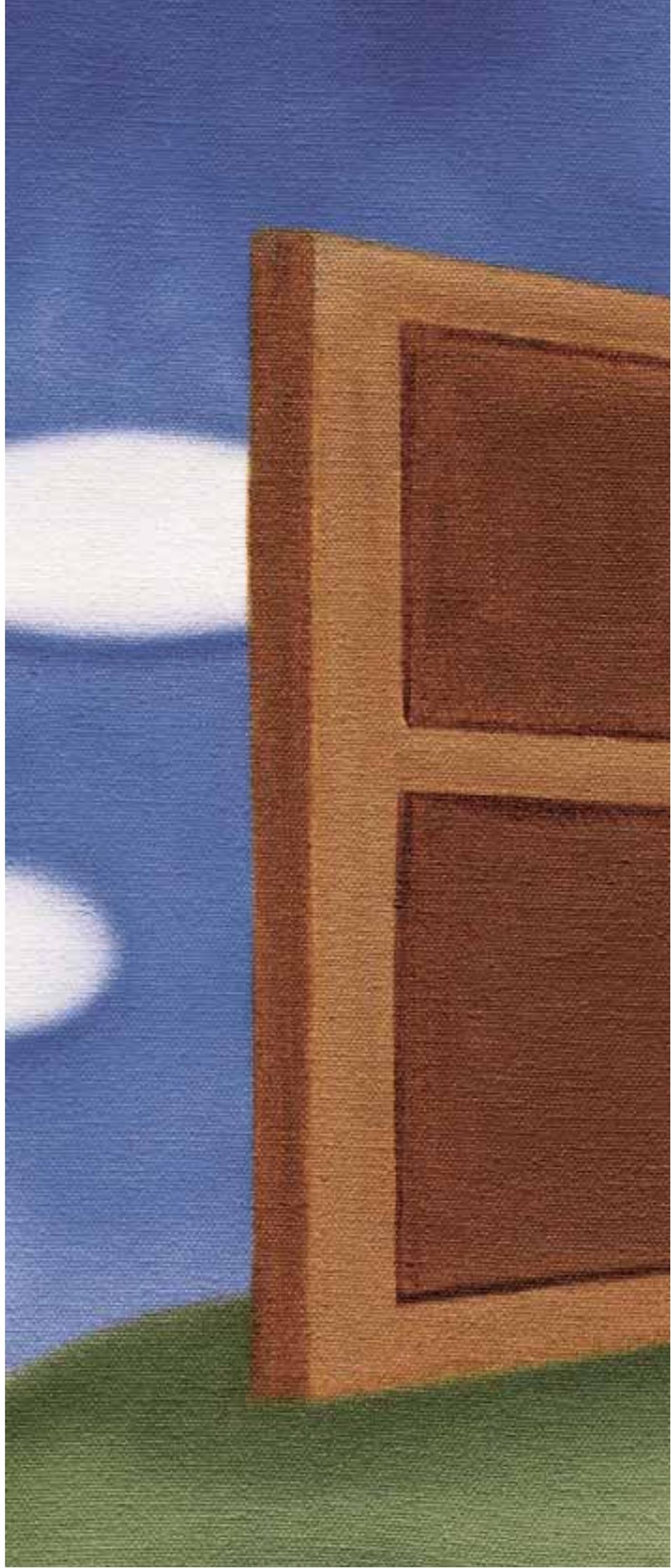
- la raccolta dei fondi, che culmina nella famosa maratona televisiva e si avvale del supporto di numerosi sostenitori;
- la comunicazione sociale, che contribuisce a informare il largo pubblico sulle attività di Telethon. Questa attività viene svolta principalmente attraverso la produzione televisiva 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.





parte 2

## LE ATTIVITÀ ISTITUZIONALI



# parte 2

BILANCIO DI MISSIONE AL 30 GIUGNO 2006

## LE ATTIVITÀ ISTITUZIONALI

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

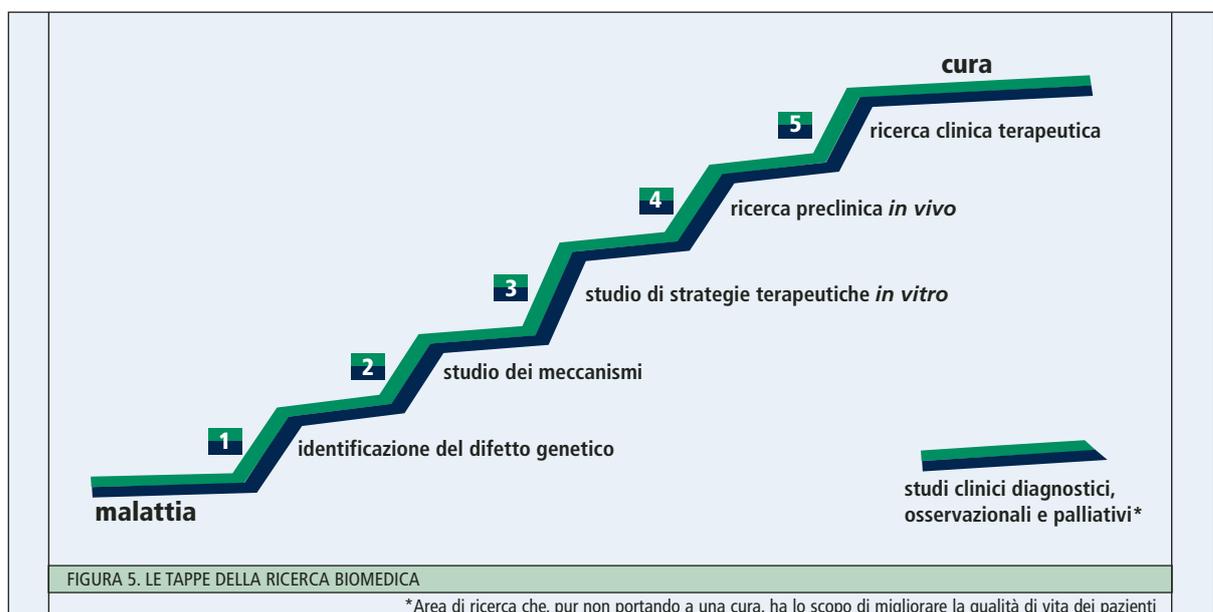


## LA RICERCA BIOMEDICA

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 5).

Il primo gradino è rappresentato dall'individuazione del difetto genetico che causa la malattia. Nel secondo gradino, i ricercatori studiano a fondo i geni-malattia alterati per comprendere qual è il loro funzionamento normale nell'organismo e i meccanismi che, se alterati, causano i sintomi della malattia. Da queste informazioni si parte per ideare strategie terapeutiche, la cui efficacia verrà studiata in modelli cellulari (*in vitro*, gradino 3) o animali (*in vivo*, gradino 4). Soltanto le terapie che si dimostrano efficaci nei modelli animali e potenzialmente sicure nell'uomo sono adatte a passare alla sperimentazione clinica sui pazienti (gradino 5). Un ulteriore filone di ricerca (rappresentato fuori dalla scala) riguarda gli studi clinici di tipo diagnostico, osservazionale e palliativo che, pur non portando ad una cura, hanno lo scopo di migliorare la diagnosi e la qualità di vita dei pazienti. Per quanto semplificato rispetto alla realtà, il modello della scala è uno strumento utile per valutare le attività di ricerca di Telethon. Questo modello verrà riproposto ad esempio per capire a quale stadio di progresso si collocano i progetti di ricerca Telethon (□ p. 29) e i principali risultati conseguiti nell'anno 2005-2006 (□ p. 46). La sfida di Telethon è quella di avanzare il più possibile verso i gradini più alti di questa scala ideale, verso la cura.



“ DA QUI AL 2010 TELETHON VUOLE ESSERE UNA CHARITY RICONOSCIUTA INTERNAZIONALMENTE CHE TRASFERISCE RICERCA ECCELLENTE DAL LABORATORIO ALLA CLINICA A BENEFICIO DEI PAZIENTI ”



**FRANCESCA PASINELLI**  
DIRETTORE SCIENTIFICO DI TELETHON

## 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)<sup>2</sup> di mettere a punto un piano strategico per guidare la ricerca di Telethon nei prossimi cinque anni. Eccellenza nella ricerca, progresso verso le terapie, flessibilità dei finanziamenti e alleanze sono le parole chiave sulle quali si articola il Piano Strategico della Ricerca 2006-2010.

Il piano si basa sulla visione di che cosa Telethon vuole essere nel 2010, dalla quale derivano quattro priorità strategiche che ne guideranno le azioni. Per ciascuna priorità strategica, il piano identifica una o più aree di intervento dove verranno concentrati gli sforzi nel campo della ricerca scientifica (Figura 6).

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

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

FIGURA 6. IL PIANO STRATEGICO DELLA RICERCA 2006-2010: VISIONE, PRIORITÀ E AREE DI INTERVENTO

L'attuazione del piano strategico segue un processo decisionale (Figura 7) che si basa sulla verifica continua dei risultati e che coinvolge tre importanti attori:

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

<sup>2</sup> 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); Paul Robbins, University of Pittsburgh, Pittsburgh (USA).

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

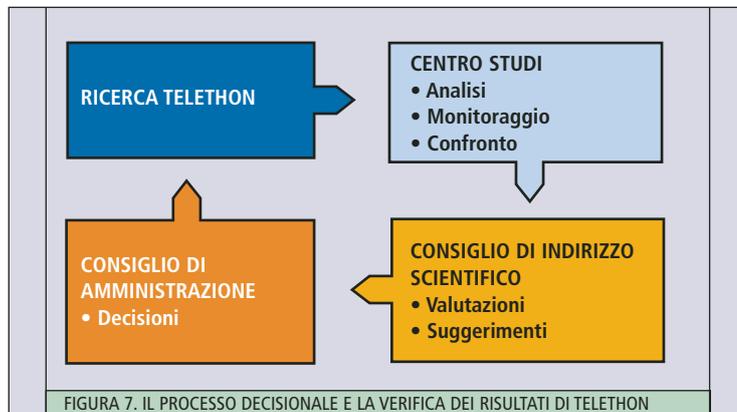


FIGURA 7. IL PROCESSO DECISIONALE E LA VERIFICA DEI RISULTATI DI TELETHON

### LE ATTIVITÀ SCIENTIFICHE FINANZIATE DA TELETHON

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

RICERCA ESTERNA	RICERCA INTERNA (ISTITUTI DI RICERCA TELETHON)
<ul style="list-style-type: none"> <li>• <b>PROGETTI DI RICERCA</b> Studi proposti dal singolo ricercatore, o progetti multicentrici sulle malattie genetiche sviluppati presso enti di ricerca pubblici e privati non profit</li> <li>• <b>SERVIZI ALLA RICERCA</b> Iniziative che offrono alla comunità scientifica servizi tecnologici o infrastrutture utili alla ricerca sulle malattie genetiche (es. biobanche, microscopia, librerie di DNA etc.)</li> <li>• <b>BORSE DI STUDIO</b> Fellowships per la formazione di studenti post-dottorali all'estero</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• <b>TIGEM (Telethon Institute of Genetics and Medicine)</b> ANNO DI FONDAZIONE: 1994 CITTÀ: Napoli AREA DI INTERESSE: Identificazione di geni-malattia, studi funzionali</li> <li>• <b>HSR-TIGET (San Raffaele-Telethon Institute for Gene Therapy)</b> 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</li> <li>• <b>DTI (Dulbecco Telethon Institute)</b> 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</li> </ul>

Il portafoglio di ricerca Telethon comprende molteplici iniziative, con diversi modelli di finanziamento, come riassunto nella Figura 8.

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

FIGURA 8. I MODELLI DI FINANZIAMENTO TELETHON ALLA RICERCA

Il finanziamento alla ricerca esterna avviene attraverso bandi competitivi (Figura 9) ai quali possono partecipare ricercatori che operano in istituti pubblici e non profit in Italia e riguarda unicamente i costi vivi di ricerca (con l'esclusione quindi di salari e costi strutturali).

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

TIPO DI FINANZIAMENTO	ACCESSIBILE A	PRESSO	DURATA (ANNI)	SCADENZA BANDO	APPROVAZIONE PROGETTI
Progetti di ricerca (ricerca esterna)	Ricercatori italiani e stranieri residenti in Italia	Istituti di ricerca italiani	1-3	Gennaio 2006	Giugno 2006
Servizi alla ricerca (ricerca esterna)	Ricercatori italiani e stranieri residenti in Italia	Istituti di ricerca italiani	1-3	Settembre 2006	Novembre 2006
Borse di studio (ricerca esterna)	Ricercatori italiani	Istituti di ricerca stranieri	1-3	Settembre 2005	Novembre 2005
DTI (ricerca interna)	Ricercatori italiani e stranieri	Istituti di ricerca italiani	5	Settembre 2005	Novembre 2005
Telethon-UILDM* (ricerca esterna)	Ricercatori italiani e stranieri residenti in Italia	Istituti di ricerca clinica italiani	1-3	Luglio 2005	Novembre 2005

FIGURA 9. I BANDI DI TELETHON 2005-2006

\* p. 32 per la descrizione del bando

★☆☆ Oltre a quelli sopra elencati, nel 2005-2006 il finanziamento Telethon alla ricerca esterna ha riguardato anche un progetto che non è stato presentato in risposta a specifico bando: 400.000 Euro per la costituzione di una fondazione (la Fondazione Serena) il cui scopo statutario riguarda l'assistenza e la ricerca clinica e terapeutica a favore delle persone affette da patologie neuromuscolari ( p. 32).

Prima di passare a relazionare sui finanziamenti erogati e sui risultati della ricerca biomedica, nel periodo 1 luglio 2005 - 30 giugno 2006, 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.



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* (p. 24) 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*

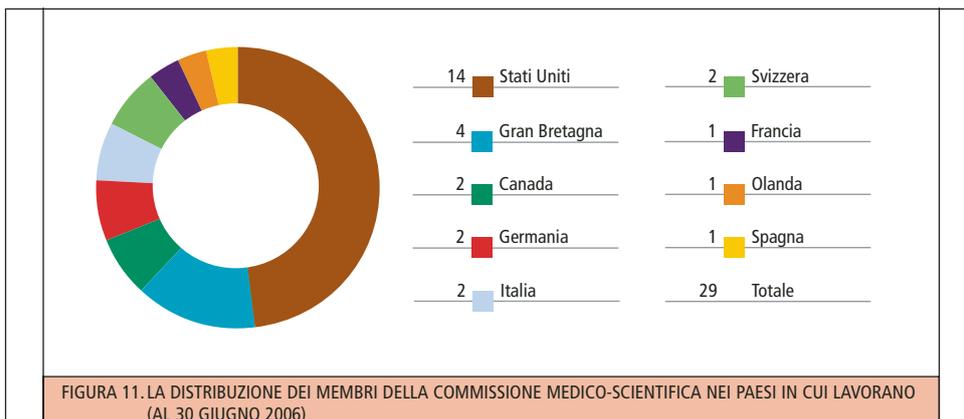
La Commissione Medico-Scientifica rappresenta il principale attore delle attività valutative di Telethon. Il Comitato Telethon si è sempre impegnato affinché la Commissione rispetti le seguenti caratteristiche:

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

Ciascun membro della Commissione resta in carica per quattro anni.

★ ★ ★ Al 30 giugno 2006 la Commissione è composta da 29 scienziati di fama internazionale (Figura 11). Le presenze italiane sono volutamente ridotte per limitare possibili conflitti di interesse (attualmente sono soltanto due i commissari che lavorano in Italia).

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



### I COMPONENTI DELLA COMMISSIONE MEDICO-SCIENTIFICA AL 30 GIUGNO 2006

**Presidente Onorario**

**Renato Dulbecco**

Nobel Prize for Physiology and Medicine 1975

**Presidente**

**Paul Robbins**

Department of Molecular Genetics and Biochemistry  
University of Pittsburgh School of Medicine  
Pittsburgh (Stati Uniti)

**Vice Presidente**

**Ruggero Pardi**

Department of Molecular Biology and Functional  
Genomics, Vita-Salute San Raffaele  
University School of Medicine Scientific  
Institute San Raffaele  
Milano (Italia)

**ALTRI COMPONENTI**

**M. Flint Beal**

Cornell University Medical School  
New York (Stati Uniti)

**Jacques Beckmann**

Departement de Genetique Medicale  
Lausanne (Svizzera)

**Paola Bovolenta**

Cajal Institute  
Madrid (Spagna)

**Gino A. Cortopassi**

Department of Molecular Biosciences  
University of California  
Davies (Stati Uniti)

**Alessandra D'Azzo**

Health Science Center, University of Tennessee  
St. Jude Children's Research Hospital  
Memphis (Stati Uniti)

**Beverly Davidson**

University of Iowa  
Iowa City (Stati Uniti)

**Peter Heutink**

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

**Ole Isacson**

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

**Grazia Isaya**

Mayo Medical School  
Mayo Clinic  
Rochester (Stati Uniti)

**Dimitri M. Kullmann**

Department of Clinical and Experimental Epilepsy  
Institute of Neurology  
London (Gran Bretagna)

**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)

**Mark McCarthy**

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

**Roderick R. McInnes**

Department of Developmental Biology  
Hospital for Sick Children  
Toronto (Canada)

**Frank McKeon**

Department of Cell Biology  
Harvard Medical School  
Boston (Stati Uniti)

**Elizabeth McNally**

University of Chicago  
Chicago (Stati Uniti)

**Istvan Mody**

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

**Terence Partridge**

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

**Tullio Pozzan**

Department of Biomedical Sciences  
University of Padova  
Padova (Italia)

**Gudrun A. Rappold**

Department of Human Genetics  
University of Heidelberg  
Heidelberg (Germania)

**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)

**Sangram S. Sisodia**

Center for Molecular Neurobiology  
University of Chicago  
Chicago (Stati Uniti)

**Michele Solimena**

Experimental Diabetology  
Medizinisch Theoretisches Zentrum  
Medical School,  
Technical University Dresden  
Dresden (Germania)

**Harel Weinstein**

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

**Rolf Zeller**

University of Basel Medical School  
Basel (Svizzera)



UN MOMENTO DEI LAVORI DI VALUTAZIONE DELLA COMMISSIONE SCIENTIFICA DI TELETHON

Per la valutazione delle proposte, la Commissione Medico-Scientifica si avvale anche del giudizio di revisori esterni e indipendenti, competenti sull'argomento del progetto. Il processo di *peer review* adottato da Telethon, schematizzato nella Figura 12, prevede che ciascun progetto proposto venga assegnato a tre membri della Commissione Medico-Scientifica e ad almeno due revisori esterni prima della discussione plenaria.

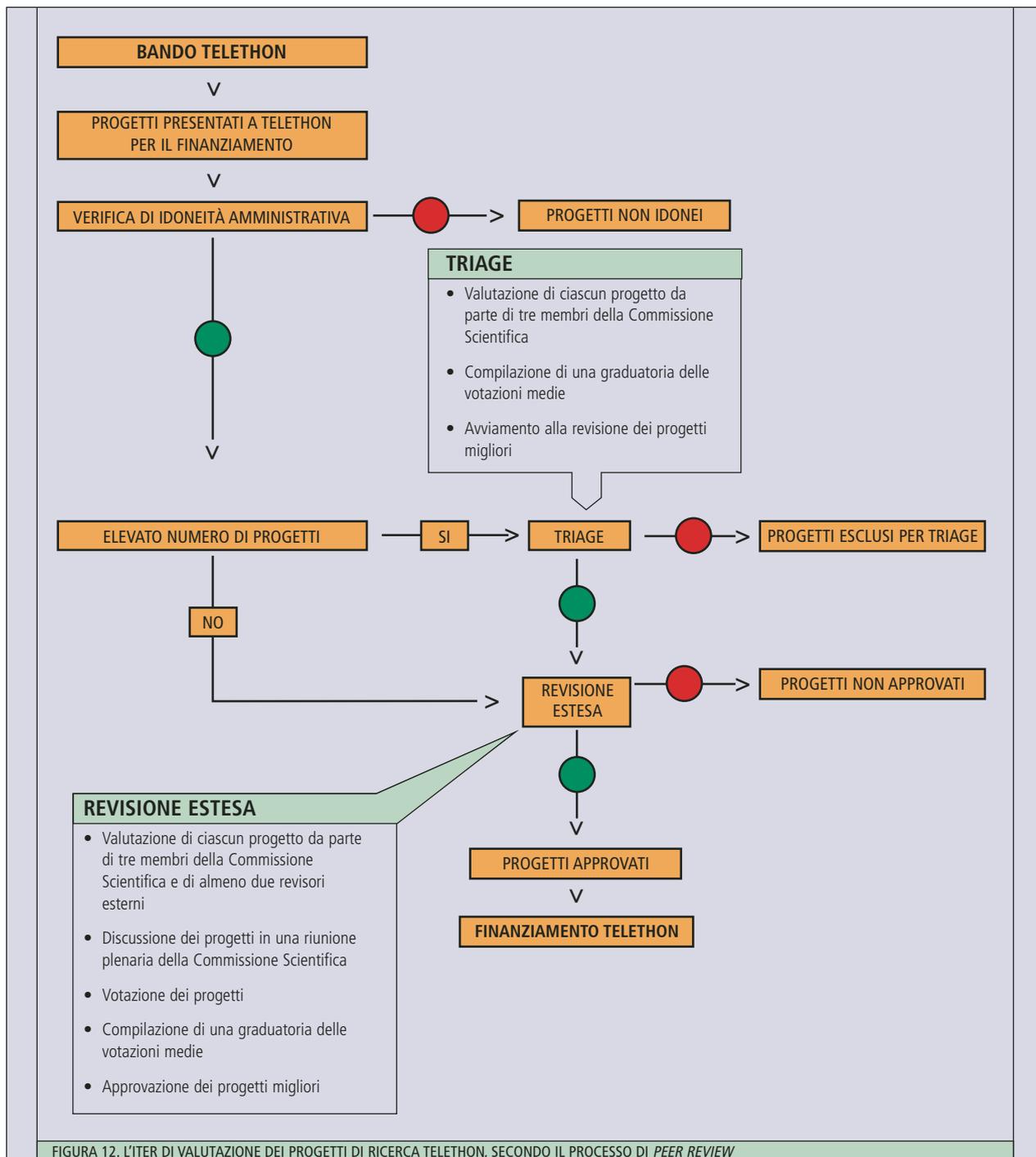


FIGURA 12. L'ITER DI VALUTAZIONE DEI PROGETTI DI RICERCA TELETHON, SECONDO IL PROCESSO DI *PEER REVIEW*

“ A TELETHON HO VISTO CRESCERE E PERFEZIONARSI UN MECCANISMO DI SELEZIONE E GESTIONE DELLA RICERCA ESTREMAMENTE PROFESSIONALE, TALE DA MERITARE LA STIMA E IL RISPETTO DELLA COMUNITÀ SCIENTIFICA INTERNAZIONALE ”



**PAUL D. ROBBINS**

PRESIDENTE DELLA COMMISSIONE MEDICO-SCIENTIFICA TELETHON (NOVEMBRE 2004-GIUGNO 2006)

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.



### COSA 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).

La selezione è estremamente competitiva: nell'ultimo bando Telethon per progetti di ricerca esterni, è stato finanziato solo il 20% delle proposte presentate.

Il compito di gestire il processo di valutazione dei progetti è affidato ai *Research Program 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 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 5.800 scienziati. In occasione di ogni bando, vengono interpellati sia revisori già inseriti nella banca dati, sia nuovi scienziati.

★ ★ ★ I dati dei revisori contattati nella valutazione dei progetti di ricerca e delle carriere scientifiche 2005-2006 sono riassunti nella Figura 13.

BANDO	PROGETTI SOTTOPOSTI A REVISIONE ESTERNA	REVISIONI EFFETTUATE	REVISIONI EFFETTUATE PER PROGETTO	PROGETTI APPROVATI
Progetti di ricerca	162	328	2,02	52
Progetti Telethon-UILDM	10	15	1,5	2
Dulbecco Telethon Institute (DTI)	2	3	1,5	1

FIGURA 13. LA REVISIONE ESTERNA DEI PROGETTI NEL 2005-2006

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

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

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

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

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

- ★ ★ ★ A partire dal bando di gennaio 2006, al voto sul merito scientifico si affiancano altre due valutazioni riguardanti, rispettivamente, la rilevanza (cioè l'attinenza del progetto rispetto agli obiettivi di Telethon) e il potenziale terapeutico (cioè lo stadio in cui il progetto si situa lungo la scala della ricerca, □ p. 18). Questi nuovi criteri, previsti dal piano strategico della ricerca 2006-2010, incidono nella valutazione finale in percentuale minoritaria rispetto al voto sul merito scientifico, che rimane perciò il parametro fondamentale per l'assegnazione dei fondi. Tuttavia, a parità di merito scientifico, essi hanno lo scopo di premiare i progetti maggiormente in linea con gli obiettivi di Telethon e più vicini alla cura.



### LA VALUTAZIONE DEGLI ISTITUTI TIGEM E HSR-TIGET

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

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

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

Viene poi organizzata una *site visit* presso l'istituto stesso in coincidenza con la sessione di valutazione. In tale occasione la commissione passa al vaglio il progetto generale dell'istituto e i singoli progetti condotti al suo interno (per ognuno dei quali la commissione si avvale anche del parere di tre revisori esterni) e discute personalmente con il Direttore Scientifico dell'istituto e con i vari responsabili di progetto gli aspetti tecnici e gestionali che risultano particolarmente critici.

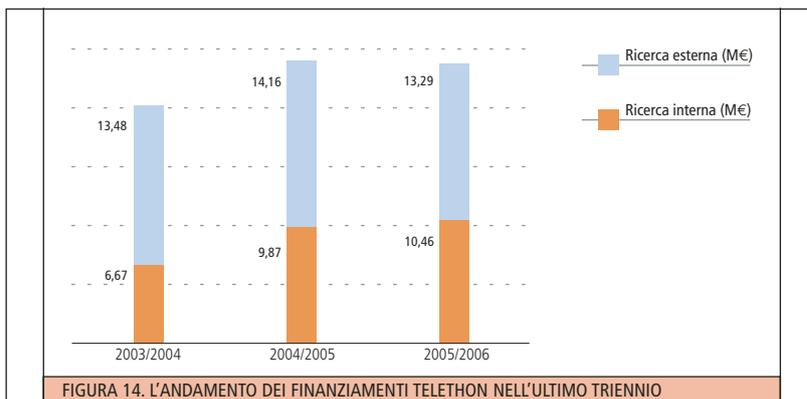
La Commissione di revisione *ad hoc* infine, esprime una valutazione complessiva sulla proposta di rinnovo dell'istituto grazie alla quale il Consiglio d'Amministrazione di Telethon delibera i finanziamenti agli istituti e ai singoli progetti.

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

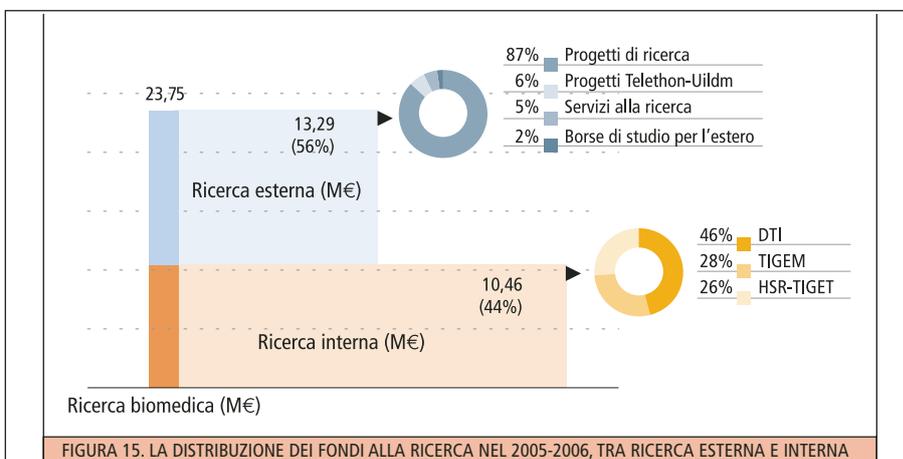


### I FINANZIAMENTI ALLA RICERCA BIOMEDICA

★★★ Nell'esercizio 2005-2006 Telethon ha assegnato fondi alla ricerca biomedica per **23.750.356 Euro**, in linea con il finanziamento dell'anno precedente (24.031.221 Euro). Alla ricerca interna (senza considerare gli impegni per Tecnothon) sono andati **10.463.290 Euro** e alla ricerca esterna **13.287.066 Euro**.



Alle attività di ricerca biomedica esterna, rivolte a ricercatori che lavorano presso enti di ricerca pubblici o privati non profit, è andato il 56% del finanziamento totale dell'anno (☐ p. 30) mentre il restante 44% (☐ p. 34) è servito a finanziare le attività degli istituti di ricerca biomedica Telethon (TIGEM, HSR-TIGET e DTI).

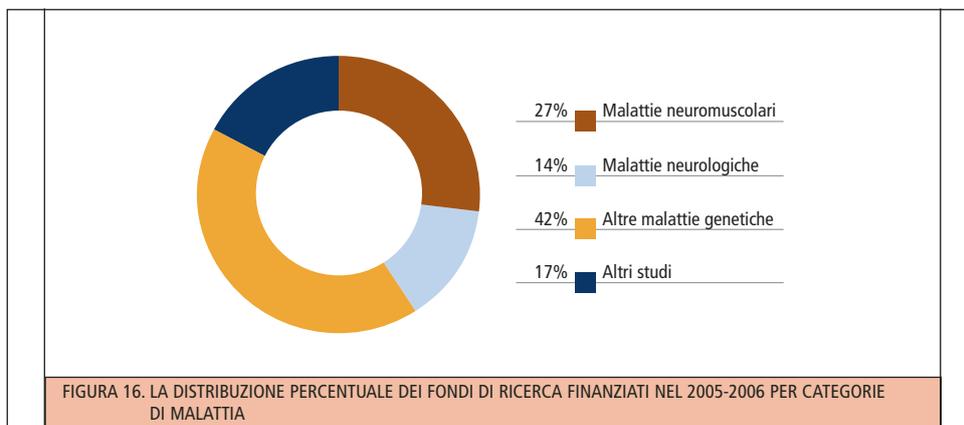


### L'AMBITO DI STUDIO DEI PROGETTI FINANZIATI

★★★ Telethon, attraverso l'assegnazione dei fondi sopra descritta, ha deliberato il finanziamento di **114 progetti** nel corso dell'anno 2005-2006 (☐ p. 88).

La figura 16 illustra la suddivisione dei progetti secondo tre grandi categorie di malattie genetiche studiate: malattie neuromuscolari, come le distrofie muscolari, la malattia di Charcot-Marie-Tooth e l'atrofia muscolare spinale; malattie neurologiche, come la sclerosi laterale amiotrofica e la malattia di Huntington; altre malattie genetiche, come l'immunodeficienza combinata grave e la fibrosi cistica. Le patologie citate sopra a titolo esemplificativo figurano ai primi posti nell'elenco delle malattie più finanziate da Telethon dal 1991 ad oggi.

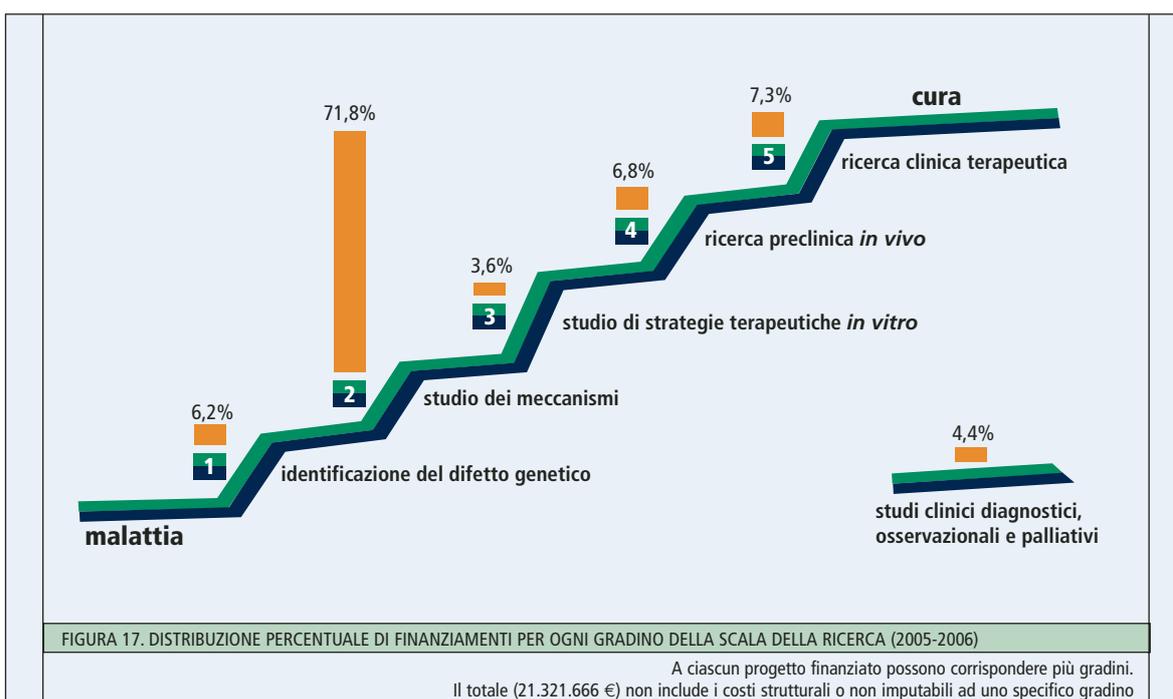
Una parte dei progetti (altri studi) riguarda malattie con cause non esclusivamente genetiche, studi di base trasversali alla conoscenza di più patologie, o servizi alla ricerca e non è quindi assimilabile ad una specifica categoria di patologie.



Ciascun progetto finanziato è stato collocato su uno o più gradini della scala della ricerca in base all'ambito di studio e agli obiettivi proposti (Figura 17).

★ ★ ★ La distribuzione percentuale dei finanziamenti 2005-2006 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 (17,7%) è destinata alla messa a punto di strategie terapeutiche (gradini 3, 4 e 5).

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



## LA RICERCA ESTERNA

★☆☆ Il finanziamento alla ricerca biomedica esterna, nel 2005-2006 ha riguardato 65 progetti, con una media di **204.416 Euro** a progetto (distribuiti secondo lo schema della Figura 18).

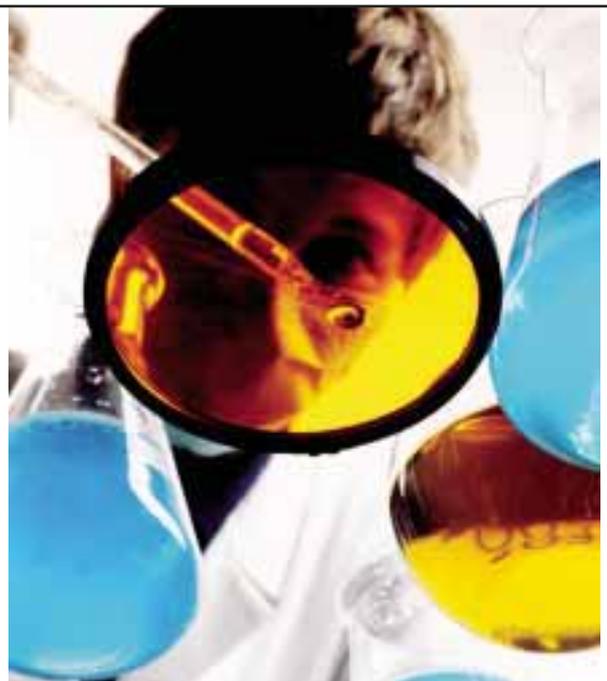
### LE DELIBERE 2005-2006 PER LA RICERCA ESTERNA

I progetti presentati in risposta ai bandi per progetti di ricerca, borse di studio all'estero e servizi alla ricerca sono stati valutati durante le riunioni della Commissione Medico-Scientifica in sessione plenaria in due occasioni: a novembre del 2005 e a giugno del 2006. Inoltre, una commissione *ad hoc* ha valutato i progetti Telethon-UILDM nel novembre 2005 e il Consiglio di Amministrazione della Fondazione Telethon ha deliberato il finanziamento per la costituzione della Fondazione Serena.

TIPOLOGIA DI PROGETTO	PROGETTI VALUTATI	PROGETTI APPROVATI	FINANZIAMENTO TOTALE (EURO)	FINANZIAMENTO MEDIO (EURO)
Progetti di ricerca	266	52	11.056.875	212.632,21
Servizi alla ricerca	11	5	691.000	138.200,00
Borse di studio all'estero	19	5	300.000	60.000,00
Progetti Telethon-UILDM	10	2	839.191	419.595,50
Progetto Speciale - Fondazione Serena*	1	1	400.000	400.000
<b>Totale generale</b>	<b>307</b>	<b>65</b>	<b>13.287.066</b>	<b>204.416,40</b>

FIGURA 18. PROSPETTO RIEPILOGATIVO DELLE DELIBERE DEL COMITATO E DELLA FONDAZIONE ALLA RICERCA ESTERNA (2005-2006)

\*Delibera Fondazione Telethon



“ È UN PIACERE SAPERE CHE IL PROGETTO PRESENTATO È STATO VALUTATO DA UN COMITATO INTERNAZIONALE E CHE QUESTI SOLDI VENGONO DALLA GENEROSITÀ DI TANTE PERSONE CHE HANNO CAPITO L'IMPORTANZA DELLA RICERCA. MA PER LE STESS E RAGIONI È UN IMPEGNO, UNA GRANDE RESPONSABILITÀ ”



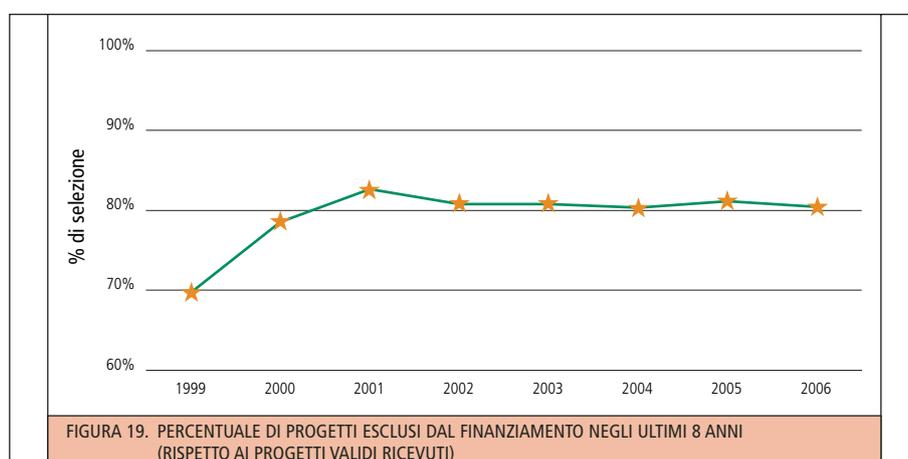
**MARIA TERESA CARRI**

DOCENTE DI BIOCHIMICA ALL'UNIVERSITÀ DI ROMA  
"TOR VERGATA"

### I PROGETTI DI RICERCA

Dei 266 progetti validi presentati, 162 hanno superato la selezione preliminare denominata Triage (applicata quando si riceve un alto numero di proposte da vagliare; si veda la Figura 12).

- ★ ★ ★ La Commissione Medico-Scientifica ha individuato 52 progetti meritevoli di finanziamento, per i quali il Consiglio di Amministrazione del Comitato ha deliberato una disponibilità finanziaria di **11.056.875 Euro**. Nel bando 2006 per i progetti di ricerca, la soglia di selezione si è mantenuta ad un livello elevato, e simile a quelli degli anni precedenti, escludendo dal finanziamento più dell'80% dei progetti presentati (Figura 19). Questo dato mostra l'elevata selettività del processo di revisione.



### I SERVIZI ALLA RICERCA

- ★ ★ ★ Nell'anno di competenza del Bilancio, la Commissione ha valutato 11 progetti approvandone 5, per un totale di **691.000 Euro**.

### LE BORSE DI STUDIO ALL'ESTERO

- ★ ★ ★ La Commissione Medico-Scientifica ha valutato, nel corso della riunione di novembre 2005, 19 candidature approvandone 5, per un totale di **300.000 Euro**.

### I PROGETTI TELETHON-UILDM

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

★★★ In risposta al bando 2005 per progetti clinici Telethon-UILDM, sono stati valutati 10 progetti, 2 dei quali sono stati ammessi al finanziamento per un totale di **839.191 Euro**.

### PROGETTO SPECIALE - FONDAZIONE SERENA

★★★ Nel corso dell'esercizio la Fondazione Telethon - insieme alla UILDM e all'Azienda Ospedaliera Niguarda di Milano - ha deciso di aderire come socio fondatore alla costituzione della Fondazione Serena e ha a tal fine deliberato un importo di **400.000 Euro**.

Scopo statutario della Fondazione Serena è rispondere alle necessità di chi è affetto da malattie neuromuscolari e, in particolare, dalla distrofia muscolare. L'attività della Fondazione Serena si svolgerà in concessione gratuita in apposita struttura ospedaliera della regione Lombardia presso l'ospedale Niguarda, dove è in fase di allestimento il centro clinico NEMO, di elevata competenza multidisciplinare sulle malattie neuromuscolari, che ha lo scopo di fornire ai pazienti e ai familiari servizi clinici e riabilitativi integrati.



#### TELETHON E LA LOTTA CONTRO LE MALATTIE NEUROMUSCOLARI

Nel 2005-2006 Telethon ha investito 6.4 milioni di Euro in 27 progetti sulle malattie neuromuscolari, un gruppo di patologie che comprendono le distrofie muscolari, come quella di Duchenne, ma anche numerose altre malattie gravi o invalidanti come l'atrofia muscolare spinale, la sclerosi laterale amiotrofica e la malattia di Charcot-Marie-Tooth. Le malattie neuromuscolari, e in particolare la distrofia muscolare di Duchenne, figurano tra le malattie su cui Telethon ha investito di più dall'inizio della propria attività, finanziando 720 progetti per un totale di 59.247.877 Euro.

Gli studi di Telethon sulle distrofie spaziano oggi dalla terapia genica e cellulare agli approcci farmacologici: in ognuno di questi filoni - gli stessi su cui punta la ricerca mondiale - i ricercatori finanziati da Telethon hanno registrato quest'anno risultati di estrema importanza (p. 46). La terapia genica ha permesso di migliorare la forza e l'integrità muscolare nei topi affetti da due forme di distrofia (Irene Bozzoni); la terapia cellulare con staminali adulte ha curato per la prima volta cani affetti da distrofia di Duchenne ed è attualmente allo studio il passaggio alla fase clinica (Giulio Cossu); infine, grazie all'approccio farmacologico con composti chiamati inibitori delle acetilasi i ricercatori hanno compensato il danno in topi affetti da distrofia di Duchenne, aumentando la resistenza delle fibre muscolari (Lorenzo Puri). All'impegno nella ricerca si è affiancato, quest'anno, il contributo di Telethon alla creazione della Fondazione Serena e del centro NEMO (vedi sopra).

“ È REALE IL FATTO CHE LA RICERCA ABBIÀ PORTATO GRANDE GIOVAMENTO A CHI HA LA DISTROFIA MUSCOLARE, MIGLIORANDO IL QUOTIDIANO E ALLUNGANDO LE PROSPETTIVE DI VITA ”



**ALBERTO FONTANA**  
PRESIDENTE DELL'UNIONE ITALIANA LOTTA ALLA DISTROFIA MUSCOLARE

**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 20), risulta che il finanziamento medio per progetto è cresciuto costantemente. Questo indica non solo l'adeguamento naturale ai costi sempre più elevati della ricerca, ma anche l'impegno di Telethon a sostenere ricerche sempre più complesse ed impegnative, organizzate anche in progetti multicentrici, che offrono ai ricercatori una maggiore competitività e migliori speranze di successo.

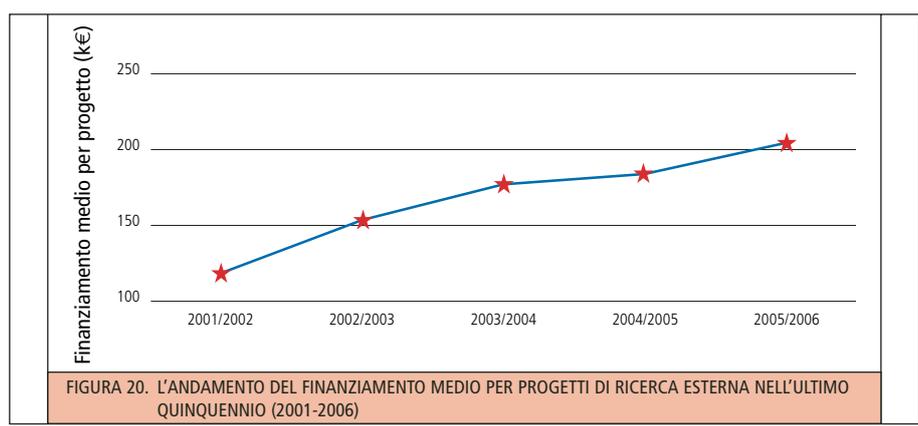
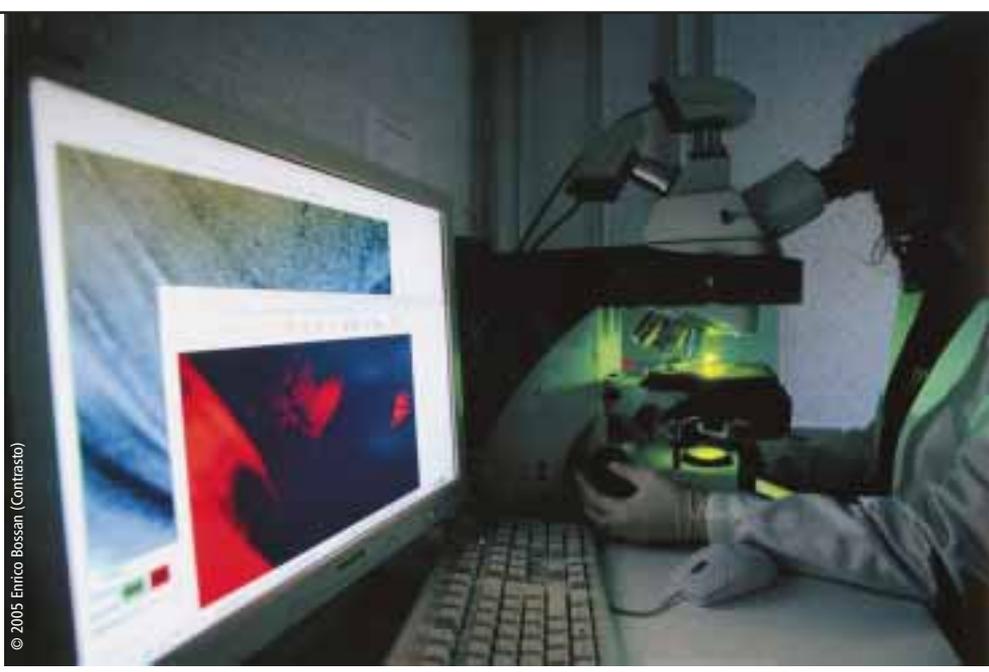


FIGURA 20. L'ANDAMENTO DEL FINANZIAMENTO MEDIO PER PROGETTI DI RICERCA ESTERNA NELL'ULTIMO QUINQUENNIO (2001-2006)



© 2005 Enrico Bossan (Contrasto)

## LA RICERCA INTERNA

★★★ Il finanziamento agli istituti interni di ricerca, nel 2005-2006 è stato complessivamente di **10.463.290 Euro**, suddiviso tra le erogazioni del Comitato e gli oneri gestionali della Fondazione, distribuiti secondo lo schema della Figura seguente.

ISTITUTO	IMPORTI DELIBERATI DAL COMITATO	ONERI GESTIONALI SOSTENUTI DALLA FONDAZIONE	FINANZIAMENTO TOTALE (EURO)
TIGEM	2.960.000	-	2.960.000,00
HSR-TIGET	2.661.813	96.360	2.758.173
DTI	4.535.750	209.367,43	4.745.117,43
<b>Totale generale</b>	<b>10.157.563</b>	<b>305.727,43</b>	<b>10.463.290,43</b>

FIGURA 21. PROSPETTO RIEPILOGATIVO DEI FONDI ASSEGNATI DA TELETHON ALLA RICERCA INTERNA PER OGNI SUO ISTITUTO (2005-2006)

### IL TELETHON INSTITUTE OF GENETICS AND MEDICINE (TIGEM)

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

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

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

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

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

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 2006 lavoravano 105 persone (Figura 22).

Dipendenti	17
Collaboratori	48
Professionisti	5
Borsisti	35
<b>Totale personale</b>	<b>105</b>
Uomini	40
Donne	65
<i>Group Leader</i> (Ricercatori principali)	12
Ricercatori junior e tecnici	81
Personale amministrativo e di supporto	12

FIGURA 22. IL PERSONALE DEL TIGEM

“ SI È CHIUSO UN ANNO MOLTO IMPORTANTE PER IL TIGEM, CULMINATO CON LA SITE VISIT DELLA COMMISSIONE MEDICO-SCIENTIFICA CHE HA RICONOSCIUTO IL VALORE SCIENTIFICO INTERNAZIONALE DELL’ISTITUTO. INIZIANO ORA CINQUE ANNI D’INTENSA ATTIVITÀ ”



**ANDREA BALLABIO**  
DIRETTORE DEL TIGEM

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 attivi 39 programmi di dottorato, che si aggiungono ai 14 programmi portati a termine finora.

★ ★ ★ A marzo del 2006 si è svolta la nuova sessione di valutazione durante la quale il TIGEM ha presentato il nuovo piano quinquennale relativo alle strategie dell’Istituto, ai progetti di ricerca da svolgere e al budget richiesto. A seguito della valutazione è stato deliberato il finanziamento di **2.960.000 Euro**, (relativo al periodo luglio 2006 - giugno 2007) che andrà a coprire 12 progetti di ricerca, oltre a costi strutturali e a quelli relativi ai servizi e laboratori comuni (microscopia, colture cellulari, bioinformatica etc.).

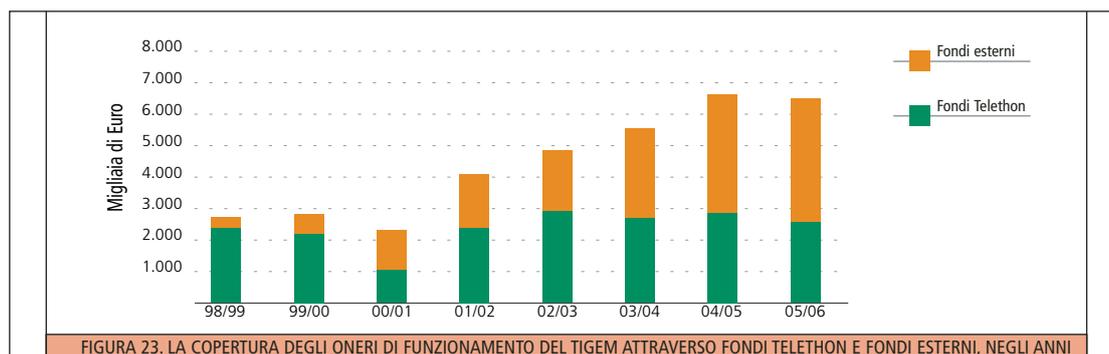
Il TIGEM riceve finanziamenti anche da altri enti, principalmente per lo svolgimento di progetti di ricerca, ma anche come supporto ai costi della struttura (Figura 23).

Nel presente esercizio il TIGEM ha ottenuto nuovi contributi da:

- enti europei (Commissione Europea nell’ambito del VI Programma Quadro e European Molecular Biology Organization);
- enti pubblici italiani (Ministero dell’Istruzione, Università e Ricerca attraverso i fondi FIRB e Regione Campania);
- enti privati italiani (Associazione Italiana per la Ricerca sul Cancro);
- enti americani (National Institute of Health).

I fondi ottenuti dagli enti esterni hanno costituito negli anni un volano di crescita per il TIGEM. Dalla Figura 23 si può notare, infatti, come i suoi oneri siano aumentati nel tempo e come si sia fatto fronte alla loro copertura con i finanziamenti esterni, mantenendo allo stesso tempo stabili gli impieghi di Telethon.

Ogni progetto del TIGEM costituisce un centro di costo e questo permette di allocare con precisione le spese delle singole linee di ricerca. I ricercatori responsabili dei progetti sono così informati periodicamente sullo stato dei loro fondi. Le persone dedicate alla gestione amministrativa delle spese sui budget assegnati all’istituto sono 3, due dislocate a Napoli e una a Roma; mediamente ciascuna di loro ha gestito nell’anno costi per 2,3 milioni di Euro.



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

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

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

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

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

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

★★★ Nell'anno 2005-2006 tre nuovi pazienti sono stati arruolati nel protocollo clinico; nello stesso periodo il protocollo ha inoltre ottenuto la designazione di "farmaco orfano" da parte dell'EMA, l'ente regolatorio europeo sui farmaci.

Il personale dell'istituto HSR-TIGET è composto da 73 unità tra ricercatori, tecnici, personale clinico e amministrativo (Figura 24). Ad eccezione del direttore e del condirettore, tutto il personale è a carico della Fondazione San Raffaele del Monte Tabor. I progetti attivi sono 12; presso l'HSR-TIGET si svolgono anche corsi di dottorato e tirocini formativi.

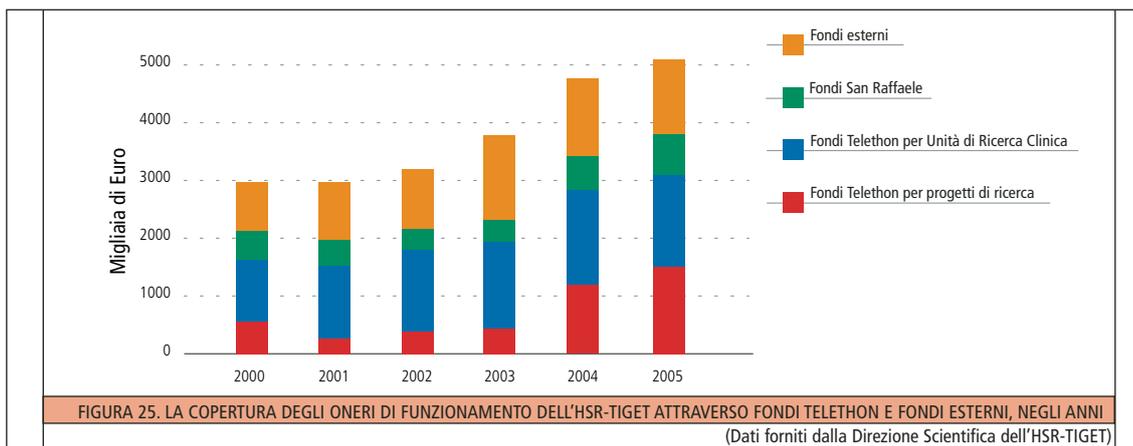
Direttori, <i>group leader</i> e <i>project leaders</i>	12
Ricercatori, tecnici e dottorandi	50
Personale clinico	6
Personale amministrativo	5
<b>Totale personale</b>	<b>73</b>
Uomini	18
Donne	55
<b>FIGURA 24. IL PERSONALE DELL'HSR-TIGET A DICEMBRE 2005</b>	
(Dati forniti dalla Direzione Scientifica dell'HSR-TIGET)	

Dalla sua nascita, l'istituto HSR-TIGET ha ottenuto da Telethon finanziamenti triennali secondo la procedura di revisione descritta nella sezione relativa alla valutazione degli istituti interni di ricerca. L'ultima valutazione invece è stata impostata per un quinquennio ed è avvenuta a novembre 2005 per il periodo 2006-2010.

★ ★ ★ Nel corso dell'esercizio è stato deliberato un totale di **2.661.813 Euro** relativo alla prima annualità, gennaio-dicembre 2006, per i progetti di ricerca (1.854.365 Euro) e per l'Unità di Ricerca Clinica (807.448 Euro).

Telethon finanzia circa il 38% dei costi necessari all'attività di ricerca dell'HSR-TIGET ed una quota equivalente è messa a disposizione dalla Fondazione San Raffaele. La parte restante viene coperta da contributi di altri enti. Tra questi figurano: la Commissione Europea, il Ministero dell'Università e Ricerca attraverso i fondi FIRB, l'Istituto Superiore di Sanità, il National Institute of Health (NIH – USA), la Fondazione Americana per il Diabete Giovanile (JDRF) e altri enti e fondazioni private come la Fondazione Cariplo.

Per quanto riguarda l'Unità di Ricerca Clinica, Telethon si fa carico di una quota tra il 50 e il 60% dei fondi necessari. I fondi di cui dispone l'HSR-TIGET sono gestiti dalla Fondazione San Raffaele che periodicamente sottopone a Telethon il rendiconto sull'utilizzo dei fondi.



★ ★ ★ Nel corso del 2005-2006 si è dato l'avvio a due nuovi progetti clinici per i quali è necessario lo sviluppo dei vettori lentivirali per uso clinico. A questo scopo la Fondazione Telethon ha attivato contratti con una ditta specializzata. I primi costi sostenuti dalla Fondazione Telethon in questo esercizio sono pari a 96.360 Euro. Il costo totale previsto per i due anni successivi è pari a circa 5.200.000,00 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* (p. 25). L'istituto prevede tre livelli di carriera a seconda dell'esperienza e del merito dei candidati: *Assistant*, *Associate* e *Senior Telethon Scientist* (Figura 26). 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)
<b>Assistant Telethon Scientists</b> (ricercatori con almeno 3 anni di esperienza post-dottorale, pubblicazioni internazionali e capacità di lavoro indipendente)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 210.000 per il salario</li> <li>• 240.000 totali di grant di ricerca</li> <li>• 25.000 totali come starting grant</li> <li>• 42.000 per borse di studio</li> </ul>	5 anni	517.000
<b>Associate Telethon Scientists</b> (ricercatori che guidano da almeno 3 anni un gruppo indipendente e riconosciuti a livello internazionale)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 310.000 per il salario</li> <li>• 490.000 totali di grant di ricerca</li> <li>• 25.000 totali come starting grant</li> <li>• 42.000 per borse di studio</li> </ul>	5 anni	867.000
<b>Senior Telethon Scientists</b> (scienziati al più alto livello della produzione scientifica)	da negoziare	5 anni	da negoziare

FIGURA 26. 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.

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.

“ FINALMENTE IN ITALIA QUALCUNO PARLAVA LA MIA LINGUA, QUALCUNO RAGIONAVA CON GLI STESSI CRITERI CON CUI MI ERO FORMATO NEGLI STATI UNITI ”



#### STEFANO BERTUZZI

TELETHON SCIENTIST DAL SETTEMBRE 2001 ALL'AGOSTO 2005. ATTUALMENTE STAFF SCIENTIST, NATIONAL INSTITUTE OF NEUROLOGICAL DISEASES AND STROKE, NIH  
SCIENCE POLICY ANALYST, OFFICE OF THE NIH DIRECTOR

★☆☆ Il DTI ha acquisito, nel corso dell'esercizio, un nuovo ricercatore, Davide Gabellini, con la qualifica di *Assistant Telethon Scientist*. La selezione di questo scienziato si è conclusa durante la sessione valutativa della Commissione Medico-Scientifica di Telethon nel novembre 2005 e il Comitato Telethon Fondazione ONLUS ha deliberato l'assegnazione totale di **517.000 Euro** (in cinque anni). La Fondazione ha avviato, quindi, le procedure per l'insediamento di questo ricercatore all'interno della Fondazione San Raffaele del Monte Tabor di Milano.

TIPOLOGIA	POSIZIONI DISPONIBILI	PROGETTI PRESENTATI (*)	PROGETTI APPROVATI	VALORE (MIGLIAIA DI EURO)
<i>Assistant Telethon Scientist</i>	1	8	1	517,00
<i>Associate Telethon Scientist</i>	0	0	0	0
<i>Senior Telethon Scientist</i>	0	0	0	0
<b>Totale</b>	<b>1</b>	<b>8</b>	<b>1</b>	<b>517,00</b>

FIGURA 27. IL BANDO 2005 PER LE NUOVE POSIZIONI DEL DTI

(\*) progetti validi presentati

★☆☆ A novembre 2005 si è svolta anche la valutazione per rinnovi e promozioni di otto ricercatori del Dulbecco Telethon Institute. Tre *Assistant Telethon Scientists* sono stati promossi al livello di *Associate*; tre sono stati confermati al livello di *Assistant* per altri due anni; un *Associate Telethon Scientist* è stato confermato per un ulteriore quinquennio e un contratto è stato chiuso. A fronte dei rinnovi e delle promozioni, sono stati stanziati **3.906.250 Euro**. Inoltre, come già indicato, nel corso dell'esercizio 2004-2005 si era proceduto con una revisione dei livelli salariali dei *Telethon Scientist*, giudicati non più adeguati al livello professionale richiesto. Il relativo costo aggiuntivo sostenuto dalla Fondazione Telethon nel presente esercizio è stato di **209.367,43 Euro**.

Fondi aggiuntivi, per un importo totale di **112.500 Euro**, sono stati ottenuti dal DTI attraverso la partecipazione di *Telethon Scientists* a progetti multicentrici presentati a Telethon ed approvati dalla Commissione Medico-Scientifica.

Al 30 giugno 2006 i *Telethon Scientists* sono 23. La tabella della pagina seguente indica i nomi e le aree di ricerca di ciascuno di loro. In totale, il personale del DTI conta 90 unità, tutte remunerate da Telethon (Figura 28).

Dipendenti	1
Collaboratori	38
Professionisti	4
Borsisti	47
<b>Totale personale</b>	<b>90</b>
Uomini	33
Donne	57
<i>Group leader</i>	23
Ricercatori junior e tecnici	65
Personale amministrativo	2

FIGURA 28. LA SUDDIVISIONE DEL PERSONALE DEL DTI PER FUNZIONE

RICERCATORI DTI ATTIVI AL 30 GIUGNO 2006	
LIVELLI DI CARRIERA	AREA DI RICERCA
<b>Associate Telethon Scientist</b>	
Valerio Orlando	Epigenetica e riprogrammazione del genoma
Francesco Ceconi	Malattie neurodegenerative
<b>Assistant Telethon Scientists</b>	
Daniela Barilà	Malattie neurodegenerative (atassia telangectasia)
Alessandra Boletta	Rene policistico
Alessandra Bolino	Malattie neuromuscolari (Charcot-Marie-Tooth)
Valentina Bonetto	Malattie neurodegenerative (sclerosi laterale amiotrofica, malattia di Huntington)
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)
Francesca Fanelli	Studi strutturali di proteine
Manolis Fanto	Malattie neurodegenerative (atrofia dentatorubropallidoluisiana)
Margherita Maffei	Obesità
Giorgio Merlo	Sviluppo embrionale (malformazioni congenite craniofacciali e degli arti)
Giovanna Musco	Studi strutturali di proteine
Maria Passafaro	Malattie neurodegenerative (ritardo mentale legato al cromosoma X)
Livio Pellizzoni	Atrofia muscolare spinale
Pier Lorenzo Puri	Malattie neuromuscolari
Luca Rampoldi	Malattie cistiche renali
Marco Sandri	Distrofia muscolare
Luca Scorrano	Malattie mitocondriali (atrofia ottica dominante)
Manuela Zaccolo	Malattie neuromuscolari (cardiomiopatia ipertrofica)

A riprova della qualità della ricerca effettuata dai *Telethon Scientists*, il DTI beneficia anche di finanziamenti da parte di enti nazionali e internazionali, portando all'istituto ulteriori fondi esterni vincolati allo svolgimento di progetti di ricerca (Figura 29).

I finanziamenti esterni sono arrivati da:

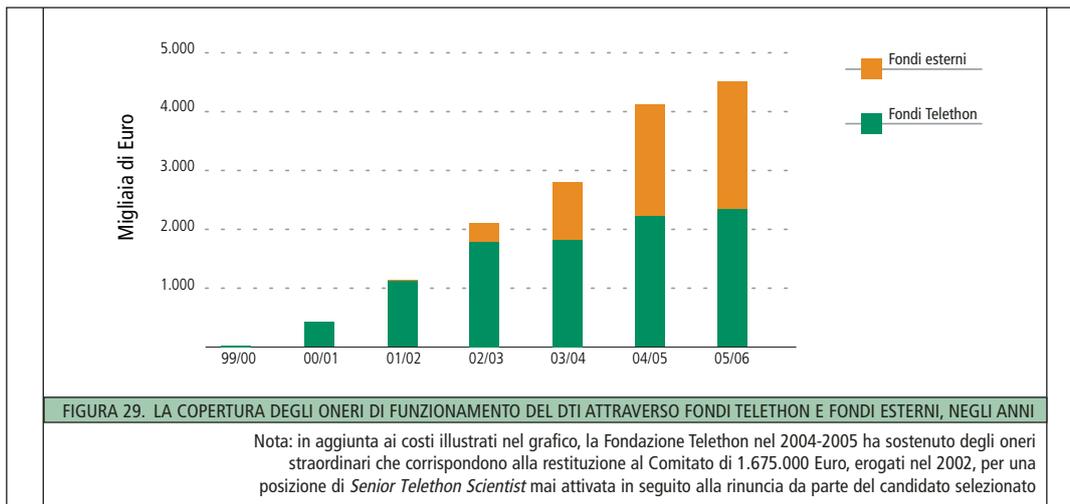
- enti europei (Commissione Europea nell'ambito del VI Programma Quadro RTD; European Molecular Biology Organization);
- enti italiani (Compagnia San Paolo; Associazione Italiana per la Ricerca sul Cancro; Fondazione Cariplo; Ministero dell'Istruzione, dell'Università e della Ricerca attraverso i fondi FIRB);
- enti americani (Giovanni Armenise - Harvard Foundation).

★★★ Di particolare rilievo è il contributo di 1.200.000 Euro stanziato nel corso dell'esercizio dalla fondazione bancaria Compagnia di San Paolo che da anni sostiene le attività di ricerca del DTI.

Un altro risultato di rilievo del DTI è il riconoscimento di molti dei suoi laboratori come sedi di svolgimento di dottorati di ricerca. In particolare sono state attivate posizioni di dottorato presso l'Università degli Studi di Milano, l'Università degli Studi di Roma Tor Vergata, l'Università degli Studi di Modena e Reggio Emilia, l'Università degli Studi di L'Aquila e l'Università degli Studi di Padova. Ad oggi sono 10 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 29).

Attualmente due persone si occupano, presso gli uffici di Roma, della gestione dei costi relativi ai fondi assegnati ai vari ricercatori; ciascuna delle due gestisce un volume medio di oneri pari a 2,5 milioni di Euro.



## 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 30). 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*.

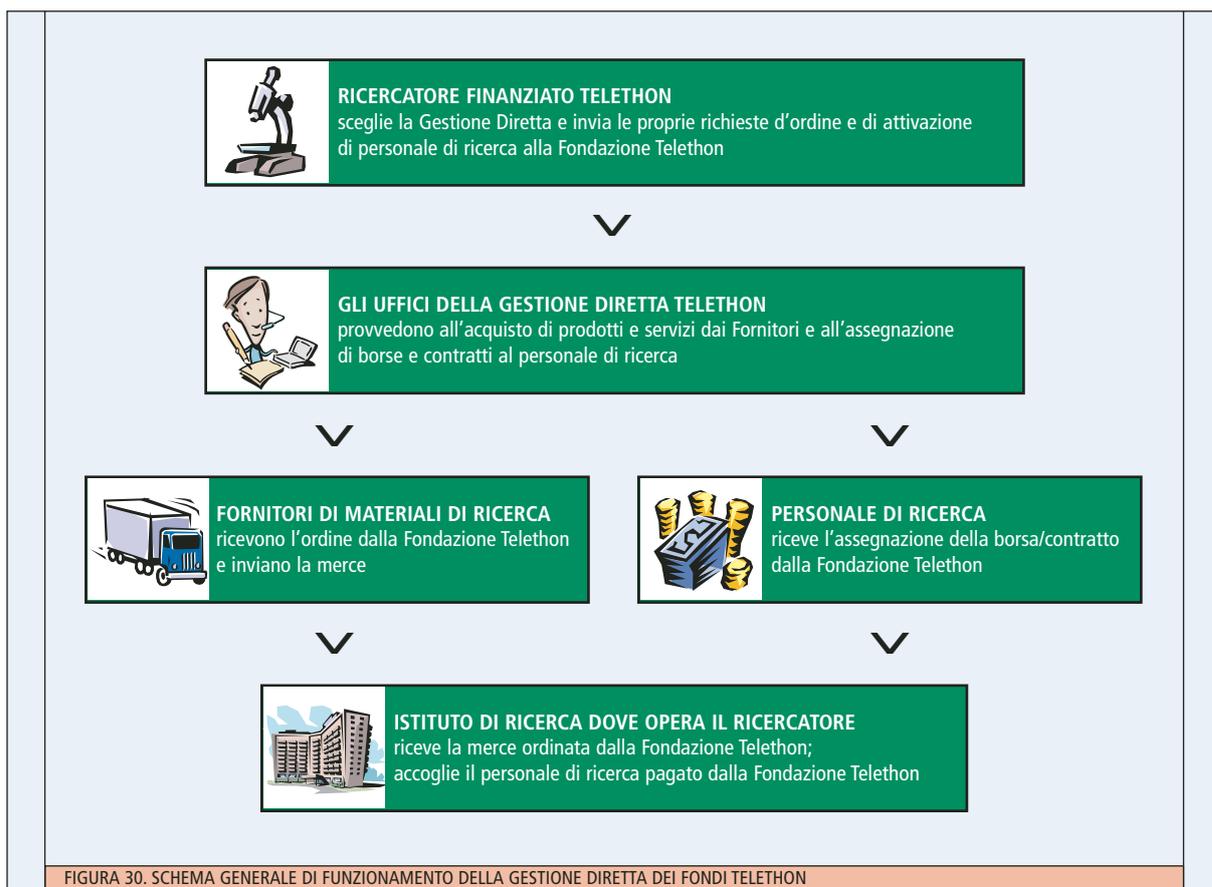
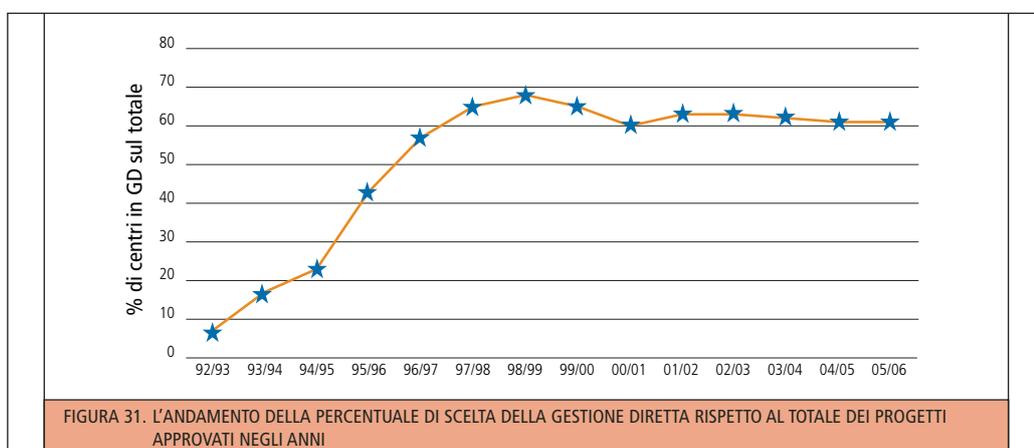


FIGURA 30. SCHEMA GENERALE DI FUNZIONAMENTO DELLA GESTIONE DIRETTA DEI FONDI TELETHON

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 31).

★ ★ ★ Al 30 giugno 2006, dei 255 progetti in corso di finanziamento 164 erano in Gestione Diretta pari al 64% dei progetti attivi assegnatari di fondi Telethon.



### AMMINISTRAZIONE DEI FONDI: LA VALUTAZIONE DEI RICERCATORI

Nel corso del 2005-2006, nel rispetto dei criteri indicati dal Sistema di Gestione della Qualità (SGQ), Teleton ha somministrato a tutti i ricercatori un questionario allo scopo di valutare le attività della Gestione Diretta (Figura 32). Ai ricercatori è stato chiesto di attribuire un giudizio sulla qualità (da scarso a ottimo) e di scegliere un indice di importanza (basso, medio, alto) per le principali attività svolte. Il questionario è stato somministrato, in maniera anonima, a 201 ricercatori e il 50,7% di loro ha risposto (102 questionari restituiti).

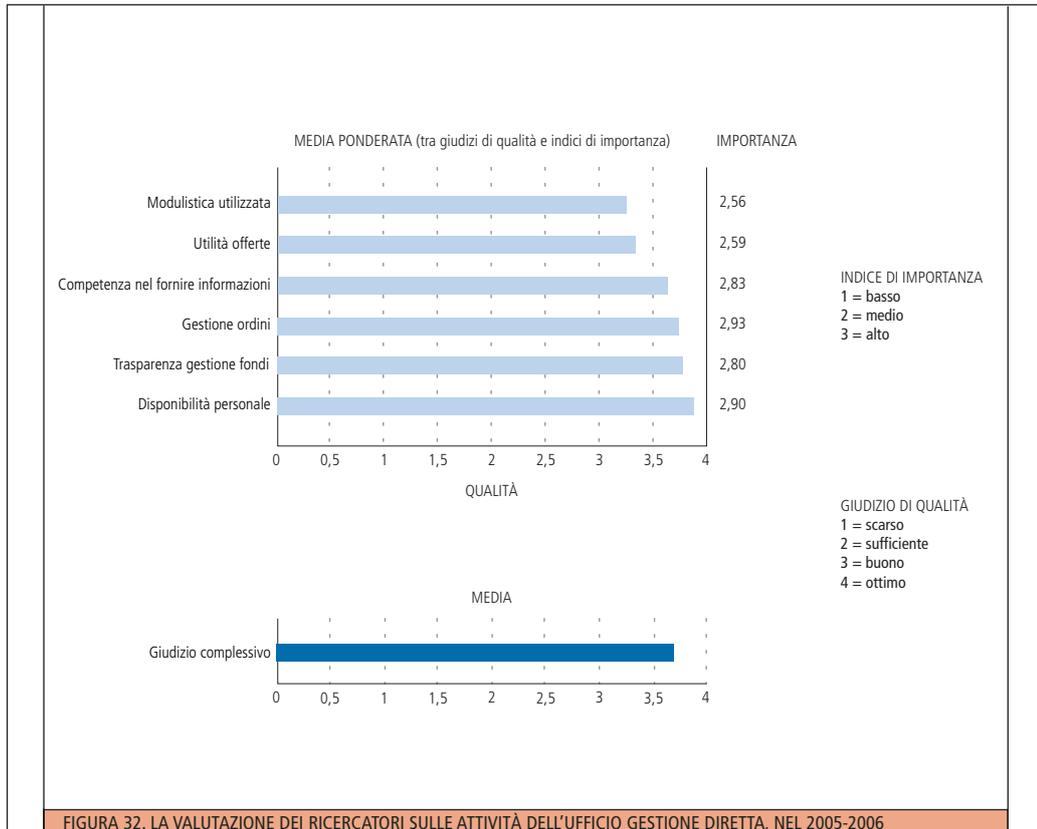


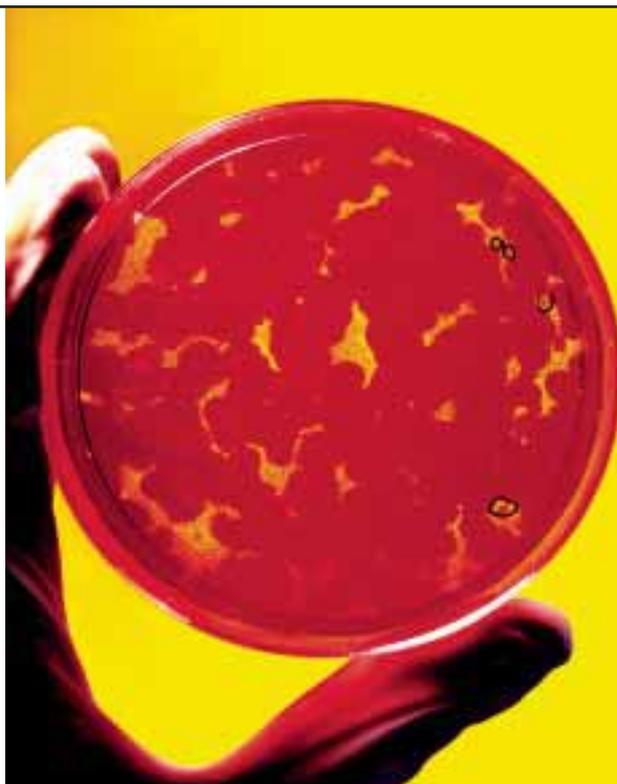
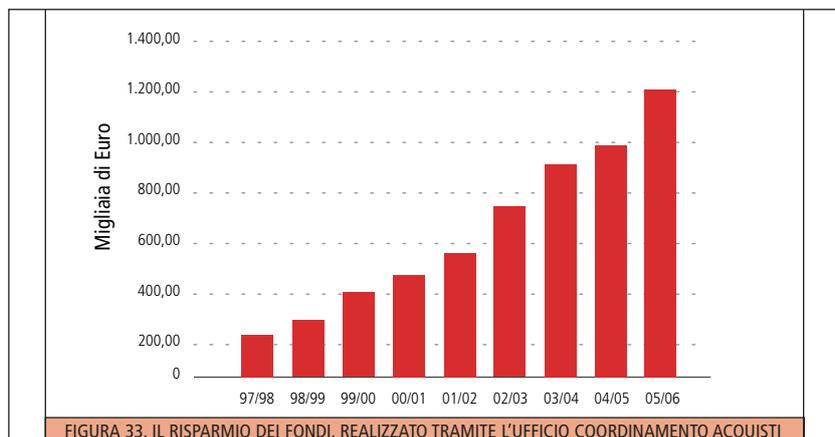
FIGURA 32. LA VALUTAZIONE DEI RICERCATORI SULLE ATTIVITÀ DELL'UFFICIO GESTIONE DIRETTA, NEL 2005-2006



### L'UFFICIO COORDINAMENTO ACQUISTI

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

L'UCA sfrutta la centralizzazione degli acquisti che la Fondazione Telethon opera sia per i progetti in Gestione Diretta che per gli istituti interni di ricerca, in modo da ottenere condizioni contrattuali vantaggiose dalle aziende che forniscono materiale per ricerca. Secondo una stima effettuata internamente (attraverso il sistema informatico utilizzato per la gestione dei budget) emerge che la gestione centralizzata degli acquisti ha prodotto nell'ultimo esercizio un risparmio pari a **1.282.536 Euro** realizzato grazie all'applicazione di sconti da parte delle aziende che hanno sottoscritto un accordo di fornitura con Telethon. Nel corso degli ultimi anni, questo dato sta riscontrando degli incrementi significativi (Figura 33) e ciò si traduce in una produzione di maggiore valore dei fondi a disposizione dei ricercatori.



## I RISULTATI DELLA RICERCA

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

### I RISULTATI NELLA TERAPIA CLINICA

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

FAR AVANZARE LA RICERCA  
SCIENTIFICA VERSO LA CURA

★★★ Nell'anno 2005-2006 tre nuovi pazienti sono stati arruolati nel protocollo clinico; nello stesso periodo il protocollo ha inoltre ottenuto la designazione di "farmaco orfano" da parte dell'EMA, l'ente regolatorio europeo sui farmaci. Il prossimo passo sarà quello di fare uscire la terapia dalla fase sperimentale, promuovendone la registrazione presso le autorità sanitarie.

Risultati incoraggianti arrivano anche dalla prima terapia genica sull'Epidermolisi Bullosa, una grave malattia genetica della pelle ("i principali risultati pubblicati", più avanti  p. 49).

### LA QUALITÀ DELLE PUBBLICAZIONI

Numerosi indicatori dimostrano l'eccellente qualità della ricerca scientifica finanziata da Telethon. In particolare, il numero medio di citazioni ottenute dalle pubblicazioni scientifiche scaturite da Telethon - una misura standard della loro qualità ( p. 103) - è cresciuto costantemente dal 1991 ad oggi in tutte le aree della ricerca sulle malattie genetiche ed è oggi superiore alla media europea, e comparabile a quella degli Stati Uniti. Questo si deve in gran parte all'alto livello qualitativo, 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 2005-2006 sono stati pubblicati, su riviste di prestigio internazionale, **560** 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. 18).

Il titolare del progetto Telethon e la relativa pubblicazione (fra parentesi) sono riportati in fondo a ciascun risultato.

#### 1 Identificazione del difetto genetico

- Identificato il difetto genetico responsabile di una **rara malattia metabolica**, abbreviata MDDS, che causa gravi danni al fegato e al sistema nervoso dei neonati.

Massimo Zeviani, IRCCS-Besta, Milano. (*Nature Genetics*, 2006 May; 38 (5): 570-5)

“ SEI ANNI FA QUANDO APPLICAMMO LA TERAPIA GENICA PER LA PRIMA VOLTA FU PER NOI UN EVENTO ECCEZIONALE. OGGI È QUASI UNA ROUTINE, MA È IMMUTATA L'EMOZIONE DI VEDERE UN BIMBO CHE CRESCE SANO GRAZIE AL NOSTRO PROTOCOLLO ”



**ALESSANDRO AIUTI**

RESPONSABILE DEL PROTOCOLLO ADA-SCID  
ISTITUTO SAN RAFFAELE TELETHON PER LA TERAPIA  
GENICA (HSR-TIGET)

- Individuata l'alterazione genetica responsabile di una **grave anemia ereditaria da carenza di ferro**. La scoperta facilita la diagnosi precoce di questa malattia, i cui sintomi sono molto simili alla talassemia, permettendo di instaurare la terapia corretta.

Achille Iolascon, Università di Napoli e Clara Camaschella, Istituto San Raffaele, Milano. (*Blood*, 2006 Jan 1;107(1):349-54)

- Identificato il difetto genetico responsabile della **cardiomiopatia aritmogena del ventricolo destro**, una malattia ereditaria che causa aritmie e, nei casi più gravi, morte improvvisa. Aumentano così le possibilità di diagnosticare questa patologia e trattare i pazienti, evitando le conseguenze più gravi.

Andrea Nava, Università di Padova. (*Circulation*, 2006 Mar 7;113(9):1171-9)

## 2 Studio dei meccanismi genetici e fisio-patologici

- Svelati i meccanismi che causano l'**atrofia ottica dominante**, una forma genetica e progressiva di cecità che colpisce i bambini. A scatenare la malattia è il suicidio programmato (apoptosi) dei neuroni del nervo ottico.

Luca Scorrano, Istituto Telethon Dulbecco, V.I.M.M., Padova. (*Cell*, 2006 Jul 14; 126 (1): 177-89; *Cell* 2006 Jul 14; 126 (1): 163-75)

- Individuato un meccanismo-chiave che scatena la **distrofia facio-scapolo-omerale**, malattia che indebolisce i muscoli del viso, delle spalle e delle gambe: una proteina difettosa altera la trasmissione dell'informazione genetica nelle cellule muscolari.

Rossella Tupler, Università di Modena e Reggio Emilia. (*Nature*, 2006 Feb 23; 439 (7079): 973-7)

- Scoperto un importante meccanismo patogenetico della **sclerosi laterale amiotrofica**, una malattia neurodegenerativa che porta a paralisi progressiva: il danno neuronale parte dall'interno dei mitocondri, le "centrali energetiche" della cellula.

Maria Teresa Carrì, Università Tor Vergata, Roma. (*PNAS*, 2006 Sep 12;103(37):13860-5)

- Individuato il meccanismo alla base di una grave malattia autoimmune chiamata **IPEX**. Il guasto risiede nei "guardiani" del sistema immunitario, le cellule T regolatorie, che non sono più in grado di impedire l'attacco dei tessuti sani.

Maria Grazia Roncarolo, Rosa Bacchetta, HSR-TIGET, Milano. (*Journal of Clinical Investigation*, 2006. 116:1713-1722)

- Chiarito il meccanismo della **malattia di Charcot-Marie-Tooth di tipo 4B1**, una malattia ereditaria che provoca debolezza e insensibilità delle gambe e dei piedi, grazie al lavoro di quattro gruppi finanziati da Telethon. Il difetto è nelle cellule che producono la mielina, il rivestimento isolante che circonda le terminazioni nervose.

Alessandra Bolino, Istituto Telethon-Dulbecco, Istituto San Raffaele, Milano.

Laura Feltri, Stefano Previtali, Lawrence Wrabetz, Istituto San Raffaele, Milano. (*Journal of Neuroscience*, 2005 14;25(37):8567-77)

## 3 Studio di strategie terapeutiche *in vitro*

- Un composto sperimentale è in grado di aumentare i livelli di distrofina, la proteina difettosa nella **distrofia muscolare di Duchenne**, in cellule muscolari prelevate da pazienti e coltivate in laboratorio.

Carlo Minetti, Istituto Gaslini, Genova. (*Am J Physiol Cell Physiol*, 2006 Feb; 290 (2): C577-82)

#### 4 Ricerca preclinica *in vivo*

- Curati cani affetti da una forma spontanea di **distrofia muscolare di Duchenne** grazie al trapianto di cellule staminali adulte chiamate mesangioblasti. Il trattamento ha migliorato nettamente la deambulazione e la forza muscolare degli animali. Si lavora adesso per progettare la sperimentazione sui pazienti.

Giulio Cossu, Istituto Scientifico San Raffaele, Milano. (*Nature*, 2006 Nov 15 on line)

- Composti chiamati inibitori delle acetilasi arrestano la progressione della malattia in topi affetti da due forme di **distrofia muscolare**. Questi agenti compensano il danno distrofico aumentando la larghezza e la resistenza delle fibre muscolari.

Lorenzo Puri, Istituto Telethon Dulbecco, Fondazione Cisalpino, Roma. (*Nature Medicine*, 2006 Oct; 12 (10): 1147-50)

- Una nuova tecnica di terapia genica migliora la forza e l'integrità muscolare nei topi con **distrofia muscolare**. Il procedimento permette alle cellule muscolari di produrre sufficienti quantità della proteina distrofina, il cui difetto causa la malattia.

Irene Bozzoni, Università La Sapienza, Roma. (*PNAS*, 2006 Mar 7; 103 (10))

- Sperimentata con successo una nuova strategia terapeutica per il **diabete di tipo 1**. Due farmaci, comunemente utilizzati per altre patologie, bloccano in topi di laboratorio la distruzione delle cellule del pancreas produttrici di insulina.

Manuela Battaglia, HSR-TIGET, Milano. (*Diabetes*. 2006 Jun; 55 (6): 1571-80)

- La terapia genica corregge alcuni sintomi in topi affetti da **albinismo oculare di tipo I**, una malattia genetica dell'occhio che colpisce anche l'Uomo. Prossima tappa: testare l'efficacia e la sicurezza del trattamento nella retina umana.

Alberto Auricchio e Enrico Maria Surace, TIGEM, Napoli. (*Molecular Therapy*, 2005 Oct 12(4): 652-8)

- Una nuova tecnica ha permesso di evitare, in modelli animali, il **rigetto immunitario** che può distruggere i geni terapeutici, annullando l'effetto della terapia genica. Al gene terapeutico viene applicato un "codice a barre" molecolare che lo nasconde al sistema immunitario.

Luigi Naldini, HSR-TIGET, Milano. (*Nature Medicine*, 2006 May; 12(5):585-91)

- Due importanti risultati verso la cura della **paraplegia spastica ereditaria**, una malattia genetica che causa debolezza progressiva e spasticità delle gambe. La terapia genica ha rallentato la progressione della malattia in topi malati (Rugarli), mentre un farmaco comunemente usato come chemioterapico ha migliorato decisamente i sintomi della paraplegia nei moscerini della frutta (Daga).

Elena Rugarli, Istituto Neurologico Besta, Milano. (*Journal of Clinical Investigation*, 2006 116 (1):202-8)

Andrea Daga, Istituto Telethon-Dulbecco, Università di Padova. (*Journal of Clinical Investigation*, 2005 115(11):3026-3034)

- Un ambiente stimolante migliora le capacità mentali dei topi affetti da **sindrome dell'X fragile**, una delle forme più frequenti di ritardo mentale ereditario. Gli animali tenuti in un ambiente arricchito da continui stimoli visivi, uditivi e tattili mostrano migliori capacità mentali e modificazioni positive nei neuroni cerebrali.

Claudia Bagni, Università Tor Vergata, Roma; Martine Ammassari Teule, IRCSS Santa Lucia, Roma. (*PNAS* 2005 Aug 9;102(32):11557-62)

## 5 Ricerca clinica terapeutica

- Porzioni di pelle sane sono state trapiantate con successo su un uomo affetto dall'**epidermolisi bullosa**, una grave malattia genetica della pelle. Il trapianto è ottenuto da cellule dello stesso paziente, nelle quali è stata inserita la versione sana del gene che causa l'epidermolisi. Si tratta del primo successo di terapia genica per questa patologia.

Michele De Luca, Università di Modena e Reggio Emilia. (*Nature Medicine*, 19 Nov 2006 on line)



### RICONOSCIMENTI USA PER LA TERAPIA GENICA DI TELETHON

★☆☆ Il 31 Maggio 2006 il Senato degli Stati Uniti ha convocato per un'audizione Maria Grazia Roncarolo e Alessandro Aiuti, ricercatori dell'HSR-TIGET. Insieme a loro, davanti ai senatori americani c'erano Raphael Enrique, un bambino venezuelano di cinque anni, e i suoi genitori. Raphael è uno dei sette bambini curati dalla SCID, una gravissima immunodeficienza genetica, proprio grazie al protocollo messo a punto all'HSR-TIGET. Scopo dell'incontro, organizzato dall'associazione americana per la terapia genica (ASGT), era mostrare ai politici statunitensi il primo esempio al mondo di un protocollo di terapia genica sicuro ed efficace, tanto da essere stato adottato anche da alcuni importanti centri di ricerca negli USA.

Pochi giorni dopo, a Baltimora, l'ASGT ha premiato - durante il proprio meeting annuale - quattro ricercatori Telethon per la qualità delle loro ricerche. Alberto Auricchio (TIGEM) ha ricevuto l'Outstanding New Investigator Award, un premio destinato ai giovani ricercatori, mentre Brian Brown, Eugenio Montini e Angelo Lombardo, tre studiosi dell'HSR-TIGET, sono stati premiati per i loro lavori innovativi sulla terapia genica.



WASHINGTON. FOTO RICORDO AL SENATO DEGLI STATI UNITI: IL PROFESSOR ALESSANDRO AIUTI (PRIMO DA SINISTRA), RAPHAEL IN BRACCIO AL PAPÀ, IL DIRETTORE DELL'HSR-TIGET MARIA GRAZIA RONCAROLO E LA MAMMA DI RAPHAEL

### L'INFORMAZIONE SCIENTIFICA

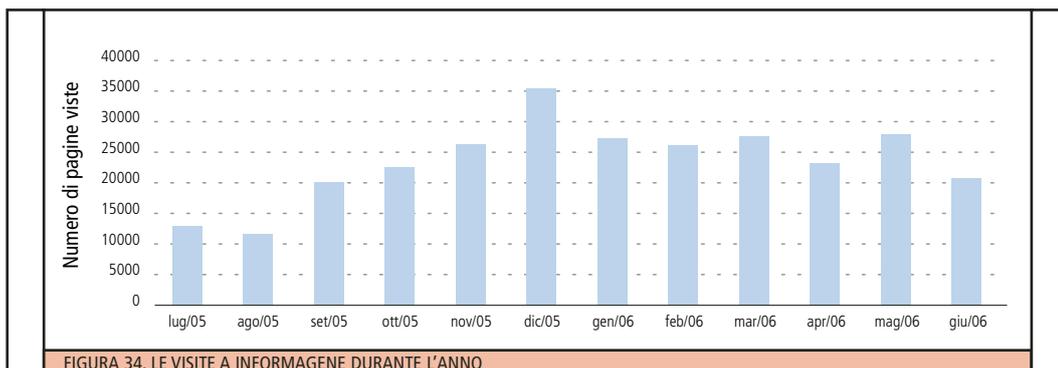
Negli anni, Telethon ha realizzato numerose iniziative per promuovere una maggiore informazione sulle malattie genetiche e sui progressi della ricerca scientifica.

#### INFORMAGENE

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

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

★ ★ ★ Da luglio 2005 a giugno 2006, il sito Informagene ha registrato una media mensile di oltre 23.000 pagine viste. Il numero di pagine viste raggiunge un picco annuale in corrispondenza della maratona televisiva di dicembre, come evidenziato dalla figura seguente.



“ MIA FIGLIA (23 ANNI) È AFFETTA DALLA SINDROME DI HALLEVORDEN-SPATZ. HO PENSATO QUINDI DI CHIEDERE IL VOSTRO AIUTO PER POTER CREARE UN'ASSOCIAZIONE DEDICATA: VORREI RIUSCIRE A METTTERMI IN CONTATTO CON ALTRE PERSONE CON LO STESSO PROBLEMA. LA MIA UNICA SPERANZA È LA RICERCA SCIENTIFICA ”



UNA MADRE CHE HA SCRITTO ALLA BACHECA DELLE ASSOCIAZIONI DI TELETHON. MENO DI UN ANNO DOPO QUEST'APPELLO È NATA L' AISNAF, L'ASSOCIAZIONE ITALIANA SINDROMI NEURODEGENERATIVE DA ACCUMULO DI FERRO (NELLA FOTO)

### SCRIVI A INFORMAGENE

È il servizio attraverso cui è possibile inviare per iscritto richieste di informazioni sulle malattie genetiche e sulla ricerca. Compilando il modulo disponibile sul sito Informagene si può scegliere di inviare una richiesta in forma anonima oppure corredata dai propri dati personali, che vengono inseriti in un database in ottemperanza alle vigenti leggi sulla privacy<sup>3</sup>.

### FILO DIRETTO

È il servizio informativo che fornisce risposte alle richieste (telefoniche, via fax o lettera cartacea) che giungono al Comitato Telethon. La maggior parte delle richieste riguarda informazioni sulle malattie genetiche, sui progressi della ricerca scientifica, sui centri di riferimento per la diagnosi e sulle associazioni dedicate alle malattie genetiche. I dati personali del richiedente e la tipologia della richiesta vengono inseriti in un database, lo stesso che raccoglie le richieste a Scrivi a Informagene, in ottemperanza alle vigenti leggi sulla privacy.

★ ★ ★ Da Luglio 2005 a Giugno 2006, Filo Diretto e Scrivi a Informagene hanno risposto a circa 600 richieste.

### L'UFFICIO FILO DIRETTO CON I PAZIENTI

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

★ ★ ★ Nell'ultimo anno, la Bacheca ([www.telethon.it/speciali/associazioni/bacheca.asp](http://www.telethon.it/speciali/associazioni/bacheca.asp)) è stata luogo d'incontro tra molte famiglie colpite da malattie genetiche; grazie all'aiuto di Telethon alcune di queste hanno avuto la possibilità di conoscersi e di fondare associazioni. In particolare, sono quattro le associazioni di malattie genetiche nate finora grazie a questa iniziativa.

<sup>3</sup> In data 21/03/2006 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).

## LA RICERCA TECNOLOGICA

TECNOTHON, IL CENTRO TELETHON

PER LA RICERCA TECNOLOGICA,

PROVEDE A SVILUPPARE

E IMPLEMENTARE

AUSILI PER PERSONE DISABILI

Se la ricerca biomedica di Telethon si concentra sullo studio delle malattie genetiche, la ricerca tecnologica vuole aiutare le persone disabili (non solo a seguito di malattie genetiche, ma anche di altre cause patologiche) nella loro vita quotidiana, privata e sociale.

Il Tecnothon è il laboratorio dove vengono sviluppati e implementati i progetti di ausilio tecnologico per l'handicap e ha sede a Sarcedo (Vicenza).



### LA MISSIONE DEL TECNOTHON

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

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

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

Dipendenti	7
Collaboratori	1
Professionisti	1
<b>Totale personale</b>	<b>9</b>
Uomini	7
Donne	2
Ricercatori	2
Tecnici	5
Personale amministrativo	2

FIGURA 35. 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.



FIGURA 36. IL PROCESSO APPLICATO PER RENDERE DISPONIBILI SUL MERCATO GLI AUSILI PROGETTATI DAL TECNOTHON

★★★ I costi sostenuti per le attività del Tecnothon nel periodo 2005-2006 sono pari a **391.899 Euro**. Nel corso dell'esercizio Tecnothon ha ottenuto un contributo da parte della Regione Veneto per un importo totale pari a 90.000 Euro di cui 60.052,50 sono serviti a coprire oneri sostenuti nell'esercizio.

## I PRINCIPALI RISULTATI DEL TECNOTHON (2005-2006)

### BAGNO PER TUTTI (VEDI BOX APPROFONDIMENTO)

#### QUATTRO (CARROZZINA 4 RUOTE MOTRICI)

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

*Risultati raggiunti:* realizzazione di un prototipo di carrozzina a 4 ruote motrici migliorato rispetto al precedente, meccanicamente ed elettronicamente. Trattative per collaborazione con nuovo partner industriale.

#### KURVA (SISTEMA DI STERZATURA)

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

*Risultati raggiunti:* analisi dello stato dell'arte, deposito di un brevetto per invenzione industriale, realizzazione e test di alcuni prototipi.

#### MARCHIO IMQ-TELETHON

*Obiettivo:* collaborare con un ente certificatore approvato, IMQ (Istituto del Marchio di Qualità) per realizzare un marchio comune che, apposto ad un prodotto, dovrebbe rappresentare una garanzia del rispetto di alcune regole di progettazione per tutti.

*Risultati raggiunti:* stesura di un protocollo di intesa con IMQ. Contatto preliminari con produttori. Creazione di un gruppo di lavoro Tecnothon-IMQ. Stesura dei requisiti essenziali di accessibilità.

### IL BAGNO PER TUTTI



Tra i tanti progetti interessanti del Tecnothon, "Bagno per tutti" è particolarmente rappresentativo della missione del Tecnothon: una progettazione che sia realmente per tutti.

Si tratta di uno studio che propone una soluzione alternativa a quella diffusa nei bagni pubblici.

L'idea di fondo nasce dalla oggettiva difficoltà di usufruire dei "normali" servizi igienici da parte di molti utenti disabili.

I contenuti del progetto sono scaturiti dall'incontro di un gruppo di tecnici e disabili che hanno condiviso le loro esperienze. Un esperto legale ha affrontato le questioni normative in una prospettiva di sviluppo e trasformazione in accordo con le linee guida previste dai piani di azione della Comunità Europea.

Il progetto si è sviluppato privilegiando l'utilizzo di tecnologie semplici ed efficaci, in grado quindi di ridurre le difficoltà di impatto dell'utente disabile, di fronte a un comune bagno pubblico. Il "Bagno per tutti" è pensato in due modelli:

"Large" che rivisita l'attuale bagno per disabili, offrendo consigli sul posizionamento e sulla scelta di sanitari e accessori; "Medium" che rivisita il bagno pubblico per normodotati e lo adotta con una serie di piccoli accorgimenti per renderlo fruibile a un'ampia fascia di utenti (  [www.unbagnopertutti.org](http://www.unbagnopertutti.org)).



parte 3

## LE ATTIVITÀ DI SUPPORTO



# 3 parte

BILANCIO DI MISSIONE AL 30 GIUGNO 2006

## **LE ATTIVITÀ DI SUPPORTO**

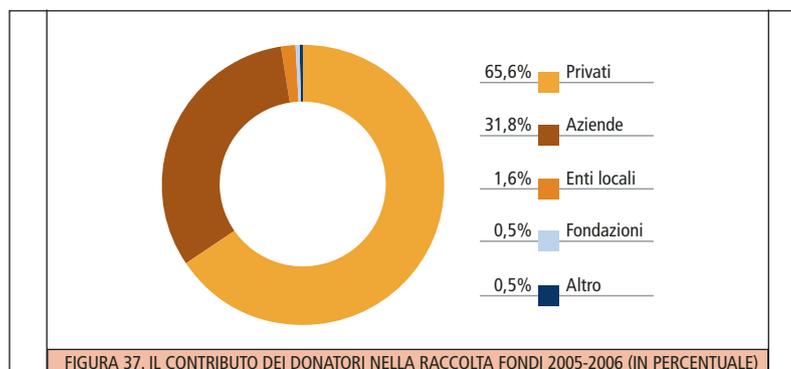
- LA RACCOLTA DEI FONDI
- LA COMUNICAZIONE SOCIALE
- LA GESTIONE DELLE RISORSE
- IL FUNZIONAMENTO DELLA STRUTTURA



## 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 2006 - principalmente attraverso la nota maratona televisiva di dicembre - ammontano a **33.041.247 Euro** con un incremento del 12,5% rispetto all'anno precedente (29.377.053 Euro). Per ciascun Euro raccolto, Telethon ha speso 18 centesimi (📄 p. 72).



### LA SQUADRA DI RACCOLTA FONDI

I 33 milioni di Euro raccolti testimoniano la relazione di fiducia che esiste tra Telethon e la comunità italiana. Un ruolo fondamentale lo svolge la squadra della raccolta fondi: aziende, fondazioni, istituzioni, associazioni di volontariato che ogni anno si mobilitano per sostenere la ricerca biomedica e che dal 2005 possono contare sui coordinatori provinciali di Telethon, la rete di volontari dedicati a promuovere le iniziative di raccolta territoriale (📄 p. 63).

CHE GLI ITALIANI PARTECIPINO ALLA LOTTA CONTRO LE MALATTIE GENETICHE

PARTNER DI VOLONTARIATO E DELLA COMUNITÀ CIVILE	Associazioni di volontariato	UILDM, AVIS
	Pubbliche Amministrazioni	Agenzia delle Entrate, Amministrazione Autonoma dei Monopoli di Stato, Enti Locali, Scuole
PARTNER AZIENDALI	Partner di Raccolta	BNL, SMA, Auchan, Gruppo Ferrovie dello Stato
	Partner Tecnici	CartaSi, Gruppo Telecom Italia, Tim, Vodafone, Wind
GRANDI DONATORI	Aziende	Artigiancassa, Autodromo di Adria, BT Albacom, Conbipel, Eli Lilly Italia, Fait, Garboli-Conicos, GlaxoSmithKline, Gruppo Poste Italiane, Gruppo Sixty, IBM Italia, Lottomatica, Meridiana, Microsoft, OvieSse, RCS Media Group, Seat Pagine Gialle, Sisal, Snai, Tamoil, Acqua Pia Antica Marcia, Valleverde
	Fondazioni*	Compagnia di San Paolo, Fondazione Monte Paschi di Siena, Consulta delle Fondazioni Umbre, Fondazione Ermenegildo Zegna
FIGURA 38. LA SQUADRA DELLA RACCOLTA FONDI 2005-2006		
* Gran parte dei finanziamenti ricevuti dalle fondazioni sono contemplati tra i proventi "Da attività istituzionale" come riportato nel Prospetto di sintesi (📄 p. 71)		

“ I NOSTRI PARTNER SONO LINFA VITALE PER FAR AVANZARE LA RICERCA SCIENTIFICA. È GRAZIE AL LORO IMPEGNO E AL LORO ENTUSIASMO CHE RIUSCIAMO A FAR CRESCERE OGNI ANNO LA RACCOLTA MOLTIPLICANDO LE OCCASIONI DI INCONTRO SUL TERRITORIO CON I NOSTRI SOSTENITORI ”



**NICCOLÒ CONTUCCI**  
DIRETTORE RACCOLTA FONDI DI TELETHON

## 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. 32).

**AVIS** (Associazione Volontari Italiani del Sangue) è con Telethon dal 2001. L'AVIS, un'associazione con oltre un milione di soci, è la più numerosa associazione di donatori di sangue in Italia. La partnership con Telethon nasce da una comune solidarietà nei confronti di chi affronta una patologia e da una forte fiducia all'importanza di impegnarsi concretamente. I molti punti di raccolta, di informazione e di sensibilizzazione dei volontari "avisini" su tutto il territorio sono stati preziosi nella sfida a favore delle ricerca scientifica di Telethon.

### Pubbliche amministrazioni

**Agenzia delle Entrate**, l'ente che si occupa della riscossione e del controllo dei tributi erariali, ha scelto di sostenere Telethon considerandolo un punto di riferimento affidabile nell'ambito del settore non profit. Per il secondo anno l'Agenzia ha coinvolto i propri dipendenti nella lotta alle malattie genetiche: gli uffici, su tutto il territorio nazionale, hanno organizzato eventi di natura gastronomica, sportiva ed artistica richiamando un grande numero di persone.

**Amministrazione Autonoma dei Monopoli di Stato (AAMS)** è l'organismo regolatore del gioco pubblico in Italia. L'Amministrazione nel 2005 ha realizzato il progetto "Il gioco fa rotta sulla ricerca" facendo confluire gli operatori di gioco e i loro clienti su un'unica grande iniziativa a favore della ricerca scientifica.

**Enti Locali.** Tra Comuni, Province e Regioni sono state circa 1.100 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 2005-2006, spiccano le Amministrazioni della Campania, la Provincia e il Comune di Napoli, la Provincia di Messina e la Provincia di Roma.

**Scuole.** Per il terzo anno consecutivo Telethon ha portato la ricerca scientifica nelle scuole primarie e secondarie di primo grado attraverso il Progetto "Telethon Young", un'iniziativa che abbina sensibilizzazione e solidarietà e che prevede la distribuzione, agli istituti che ne fanno richiesta, di un kit didattico con schede informative, giochi, poster e una videocassetta. Nel 2005-2006 sono stati coinvolti 1.538 istituti scolastici, 3.600 classi e 60.000 bambini.

#### PARTNER AZIENDALI

##### Partner di raccolta

**BNL** è il partner principale della raccolta fondi di Telethon. La collaborazione è nata nel 1992 e da allora, in occasione della maratona di dicembre, la Banca organizza eventi di sensibilizzazione nelle proprie agenzie: 750 sedi sul territorio che eccezionalmente lasciano aperti i loro sportelli anche fuori dagli orari consueti e che anno dopo anno garantiscono una raccolta crescente. Nel corso del 2005, BNL grazie alla capacità organizzativa e al coinvolgimento degli oltre 17.000 dipendenti ha organizzato 1800 eventi sensibilizzando 120.000 donatori, (dei quali 100.000 privati e famiglie e 20.000 imprese ed enti pubblici) e contribuendo in modo determinante alla raccolta fondi complessiva.

**SMA e Auchan**, le aziende leader nella grande distribuzione, sono rispettivamente da quattro e tre anni a fianco di Telethon. Durante la maratona, mobilitano la rete di vendita presente su tutto il territorio nazionale e grazie soprattutto alle hostess di cassa sensibilizzano e coinvolgono sulla ricerca di Telethon i clienti che ogni settimana acquistano presso gli oltre 1.200 punti vendita Sma, Cityper, Punto Sma, Simply e i 41 ipermercati Auchan. Ogni contributo alla ricerca scientifica che SMA e Auchan ricevono viene documentato sugli scontrini fiscali emessi al momento del pagamento.

**Gruppo Ferrovie dello Stato** è un partner storico, al fianco di Telethon dal 1991. Nel 2005 la raccolta, di oltre 330.000 Euro, ha coinvolto le biglietterie delle principali stazioni, i volontari della Rete Ferroviaria Italiana che hanno raccolto fondi a bordo treno e per la prima volta i volontari di Trenitalia. Una menzione particolare la meritano i dipendenti di Ferrovie dello Stato che hanno donato a Telethon parte della loro retribuzione mensile di dicembre.



© Giorgio Maiorzi (Contrasto)



### 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 25.359. A questo impegno si è aggiunto quello diretto della società con una donazione a Telethon di 55.000 Euro.

**Gruppo Telecom Italia**, la principale compagnia italiana di telecomunicazione, nel 2005 ha ricevuto, al numero unico 48548, 488.821 donazioni. Telecom, oltre a una donazione di 35.000 Euro, ha offerto un importante supporto tecnologico nell'elaborazione dati del numeratore durante la Maratona Telethon.

Infine, moltissimi italiani hanno contribuito alla raccolta con un sms del valore di 2 Euro (esente Iva e quindi interamente devoluto alla ricerca). Le società di telefonia mobile grazie alle quali è stato possibile ricevere 1.776.532 sms sono: **TIM**, **Vodafone** e **Wind**. Vodafone ha anche donato 80.000 Euro per l'adozione di un progetto di ricerca e dato via all'iniziativa "Segui il tuo euro" per mostrare a un donatore estratto a sorte come Telethon impiega i fondi raccolti con l'SMS solidale.

### GRANDI DONATORI

#### Aziende

**Artigiancassa**, la società del Gruppo BNL, ha sensibilizzato la propria rete sul territorio per creare insieme agli artigiani d'Italia una "catena di solidarietà" insieme al coinvolgimento di CNA, Casartigiani, Confartigianato e Fedart-Fidi. La raccolta del 2005 è stata di 150.000 Euro.

**Autodromo di Adria** (Rovigo) nel 2005 ha ospitato la seconda edizione della "24 ore Adria International Raceway". 25 equipaggi composti da un professionista e 7 piloti neofiti del mondo dello spettacolo, industria, giornalismo e cultura si sono sfidati in una gara di solidarietà: 134.000 Euro raccolti di cui 90.000 donati da F& M Spa, proprietaria e gestore dell'Autodromo.

**BT Albacom** con una donazione di 50.000 Euro si è affiancata a Telethon per la prima volta a sostegno di un progetto sulla sindrome di Rett.

**Conbipel**, con una donazione di 60.000 Euro, ha rinnovato per il secondo anno il proprio sostegno a un progetto di ricerca sull'autismo.

**Eli Lilly Italia** ha donato a Telethon 100.000 Euro come terza e ultima annualità di un progetto formativo per la creazione di borse di studio a favore di ricercatori clinici selezionati attraverso bando pubblico.

**Fait**, società di produzione e commercializzazione di componenti meccaniche ha contribuito alla raccolta Telethon con 50.000 Euro per l'adozione del progetto di ricerca sulla epilessia.

**Garboli Conicos**, società di costruzioni, ha donato, per il secondo anno, 75.000 Euro per un progetto di ricerca sulla cardiomiopatie e scompenso cardiaco.

**GlaxoSmithKline**, multinazionale farmaceutica, nel giugno 2006 ha ospitato per la terza volta consecutiva, nel suo prestigioso centro di ricerca internazionale di Verona, gli scienziati della Commissione Medico-Scientifica di Telethon, provenienti da 15 Paesi diversi, coprendo i costi di questo importante evento di ricerca per un totale di oltre 250.000 Euro.

**Gruppo Poste Italiane** ha collaborato nella distribuzione in 6.000 uffici dei bollettini prestampati per donare a Telethon. Ma sono soprattutto i dipendenti del gruppo a dimostrare una grande generosità: nel 2005 infatti hanno devoluto alla ricerca scientifica il valore di un'ora del loro lavoro, per un totale di 153.000 Euro.

**Gruppo Sixty** produce e distribuisce linee di abbigliamento, accessori e calzature uomo-donna in tutto il mercato internazionale. Ha donato 75.000 Euro a favore di un progetto di ricerca sulla sindrome di Wiskott.

**IBM Italia**, per il primo anno ha sostenuto Telethon con un contributo di 50.000 euro.

**Lottomatica** ha partecipato al progetto Telethon "Il Gioco fa rotta sulla ricerca", promosso dall'Amministrazione Autonoma dei Monopoli di Stato con una donazione di 100.000 Euro a sostegno del progetto di ricerca condotto da uno dei ricercatori dell'Istituto Telethon Dulbecco (DTI).

**Meridiana** ha contribuito per il secondo anno consecutivo a sostenere la ricerca di Telethon con una donazione di 70.000 Euro a favore di progetto di ricerca sulla diagnosi prenatale non invasiva.

**Microsoft** ha rinnovato la collaborazione con Telethon a favore della ricerca sulle malattie genetiche confermando il suo ruolo di grande donatore. L'azienda ha donato tecnologie e licenze software a Telethon e ai suoi laboratori scientifici per un valore di 254.000 Euro.



**Oviessa**, la catena di negozi di abbigliamento, ha messo al servizio della ricerca tutti i suoi 270 punti vendita per sensibilizzare la propria clientela alle donazioni in favore di Telethon. La somma raccolta è stata di 178.000 Euro, di cui 50.000 Euro donati da Oviessa per sostenere per un anno un progetto di ricerca sulla sordità infantile.

**RCS Media Group** ha sensibilizzato i lettori delle sue principali testate a contribuire alla ricerca di Telethon: il Corriere della Sera, con la formula 10+10 (dieci centesimi donati dall'editore per ogni 10 centesimi donati dal lettore) e la Gazzetta dello Sport attraverso le donazioni con sms. In totale la raccolta è stata di 80.000 Euro di cui 45.000 donati dall'azienda.

**Seat Pagine Gialle** ha sostenuto Telethon donando i proventi di un libro, promuovendo con i suoi agenti il numero solidale 48548 e offrendo a Telethon una donazione e una quota dalle telefonate al 1240 nel mese di dicembre 2005 per un totale di 99.000 Euro per l'adozione di un progetto di ricerca sull'emocromatosi.

**Sisal**, all'interno del progetto "il gioco fa rotta sulla ricerca", ha coinvolto le 20.000 ricevitorie che hanno accettato donazioni attraverso il terminale del SuperEnalotto con una speciale schedina Telethon o con versamenti spontanei. Sisal ha così contribuito alla raccolta Telethon con 100.000 Euro per l'adozione di un progetto di ricerca sulla sclerosi laterale amiotrofica.

Il Sindacato **Snai**, con i concessionari aderenti al progetto "il gioco fa rotta sulla ricerca", ha effettuato contributi volontari e ha raccolto con l'ausilio dei terminali di gioco, le donazioni degli utenti devolvendo 150.000 Euro a favore di un progetto di ricerca sul diabete di tipo 1.

**Tamoil** ha rinnovato il sostegno a Telethon con un significativo contributo anche nel 2005. Dall'1 al 26 dicembre 2005 Tamoil ha donato 1 Euro per ogni 1.000 litri di carburante venduto per un totale di 150.000 Euro.

**Acqua Pia Antica Marcia** per il primo anno ha legato il proprio nome a quello di Telethon. Il contributo è stato di 50.000 Euro a sostegno di un progetto di ricerca sulla distrofia di Duchenne.

**Valleverde**, il noto marchio nel settore delle calzature, ha contribuito alla ricerca di Telethon con una donazione di 50.000 Euro a favore di un progetto di ricerca sulla distrofia facio-scapolo-omerale.



**Fondazioni**

Da parte delle fondazioni di origine bancaria Telethon riceve contributi vincolati alla ricerca - molto significativi - che vengono assunti in misura pari agli oneri sostenuti per attività condotte nell'ambito della ricerca interna della Fondazione Telethon e che sono contemplati tra i proventi "Da attività istituzionale" nel "Prospetto di sintesi" (p. 71). La fondazione **Compagnia di San Paolo**, nel corso del 2005-2006 ha stanziato 1.200.000 Euro e la **Fondazione Monte Paschi di Siena** ha deliberato un importo di 500.000 Euro. Entrambe le fondazioni sostengono da tempo le attività di ricerca di Telethon. Inoltre, la **Consulta delle Fondazioni Umbre**, già a partire dallo scorso esercizio, si è impegnata a coprire il 50% delle spese per gli incontri scientifici annuali degli istituti interni di ricerca della Fondazione Telethon, fino a un massimo di 150.000 Euro.

**Fondazione Ermenegildo Zegna**, dopo 5 anni di contribuzione continuativa, ha confermato il contributo di 156.100 Euro a sostegno di progetti già deliberati dal CdA di Telethon.

Oltre ai partner di volontariato e della comunità civile, ai partner aziendali e ai grandi donatori meritano una citazione e un ringraziamento particolare le aziende che nel corso del 2005-2006 hanno sostenuto la ricerca di Telethon con una donazione aziendale pari o superiore a **10.000 Euro**.

**LE AZIENDE PIÙ SOLIDALI**

ACC	Cinematografica Clemi	Globet	Plastica Wood
Accenture	Cogetech	Gr Cartotecnica	Rai.Cal.
Advera	Con.I.Cos	Gruppo Impresa Nazionale Appalti	Risanamento
Amg Promotion	Costieri D'Alesio	Idea Morphosy	Roma Invest
Ansaldo Energia	Costruzioni Edile Sole	Il Sole 24 Ore	S.E.P.
Astaldi	Dalmare	Immobiliare Ricasoli	Sace
Atlantis World	Dimafin	Impresa	Sadel
Autorama Salario	Du Pareil au Meme	Ingegneria Due Erre	Seli
Banca Monte dei Paschi di Siena	Editore Dottore A.Giuffrè	Ingegneria Maire	Coni Servizi
Bartolini	Fandango	Istituto per il Credito sportivo	Pirelli Servizi Finanziari
Bassilicchi	Ferriera Valsider	Italy Agmin	APAB Sindacato Ristoratori Bologna
Btp	Film Artika	Italy Technip	So.Fi.A
Calce Meridionale	Film Dania	La Nuova Adelchi	Sogei
Carbofin	Filmauro	Lanificio Cesare Gatti	Space Hotels
Caronte & Tourist	Fustiplast	Leoni e Studer	Tlc
Cartolombarda	Gas S.I.Di.	Mediavivere	Villa Ruffo
Casa di Cura Tortorella	Geocenter	Opere Pubbliche	Vitali
Cattleya	BNL Gestioni SGR	Parsitalia	Yves Rocher



## LA RETE DEI COORDINATORI PROVINCIALI

Nell'intento di coinvolgere il maggior numero possibile di italiani nella lotta contro la distrofia muscolare e le altre malattie genetiche, nel 2004 Telethon ha avviato un importante progetto per la creazione di una rete di volontari - i coordinatori provinciali - uomini e donne che rappresentassero il Comitato Telethon Fondazione ONLUS nella loro provincia di appartenenza e che fossero un costante punto di riferimento organizzativo per lo sviluppo della raccolta fondi sul territorio. Attraverso i Coordinatori Provinciali, Telethon cerca di radicarsi in maniera sempre più attiva ed efficace nel tessuto territoriale, con l'obiettivo di incrementare la raccolta fondi nella provincia e contribuire alla diffusione territoriale della conoscenza delle sue attività scientifiche e dei risultati realizzati dai ricercatori finanziati. Dal nord al Sud sono 21 i coordinatori presenti sul territorio, ma la campagna di arruolamento continua tutto l'anno. Maggiori informazioni sono disponibili on line (  [www.telethon.it/speciali/territoriali](http://www.telethon.it/speciali/territoriali)), unitamente alla lista e ai curricula dei coordinatori già attivi.

**Province in cui  
è presente  
un coordinatore  
Telethon:**

Alessandria  
Aosta  
Avellino  
Catania  
Cremona  
Ferrara  
Foggia  
Forlì-Cesena  
Frosinone  
L'Aquila  
Latina  
Livorno  
Massa-Carrara  
Oristano  
Perugia e Terni  
Pesaro-Urbino  
Siena  
Siracusa  
Torino  
Trento  
Verona



## 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

CHE GLI ITALIANI PARTECIPINO  
ALLA LOTTA CONTRO  
LE MALATTIE GENETICHE

### LA MARATONA TELEVISIVA

La maratona televisiva, evento culminante della campagna di raccolta fondi, è anche un'importante occasione per sensibilizzare e informare il pubblico sulle malattie genetiche, sugli sviluppi della ricerca e sulle condizioni di vita dei malati nelle loro famiglie e nella società.

Il Comitato Telethon Fondazione ONLUS affida alla RAI la direzione della maratona televisiva, che va in onda ogni anno nella prima metà di dicembre.

La collaborazione della Rai è fondamentale: oltre a coprodurre l'evento, coinvolge nella maratona moltissimi personaggi noti e amati dal pubblico, i quali prestano gratuitamente la loro immagine per la causa di Telethon<sup>4</sup>.

★ ★ ★ La Maratona Telethon 2005 è durata complessivamente 61 ore, di cui oltre 57 di trasmissione effettiva (circa 13 ore in più rispetto all'anno precedente). Nell'edizione 2005 quasi 4 ore sono state dedicate ad approfondire il tema delle malattie genetiche, trattando 21 diverse patologie attraverso il racconto di 24 casi malattia. Una parte altrettanto importante di divulgazione scientifica in maratona è stata quella dedicata alle testimonianze in studio di 28 ricercatori tra quelli finanziati da Telethon.

### RADIORAI

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

★ ★ ★ Nel corso del 2005, sono state 75 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.

<sup>4</sup> 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 (662.720 Euro).



### UNA CAMPAGNA DI TRASPARENZA FIRMATA RAI E TELETHON

★★★ Dal 23 al 26 maggio 2006 Telethon e l'emittente pubblica hanno fatto insieme il punto a sei mesi dalla consueta maratona televisiva di dicembre, con una parola d'ordine: trasparenza.

Una finestra interamente dedicata alla rendicontazione dei fondi raccolti e dei risultati scientifici raggiunti da Telethon. Il contributo sul piano mediatico della Rai si è articolato su vari momenti di informazione. Vera Leotta del Segretariato Sociale RAI ha portato la testimonianza del costante impegno dell'ente radiotelevisivo a supporto delle attività di Telethon. Giovanni Battista Gardoncini, Direttore del TG Leonardo di RaiTre, ha presentato un servizio che evidenzia il progressivo spostamento degli investimenti di Telethon verso i gradini più alti della scala della ricerca. Il 25 maggio, la popolare e mattiniera trasmissione radiofonica condotta da Emanuela Falcetti, "Istruzioni per l'uso" del GR1, ha ospitato interventi divulgativi di scienziati di alto livello e un focus sull'utilizzo delle donazioni. A seguire, il 26 maggio, ampio spazio a "Uno mattina" su RaiUno: numerosi gli interventi dallo studio, cui si è aggiunto dagli USA (da La Jolla, San Diego in California) una testimonianza del premio Nobel Renato Dulbecco.

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

### GLI ALTRI STRUMENTI DI COMUNICAZIONE

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

#### TELETHON.IT

★★★ Il sito internet di Telethon ( [www.telethon.it](http://www.telethon.it)) ha accolto durante l'anno una media di oltre 50.000 "visite" al mese con un picco massimo di oltre 100.000 visite nel mese di dicembre e uno minimo di 24.700 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 2005-2006 la raccolta complessiva è stata di 75.680 Euro, di cui 46.000 donati nei giorni della maratona 2005.

ALCUNI MOMENTI  
DELLA MARATONA  
TELEVISIVA 2005



### L'UFFICIO STAMPA

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

- ★★★ Nel periodo 1 luglio 2005 – 30 giugno 2006, ha realizzato 88 comunicati (di cui 22 scientifici) e 8 conferenze stampa.

### TELETHON NOTIZIE

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

### VISITE AI LABORATORI DI RICERCA

Alle visite ai laboratori di ricerca sono invitate a partecipare persone attive per Telethon scelte tra aziende partner, grandi donatori, pubbliche amministrazioni, scuole e volontari della squadra di raccolta Telethon. Le visite guidate in laboratorio (a gruppi di 10 persone per volta) sono per i donatori l'occasione per conoscere da vicino il "mondo" della ricerca e in particolare gli scienziati impegnati in progetti di studio sulle malattie genetiche. I ricercatori illustrano i loro progetti e i risultati raggiunti, le modalità di utilizzo dei finanziamenti e al contempo testimoniano l'importanza dei fondi ricevuti e la serietà del sistema di valutazione e finanziamento adottato da Telethon.

- ★★★ Tra il 16 marzo e 25 maggio 2006 Telethon ha organizzato, in diverse città italiane, 6 visite in laboratori di ricerca distinti tra istituti di ricerca esterna finanziati da Telethon (4) e istituti interni (2). Complessivamente hanno partecipato circa 165 persone con una media di 25-30 persone a incontro.

IL VISUAL DELLA MARATONA 2005 E LA RIVISTA "TELETHON NOTIZIE"; NELLA PAGINA ACCANTO L'HOME PAGE DEL SITO E IL KIT TELETHON YOUNG



## TELETHON YOUNG

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

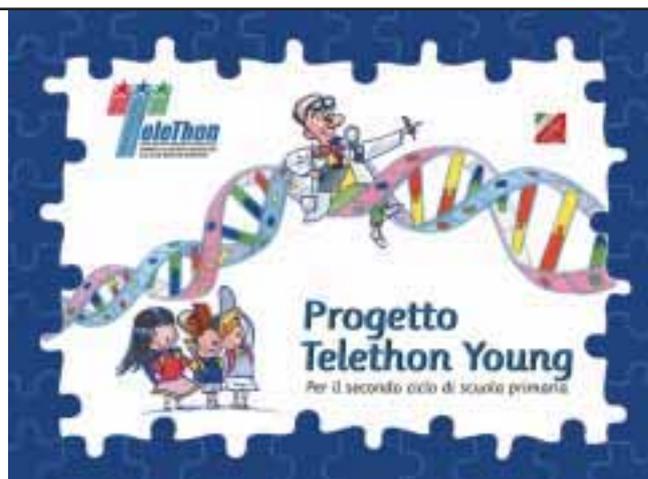
- ★★★ Il progetto Telethon Young nel luglio 2005 è stato oggetto di un protocollo d'intesa siglato con il Ministero della Pubblica Istruzione a conferma dell'interesse e della bontà dell'iniziativa.

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

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

- ★★★ Il progetto ha ottenuto un ottimo riscontro: complessivamente nel triennio 2003-2006 hanno aderito 3.148 scuole (1.538 solo nel 2005-2006) e 7.940 classi (3.600 solo nel 2005-2006). I ragazzi e le famiglie coinvolte sono state oltre 130.000.

Nel corso del 2005-2006, rispetto all'anno precedente, il "Telethon Young" ha visto una nuova crescita: 49% in più di scuole aderenti, 20% in più di classi coinvolte e di ragazzi e famiglie sensibilizzate.



## LA GESTIONE DELLE RISORSE

PER GESTIRE LE PROPRIE RISORSE

TELETHON SI ISPIRA

AL MIGLIORAMENTO CONTINUO,

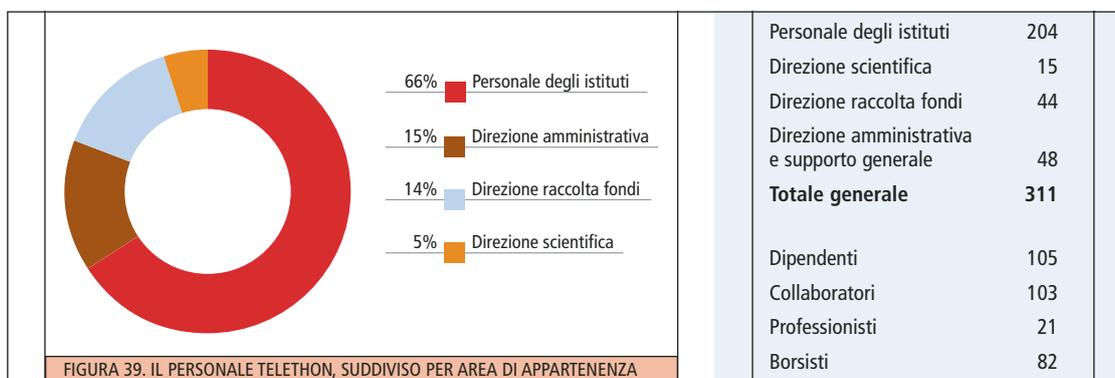
ALLA MOTIVAZIONE E ALL'ADESIONE

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.

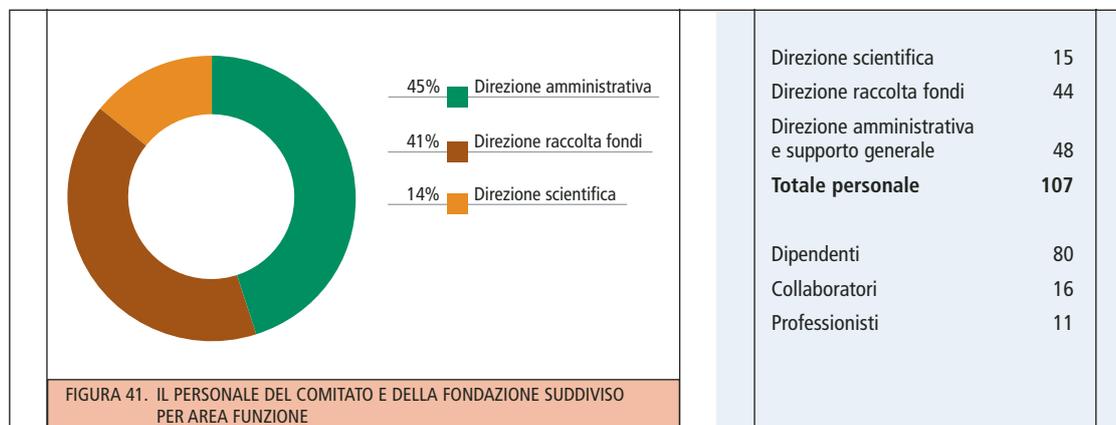
Le persone che lavorano in Telethon sono 311, di cui 204 - pari al 66% del totale - compongono il personale degli istituti (Figura 39).



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



Senza considerare il personale direttamente impegnato negli istituti di ricerca interna, le risorse umane impegnate nei due enti Telethon, sono 107 con le caratteristiche evidenziate nella figura successiva.



### LE RISORSE FINANZIARIE

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

Per informazioni relative alla gestione delle risorse finanziarie si suggerisce di prendere visione degli allegati "Titoli al 30 giugno 2006" ai Bilanci contabili del Comitato e della Fondazione (📄 disponibili sul sito [www.telethon.it/telethon/fondi.asp](http://www.telethon.it/telethon/fondi.asp)).

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, sia per il Comitato (Figura 42) che per la Fondazione (Figura 43).

	PATRIMONIO (MIGLIAIA DI EURO)	RENDIMENTO LORDO (%)	BENCHMARK (%)
Luglio-settembre 2005	16.630	0.47	0.18
Ottobre-dicembre 2005	22.556	0.08	-0.37
Gennaio-marzo 2006	25.203	-0.14	-1.11
Aprile-giugno 2006	21.128	0.68	-0.11

**FIGURA 42. I RISULTATI DEGLI INVESTIMENTI OBBLIGAZIONARI DEI FONDI GESTITI DAL COMITATO TELETHON FONDAZIONE ONLUS**

	PATRIMONIO (MIGLIAIA DI EURO)	RENDIMENTO LORDO (%)	BENCHMARK (%)
Luglio-settembre 2005	19.562	0.46	0.18
Ottobre-dicembre 2005	22.385	-0.15	-0.37
Gennaio-marzo 2006	18.666	-0.03	-1.11
Aprile-giugno 2006	21.685	0.67	-0.11

**FIGURA 43. I RISULTATI DEGLI INVESTIMENTI OBBLIGAZIONARI DEI FONDI GESTITI DALLA FONDAZIONE TELETHON**

## IL FUNZIONAMENTO DELLA STRUTTURA

NEL FUNZIONAMENTO RIENTRA LO

SFORZO ORGANIZZATIVO

GENERALE, BASATO SU UNA

CORRETTA AMMINISTRAZIONE

E SULL'ATTENTO MONITORAGGIO

DEI COSTI

### IL CONTROLLO DI GESTIONE

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

Il controllo dei risultati di utilità sociale si basa su strumenti che misurano la qualità e la quantità degli interventi realizzati durante l'anno in termini di numero di malattie curate, numero di pubblicazioni scientifiche e loro posizionamento sui gradini della scala della ricerca.

Il controllo dei risultati economico-finanziari, che si avvale dell'impostazione di strumenti di budget e contabilità, è basato su indicatori che misurano la quantità di risorse messe a disposizione per le attività istituzionali e l'economicità delle attività di supporto. Nella tabella successiva (Figura 44) vengono presentati i principali indici utilizzati da Telethon nel controllo di gestione, specificando le modalità di calcolo e che cosa misurano.

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

FIGURA 44. I PRINCIPALI INDICI UTILIZZATI DA TELETHON NEL CONTROLLO DI GESTIONE

### IL RENDICONTO DELLA GESTIONE

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

Il Bilancio di Telethon 2006 si chiude con un aumento di fondi liberi e vincolati (che gli istituti interni di ricerca, in virtù della loro eccellenza, hanno ottenuto da enti esterni), una produttività finanziaria senza perdite e un contenuto disavanzo gestionale.

“ IL CONTROLLO DI GESTIONE PER L'IMPIEGO DELLE RISORSE È UN PRECISO DOVERE E UNA PRIORITÀ ETICA PER GARANTIRE AI DONATORI EFFICIENZA E TRASPARENZA E PERMETTERE AGLI AMMINISTRATORI IL GOVERNO EFFETTIVO DELL'ENTE ”



**ANGELO MARAMAI**  
DIRETTORE AMMINISTRATIVO E FINANZIARIO  
DI TELETHON

RENDICONTO DELLA GESTIONE AL 30 GIUGNO 2006				
Prospetto di sintesi (Euro)				
	Bilancio Comitato (A)	Bilancio Fondazione (B)	Aggregato 2006 (A+B)	Aggregato 2005
<b>PROVENTI</b>				
Da attività istituzionali (contributi da enti esterni vincolati per istituti di ricerca Telethon)	220.487	6.382.934	6.603.421	6.139.409
Da attività promozionale e raccolta fondi	31.020.426	2.020.821	33.041.247	29.377.053
Da attività finanziaria	455.656	684.158	1.139.814	1.703.375
Da attività straordinaria e rettifiche a delibera	781.340	65.598	846.938	1.910.340
<b>Volume complessivo proventi (1)</b>	<b>32.477.909</b>	<b>9.153.511</b>	<b>41.631.420</b>	<b>39.130.177</b>
<b>ONERI</b>				
Da attività istituzionali	(24.109.377)	(8.218.563)	(32.327.940)	(31.912.697)
Da raccolta fondi e comunicazione	(5.441.880)	(457.444)	(5.899.324)	(5.570.689)
Da attività finanziaria e straordinaria	(390.874)	(544.420)	(935.294)	(384.890)
Da attività di supporto generale	(1.114.264)	(1.721.544)	(2.835.808)	(2.343.477)
<b>Volume complessivo oneri (2)</b>	<b>(31.056.395)</b>	<b>(10.941.971)</b>	<b>(41.998.366)</b>	<b>(40.211.753)</b>
<b>Risultato gestionale fondi disponibili (1+2)</b>	<b>1.421.514</b>	<b>(1.788.460)</b>	<b>(366.946)</b>	<b>(1.081.576)</b>
Fondi disponibili iniziali	1.382.426	3.913.022	5.295.448	6.377.024
Fondi disponibili finali	2.803.940	2.124.562	4.928.502	5.295.448

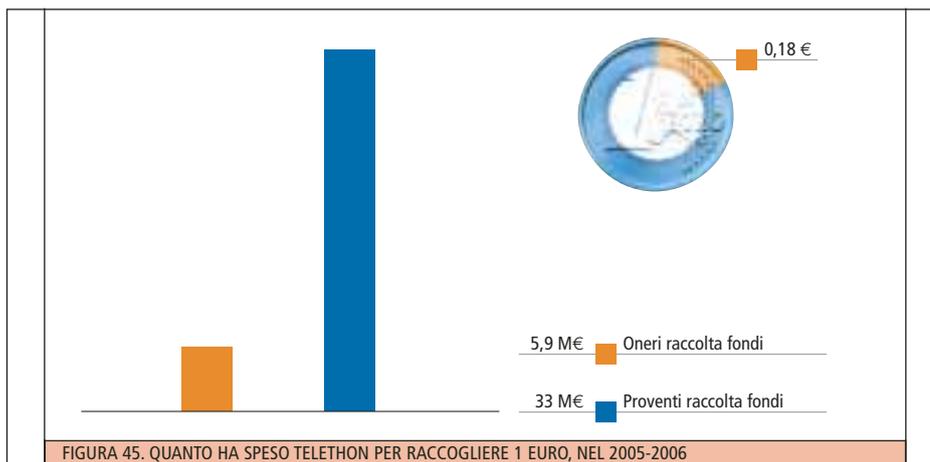
#### LA VALUAZIONE DELL'EFFICIENZA ORGANIZZATIVA

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](http://www.charitynavigator.org)). Questi indici sono stati ripresi dal Consiglio Nazionale dei Dottori Commercialisti che, con la raccomandazione n. 10 del 2006, 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.

### L'EFFICIENZA DELLA RACCOLTA FONDI

L'indice di efficienza della raccolta fondi (rapporto tra gli oneri e i proventi della raccolta) esprime chiaramente quanto spende in media Telethon per raccogliere ogni euro.

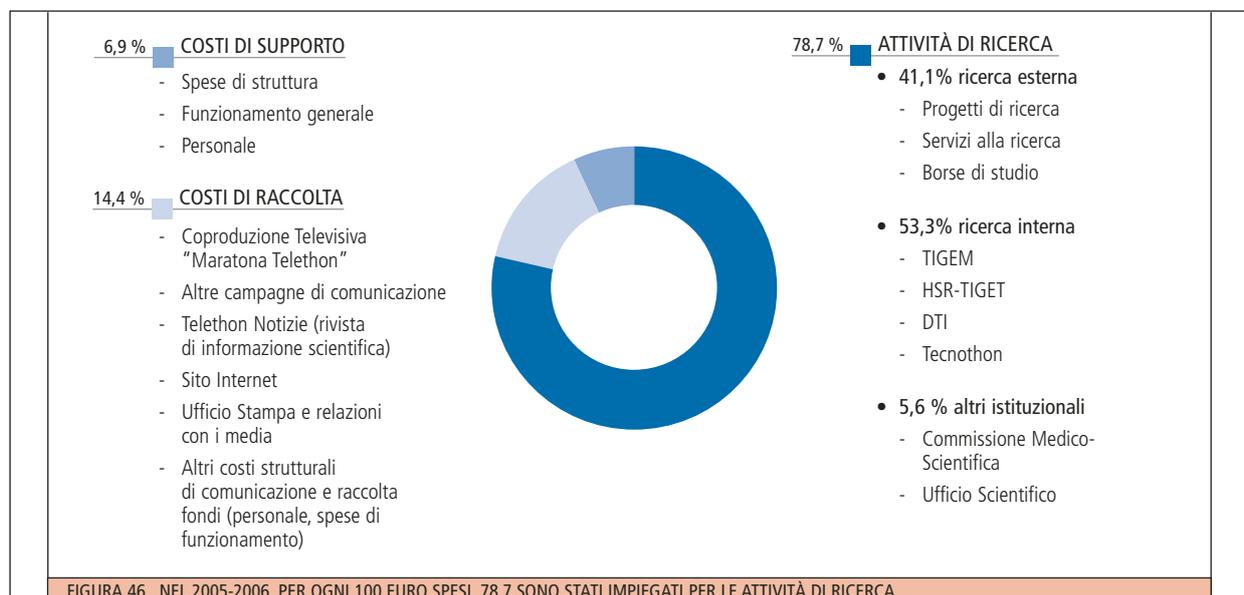
★★★ Nel 2005-2006 Telethon ha speso 18 centesimi per ciascun euro raccolto, un centesimo in meno rispetto all'anno precedente.



### L'IMPIEGO DELLE RISORSE

Le spese per le attività istituzionali di ricerca (identificate nello statuto e formulate nella missione) devono essere valutate in relazione all'impiego delle risorse nella raccolta fondi e nel supporto generale. Per il calcolo degli indici di impiego non vengono considerati gli oneri relativi all'attività straordinaria e alla gestione finanziaria (pari a 935.294 Euro), secondo la raccomandazione del Consiglio Nazionale dei Dottori Commercialisti. Il totale degli oneri preso in esame è dunque di 41.063.072 Euro.

★★★ Di questa cifra, nel corso del 2005-2006, Telethon ha impiegato complessivamente il 78,73% (pari a 32,3 milioni di Euro) per sostenere le attività di ricerca; il 14,37% per le attività di raccolta fondi e il 6,9% per le spese di supporto generale.



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

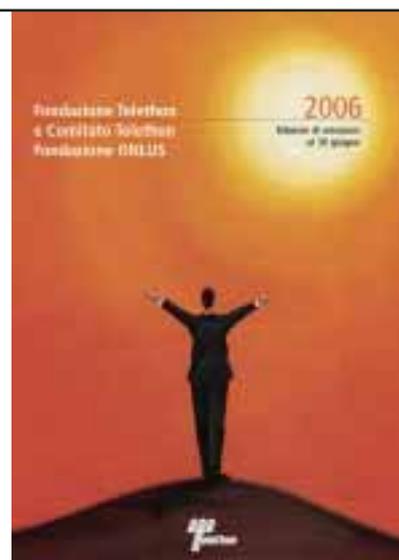
## I BILANCI

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

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

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

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





parte **4**

**I PROSPETTI**



# parte 4

BILANCIO DI MISSIONE AL 30 GIUGNO 2006

## **I PROSPETTI**

- 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 2006 (UNITÀ DI EURO)

ATTIVO	30 GIUGNO 2006	30 GIUGNO 2005
<b>B) Immobilizzazioni</b>		
I) Immobilizzazioni immateriali		
3) Diritti di brevetto industriale e diritti di utilizzazione delle opere dell'ingegno	14.688	18.375
6) Immobilizzazioni in corso e acconti	57.864	0
7) Altre	4.421	47.446
<b>Totale</b>	<b>76.973</b>	<b>65.821</b>
II) Immobilizzazioni materiali		
3) Altri beni	45.582	53.221
<b>Totale</b>	<b>45.582</b>	<b>53.221</b>
III) Immobilizzazioni finanziarie, con separata indicazione, per ciascuna voce dei crediti, degli importi esigibili entro l'esercizio successivo		
2) Crediti	52.054	52.054
<b>Totale</b>	<b>52.054</b>	<b>52.054</b>
<b>C) Attivo circolante</b>		
II) Crediti, con separata indicazione, per ciascuna voce dei crediti, degli importi esigibili oltre l'esercizio successivo		
5) Verso altri	1.649.223	658.599
<b>Totale</b>	<b>1.649.223</b>	<b>658.599</b>
III) Attività finanziarie che non costituiscono immobilizzazioni		
2) Altri titoli	26.034.836	23.912.046
<b>Totale</b>	<b>26.034.836</b>	<b>23.912.046</b>
IV) Disponibilità liquide		
1) Depositi bancari e postali	811.814	586.802
2) Liquidità presso società di gestione del risparmio	66.234	16.062
3) Assegni	135.016	0
4) Denaro e valori in cassa	2.066	555
<b>Totale</b>	<b>1.015.130</b>	<b>603.419</b>
<b>D) Ratei e risconti attivi</b>	<b>276.051</b>	<b>343.069</b>
<b>TOTALE ATTIVO</b>	<b>29.149.849</b>	<b>25.688.229</b>

PASSIVO	30 GIUGNO 2006	30 GIUGNO 2005
<b>A) Patrimonio netto</b>		
I) Patrimonio libero		
1) Risultato gestionale dell'esercizio in corso	1.421.514	(2.572.521)
2) Risultato gestionale da esercizi precedenti	1.382.426	3.954.947
<b>Totale</b>	<b>2.803.940</b>	<b>1.382.426</b>
III) Patrimonio vincolato		
1) Fondi vincolati destinati da terzi	654.670	0
2) Fondi vincolati per decisione degli organi istituzionali	23.763.074	22.565.902
<b>Totale</b>	<b>24.417.744</b>	<b>22.565.902</b>
<b>Totale patrimonio netto</b>	<b>27.221.684</b>	<b>23.948.328</b>
<b>B) Fondi per rischi ed oneri</b>		
2) Altri	0	5.000
<b>Totale</b>	<b>0</b>	<b>5.000</b>
<b>C) Trattamento di fine rapporto di lavoro subordinato</b>	<b>154.318</b>	<b>115.968</b>
<b>D) Debiti, con separata indicazione, per ciascuna voce, degli importi esigibili oltre l'esercizio successivo</b>		
5) Debiti verso fornitori	1.251.891	1.147.650
6) Debiti tributari	80.920	120.347
7) Debiti verso istituti di previdenza e di sicurezza sociale	51.278	45.993
8) Altri debiti	389.758	304.943
<b>Totale</b>	<b>1.773.847</b>	<b>1.618.933</b>
<b>E) Ratei e risconti passivi</b>	<b>0</b>	<b>0</b>
<b>TOTALE PASSIVO</b>	<b>29.149.849</b>	<b>25.688.229</b>
<b>CONTI D'ORDINE</b>		
1) Impegni assunti per attività istituzionali	5.779.140	0

**COMITATO TELETHON FONDAZIONE ONLUS**  
**RENDICONTO DELLA GESTIONE A PROVENTI E ONERI**  
**SEZIONI DIVISE E CONTRAPPOSTE AL 30 GIUGNO 2006 (UNITÀ DI EURO)**

ONERI	30 GIUGNO 2006	30 GIUGNO 2005
<b>1) Oneri da attività istituzionali</b>		
1.1.1) Delibere di assegnazione ricerca interna	10.157.563	9.272.431
1.1.2) Delibere di assegnazione ricerca esterna	12.887.066	14.158.790
<b>Subtotale</b>	<b>23.044.629</b>	<b>23.431.221</b>
1.2) Organizzazione Convention	0	126.724
1.3) Altri istituzionali e ufficio scientifico	1.064.748	957.284
<b>Totale</b>	<b>24.109.377</b>	<b>24.515.229</b>
<b>2) Oneri promozionali e di raccolta fondi</b>		
2.1) Maratona Telethon		
2.1.1) Raccolta fondi	2.359.318	2.021.260
2.1.2) Coproduzione televisiva: RAI	774.685	774.685
2.1.3) Coproduzione televisiva: eventi	662.720	682.666
2.1.4) Comunicazione istituzionale, sensibilizzazione e promozione	705.104	718.400
2.1.5) Oneri generali comunicazione e raccolta fondi	338.106	407.556
2.1.6) Overhead strutturali comunicazione e raccolta fondi	560.364	531.245
<b>Subtotale</b>	<b>5.400.297</b>	<b>5.135.812</b>
2.2) Altre raccolte		
2.2.1) Oneri altre raccolte	41.583	68.764
<b>Subtotale</b>	<b>41.583</b>	<b>68.764</b>
<b>Totale</b>	<b>5.441.880</b>	<b>5.204.576</b>
<b>4) Oneri finanziari e patrimoniali</b>		
4.1) Da operazioni bancarie e postali	35.518	43.440
4.2) Da altri beni patrimoniali	317.354	151.808
<b>Totale</b>	<b>352.872</b>	<b>195.248</b>
<b>5) Oneri straordinari</b>		
5.3) Da altre attività	38.002	2.166
<b>Totale</b>	<b>38.002</b>	<b>2.166</b>
<b>6) Oneri di supporto generale</b>		
6.1) Spese di struttura	54.173	34.811
6.2) Servizi	446.046	343.023
6.3) Godimento beni di terzi	159.714	98.357
6.4) Personale	346.441	258.761
6.5) Ammortamenti	49.143	46.061
6.6) Oneri diversi di gestione	58.747	54.450
<b>Totale</b>	<b>1.114.264</b>	<b>835.463</b>
<b>TOTALE ONERI</b>	<b>31.056.395</b>	<b>30.752.682</b>
<b>Avanzo gestionale</b>	<b>1.421.514</b>	<b>0</b>

PROVENTI	30 GIUGNO 2006	30 GIUGNO 2005
<b>1) Proventi da attività istituzionali e rettifiche ad assegnazioni di fondi vincolati per la ricerca</b>		
1.1.1) Rettifiche a delibere ricerca interna	0	0
1.1.2) Rettifiche a delibere ricerca esterna	377.355	70.887
<u>Subtotale</u>	<u>377.355</u>	<u>70.887</u>
1.3) Altri istituzionali	220.487	181.134
<b>Totale</b>	<b>597.842</b>	<b>252.021</b>
<b>2) Proventi da raccolta fondi</b>		
2.1) Maratona Telethon	30.783.391	25.108.342
2.2) Altre raccolte		
2.2.1) Da fondazioni bancarie e altri enti	237.035	155.044
<u>Subtotale</u>	<u>237.035</u>	<u>155.044</u>
<b>Totale</b>	<b>31.020.426</b>	<b>25.263.386</b>
<b>4) Proventi finanziari e patrimoniali</b>		
4.1) Da depositi bancari e postali	15.969	15.492
4.2) Da altri beni patrimoniali	439.687	816.701
<b>Totale</b>	<b>455.656</b>	<b>832.193</b>
<b>5) Proventi straordinari</b>		
5.3) Da altre attività	396.158	1.828.484
<b>Totale</b>	<b>396.158</b>	<b>1.828.484</b>
<b>6) Proventi straordinari di supporto generale</b>		
6.1) Proventi straordinari	7.827	4.077
<b>Totale</b>	<b>7.827</b>	<b>4.077</b>
<b>TOTALE PROVENTI</b>	<b>32.477.909</b>	<b>28.180.161</b>
<b>Disavanzo gestionale</b>	<b>0</b>	<b>2.572.521</b>

**FONDAZIONE TELETHON**  
**STATO PATRIMONIALE**  
**AL 30 GIUGNO 2006 (UNITÀ DI EURO)**

ATTIVO	30 GIUGNO 2006	30 GIUGNO 2005
<b>B) Immobilizzazioni</b>		
I) Immobilizzazioni immateriali		
3) Diritti di brevetto industriale e diritti di utilizzazione delle opere dell'ingegno	17.713	30.670
6) Immobilizzazioni in corso e acconti	5.544	0
7) Altre	0	14.578
<b>Totale</b>	<b>23.257</b>	<b>45.248</b>
II) Immobilizzazioni materiali		
1) Fabbricati	126.070	131.251
2) Impianti e attrezzature	261.353	349.633
3) Altri beni	216.569	225.954
4) Immobilizzazioni in corso e acconti	0	52.244
<b>Totale</b>	<b>603.992</b>	<b>759.082</b>
III) Immobilizzazioni finanziarie, con separata indicazione, per ciascuna voce dei crediti, degli importi esigibili entro l'esercizio successivo		
1) Partecipazioni	15.194	14.830
2) Crediti	13.170	13.170
<b>Totale</b>	<b>28.364</b>	<b>28.000</b>
<b>C) Attivo circolante</b>		
I) Rimanenze		
7) Altre	2.785.000	0
<b>Totale</b>	<b>2.785.000</b>	<b>0</b>
II) Crediti, con separata indicazione, per ciascuna voce dei crediti, degli importi esigibili oltre l'esercizio successivo		
5) Verso altri	18.191.894	24.180.773
<b>Totale</b>	<b>18.191.894</b>	<b>24.180.773</b>
III) Attività finanziarie che non costituiscono immobilizzazioni		
1) Partecipazioni	6.000	0
2) Altri titoli	32.496.908	29.538.593
<b>Totale</b>	<b>32.502.908</b>	<b>29.538.593</b>
IV) Disponibilità liquide		
1) Depositi bancari e postali	1.255.743	943.121
2) Liquidità presso società di gestione del risparmio	106.812	32.540
3) Denaro e valori in cassa	4.689	4.675
<b>Totale</b>	<b>1.367.244</b>	<b>980.336</b>
<b>D) Ratei e risconti attivi</b>	<b>285.683</b>	<b>329.910</b>
<b>TOTALE ATTIVO</b>	<b>55.788.342</b>	<b>55.861.942</b>

PASSIVO	30 GIUGNO 2006	30 GIUGNO 2005
<b>A) Patrimonio netto</b>		
I) Patrimonio libero		
1) Risultato gestionale dell'esercizio in corso	(1.788.460)	1.490.945
2) Risultato gestionale da esercizi precedenti	3.913.022	2.422.077
<b>Totale</b>	<b>2.124.562</b>	<b>3.913.022</b>
II) Fondo di dotazione e fondi permanentemente vincolati per decisione degli organi istituzionali		
1) Fondo di dotazione	206.583	206.583
2) Fondo Paudice per Tigem	8.768.177	5.977.177
3) Altri fondi permanentemente vincolati	142.026	142.026
<b>Totale</b>	<b>9.116.786</b>	<b>6.325.786</b>
III) Patrimonio vincolato		
1) Fondi vincolati destinati da terzi	34.417.086	35.629.100
2) Fondi vincolati per decisione degli organi istituzionali	210.840	69.560
<b>Totale</b>	<b>34.627.926</b>	<b>35.698.660</b>
<b>Totale patrimonio netto</b>	<b>45.869.274</b>	<b>45.937.468</b>
<b>C) Trattamento di fine rapporto di lavoro subordinato</b>	<b>655.847</b>	<b>618.101</b>
<b>D) Debiti, con separata indicazione, per ciascuna voce, degli importi esigibili oltre l'esercizio successivo</b>		
5) Debiti verso fornitori	1.789.525	1.755.816
6) Debiti tributari	187.324	197.256
7) Debiti verso istituti di previdenza e di sicurezza sociale	125.327	110.292
8) Altri debiti	7.161.045	7.243.009
<b>Totale</b>	<b>9.263.221</b>	<b>9.306.373</b>
<b>TOTALE PASSIVO</b>	<b>55.788.342</b>	<b>55.861.942</b>
<b>CONTI D'ORDINE</b>		
1) Impegni assunti per attività istituzionali	6.516.140	1.048.307
2) Impegni ricevuti per attività istituzionali	5.779.140	0

**FONDAZIONE TELETHON**  
**RENDICONTO DELLA GESTIONE A PROVENTI E ONERI**  
**SEZIONI DIVISE E CONTRAPPOSTE AL 30 GIUGNO 2006 (UNITÀ DI EURO)**

ONERI	30 GIUGNO 2006	30 GIUGNO 2005
<b>1) Oneri da attività istituzionali</b>		
1.1) Oneri da attività di gestione istituti di ricerca su fondi vincolati		
1.1.1) Personale degli istituti di ricerca	4.613.199	3.526.456
1.1.2) Ammortamenti immobilizzazioni	178.356	334.163
1.1.3) Oneri di funzionamento istituti di ricerca	8.832.818	10.912.970
<b>Subtotale</b>	<b>13.624.373</b>	<b>14.773.589</b>
1.2) Oneri da attività deliberativa e di gestione degli istituti di ricerca		
1.2.2) Delibere di assegnazione ricerca esterna	400.000	0
1.2.3) Oneri operativi istituti di ricerca	697.626	599.185
<b>Subtotale</b>	<b>1.097.626</b>	<b>599.185</b>
1.3) Altri oneri istituzionali e ufficio scientifico	754.736	840.008
<b>Totale</b>	<b>15.476.735</b>	<b>16.212.782</b>
<b>2) Oneri promozionali e di raccolta fondi</b>		
2.1) Oneri di raccolta	243.109	171.189
2.2) Oneri generali comunicazione e raccolta fondi	3.711	2.870
2.3) Overhead strutturali comunicazione e raccolta fondi	210.624	192.054
<b>Totale</b>	<b>457.444</b>	<b>366.113</b>
<b>4) Oneri finanziari e patrimoniali</b>		
4.1) Da operazioni bancarie e postali	16.027	24.891
4.2) Da altri beni patrimoniali	488.434	158.951
<b>Totale</b>	<b>504.461</b>	<b>183.842</b>
<b>5) Oneri straordinari</b>		
5.1) Da attività finanziarie	3.369	2.229
5.3) Da altre attività	36.590	1.405
<b>Totale</b>	<b>39.959</b>	<b>3.634</b>
<b>6) Oneri di supporto generale</b>		
6.1) Spese di struttura	8.657	22.253
6.2) Servizi	203.957	222.543
6.3) Godimento beni di terzi	33.654	21.494
6.4) Personale	1.337.538	1.140.865
6.5) Ammortamenti	73.000	46.797
6.6) Oneri diversi di gestione	64.738	54.062
<b>Totale</b>	<b>1.721.544</b>	<b>1.508.014</b>
<b>TOTALE ONERI</b>	<b>18.200.143</b>	<b>18.274.385</b>
<b>Avanzo gestionale</b>	<b>0</b>	<b>1.490.945</b>

PROVENTI	30 GIUGNO 2006	30 GIUGNO 2005
<b>1) Proventi da attività istituzionali</b>		
1.1) Proventi da terzi per attività di gestione istituti di ricerca su fondi vincolati		
1.1.1) Contributi vincolati destinati da terzi	6.366.200	5.958.275
1.1.2) Contributi vincolati destinati da CTFO	7.258.172	8.815.314
<b>Subtotale</b>	<b>13.624.372</b>	<b>14.773.589</b>
1.3) Altri proventi istituzionali	16.734	0
<b>Totale</b>	<b>13.641.106</b>	<b>14.773.589</b>
<b>2) Proventi da raccolta fondi</b>		
2.1) Maratona Telethon	1.859.933	3.719.188
2.2) Altre raccolte		
2.2.1) Da fondazioni bancarie e altri enti	160.888	394.479
<b>Subtotale</b>	<b>160.888</b>	<b>394.479</b>
<b>Totale</b>	<b>2.020.821</b>	<b>4.113.667</b>
<b>4) Proventi finanziari e patrimoniali</b>		
4.1) Da depositi bancari e postali	6.363	2.359
4.2) Da altri beni patrimoniali	677.795	868.823
<b>Totale</b>	<b>684.158</b>	<b>871.182</b>
<b>5) Proventi straordinari</b>		
5.1) Da attività finanziarie	2.120	1.320
5.3) Da altre attività	61.878	5.572
<b>Totale</b>	<b>63.998</b>	<b>6.892</b>
<b>6) Proventi straordinari di supporto generale</b>		
6.1) Proventi diversi	1.600	0
<b>Totale</b>	<b>1.600</b>	<b>0</b>
<b>TOTALE PROVENTI</b>	<b>16.411.683</b>	<b>19.765.330</b>
<b>Disavanzo gestionale</b>	<b>1.788.460</b>	<b>0</b>

**COMITATO TELETHON FONDAZIONE ONLUS**  
**ALLEGATO 1 • RENDICONTO DEGLI ONERI PER DESTINAZIONE**  
**AL 30 GIUGNO 2006 (MIGLIAIA DI EURO)**

Oneri	ATTIVITÀ ISTITUZIONALE		ATTIVITÀ DI SUPPORTO			TOTALE
	Ricerca	Ufficio scientifico	Raccolta fondi	Amministrazione e supporto generale	Finanziari e straordinari	
<i>Grant</i>	23.045					23.045
Oneri indiretti di ricerca		599				599
Acquisti		16	441	54		511
Servizi		112	3.597	446		4.155
Godimento beni terzi		45	161	160		366
Personale		257	1.194	346		1.797
Ammortamenti		36	49	49		134
Oneri diversi				59		59
Oneri finanziari e straordinari					390	390
<b>TOTALE ONERI</b>	<b>23.045</b>	<b>1.065</b>	<b>5.442</b>	<b>1.114</b>	<b>390</b>	<b>31.056</b>

**FONDAZIONE TELETHON**  
**ALLEGATO 2 • RENDICONTO DEGLI ONERI PER DESTINAZIONE**  
**AL 30 GIUGNO 2006 (MIGLIAIA DI EURO)**

Oneri	ATTIVITÀ ISTITUZIONALE		ATTIVITÀ DI SUPPORTO			TOTALE
	Ricerca	Ufficio scientifico	Raccolta fondi	Amministrazione e supporto generale	Finanziari e straordinari	
Personale istituti di ricerca	5.016					5.016
Ammortamenti istituti di ricerca	208					208
Oneri di funzionamento istituti di ricerca	9.098					9.098
Delibere di assegnazione ricerca esterna	400					400
Oneri indiretti di ricerca		283				283
Acquisti		5	6	9		20
Servizi		58	184	204		446
Godimento beni terzi		0	34	34		68
Personale		409	160	1.337		1.906
Ammortamenti		0	73	73		146
Oneri diversi				65		65
Oneri finanziari e straordinari					544	544
<b>TOTALE ONERI</b>	<b>14.722</b>	<b>755</b>	<b>457</b>	<b>1.722</b>	<b>544</b>	<b>18.200</b>



parte 5

## LE DELIBERE ALLA RICERCA



# 5 parte 5

BILANCIO DI MISSIONE AL 30 GIUGNO 2006

## **LE DELIBERE ALLA RICERCA**

- 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 2005 AL 30 GIUGNO 2006

RICERCATORE RESPONSABILE	TITOLO DEL PROGETTO	NUMERO PROGETTO
<b>DELIBERE COMITATO TELETHON FONDAZIONE ONLUS</b>		
RICERCA ESTERNA		
<b>PROGETTI DI RICERCA</b>		
Baldari Cosima T.	Caratterizzazione genetica e biochimica dell'immunodeficienza comune variabile (Cvid)	GGP06003
Musaro' Antonio	Il contributo del muscolo scheletrico alla degenerazione e sopravvivenza del motoneurone nelle malattie neurodegenerative	GGP06004
Priori Silvia Giuliana	Caratterizzazione di un modello murino knock-in di morte cardiaca improvvisa su base genetica: implicazioni per la gestione di pazienti affetti da tachicardia ventricolare catecolaminergica (Cpvt)	GGP06007
Tabaton Massimo	Effetti delle mutazioni di presenilina 1 sul taglio beta-secretasico della proteina precursore della beta-amiloide e sulla espressione genica. Il substrato della eterogeneita' fenotipica della malattia di Alzheimer familiare	GGP06009
Teti Anna Maria	Nuovi approcci terapeutici per l'osteopetrosi	GGP06019
Blasi Francesco	La proteina Prep1. Ruolo nello sviluppo embrionale e nella sindrome di Down	GGP06028
Galli-Resta Lucia	Interazioni neurovascolari nello sviluppo della retina: indagine sull'eziologia cellulare della malattia di Norrie, e verifica di possibili approcci terapeutici sperimentali in modelli animali	GGP06031
Comi Giacomo Pietro	Studio di approcci terapeutici cellulomediati e molecolari per l'atrofia muscolare spinale con Distress Respiratorio di tipo 1 (SMARD1)	GGP06043
Musacchio Andrea	Basi strutturali e funzionali della lissencefalia di tipo I	GGP06044
Candi Eleonora	Le transglutaminasi e il loro ruolo nella patogenesi dell'ittiosi lamellare e della sindrome da esfoliazione cutanea	GGP06048
Testi Roberto	Controllo della sopravvivenza cellulare da parte della frataxina, la proteina difettiva nella atassia di Friedreich	GGP06059
De Biasi Silvia	Ruolo di alterazioni della proteolisi nella degenerazione dei motoneuroni in modelli in vivo e in vitro di sclerosi laterale amiotrofica familiare. Coinvolgimento di proteasoma, immunoproteasoma e del sistema autofagosoma/lisosoma	GGP06063
Bressan Giorgio	Regolazione dell'attività del TGF-beta da parte delle Emiline e di altre proteine della fibra elastica. Ruolo in modelli murini di forme monogeniche di ipertensione, sindrome di Marfan e stenosi aortica sopravvalvole	GGP06066
Di Virgilio Francesco	Il nesso P2X7-inflammasoma: un nuovo meccanismo patogenetico nelle malattie autoinfiammatorie	GGP06070
Rossi Antonio	Il ruolo della solfatazione dei proteoglicani nello sviluppo ed omeostasi dello scheletro: un approccio in vivo con un modello murino di displasia diastrofica	GGP06076
Marigo Valeria	I meccanismi apoptotici nella degenerazione retinica possono essere utilizzati come bersagli terapeutici per limitare la morte dei fotorecettori	GGP06096
Bignami Margherita	Protezione dal danno ossidativo del DNA nella corea di Huntington	GGP06100
Mavilio Fulvio	Studio delle interazioni tra vettori retrovirali e genoma umano	GGP06101
De Benedetti Fabrizio	Ruolo di Interleuchina-6 nella distrofia muscolare di Duchenne	GGP06119
Merla Giuseppe	Correlazione genotipo-fenotipo nella sindrome di Williams Beuren attraverso l'analisi dei cambiamenti del profilo di espressione per mezzo dei microarray	GGP06122
Montecucco Cesare	Meccanismo d'azione di neurotossine presinaptiche di serpente e batteriche e loro rilevanza terapeutica	GGP06133
Baralle Francisco	Pre-mRNA splicing e malattie: valutazione di variazioni genomiche che causano malattie genetiche e studio di meccanismi di splicing non convenzionali	GGP06147
Ziche Marina	Angiopatia cerebrale amiloidea: meccanismi molecolari del danno endoteliale	GGP06148
Sitia Roberto	Folding e trasporto delle proteine all'interfaccia fra reticolo endoplasmico e Golgi: ruolo nella patogenesi di F5F8D e di altre malattie	GGP06155
Pesole Graziano	Analisi bioinformatica dello splicing alternativo e dell'espressione tessuto-specifica di geni coinvolti in malattie genetiche: un controllo combinatorio della diversita' proteica e della regolazione	GGP06158

ISTITUTO	CITTÀ	DURATA DEL PROGETTO (ANNI)	IMPORTO (A LORDO DI RETTIFICHE)
Dipartimento di Biologia Evolutiva, Università degli Studi di Siena	Siena	1	70.000,00
Dipartimento di Istologia ed Embriologia Medica, Università di Roma "La Sapienza"	Roma	3	230.100,00
Cardiologia Molecolare Fondazione "Salvatore Maugeri", Università di Pavia	Pavia	3	431.050,00
Dipartimento di Neuroscienze, Oftalmologia e Genetica, Università degli Studi di Genova	Genova	2	208.500,00
Dipartimento di Medicina Sperimentale, Università dell'Aquila, Laboratorio di Biopatologia del Tessuto Osso	L'Aquila	2	100.170,00
Ifom, Istituto Firc di Oncologia Molecolare	Milano	3	234.750,00
Istituto di Neuroscienze, CNR	Pisa	3	200.850,00
Dipartimento di Scienze Neurologiche, IRCCS Fondazione Ospedale Maggiore Policlinico, "Mangiagalli e Regina Elena"	Milano	3	237.600,00
Dipartimento di Oncologia Sperimentale, Istituto Europeo di Oncologia	Milano	3	256.300,00
Dipartimento di Medicina Sperimentale e Scienze Biochimiche, Università di Roma "Tor Vergata"	Roma	3	255.560,00
Dipartimento di Medicina Sperimentale e Scienze Biochimiche, Università di Roma "Tor Vergata"	Roma	3	316.000,00
Dipartimento di Scienze Biomolecolari e Biotecnologie	Milano	3	332.200,00
Dipartimento di Istologia Microbiologia e Biotecnologie Mediche	Padova	2	144.000,00
Dipartimento di Medicina Sperimentale e Diagnostica - Sezione di Patologia Generale, Università degli Studi di Ferrara	Ferrara	3	175.500,00
Dipartimento di Biochimica, Università di Pavia	Pavia	3	140.700,00
Dipartimento di Scienze Biomediche, Università di Modena e Reggio Emilia	Modena	3	199.867,00
Dipartimento Ambiente e Connessa Prevenzione Primaria	Roma	2	203.620,00
Dipartimento di Scienze Biomediche, Università di Modena e Reggio Emilia	Modena	2	195.500,00
Direzione Scientifica - Istituto di Ricovero e Cura a Carattere Scientifico (IRCCS), Ospedale Pediatrico "Bambino Gesù"	Roma	3	529.126,00
Servizio Genetica Medica - Istituto di Ricovero e Cura a Carattere Scientifico (IRCCS) "Casa Sollievo della Sofferenza" Poliambulatorio Giovanni Paolo II	San Giovanni Rotondo (Fg)	2	155.700,00
Dipartimento di Scienze Biomediche Sperimentali, Università di Padova	Padova	2	89.650,00
Laboratorio di Patologia Molecolare, International Centre for Genetic Engineering and Biotechnology (ICGEB)	Trieste	3	148.410,00
Dipartimento di Biologia Molecolare, Sezione di Farmacologia, Tossicologia e Chemioterapia, Università degli Studi di Siena, Laboratorio di Farmacologia dell'Angiogenesi	Siena	3	194.700,00
Protein Transport and Secretion Laboratory - Dibat - Istituto Scientifico San Raffaele, Università Vita-Salute San Raffaele	Milano	3	252.800,00
Dipartimento di Biochimica e Biologia Molecolare "E. Quagliariello"	Bari	3	86.900,00

## ELENCO DELLE DELIBERE DI FINANZIAMENTO DALL'1 LUGLIO 2005 AL 30 GIUGNO 2006

RICERCATORE RESPONSABILE	TITOLO DEL PROGETTO	NUMERO PROGETTO
De Matteis Maria Antonietta	Studio dei meccanismi molecolari e cellulari della sindrome di Lowe mirato all'identificazione e validazione di bersagli farmacologici	GGP06166
Gurrieri Fiorella	Analisi di regioni genetiche candidate e dei profili proteici e metabolici nell'autismo	GGP06170
Musci Giovanni	Il ruolo della ceruloplasmina e della ferroportina nel metabolismo del ferro nel cervello. Rilevanza per l'aceruloplasmia ed altre patologie neurodegenerative	GGP06173
Savoia Anna	Ruolo della miosina non muscolare IIA nella "malattia associata a MYH9"	GGP06177
Schenone Angelo	Un modello in vitro delle mutazioni della Proteina Mielinica P0 nelle cellule di Schwann: dalla patogenesi alla terapia	GGP06178
Zara Federico	Caratterizzazione funzionale di una nuova proteina GAP coinvolta nell'epilessia umana	GGP06180
Squitieri Ferdinando	Analisi volumetrica cerebrale in soggetti con malattia di Huntington in fase presintomatica e conclamata	GGP06181
Peracchi Alessio	Caratterizzazione biochimica di enzimi umani coinvolti nel metabolismo del glicosilato: implicazioni per il trattamento dell'iperossaluria primaria di tipo 1	GGP06183
Santorelli Filippo M.	Identificazione del gene responsabile della paraparesi spastica familiare con corpocalloso sottile	GGP06188
Strom Roberto	La ridotta fertilità maschile da iperviscosità idiopatica del liquido seminale e' causata da mutazioni e/o varianti geniche del CFTR?	GGP06199
Sala Carlo	Il ruolo di Shank3/ProSAP2 nei sintomi neurologici presenti nei pazienti con la sindrome da delezione del 22q13	GGP06208
Orlacchio Antonio	Ricerca per nuovi geni-malattia e correlazione genotipo-fenotipo nella paraplegia spastica ereditaria	GGP06209
Girelli Domenico	Sviluppo e validazione clinica di una nuova metodica semplice e rapida per il dosaggio dell'epidina, l'ormone chiave nella patogenesi dell'emocromatosi. Implicazioni per la diagnosi e la terapia del sovraccarico di ferro	GGP06213
Retta Saverio Francesco	Caratterizzazione delle funzioni cellulari di KRIT1, un gene associato alla patogenesi delle malformazioni cavernose cerebrali	GGP06222
Neri Giovanni	Riattivazione del gene FMR1 della sindrome X fragile: ruolo dell'RNA interference e caratterizzazione dei meccanismi patogenetici mediante analisi dei profili di espressione genica	GGP06224
Branaccio Andrea	Analisi a livello molecolare dell'interazione tra alfa-distroglicano e beta-distroglicano e definizione del suo ruolo nella fisiopatologia del muscolo scheletrico	GGP06225
Carelli Valerio	Degenerazione delle cellule ganglionari della retina nelle neuropatie ottiche mitocondriali: identificazione dei meccanismi patogenetici	GGP06233
Pietrobon Daniela	Conseguenze funzionali di mutazioni associate ad emicrania emiplegica familiare di tipo 1 e meccanismi dell'emicrania	GGP06234
Tortarolo Massimo	Studio in vivo e in vitro sulla interazione tra meccanismi infiammatori ed eccitotossici e sul ruolo della proteina p38map chinasi nella patogenesi della sclerosi laterale amiotrofica	GGP06241
Missero Caterina	Studio della patogenesi della sindrome di Hay-Wells (o AEC): generazione di modelli murini e identificazione dei meccanismi molecolari	GGP06243
Cattaneo Elena	Un approccio evolutivistico allo studio dell'huntingtina, la proteina responsabile della corea di Huntington	GGP06250
Camerino Giovanna	Caratterizzazione di una proteina, la R-spondina1, coinvolta nella determinazione del sesso e nella differenziazione e carcinogenesi della pelle	GGP06252
Piacentini Mauro	Ruolo delle alterazioni delle membrane mitocondriali nella patogenesi della corea di Huntington: pazienti, modelli animali e meccanismi molecolari	GGP06254
Salviati Leonardo	Deficit di citocromo c ossidasi e geni per il metabolismo del rame. Dalla fisiopatologia alla terapia	GGP06256
Del Sal Giannino	Ruolo della prolina isomerasi Pin1 nella malattia di Huntington	GGP06264
Benvenuti Federica	Difetti nella presentazione dell'antigene e nell'interazione con i linfociti T in cellule dendritiche che non esprimono la proteina WASp	GGP06267
Gustincich Stefano	Ruolo di DJ-1 nella neurodegenerazione	GGP06268

ISTITUTO	CITTÀ	DURATA DEL PROGETTO (ANNI)	IMPORTO (A LORDO DI RETTIFICHE)
Dipartimento di Biologia Cellulare ed Oncologia, Consorzio Mario Negri Sud, Laboratorio di Fisiopatologia della Secrezione	Santa Maria Imbaro	3	229.350,00
Istituto Di Genetica Medica/Università Cattolica del S. Cuore/Facoltà di Medicina	Roma	2	262.000,00
Dipartimento di Biologia Università "Roma Tre"	Roma	3	260.230,00
Dipartimento di Scienze della Riproduzione e dello Sviluppo, Università di Trieste	Trieste	3	346.000,00
Dipartimento di Neuroscienze, Oftalmologia e Genetica, Università degli Studi di Genova, Genova	Genova	2	121.415,00
Laboratorio di Neurogenetica U.O. Malattie Muscolari e Neurodegenerative Istituto Gaslini	Genova	2	129.000,00
Unità di Neurogenetica e Centro Regionale per le Malattie Rare, IRCCS Neuromed	Pozzilli (Is)	1	49.500,00
Dipartimento di Biochimica e Biologia Molecolare, Università di Parma	Parma	2	60.200,00
Medicina Molecolare – IRCCS Ospedale "Bambino Gesù"	Roma	2	111.940,00
Sezione Biochimica Clinica, Dipartimento Biotecnologie Cellulari ed Ematologia, Università di Roma "La Sapienza"	Roma	3	109.000,00
Istituto di Neuroscienze, Dipartimento di Farmacologia, CNR - Università degli Studi di Milano	Milano	2	221.133,00
Laboratorio di Neurogenetica Centro Europeo di Ricerca sul Cervello (CERC) - Istituto di Ricovero e Cura a Carattere Scientifico (IRCCS) "Santa Lucia"	Roma	2	197.000,00
Dipartimento di Medicina Clinica e Sperimentale, Università di Verona	Verona	2	60.000,00
Dipartimento di Genetica, Biologia e Biochimica, Università di Torino	Torino	3	241.000,00
Istituto di Genetica Medica, Facoltà di Medicina e Chirurgia, Università Cattolica del "Sacro Cuore"	Roma	2	139.000,00
Istituto di Chimica del Riconoscimento Molecolare (CNR) c/o Istituto di Biochimica e Biochimica Clinica, Università Cattolica del "Sacro Cuore"	Roma	3	120.000,00
Laboratorio di Neurogenetica, Dipartimento di Scienze Neurologiche, Università degli Studi di Bologna	Bologna	3	645.800,00
Dipartimento Scienze Biomediche Sperimentali, Università di Padova	Padova	3	168.250,00
Dipartimento di Neuroscienze Istituto di Ricerche Farmacologiche "Mario Negri", Laboratorio di Neurobiologia Molecolare	Milano	3	250.000,00
CEINGE, Biotecnologie Avanzate SCARL	Napoli	3	201.200,00
Dipartimento di Scienze Farmacologiche e Centro di Eccellenza sulle Malattie Neurodegenerative	Milano	3	347.400,00
Dipartimento di Patologia Umana ed Ereditaria, Sezione di Biologia Generale e Genetica Medica, Università di Pavia	Pavia	3	274.930,00
Dipartimento di Biologia, Università degli Studi di Roma "Tor Vergata"	Roma	3	279.400,00
Servizio di Genetica Clinica, Dipartimento di Pediatria	Padova	3	216.000,00
L.N.CIB	Trieste	1	180.400,00
Immunologia Molecolare, International Centre for Genetic Engineering and Biotechnology (ICGEB)	Trieste	3	113.200,00
Settore di Neurobiologia, Scuola Internazionale di Studi Superiori Avanzati (S.I.S.S.A.)	Basovizza	2	333.974,00
<b>Totale Progetti di Ricerca</b>			<b>11.056.875,00</b>

## ELENCO DELLE DELIBERE DI FINANZIAMENTO DALL'1 LUGLIO 2005 AL 30 GIUGNO 2006

RICERCATORE RESPONSABILE	TITOLO DEL PROGETTO	NUMERO PROGETTO
<b>BORSE DI STUDIO</b>		
Anna Maria Calella	Analisi della funzione fisiologica della proteina prionica e del suo ruolo nella neurodegenerazione utilizzando tecniche di proteomica in vivo	GFP05002
Flavia Fontanesi	Ruolo di Shy1p nel modello di lievito della sindrome di Leigh	GFP05008
Simona Grossi	Analisi della funzione svolta dalle proteine mutate nell' Anemia di Fanconi nella replicazione e riparazione del DNA	GFP05010
Simone Sanna Cherchi	I determinanti genetici del reflusso vescicoureterale	GFP05012
Gianluca Pegoraro	Meccanismi molecolari e approci terapeutici per la sindrome di Hutchinson-Gilford	GFP05014
<b>SERVIZI ALLA RICERCA</b>		
Angelini Corrado	Banca di tessuti neuromuscolari e di campioni di DNA	GTF05003
Renieri Alessandra	Banca di linee cellulari e DNA di pazienti affetti da sindrome di Rett e altre forme di ritardo mentale X-legato	GTF05005
Polishchuk Roman	Telethon Electron Microscopy Core Facility (TeEMCoF)	GTF05007
Mora Marina	Banca biologica di tessuti, DNA e cellule di pazienti con malattie neuromuscolari	GTF05008
Altruda Fiorella	Centro per lo studio di genomica funzionale in vivo	GTF05010
<b>PROGETTI CLINICI TELETHON-UILDM</b>		
Sansone Valeria	Validazione italiana di una scala di qualità di vita individualizzata in pazienti adulti con malattie neuromuscolari (INQoL italia)	GUP05001
Pareyson Davide	Trial randomizzato controllato multicentrico in doppio cieco con acido ascorbico verso placebo nel trattamento della malattia di Charcot-Marie-Tooth tipo 1a (CMT-Trial: cmt-trial italiano con acido ascorbico long-term)	GUP05007
<b>RICERCA INTERNA</b>		
<b>TIGEM (TELETHON INSTITUTE OF GENETICS AND MEDICINE)</b>		
Brunella Franco	La sindrome orofaciodigitale di tipo I come modello per lo studio della funzione ciliare	TGM06A01
Michele Studer	Meccanismi di sviluppo del tronco encefalico e patologie	TGM06A03
Michele Studer	Regolazione genetica dello sviluppo della corteccia cerebrale	TGM06A04
Antonio Baldini	Ruolo dei fattori di trascrizione T-box nelle malattie congenite del cuore e in altri difetti dello sviluppo	TGM06A05
Alberto Auricchio, Enrico Surace	Strategie di terapia genica per le malattie ereditarie gravi dei fotorecettori	TGM06B01
Andrea Ballabio	Solfatasi e patologie umane: informazioni dalla deficienza multipla di solfatasi	TGM06C01
Maria Pia Cosma	Caratterizzazione del sistema di modificazione delle solfatasi nei mammiferi	TGM06C02
Alberto Auricchio	Trasferimento genetico mediato da virus adeno-associati in modelli animali di mucopolisaccaridosi VI	TGM06C03
Giancarlo Parenti	Identificazione di nuovi approcci terapeutici per le malattie lisosomiali	TGM06C05
Sandro Banfi	Ruolo degli RNA non codificanti nello sviluppo e nel funzionamento dell'occhio dei mammiferi	TGM06D01
Germana Meroni, Vincenzo Nigro	Una nuova classe di ligasi E3 delle ubiquitine: la famiglia TRIM	TGM06D02
Diego Di Bernardo	Reti genetiche nelle patologie umane	TGM06E01
Germana Meroni	Laboratorio di microscopia e imaging	TGM06Z02
Germana Meroni	Laboratorio di colture cellulari e tissutali	TGM06Z03

ISTITUTO	CITTÀ	DURATA DEL PROGETTO (ANNI)	IMPORTO (A LORDO DI RETTIFICHE)
Department Pathologie - Institut fur Neuropathologie - UniversitätsSpital Zurich - Department of Neurology	Zurigo	2	60.000,00
University of Miami - Miller School of Medicine - Department of Biochemistry	Miami (Florida - USA)	2	60.000,00
University of Lausanne , Epalinge - Switzerland	Epalinge	2	60.000,00
Columbia University - Division of Nephrology	New York	2	60.000,00
National Institute of Health	Bethesda (Maryland)	2	60.000,00
<b>Totale Borse di Studio</b>			<b>300.000,00</b>
Dipartimento di Neuroscienze - Istituto Veneto di Medicina Molecolare, Università di Padova	Padova	1	33.000,00
Unità di Genetica Medica - Dipartimento di Biologia Molecolare Policlinico "Le Scotte", Università di Siena	Siena	1	44.000,00
Dipartimento di Biologia Cellulare e Oncologia, Consorzio "Mario Negri" Sud	San Maria Imbaro (Ch)	3	240.000,00
Laboratorio di Biologia Muscolo Cellulare - Dipartimento di Malattie Neuromuscolari e Neuroimmunologia, Istituto Nazionale Neurologico "C. Besta"	Milano	1	44.000,00
Dipartimento di Genetica, Biologia e Biochimica, Università di Torino	Torino	3	330.000,00
<b>Totale Borse di Studio</b>			<b>691.000,00</b>
Dipartimento di Neurologia - Ospedale Policlinico "San Donato", Università degli Studi di Milano	Milano	3	187.755,00
Divisione di Biochimica e Genetica, Istituto Nazionale Neurologico "C. Besta"	Milano	3	651.436,00
<b>Totale Progetti Clinici Telethon-UILDM</b>			<b>839.191,00</b>
<b>Totale delibere Comitato alla ricerca esterna (A)</b>			<b>12.887.066,00</b>
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	1	87.460,00
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	1	43.328,05
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	1	29.206,67
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	1	120.000,00
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	1	168.500,00
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	1	109.677,50
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	1	70.000,00
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	1	79.797,00
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	1	80.000,00
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	1	96.119,00
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	1	120.875,00
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	1	106.650,00
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	1	31.737,50
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	1	9.000,00

## ELENCO DELLE DELIBERE DI FINANZIAMENTO DALL'1 LUGLIO 2005 AL 30 GIUGNO 2006

RICERCATORE RESPONSABILE	TITOLO DEL PROGETTO	NUMERO PROGETTO
Michele Studer	Servizio per la produzione di topi transgenici e knock-out	TGM06Z04
Brunella Franco	Laboratorio per l'analisi delle mutazioni	TGM06Z05
Diego Di Bernardo	Laboratorio di bioinformatica	TGM06Z06
Mario Traditi	Servizio di informatica	TGM06Z07
Brunella Franco	Servizi generali	TGM06Z08
Michele Studer	Stabulario	TGM06Z09
Alberto Auricchio	Fondi strutturali: gruppo di lavoro per le applicazioni cliniche	TGM06S02
Brunella Franco	Fondi strutturali: programmi di dottorato	TGM06S03
	Fondi strutturali generali per l'istituto	TGM06S01
<b>HSR-TIGET (SAN RAFFAELE-TELETHON INSTITUTE FOR GENE THERAPY)</b>		
Alessandro Aiuti	Terapia genica dell'ADA-SCID	TGT06A01
Maria Grazia Roncarolo, Anna Villa	Sindrome di Wiskott-Aldrich: caratterizzazione dei difetti immunologici e studi preclinici di terapia genica	TGT06A02
Rosa Bacchetta	Trasferimento cellulare e genetico nella IPEX	TGT06A03
Luigi Naldini, Alessandra Biffi	Terapia ex vivo delle leucodistrofie metacromatica e globoide tramite cellule staminali ematopoietiche	TGT06B01
Angela Gritti	Approcci combinati basati sul trasferimento genetico e di cellule staminali neuronali (NSC) per le leucodistrofie metacromatica e globoide	TGT06B02
Giuliana Ferrari	Valutazione preclinica di un approccio di terapia genica per la beta talassemia	TGT06C01
Luigi Naldini	Miglioramento della sicurezza del trasferimento genetico	TGT06D01
Luigi Naldini	Miglioramento dell'efficacia del trasferimento genetico nelle cellule staminali ematopoietiche	TGT06D02
Luigi Naldini, Maria Grazia Roncarolo	Sviluppo di vettori lentivirali per il trasferimento genetico nel fegato e applicazioni alla terapia dell'emofilia	TGT06D03
Maria Grazia Roncarolo, Silvia Gregori	Ruolo delle cellule T regolatorie di tipo 1 nella tolleranza immunitaria	TGT06E01
Maria Grazia Roncarolo, Luigi Naldini	Risposta immunitaria al transgene a seguito di trasferimento con vettori lentivirali: meccanismi e modulazione tramite terapie cellulari	TGT06E02
Alessandro Aiuti, Maria Grazia Roncarolo	Sperimentazione clinica di terapia genica per l'ADA-SCID	TGT06F01
Maria Grazia Roncarolo, Alessandro Aiuti	Sperimentazione clinica di terapia genica per la sindrome di Wiskott-Aldrich	TGT06F02
Maria Grazia Roncarolo, Attilio Rovelli, Maria Sessa	Sperimentazione clinica di terapia genica per la distrofia metacromatica	TGT06F03
	Fondi strutturali HSR-TIGET	TGT06S01
	Fondi strutturali: HSR-TIGET, Unità di Ricerca Clinica	TGT06S02
<b>DTI (DULBECCO TELETHON INSTITUTE)</b>		
<b>Nuove posizioni</b> Davide Gabellini	Ottenimento di un modello animale per lo sviluppo di strategie terapeutiche per la distrofia facioscapolomereale	TCP05001
<b>Rinnovi</b> Valerio Orlando	Ruolo delle proteine polycomb nella regolazione epigenetica e nella riprogrammazione cellulare	TCR05001
Alessandra Bolino	Analisi funzionale del gene MTMR2, responsabile della malattia di Charcot-Marie-Tooth di tipo 4b1	TCR05002
Francesca Fanelli	Recettori accoppiati a proteine G: analisi struttura-funzione di mutazioni patologiche	TCR05003
Pier Lorenzo Puri	Caratterizzazione dei meccanismi che regolano il ciclo cellulare e la trascrizione muscolo-specifica durante la differenziazione miogenica: implicazioni terapeutiche per la rigenerazione muscolare	TCR05004

ISTITUTO	CITTÀ	DURATA DEL PROGETTO (ANNI)	IMPORTO (A LORDO DI RETTIFICHE)
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	1	56.215,00
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	1	55.275,00
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	1	113.737,50
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	1	202.200,50
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	1	30.000,00
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	1	163.100,00
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	1	64.774,75
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	1	99.220,00
Istituto Telethon di Genetica e Medicina	Napoli	1	1.023.126,53
<b>Totale Progetti TIGEM</b>			<b>2.960.000,00</b>
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	1	140.860,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	1	58.100,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	1	81.214,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	1	92.992,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	1	102.359,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	1	215.700,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	1	164.000,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	1	110.000,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	1	80.000,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	1	81.940,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	1	127.200,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	1	572.198,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	1	32.250,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	1	103.000,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	1	600.000,00
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	1	100.000,00
<b>Totale Progetti HSR-TIGET</b>			<b>2.661.813,00</b>
Stem Cell Research Institute, DIBIT-San Raffaele	Milano	5	517.000,00
Istituto di Genetica e Biofisica, CNR	Napoli	5	835.000,00
DIBIT- San Raffaele	Milano	5	800.000,00
Dipartimento di Chimica, Università di Modena and Reggio Emilia	Modena -Reggio Emilia	5	800.000,00
Fondazione A. Cesalpino, Institute of Cell Biology and Tissue Engineering (ICBTE), Parco Scientifico Castel Romano	Roma	5	800.000,00

## ELENCO DELLE DELIBERE DI FINANZIAMENTO DALL'1 LUGLIO 2005 AL 30 GIUGNO 2006

RICERCATORE RESPONSABILE	TITOLO DEL PROGETTO	NUMERO PROGETTO
Manuela Zaccolo	Compartmentalizzazione del segnale AMP ciclico nei cardiomiociti normali e ipertrofici	TCR05005
Roberto Chiesa	Malattie familiari da prioni: sviluppo di modelli sperimentali per studiare i meccanismi patogenetici e potenziali approcci terapeutici	TCR05006
Andrea Daga	La Drosophila come modello per le malattie neurodegenerative umane. Analisi funzionale degli omologhi di torsina, surf1 e spastina nel moscerino	TCR05007
Daniela Barilà	Morte e sopravvivenza cellulare nell'ataxia-telangiectasia: ruolo della via ATM/ABL	TCP00061
<b>Partecipazione a progetti multicentrici</b> Luca Scorrano	Ruolo delle alterazioni delle membrane mitocondriali nella patogenesi della corea di Huntington: pazienti, modelli animali e meccanismi molecolari*	GGP06254*
* Non è stato considerato come ulteriore progetto: già contato tra le Delibere Comitato Ricerca Esterna (vedi Progetto di ricerca n. GGP06254)		
<b>DELIBERE FONDAZIONE TELETHON RICERCA ESTERNA</b>		
Fondazione Serena	Centro di competenza multidisciplinare, specializzato per la ricerca clinica sulle malattie neuromuscolari	GSP0601
<b>ONERI OPERATIVI FONDAZIONE TELETHON RICERCA BIOMEDICA INTERNA</b>		
HSR-TIGET	Produzione vettori per la terapia genica (sindrome di Wiskott-Aldrich e leucodistrofia metacromatica)	TGT06F04
DTI	Integrazioni salariali ricercatori DTI**	-
** Non considerate come progetto di ricerca		
<b>RICERCA TECNOLOGICA INTERNA Tecnothon</b>		

ISTITUTO	CITTÀ	DURATA DEL PROGETTO (ANNI)	IMPORTO (A LORDO DI RETTIFICHE)
Laboratorio di Trasduzione del Segnale, Venetian Institute of Molecular Medicine	Padova	2	210.000,00
Dipartimento di Neuroscienze, Istituto di Ricerche Farmacologiche Mario Negri	Milano	2	210.000,00
Dipartimento di Farmacologia e Anestesiologia, Università di Padova	Padova	2	210.000,00
Laboratorio di Trasduzione del Segnale, Dipartimento di Medicina Sperimentale e Scienze Biochimiche, Università "Tor Vergata"	Roma	1	41.250,00
Istituto Veneto di Medicina Molecolare	Padova	1	112.500,00
Totale Progetti DTI			4.535.750,00
Totale delibere Comitato alla ricerca interna (B)			10.157.563,00
<b>TOTALE DELIBERE COMITATO ALLA RICERCA BIOMEDICA (A+B)</b>			<b>23.044.629,00</b>
Ospedale Niguarda	Milano		400.000,00
<b>TOTALE DELIBERE FONDAZIONE ALLA RICERCA BIOMEDICA (C)</b>			<b>400.000,00</b>
Istituto Telethon San Raffaele per la Terapia Genica	Milano	1	96.360,00
Istituto Telethon Dulbecco	loro sedi	1	209.367,43
Totale Oneri Operativi Fondazione alla ricerca interna (D)			305.727,43
<b>TOTALE FINANZIAMENTI TELETHON ALLA RICERCA BIOMEDICA (A+B+C+D)</b>			<b>23.750.356,43</b>
Laboratorio di ausili per disabili, Tecnothon	Sarcedo, (VI)	1	391.898,79



parte **6**  
**TELETHON IN PILLOLE**





# parte 6

BILANCIO DI MISSIONE AL 30 GIUGNO 2006

## TELETHON IN PILLOLE

- LE DATE PRINCIPALI DI TELETHON
- I NUMERI DAL 1990

## 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 oltre 22 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.

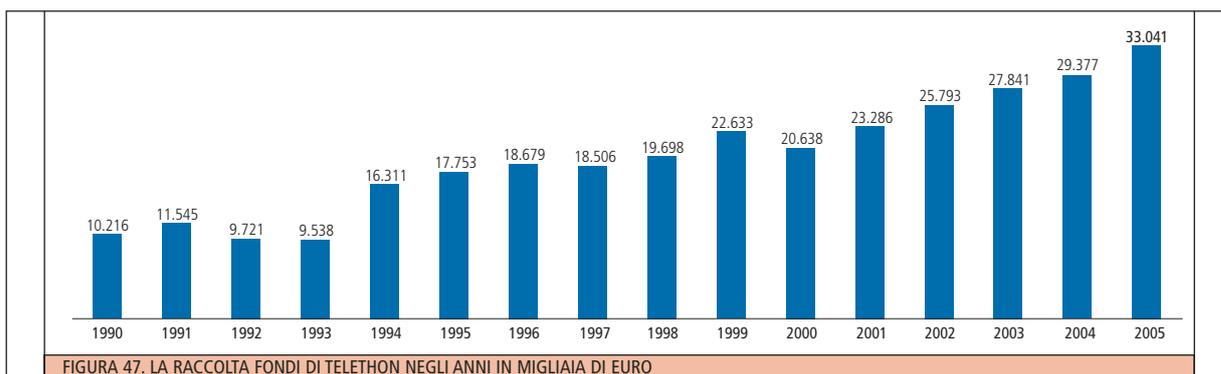
- 1995** In collaborazione con la Fondazione San Raffaele **nasce l'HSR-TIGET**, l'Istituto San Raffaele Telethon per la Terapia Genica. Con sede a Milano, studia terapie geniche per la cura delle malattie genetiche. Per gestire gli istituti di ricerca nati dall'iniziativa e dai finanziamenti di Telethon, 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.

## I NUMERI DAL 1990 AL 2006

Periodo di riferimento: 30 giugno 2006, data di chiusura dei bilanci di Telethon

### LA RACCOLTA FONDI

Dal 1990 al 2006 Telethon ha raccolto oltre **314,5 milioni di Euro**, secondo l'andamento illustrato nella figura seguente.



### I FINANZIAMENTI ALLA RICERCA

Dal 1990 al 2006 Telethon ha investito **231,3 milioni di Euro** per la ricerca scientifica di cui:

- il 67,7% alla ricerca esterna svolta nelle università o in centri di ricerca pubblici e privati non profit
- il 32,3% alla ricerca interna svolta negli istituti di Telethon: TIGEM, HSR-TIGET, DTI e Tecnothon

Alla ricerca esterna sono andati **156,7 milioni di Euro** per **1.843** progetti di ricerca.

TIPO DI FINANZIAMENTO	NUMERO DI PROGETTI FINANZIATI	FINANZIAMENTO COMPLESSIVO (MILIONI DI EURO)
Progetti di ricerca*	1.501	140,3
Borse di studio**	269	11,0
Servizi alla ricerca	73	5,4
<b>Totale</b>	<b>1.843</b>	<b>156,7</b>

FIGURA 48. IL FINANZIAMENTO DI TELETHON ALLA RICERCA ESTERNA NEGLI ANNI

\* affidati a circa 1.250 ricercatori titolari di progetto (64% uomini, 36% donne)  
 \*\*di cui circa 110 a favore di ricercatori ospitati presso laboratori all'estero

Alla ricerca interna, per finanziare i quattro istituti Telethon, sono andati **74,6 milioni di Euro**.

ISTITUTI FINANZIATI	FINANZIAMENTO COMPLESSIVO (MILIONI DI EURO)
TIGEM	32,8
HSR-TIGET	17,6
DTI	19,4
Tecnothon	4,8
<b>Totale</b>	<b>74,6</b>

FIGURA 49. IL FINANZIAMENTO DI TELETHON ALLA RICERCA INTERNA NEGLI ANNI

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: 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 2006 tali contributi ammontano a circa **23 milioni di Euro** e aggiunti al finanziamento diretto di Telethon (Figura 49) indicano il volume di risorse complessive destinate agli istituti interni di ricerca.

Le malattie studiate grazie ai finanziamenti tra il 1991 e il 2006 sono state più di 340 suddivise tra:

- malattie neuromuscolari, come la distrofia muscolare di Duchenne, la malattia di Charcot-Marie-Tooth e l'atrofia muscolare spinale;
- malattie neurologiche, come la sclerosi laterale amiotrofica e la malattia di Alzheimer;
- altre malattie genetiche, come l'immunodeficienza combinata grave e la fibrosi cistica.

Queste malattie, citate a titolo esemplificativo, figurano ai primi posti nell'elenco delle patologie più finanziate da Telethon dal 1991 al 30 giugno 2006.

### L'ECCELLENZA NELLA RICERCA

La ricerca Telethon ha prodotto complessivamente circa **5.200 pubblicazioni** su riviste scientifiche di rilievo internazionale. 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.

È possibile calcolare il numero medio di citazioni degli articoli scaturiti dalla ricerca finanziata da Telethon per diverse aree della ricerca biomedica. I risultati mostrano che il valore di citazioni delle pubblicazioni Telethon è superiore alla media europea e comparabile, o superiore, a quella statunitense in tutte le aree di studio prese in esame (Figura 50). Questo dato avvalorava la crescente reputazione di cui gode il sistema di valutazione e selezione dei progetti adottato da Telethon.

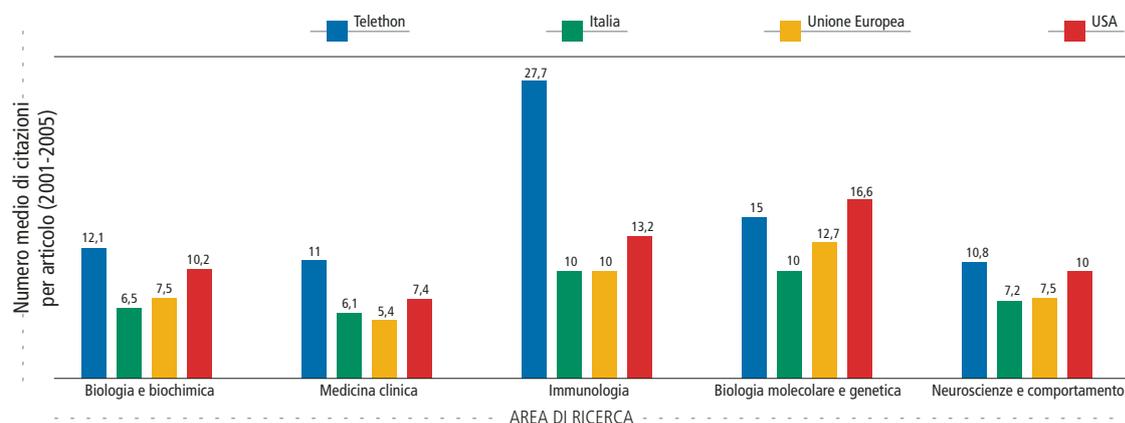


FIGURA 50. IL NUMERO MEDIO DI CITAZIONI OTTENUTE DALLE PUBBLICAZIONI TELETHON (UNA MISURA DELLA LORO QUALITÀ) RISPETTO ALLE MEDIE INTERNAZIONALI PER AREE DI RICERCA

Fonte: Thomson Scientific, Philadelphia





# Telethon

---

Via Salaria, 5/A • 00161 Roma  
[www.telethon.it](http://www.telethon.it)

DP&P GENTIL