



Insieme a te

IL FUTURO È...

Io adotto il
FUTURO 

CON FONDAZIONE TELETHON 

Benvenuto!

ECCO COSA SIGNIFICA ADOTTARE IL FUTURO

Con il tuo sostegno continuativo alla missione di Fondazione Telethon intraprendi un percorso che sarà ricco di emozioni e traguardi importanti per tutti, anche per te.

Vivrai la speranza che si accende grazie alla tua generosità. La condividerai con le famiglie che ogni giorno convivono con una malattia genetica rara.

Sarai al fianco dei migliori ricercatori. Li aiuterai a far progredire progetti sempre più innovativi, capaci di dare risposte e cure a molte persone rare, e non solo.

Unirai le tue forze a quelle degli altri donatori come te, per raccogliere la sfida più grande: offrire una vita migliore ai bambini con malattie genetiche rare.

Grazie di cuore,
PERCHÉ INSIEME A TE POSSIAMO COSTRUIRE UN FUTURO MIGLIORE!

IL FUTURO È... LA SPERANZA CHE ACCENDI

LA SINDROME DI PHELAN MC DERMID IMPEDISCE AD ANGELICA DI CAMMINARE E PARLARE. OGNI SUO SORRISO È UN DONO D'AMORE IMMENSO PER MAMMA ORNELA, CHE SPERA NELLA RICERCA, OGNI GIORNO.

PER I GENITORI COME ORNELA

Essere rari non è poi così raro.

IL PROBLEMA DELLE MALATTIE GENETICHE RARE

In Europa una patologia è definita rara quando colpisce meno di un neonato ogni duemila. Anche se ciascuna, presa singolarmente, è poco diffusa, nella loro totalità le malattie rare finora conosciute **sono oltre seimila**, di cui l'80% di origine genetica. In realtà **in tutto il mondo** ci sono **milioni di persone** rare e famiglie che lottano per il futuro.

Ogni patologia rara è diversa dalle altre e compromette uno o più organi. **Nel 70% dei casi**, i sintomi compaiono **nella prima infanzia** e spesso impediscono ai bambini colpiti di raggiungere i cinque anni di età. La rarità delle malattie genetiche non attrae investimenti pubblici e privati in ricerca biomedica, così il più delle volte **non esistono cure**.

Nessun genitore può arrendersi a questo e adesso **dalla loro parte ci sei anche tu**.

Nella foto Emanuele, affetto da una malattia mitocondriale, con mamma Cristina.



**OGNI MINUTO
NEL MONDO NASCONO
10 BAMBINI**

AFFETTI DA UNA MALATTIA GENETICA RARA.



**600 MILA
MALATI IN ITALIA**



**27-36 MILIONI
DI MALATI IN EUROPA**



**250 MILIONI
DI MALATI NEL MONDO**

Ogni giorno, per ogni vita.

LA NOSTRA MISSIONE

Fondazione Telethon lavora **ogni giorno per far avanzare la ricerca verso la cura delle malattie genetiche rare.**

Tutto è **iniziato nel 1990**, quando un gruppo di genitori dell'Unione Italiana Lotta alla Distrofia Muscolare (UILDM) si rivolse a Susanna Agnelli perché nessuno si occupava della malattia dei loro figli. Insieme organizzarono la prima maratona televisiva di raccolta fondi per la ricerca.

Negli anni l'impegno della Fondazione si è ampliato e i **progetti** sostenuti si sono allargati a centinaia di **patologie genetiche rare diverse**. Perché non importa quanto sia rara la malattia: **ogni singola vita conta e merita attenzione, risposte e cure.**

Insieme a te,
AIUTIAMO I RICERCATORI TELETHON A SPINGERE I LORO PROGETTI,
PASSO DOPO PASSO, FINO AI RISULTATI PIÙ BELLI!



IL FUTURO È... I PROGETTI CHE REALIZZI

MARIA ESTER E BERNARD,
DOPO TANTI ANNI DI STUDI,
STANNO SPERIMENTANDO
LA TERAPIA GENICA PER
LA MUCOPOLISACCARIDOSI I,
UNA MALATTIA CHE CAUSA GRAVI
DIFETTI DI CRESCITA, COGNITIVI E
A CARICO DEI PRINCIPALI ORGANI.

INSIEME AI RICERCATORI COME MARIA ESTER

Il tuo sostegno arriva qui.

IL CUORE DELLA RICERCA TELETHON

La Fondazione gestisce i fondi con trasparenza ed efficienza. Per seguire l'intero percorso della ricerca, ha creato e sostiene due Istituti d'eccellenza scientifica internazionale.

Il Tigem, l'Istituto Telethon di Genetica e Medicina di Pozzuoli, Napoli, ha come obiettivo principale l'identificazione dei meccanismi alla base delle malattie genetiche rare, per mettere a punto terapie innovative. Principali malattie studiate: patologie della vista, disturbi del traffico intracellulare, malattie da accumulo lisosomiale, metabolismo epatico e ciliopatie, malattie neurodegenerative.

Il SR-Tiget, l'Istituto San Raffaele Telethon per la Terapia Genica di Milano, è un centro di ricerca traslazionale in joint venture con l'Ospedale San Raffaele. Le cure sviluppate sono sperimentate nell'unità clinico pediatrica interna. Principali malattie studiate: immunodeficienze primarie, malattie autoimmuni, leucodistrofie e altre malattie da accumulo lisosomiale, la talassemia e le emofilie.

Inoltre, **con un bando periodico la commissione medico-scientifica di Telethon finanzia ulteriori progetti di ricerca** in Italia. Sono selezionati attraverso il processo di *peer review*, un metodo rigoroso che premia solo i più meritevoli.

Nella foto un ricercatore Telethon al lavoro.



FONDATO NEL
1994

DIRETTORE
ANDREA BALLABIO

20 GRUPPI
DI RICERCA

173 TRA RICERCATORI
E PERSONALE
AMMINISTRATIVO

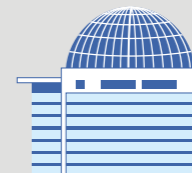


FONDATO NEL
1995

DIRETTORE
LUIGI NALDINI

11 GRUPPI
DI RICERCA

216 TRA RICERCATORI
E PERSONALE
MEDICO
INFERMIERISTICO



La cura diventa sempre più realtà.

I RISULTATI CHE STIAMO RAGGIUNGENDO

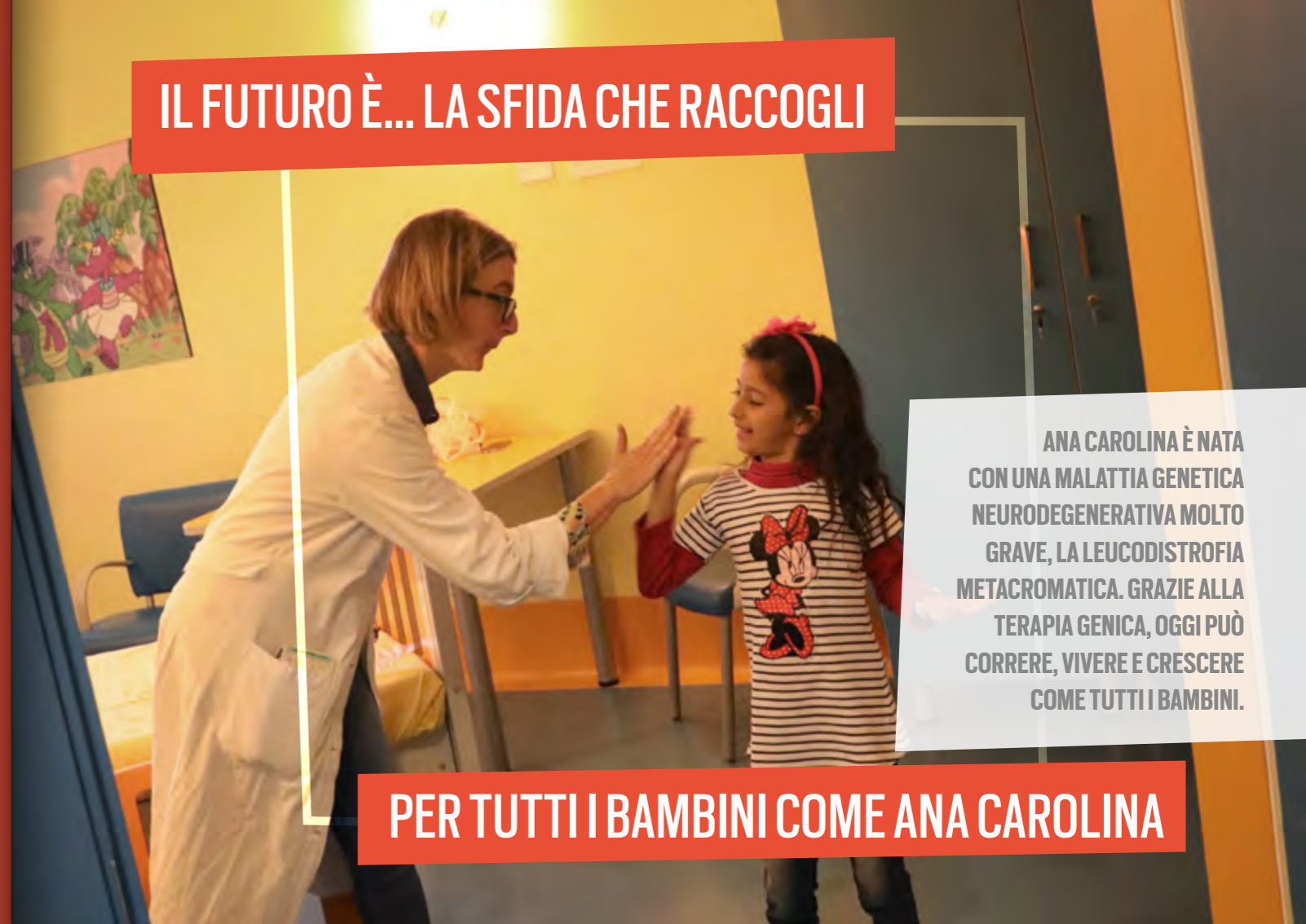
Il percorso della ricerca verso la cura richiede tanto tempo e risorse. Occorre innanzitutto identificare i meccanismi alla base della malattia, individuare una strategia terapeutica sicura ed efficace e soltanto dopo sperimentarla sull'uomo.

Trent'anni di impegno continuativo ci hanno permesso di raggiungere **traguardi importanti** che stanno **già cambiando la vita di molte persone.**

Abbiamo **messo in luce** l'emergenza delle malattie genetiche rare e alzato il livello della ricerca scientifica internazionale in questo campo. Abbiamo **contribuito a migliorare la qualità di vita** dei pazienti neuromuscolari in Italia. E stiamo offrendo a molti bambini la possibilità di un futuro, **grazie alla terapia genica, una cura dalle prospettive straordinarie per molte malattie,** anche più comuni.

SALVARE E MIGLIORARE LA VITA DEI PAZIENTI RARI È DAVVERO POSSIBILE,
ATTRAVERSO L'IMPEGNO COSTANTE DELLA RICERCA E
grazie a te!

IL FUTURO È... LA SFIDA CHE RACCOGLI



ANA CAROLINA È NATA
CON UNA MALATTIA GENETICA
NEURODEGENERATIVA MOLTO
GRAVE, LA LEUCODISTROFIA
METACROMATICA. GRAZIE ALLA
TERAPIA GENICA, OGGI PUÒ
CORRERE, VIVERE E CRESCERE
COME TUTTI I BAMBINI.

PER TUTTI I BAMBINI COME ANA CAROLINA

I traguardi che cambiano la vita.

L'IMPATTO DELLA RICERCA TELETHON SULLA VITA DI PAZIENTI E FAMIGLIE

Fuori dal buio **Conoscere la malattia** è fondamentale per aiutare le famiglie ad affrontare meglio la patologia. Questo è possibile grazie alla ricerca di base, che ha identificato i meccanismi e le cause alla base di molte malattie genetiche rare. Inoltre, con il **progetto Malattie Senza Diagnosi dell'Istituto di Pozzuoli**, stiamo dando risposte certe a persone e famiglie alle prese con patologie rarissime, ignote prima d'ora alla maggior parte dei medici.

Qualità della vita In attesa di una cura risolutiva, lavoriamo per **migliorare la qualità di vita** dei pazienti rari. Fondazione Telethon sostiene costantemente i **Centri Clinici Nemo**, dove le persone con patologie neuromuscolari ricevono assistenza a 360° e possono accedere alle strategie terapeutiche più innovative. Con il **Bando Telethon-Uildm** sono finanziati progetti rivolti alla diagnosi, alla terapia e alla riabilitazione nel campo delle malattie neuromuscolari.

Cura I ricercatori Telethon hanno sviluppato e applicato con successo su molti pazienti di tutto il mondo la **terapia genica**, una tecnica rivoluzionaria per curare le malattie genetiche che **trasforma i virus in farmaci** per trasferire versioni corrette di geni. Questa terapia all'avanguardia, dopo anni di studi e verifiche di efficacia e sicurezza, sta bloccando in molti bambini i sintomi devastanti di malattie gravissime come la leucodistrofia metacromatica e la beta talassemia ed è diventata un **farmaco a tutti gli effetti di nome Strimvelis per l'Ada-Scid**, una immunodeficienza congenita molto grave.

Nella foto Mohammad, affetto da leucodistrofia metacromatica e trattato con successo con la terapia genica.



OLTRE
500

MILIONI DI EURO
INVESTITI IN RICERCA



2620

PROGETTI DI RICERCA
FINANZIATI



PIÙ DI
1600

RICERCATORI
COINVOLTI



OLTRE
570

MALATTIE
STUDIATE



OLTRE
100

BAMBINI COINVOLTI
IN STUDI CLINICI



UNA CURA ALL'AVANGUARDIA:
LA TERAPIA GENICA

IN SPERIMENTAZIONE
CON RISULTATI INCORAGGIANTI SU PAZIENTI
CON LEUCODISTROFIA METACROMATICA,
SINDROME DI WISKOTT-ALDRICH, BETA TALASSEMIA,
MUCOPOLISACCARIDOSI 1 E MUCOPOLISACCARIDOSI 6.

FARMACO REGISTRATO
PER LA CURA DELL'ADA-SCID,
STRIMVELIS

I prossimi risultati saranno anche merito tuo.

COSA VOGLIAMO FARE INSIEME A TE

Spingere sempre più la ricerca verso la sperimentazione di nuove terapie sui pazienti.

Mantenere l'impegno per aiutare le famiglie a ricevere una diagnosi certa nel minor tempo possibile.

Fare in modo che le cure sviluppate dai nostri ricercatori siano accessibili a sempre più bambini, di tutto il mondo.

CONTINUARE AD ACCENDERE LA SPERANZA, A REALIZZARE PROGETTI, A RACCOGLIERE NUOVE SFIDE:
QUESTO E MOLTO ALTRO POTREMO FARLO SOLO INSIEME ALLE FAMIGLIE, ALLE ASSOCIAZIONI DI MALATTIA,
AI RICERCATORI, AI VOLONTARI E AI DONATORI CHE HANNO SCELTO DI PARTECIPARE
ALLA MISSIONE DI FONDAZIONE TELETHON OGNI GIORNO,
proprio come te.

La voce dei donatori come te.

“

*Ai ricercatori Telethon dico:
non arrendetevi mai fino
al raggiungimento di altri grandi
risultati e grazie
per il vostro impegno!”*

LEONARDO

“

*Per tutti i bimbi mi sento
una madre di cuore. Vi vorrei
stringere tutti per trasmettervi
l'affetto che provo.
Vorrei che la speranza
non vi abbandonasse mai.”*

MARTA

“

*A volte sogno di vedere
tanti bambini sorridere, giocare,
insomma vederli guariti, grazie
ai ricercatori e a noi che nel nostro
piccolo li sosteniamo.”*

ALDO

“

*Sono al vostro fianco
per un futuro migliore per voi
e per tutta l'umanità.”*

FIORENZA

SE LO DESIDERI, PUOI DONARE ANCHE COSÌ.

5x1000 per sostenere la ricerca sulle malattie genetiche con la tua dichiarazione dei redditi indicando, nel riquadro "Ricerca scientifica e della Università", il CF **04879781005**.

LASCITI per un futuro libero dalle malattie genetiche, ricorda la Fondazione nel tuo testamento. Per maggiori informazioni scrivi a **lasciti@telethon.it** o chiama lo **06 44015379**.

PRODOTTI E BOMBONIERE SOLIDALI per festeggiare con noi le tue occasioni importanti. Scopri la nostra gamma su **www.telethon.it/shop**
Per info chiama lo **02 44578581** o scrivi a **prodottisolidali@telethon.it**

Vuoi conoscere le storie dei nostri pazienti e restare aggiornato sulle ultime scoperte dei nostri ricercatori?

Seguici su   

FONDAZIONE



FONDAZIONE TELETHON
C.F. 04879781005

Sede di Roma
Via Varese 16/B
00185 Roma, Italia

Sede di Milano
Via Carlo Poerio 14
20129 Milano, Italia

Servizio Donatori: +39 06 44015418
Fax: +39 06 44015520
donatori.regolari@telethon.it