



DA FONDAZIONE TELETHON OLTRE 11 MILIONI DI EURO ALLA RICERCA ITALIANA SULLE MALATTIE GENETICHE RARE

La Commissione medico-scientifica di Fondazione Telethon ha selezionato i vincitori del bando progetti 2019: finanziati 35 progetti di ricerca su oltre 30 malattie genetiche.

Milano, 4 luglio 2019 – Sono oltre **11 i milioni di euro** che Fondazione Telethon ha messo a disposizione della ricerca scientifica di eccellenza per rispondere alla sua missione, quella di trovare cure e terapie per le malattie genetiche rare. I fondi assegnati con il bando di concorso 2019 permetteranno di finanziare 35 progetti e sostenere così il lavoro di **50 gruppi di ricerca** in Abruzzo, Campania, Emilia-Romagna, Friuli-Venezia Giulia, Lazio, Liguria, Lombardia, Piemonte, Puglia, Toscana, Trentino-Alto Adige e Veneto.

Le due giornate di sessione plenaria della Commissione medico-scientifica sono state ospitate presso la sede di **Fondazione Fiera Milano**: un supporto che rafforza la collaborazione tra le due prestigiose istituzioni, a conferma della sensibilità di Fondazione Fiera Milano verso progetti riguardanti la ricerca medico-scientifica, al servizio del progresso e della collettività. Inoltre, hanno contribuito ai lavori della Commissione medico-scientifica di Fondazione Telethon anche due storiche aziende partner come BNL Gruppo BNP Paribas e Ferrarelle, che da anni accompagnano e supportano la Fondazione nel suo percorso di ricerca di cure e terapie per le malattie genetiche rare.

Nell'ambito del bando di concorso 2019 sono stati presentati 326 progetti, tutti sottoposti al vaglio della Commissione medico-scientifica della Fondazione. Composta da **30 scienziati di statura internazionale**, provenienti da diversi Paesi del mondo per garantire l'oggettività della selezione, la Commissione si avvale del metodo del *peer review*, ovvero "revisione tra pari", lo stesso impiegato dalle riviste scientifiche internazionali per i lavori da pubblicare. Complessivamente i 35 progetti che hanno meritato un finanziamento coinvolgono un totale di **50 gruppi di ricerca** distribuiti su tutto il territorio nazionale (alcuni progetti, infatti, prevedono la collaborazione tra due centri diversi). Sono inoltre complessivamente **34 le malattie genetiche rare** oggetto di studio: tra queste ci sono varie forme di atrofia e distrofia muscolare, patologie oculari come l'atrofia ottica dominante e la retinite pigmentosa, malattie metaboliche come quella di Fabry o l'ipercolesterolemia familiare, ma anche patologie neurologiche come la sindrome di Rett o da morte improvvisa come la sindrome del QT lungo.

*“Lavoriamo ogni giorno con passione e dedizione per il nostro obiettivo che è arrivare alla cura delle malattie genetiche rare selezionando la migliore ricerca biomedica – ha dichiarato **Francesca Pasinelli**, Direttore Generale di Fondazione Telethon – Grazie al bando Telethon del 2019 sarà possibile mettere a disposizione della ricerca italiana i fondi necessari per indagare i meccanismi biologici di patologie genetiche molto rare, come la sindrome di Dravet o di Barth, che per la prima volta sono state oggetto di un finanziamento Telethon. E, in pratica, essere vicini non solo ai pazienti ma anche ai loro familiari a cui offriamo il nostro sostegno e il massimo impegno per trovare nuove soluzioni terapeutiche”.*

FONDAZIONE



Dalla sua nascita, Fondazione Telethon ha investito in ricerca oltre 528 milioni di euro, ha finanziato oltre 2.630 progetti con oltre 1.600 ricercatori coinvolti e più di 570 malattie studiate. Ad oggi grazie a Fondazione Telethon è stata resa disponibile la prima terapia genica con cellule staminali al mondo, nata grazie alla collaborazione con GlaxoSmithKline e Ospedale San Raffaele. Strimvelis, questo il nome commerciale della terapia, è destinata al trattamento dell'ADA-SCID, una grave immunodeficienza che compromette le difese dell'organismo fin dalla nascita. La terapia genica è in fase avanzata di sperimentazione anche per la leucodistrofia metacromatica (una grave malattia neurodegenerativa), la sindrome di Wiskott-Aldrich (un'immunodeficienza) e per la beta talassemia, mentre è appena stata avviata per due malattie metaboliche dell'infanzia (rispettivamente, la mucopolisaccaridosi di tipo 6 e di tipo 1). Inoltre, all'interno degli istituti Telethon è in fase avanzata di studio o di sviluppo una strategia terapeutica mirata anche per altre malattie genetiche, come per esempio l'emofilia o diversi difetti ereditari della vista. Parallelamente, continua in tutti i laboratori finanziati da Telethon lo studio dei meccanismi di base e di potenziali approcci terapeutici per patologie ancora senza risposta.

Tutti i dettagli sui progetti appena finanziati saranno resi disponibili nei prossimi giorni sul sito www.telethon.it

Per maggiori informazioni:

Ufficio stampa Fondazione Telethon - HAVAS PR Milan

Thomas Balanzoni – thomas.balanzoni@havaspr.com – tel. 02 85457047 – 3463204520