



fsrmm

fondation suisse de recherche sur les maladies musculaires  
fondazione svizzera per la ricerca sulle malattie muscolari  
schweiz. stiftung für die erforschung der muskelkrankheiten



Rapport annuel  
Rapporto annuo 2016  
Jahresbericht

[www.fsrmm.ch](http://www.fsrmm.ch)



## SOMMAIRE

	<b>Page</b>
Avant-propos, Vorwort, Premessa	2-4
Composition Conseil de Fondation et Conseil scientifique	5
Buts de la Fondation	6
Présentation des fondatrices	7
Rapport du Conseil scientifique	8
Bericht des wissenschaftlichen Beirats	9
Rapporto del Consiglio scientifico	11
Ceremonie de remise des bourses 2016	13
Santhera Pharmaceuticals: Bericht 2016	14
Engagement financiers de la fondation	16
Forschungsstipendien – Bourses de recherche	17
Weitere Unterstützungsbeiträge - Autres soutiens financiers	19
Jahresrechnung 2016	20
Kommentar zu den Finanzen	22
Héritage Dr. Sven Widgren	23
Cercle de Partenaires - Partnerkreis - Circolo dei Partner	25
Téléthon 2016 (FR)	26
Telethon 2016 (DE)	27
Telethon 2016 (IT)	28
European Neuro Muscular Centre (ENMC) (FR-DE-IT)	30
Devenir Membre bienfaiteur? Gönner werden? Membri sostenitori?	31

---

Nous remercions Yanick et Viktor Röthlin qui soutiennent le Téléthon d'accepter de figurer sur la page couverture.

---

### **Fondation Suisse de recherche sur les maladies musculaires (FSRMM)**

**Secrétariat:** Ch. des Jordils 4                      **Président:** Dr Jacques Rognon  
2016 Cortaillod                                      Tél. 032 842 47 26  
Tél. 032 842 47 49                                  E-mail: jacques.rognon@fsrmm.ch  
Mobile 078 629 63 92

**E-mail:** info@fsrmm.ch                      **Internet:** www.fsrmm.ch  
philippe.rognon@fsrmm.ch

**N° CCP :** 30-13114-3      ou      **N° IBAN:** CH58 0076 9016 4217 0089 6

## AVANT-PROPOS



*Dr. hc Jacques Rognon*

J'ai le plaisir de vous présenter le 31ème rapport annuel de la Fondation Suisse de recherche sur les maladies musculaires (FSRMM). Parmi les faits qui ont marqué cette année j'aimerais souligner les trois points suivants:

**Les essais cliniques se multiplient et conduisent à des premières approbations**

**La première cérémonie de remise des bourses à Berne a été un succès**

**Un héritage important contribue à assurer la pérennité de la Fondation**

La société Santhera Pharmaceutical à Liestal, que notre Fondation a soutenue à sa création en 2002, a soumis à l'Autorité européenne les dossiers de la demande d'homologation pour un médicament améliorant les conditions respiratoires des patients souffrant de la dystrophie de Duchenne.

La première cérémonie de remise des bourses de la FRSMM a eu lieu le 27 avril 2016 à Berne dans la salle du Grand Conseil en présence du président des Académies suisses des sciences, du recteur de l'Université de Berne et du maire de Berne. Un nombreux public a suivi avec intérêt la présentation des projets des 7 lauréats.

A fin 2015, le Dr Sven Widgren, qui a fait une partie de sa carrière à l'Université de Genève, est décédé. Son épouse Claudine, cousine du Président de la FSRMM, était décédée quelques années auparavant. Fortement impressionné par l'engagement des responsables de la Fondation et par les résultats obtenus, le couple Widgren a décidé d'instituer la FSRMM comme héritière de sa fortune. Bien que le capital hérité soit inaliénable, cette décision très généreuse contribue à assurer la pérennité de la Fondation.

Grâce à nos fidèles donateurs et au Téléthon nous avons pu soutenir quatre nouveaux projets de recherche pour un montant de 445'000 francs. Après 31 ans d'existence, la somme des 150 bourses allouées et le soutien financier apporté à 41 séminaires se monte à 25 millions de francs. Le 30ème Téléthon se déroulera les 8 et 9 décembre 2017.

Je ne saurais conclure cet avant-propos sans adresser mes sincères remerciements à nos généreux donateurs, aux membres du Conseil de Fondation, du Conseil scientifique et aux chercheurs en qui sont placés tous nos espoirs.

Juin 2017

Dr hc Jacques Rognon, président

## VORWORT

Ich freue mich, Ihnen den 31. Jahresbericht der Schweizerischen Stiftung zur Erforschung der Muskelkrankheiten (FSRMM) vorzustellen. Ich möchte dabei folgende drei Aspekte hervorheben, die das Jahr 2016 gekennzeichent haben:

**Die klinischen Studien vermehren sich und führen zu ersten Produktzulassungen**

**Die erste Zeremonie für die Stipendienvergabe in Bern war ein grosser Erfolg**

**Eine wichtige Erbschaft trägt dazu bei, die Kontinuität der Stiftung zu sichern**

Die Firma Santhera Pharmaceuticals AG in Liestal, deren Forschung seit 2002 von unserer Stiftung immer wieder unterstützt wurde, hat den Zulassungsantrag in Europa für ein Medikament eingereicht, welches die Atmungsfunktion bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie verbessert.

Die erste Zeremonie zur Stipendienvergabe fand am 27. April 2016 im Berner Grossratssaal statt. Anwesend waren u.a. der Präsident der Schweizerischen Akademie der Wissenschaften, der Rektor der Universität Bern und der Stadtpräsident von Bern. Ein zahlreiches Publikum folgte mit Interesse der Präsentation der sieben neuen Forschungsprojekte.

Ende 2015 ist Dr Sven Widgren gestorben, der u.a. auch an der Universität Genf tätig war. Seine Gattin Claudine, die Cousine des Präsidenten der FSRMM, war schon einige Jahre früher verstorben. Beeindruckt vom Engagement der Stiftungsverantwortlichen und von den Erfolgen der Stiftung, hat das Ehepaar Widgren die FSRMM als Erbin ihres Vermögens bestimmt. Obwohl das Kapital unveräusserlich bleibt, sichert diese Grosszügigkeit das Weiterbestehen der Stiftung.

Dank unseren treuen Gönnern und der Aktion Telethon konnten wir dieses Jahr vier neue Forschungsprojekte mit einem Gesamtbetrag von 445'000 Franken unterstützen. In den letzten 31 Jahren haben wir insgesamt 150 Forschungsstipendien und 41 Konferenzen und Seminare mit einem Betrag von 25 Millionen CHF finanziert. Der 30. Telethon findet am 8. und 9. Dezember statt.

Ich möchte dieses Vorwort nicht abschliessen ohne einen herzlichen Dank an unsere grosszügigen Spender, die Mitglieder des Stiftungsrates, des wissenschaftlichen Beirats sowie die Forscherinnen und Forscher, in die wir alle unsere Hoffnungen setzen.

Juni 2017

Dr. hc Jacques Rognon, Präsident

## PREMESSA

Ho il piacere di presentarvi il 31mo rapporto annuale della Fondazione. Tra gli avvenimenti che hanno caratterizzato quest'anno, desidero sottolineare in particolare i seguenti tre:

**Aumenta il numero di studi clinici e si procede verso le prime autorizzazioni al commercio**

**La prima cerimonia per l'assegnazione delle borse di ricerca si è conclusa con successo a Berna**

**Un'importante eredità contribuisce ad assicurare la perennità della Fondazione**

La ditta Santhera Pharmaceuticals AG di Liestal, sostenuta dalla Fondazione in diverse fasi fin dal suo nascere nel 2002, ha presentato domanda di autorizzazione al commercio per un farmaco che migliora la funzione respiratoria in pazienti con la distrofia di Duchenne.

La prima cerimonia per l'assegnazione delle borse di ricerca ha avuto luogo a Berna, nella sala del Gran Consiglio, il 27 aprile 2016 alla presenza del presidente dell'Accademia Svizzera delle Scienze, del rettore dell'Università di Berna e del Sindaco della città di Berna. Un pubblico numeroso ha ascoltato con interesse la presentazione dei nuovi progetti di sette laureati.

Alla fine del 2015 è deceduto il Dott. Sven Widgren, che svolse parte della sua carriera all'Università di Ginevra. Sua moglie Claudine, cugina del presidente della FSRMM, era deceduta qualche anno prima. Impressionati dall'impegno dei responsabili della Fondazione e dai risultati ottenuti, la famiglia Widgren ha deciso di nominare la FSRMM come erede della sua fortuna. Nonostante il capitale rimanga inalienabile, questa generosa decisione contribuisce ad assicurare la perennità della Fondazione.

Grazie ai nostri fedeli benefattori e al Telethon, abbiamo potuto sostenere nel 2016 altri quattro nuovi progetti di ricerca per un ammontare di 445'000 franchi. In 31 anni di esistenza la Fondazione ha così finanziato 150 borsisti e 41 seminari o congressi per un totale di 25 milioni di franchi. Il 30mo Telethon si terrà l'8 e il 9 dicembre 2017.

Non potrei terminare questa prefazione senza ringraziare calorosamente i nostri generosi donatori, i membri del Consiglio di Fondazione e del Consiglio Scientifico, e i nostri ricercatori cui affidiamo tutte le nostre speranze.

Giugno 2017

Dr. hc Jacques Rognon, Presidente

## COMPOSITION DES CONSEILS

### Stiftungsrat ♦ Conseil de Fondation ♦ Consiglio di Fondazione

Président: M. **Jacques Rognon**, Dr. hc ès sciences techniques EPFL, ancien administrateur d'EOS Holding, Cortaillod

Vice-président: M. **Jean-François Zürcher**, anc. directeur Groupe E, Cortaillod

Mitglieder/Membres/Membri:

M. **Didier Berberat**, Dr en droit, Conseiller aux Etats, Le Chaux- de- Fonds

M. **Emmanuel Dubochet**, anc. Président ASRIMM, Lausanne

Hr. **Hans Eppenberger**, ehem. Prof. Dr., Institut für Zellbiologie, ETH, Zürich

M. **Jean Guinand**, Prof. émérite, anc. conseiller d'Etat et ancien conseiller national, Neuchâtel

Hr. **Hanspeter Hagnauer**, Kassier, Pratteln

M. **Philippe Hebeisen**, Directeur général de la Vaudoise Assurances, Lausanne

Mme **Yolande Joray**, vice-présidente de l'Association Suisse Romande intervenant contre les maladies neuromusculaires, Neuchâtel

M. **Denis Monard**, Prof. Dr., anc. Président du Conseil scientifique, anc. Président de l'Académie suisse des sciences naturelles, Bâle

Hr. **Hansjakob Müller**, Prof. emer. Dr. med., Leiter der Abt. für med. Genetik, Kinderklinik u. Poliklinik, UKBB, Riehen

Mme **Paola Ricci**, Ares Life Sciences, Genève

Hr. **Markus A. Rüegg**, Prof. Dr. Biozentrum, Universität Basel

Sig. **Sandro Rusconi**, Prof. Dr. Direttore della Divisione della cultura e degli studi universitari, Bellinzona

Hr. **Michael Sinnreich**, Prof. Dr. Lehrstuhl für Myologie, Universität Basel, Vorstandsmitglied der Schweizerischen Muskelgesellschaft, Basel

Sig. **Anna Maria Sury**, Déléguée Téléthon Tessin, Muralto

Hr. **Alexander Tschäppät**, Fürsprecher, ehem. Stadtpräsident der Stadt Bern, Bern

### Wissenschaftlicher Beirat ♦ Conseil scientifique ♦ Consiglio Scientifico

Président: Hr. **Markus A. Rüegg**, Prof. Dr., Biozentrum, Universität Basel

Mitglieder/Membres/Membri:

Hr. **Matthias Chiquet**, Prof. Dr., Universität Bern

M. **Denis Jabaudon**, Prof. Dr., Université de Genève

Hr. **Kai Rösler**, Prof. Dr., Leiter der Neurophysiologie, Universität Bern

Mme **Eliane Roulet-Perez**, Prof. Dr. méd., Service de neuropédiatrie, CHUV, Lausanne

## BUTS DE LA FONDATION

### **Buts de la Fondation**

La Fondation s'occupe des aspects scientifiques des maladies musculaires (myopathies) des enfants et des adultes.

La Fondation a pour but de promouvoir en Suisse la recherche scientifique sur les maladies musculaires. A cette fin, elle décernera en premier lieu des bourses à des chercheurs travaillant dans ce domaine. Elle pourra, en second lieu, encourager matériellement les activités scientifiques par d'autres moyens appropriés.

La Fondation soutient les buts poursuivis par les associations fondatrices (ASRIMM et la Schweizerische Muskelgesellschaft) et coordonne ses efforts avec ceux d'organismes étrangers poursuivant le même but.

### **Zwecke der Stiftung**

Die Stiftung befasst sich mit den wissenschaftlichen Aspekten der Muskelkrankheiten (Myopathien) von Kindern und Erwachsenen.

Die Stiftung bezweckt die Förderung der wissenschaftlichen Forschung auf dem Gebiet der Muskelkrankheiten in der Schweiz. Dies erfolgt in erster Linie durch Gewährung von Stipendien an aktiv tätige Forscher, in zweiter Linie durch andere materielle Förderung wissenschaftlicher Tätigkeiten.

Die Stiftung unterstützt die Ziele der Stiftergesellschaften (ASRIMM und Muskelgesellschaft) und ist bestrebt, ihre Anstrengungen mit ausländischen Organisationen, die denselben Zweck verfolgen, zu koordinieren.

### **Obiettivi della Fondazione**

La Fondazione si occupa degli aspetti scientifici delle malattie muscolari (miopatie) dei bambini e degli adulti.

La Fondazione ha l'obiettivo di promuovere in Svizzera la ricerca scientifica sulle malattie muscolari. A tale fine, conferirà innanzitutto delle borse di studio ai ricercatori che lavorano in questo ambito. In secondo luogo potrà sostenere materialmente le attività scientifiche con altrettanti mezzi ritenuti adeguati.

La Fondazione sostiene gli obiettivi perseguiti dalle associazioni fondatrici (ASRIMM e Schweizerische Muskelgesellschaft) e coordina i suoi sforzi con quelli di organizzazioni straniere impegnate per il medesimo scopo.



## PRESENTATION DES FONDATRICES

### Présentation des fondatrices

Pour des raisons de cohérence et de compréhension vis-à-vis des donateurs, la Fondation Suisse de Recherche sur les Maladies Musculaires décida à sa création de choisir comme fondatrices les deux institutions qui s'occupent des myopathes en Suisse. Il s'agit de l'Association Suisse Romande intervenant contre les Maladies neuro- Musculaires (ASRIMM) et la Schweizerische Muskelgesellschaft (SMG) qui ont de droit un siège au Conseil de fondation de la FSRMM. Les activités de ces deux institutions se trouvent sur [www.asrimm.ch](http://www.asrimm.ch) et [www.muskelgesellschaft.ch](http://www.muskelgesellschaft.ch). Les président/tes de l'ASRIMM, de la SMG et de la FSRMM se réunissent au minimum une fois par année pour s'informer et coordonner leurs actions.

### Vorstellung der Gründungsgesellschaften

Die Schweizerische Stiftung für die Erforschung der Muskelkrankheiten beschloss bei ihrer Gründung, die zwei Gesellschaften als Mitgründer zu wählen, die sich zu dieser Zeit in der Schweiz mit Muskelerkrankungen befassten. Die Association Suisse Romande intervenant contre les Maladies neuro-Musculaires (ASRIMM) und die Schweizerische Muskelgesellschaft (SMG) haben daher Recht auf je einen Sitz im Stiftungsrat der FSRMM. Die Tätigkeiten dieser zwei Organisationen sind unter ihren Webseiten [www.asrimm.ch](http://www.asrimm.ch) und [www.muskelgesellschaft.ch](http://www.muskelgesellschaft.ch) beschrieben. Die Präsident/Innen von ASRIMM, SMG und FSRMM treffen sich mindestens einmal im Jahr zur Informationsaustausch und zur Koordination der gemeinsamen Tätigkeiten.

### Descrizione delle associazioni fondatrici

Per ragioni di coerenza nei confronti dei benefattori, la Fondazione Svizzera per la Ricerca sulle Malattie Muscolari decise, per la propria creazione, di scegliere come fondatrici le due associazioni che si occupavano di malattie muscolari in Svizzera: l'Association Suisse Romande intervenant contre les Maladies neuro-Musculaires (ASRIMM) e la Schweizerische Muskelgesellschaft (SMG), che hanno ciascuna diritto a un seggio nel Consiglio di Fondazione della FSRMM. Le attività di queste due associazioni sono descritte sui siti [www.asrimm.ch](http://www.asrimm.ch) e [www.muskelgesellschaft.ch](http://www.muskelgesellschaft.ch). I/le presidenti di ASRIMM, SMG e FSRMM si riuniscono almeno una volta all'anno per informarsi a vicenda e coordinare le decisioni comuni.

## RAPPORT DU CONSEIL SCIENTIFIQUE



Prof. Markus A. Rüegg

En 2016, le Conseil scientifique a reçu 13 projets de recherche. Il a recommandé le financement de quatre d'entre eux. Tous les projets ont été évalués par deux à quatre experts externes et par les membres du Conseil scientifique. Les principaux critères pour une recommandation de financement sont la qualité scientifique et leur importance pour la compréhension des maladies neuromusculaires. Les candidats retenus sont, par ordre alphabétique:

**La Prof. Susan Gasser**, Friedrich Miescher Institut/Université de Bâle, avec un projet consacré à la fonction

de la lamine, une protéine du noyau cellulaire, qui présente une mutation dans la dystrophie musculaire d'Emery-Dreifuss et dans la dystrophie musculaire des ceintures de type 1B. Ce projet est basé sur des travaux qui ont permis de démontrer que la lamine mutée provoque également un défaut musculaire spécifique dans le nématode *C. elegans* et qu'une autre protéine nucléaire peut partiellement corriger cette déficience. Ce projet vise à identifier les mécanismes moléculaires de cette correction. Ces travaux suscitent l'espoir que les mécanismes en question jouent également un rôle dans les dystrophies musculaires susmentionnées et seront ainsi les précurseurs de nouvelles approches thérapeutiques.

**Le Dr Hesham Hamed**, Université de Genève, analyse l'enzyme NADPH oxydase, car il existe des indices suggérant que cette enzyme est responsable de l'augmentation des radicaux libres dans le muscle. On observe une forte concentration de ces radicaux dans la dystrophie musculaire de type Duchenne, Malheureusement, le recours à des antioxydants non sélectifs a été peu efficace dans le traitement de ces maladies musculaires. Ce projet vise à caractériser l'activité de la NAPDH oxydase, à documenter précisément sa fonction, et à développer des inhibiteurs spécifiques contre cette activité enzymatique nocive.

**La Dr Andrea Klein**, Hôpital universitaire pédiatrique de Bâle-Ville et Bâle-Campagne (UKBB), a déposé une demande pour un poste à temps partiel en neuropédiatrie. Cette personne se consacrera totalement à la mise à disposition des méthodes d'investigation et de l'enregistrement des patients, afin que les enfants soient pris en charge le plus rapidement possible lors d'études cliniques futures. Ces travaux de préparation sont nécessaires pour la réalisation d'essais cliniques en Suisse et pour permettre aux familles suisses concernées de bénéficier d'une admission rapide dans ces approches thérapeutiques.

## BERICHT DES WISSENSCHAFTLICHEN BEIRATS

**La Prof. Susan Treves**, Hôpital universitaire de Bâle (USB), étudie une perturbation dans le couplage excitation / contraction du muscle telle qu'elle apparaît dans de nombreuses myopathies congénitales. Bien que la protéine dérégulée dans les différentes myopathies congénitales ne présente aucune mutation, elle pourrait être la cause de la perturbation générale du couplage excitation / contraction du muscle. Ces découvertes pourraient aboutir à de nouvelles approches thérapeutiques, susceptibles d'être utilisées dans ces pathologies indépendamment du type de gène affecté par une mutation.

Le «11th Swiss Meeting on Muscle Research» s'est déroulé à Magglingen en novembre 2016. Afin de tenir compte du nombre croissant de chercheurs intéressés, le meeting a été organisé pour la première fois sur deux jours. Nous avons eu le plaisir d'accueillir le Dr Shahragim Tajbakhsh de l'Institut Pasteur de Paris comme premier conférencier. Cet expert éminent dans le domaine de la recherche sur les cellules souches a détaillé le développement de ces cellules dans la musculature et leurs applications potentielles dans le traitement de maladies musculaires. Contrairement aux thérapies géniques, ces traitements pourraient être prescrits à toutes les personnes concernées.

En 2016, deux projets de recherche de la «Collagen VI Alliance» ont en outre été autorisés et initiés dans ce domaine.

Prof. Markus A. Rüegg, président

### Bericht des wissenschaftlichen Beirats

Im Jahr 2016 hat der wissenschaftliche Beirat aus den 13 eingereichten Gesuchen vier Projekte zur Finanzierung empfohlen. Alle Gesuche wurden von zwei bis vier externen Gutachtern und von den Mitglieder des wissenschaftlichen Beirats beurteilt; dabei waren die Hauptkriterien für eine Finanzierungsempfehlung erstens die Qualität der Forschungsprojekte und zweitens deren Bedeutung für das Verständnis neuromuskulärer Erkrankungen. Die erfolgreichen Gesuchsteller sind, in alphabetischer Reihenfolge:

**Prof. Susan Gasser**, Friedrich Miescher Institut/Universität Basel, mit einem Projekt über die Funktion von Lamin, einem Zellkernprotein, das bei der Emery-Dreifuss-Muskeldystrophie und der Gliedergürtel-Muskeldystrophie Typ 1B mutiert ist. Diesem Projekt liegen Arbeiten zugrunde, die zeigen konnten, dass mutiertes Lamin auch im Fadenwurm *C. elegans* einen spezifischen Muskelfekt bewirkt und dass, in diesem Modell, ein anderes Protein des Zellkerns diesen Phänotyp zum Teil korrigieren kann. Die molekularen Mechanismen dieser Korrektur sollen jetzt aufgezeigt werden. Diese Arbeiten sind mit der Hoffnung verbunden, dass die entdeckten Mechanismen auch bei obengenannten Mus-

## BERICHT DES WISSENSCHAFTLICHEN BEIRATS

keldystrophien eine Rolle spielen und somit Wegbereiter sind für neue therapeutische Ansätze.

**Dr. Hesham Hamed**, Universität Genf, untersucht das Enzym NADPH Oxidase da es Hinweise gibt, dass dieses für den Anstieg freier Radikale im Muskel verantwortlich ist. Solche Radikale treten bei der Muskeldystrophie Typ Duchenne in hoher Konzentration auf. Leider hat der Einsatz von nicht-selektiven Antioxidantien bei dieser Muskelkrankheit wenig Erfolg gezeigt. Ziel des Projektes ist es jetzt, die Aktivität von NADPH Oxidase zu charakterisieren, dessen Funktion genau zu dokumentieren und spezifische Hemmstoffe dagegen zu entwickeln.

**Dr. Andrea Klein**, Universitäts-Kinderspital beider Basel (UKBB), beantragte eine Teilzeitstelle in der Neuropädiatrie. Diese Person wird sich vollumfänglich um die Bereitstellung von Untersuchungsmethoden und die Registrierung von Patienten kümmern damit Kinder bei zukünftigen klinischen Studien möglichst schnell aufgenommen werden können. Diese vorbereitenden Arbeiten sind eine Voraussetzung um klinische Studien in der Schweiz durchzuführen und somit betroffenen Schweizer Familien einen schnellen Zugang zu diesen Studien zu ermöglichen.

**Prof. Susan Treves**, Universitätsspital Basel (USB), untersucht eine Störung in der Kopplung der Erregung und Kontraktion des Muskels, wie sie bei vielen kongenitalen Myopathien auftritt. Obwohl das deregulierte Protein bei den verschiedenen kongenitalen Myopathien selber nicht mutiert ist, könnte es die Ursache sein für die generelle Störung der Kopplung der Erregung und Kontraktion des Muskels. Diese Erkenntnisse könnten daher neue Therapieansätze aufzeigen, welche unabhängig von der Genmutation in diesen Krankheiten eingesetzt werden könnten.

In November 2016 fand das «11th Swiss Meeting on Muscle Research» in Magglingen statt. Um der wachsenden Zahl der interessierten Forscher Rechnung zu tragen, wurde das Meeting zum ersten Mal auf zwei Tage ausgedehnt. Für den Einführungsvortrag konnte Dr. Shahragim Tajbakhsh vom Institut Pasteur in Paris gewonnen werden. Dr. Tajbakhsh ist ein führende Experte auf dem Gebiet der Stammzellforschung. Er berichtete über die Entwicklung von Stammzellen in der Muskulatur und deren mögliche Anwendungen bei der Behandlung von Muskelkrankheiten. Im Gegensatz zu Gentherapien könnten solche Therapien für alle Betroffenen eingesetzt werden.

Im Jahr 2016 wurden auch zwei Forschungsprojekte der «Collagen VI Alliance» bewilligt und gestartet.

Prof. Markus A. Rüegg, Präsident

## RAPPORTO DEL CONSIGLIO SCIENTIFICO

### Rapporto del Consiglio scientifico

Nel 2016 il Consiglio scientifico ha consigliato alla Fondazione il finanziamento di tre dei 13 progetti inoltrati. Ogni progetto è stato valutato da 2-3 periti esterni e dai membri del Consiglio scientifico; i criteri per un finanziamento sono la qualità scientifica del progetto e il suo valore nel contribuire alla comprensione delle malattie neuromuscolari. In ordine alfabetico, sono stati finanziati:

La **prof. Susan Gasser**, Friedrich Miescher Institut/Università di Basilea, con un progetto sulla funzione della lamina, una proteina del nucleo cellulare che è mutata nella distrofia di Emery-Dreifuss e nella distrofia dei cingoli di tipo 1B. Lavori preliminari hanno potuto dimostrare che la proteina lamina portatrice di mutazione causa un difetto muscolare anche nel nematode *C. elegans* e che, in questo modello, un'altra proteina del nucleo cellulare può in parte correggere questo fenotipo. I meccanismi di questa correzione verranno elucidati nel presente progetto, con la speranza che essi giochino un ruolo anche nelle distrofie sopra citate e che possano quindi aprire nuovi orizzonti nella ricerca di una terapia.

Il **dr. Hesham Hamed**, Università di Ginevra, che studia l'enzima NADPH ossidasi, considerato essere responsabile per l'aumento di radicali liberi nel muscolo. Tali radicali sono presenti in concentrazioni alte nella distrofia di Duchenne. L'uso di antiossidanti non specifici in questa malattia ha dimostrato nel passato purtroppo poca efficacia. Questo progetto mira a caratterizzare meglio l'enzima NADPH ossidasi, a documentarne la funzione e a sviluppare nuovi inibitori più specifici e mirati.

La **dott.ssa Andrea Klein**, Ospedale Pediatrico Universitario di Basilea (UKBB), che ha richiesto il finanziamento di un posto part-time in neuropediatria per una persona dedicata alla preparazione di studi clinici e al reclutamento dei pazienti, in modo che in futuri studi clinici i bambini affetti da una miopatia possano essere rapidamente individuati. Questo lavoro preparatorio è un requisito importante per condurre gli studi clinici in Svizzera e quindi anche per offrire alle famiglie svizzere la possibilità di partecipare.

La **prof. Susan Treves**, Ospedale Universitario di Basilea (USB), che studia un'alterazione dell'accoppiamento fra eccitazione e contrazione delle fibre muscolari, alterazione che insorge in molte miopatie congenite. L'alterazione avviene a livello di una proteina di per sé non direttamente mutata in queste miopatie, ma che sembra essere la causa del generale disaccoppiamento fra i processi di eccitazione e contrazione; essa potrebbe quindi rappresentare un target terapeutico indipendente dal tipo di mutazione che causa le malattie.

## **RAPPORTO DEL CONSIGLIO SCIENTIFICO**

Nel novembre del 2016 si è tenuto l'«11th Swiss Meeting on Muscle Research» a Magglingen. Per accomodare il numero crescente di ricercatori interessati, il meeting è stato ampliato per la prima volta a due giornate intere. Per la relazione introduttiva abbiamo avuto il piacere di accogliere il Dr. Shahragim Tajbakhsh dell'Istituto Pasteur di Parigi, eminente esperto nella ricerca sulle cellule staminali. La sua relazione illustrava lo sviluppo delle cellule staminali muscolari e le possibilità di utilizzarle nella terapia delle malattie muscolari. Le terapie cellulari hanno il vantaggio di poter essere applicate a tutti i pazienti senza distinzione di mutazione.

Nel 2016 sono stati approvati e lanciati anche due progetti della «Collagen VI Alliance».

Prof Markus A. Rüegg, Presidente

## CEREMONIE DE REMISE DES BOURSES 2016



Le 27 avril 2016, la première cérémonie de remise des bourses a eu lieu à Berne dans la salle du Grand Conseil. 7 chercheurs des Universités de Berne, Bâle, Genève, EPF Zürich et de l'Hôpital de l'Ile à Berne ont reçu des soutiens financiers allant de 1 à 3 ans. Le montant de cette aide se monte à 1,1 millions de francs. Le choix des boursiers avait été fait en novembre 2015 sur recommandation du Conseil scientifique. La cérémonie a été enrichie par des discours de M. Alexander Tschäppät, président de la ville de Berne, du Professeur Carrel de l'Hôpital de Ile et des productions musicales du duo talentueux «Souvenir».

Am 27. April 2016 organisierte die FSRMM die erste Zeremonie für die Stipendienvergabe im Berner Rathausaal.

Sieben Forschende der Universitäten Bern und Basel, der ETH Zürich und des Inselspitals Bern haben eine Finanzierung für 1 bis 3 Jahre erhalten. Die Auswahl hat im November 2015 auf Empfehlung des wissenschaftlichen Beirats stattgefunden. Der Anlass wurde durch Reden von Alexander Tschäppät, Stadtpräsident der Stadt Bern und von Herzspezialisten Prof. Thierry Carrell, Inselspital Bern, bereichert. Die musikalische Umrahmung bot das talentierte Duo «Souvenir».

La prima cerimonia per l'assegnazione delle borse di ricerca si è tenuta il 27 aprile 2016 a Berna, nella Sala del Consiglio.

Sette ricercatori dalle università di Berna e Basilea, dall'ETH di Zurigo e dall'Inselspital di Berna hanno ricevuto un finanziamento di ricerca per la durata di 1-3 anni. La selezione dei progetti era stata effettuata nel novembre 2015 in consultazione con il Consiglio Scientifico. L'evento è stato arricchito dai discorsi del sindaco di Berna Alexander Tschäppät e dal cardiologo specialista dell'Inselspital di Berna, Prof. Thierry Carrell.

L'accompagnamento musicale è stato offerto dal duo «Souvenir».

## SANTHERA PHARMACEUTICALS



*Dr. Thomas Meier*

### **Santhera mit starkem Leistungsausweis, baut internationale Geschäftstätigkeit aus und berichtet über Fortschritte in allen Entwicklungsprogrammen**

Im vergangenen Jahr hat Santhera in allen Programmen ausgezeichnete Fortschritte erreicht. Das Jahr 2016 war unser erstes volles Geschäftsjahr mit Umsätzen aus Produktverkäufen von Raxone® (idebenone). Wir sind auch begeistert von den Zukunftsperspektiven für Santhera. Mit unserer erweiterten geografischen Präsenz in Europa und den USA, zusätzlichen klinischen Studien und regulatori-

schen Zulassungsanträgen haben wir den Weg für zukünftiges Wachstum und Wertsteigerung bereitet. Unsere starke Finanzposition erlaubt uns, die geplante Geschäftsstrategie zügig umzusetzen, unsere Produkte voranzubringen und Santhera als führendes Unternehmen in der mitochondrialen Medizin zu etablieren.

### **Starke Umsatzentwicklung dank steigender Raxone Verkäufen zur Behandlung von Leber Hereditärer Optikus-Neuropathie (LHON)**

Im September 2015 erteilte die Europäische Kommission die Marktzulassung für Raxone zur Behandlung von LHON für allen 28 EU-Mitgliedsstaaten sowie Norwegen, Island und Liechtenstein. Dank einer guten Umsatzentwicklung und Verkäufen von Raxone in 15 Ländern stieg der Nettoumsatz gegenüber dem Vorjahr um 340% auf CHF 19,0 Millionen. LHON ist eine seltene, vererbte, mitochondriale Erkrankung, die bei ansonsten gesunden Patienten rasch zu ausgeprägter und permanenter Erblindung führt. Raxone fördert die Wiederherstellung des Sehvermögens der Patienten und ist die erste und derzeit einzige Therapiemöglichkeit für LHON. Gleichzeitig ist Raxone die erste zugelassene Behandlung für eine mitochondriale Erkrankung.

### **Santhera baut internationale Geschäftstätigkeit aus**

2016 war geprägt von einer starken Internationalisierung der Geschäftsaktivitäten. Durch die US-Tochtergesellschaft Santhera Pharmaceuticals (USA), Inc. im Grossraum Boston, einem der Hauptzentren für Pharmaunternehmen in Nordamerika, hat Santhera seit Februar 2017 auch eine eigene Präsenz in den USA.

### **Gute Fortschritte bei allen Entwicklungsprogrammen**

2016 reichte Santhera in der EU und der Schweiz Anträge auf Marktzulassung für Raxone zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) ein und machte bedeutende Fortschritte in allen Produktentwicklungsprogrammen. Santhera startete zudem die randomisierte, doppelblinde, Placebo-kontrollierte Phase-III-Studie (SIDEROS), welche die Wirksamkeit von Raxone zur Verlang-



## SANTHERA PHARMACEUTICALS

samung des Verlustes der Atmungsfunktion bei DMD-Patienten untersucht, die gleichzeitig mit Glucocorticoiden behandelt werden.

### **FDA Fast-Track-Status für Omigapil zur Behandlung von kongenitalen Muskeldystrophien (CMD) und FDA-Förderbeitrag zur Unterstützung der laufenden Phase-I-Studie**

Wir sind sehr erfreut, dass die FDA (US Food and Drug Administration) uns für Omigapil den Fast-Track-Status gewährt hat und damit den hohen medizinischen Bedarf nach wirksamen Behandlungen für Patienten mit CMD und die Schwere der Krankheiten unterstreicht. Nach Raxone® ist Omigapil unser zweites neuromuskuläres Pipelineprodukt und bekräftigt unser Engagement in der Entwicklung von Medikamenten um die Bedürfnisse von Patienten mit mitochondrialen und anderen seltenen Krankheiten zu erfüllen.

Besonders erfreut sind wir über den renommierten und hoch kompetitiven Förderbeitrag der FDA von USD 246'000 zur Unterstützung unserer Phase-I-Studie mit Omigapil (CALLISTO). Mit dieser Auszeichnung bekräftigt die FDA den Bedarf nach einer Behandlung für CMD und unterstreicht den Beitrag, den die CALLISTO Studie zur Entwicklung einer wirksamen Therapie leistet.

Im Juli 2015 wurde der erste Patient in der CALLISTO-Studie zur Evaluierung der Pharmakokinetik, Sicherheit und Verträglichkeit von Omigapil in CMD dosiert. CALLISTO ist eine Phase-I-Studie an Patienten im Kindes- und Jugendalter mit CMD und wird finanziell unterstützt von einer öffentlich-privaten Partnerschaft, welcher unter anderem auch die FSRMM angehört. Es ist die erste klinische Studie mit dem neuen Prüfmedikament Omigapil in dieser Gruppe von neuromuskulären Erkrankungen, für deren Behandlung derzeit kein Medikament zugelassen oder in fortgeschrittener klinischer Entwicklung ist.

### **Ausblick auf das laufende Jahr**

Santhera wird sein internationales Geschäft weiter ausbauen. Die Erträge einer erfolgreich platzierten Wandelanleihe von CHF 60 Millionen erhöhen die finanzielle Flexibilität bei der planmässigen Umsetzung unserer Entwicklungs-, Zulassungs- und Vermarktungsaktivitäten. Die hohe Nachfrage von in- und ausländischen Investoren ist ein Zeichen des Vertrauens in das Potenzial und den Ausblick von Santhera.

Zu den Prioritäten zählen nebst der Kommerzialisierung und der Erstattung von Raxone für LHON in Europa, auch die Vorbereitungen für den Markteintritt und die Lancierung von Raxone in der zweiten Indikation DMD sowie die Weiterführung aller derzeit laufenden klinischen Studien.

Dr. Thomas Meier, Chief Executive Officer

## ENGAGEMENT FINANCIERS DE LA FONDATION

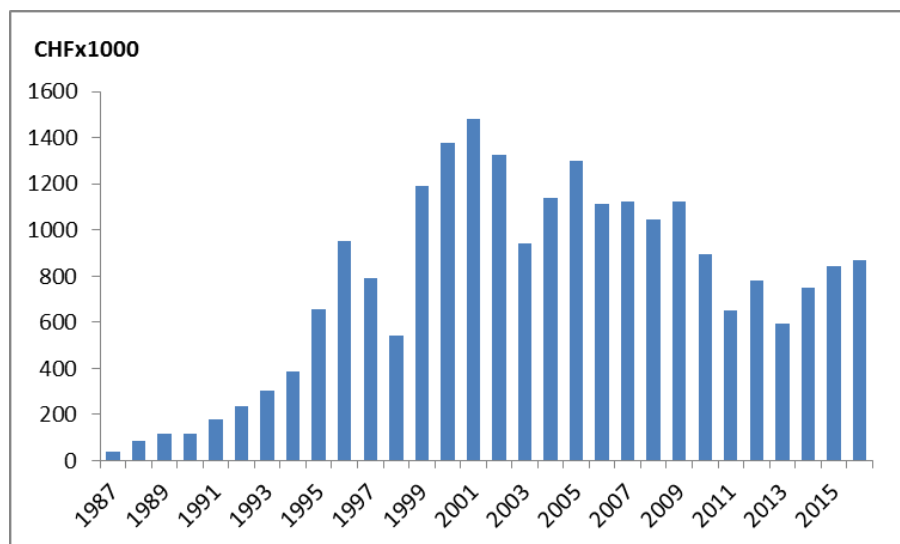
En 1987, la Fondation avait le plaisir d'attribuer la première bourse au Prof. Hans Moser de Berne pour un montant de Fr. 24'288.-. Ensuite, la situation s'est développée d'une façon réjouissante. En effet, notre soutien financier annuel a atteint un montant de l'ordre du million de francs. Ces dernières années, notre engagement a été plus faible à cause de la diminution de la contribution du Téléthon.

En 2016, les dépenses consacrées à la recherche se sont montées à 921'078.- francs, encore en augmentation par rapport à l'exercice précédent.

Le financement des bourses de recherche représente l'effort principal de la Fondation.

**A fin 2016, la FSRMM a financé la 150<sup>ème</sup> bourse.**

### Evolution des dépenses consacrées à la recherche depuis 1987



## FORSCHUNGSSTIPENDIEN – BOURSES DE RECHERCHE

<u>Jahr</u>	<u>Begünstigter/Bénéficiaires</u>	<u>Betrag</u>
1987-		
2006	97 bourses /Stipendien	14'456'451.-
2007	Prof. Hans-Rudolf Brenner, Universität Basel	+169'700.-
	Prof. Julia Fritz Steuber, Universität Zürich	*125'550.-
	Prof. Daniel Schümperli, Universität Bern	*135'830.-
	Dr. Olivier Baum, Universität Bern	+34'000.-
	Prof. Nicolas Mermod, Université Lausanne	*323'000.-
	Dr. Louisa Bonafé, CHUV Lausanne	65'380.-
	Contribution aux frais de laboratoire	140'000.-
2008	Dr. Christoph Handschin, Universität Basel	*143'775.-
	Prof. Markus Rüegg, Biozentrum, Universität Basel	+221'400.-
	Prof. Laurent Bernheim, Université de Genève	*246'981.- <sup>1</sup>
	Dr. Hemmo Meyer, ETH Zürich	+190'380.-
	Dr. Bernhard Wehrle-Haller, Université de Genève	70'168.-
	Prof. Ernst Niggli, Universität Bern	+99'980.-
	Dr. med. Werner Z'Graggen, Inselspital Bern	39'750.-
	Prof. Urs T. Rüegg, Université de Genève	+99'400.-
	Contribution aux frais de laboratoire	140'000.-
2009	Prof. Beat Trueb, Universität Bern	*147'000.-
	Dr. Peter Meister, Universität Bern	+180'000.-
	Prof. Daniel Schümperli, Universität Bern	*144'000.-
	Dr. Bernhard Wehrle-Haller, Université de Genève	*186'375.-
2010	Dr. Alfredo Franco-Obregon, ETH Zürich	*146'460.-
	Prof. Markus Rüegg, Biozentrum, Universität Basel	+101'030.-
	Prof. Anna Jazwinska, Université de Fribourg	+99'250.-
2011	Prof. Nicolas Mermod, Université de Lausanne	+150'000.- <sup>2</sup>
	Dr. Werner Z'Graggen, Universität Bern	+161'529.- <sup>3</sup>
	Dr. Susan Treves, Universität Basel	* 169'925.-
	Prof. Peter Sonderegger, Universität Zürich	97'100.-
2012	Dr. Lionel Tintignac, Biozentrum, Universität Basel	+126'321.-
	Prof. Smita Saxena, Universität Bern	55'000.- <sup>4</sup>
	Prof. Marisa Jaconi, Université de Genève	+180'000.-
	Prof. Markus Rüegg, Biozentrum, Universität Basel	+150'616.-
	Prof. Michael Sinnreich, Universität Basel	93'307.-
	Prof. Frédéric Allain, ETH Zürich	153'380.-
2013	Prof. Peter Meister, Universität Bern	+151'200.- <sup>3</sup>
	Prof. Christoph Handschin, Biozentrum Basel	*184'650.-
	Dr. Stéphane König, Université de Genève	+174'744.-

## FORSCHUNGSTIPENDIEN – BOURSES DE RECHERCHE

	Dr. Olivier M. Dorchies, Université de Genève	*106'118.-
	Dr. Bernhard Wehrle-Haller, Université de Genève	60'048.-
2014	Prof. Nicolas Mermod, Université de Lausanne	+168'923.-
	Dr. C. Florian Bentzinger, CHUV Lausanne	+168'923.-
	Prof. Magdalini Polymenidou, Universität Zürich	+150'000.- <sup>4</sup>
	Dr. med. Andrea Klein, Kinderspital Zürich	98'000.-
	Dr. Francesco Santini, Universität Basel	92'974.-
2015	Dr. Olivier M. Dorchies, Université de Genève	+195'780.-
	Prof. Ruben Herrendorff, Universität Basel	+238'500.-
	Dr Perrine Castets, Universität Basel	+166'008.-
	Dr Olivier Scheidegger, Universität Bern	*139'508.-
	Prof. Werner Z'Graggen, Inselspital Bern	53'843.-
	Dr. Beat Trueb, Inselspital Bern	*160'000.-
	Prof. Frédéric Allain, ETH Zürich	*120'000.- <sup>3</sup>
2016	Prof. Susan Gasser, Friedrich Miescher Institut, Basel	*184'680.-
	Dr. Andrea Klein, UKBB, Basel	30'000.-
	Prof. Susan Treves, Universitätsspital Basel	*103'373.-
	Dr. Hesham Hamed, Université de Genève	*127'450.-

**Total**

**Fr. 21'795'960.-**

+ Engagement s'étalant sur 3 ans

\* Engagement s'étalant sur 2 ans

1 Projet soutenu par la Fondation Hans Wilsdorf

2 Projet soutenu par la Loterie romande

3 Projet soutenu partiellement par la Schweizerische Muskelgesellschaft

4 Projet soutenu partiellement par l'Association sclerosi Laterale Amiotrophique Suisse italienne (ASLASI)

Folgende Stiftungen trugen 2016 dazu bei, die Forschungstipendien mitzufinanzieren :  
Gebauer Stiftung, Zürich – Isaac Dreyfus Bernheim Stiftung, Basel – Dr. hc Emile Dreyfus Stiftung, Basel

Les thèmes de recherche des nouveaux boursiers sont décrits à la page 8 du rapport. Pour les années précédentes, ces informations se trouvent sur le site [www.fsrm.ch](http://www.fsrm.ch).

Die Forschungsthemen der neuen Stipendiaten sind auf die Seite 9 des Berichtes beschrieben. Für die vergangenen Jahre finden Sie diese Informationen auf der Website [www.fsrm.ch](http://www.fsrm.ch).

I temi di ricerca selezionati quest'anno sono descritti a la pagina 11 del rapporto. Per gli anni precedenti si prega di consultare il sito web [www.fsrm.ch](http://www.fsrm.ch)

**WEITERE UNTERSTÜTZUNGSBEITRÄGE**  
**AUTRES SOUTIENS FINANCIERS**

**Weitere Unterstützungsbeiträge - Autres soutiens financiers**

Schweiz. Netzwerk der Friedreich's Ataxia (1999-2001).	*500'000.-
MD/PhD Programm, 5 PhD Stipendien (1992-2007)	750'000.-
Schweizerische Patientenregister für DMD und SMA (2008-2016)	97'000.-
Lehrstuhl Myologie, Universität Basel (2010-2012)	300'000.-
Weiterbildungen (Dr. P.-Y. Jeannet, Dr. G.P. Ramelli)	100'000.-
Projet Omigapil (Dr. Rudolf Hausmann)	126'000.-
Projet Autonomyo (Dr. Mohamed Bouri), EPFL	130'000.-
Collagen VI Alliance, projet international	6'576.-

**Total** **2'009'576.-**

---

\* Dieses Programm wurde durch die grosszügige Spende einer Zürcher Privatperson ermöglicht

**Beitrag "European Neuro-Muscular Centre" (1994-2016)** **855'452.-**

**Beiträge an Meetings - Soutien financier à des conférences**

11 Swiss Meetings on Muscle Research, Magglingen (1996-2016)	150'205.-
4 Colloques de la Societe genevoise de Neurosciences (1996-2001)	4'000.-
Seminaire Societe Suisses Biologie Experimentale, Basel (1992)	3'000.-
22nd European Muscle Conference, (1993)	18'400.-
Konferenz „Rise of Cell Biology“, Zürich (1996)	6'000.-
Congres Acides polysialiques, Marseille (1998)	4'500.-
Symposium Muscle Disease, Budapest (1999)	3'000.-
Symposium Myoblast Transplantation, Montreux (1999)	10'000.-
Forum European Neurosciences, Geneve (2008)	10'304.-
Annual Meeting Swiss Society for Neurosciences, Basel (2000)	1'000.-
Journées Societe française de Myologie, Lausanne (2008)	3'750.-
Workshop „Molecular and Cell Biology of the Neuromuscular System“ Guarda (2008, 2010, 2012, 2014)	24'000.-
Symposium Stem Cell Transplantation in MNGIE, Bern (2009)	15'000.-
Muscle Symposium, Basel (2007, 2009, 2011, 2013, 2015)	54'000.-
World Muscle Society Meeting, Geneva (2010)	8'500.-
TREAT-NMD Conference, Geneva (2011)	5'952.-
Kongressteilnahmen (1993, 1999)	1'260.-
World Muscle Society Meeting, Berlin (2014)	2'465.-
Duchenne Konferenz, Luzern (2016)	3'000.-

**Total** **328'336.-**

---

**Total final** **24'989'324.-**

## JAHRESRECHNUNG 2016

<u>Bilanz</u>	<u>2016</u>	<u>2015</u>
	CHF	CHF
Umlaufvermögen	<b>1.903.192,16</b>	<b>2.041.395,87</b>
Flüssige Mittel	1.691.027,51	2.010.752,35
Übrige kurzfristige Forderungen	4.690,31	5.304,42
Aktive Rechnungsabgrenzung	207.474,34	25.339,10
 Anlagevermögen	 <b>16.241.156,00</b>	 <b>2.317.580,71</b>
Finanzanlagen	16.239.156,00	2.315.580,71
Santhera Pharmaceutical Holding AG	318.000,00	493.349,86
Fonds Erbschaft SW (*)	14.000.000,00	0,00
Übrige Finanzanlagen	1.921.156,00	1.822.230,85
Sachanlagen	2.000,00	2.000,00
 <b><u>Total der Aktiven</u></b>	 <b><u>18.144.348,16</u></b>	 <b><u>4.358.976,58</u></b>
 Kurzfristiges Fremdkapital	 <b>23.036,30</b>	 <b>7.430,00</b>
Passive Rechnungsabgrenzung	23.036,30	7.430,00
 Langfristiges Fremdkapital	 <b>610.405,14</b>	 <b>813.300,00</b>
Schwankungsreserve	610.405,14	813.300,00
 Eigenkapital	 <b>17.510.906,72</b>	 <b>3.538.246,58</b>
Stiftungskapital	40.000,00	40.000,00
Fonds Erbschaft SW (*)	14.000.000,00	0,00
Freiwillige Gewinnreserven	3.498.246,58	3.234.107,37
Jahresergebnis	-27.339,86	264.139,21
 <b><u>Total der Passiven</u></b>	 <b><u>18.144.348,16</u></b>	 <b><u>4.358.976,58</u></b>

(\*) Die Erbschaft des Dr. Sven Widgren, wie im Jahresbericht auf Seite 23 erwähnt, wird hier als Aktivum und Passivum dargestellt. Dies entspricht dem voraussichtlichen Vermögen. Laut Revisionsstelle und Rechnungslegungsordnung muss das Vermögen separat ausgewiesen werden, da die Stiftung nur die Erträge erhält, nicht aber frei über das Vermögen verfügen kann.

## JAHRESRECHNUNG 2016

<u>Erfolgsrechnung</u>	2016	2015
	CHF	CHF
Ertrag gemäss Stiftungszweck	<b>970.101,75</b>	<b>1.013.350,77</b>
Telethon	550.000,00	540.000,00
Spenden	420.101,75	250.511,97
Legate	0,00	222.838,80
Aufwand gemäss Stiftungszweck	<b>956.758,50</b>	<b>877.670,84</b>
Stipendien & Seminare	921.078,00	843.597,00
Mitgliedschaften	35.680,50	34.073,84
<b>Bruttoergebnis gemäss Stiftungszweck</b>	<b>13.343,25</b>	<b>135.679,93</b>
Personalaufwand	-141.434,70	-38.348,10
Uebriger betrieblicher Aufwand	-79.356,36	-159.348,76
<b>Nettoergebnis gemäss Stiftungszweck</b>	<b>-207.447,81</b>	<b>-62.016,93</b>
Finanzaufwand	-72.252,35	-138.926,20
Finanzertrag	252.360,30	249.975,14
Ausserordentlicher Aufwand & Ertrag	0,00	215.107,20
<b><u>Jahresergebnis</u></b>	<b><u>-27.339,86</u></b>	<b><u>264.139,21</u></b>

Die PricewaterhouseCoopers AG (PwC) hat die Jahresrechnung 2016 einer eingeschränkten Prüfung unterzogen und hält in ihrem Bericht fest, dass sie nicht auf Sachverhalte gestossen ist, aus denen sie schliessen müsste, dass die Jahresrechnung nicht Gesetz und Statuten entspricht. Der Vollständige Revisionsbericht kann über die Geschäftsstelle bezogen werden.

## KOMMENTAR ZU DEN FINANZEN



Hans Peter Hagnauer

Der Finanzabschluss der Schweizerischen Stiftung für die Erforschung von Muskelkrankheiten weist für das Jahr 2016 einen Verlust von CHF 27'339.86 aus.

Die neu nach den geltenden Vorschriften gestaltete Staffelerfolgsrechnung zeigt etwa ähnliche Ergebnisse wie im Vorjahr, ausser dem Fehlen eines weiteren Legats. Trotzdem konnten wir im vergangenen Jahr Stipendien in der Höhe von CHF 921'078.-- ausrichten. Das Vermögen der Stiftung belief sich am 31.12.2016 auf über CHF 4 Mio. Die betrieblichen Kosten wie Löhne und Mandatskosten sind gestiegen, der übrige betriebliche Aufwand hingegen gesunken. Leider konnten wir keine ausserordentlichen

Kursgewinne verbuchen, allerdings waren auch die nicht realisierten Kursverluste deutlich kleiner als im Vorjahr. Die Kapitalerträge sind nicht mit dem Vorjahr vergleichbar, da wir hier erstmals einen beträchtlichen Ertrag aus den geerbten Liegenschaften verbuchen konnten. Die übrigen Vermögenswerte aus dieser Erbschaft können noch nicht genau beziffert werden, weshalb sie noch keinen Eingang in die Buchhaltung fanden.

Das Vermögen der Stiftung ist nach wie vor bei der Basellandschaftlichen Kantonalbank in Liestal angelegt. Die Bank hat ein Triple-A Rating und eine unbeschränkte Staatsgarantie. Trotz des hohen Kontosaldo müssen wir auch nicht befürchten, dass wir von Negativ-Zinsen betroffen sein werden. Daneben führt die Stiftung Konti bei der Postfinance und der Bank Coop.

Das Vermögen der Stiftung ist zu ca. 43 % auf den verschiedenen Bankkonti angelegt. Gute Anlagemöglichkeiten in festverzinslichen Papieren bieten sich im momentanen Tiefzinsumfeld keine, weshalb wir auch einen Teil in sogenannten "Perpetuals", also ewig-laufende Anleihen und auch in "Reverse convertible Bonds" angelegt haben. Zu den "Perpetuals" ist anzumerken, dass diese in der Regel vom Emittenten nach einer Laufzeit von 5 Jahren vorzeitig zurück- bezahlt werden.

Nach wie vor ist der Grossteil der Anlagen in Schweizerfranken getätigt. Der Anteil an Fremdwährungen beträgt 16 %. (Euro, US\$ und norwegische Kronen).

Die Beteiligung an Santhera Pharmaceuticals haben wir in den letzten Jahren bei guten Kursen kontinuierlich von 15'000 Stück auf 6'000 Stück abgebaut. Im Jahr 2016 ging der Kurs von CHF 80.-- auf CHF 53.-- zurück, was zu einer Abschreibung geführt hat, die allerdings den Schwankungsreserven belastet werden konnte.

20. Mai 2017

H.P.Hagnauer, Kassier



## HÉRITAGE DR. SVEN WIDGREN



*Dr. Sven Widgren*

### **Un héritage important contribue à assurer la pérennité de la Fondation.**

Le Dr Sven Widgren est décédé à Genève le 14 octobre 2015. Il a exercé sa spécialité de pathologiste principalement à Genève et pendant quelques années à Neuchâtel. Son épouse Claudine, née Soguel est décédée quelques années plutôt. Elle était la cousine du président de la FSRMM. Pendant de nombreuses années Sven et Claudine Widgren ont suivi avec un grand intérêt les activités de la Fondation.

Désireux de contribuer à la pérennité de cette institution, ils ont décidé de léguer leur fortune à la FSRMM. Le testament stipule que le capital doit

être inaliénable et qu'une partie des rendements sera consacré à la recherche sur la polymyalgia rheumatica. Grâce aux futurs rendements de cette fortune, la FSRMM pourra intensifier ses efforts de recherche. Le Conseil de fondation exprime toute sa reconnaissance à ces généreux mécènes.

### **Eine wichtige Erbschaft trägt dazu bei, die Kontinuität der Stiftung zu sichern**

Dr. Sven Widgren ist am 14. Oktober 2015 in Genf verstorben. Seine Aktivität als Pathologe hat er vorwiegend in Genf und einige Jahre in Neuchâtel ausgeübt. Seine Ehefrau Claudine, geboren Soguel und schon einige Jahre davor verstorben, war die Kusine des Präsidenten der FSRMM. Während vielen Jahren haben Sven und Claudine Widgren die Aktivitäten der Stiftung mit grossem Interesse verfolgt.

Aus dem Wunsch, die Kontinuität der FSRMM zu unterstützen, haben sie entschieden, ihr Vermögen der Stiftung zu vermachen. Das Testament hält fest, dass das Kapital unveräusserlich bleiben soll, und dass ein Teil der Erträge für die Erforschung der Polymyalgia rheumatica verwendet werden soll. Dank der künftigen Renditen dieses Vermögens wird die FSRMM ihr Engagement in der Forschung stärken können. Der Stiftungsrat ist den grosszügigen Mäzenen sehr dankbar.

## HÉRITAGE DR. SVEN WIDGREN

### **Un'importante eredità contribuisce ad assicurare la perennità della Fondazione**

Il Dott. Sven Widgren è deceduto a Ginevra il 14 ottobre 2015. Ha esercitato la sua attività di patologo soprattutto a Ginevra e alcuni anni anche a Neuchâtel. Sua moglie Claudine, nata Soguel e cugina del presidente della FSRMM, era deceduta alcuni anni prima. Per diversi anni Sven e Claudine Widgren hanno seguito con grande interesse le attività della Fondazione.

Desiderosi di contribuirne alla perennità, essi hanno deciso di donare la loro fortuna alla FSRMM. Il testamento precisa che il capitale deve rimanere inalienabile e che una parte degli interessi deve essere investita nella ricerca sulla polymialgia rheumatica. Grazie a future rendite, la Fondazione potrà intensificare il suo impegno nella ricerca. Il Consiglio di Fondazione esprime tutta la sua gratitudine alla generosità di questi mecenati.

## CERCLE DE PARTENAIRES – PARTNERKREIS - CIRCOLO DEI PARTNER

Le financement de la Fondation a toujours été une priorité du Conseil de Fondation. A côté du soutien du Téléthon, des bienfaiteurs et d'autres donateurs, nous avons décidé de créer un **Club des Partenaires** réunissant des entreprises sensibles à notre cause. Leurs contributions devraient permettre de financer une à deux bourses de recherche. Nous aimerions à terme avoir un représentant de chaque branche de l'économie. A ce jour, nous avons pu gagner à notre cause 3 entreprises, 2 fondations et nous sommes en pourparlers avec 2 autres. Nous adressons toute notre reconnaissance aux entreprises pionnières du **Club des Partenaires**.

Die Finanzierung der Stiftung ist eine der wichtigsten Prioritäten des Stiftungsrates. Neben der Unterstützung durch Telethon, Gönnern und andere Spendern streben wir es an, Unternehmen als Partner zu gewinnen. Ziel ist, aus den Spendenbeiträge dieses "Partner Club" jährlich ein bis zwei Forschungsstipendien zu finanzieren. Gerne hätten wir in diesem Club je einen Vertreter jeder Wirtschaftsbranche als Partner. Bis heute konnten wir drei Unternehmen und zwei Stiftungen für unsere Sache gewinnen, mit zwei anderen sind wir im Gespräch. Wir bedanken uns herzlich bei den ersten Mitgliedern unseres **Partner Clubs**.

Il finanziamento della Fondazione resta la priorità numero uno del Consiglio di Fondazione. A fianco del sostegno di Telethon, dei benefattori e dei donatori, desideriamo creare un club di partner che raduni ditte e imprese sensibili alla nostra causa, i cui contributi dovranno permettere di finanziare annualmente una o due borse di ricerca. Il nostro traguardo è di avere un rappresentante per ogni settore economico. A tutt'oggi abbiamo ottenuto la conferma di tre ditte e due Fondazioni e siamo in trattative con altre due. Un caloroso grazie ai primi membri del **club dei partner**.

## TELETHON 2016



*Famille ambassadrice 2016*

# TELETHON

Un grand merci à tous les bénévoles, donateurs, familles, chercheurs qui se sont, une nouvelle fois, mobilisés. La récolte finale de l'action Téléthon 2016 sera connue dans le courant du 2ème semestre 2017. Les promesses de dons ont dépassé les 2 millions le 03 décembre 2016 à minuit.

### Famille ambassadrice 2016

Pour la 2ème année, nous avons placé la famille au centre de notre communication. La famille Mueller-Laurent, avec Zoé, Aaron, Céline et Marc-André, a participé à cette aventure et nous les remercions du fond du cœur pour leur précieux engagement.

### Mobilisation des médias romands

Le vendredi 2 et samedi 3 décembre, les radios FM cantonales, LFM – Radio FR – Rhône FM – RTN BNJ, sont parties à la rencontre des événements du Téléthon avec des émissions en direct. Les télévisions régionales Canal α et Canal 9 ont également diffusé des reportages intéressants. Samedi 3 décembre de 19h45 à minuit, la chaîne La Télé s'est mobilisée en réalisant une grande émission en direct. Les familles, malades et professeurs ont eu la parole pour nous expliquer leur lutte contre les maladies génétiques rares. De nombreuses personnalités ont répondu présent comme: Frédéric François, Catherine Lara, Jérémie Kisling, Mnénosyne. Vous pouvez retrouver les meilleurs moments de l'émission TV 2016 sur notre [www.telethon.ch/Emission TV](http://www.telethon.ch/Emission_TV) en visionnant notre « Best of ».

### Attitude téléthonique

Pour la 2ème année consécutive, l'attitude téléthonique est proposée aux entreprises pour inciter les collaborateurs à se mettre en mouvement pour le Téléthon. C'est aussi la possibilité d'organiser ou prendre part à un défi sportif en faisant bénéficier le Téléthon en obtenant des promesses de dons. Toutes nos actions sur [www.attitudetelethonique.ch](http://www.attitudetelethonique.ch)

En 2017, nous fêtons les 30 ans de la Fondation Téléthon Action Suisse! Pour cette édition anniversaire, plusieurs actions spéciales sont organisées dont: Une émission TV de 30 heures d'antenne en faveur du Téléthon sur La Télé le 08 et 09 décembre 2017.

Leena Fasola, Centre de Coordination national

## TELETHON 2016



*Viele Besucher bei der Aktion der Feuerwehr in Bern*

### **Erneut Spendenzusagen von 2,3 Millionen Franken für Telethon**

Die Stiftung Telethon Schweiz mobilisierte auch 2016 wieder tausende freiwilliger Helferinnen und Helfer. In allen Landesteilen organisierten Feuerwehren, Vereine und Schulen mehr als 300 Sammelaktionen, verkauften Selbstgemachtes, veranstalteten Konzerte, organisierten Ausflüge und sammelten so Geld für Menschen mit seltenen Krankheiten. Und wiederum zeigten die Schweizerinnen

und Schweizer ihre Solidarität mit Betroffenen und ihren Familien. Am nationalen Sammelwochenende kamen bis um Mitternacht Spendenzusagen über 2'349'875 Franken zusammen.

Unterstützung gab es auch letztes Jahr von vielen Persönlichkeiten. In der Deutschschweiz beispielsweise von Viktor Röthlin, dem Europameister im Marathon, oder im Tessin von Christa Rigozzi, der Miss Schweiz. In der Romandie widmete das Regionalfernsehen La Télé wiederum einen ganzen Sendetag. Mit dabei waren bekannte Personen wie Catherine Lara, Frédéric François, Jérémie Kislign, Shana Pearson, Camille und Julie Berthollet.

Die Spendenaktion Telethon basiert im Wesentlichen auf drei Säulen: 1.) Freiwillige und 2.) lokale Feuerwehr- und Zivilschutzkorps, die an Ständen über die Ziele von Telethon informieren und Geld sammeln; und 3.) treue Spenderinnen und Spender, die per Telefon, Internet oder SMS spenden. Nach wie vor kommen die meisten Gelder aus der Romandie, gefolgt vom Tessin während der Anteil der Deutschschweiz trotz Anstrengungen immer noch gering ist. Immerhin finden hier inzwischen Anlässe in sieben Kantonen statt.

Die Spendengelder werden von Telethon für den Kampf gegen seltene Erbkrankheiten verwendet. Die Gelder fliessen zur Hälfte in die Unterstützung von Patientenorganisationen und in die Forschung an Schweizer Universitäten. So erhält die FSRMM wiederum 550'000 Franken, mit denen zahlreiche Forschungsprogramme für neue Therapien für Menschen mit Muskelkrankheiten gefördert werden können. Dass aus dieser Forschung auch tatsächlich Medikamente entstehen, zeigt das Beispiel der Santhera Pharmaceuticals in Liestal, welches seit der Gründung von der FSRMM unterstützt wurde. Inzwischen hat Santhera eine viel versprechende Therapie für Duchenne-Muskeldystrophie entwickelt. Umso schöner, dass Santhera seit 2016 nationaler Sponsor der Aktion Telethon geworden ist.

## TELETHON 2016

Die nächste nationale Sammelaktion von Telethon findet am 8. und 9. Dezember 2017 statt. Wir hoffen wiederum, dass viele Schweizerinnen und Schweizer ihre Solidarität zeigen.

Philippe Rognon und Thomas Staffelbach, Koordination Deutschschweiz



*Christa Rigozzi ed i piccoli testimonial Aaron e Emilie con lo staff di Telethon SI*

### **Telethon 2016: avanti con la lotta alle malattie genetiche rare**

Ogni franco donato alla Fondazione Telethon Azione Svizzera si trasforma in un'opportunità di aiuto sociale concreto per una persona colpita da una malattia genetica rara e in contributi alla ricerca scientifica. Le donazioni sono ripartite equamente fra sostegno ai malati residenti in Svizzera (in primis, per offrire loro ascolto, consulenza e supporto in loco) e finanziamenti alla ricerca scientifica per

conoscere sempre meglio il quadro clinico di patologie genetiche e sviluppare terapie mirate. La Fondazione Telethon, grazie alla generosità della popolazione, si impegna per assicurare la miglior qualità di vita a queste persone. Anche nel 2016, grazie a donatori, volontari, sponsor e partner di eventi, Telethon ha fatto conoscere la sua missione e ha raccolto cifre importanti da investire nella ricerca e nel sostegno ai malati e alle loro famiglie

Grazie alle donazioni raccolte dall'azione Telethon e tramite l'attività dell'Associazione Malattie Genetiche Rare Svizzera Italiana (MGR) possiamo offrire consulenze mirate e un supporto concreto ai singoli malati (un centinaio gli utenti sostenuti a fine 2016 nella Svizzera Italiana) per migliorare le loro condizioni di vita, spezzare l'isolamento sociale e, anzi, favorire la loro integrazione sociale (un intervento a complemento delle prestazioni di assicurazioni sociali e servizi pubblici). La collaborazione tra la Fondazione Telethon Azione Svizzera e l'Ente Ospedaliero Cantonale ha inoltre portato alla nascita nel 2007 del Centro Myosuisse Ticino, indispensabile centro di competenza per malattie neuromuscolari facente parte di un'importante rete nazionale. Grazie ai fondi raccolti in tutta la Svizzera possiamo investire ulteriormente nella ricerca per dare risposte terapeutiche - e non solo speranze - a chi è pesantemente colpito nella sua salute.

Michele Bertini, presidente Telethon della Svizzera italiana

## EUROPEAN NEURO MUSCULAR CENTRE



Dr. Raffaella Willmann

EUROPEAN  
NEURO  
MUSCULAR  
CENTRE

En 2016, cinq nouvelles compagnies ont agrandi le „Company Forum“ de l'ENMC. Nous nous réjouissons spécialement que l'une d'elles est soit Santhera Pharmaceuticals SA, localisée à Liestal. (voir page 14). De multiples autres fondations ont subventionné des frais de voyage pour les participants à divers workshops qui ne pouvaient pas être financés directement par

l'ENMC.

Grâce à ces sponsors et au soutien régulier de ses membres, dont la FSRMM fait partie depuis 1998, l'ENMC peut organiser chaque année d'importants workshops qui stimulent la collaboration internationale dans le domaine des maladies musculaires. Dix workshops ont eu lieu l'année dernière.

En voici un aperçu: il a été décidé de fonder un registre international des patients lors des workshops 217 et 225 consacrés aux myopathies des types RyR-1 et facio-scapulo-humérale. Le workshop 218 a permis de reconsidérer et d'actualiser les standards des soins pour les patients souffrant d'amyotrophie spinale, standards une première fois élaborés lors d'un workshop en 2008. Deux nouvelles associations ont été fondées lors des workshops 220 et 222. L'une sera consacrée à établir une nouvelle unité dans la nomenclature des maladies et à trouver de nouvelles sources de financement pour des projets de recherche dans le domaine des dystroglycanopathies. L'autre visera à l'amélioration de l'échange des résultats de la recherche et de l'infrastructure reliant les centres d'excellence dans l'étude des dystrophies myotoniques. Des renseignements plus détaillés sont à disposition sur le site [www.enmc.org](http://www.enmc.org).

Das «Company Forum» wurde auf fünf Firmen erweitert. Wir freuen uns sehr, dass eine davon die in Liestal ansässige Santhera Pharmaceuticals AG ist (s. Seite 14). Zahlreiche andere Stiftungen leisten kleinere Reisebeiträge an Teilnehmer von spezifischen Workshops, welche von ENMC nicht übernommen werden können. Dank dieser Sponsoren und der konstanten Unterstützung durch die ständigen Mitglieder, darunter seit 1998 auch die FSRMM, kann das ENMC jedes Jahr wichtige Workshops organisieren, welche die internationale Kollaboration im Bereich der Muskelerkrankungen fördern.

Im letzten Jahr haben zehn Workshops stattgefunden. Wir präsentieren nachstehend eine Auswahl davon: Bei den Workshops 217 und 225 über RyR-1

## EUROPEAN NEURO MUSCULAR CENTRE

Myopathien und Fazioskapulohumerale Muskeldystrophie (FSHD) wurde beschlossen, internationale Patientenregister zu gründen. Im Workshop 218 wurden die SMA-Pflegestandards aus dem vorigen Workshop im Jahre 2008 neu bearbeitet und aktualisiert. Die Workshops 220 und 222 gründeten zwei neue Konsortia, einer um eine einheitliche Nomenklatur der Erkrankungen zu vereinbaren und künftige Finanzierungen für Forschungsprojekte über Dystroglycanopathien zu finden und einer um einen besseren Austausch von Forschungsergebnissen und von Infrastrukturen unter qualifizierten Studienzentren für Myotone Dystrophien zu fördern. Weitere Details sind auf der ENMC Webseite unter [www.enmc.org](http://www.enmc.org).

Nel 2016 ENMC ha allargato il suo «Company Forum» a cinque ditte. Siamo lieti che una di queste sia Santhera Pharmaceuticals AG di Liestal (vedi pag. 14). Diverse altre fondazioni contribuiscono ad alcune spese di viaggio non sostenibili da ENMC. Grazie a questi sponsor e al costante supporto dei membri di ENMC, fra cui dal 1998 anche la FSRMM, l'organizzazione può ogni anno condurre workshop importanti che favoriscono collaborazioni internazionali nell'ambito delle malattie muscolari. L'anno scorso sono stati organizzati dieci workshop, di cui ne presentiamo di seguito alcuni: durante i workshop 217 e 225 sulle miopatie da RyR-1 e sulla la distrofia facio-scapolo-omerale (FSHD) è stato deciso di lanciare due registri internazionali. Nel workshop 218 sono stati revisionati gli standard di cura per SMA dopo l'ultima elaborazione avvenuta nel 2008. Dai workshop 220 e 222 sono scaturiti due consorzi, uno per definire una nomenclatura uniforme delle patologie e per cercare finanziamenti per i progetti di ricerca sulle dystroglicanopatie, uno per lo scambio di risultati e infrastrutture fra i centri qualificati per le distrofie mioniche. Ulteriori dettagli sui workshop sono disponibili sul sito [www.enmc.org](http://www.enmc.org).

Dr. Raffaella Willmann, delegierte FSRMM und ENMC Präsidentin



## MEMBRES BIENFAITEURS-GÖNNER-SOSTENITORI

### **Voulez-vous devenir membre bienfaiteur de notre Fondation ?**

La FSRMM créée en 1985 a pour but de promouvoir en Suisse la recherche sur les maladies musculaires. Les fonds recueillis, qui proviennent en grande partie du Téléthon et de dons versés par des entreprises ou des loteries, permettent de financer jusqu' à dix bourses de recherche par année. On pourrait en financer une de plus si 1000 à 1500 bienfaiteurs s'engageaient à verser une contribution annuelle de **Fr. 50.-**. **Voulez-vous nous aider à atteindre ce but?** Si oui, nous vous en remercions et vous prions de vous inscrire soit par mail ou par téléphone. Vous pouvez également vous annoncer sur le site internet [www.fsrmm.ch](http://www.fsrmm.ch) -> faire un don et partenaires. Vous recevrez alors prochainement une documentation.

### **Wollen Sie Gönner/Gönnerin unserer Stiftung werden?**

Die FSRMM wurde in 1985 gegründet und hat sich zum Ziel gesetzt, die Forschung auf dem Gebiet der Muskelkrankheiten in der Schweiz zu fördern. Das bis heute erreichte Kapital stammt grösstenteils aus der Sendung "Téléthon" sowie von Firmen und der Landeslotterie und es ermöglicht uns, alljährlich bis zehn Stipendien auszurichten. Wir könnten sogar ein weiteres Stipendium finanzieren, wenn 1000 bis 1500 Gönner jährlich je **Fr 50.-** dazu beitragen würden. **Wollen Sie uns dabei helfen?** Wenn ja, im voraus herzlichen Dank. Schicken Sie uns bitte dazu ein E-Mail oder rufen Sie uns an. Sie können sich auch auf der Webseite [www.fsrmm.ch](http://www.fsrmm.ch) -> Spenden und Partner anmelden. Sie erhalten dann die Dokumentation zugeschickt.

### **Volete diventare sostenitori della nostra Fondazione?**

La FSRMM creata nel 1985, ha lo scopo di promuovere in Svizzera la ricerca sulle malattie muscolari. I fondi raccolti, che provengono in gran parte dal Téléthon e dai doni versati da imprese o lotterie, permettono di finanziare fino a dieci borse di ricerca all'anno. Se ne potrebbe finanziare una in più se 1000-1500 benefattori versassero un contributo annuo di **fr. 50.-**. **Volete aiutarci a raggiungere questo scopo?** In questo caso, vi ringraziamo in anticipo e vi preghiamo di contattarci per E-mail, per telefono o attraverso il nostro sito [www.fsrmm.ch](http://www.fsrmm.ch) -> donazioni e partner. La documentazione vi sarà inviata a casa.

### **FSRMM**

Chemin des Jordils 4  
2016 Cortaillod

E-mail: [info@fsrmm.ch](mailto:info@fsrmm.ch)  
Internet: [www.fsrmm.ch](http://www.fsrmm.ch)

N° CCP: 30-13114-3

N° IBAN: CH58 0076 9016 4217 0089 6







isaac  
dreyfus  
bernheim

FONDATION/STIFTUNG

