



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                      2014  
Jahresbericht



## SOMMAIRE

	<b>Page</b>
Avant-propos, Vorwort, Premessa	2-4
Conseil de Fondation	5
Conseil scientifique et buts de la Fondation	6
Rapport du Conseil scientifique	7-8
Bericht des wissenschaftlichen Rates	9-10
Rapporto del Consiglio scientifico	11-12
Santhera Pharmaceuticals: Jahresbericht 2014	13-15
Engagements financiers de la Fondation	16
Evolution des dépenses consacrées à la recherche	16
Forschungsstipendien – Bourses de recherche	17-18
Weitere Unterstützungsbeiträge – Autres soutiens financiers	19
Beitrag «European Neuro-Muscular Centre»	19
Beiträge an Meetings – Soutien financier à des conférences	19
Jahresrechnung 2014	20
Bericht der Revisionsstelle	21
Kommentar zu den Finanzen	22
Cercle de Partenaires – Partnerkreis – Circolo dei Partner	23
Téléthon 2014 (FR)	24-27
Telethon 2014 (DE)	28-30
Nouvelles des associations	31-38
Associazione Malattie Genetiche Rare Svizzera Italiana (MGR)	31-32
Association Suisse romande et italienne contre les myopathies (ASRIM)	33-34
Die Schweizerische Muskelgesellschaft	35-37
European Neuro Muscular Centre (ENMC)	38
Devenir Membre bienfaiteur? Gönner werden? Membri sostenitori?	39-40

**Nous remercions Luc 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  
2016 Cortaillod  
Tél. 032 842 47 49  
Fax 032 842 47 38  
Mobile 078 629 63 92

**Président:** Dr Jacques Rognon  
Tél. 032 842 47 26  
E-Mail: [jacques.rognon@fsrmm.ch](mailto:jacques.rognon@fsrmm.ch)

**E-mail:** [info@fsrmm.ch](mailto:info@fsrmm.ch)  
[philippe.rognon@fsrmm.ch](mailto:philippe.rognon@fsrmm.ch)

**N° CCP:** 30-13114-3  
**Internet:** [www.fsrmm.ch](http://www.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 29e rapport annuel de la Fondation. Parmi les faits qui ont marqué cette année j'aimerais souligner les trois points suivants:

**Le soutien aux chercheurs se maintient**  
**Le 10e séminaire de Macolin a eu lieu en novembre**  
**Les essais cliniques se multiplient**

La FSRMM délivre en priorité des bourses destinées à financer des chercheurs. En 2014, sur les 13 projets présentés au Conseil scientifique, la Fondation a pu en soutenir 5 (voir page 7). Depuis sa création en 1985, elle a octroyé 138 bourses à 70 chercheurs de toutes les Facultés de médecine de Suisse pour un montant de l'ordre de 23,6 millions de francs.

L'organisation de séminaires et le soutien à des colloques sont un des buts de la FSRMM. La possibilité pour nos boursiers de se rencontrer, d'échanger le fruit de leurs travaux, d'échafauder de nouvelles idées de recherche est essentielle pour la recherche de nouvelles thérapies.

Le 10e séminaire de Macolin s'est déroulé du 10 au 12 novembre 2014 sous la conduite du Prof. Markus Rüegg, président du Conseil scientifique. Il a réuni 70 chercheurs et le séminaire s'est déroulé dans d'excellentes conditions.

Pour assurer la continuité de ses engagements, la Fondation ne doit pas relâcher ses efforts en matière de recherche de fonds. Malgré un soutien apprécié de nombreux donateurs, le Téléthon reste le pilier essentiel de son financement. Le 28e Téléthon se déroulera les 4 et 5 décembre 2015.

Dans sa phase ultime de développement, un médicament a besoin de subir des tests cliniques. Ceci nécessite le recrutement de patients sur une base internationale. Des patients suisses participent de plus en plus à des essais cliniques en Europe. Santhera Pharmaceuticals SA, la firme que la FSRMM a soutenu dans ses débuts, poursuit inlassablement ses efforts pour mettre, dans un avenir proche, des médicaments sur le marché.

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 2015

Le président, Dr hc Jacques Rognon

## VORWORT

Ich freue mich, Ihnen den 29. Jahresbericht der Stiftung vorzustellen. Ich möchte dabei folgende drei Aspekte hervorheben, die das Jahr 2014 gekennzeichnet haben:

### **Die Stiftung unterstützt erfolgreich die Forschung in der Schweiz Das 10. Meeting in Magglingen fand in November 2014 statt Die Anzahl klinischen Studien nimmt zu**

Die SSEM finanziert mit ihren Mitteln hauptsächlich Stipendien für Forscher. Im Jahr 2014 wurden, aus den dreizehn eingereichten Gesuchen, fünf wichtige Projekte für eine Finanzierung ausgewählt (s. Seite 9). Die SSEM konnte seit ihrer Gründung 1985 138 Stipendien an 70 Forscher aller medizinischen Fakultäten der Schweiz für einen Gesamtbetrag von 23,6 Millionen Franken vergeben.

Die Organisation von Meetings und Workshops ist eines der Ziele der SSEM. Die Möglichkeit, Daten zu präsentieren, sich in Diskussionen auszutauschen und neue Ideen zu entwickeln ist ein essentieller Aspekt der Forschung nach neuen Therapien.

Das 10. Swiss Meeting on Muscle Research hat vom 9–11 November 2014 in Magglingen unter der Leitung vom Präsident des wissenschaftlichen Beirats Prof. Markus Rüegg stattgefunden. Dieses Meeting genießt zunehmende Beliebtheit unter den Forschenden in der Schweiz und wird als wichtigen regelmäßigen Treffpunkt betrachtet.

Um ihr Engagement fortführen zu können muss die SSEM ihre Bemühungen in der Mittelbeschaffung weiter verstärken. Trotz der Unterstützung zahlreichen Spendern und Gönnern bleibt das Telethon der wesentlichen Tragpfeiler unserer Finanzierung. Das 28. Telethon findet am 4. und 5. Dezember 2015 statt.

In der letzten Phase seiner Entwicklung, muss ein Medikament in klinische Studien getestet werden. Dies erfordert die Rekrutierung von Patienten auf internationaler Ebene. Dank der schweizerischen Patientenregister nehmen immer mehr Schweizer Patienten an europäischen Studien teil. Santhera Pharmaceuticals Ltd, von der SSEM seit ihrer Gründung unterstützt, verfolgt unablässig ihr Ziel, Medikamenten für Muskelkranke auf den Markt zu bringen.

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

Juni 2015

Der Präsident, Dr. hc Jacques Rognon

## PREFAZIONE

Ho il piacere di presentarvi il 29mo rapporto annuale della Fondazione. Tra gli avvenimenti che hanno caratterizzato quest'anno, desidero sottolineare in particolare i seguenti tre:

### **La Fondazione continua a sostenere progetti di ricerca eccellenti Il decimo Meeting di Magglingen si è svolto nel novembre 2014 Si moltiplicano gli studi clinici**

La FSRMM devolve i suoi fondi principalmente in borse di studio per i ricercatori. Nel 2014 sono stati selezionati cinque dei tredici progetti inoltrati al Consiglio Scientifico per un finanziamento (vedi pag. 11). Dalla sua creazione nel 1985, la Fondazione ha elargito 138 borse a 71 ricercatori di tutte le facoltà di medicina svizzere per un ammontare di 23,6 milioni di franchi.

L'organizzazione di seminari e incontri è uno degli obiettivi della Fondazione. La possibilità di incontrarsi, di scambiare i frutti del proprio lavoro e di sviluppare nuove idee è essenziale nella ricerca di nuove terapie. Il decimo Swiss Meeting on Muscle Research Meeting si è svolto a Magglingen dal 9 all'11 novembre 2014 sotto la conduzione del Presidente della Commissione scientifica Prof. Markus Rüegg. Questo incontro, molto apprezzato dai ricercatori svizzeri, ha riunito quest'anno 65 persone attive nella ricerca biomedica.

Per poter assicurare la continuità del proprio impegno, la Fondazione deve aumentare i suoi sforzi nella ricerca di fondi. Nonostante le donazioni di numerosi benefattori, il Telethon rimane la principale fonte di finanziamento della fondazione. Il 28mo Telethon si svolgerà il 4 e 5 dicembre 2015.

Nell'ultima fase di sviluppo, un farmaco deve essere testato in studi clinici. Questi richiedono il reclutamento di pazienti su base internazionale. Grazie all'annessione dei registri svizzeri a quelli internazionali, sempre più pazienti svizzeri partecipano a studi clinici europei. Santhera Pharmaceuticals Ltd, sostenuta dalla FSRMM fin dalle sue fasi iniziali, persegue instancabilmente il suo scopo di portare sul mercato farmaci adeguati per il trattamento delle malattie muscolari.

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 2015

Il Presidente, Dr. hc Jacques Rognon

## ORGANES ET BUTS

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

Président	M.	Jacques <b>Rognon</b> , Dr hc ès sciences techniques EPFL Ancien administrateur d'EOS Holding, Cortaillod
Vice-président	M.	Jean-François <b>Zürcher</b> , anc. directeur Groupe E, Cortaillod
Mitglieder	M.	Emmanuel <b>Dubochet</b> , anc. Président ASRIM, Lausanne
Membre	Hr.	Hans <b>Eppenberger</b> , ehem. Prof. Dr., Institut für Zellbiologie, ETH, Zürich
Membri	M.	Jean <b>Guinand</b> , Prof. émérite, anc. conseiller d'Etat et ancien conseiller national, Neuchâtel
	Hr.	Hanspeter <b>Hagnauer</b> , Kassier, Pratteln
	M.	Philippe <b>Hebeisen</b> , Directeur général de la Vaudoise Assurances, Lausanne
	M.	Denis <b>Monard</b> , Prof. Dr, anc. Président du Conseil scientifique, anc. Président de l'Académie suisse des sciences naturelles, Bâle
	Hr.	Hansjakob <b>Müller</b> , Prof. emer. Dr. med., Leiter der Abt. für med. Genetik, Kinderklinik u. Poliklinik, UKBB, Basel
	Mme	Paola <b>Ricci</b> , Ares Life Sciences, Genève
	Hr.	Markus. A. <b>Rüegg</b> , Président du Conseil scientifique, Prof. Dr. Biozentrum, Universität Basel
	Sig.	Sandro <b>Rusconi</b> , Prof. Dr Directeur Division culture et études universitaires, Bellinzona
	M.	Bernard <b>Schaffter</b> , Président Association Suisse romande et italienne contre la myopathie, Moutier
	Hr	Michael <b>Sinnreich</b> , Prof. Dr. Lehrstuhl für Myologie, Universität Basel, Vostandsmitglied Muskel- gesellschaft, Basel
	Mme	Anna Maria <b>Sury</b> , Déléguée Téléthon Tessin, Muralto
	Hr.	Alexander <b>Tschäppät</b> , Fürsprecher, Stadtpräsident der Stadt Bern, Bern

## ORGANES ET BUTS

### Wissenschaftlicher Rat ♦ Conseil scientifique ♦ Consiglio scientifico

Präsident	Hr.	Markus A. <b>Rüegg</b> , Prof. Dr., Biozentrum, Universität Basel
Membres Mitglieder	Hr.	Matthias <b>Chiquet</b> , Prof. Dr., Universität Bern
	M.	Denis <b>Jabaudon</b> , Prof. Dr, Département des neurosciences, Université de Genève
	Hr.	Kai <b>Rösler</b> , Prof. Dr., Leiter der Neurophysiologie, Universität Bern
	Mme	Eliane <b>Roulet-Perez</b> , Prof. Dr méd., Service de neuropédiatrie, CHUV, Lausanne

### 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 und ist bestrebt, ihre Anstrengungen mit ausländischen Organisationen, (ASRIM und Muskelgesellschaft) die denselben Zweck verfolgen, zu koordinieren.

### 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 (ASRIM et la Muskelgesellschaft) et coordonne ses efforts avec ceux d'organismes étrangers poursuivant le même but.

## RAPPORT DU CONSEIL SCIENTIFIQUE



Prof. Markus Rüegg

Le «Swiss Meeting on Muscle Research» a eu lieu pour la dixième fois à Macolin en novembre 2014. Ce séminaire qui a lieu tous les deux ans s'est émancipé d'année en année et est beaucoup apprécié. 20 chercheurs avaient été réunis pour une journée lors de la première réunion en 1996. En 2014, plus de 70 chercheurs se sont retrouvés pour 2 jours. Le prochain meeting prévu en 2016 sera prolongé d'une demi-journée afin de satisfaire l'intérêt toujours croissant.

La fondation a aussi réussi à trouver plusieurs sponsors pour le financement de cet important événement et des prix ont pu être attribués aux trois meilleurs posters pour fêter ce jubilé. 3 doctorantes ont été récompensées pour la très haute qualité de leur travail et de leur présentation: Madame Sophie Saüc (Université de Genève), Madame Céline Ruegsegger (Université de Berne) et Madame Nathalie Rion (Université de Bâle). Un nouveau volet a été ajouté au meeting: des médecins des hôpitaux universitaires de Bâle et Zurich ont présenté leur travail avec des patients et un invité de l'étranger, la Dr. Marita Pohlschmidt, directrice scientifique du «Muscular Dystrophy Campaign» du Royaume-Uni, qui a parlé de ses expériences avec d'autres organisations de patients. Elle a entre autres présenté un programme de recherche spécial («Collagen VI Alliance») initié par la «Muscular Dystrophy Campaign», la FSRMM et d'autres fondations. Il s'agit de soutenir mondialement des projets visant au développement de thérapies pour les myopathies de Bethlem ou d'Ulrich. Les premières bourses doivent être attribuées en 2015.

En 2014, grâce à de nouveaux donateurs et à la gérance efficace des finances de notre fondation, le Conseil scientifique a pu proposer de soutenir les 5 meilleurs projets parmi les 13 qui lui avaient été soumis. Il s'agit de (par ordre alphabétique):

- 1. Generation of uncommitted human iPSC derived muscle stem cells for therapeutic applications, du Dr. Florian Bentzinger, Lausanne (Financement pour 3 ans):** Le projet prévoit d'isoler des cellules souches pluripotentes et inductibles afin de sélectionner une lignée musculaire grâce à un marker approprié. Il s'agit d'obtenir des cellules qui ne sont pas encore très avancées dans leur différenciation et qui jouissent d'un fort potentiel de prolifération, une condition nécessaire pour pouvoir utiliser de telles cellules en thérapie. La faisabilité d'une telle thérapie sera aussi testée dans un modèle murin de Dystrophie musculaire de Duchenne.
- 2. Cardiac Involvement in Patients with Duchenne/Becker Muscular Dystrophy; an observational study, du Dr. Andrea Klein, Zürich (Financement pour une année):** Le but est de mieux détecter et décrire les cardiomyo-

## RAPPORT DU CONSEIL SCIENTIFIQUE

pathies affectant les jeunes patients souffrant des dystrophies musculaires de Duchenne ou de Becker. Cette approche ne se fera pas par Echocardiogramme mais grâce à une méthode beaucoup plus précise. Ce procédé permet de détecter les cardiomyopathies beaucoup plus tôt et de mieux suivre l'effet d'une thérapie sur la performance cardiaque en essais cliniques.

**3. Transposable vectors for dystrophin-expression in a murine model of Duchenne Muscular Dystrophy, du Prof. Nicolas Mermod, Lausanne (Financement pour 3 ans):** Il est envisagé d'utiliser de nouveaux vecteurs pour introduire le gène de la dystrophine dans des mésoangioblastes, des cellules précurseurs qui ont déjà été testées dans des expériences pilotes avec des patients de la maladie de Duchenne. Ces cellules semblent avoir la propriété d'utiliser les vaisseaux sanguins pour envahir le muscle malade. Les vecteurs utilisés jusqu'ici n'avaient pas permis d'exprimer l'immense gène de la dystrophine dans ces mésoangioblastes. En utilisant ces nouveaux vecteurs, on vise à obtenir des cellules exprimant la dystrophine dont l'efficacité devra être testée dans un modèle murin de la maladie de Duchenne.

**4. Deciphering the pathogenic mechanisms of C9ORF72 ALS, du Dr. Magdalini Polymenidou, Zürich (Financement pour 3 ans):** Ce projet prévoit d'étudier trois mécanismes pathologiques possibles pour expliquer quel rôle ils jouent dans l'évolution de la sclérose latérale amyotrophique (SLA). Il faudra établir des cultures organotypiques qui expriment le gène déficient C9ORF72 qui a été récemment démontré responsable pour une certaine forme de SLA.

**5. Development of magnetic resonance methods for functional imaging of the skeletal muscles, du Dr. Francesco Santini, Basel (Financement pour une année):** Il est proposé de quantifier fonctionnellement la pathologie musculaire en combinant l'imagerie par résonance magnétique et la stimulation électrique. Cette nouvelle méthode pourrait permettre un meilleur diagnostic des dystrophies musculaires.

Une description extensive en anglais et un résumé accessible à chacun dans une des trois langues nationales peuvent être consultés pour chaque projet sur le site ([www.fsrm.ch](http://www.fsrm.ch)).

Tenant compte des projets ci-dessus récemment sélectionnés et de ceux des années précédentes dont le financement se poursuit, la FSRMM soutiendra la recherche sur les maladies musculaires à raison de plus d'un million de francs en 2015.

Prof. Markus Rüegg, président

## BERICHT DES WISSENSCHAFTLICHEN BEIRATES

Im November des Jahres 2014 fand das «Swiss Meeting on Muscle Research» in Magglingen zum zehnten Mal statt. Dieses alle 2 Jahre stattfindende Treffen ist über die Jahre gewachsen und hat stets an Beliebtheit zugenommen. Waren es beim ersten Meeting 1996 nur etwa 20 Forscher, die sich für einen einzigen Tag in Magglingen trafen, waren es 2014 mehr als 70 Teilnehmer und das Meeting dauerte 2 Tage. Um dem ständig wachsenden Interesse weiter Rechnung zu tragen, wird das für das Jahr 2016 geplante Meeting um einen halben Tag verlängert.

Es ist der Stiftung auch gelungen, für die Finanzierung dieses wichtigen Anlasses mehrere Sponsoren zu gewinnen und zur Feier des 10-jährigen Jubiläums wurden Preise für die besten 3 Posters verteilt. Die Preise gingen an 3 Doktorandinnen für ihre hervorragenden Arbeiten und Präsentationen: Frau Sophie Saüc (Universität Genf), Frau Céline Ruegsegger (Universität Bern) und Frau Nathalie Rion (Universität Basel). Eine weitere Neuerung war auch, dass Ärzte der Universitätspitäler Basel und Zürich ihre Arbeiten mit Patienten vorstellten und dass ein Gast aus dem Ausland über die Erfahrungen anderer Patientenorganisationen berichtete. Dieser Ehrengast war Frau Dr. Marita Pohlschmidt, wissenschaftliche Leiterin der «Muscular Dystrophy Campaign» aus dem Vereinigten Königreich. Sie berichtete unter anderem, dass die «Muscular Dystrophy Campaign» zusammen mit der FSRMM und weiterer Stiftungen ein spezielles Forschungsprogramm («Collagen VI Alliance») lanciert hat, das weltweit Projekte für die Entwicklung von Therapien für die Bethlem oder Ulrich Myopathie unterstützt. Die ersten Stipendien sollen 2015 vergeben werden.

Dank der im Jahre 2014 besonders erfolgreichen Gewinnung von neuen Gönnern und der effizienten Bewirtschaftung der Finanzen, konnte der wissenschaftliche Beirat aus den 13 eingereichten Gesuchen die fünf besten Gesuche bewilligen. Diese sind (in alphabetischer Reihenfolge):

- 1. Generation of uncommitted human iPSC derived muscle stem cells for therapeutic applications, von Dr. Florian Bentzinger, Lausanne (Finanzierung für 3 Jahre):** Das Projekt sieht vor, induzierbare, pluripotente Stammzellen zu isolieren und daraus, mittels geeigneter Marker, Zellen aus der Muskellinie zu selektieren, die in der Differenzierung nicht allzu weit fortgeschritten sind und dadurch ein hohes Potential zeigen, sich zu vermehren. Ein hohes Vermehrungspotential ist die Voraussetzung dafür, dass solche Stammzellen für mögliche Therapien eingesetzt werden können. Die Möglichkeit der Therapie soll daher auch in Mausmodellen für die Duchenne Muskeldystrophie getestet werden.
- 2. Cardiac Involvement in Patients with Duchenne/Becker Muscular Dystrophy; an observational study, von Dr. Andrea Klein, Zürich (Finanzierung für 1 Jahr):** Das Projekt hat zum Ziel, die Kardiomyopathien bei jungen Patienten der

## BERICHT DES WISSENSCHAFTLICHEN BEIRATES

Duchenne- oder Becker-Muskeldystrophie besser zu erfassen und nachzuweisen. Dies soll mittels einer hoch präzisen Methode und nicht mittels Echocardiogramm erfolgen. Dieses Verfahren erlaubt es, Kardiomyopathien sehr früh zu erkennen und erlaubt den Effekt einer Therapie auf die Herzleistung in klinischen Studien besser zu verfolgen.

**3. Transposable vectors for dystrophin-expression in a murine model of Duchenne Muscular Dystrophy, von Prof. Nicolas Mermod, Lausanne (Finanzierung für 3 Jahre):** In diesem Projekt sollen neue Vektoren verwendet werden, um das Dystrophin-Gen in Mesoangioblasten einzuführen. Dies sind Vorläuferzellen, die bereits in Pilot-Versuchen an Duchenne Patienten getestet wurden. Sie scheinen die Fähigkeit zu haben, über Blutgefässe den kranken Muskel zu besiedeln. Mit den bisher verwendeten Vektoren ist es noch nicht gelungen, das riesige Dystrophin-Gen erfolgreich in den Mesoangioblasten zu exprimieren. Nach erfolgreicher Einführung von Dystrophin in diesen Zellen soll dann die Effizienz des Gentransfers in Mausmodellen für die Duchenne Muskeldystrophie getestet werden.

**4. Deciphering the pathogenic mechanisms of C9ORF72 ALS, von Dr. Magdalini Polymenidou, Zürich (Finanzierung für 3 Jahre):** In diesem Projekt sollen drei mögliche Pathomechanismen bei Amyotropher Lateralsklerose (ALS) untersucht werden, um abzuklären, welche Rolle sie beim Verlauf der Krankheit spielen. Dazu sollen «organotypische Zellkultursysteme» etabliert werden, die ein defektes Gen tragen (C9ORF72), welches vor kurzem gezeigt wurde, dass es für eine bestimmte Form von ALS verantwortlich ist.

**5. Development of magnetic resonance methods for functional imaging of the skeletal muscles, von Dr. Francesco Santini, Basel (Finanzierung für 1 Jahr):** In diesem Projekt werden Magnetresonanztomographie und elektrische Stimulation miteinander kombiniert, um die Pathologie des Muskels auch funktionell genauer zu quantifizieren. Diese neue Methode verspricht eine bessere Diagnose von Muskeldystrophien.

Eine ausführlichere Beschreibung auf Englisch und eine Zusammenfassung für Laien in einer der drei Landessprachen kann für jedes Projekt auf der Webseite ([www.fsrmm.ch](http://www.fsrmm.ch)) gefunden werden.

Die neu bewilligten Projekte und die weiterhin finanzierten Projekte der Vorjahre ergeben im Jahre 2015 eine Förderung der wissenschaftlichen Muskelforschung durch FSRMM von über einer Million Schweizer Franken.

Prof. Markus Rüegg, Präsident

## RAPPORTO DEL CONSIGLIO SCIENTIFICO

In novembre 2014 si è svolto il decimo Swiss Meeting on Muscle Research a Magglingen. Questo regolare incontro biennale è cresciuto nel tempo in dimensioni e in apprezzamento da parte dei partecipanti: mentre alla prima edizione del 1996 erano presenti circa 20 persone per la durata di una giornata, nel 2014 erano 70 i ricercatori presenti e la durata era già salita a due giorni. Per accomodare il crescente interesse, il meeting del 2016 verrà prolungato di un'ulteriore mezza giornata.

La Fondazione è inoltre riuscita ad acquisire alcuni sponsor per questo importante evento. Per celebrare il decimo anniversario sono stati assegnati tre premi per i migliori poster, che sono andati a tre studentesse per i loro eccezionali contributi e presentazioni: Sophie Saüc (Università di Ginevra), Céline Ruegsegger (Università di Berna) e Nathalie Rion (Università di Basilea). Un'altra novità è stata la presenza di medici degli ospedali di Basilea e Zurigo, che hanno presentato le proprie esperienze in studi clinici. L'ospite d'onore dall'estero, la dott.ssa Marita Pohlschmidt, responsabile scientifica della Fondazione «Muscular Dystrophy Campaign» dal Regno Unito, ha presentato il programma speciale «Collagen VI Alliance», lanciato nel 2014 in collaborazione con la FSRMM e altre Fondazioni per incoraggiare a livello internazionale progetti di ricerca sulle miopatie di Ulrich e Bethlem. Le prime borse di studio di questo programma verranno assegnate nel 2015.

Grazie all'acquisizione di nuovi benefattori nel 2014 e all'intelligente amministrazione delle finanze, la Fondazione può finanziare nel 2015 i cinque migliori progetti dei tredici inoltrati, qui elencati in ordine alfabetico:

- 1. Generation of uncommitted human iPSC derived muscle stem cells for therapeutic applications, Dr. Florian Bentzinger, Lausanne (durata: 3 anni):** il progetto prevede l'isolamento di cellule pluripotenti inducibili e la ricerca e selezione, fra queste, di cellule della linea muscolare che non siano troppo avanzate nel processo di differenziazione, e che quindi posseggano un alto potenziale proliferativo. Questa caratteristica è di grande importanza per l'utilizzo delle cellule nella terapia cellulare. L'efficacia delle cellule così isolate verrà anche testata in modelli animali della distrofia di Duchenne.
- 2. Cardiac Involvement in Patients with Duchenne/Becker Muscular Dystrophy; an observational study, Dr. Andrea Klein, Zürich (durata: 1 anno):** scopo di questo progetto è una migliore caratterizzazione e comprensione della miopatia in giovani pazienti con distrofia di Duchenne e Becker. Il progetto si avvale di tecniche di misurazione di più alta precisione

## RAPPORTO DEL CONSIGLIO SCIENTIFICO

del comune elettrocardiogramma, che permettono di riconoscere precocemente una miopatia e di monitorare meglio gli effetti di terapie sulla funzione cardiaca.

- 3. Transposable vectors for dystrophin-expression in a murine model of Duchenne Muscular Dystrophy, Prof. Nicolas Mermod, Lausanne (durata: 3 anni).** In questo progetto vengono utilizzati nuovi vettori per introdurre il gene della distrofina in mesoangioblasti, precursori cellulari già testati in studi pilota in pazienti con distrofia di Duchenne. I mesoangioblasti sembrano avere la proprietà di raggiungere il tessuto muscolare attraverso i vasi sanguigni. Con i vettori finora usati non è stato possibile esprimere l'enorme gene della distrofina nei mesoangioblasti. Accertata l'inclusione del gene nelle cellule, l'efficienza di questa nuova tecnica verrà testata in modelli animali della distrofia di Duchenne.
- 4. Deciphering the pathogenic mechanisms of C9ORF72 ALS, Dr. Magdalini Polymenidou, Zürich (durata: 3 anni).** In questo progetto verranno esaminati tre meccanismi patologici della sclerosi laterale amiotrofica (SLA) per determinare il loro ruolo nel decorso della malattia. A questo scopo verranno creati sistemi cellulari «organotipici» portatori di un difetto genetico (C9ORF72) recentemente individuato come responsabile di una particolare forma di ALS.
- 5. Development of magnetic resonance methods for functional imaging of the skeletal muscles, Dr. Francesco Santini, Basel (durata: 1 anno).** Scopo di questo progetto è di combinare la risonanza magnetica e la stimolazione elettrica per meglio quantificare la patologia muscolare anche dal punto di vista funzionale. La nuova tecnica si ripromette di perfezionare la diagnosi delle distrofie muscolari.

Sul sito della Fondazione ([www.fsrm.ch](http://www.fsrm.ch)) si trovano per ogni progetto una descrizione più dettagliata in inglese e un riassunto in parole semplici in una delle tre lingue nazionali.

Con i progetti approvati quest'anno e quelli ancora in corso dagli anni precedenti, il finanziamento della ricerca sulle malattie muscolari da parte della FSRMM ammonta, nel 2015, a più di un milione di franchi.

Prof Markus Rüegg, Presidente



Dr. Thomas Meier, CEO



### **Santhera erzielte im Jahr 2014 in allen Programmen bedeutende Fortschritte**

Santhera hat letztes Jahr mit Raxone®/Catena® und Omigapil ausgezeichnete Fortschritte und in allen strategischen Programmen bedeutende Meilensteine erreicht. Die herausragenden Ereignisse unter den Highlights des Jahres 2014 waren die erneute Einreichung des Zulassungsantrags in der Europäischen Union für Raxone zur Behandlung der Leber Hereditären Optikusneuropathie (LHON) und die positiven Resultate der Zulassungsstudie in Duchenne-Muskeldystrophie (DMD). In finanzieller Hinsicht haben die höheren Einnahmen aus Produktverkäufen von Raxone und zwei Aktienplatzierungen im Februar und August 2014 die Liquiditätsposition deutlich gestärkt. Zum Jahresende beliefen sich die liquiden Mittel auf CHF 17,4 Millionen (Vorjahr: CHF 5,0 Millionen). Die vorhandenen Barmitteln stellen sowohl die Vorbereitungen für die geplante Markteinführung von Raxone zur Behandlung von LHON sowie die Fortführung weiterer klinischer Entwicklungs- und Zulassungsprojekte sicher.

### **Finanzielles Ergebnis auf Vorjahresniveau**

Zum Umsatzwachstum auf CHF 2,6 Millionen (CHF Vorjahr: 1,3 Millionen) trugen insbesondere die steigenden Verkäufe von Raxone für LHON unter der temporären Zulassung in Frankreich sowie für DMD- und LHON-Patienten im Rahmen internationaler Named-Patient-Programme bei. Der Entwicklungsaufwand stieg von CHF 4,7 Millionen auf CHF 5,7 Millionen. Die Vorbereitungen für den Markteintritt in Europa führten zu einem höheren Verwaltungs- und allgemeinen Aufwand von CHF 4,2 Millionen (Vorjahr: CHF 3,1 Millionen). Insgesamt erzielte Santhera mit CHF –7,5 Millionen ein operatives Ergebnis auf dem Niveau des Vorjahres. Für das Jahr 2014 wies das Unternehmen ein mit dem Vorjahr vergleichbares Nettoergebnis von CHF –7,5 Millionen aus.

## **SANTHERA PHARMACEUTICALS**

### **Wichtige Schritte in Richtung Marktzulassung für Raxone in LHON**

Gleich zu Jahresbeginn konnte Santhera im Januar 2014 einen ersten Erfolg verbuchen: Nach detaillierter Prüfung erteilte die französische Arzneimittelbehörde eine temporäre Zulassung für Raxone zur Behandlung von LHON. Dieser Status wurde für das Jahr 2015 erneuert und ermöglicht Patienten in Frankreich den vollständig rückerstatteten Zugang zur Behandlung mit Raxone schon vor dessen Zulassung in der Europäischen Union. Im Mai 2014 reichte Santhera bei der Europäischen Arzneimittelbehörde (EMA) erneut einen Zulassungsantrag ein. Das Dossier basiert auf der RHODOS-Studie sowie weiteren Daten aus einem Expanded-Access-Programm, welche die Wirksamkeit des Medikamentes erhärten. Santhera rechnet noch im ersten Halbjahr 2015 mit einem Entscheid der EMA. Raxone wäre damit die erste zugelassene Therapie zur Behandlung dieser seltenen Augenkrankheit.

### **Positive Phase-III-Studie DELOS bei DMD – Fast-Track-Status der FDA**

Auch das zweite grosse klinische Programm mit Raxone/Catena zeigte sehr erfreuliche Fortschritte. Im Mai 2014 konnte Santhera über positive Resultate der doppelblinden, Plazebo-kontrollierten Phase-III-Studie mit Duchenne-Patienten berichten. Die DELOS-Studie zeigte mit statistischer Signifikanz, dass Raxone den Verlust der Atmungsfunktion bei Patienten ohne Begleitmedikation mit Steroiden verlangsamen kann. Die Ergebnisse der Studie sind mittlerweile in The Lancet publiziert. Der Erhalt der Atmungsfunktion ist ein bedeutender klinischer Parameter für Patienten.

Santhera bereitet derzeit die Zulassungsanträge für Raxone/Catena bei DMD für die USA und Europa vor. In den USA ist das Unternehmen im November 2014 zudem eine Zusammenarbeit mit Parent Project Muscular Dystrophy, einer grossen amerikanischen Patientenorganisation, eingegangen. Gemeinsam wird eine Umfrage unter Patienten und Betreuungspersonen zu deren Präferenzen betreffend Behandlungsmöglichkeiten von Atemverlust bei DMD durchgeführt. Die Resultate werden zur Unterstützung des Zulassungsantrags in den USA verwendet. Anfang April 2015 hat die amerikanische Gesundheitsbehörde FDA zudem den Fast-Track-Status erteilt, was eine beschleunigte Zulassung und vorrangige Prüfung ermöglicht sowie die Möglichkeit, laufend Teile des Zulassungsdossiers gemäss ihrer Fertigstellung einzureichen.

## **SANTHERA PHARMACEUTICALS**

### **Neues klinisches Entwicklungsprogramms mit Unterstützung der Muskelstiftung**

Dank der Unterstützung mehrerer öffentlicher und privater Partner, darunter die Schweizerische Stiftung für die Erforschung von Muskelkrankheiten, konnte Santhera im Juli 2014 den Start des klinischen Programms mit Omigapil bei Kongenitaler Muskeldystrophie (CMD) bekanntgeben. Eine erste Studie soll das pharmakokinetische Profil und die Verträglichkeit von oral verabreichtem Omigapil untersuchen.

In der Phase-I-Studie bei CMD-Patienten im Kindes- und Jugendalter wird zudem die Erhebung von krankheitsrelevanten klinischen Parametern im Hinblick auf deren Verwendung in zukünftigen Wirksamkeitsstudien getestet.

### **Weitere Entwicklung von Raxone/Catena**

Santhera untersucht die Wirksamkeit des Medikamentes auch in einer dritten Indikation: primär progrediente Multiple Sklerose (MS). Die US National Institutes of Health (NIH) führen derzeit eine Phase-II Langzeitstudie mit Raxone/Catena in dieser Indikation durch. Die Patientenrekrutierung ist inzwischen abgeschlossen. Ausserdem entwickelt Santhera eine neue Darreichungsform für Raxone. Eine neuartige transmukosale Formulierung soll die Bioverfügbarkeit verbessern und Vorteile für bestimmte Patientengruppen bieten.

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

Die Hauptprioritäten von Santhera im Jahr 2015 sind die Zulassungsanträge für Raxone/Catena in den Indikationen LHON und DMD. Zur Vorbereitung der Markteinführung und des dadurch erwarteten Wachstums hat das Unternehmen im Februar 2015 die Geschäftsleitung erweitert und mit dem Aufbau eines Vertriebsteams begonnen. Die Zulassung vorausgesetzt werden sich die eigenen Marketinganstrengungen in Europa auf die wichtigsten Märkte konzentrieren, ergänzt durch nationale und/oder regionale Vertriebsvereinbarungen. Für die Vermarktung der Produkte in Nordamerika evaluiert das Unternehmen derzeit verschiedene Optionen.

Dr. Thomas Meier, Chief Executive Officer

## ENGAGEMENTS FINANCIERS DE LA FONDATION

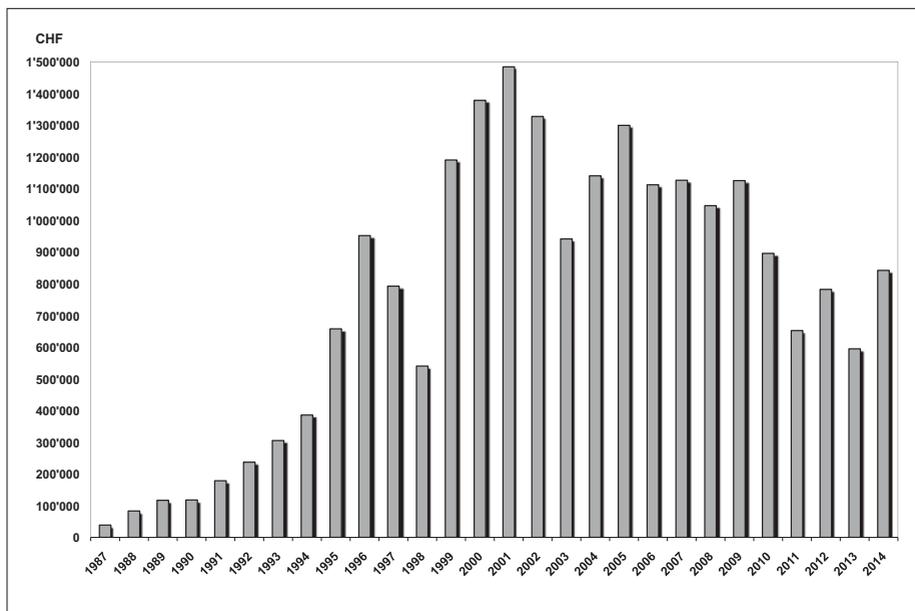
En 1987, la Fondation avait le plaisir d'attribuer la première bourse au Prof. Hans Moser de Berne pour un montant de Fr. 24'288.–. Ensuite, la situation s'est développée d'une façon réjouissante. En effet, notre soutien financier annuel a atteint un montant de l'ordre du million de francs. Ces dernières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

En 2014, les dépenses consacrées à la recherche se sont montées à Fr. 764'787.–, en augmentation par rapport à l'exercice précédent.

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

A fin 2014, la FSRMM a financé la 138ème bourse.

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



## FORSCHUNGSTIPENDIEN – BOURSES DE RECHERCHE

Jahr	Begünstigter / Bénéficiaires	Betrag
1987–2003	81 bourses /Stipendien	11'515'326.–
2004	Dr. Denis Bron, Myovec, Obererlinsbach	90'000.–
	Prof. Christian Fuhrer, Hirnforschung, Univ. Zürich	*118'100.–
	Dr. Alex Odermatt, Abteilung für Nephrologie, Univ. Bern	+179'850.–
	Prof. Markus Rüegg, Biozentrum Universität Basel	*202'400.–
	Contribution aux frais de laboratoire	120'000.–
2005	Dr. Irina Agarkova, Institut Zellbiologie, ETH Zürich	+188'300.–
	Prof. Markus Rüegg, Biozentrum, Universität Basel	+165'134.–
	Dr. Susan Treves, Dep. Anaesthesia, Universität Basel	*122'420.–
	Dr. Jacques Ménétreay, Dép. Chirurgie, Université Genève	85'000.–
	Prof. Urs T. Rüegg, Labor Pharmacologie, Univ. Genève	+102'260.–
	Prof. Ernst Niggli, Institut für Physiologie, Univ. Bern	*277'800.–
	Prof. Bernhard Wehrle-Haller, Physiologie, Univ. Genève	*166'920.–
	Contribution aux frais de laboratoire	140'000.–
2006	Prof. Ueli Aebi, Biozentrum, Universität Basel	*135'301.–
	Dr. Pico Caroni, Friedrich Miescher Institut, Basel	*244'800.–
	Prof. Beat Trueb, Universität Bern	+180'000.–
	Dr. Emmanuelle Roulet, Pharmacologie, Univ. Genève	*131'146.–
	Dr. Luca Borradori, Neurosciences, Univ. Genève	+161'694.–
	Contribution aux frais de laboratoire	130'000.–
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. Werner Z'Graggen, Universität 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, Friedrich Miescher Institut, Basel	+180'000.–

## FORSCHUNGSSTIPENDIEN – BOURSES DE RECHERCHE

2009	Prof. Daniel Schümperli, Universität Bern	*144'000.–
	Dr. Bernhard Wehrle, Université de Genève	*186'375.–
2010	Dr. Alfredo Franco-Obregon, ETH Zürich	*146'460.–
	Prof. Markus Rüegg, Biozentrum, Universität Basel	+101'030.–
	Prof. Phil 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	+308'414.–
	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, (Labor L. Bernheim), Uni Genève	+174'744.–
	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. Dr. Magdalini Polymenidou, Universität Zürich	+150'000.–
	Dr. Andrea Klein, Kinderspital Zürich	98'000.– <sup>3</sup>
	Dr. Francesco Santini, Universität Basel	92'974.–

**Total**

**Fr. 20'613'725.–**

+ 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 Muskelgesellschaft

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

Les thèmes de recherche des boursiers sont décrits aux pages 7 et 8 du rapport. Pour les années précédentes, ces informations se trouvent sur le site [www.fsrm.ch](http://www.fsrm.ch).

Die Forschungsthemen der Stipendiaten sind auf die Seiten 9 und 10 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 pagina 11 e 12 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

Schweizerisches Netzwerk zum Studium der Friedreich's Ataxia (1999–2001).	500'000.–
MD/PhD Programm, 5 PhD Stipendien (1992–2007):	750'000.–
Schweizerische Patientenregister für DMD und SMA (2008–2014)	76'000.–
Lehrstuhl Myologie, Universität Basel (2010–2012)	300'000.–
Weiterbildungen (Dr. P.-Y. Jeannet, Dr. G.P. Ramelli)	100'000.–
Projet Omigapil (Dr Rudolf Hausmann, 2013)	126'000.–
Projet Autonomy (Dr Mohamed Bouri, 2013), EPFL	75'000.–

**Total** **Fr. 1'927'000.–**

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

**Beitrag «European Neuro-Muscular Centre» (1994–2014)** **790'098.–**

### Beiträge an Meetings – Soutien financier à des conférences

10 Swiss Meetings on Muscle Research, Magglingen (1996–2014)	104'285.–
4 Colloques de la Societe genevoise de Neuroscience (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 Neuroscience, 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)	44'000.–
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.–

**Total** **Fr. 269'416.–**

**Total final** **23'600'239.–**

# JAHRESRECHNUNG 2014

## SSEM Schweiz. Stiftung für die Erforschung der Muskelkrankheiten

Bilanz	31.12.2014	31.12.2013
	CHF	CHF
Bankkonti BLKB & Bank Coop	1'408'793.40	1'083'662.11
Postcheckkonto	166'460.87	232'834.27
Mobilien	2'000.00	3'000.00
übrige Forderungen	4'780.18	5'012.62
Wertschriften		
Obl. CHF-Inland	255'655.00	259'450.00
Obl. CHF-Ausland	80'696.00	81'800.00
Obl. Fremde Währungen	386'336.00	372'579.00
Aktien Inland	173'200.00	302'235.00
Aktien Ausland	119'720.00	114'278.00
Rev.conv.Notes	438'257.00	425'486.00
Immobilien-Fonds	158'800.00	144'550.00
Beteiligungen	850'500.00	55'800.00
Santhera Pharmaceuticals Holding		
Aktive Rechnungsabgrenzung	42'208.92	46'651.00
<b>Total Aktiven</b>	<b>4'087'407.37</b>	<b>3'127'338.00</b>
Stiftungskapital	40'000.00	40'000.00
Freies Kapital	3'087'338.00	2'956'400.88
Wertschwankungsreserve	813'300.00	0.00
Passive Rechnungsabgrenzung	0.00	0.00
Jahresergebnis	146'769.37	130'937.12
<b>Total Passiven</b>	<b>4'087'407.37</b>	<b>3'127'338.00</b>

Erfolgsrechnung	2014	2013
	CHF	CHF
Büro und Verwaltungskosten	7'796.90	7'980.10
Löhne/Soz.-Leist. Sekretariat	42'453.25	41'644.35
Mandate	68'898.00	40'170.00
Postcheckspesen	71.10	76.80
Bankspesen	3'411.31	15'103.66
Depotgebühren	3'864.18	3'454.50
Sitzungskosten	2'767.00	2'468.70
Reisespesen	4'333.70	2'785.45
Pauschalspesen/Miete	12'000.00	12'010.00
Aufwand Telethon	2'038.50	3'198.20
Infokosten (inkl. Magglingen)	39'847.00	28'565.40
Mitgliedschaft ENMC/AGFA	38'937.00	41'100.00
Kursverluste	12'062.13	54'070.13
Abschreibungen	0.00	4'022.50
Stipendien und Seminare	764'787.00	594'448.05
Diverses	1'450.00	2'033.90
Jahresergebnis	146'769.37	130'937.12
<b>Total Aufwand</b>	<b>1'151'486.44</b>	<b>984'068.86</b>
Spenden	236'985.75	259'275.00
Legate	0.00	0.00
Téléthonspenden	550'000.00	600'000.00
Kapitalerträge	57'703.36	62'916.21
Kursgewinne	306'797.33	61'877.65
<b>Total Ertrag</b>	<b>1'151'486.44</b>	<b>984'068.86</b>

# BERICHT DER REVISIONSSTELLE



Bericht der Revisionsstelle  
zur eingeschränkten Revision  
an den Stiftungsrat der  
Schweizerische Stiftung für die Erforschung  
der Muskelkrankheiten  
Bern

Als Revisionsstelle haben wir die Jahresrechnung (Bilanz, Erfolgsrechnung und Anhang) der Schweizerische Stiftung für die Erforschung der Muskelkrankheiten für das am 31. Dezember 2014 abgeschlossene Geschäftsjahr geprüft.

Für die Jahresrechnung ist der Stiftungsrat verantwortlich, während unsere Aufgabe darin besteht, diese zu prüfen. Wir bestätigen, dass wir die gesetzlichen Anforderungen hinsichtlich Zulassung und Unabhängigkeit erfüllen.

Unsere Revision erfolgte nach dem Schweizer Standard zur eingeschränkten Revision. Danach ist diese Revision so zu planen und durchzuführen, dass wesentliche Fehlaussagen in der Jahresrechnung erkannt werden. Eine eingeschränkte Revision umfasst hauptsächlich Befragungen und analytische Prüfungshandlungen sowie den Umständen angemessene Detailprüfungen der bei der geprüften Stiftung vorhandenen Unterlagen. Dagegen sind Prüfungen der betrieblichen Abläufe und des internen Kontrollsystems sowie Befragungen und weitere Prüfungshandlungen zur Aufdeckung deliktischer Handlungen oder anderer Gesetzesverstösse nicht Bestandteil dieser Revision.

Bei unserer Revision sind wir nicht auf Sachverhalte gestossen, aus denen wir schliessen müssten, dass die Jahresrechnung nicht dem Gesetz und Statuten entspricht.

PricewaterhouseCoopers AG

Thomas Blumer  
Revisionsexperte  
Leitender Revisor

Nina Roetne

Basel, 22. Mai 2015

Beilage:

- Jahresrechnung (Bilanz, Erfolgsrechnung und Anhang)

PricewaterhouseCoopers AG, St. Jakobs-Strasse 25, Postfach, 4002 Basel  
Telefon: +41 58 792 51 00, Telefax: +41 58 792 51 10, [www.pwc.ch](http://www.pwc.ch)

PricewaterhouseCoopers AG ist Mitglied eines globalen Netzwerks von rechtlich selbständigen und voneinander unabhängigen Gesellschaften.

Wir danken der PRICEWATERHOUSE COOPERS für die Prüfung der Jahresrechnung.

## KOMMENTAR ZU DEN FINANZEN



Hanspeter Hagnauer

Der Jahresabschluss der Stiftung weist für das Jahr 2014 wiederum einen erfreulichen Gewinn aus.

Neben den Einnahmen aus der Aktion TELETHON von CHF 550'000.– erhielten wir von verschiedenen Stiftungen in der Schweiz insgesamt CHF 168'500.–. Vom Rotary Club Lausanne erhielten wir CHF 10'000.– und von einem anonymen Spender sogar den Betrag von CHF 20'000.–.

Das Vermögen der Stiftung belief sich am 31.12.2014 auf über CHF 4 Mio. Neben den oben erwähnten Spenden hat auch der spektakuläre Kursverlauf der Aktien SANTHERA zum erfreulichen Ergebnis beigetragen. Die Firma Santhera unterstützen wir als Stiftung seit deren Gründung (damals noch Myocontract). Während den vergangenen Jahren mussten wir unsere Beteiligung aber jeweils zum Teil kräftig abschreiben. Nun haben neue Studienergebnisse zu einem erfreulichen Kursaufschwund geführt, wovon wir als Stiftung resp. Investor profitieren konnten. Den nicht realisierten Kursgewinn haben wir neu einer Schwankungsreserve zugeführt, damit wir in Zukunft Kursschwankungen besser ausgleichen können.

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

Die Anlage der Gelder ist im momentanen Börsenumfeld äusserst schwierig. Auf Schweizerfranken Obligationen von guten Schuldnern erhält man keinen Zins mehr, selbst 10-jährige Obligationen der Eidgenossenschaft rentieren heute im Minus-Bereich. Als Alternative bieten sich Aktien mit einer überdurchschnittlichen Rendite an, aber unsere Anlagestrategie erlaubt keinen zu hohen Aktienanteil, was auch zum relativ hohen, unbenutzten Kontosaldo führte.

In fremden Währungen sind lediglich 16% des Vermögens angelegt: 10% in US-\$ Obligationen, 3% in norwegischen Kronen und nur 3% in Euro (Aktien Royal-Dutch mit hoher Dividendenrendite).

H. P. Hagnauer, Kassier

## 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 2 Entreprises et nous sommes en pourparlers avec 3 autres. Nous adressons toute notre reconnaissance aux entreprises pionnières du **Club des Partenaires**.

Die Finanzierung der Stiftung ist eine Priorität 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 zwei Unternehmen für unsere Sache gewinnen, mit vier anderen sind wir im Gespräch. Wir bedanken uns herzlich bei den ersten zwei 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 due ditte e siamo in trattative con altre quattro. Un caloroso grazie ai primi due membri del **club dei partner**.



## TELETHON 2014

TELETHON 

FONDATION TÉLÉTHON ACTION SUISSE  
STIFTUNG TELETHON AKTION SCHWEIZ  
FONDAZIONE TELETHON AZIONE SVIZZERA

### 2014 – Le Téléthon en 4 saisons

Notre action se déroule principalement en décembre mais c'est toute l'année que le centre de coordination œuvre pour sa préparation. Voici l'année en quelques points clés:

**Printemps** Le Conseil de Fondation valide les attributions pour l'année 2014 avec une priorité pour les 2 fondatrices soit la FSRMM ([www.fsrmm.ch](http://www.fsrmm.ch)) et l'ASRIM ([www.asrim.ch](http://www.asrim.ch)). Cela permet de soutenir la recherche et le social, notamment les camps de vacances pour les enfants et les jeunes adultes.

C'est le moment de choisir la peluche de l'année. Afin d'impliquer les organisateurs de manifestations, plusieurs peluches sont soumises à leur choix lors de la séance organisée en mars avec eux.



La commande est validée pour les peluches 2014, le choix s'est porté sur un élan.

Les visuels 2014 (affiches, Téléthon Info, etc.) sont en cours de préparation avec l'objectif de mettre en avant les enfants pour la Suisse romande plutôt qu'une personne médiatique. Pour la Suisse allemande, c'est Viktor Röthlin qui sera à l'honneur et Christa Rigozzi pour la Suisse italienne.

## TELETHON 2014

### Eté

Le bouclage des comptes s'effectue au 30 juin 2014. La recette pour l'édition 2013 est de CHF 2'372'581,00. Les dons versés restent en Suisse.

Prise de photos durant le camp de vacances des enfants de l'ASRIM à Saanen pour préparer les visuels de l'année.



### Automne

La séance des organisateurs de manifestations est agendée afin de préparer l'action de décembre et le Conseil de Fondation se réunit également à cette période.

La peluche 2014 Jimmy arrive en Suisse. Elle est répartie entre 3 sites de distribution avec les nombreux autres articles disponibles pour les organisateurs de manifestations: affiches, banderoles, peluches des années précédentes, ballons, tirelignes, etc.

## TELETHON 2014

### Hiver

Le week-end du Téléthon du 5 au 6 décembre bat son plein. Des manifestations, plus de 400, se déroulent en majeure partie en Suisse romande et italienne et quelques-unes en Suisse allemande. Des milliers de bénévoles, sapeurs-pompiers, protections civiles se mobilisent pour un formidable élan de solidarité en faveur des familles suisses touchées.



*Sapeurs-pompiers jurassiens en action*

La Télé diffuse en direct 4 heures d'émission où se côtoient de nombreux artistes, professeurs, intervenants pour la partie sociale, bénévoles, etc. Les reportages à l'extérieur ont permis de couvrir 20 manifestations.

L'émission se termine avec une préannonce pour la récolte 2015 de CHF 2'257'134.-.

## TELETHON 2014



*La chanteuse Mauranne, marraine de la soirée en compagnie de Romain et des présentateurs Camille et Roland*

Pour cette formidable année passée avec vous, pour votre précieux soutien et votre fidèle engagement nous vous disons merci du fond du cœur et à l'année prochaine!

Fondation Téléthon Action Suisse  
Centre de Coordination  
Ch. de la Cure 1, 1092 Belmont-sur-Lausanne  
Tél.: 021 808 88 77, Fax: 021 808 81 11  
Info@telethon.ch – www.telethon.ch

## TELETHON 2014



Philippe Rognon

TELETHON 

FONDATION TÉLÉTHON ACTION SUISSE  
STIFTUNG TELETHON AKTION SCHWEIZ  
FONDAZIONE TELETHON AZIONE SVIZZERA

### Knapp 2,3 Millionen Franken aus dem Telethon 2014

Die Schweizerinnen und Schweizer haben 2014 einmal mehr ihre Solidarität bewiesen: die Spenden anlässlich des 27ten Telethon betragen beinahe 2,3 Millionen Franken (die endgültigen Zahlen werden Ende Juni bekannt gegeben). Wir konnten auf die Unterstützung von Viktor Röhlin, Europameister im Marathon und Luc, der an einer Muskelkrankheit leidet, rechnen. Die beiden waren wieder auf dem Plakat Telethon für die Deutschschweiz. Auch Christa Rigozzi hilft mit Telethon besonders im Tessin und ist auf dem Plakat in dieser Region zu sehen.

Die Spenden basieren im Wesentlichen auf drei Säulen: auf freiwillige Helfer und deren Veranstaltungen, auf Feuerwehr und Zivilschutz mit ihren zahlreichen Events und auf treue Spender, die per Telefon, Internet oder SMS spenden. Bemerkenswert ist, dass die Mehrheit der Spenden aus der Romandie und aus dem Tessin kommt, während die Deutschschweiz gerade nur 4% der gesammelten Spenden ausmacht.

Im Oktober 2014, hat der Stiftungsrat Telethon Aktion Schweiz eine drei jährige Strategie angenommen, um in der Deutschschweiz mehr Erfolg zu haben.

Freiwillige Helfer organisierten über 400 Veranstaltungen in der ganzen Romandie und im Tessin. Über 70% der Veranstaltungen in der Romandie sind von der Feuerwehr organisiert.

In der Deutschschweiz wurden 20 Veranstaltungen organisiert. Die Freiwilligen waren tätig in Biel, Brugg, Basel, Riehen, Egg, Zürich, Volketswil, Winterthur und Windisch. Die Feuerwehr war in Salgesch, Naters, Brig-Glis, Bern, Neuenhof, Grenchen und Biberist in Aktion. An all diesen Orten, wurden unter anderem die neuen Plüschtiere, der kleine Elch Jimmy verkauft. Leider sind

## TELETHON 2014

diese Maskottchen in der Deutschschweiz noch nicht genug bekannt. In der Romandie werden fast 70'000 Stücke verteilt für eine Spende von Fr. 12.–.

Dank der Spenden kann Telethon Aktion Schweiz (FTAS) seinen Kampf gegen Muskelkrankheiten und andere, meistens Kinder betreffende, seltene Krankheiten, durch die Suche nach Medikamenten fortsetzen.



*Die Kinder haben in Neuenhof viel Spass und helfen gerne der Feuerwehr*

Das in der Schweiz gespendete Geld bleibt in der Schweiz. Ein grosser Teil davon (Fr. 740'000.–) wird für direkte Hilfen an Betroffenen und ihren Familien eingesetzt. Dies erfolgt durch die Telethon Mitgliederorganisationen, wie L'Association Suisse romande et italienne contre les myopathies ([www.asrim.ch](http://www.asrim.ch)), die Schweizerische Gesellschaft für Cystische Fibrose ([www.cfch.ch](http://www.cfch.ch)), l'Associazione Malattie Genetiche Rare Svizzera Italiana ([www.malattierare.ch](http://www.malattierare.ch)) und einige andere.

Die FTAS wird die Schweizerische Stiftung für die Erforschung von Muskelkrankheiten (FSRMM) mit einem Betrag von Fr. 540'000.– unterstützen. Diese Forschungsprogramme ermöglichen die Suche nach vielversprechenden

## TELETHON 2014

therapeutischen Wegen. Ein Beweis dieses Fortschritts zeigt sich durch die wachsende Zahl klinischer Studien für verschiedene Formen der Myopathien. Diese Ergebnisse stärken die Hoffnung der FTAS, dass in der nahen Zukunft manche seltene genetische Krankheiten als heilbar gekennzeichnet werden können.

Die Buchhaltung der FTAS wird regelmässig durch das dafür zuständige Bundesamt des Innendepartements kontrolliert.

Wir werden noch länger auf die Hilfe von ehrenamtlichen Mitarbeitern und Freiwilligen angewiesen sein, die sich für die Patienten und ihren Familien einsetzen.

Mit dieser Hoffnung und Motivation verabschieden wir uns bis zum **28. Telethon am 4. und 5. Dezember 2015**. Auf der **Internetseite [www.telethon.ch](http://www.telethon.ch)** befinden sich viele nützliche Informationen und eine grosse Anzahl Videos zum Anschauen. Zudem ist es dort möglich, jederzeit Spenden zu machen und die herzigen Stofftiere der letzten 10 Jahre zu bestellen.

Philippe Rognon, Verantwortlich Koordination



*Die Gruppe der Tessiner Freiwillige 2014  
il raduno dei volontari ticinesi del 2014*



## **UN AIUTO MIRATO ALLE PERSONE COLPITE DA MALATTIE GENETICHE RARE**

La nuova Associazione Malattie Genetiche Rare Svizzera Italiana

È un impegno dall'alto contenuto sociale, ma anche medico-scientifico, quello che sta sostenendo l'Associazione Malattie Genetiche Rare della Svizzera Italiana (MGR). L'idea di costituire la MGR è scaturita dal convincimento che malattia genetica rara non debba significare per forza malattia «orfana», come pure dal desiderio di offrire ai malati residenti nella Svizzera Italiana un sostegno concreto e in loco, seguendoli nel tempo, ma anche facendo fronte in modo efficace e rapido alle situazioni di bisogno immediato.

A Sud delle Alpi se ne sentiva da tempo l'esigenza e la MGR, nata anche grazie al sostegno della Fondazione Telethon Azione Svizzera (FTAS) e con la quale continuerà a lavorare in stretta collaborazione, intende dare e sta già dando il suo contributo in modo coordinato, mirato e tangibile. Il campo di attività della MGR è quello delle malattie rare, la maggioranza delle quali è di origine genetica: da una stima risulta che nella Svizzera Italiana vi sono oltre 400 persone affette da malattie neuromuscolari genetiche rare o solo rare e oltre 200 persone colpite da altre malattie genetiche rare. Anche se le malattie rare sono molto eterogenee, coloro che ne sono affetti e i loro familiari sono confrontati con problematiche simili derivanti dalla rarità di queste patologie e dal fatto che si tratta in genere di malattie gravi o molto gravi, croniche e spesso degenerative: difficoltà di ottenere una diagnosi corretta, difficoltà di accedere a informazioni sulla patologia e a cure adeguate, alti costi delle cure, opzioni terapeutiche limitate, riduzione o perdita dell'autonomia e della capacità lucrativa con conseguenti difficoltà economiche ecc.; sovente inoltre la scarsa conoscenza delle malattie genetiche rare e delle loro conseguenze da parte delle assicurazioni sociali o private e da parte degli operatori del settore socio-sanitario accentua la situazione d'isolamento e di disagio dei malati e dei loro familiari, rendendoli così più vulnerabili sul piano psicologico, sociale ed economico.

## **NOUVELLES DES ASSOCIATIONS • MALATTIE GENETICHE RARE**

Solo un approccio multidisciplinare e una stretta collaborazione tra i ricercatori, i curanti e i diversi enti di aiuto sociale possono permettere di superare queste problematiche e di offrire un'assistenza efficace e competente ai malati e alle loro famiglie. Ed è per questo che nella Svizzera Italiana è entrata in scena, nel mese di settembre 2014, la MGR, la quale ha come scopo principale quello di fornire consulenza e sostegno, anche finanziario, alle persone colpite da malattie neuromuscolari genetiche rare (o solo rare) o da altre malattie genetiche rare e ai loro familiari, specie a coloro che non hanno un'organizzazione di aiuto sociale di riferimento, come pure di difendere i loro diritti e i loro interessi nonché di promuovere e tutelare la loro qualità di vita.

La MGR intende collaborare e sta già collaborando con gli enti pubblici e privati attivi nel campo dell'aiuto sociale e già presenti nella nostra Regione o anche nel resto del nostro Paese, come pure con i medici e gli altri operatori del settore sanitario, in particolare con il team di medici specialisti e la responsabile del servizio di case management e di consulenza infermieristica specializzata del Centro Myosuisse Ticino, attivo sul territorio della Svizzera Italiana dal 2007.

Le persone colpite da malattie genetiche rare, i loro familiari e, più in generale, tutti coloro che, in un modo o in un altro, sono confrontati o si interessano a questo tema, possono prendere contatto con la MGR attraverso la sua assistente sociale e coordinatrice Beatrice Reimann telefonando al numero 079 129 90 59, da martedì a giovedì dalle ore 09.00 alle ore 12.00, o all'indirizzo di posta elettronica [beatrice.reimann@malattierare.ch](mailto:beatrice.reimann@malattierare.ch); ulteriori informazioni sono disponibili sul sito Internet della MGR: [www.malattierare.ch](http://www.malattierare.ch)



## NOUVELLES DES ASSOCIATIONS • ASRIM

# ASRIM

**Plus de 30 ans d'idées, de combat et de victoires!**

Association de la Suisse Romande et Italienne  
contre les Myopathies ([www.asrim.ch](http://www.asrim.ch))

A la fin de l'année, notre comité comptait encore 8 membres. Ces derniers se sont réunis à de nombreuses reprises pour administrer l'association en collaboration avec notre personnel. Plus de 100 heures de débats ont été nécessaires pour ce faire.

A fin septembre, M. Raoul Gianini, membre du comité depuis plusieurs années et représentant du Tessin, a donné sa démission. Qu'il soit remercié pour toute son activité au sein de l'ASRIM.



Bernard Schaffter

### Collaboratrices et collaborateur

Au printemps 2014, deux collaboratrices ont quitté l'ASRIM. Il s'agit de Mme Carmela Grignoli, assistante sociale en fonction depuis novembre 2011 et de Mme Mireille Michel, secrétaire, en poste depuis mars 2013. Que ces deux personnes particulièrement appréciées au sein du team soient vivement remerciées pour leurs présences et leurs compétences en faveur de nos membres.

En juin, Mme Anne-Pascale Collaud, assistante sociale à 80%, a remplacé Mme Carmela Grignoli au service social. Et c'est en mars que Mme Valérie Rio, secrétaire, a pris la place de Mme Michel dans l'administratif. Toutes deux se sont rapidement intégrées dans l'équipe. Merci à elles pour leur dévouement.

Sous ce chapitre, il est nécessaire de rappeler que Mme Eva Otero, responsable administrative et des RH, fonctionne avec dynamisme et compétence depuis 5 ans. Quant à Mme Petra Benamo, assistance sociale à 40%, elle a assumé en 2014 ses tâches à la pleine satisfaction des membres. Un chaleureux merci à ces deux fidèles collaboratrices pour leur présence.

On mentionnera encore qu'en 2014, M. Pierre Froment, éducateur spécialisé, responsable des camps de vacances, est resté fidèle à l'association et ceci depuis de nombreuses années. Toute notre gratitude à lui également.

## **NOUVELLES DES ASSOCIATIONS • ASRIM**

### **Prestations**

Malgré une diminution des contributions du Téléthon ces deux dernières années, les prestations accordées aux membres n'ont subi aucune érosion et ont été attribuées favorablement à toutes et à tous selon les requêtes soumises en conformité aux cahiers des charges de l'ASRIM. Les camps de vacances, les subventions aux hôpitaux ayant une coordination aux consultations pluridisciplinaires en neuromusculature, les aides justifiées en soins, les soutiens aux moyens auxiliaires, les appuis s'agissant des transports, les participations financières lieux de vie, les journées d'information, la journée des familles et l'information écrite ont été les principales dépenses en faveur de nos membres.

### **Finances**

En 2014, c'est la seconde année que les comptes de l'ASRIM bouclent sur un déficit, certes maîtrisé. Grâce à la subvention fédérale (OFAS), à la contribution du Téléthon et aux dons exceptionnels, l'ASRIM arrive à satisfaire les besoins requis. Il faut néanmoins relever que le Téléthon attribue un peu moins d'argent à l'ASRIM en raison de la multiplicité des institutions défendant les victimes des maladies génétiques rares en Suisse. Il faudra par conséquent trouver aussi d'autres organisations financières ou des mécènes.

Toutefois, l'ASRIM a fait de sérieux efforts ces dernières années pour limiter de plus en plus les frais administratifs.

### **Conclusion**

Une fois de plus, l'ASRIM a fait face à ses obligations malgré des situations délicates que le comité a dû gérer en faveur des membres. L'association poursuit ses tâches avec détermination. Le directoire demeure attentif chaque année sur ce qu'il y a lieu de maîtriser, de supprimer, d'augmenter toujours s'agissant des aides aux membres.

Grâce aux collaboratrices et collaborateur compétents qui ne ménagent nullement leur peine, les heures supplémentaires et l'attention à porter aux membres, l'ASRIM roule sur de bons rails. Que toutes et tous soient vivement remerciés.

Le président démissionnaire, Bernard Schaffter

**muskelkrank & lebensstark**

**Muskelgesellschaft**

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



Ein Jubiläumsjahr, das tönt nach zusätzlicher Arbeit und ausserordentlichem Einsatz. Dies war auch im 40. Jubiläumsjahr der Schweizerischen Muskelgesellschaft unbestritten der Fall. Jedoch konnten die zusätzlichen Aktivitäten wie der Event zum Projekt 2014 in Neuenkirch positiv für die Bekanntheit der Muskelgesellschaft genutzt werden und wir blicken stolz auf ein erfolgreiches Jahr zurück. Zudem verlief die Stabübergabe von Franziska Mattes an Martin Knoblauch so reibungslos wie es nur wünschenswert ist. Zu keiner Zeit traten krisenhafte Momente auf und sowohl nach Aussen wie nach Innen war vom Führungswechsel kaum etwas Negatives zu spüren. Das spricht für den Zustand der Muskelgesellschaft. Das spricht für die Loyalität des Vorstandes und der Mitarbeitenden der Geschäftsstelle. Es zeigt aber auch, wie stabil der Verein da steht, wie treu seine Mitglieder und Helfenden sind und ebenso die Spenderinnen und Spender. Dieses tragfähige Fundament ist auch ein hoch verdankenswertes Vermächtnis von Franziska Mattes.

### **Dienstleistungen und Tätigkeiten 2014 im Kurzüberblick (Auszüge)**

#### **BERATUNG UND INFORMATION**

Direktunterstützung für Betroffene und Angehörige	120'331 Franken
Direkt gesprochene Gesuche (Härtefälle)	21 Gesuche
Bearbeitungszeit von Love Ride – Gesuchen	153 Stunden
Bearbeitete und eingereichte Gesuche (Eingänge 2013)	27 Gesuche
Anzahl genehmigte Gesuche	20 Gesuche
Unterstützungsbeitrag für unsere Mitglieder	32'6512 Franken

#### **KONTAKT- UND SELBSTHILFGRUPPEN**

Anzahl Kontakt und Selbsthilfegruppen	40 Gruppen
Gruppengrössen	5–45 Personen
Anzahl Treffen	65 Treffen
In den Selbsthilfegruppen engagiert	547 Personen
Direktunterstützung der Selbsthilfegruppen	17'435 Franken

## NEWS DER GESELLSCHAFTEN • MUSKELGESELLSCHAFT

### FERIENANGEBOTE UND LAGER 2014

Computerlager für Kinder und Jugendliche in Gontenschwil (AG), 16.–22. Februar	Teilnehmende: 10 Betreuungspersonen: 14
Sommerlager für Kinder und Jugendliche in Melchtal (ÖW), 13.–26. Juli	Teilnehmende: 14 Betreuungspersonen: 29
Ferien für junge und jung gebliebene Erwachsene in Delémont (JU), 20. Juli–2. August	Teilnehmende: 15 Betreuungspersonen: 32
Ferien für junge und jung gebliebene Erwachsene in Delémont (JU), 3. August–17. August 2013	Teilnehmende: 13 Betreuungspersonen: 33 davon Zivildienstleistende: 4

### VERANSTALTUNGEN FÜR BEROFFENE 2014

Die anerkannten Kernkompetenzen der Muskelgesellschaft werden jährlich wiederkehrend an Informationsveranstaltungen weiter gegeben. Hier eine Auswahl der verschiedensten Anlässe:

Care Training «Soziales»	31. Januar
ALS Care Training «Zeit zuletzt»	27. Februar
Care Training für Eltern von muskelkranken Kindern, Modul «Pflege»	23. April
Infoveranstaltung «Sozialversicherungen»	11. Juni
6. ALS-Tag im REHAB Basel	25. Oktober
Besuch im MEH für Eltern und Kinder mit einer Muskelkrankheit	31. Oktober

### Myosuisse & Regionale Neuromuskuläre Zentren

Das Netzwerk Myosuisse ist aus dem Projekt der regionalen Muskelzentren entstanden, ein Meilenstein in der Geschichte zugunsten muskelkranker Menschen. Es besteht aus Fachpersonen und Organisationen, die sich in der Schweiz für Menschen mit einer neuromuskulären Krankheit einsetzen. Als Initiator und Ursprung dazu steht die Schweizerische Muskelgesellschaft. Sie unterstützt diesen Bereich jährlich mit rund einer viertel Million Franken, was etwa 1/6 des Gesamtbudgets ausmacht. Myosuisse beinhaltet nebst den Regionalen Muskelzentren den Fachlichen Beirat, das Fachverzeichnis, das Patientenregister (im internationalen Austausch mit dem Register TREAT-NMD) sowie den bestehenden Lehrstuhl in Basel, inkl. der anteiligen Unterstützung eines Forschungsprojektes. Inhaber dieses Lehrstuhls ist der Vizepräsident der Schweizerischen Muskelgesellschaft, Prof. Dr. med. Dr. phil. Michael Sinnreich. Getragen wird Myosuisse von der Muskelgesellschaft zusammen mit der Association de la Suisse Romande et Italienne contre les Myopathies ASRIM und der Schweizerischen Stiftung zur Erforschung der Muskelkrankheiten FSRMM.

### Information und Öffentlichkeitsarbeit

Öffentliche Auftritte der Muskelgesellschaft sind neben der Mitgliederzeitschrift «info» und den elektronischen Medien die wichtigsten Möglichkeiten, sichtbar zu werden, Aufklärung zu betreiben und Spenden zu generieren. Auch im Jubiläumsjahr waren die Meilensteine der Pre Ride in Thun, der Love Ride in Dübendorf und der Silvesterlauf in Zürich. Vereinsintern bildete die Jubiläums-Mitgliederversammlung den Höhepunkt und im therapeutisch- medizinischen Bereich bildete diesen der alle zwei Jahre statt findende ALS-Tag für Betroffene und Fachpersonen.

Im November informierte die Muskelgesellschaft die interessierte Öffentlichkeit über die ersten Ergebnisse im Rahmen des Projekts 2014.

Der Bildungsdirektor des Kantons Luzern, Regierungsrat Reto Wyss engagierte sich als Gastreferent und sprach das Eröffnungswort zu den Fachleuten, Eltern und Kindern.

### Mittelbeschaffung

Stabilität ist die Bezeichnung, welche sich aufdrängt, betrachtet man die erarbeiteten Mittel in den letzten Jahren. Das Gesamtergebnis konnte in den vergangenen Jahresberichten in etwa gleich hoch bei rund 1.5 Mio. Franken ausgewiesen werden. Bei Einzelpersonen- und Trauerspenden durften wir leicht erhöhte Einnahmen entgegennehmen. Etwas zurückgegangen sind die Zuwendungen aus Mailings und von Stiftungen. Die Nettoeinnahmen aus den Spendenmailings sind nach wie vor sehr gut, so dass wir trotz störender Flut der vielen Bettelbriefe von diesen Einnahmen nicht absehen können. Wir freuen uns, dass es uns auch dieses Jahr geglückt ist, neue Finanzierungsmöglichkeiten zu erschliessen und die treuen Partnerschaften nachhaltig zu pflegen.

### Dank

Wir danken unseren Partnern für ihr Vertrauen. Namhafte Beträge erhielten wir vom Love Ride, von Botschafter Alex Frei und unserem treuen Firmenpartner, der Jumbo Markt AG. Weitere Erfolge durften wir bei den Unterstützungen von Stiftungen und Institutionen verbuchen, die wir für unsere Ferienlager einsetzten, sowie für unsere weiteren Dienstleistungen im Sozialbereich, wie Beratungen, die Selbsthilfegruppen und das gesamte Netzwerk «Myosuisse».

### Unser vollständiger Jahresbericht 2014

Den kostenlosen und vollständigen Jahresbericht 2014 erhalten Sie von der Geschäftsstelle, 044 245 80 30 oder [info@muskelgesellschaft.ch](mailto:info@muskelgesellschaft.ch), oder als pdf von der Website: [www.muskelgesellschaft.ch](http://www.muskelgesellschaft.ch) >Wer wir sind >Downloadsmailto: [info@muskelkrank.ch](mailto:info@muskelkrank.ch). Tel 044 245 80 30, Fax 044 245 80 31



Dr. Raffaella Willmann



[www.enmc.org](http://www.enmc.org)

Seit Anfang 2014 hat das ENMC ein neues Team mit dem neuen wissenschaftlichen Direktor Prof. George Padberg aus Nijmegen sowie mit einer neuen wissenschaftlichen Managerin, Dr. Alexandra Breukel. Mit Annelies Zittersteijn, seit langem Sekretärin des ENMC Büros, ist das Team nun wieder komplett. Das Projekt «Patient Plus Initiative» wurde 2014 erfolgreich umgesetzt. Das Projekt sieht vor, dass bei jedem Workshop auch

ein-zwei Patienten oder Patientenvertreter teilnehmen, um die Ansicht und die Erfahrungen von Betroffenen in den Fachdiskussionen über Forschung, Medikamentenentwicklungen und Pflege einfließen zu lassen. Für diese Initiative wurde eine Patientenbroschüre verfasst, die dazu helfen soll, die Betroffenen auf ihre Aufgaben während des Workshops und auf die Organisation ihres Aufenthalts vorzubereiten. Der erste Workshop mit Patiententeilnahme hat bereits stattgefunden und die Initiative kam bei allen Teilnehmern sehr gut an. Weiterhin wurde die «Young Researchers Initiative» lanciert, die es erlauben soll, dass Nachwuchswissenschaftler sich für die Teilnahme an einem Workshop ihrer Interessen zu bewerben können. Dies erweitert ihre Netzwerke und ihre Kompetenzen.

Für die Young Researchers Initiative sponsert Genzyme die Zusatzkosten. ENMC strebt an, das Sponsoring von Privatfirmen zu erhöhen und ist dafür mit mehreren Pharmafirmen im Gespräch. Das Sponsoring soll für die allgemeinen Zwecke des ENMC dienen und weder den Einfluss der Firmeninteressen auf Inhalte der Workshop noch die Teilnahme der Firmen an den Workshops ermöglichen. Wir freuen uns, dass gerade Santhera Pharmaceuticals als erste Firma dieser Initiative zugesagt hat.

Das ENMC hat seine internationale Präsenz durch die Teilnahme an renommierten Konferenzen und durch den Ausbau ihrer Meldungen über soziale Netzwerke wie Twitter und LinkedIn verstärkt. Im Jahr 2014 wurden 6 Workshops finanziert. Die Themen waren Biomarker für die Dystrophie Typ Duchenne, Diagnose bei der idiopathische inflammatorische Myopathie, Pflege von erwachsene Duchenne-Patienten, Umgang mit respiratorische Insuffizient bei Myotone Dystrophie, Pflegerichtlinien bei Morbus Pompe, Planung klinischen Studien für spinale Muskelatrophie.

## **MEMBRES BIENFAITEURS – GÖNNER – MEMBRI SOSTENITORI**

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

La Fondation Suisse de Recherche sur les Maladies Musculaires 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 uniques 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.-**.

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

Die 1985 gegründete Schweizerische Stiftung für die Erforschung der Muskelkrankheiten 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 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.

### **Volete diventare membro sostenitore della nostra Fondazione?**

La Fondazione svizzera di ricerca sulle malattie muscolari, 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.-**.

### **Voulez-vous nous aider à atteindre ce but?**

Si oui, nous vous en remercions et vous prions de remplir le formulaire ci-dessous. Vous recevrez prochainement une documentation. Cet engagement peut être en tout temps résilié par écrit.

### **Wollen Sie uns dabei helfen?**

Wenn ja, bitten wir Sie, untenstehenden Abschnitt auszufüllen. Im voraus herzlichen Dank. Sie erhalten dann die Dokumentation zugeschickt. Diese Spendenverpflichtung kann jederzeit schriftlich gekündigt werden.

### **Volete aiutarci a raggiungere questo scopo?**

In questo caso, vi ringraziamo e vi saremmo grati di compilare la cedola sottostante. La documentazione vi sarà inviata a casa. Questo impegno può essere disdetto in qualsiasi momento per iscritto.

## **MEMBRES BIENFAITEURS – GÖNNER – MEMBRI SOSTENITORI**

**Veillez envoyer cette inscription à l'adresse suivante ou directement sur [www.fsrmm.ch/finances/bienfaiteurs.php](http://www.fsrmm.ch/finances/bienfaiteurs.php)**

**Schicken Sie bitte diese Anmeldung an die folgende Adresse oder einfach auf [www.ssem.ch/finances/bienfaiteurs.php](http://www.ssem.ch/finances/bienfaiteurs.php)**

**Vogliate spedire questa iscrizione al seguente indirizzo o su [www.fsrmm.ch/finances/bienfaiteurs.php](http://www.fsrmm.ch/finances/bienfaiteurs.php)**

Fondation suisse de recherche sur les maladies musculaires  
Schweizerische Stiftung für die Erforschung der Muskelkrankheiten  
Fondazione svizzera di ricerca sulle malattie muscolari  
Chemin des Jordils 4, 2016 **Cortailod**



**Je désire devenir membre bienfaiteur de la Fondation suisse de recherche sur les maladies musculaires.**

**Ich möchte Gönner/Gönnerin der Schweizerischen Stiftung für die Erforschung der Muskelkrankheiten werden.**

**Desidero diventare membro sostenitore della Fondazione svizzera di ricerca sulle malattie muscolari**

Nom/Name/Cognome: \_\_\_\_\_

Prénom/Vorname/Nome: \_\_\_\_\_

Rue/Strasse/Via: \_\_\_\_\_

NPA/PLZ/Codice postale: \_\_\_\_\_

Lieu/Ort/Città: \_\_\_\_\_

Signature/Unterschrift/Firma: \_\_\_\_\_



