

RAPPORT ANNUEL

Jahresbericht
Rapporto annuale

2019



SOMMAIRE

Inhaltverzeichnis
Indice

3/4 AVANT-PROPOS

Vorwort
Premessa

5 CONSEILS DE FONDATION

Stiftungsräte
Consigli di Fondazione

6 BUTS DE LA FONDATION

Stiftungszwecke
Obiettivi della Fondazione

7 RAPPORT DU CONSEIL SCIENTIFIQUE

Bericht des wissenschaftlichen
Beirats
Rapporto del Consiglio
scientifico

10 POLYMYALGIE RHUMATISMALE

11 ENMC

12 CÉRÉMONIE DE REMISE DES BOURSES

Stipendienvergabe
Cerimonia di consegna delle
borse di ricerca

14 CHIFFRES ET FAITS 1987 – 2019

Zahlen und Fakten
Fatti e cifre

16/17 FINANCES

Finanzen
Finanze

18 SANTHERA PHARMACEUTICALS

20 TÉLÉTHON

23 PARTENAIRES Partner

AVANT-PROPOS

Vorwort
Premessa

L'actuelle pandémie nous fait prendre conscience de notre grande vulnérabilité. Un virus, jusqu'alors inconnu et potentiellement mortel, tétanise le monde entier. Des moyens gigantesques sont mis en œuvre pour trouver une parade à la maladie Covid-19. Déjà, on annonce – vraisemblablement un peu prématurément – des vaccins disponibles dans un proche avenir.

Une fois de plus, on constate l'importance fondamentale de la recherche médicale pour comprendre les causes et les mécanismes d'une maladie afin de la combattre efficacement. Qu'il a été possible de décrypter très rapidement le virus SARS-CoV-2 responsable de la maladie et de poser ainsi les bases pour la suite des recherches, est le fruit des résultats obtenus avec le séquençage de l'ARN viral. Cette technique permet de rationaliser et d'accélérer la recherche d'un vaccin efficace en comparant les séquences de l'ARN viral, donc des protéines codées, avec celles d'autres virus du type Corona. Les gouvernements et firmes pharmaceutiques ont justement investi d'énormes moyens pour financer cette recherche.

Il existe de nombreuses maladies génétiques rares aux conséquences massivement invalidantes, souvent dès la naissance. Ces maladies sont beaucoup moins médiatisées que la Covid-19 et à peine connues du grand public. La recherche dans ce domaine se fait au niveau des hôpitaux universitaires et des instituts qui leur sont affiliés. Les moyens financiers à dispositions sont extrêmement limités.

Pour cette raison, la FSRMM s'est donné pour vocation de soutenir, au moyen de bourses, la recherche dans le domaine des maladies



ALAIN PFULG, PRÉSIDENT

neuromusculaires génétiques. Nous sommes heureux d'avoir parmi ces projets, pour la première fois, une étude clinique en phase 3 qui pourrait aboutir à un médicament.

Je tiens à remercier tous les particuliers, fondations, partenaires et spécialement l'action Téléthon pour leur énorme soutien financier sans lequel notre travail ne serait pas possible.

Die aktuelle Pandemie führt uns drastisch unsere Verletzlichkeit vor Augen. Ein bisher unbekanntes, potentiell tödliches Virus verunsichert die ganze Welt. Mit Hochdruck wird an einer Parade gegen die Covid-19-Erkrankung geforscht. Erste Impfstoffe sind – wohl etwas gar optimistisch – bereits für die nächsten Monate angekündigt.

Einmal mehr zeigt sich die grundlegende Bedeutung der medizinischen Forschung, um die Ursachen und Mechanismen einer Krankheit zu verstehen und sie wirksam bekämpfen zu können. Dass es gelungen ist, den Code des für die Krankheit verantwortlichen Virus SARS-CoV-2 innert kürzester Zeit zu entschlüsseln und damit die Grundlage für die weiteren Forschungsschritte zu legen, verdanken wir den mit der Sequenzierung der RNA gewonnenen Erkenntnisse. Und diese erlauben es auch,

mittels Vergleich der Gen-Sequenzen anderer Corona Viren und damit verbundener Moleküle die Suche nach einer wirksamen Impfung zu rationalisieren und zu beschleunigen. Zu Recht haben die Regierungen und Pharmafirmen für diese Forschung hohe finanzielle Mittel bereitgestellt.

Es gibt zahlreiche seltene, genetisch bedingte Erkrankungen, die für die Betroffenen, oft von Geburt an, massiv invalidisierende Auswirkungen haben. Diese Krankheiten sind wesentlich weniger prominent als die Covid-19 und finden im Alltag kaum Beachtung. Die Forschung findet im Wesentlichen in den Universitätskliniken und ihnen angeschlossenen Instituten statt. Die zur Verfügung stehenden Mittel sind begrenzt.

Die FSRMM hat es sich deshalb zur Aufgabe gemacht, die Forschung im Bereich der genetischen Muskelkrankheiten mit der gezielten Ausrichtung von Stipendien zu unterstützen. Erfreulicherweise findet sich darunter erstmals auch eine klinische Studie der Phase 3, welche zu einem Medikament führen könnte.

Es mir ein Anliegen, allen Einzelpersonen, Stiftungen, Sponsoren und ganz besonders der Action Téléthon für die grossartige finanzielle Unterstützung zu danken, ohne die unsere Arbeit nicht möglich wäre.

L'attuale pandemia ci fa prendere coscienza della nostra vulnerabilità. Un virus, finora sconosciuto e potenzialmente mortale, paralizza il mondo intero. Con sforzi giganteschi si cerca una difesa contro la malattia Covid-19, già sono

stati annunciati – probabilmente in modo un po' prematuro – dei vaccini, disponibili in un prossimo futuro.

Una volta in più constatiamo l'importanza fondamentale della ricerca medica per comprendere le cause e i meccanismi di una malattia e per combatterla efficacemente. Ciò che ha reso possibile decifrare rapidamente il virus SARS-CoV-2, responsabile della malattia, e di porre le basi per susseguenti ricerche, è il frutto dei risultati ottenuti in genetica nel sequenziamento dell'RNA virale. Questa tecnica permette di razionalizzare ed accelerare la ricerca di un vaccino efficace confrontando la sequenza dell'RNA virale e delle proteine prodotte con quella di altri tipi di virus Corona. I governi e le ditte farmaceutiche hanno giustamente investito enormi somme per finanziare questa ricerca.

Esistono diverse malattie genetiche rare con conseguenze estremamente invalidanti, a volte fin dalla nascita. Sono malattie molto meno mediatriche del Covid-19 e a malapena note al pubblico. La ricerca in questi ambiti si svolge essenzialmente negli ospedali universitari e negli istituti accademici, i mezzi a disposizione sono limitati.

Per questa ragione, la FSRMM si è assunta il compito di sostenere la ricerca sulle malattie genetiche neuromuscolari elargendo borse di ricerca. Siamo orgogliosi di avere quest'anno, tra questi progetti, uno studio clinico in fase tre. Non ultimo, tengo a ringraziare ogni singola persona, fondazione, sponsor e in particolare il Téléthon svizzero per il generoso supporto, senza il quale il nostro lavoro non sarebbe possibile.

CONSEIL DE FONDATION

Stiftungsrat
Consiglio di Fondazione

ALAIN PFULG	Avocat, Berne (Président)
JEAN-FRANÇOIS ZÜRCHER	Ancien Directeur du Groupe E, Cortaillod (Vice-président)
MARKUS A. RÜEGG	Prof. Dr., Biozentrum, Universität Basel
PATRICK AEBISCHER	Prof. Dr, Président émérite de l'EPFL, Villette VD
DIDIER BERBERAT	Dr en droit, anc. Conseiller aux Etats, La Chaux-de-Fonds
CHRISTINE DE KALBERMATTEN	Directrice de l'association MaRaVal – maladies rares valais, Sion
HANSPETER HAGNAUER	Kassier, eidg. dipl. Bankbeamter, Pratteln
DENIS MONARD	Prof. Dr anc. Président du Conseil scientifique et de l'Académie suisse des sciences naturelles, Bâle
PAOLA RICCI	anc. Partner Ares Life Sciences, Luins (VD)
SANDRO RUSCONI	Prof. emeritus, Università di Friburgo, Arosio
MICHAEL SINNREICH	Prof. Dr., Lehrstuhl für Myologie, Universität Basel, Vorstandsmitglied der Schweizerischen Muskelgesellschaft, Basel
ANNA MARIA SURY	Delegata Téléthon Ticino, Muralto
DOMINIQUE WUNDERLE	Présidente ASRIMM, Apples VD
<hr/>	
JACQUES ROGNON	Dr hc ès sciences techniques EPFL, ancien administrateur d'EOS Holding, Cortaillod (Président d'honneur)

CONSEIL SCIENTIFIQUE

Wissenschaftlicher Beirat
Consiglio scientifico

MARKUS A. RÜEGG	Prof. Dr., Biozentrum, Universität Basel (Président)
MATTHIAS CHIQUET	Prof. Dr., Universität Bern
DENIS JABAUDON	Prof. Dr, Université de Genève
BERNHARD WEHRLE-HALLER	Prof. Dr, Université de Genève
ELIANE ROULET-PEREZ	Prof. Dr méd., Service de neuropédiatrie, CHUV, Lausanne

BUTS DE LA FONDATION

Stiftungszwecke
Obiettivi della Fondazione

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.

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

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

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 borse di ricerca per progetti che indagano in questo ambito. In secondo luogo potrà sostenere materialmente le attività scientifiche con altrettanti mezzi ritenuti altrimenti adeguati. La Fondazione sostiene gli obiettivi perseguiti dalle associazioni fondatrici (ASRIMM e Schweizerische Muskelgesellschaft) e coordina i propri sforzi con quelli di organizzazioni estere impegnate per il medesimo scopo.

RAPPORT DU CONSEIL SCIENTIFIQUE

En novembre 2019, le Conseil scientifique a reçu 16 projets de recherche. Il a recommandé le financement de cinq 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.



PROF. MARKUS A. RÜEGG,
PRÉSIDENT

PROF. MARKUS A. RÜEGG, PRÉSIDENT

PROF. DR MED. DIRK FISCHER
HÔPITAL PÉDIATRIQUE UNIVERSITAIRE DES DEUX BÂLE

Le Prof. Dirk Fischer utilise les fonds attribués pour recruter 15 jeunes patients supplémentaires dans le cadre de l'étude clinique TAM-DMD. Neuf centres européens sont réunis pour analyser l'effet du tamoxifène chez des patients atteints de dystrophie musculaire de type Duchenne. Cette étude doit compléter des résultats positifs obtenus dans le cadre de deux projets soutenus par la FSRMM en 2013 et 2015.

DR MED. OLIVER SCHEIDEGGER
HÔPITAL DE L'ILE, BERNE

La représentation de structures microscopiques à l'intérieur des nerfs périphériques est très fastidieuse. Le Dr. Olivier Scheidegger affine cette méthodologie en utilisant des techniques modernes et en développant des nouveaux algorithmes, afin d'améliorer le diagnostic des neuropathies périphériques.

DR JOCHEN KINTER ET DR CHRISTIAN KLINGLER
UNIVERSITÉ DE BÂLE

Les Drs Jochen Kinter et Christian Klingler développent de petites molécules pour stimuler spécifiquement la dégradation endogène de la protéine DUX4 exprimée en excès dans la dystrophie musculaire facio-scapulo-humérale. Aucune thérapie causale n'est actuellement disponible pour cette pathologie.

PROF. PERRINE CASTETS
UNIVERSITÉ DE GENÈVE

La Prof. Perrine Castets explore le rôle de facteurs nouvellement identifiés qui peuvent antagoniser la modification de la contraction musculaire détectée dans la dystrophie myotonique de type I. Il s'agit d'établir les bases pour pouvoir définir de nouvelles stratégies thérapeutiques.

PROF. WERNER Z'GRAGGEN
HÔPITAL DE L'ILE, BERNE

Le Prof. Werner Z'Graggen évalue la mesure de l'excitabilité des fibres musculaires comme marqueur précoce de la neuromyopathie acquises en réanimation qui affecte certains patients traités aux soins intensifs. Une détection précoce de ce syndrome pourrait considérablement raccourcir la réhabilitation et le rétablissement de ces patients. Le projet vise aussi à évaluer l'effet des myorelaxants sur l'apparition de ce syndrome.

Bericht des wissenschaftlichen Beirats

Im November 2019 hat der wissenschaftliche Beirat aus 16 eingereichten Gesuchen fünf Projekte zur Finanzierung empfohlen. Alle Gesuche wurden von zwei bis vier externen Gutachtern und von den Mitgliedern des wissenschaftlichen Beirats beurteilt. Dabei waren die Qualität der Forschungsprojekte und deren Bedeutung für das Verständnis neuromuskulärer Erkrankungen die Hauptkriterien für eine Finanzierungsempfehlung.

PROF. MARKUS A. RÜEGG, PRÄSIDENT

PROF. DR. MED. DIRK FISCHER
UNIVERSITÄTS-KINDERSPITAL BEIDER BASEL

Prof. Dirk Fischer verwendete die zugesprochenen Mittel, um 15 weitere junge Patienten in die klinische Studie TAM-DMD einzuschliessen. Die Studie untersucht die Wirkung von Tamoxifen auf Duchenne Patienten in neun europäischen klinischen Zentren und basiert auf erfolgreiche Resultate zweier FSRMM finanzierten Projekte in 2013 und 2015.

DR. MED. OLIVER SCHEIDEGGER
INSELSPITAL BERN

Dr. Oliver Scheidegger verfeinert eine sehr zeitintensive bildgebende Darstellung kleiner Strukturen innerhalb der peripheren Nerven mit modernen Techniken und der Entwicklung von neuen Algorithmen, um die Diagnostik der peripheren Neuropathien zu verbessern.

DR. JOCHEN KINTER UND DR. CHRISTIAN KLINGLER
UNIVERSITÄT BASEL

Dr. Jochen Kinter und Dr. Christian Klingler arbeiten an der Entwicklung von kleinen Molekülen, die den zelleigenen Proteinabbau spezifisch gegen den überexprimierten Faktor DUX4 in der Fazio-skapulo-humeralen Muskeldystrophie richten. Für diese Krankheit existieren zurzeit keine kausalen Therapien.

PROF. PERRINE CASTETS
UNIVERSITÄT GENÈVE

Prof. Perrine Castets untersucht die Funktion von neu identifizierten Faktoren, welche der veränderten Muskelkontraktion bei der Myotone Dystrophie Typ 1 entgegenwirken können, um mögliche therapeutische Strategien aufzudecken.

PROF. WERNER Z'GRAGGEN
INSELSPITAL BERN

Prof. Werner Z'Graggen testet die Messung der Muskelfaserezitabilität als möglicher Marker für die frühzeitige Aufdeckung der „critical illness“-Myopathie in Patienten unter intensivmedizinischer Behandlung. Die rechtzeitige Aufdeckung könnte die Rehabilitation und die Erholungszeit der Patienten erheblich verkürzen. Zusätzlich wird der Einfluss von Muskelrelaxantien auf die Entstehung der Myopathie untersucht.

Rapporto del Consiglio scientifico

Nel novembre 2019 il Consiglio scientifico ha proposto alla Fondazione il finanziamento di cinque dei 16 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.

PROF. MARKUS A. RÜEGG, PRESIDENTE



PROF. DR. MED. DIRK FISCHER
OSPEDALE PEDIATRICO UNIVERSITARIO DI BASILEA

Il Prof. Dirk Fischer utilizza i fondi per coinvolgere altri 15 giovani pazienti nello studio clinico TAM-DMD. Lo studio analizza la sicurezza e l'efficacia del Tamoxifen in pazienti con la distrofia di Duchenne in nove centri clinici europei e si basa sui risultati di due progetti di ricerca finanziati dalla FSRMM nel 2013 e 2015.

DR. MED. OLIVER SCHEIDEGGER
INSELSPIITAL DI BERNA

Il Dr. Oliver Scheidegger affina il metodo delle misure neurofisiologiche del nervo e del muscolo delle braccia e delle gambe nelle lesioni nervose periferiche, un metodo che oggi è difficile e richiede molto tempo. Nuove tecniche e l'uso di nuovi algoritmi permetteranno di migliorare la diagnosi delle neuropatie periferiche.

DR. JOCHEN KINTER E CHRISTIAN KLINGLER
UNIVERSITÀ DI BASILEA

I Dr. Jochen Kinter e Christian Klingler lavorano allo sviluppo di nuove molecole in grado di dirigere i meccanismi cellulari di degradazione proteica contro DUX4 nella distrofia facio-scapolo-omerale. DUX 4 è un fattore anormalmente sovra espresso in questa malattia, per la quale non esistono attualmente cure.

PROF. PERRINE CASTETS
UNIVERSITÀ DI GINEVRA

La Prof. Perrine Castets esplora il ruolo di fattori identificati recentemente nella contrazione anomala dei muscoli della distrofia miotonica di tipo I, in modo da comprendere il contributo di questi fattori durante il danneggiamento del muscolo e poter definire nuove strategie terapeutiche.

IL PROF. WERNER Z'GRAGGEN
INSELSPIITAL DI BERNA

Il Prof. Werner Z'Graggen testa il metodo della misurazione dell'eccitabilità delle fibre muscolari come marker precoce della miopatia da malattia critica in pazienti in cura di medicina intensiva. La diagnosi precoce permetterebbe di ridurre i tempi in respirazione artificiale e la fase di riabilitazione. Verrà esplorata inoltre l'eventualità che l'uso di miorelassanti favorisca l'insorgenza della malattia.

POLYMYALGIE RHUMATISMALE



Grâce à l'héritage de feu le Dr Sven Widgren et conformément à ses vœux, la FSRMM soutient des projets qui permettent de mieux comprendre cette maladie, d'améliorer son diagnostic et les possibilités thérapeutiques. L'examen scientifique des projets se fait avec l'aide de la fondation américaine Vasculitis Foundation que nous remercions pour cette collaboration. En 2019, la FSRMM a reçu et soutenu le projet ci-contre:



Dank dem Nachlass von Dr. Sven Widgren und gemäss dessen Bedingungen fördert die FSRMM Forschungsprojekte in der Schweiz, die zu einem besseren Verständnis der Polymyalgia rheumatica führen resp. diagnostische und therapeutische Mittel verbessern. Die fachliche Beurteilung der Projektanträge wird von der US-amerikanischen Patientenorganisation Vasculitis Foundation übernommen, bei der wir uns herzlich bedanken. In 2019 wurde ein Projekt eingereicht und ausgewählt:



Dando seguito al lascito specifico del Dr. Sven Widgren e alle relative condizioni, la FSRMM finanzia progetti di ricerca che portino ad una migliore comprensione della malattia o che ne migliorino la diagnosi o la terapia. La valutazione della qualità dei progetti è delegata alla Vasculitis Foundation, USA, che ringraziamo sentitamente. Nel 2019 è stato inoltrato e selezionato un solo progetto:

LE PROF. THOMAS DAIKELER,
HÔPITAL UNIVERSITAIRE DE BÂLE

étude la prévalence de la vascularite des vaisseaux de gros calibre chez les patients atteints de polymyalgie. Certains signes suggèrent qu'une proportion significative des patients avec polymyalgie (PMR) souffre d'une vascularite des vaisseaux de gros calibre (GCA) non diagnostiquée, et que ces patients reçoivent une thérapie inadéquate. Dans ce projet, tous les nouveaux patients feront l'objet d'un dépistage de GCA et les «facteurs de risque» de GCA seront recherchés. Ce projet facilitera l'identification des patients atteints de PMR présentant un risque de complications vasculaires.

PROF. THOMAS DAIKELER, UNIVERSITÄTSSPITAL BASEL

untersucht die Prävalenz der Grossgefässvaskulitis (GCA) in Patienten mit Polymyalgie (PMR). Es gibt Hinweise, dass ein signifikanter Anteil der PMR-Patienten unter einer nicht diagnostizierten GCA leidet und daher zuerst eine nicht adäquate Therapie erhält. In diesem Projekt werden neu diagnostizierte PMR-Patienten auf eine GCA untersucht und die „Risikofaktoren“ für eine GCA gesucht. Dieses Projekt hilft, Patienten mit PMR, bei denen das Risiko für Gefäßkomplikationen besteht, besser zu identifizieren.

IL PROF. THOMAS DAIKELER,
OSPEDALE UNIVERSITARIO DI BASILEA

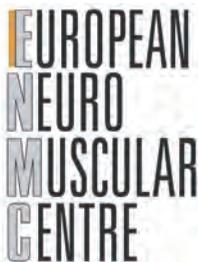
analizza la prevalenza dell'arterite a cellule giganti nei pazienti con polimialgia reumatica. Vi sono indicazioni che per un significativo numero di pazienti con polimialgia (PMR) sussista un'arterite a cellule giganti (ACG) non diagnosticata e che questi pazienti non ricevano quindi una terapia adeguata. In questo progetto, nuovi pazienti con PMR verranno sottoposti anche ad un accertamento dell'ACG e verranno ricercati i fattori di rischio per un'ACG. I risultati aiuteranno ad individuare meglio i pazienti con un rischio di complicazioni arteriose.

ENMC

L'European Neuromuscular Network, fondé en 1992 et cofinancé par la FSRMM depuis 1998, accorde une grande importance aux opinions et aux intérêts des personnes concernées dans les questions scientifiques et les sujets cruciaux de ses ateliers. Depuis 2012, elle encourage leur participation active, avec de très bons résultats. À l'occasion de son 25^{ème} anniversaire, l'ENMC a organisé un atelier sur l'implication des patients atteints de maladies neuromusculaires dans divers domaines de la recherche et de la prise en charge: planification des études cliniques, gestion des registres de patients, transition de l'enfance à la vie adulte, organes consultatifs des autorités d'enregistrement etc. L'objectif visait à évaluer à quel point les patients sont impliqués actuellement, dans quelle mesure leurs demandes sont prises en compte et quel degré de participation est souhaité à l'avenir. Les résultats de cette réunion très intéressante ont été récapitulés dans deux publications et un livre blanc en anglais. Ils peuvent être commandés gratuitement par courriel auprès de la FSRMM.



Das European Neuromuscular Network, gegründet 1992 und seit 1998 von der FSRMM mitfinanziert, legt in den wissenschaftlichen Fragen und Schwerpunkten seiner Workshops grossen Wert auf die Meinungen und Interessen der Betroffenen. Seit 2012 fördert sie deren aktive Teilnahme, dies mit sehr guten Ergebnissen. Zu seinem 25. Jubiläum organisierte das ENMC einen Workshop über die Mitwirkung von Patienten mit neuromuskulären Krankheiten in verschiedenen Bereichen der Forschung und Pflege: Planung von klinischen Studien, Leitung von Patientenregister, Übergang vom Kinder- ins Erwachsenenleben, Beratungsgremien der Zulassungsbehörden etc. Ziel war herauszufinden, inwieweit Patienten heute involviert sind, mit welchen Massnahmen ihre Wünsche berücksichtigt werden und welches Mass an Mitwirkung in Zukunft gewünscht wird. Die Ergebnisse dieses sehr interessanten Meetings wurden in zwei Publikationen und einem White Paper in englischer Sprache zusammengefasst. Sie können per E-Mail kostenlos bei der FSRMM bestellt werden.



L'European Neuromuscular Network, fondato nel 1992 e cofinanziato dalla FSRMM dal 1998, attribuisce un'importanza particolare all'opinione e agli interessi dei pazienti riguardo ai temi e agli aspetti scientifici dei propri workshop. Dal 2012, ENMC incoraggia la partecipazione attiva di pazienti a ogni workshop, con ottimi successi. In occasione del suo 25° anniversario, ENMC ha organizzato un workshop speciale per discutere con vari stakeholder il coinvolgimento dei pazienti con malattie neuromuscolari nei diversi ambiti della ricerca e dell'assistenza ai malati: pianificazione di studi clinici, gestione dei registri, transizione dall'età pediatrica a quella adulta, consulenza alle agenzie per l'autorizzazione di nuovi medicinali, ecc. L'obiettivo era di valutare l'attuale coinvolgimento degli interessi specifici, i metodi in uso per integrare questi interessi e il livello di coinvolgimento auspicato in futuro. I risultati di questo workshop sono riassunti in due pubblicazioni e in un libro bianco in lingua inglese e possono essere richiesti gratuitamente per E-mail alla segreteria FSRMM.

CÉRÉMONIE DE REMISE DE BOURSES

Stipendienvergabe
Cerimonia di consegna delle borse di ricerca



Boursiers 2018 avec Matthias Chiquet, Markus Rüegg, Alain Pfulg

Le 29 mars 2019, la remise des bourses 2018 a eu lieu dans la magnifique salle du Conseil du Palazzo Civico à Bellinzone. Six projets de recherche sur les maladies neuromusculaires et deux dédiés à la polymyalgie rhumatismale seront soutenus pendant deux ans pour un montant total de CHF 974'000. Monsieur Mario Branda, maire de Bellinzone, et les conseillers d'Etat Paolo Beltraminelli (Département de la santé publique et de la socialité) et Manuele Bertoli (Département de l'éducation, de la culture et du sport) ont ouvert la cérémonie. Dans leur discours, ils ont souligné en particulier la grande importance des fondations privées dans la promotion de la recherche sur les maladies rares. Ensuite, le doyen, le Prof. Mario Bianchetti a présenté la faculté des sciences biomédicales de l'Université de la Suisse italienne fondée en 2014, qui ouvre de nouvelles perspectives à la recherche au Tessin. La cérémonie a été accompagnée par l'ensemble à cordes classique de l'Accademia Vivaldi, qui encourage les jeunes talents musicaux au Tessin, et s'est terminée par un apéro tessinois offert par la municipalité de Bellinzone.

Am 29. März 2019 fand im wunderschönen Ratssaal des Palazzo Civico von Bellinzona die Stipendienvergabe 2018 statt. Sechs Forschungsprojekte zu den neuromuskulären Krankheiten und zwei zur Polymyalgia rheumatica werden während zwei Jahren mit insgesamt CHF 974'000 unterstützt. Herr Mario Branda, Bürgermeister von Bellinzona, und die Staatsräte Paolo Beltraminelli (Gesundheitsdepartement) und Manuele Bertoli (Erziehungsdepartement) eröffneten die Feier. In ihren Voten betonten sie insbesondere die grosse Bedeutung der privaten Stiftungen für die Förderung der Erforschung von seltenen Krankheiten. Im Anschluss daran präsentierte Dekan Prof. Mario Bianchetti die 2014 gegründete Fakultät der Biomedizinischen Wissenschaften der Università della Svizzera italiana, welche der Forschung im Tessin neue Perspektiven eröffnet. Die Feier wurde vom klassischen Streichensemble der Accademia Vivaldi, welche in Tessin junge Musiktalente fördert, musikalisch untermalt und mit einem von der Gemeinde Bellinzona offerierten Tessiner Apéro gekrönt.



Manuele Bertoli, Conseiller d'État



Conseil de Fondation FSRMM



Comité d'organisation de la cérémonie – Annamaria Sury, Alain Pfulg, Sandro Rusconi, Claudio Del Don, Adrian Sury



Accademia Vivaldi

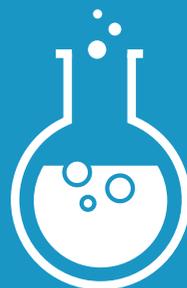
Il 29 marzo 2019, nella meravigliosa sala del Consiglio al palazzo civico di Bellinzona, la FSRMM ha conferito sei borse di ricerca a progetti dedicati a malattie muscolari e due borse di ricerca dedicate alla polimialgia reumatica, per un ammontare totale di CHF 974'000. Il sindaco di Bellinzona Mario Branda e i due consiglieri di Stato Paolo Beltraminelli (Dipartimento della sanità e socialità) e Manuele Bertoli (Dipartimento della scuola, della cultura e dello sport) hanno aperto la cerimonia sottolineando in particolare la grande importanza delle fondazioni private nella promozione della ricerca medica sulle malattie rare. Infine, il decano Prof. Mario Bianchetti ha presentato la Facoltà di Scienze Biomediche dell'Università della Svizzera italiana, che ha aperto le prime iscrizioni nel 2014 e che promette nuove prospettive nel contributo ticinese ai progressi della medicina. La cerimonia è stata accompagnata dai concerti per archi dell'Accademia Vivaldi, che incoraggia i giovani talenti musicali in Ticino, ed è terminata con un aperitivo tipico regionale offerto dal Municipio di Bellinzona.

CHIFFRES + FAITS

Zahlen + Fakten . Fatti + Cifre

1987 – 2019

Dépenses totales . Gesamtaufwendungen . Investimenti totali
1987 – 2019: CHF 28.2 Mio



PROJETS DE RECHERCHE

Forschungsprojekte . Progetti di ricerca

CHF 23'535 (COÛTS TOTAUX . Gesamtkosten . Costi totali)

 145 (NOMBRE TOTAL DES BOURSES . Stipendien gesamt . Borse di ricerca totali)

BASEL	CHF 7'815	 47
UNI	CHF 5'853	 35
FMI	CHF 1'962	 12
<hr/>		
BERN	CHF 3'439	 25
<hr/>		
ZÜRICH	CHF 3'660	 20
UNI	CHF 1'464	 8
ETH	CHF 2'196	 12
<hr/>		
LAUSANNE	CHF 2'982	 16
UNI	CHF 2'437	 13
EPFL	CHF 545	 3
<hr/>		
GENÈVE	CHF 5'540	 36
<hr/>		
FRIBOURG	CHF 99	 1

MONTANT . Betrag . importo *1000 (CHF)

ESSAIS CLINIQUES

Klinische Studien . Studi clinici



CHF 743  8

PROJETS DE DIAGNOSTIC

Projekte Diagnostik .
Progetti di diagnostica



CHF 1028  10

CONFERENCES + ATELIERS

Meetings + Workshops
Conferenze + workshop



ENMC

CHF 961  251

Autre

CHF 367  41

AUTRES INVESTISSEMENTS

Andere Investitionen
Altri investimenti

MD/PhD programme

CHF 780  5

Formation . Weiterbildungen .
Corsi di formazione

CHF 100  2

Myosuisse Netzwerk + Registres de patients

CHF 162

Chaire de Myologie Uni Basel

CHF 300

Collagen VI-Alliance

CHF 13  2

Polymyalgie rhumatismale

CHF 328  3

MONTANT . Betrag . importo *1000 (CHF)

FINANCES

Finanzen . Finance

LES CHIFFRES CLÉS DE L'ANNÉE 2019

Die Kennzahlen des Jahres 2019 . Le cifre dell'anno 2019

IN CHF	2019	2018
Actif circulant . Umlaufvermögen . Attivo circolante	2'364'746	2'416'251
Liquidités . davon Liquidität . Liquidità	2'342'730	2'337'936
Placements . Anlagen . Investimenti	18'035'285	15'759'921
Recettes selon les buts de la Fondation . Erträge gem. Stiftungszweck . Proventi ai sensi degli obiettivi di Fondazione	951'359	1'077'116
dont Téléthon . davon Telethon . di cui Telethon	500'000	500'000
dont Bienfaiteurs . davon Spenden . di cui donazioni	87'633	106'435
dont Fondations . davon Stiftungen . di cui fondazioni	363'726	470'680
Dépenses selon les buts de la Fondation . Aufwendungen gem. Stiftungszweck . Oneri ai sensi degli obiettivi di Fondazione	-1'014'809	-906'898
dont bourses et séminaires . davon Stipendien & Seminare . di cui borse e seminari	-977'600	-868'059
dont cotisations . davon Mitgliedschaften . di cui quote associative	-37'209	-38'839
Résultat brut selon les buts de la Fondation . Bruttoergebnis gem. Stiftungszweck . Risultato lordo ai sensi degli obiettivi di Fondazione	-63'450	170'218
Frais de personnels . Personalaufwand . Spese di personale	-57'686	-115'108
Fundraising . Fundraising . Appel de fonds	-81'614	-57'600
Autres frais de gestion . übriger betrieblicher Aufwand . altri oneri di gestione	-40'831	-64'173
Résultat net selon les buts de la Fondation . Nettoergebnis gem. Stiftungszweck . Risultato netto ai sensi degli obiettivi di Fondazione	-243'581	-66'663
Résultat net après attribution/utilisation des réserves de l'héritage* . Nettoergebnis nach Zuweisung/Verwendung Reserven Erbschaft* . Netto dopo attribuzione/utilizzazione delle riserve del lascito*	-121'009	-227'063

* Les variations des placements sont exclues, mais apparaissent dans les comptes détaillés qui sont disponibles auprès du secrétariat.

* Die Schwankungen der Anlagen sind hier ausgeklammert, erscheinen jedoch in der detaillierten Jahresrechnung, erhältlich auf Anfrage im Sekretariat.

* Le fluttuazioni degli investimenti sono qui esclusi, ma appaiono nel conto annuale dettagliato disponibile presso la segreteria.

KOMMENTAR ZU DEN FINANZEN

Der Jahresabschluss der Stiftung weist für das Geschäftsjahr 2019 einen Verlust von CHF 121'009.13 aus. Diese Zahl, welche auch im Jahresbericht publiziert wird entspricht dem Resultat unter Ausklammerung der Finanzaufwendungen und –erträge und ist somit besser mit den Vorjahren vergleichbar. Die detaillierten Zahlen entsprechend dem Revisionsbericht veröffentlichen wir in einem separaten Druck.

Die im Jahr 2019 ausbezahlten Stipendien an Forscher beliefen sich auf total CHF 1'014'809.31. In dieser Zahl sind auch die Beiträge an die ENMC und andere Organisationen inbegriffen. Die übrigen Aufwendungen betreffen Betriebskosten sowie Kosten für Fundraising und Kommunikation und bewegen sich auf Vorjahresniveau.

Finanziert wurden diese Ausgaben durch Spenden von Gönnern, anderen Stiftungen und wie seit Jahren durch den Beitrag der Aktion Téléthon Schweiz. An dieser Stelle sei allen Spendern und Sponsoren herzlich gedankt. Das Vermögen der Stiftung ist bei verschiedenen Banken konservativ angelegt. Einen Sonderfall ist das Sondervermögen aus Erbschaft Dr. S.Widgren. Aus diesem Vermögen darf die Stiftung lediglich die erwirtschafteten Erträge verwenden. Die Anlage erfolgt nach Beschluss des Stiftungsrats und des beauftragten Ausschuss des Stiftungsrats und wird laufend überwacht. Aus dem Sondervermögen kann die Stiftung mit jährlichen Einnahmen von rund CHF 350'000.-- rechnen. Dies würde uns bei der Vergabe der Stipendien einen grösseren Spielraum verschaffen,



HANSPETER HAGNAUER,
KASSIER

die Vergabe unterliegt jedoch einer strengen Prüfung durch unseren wissenschaftlichen Beirat.

Der Ausschuss des Stiftungsrats besteht aus dem Präsidenten, dem Vize-Präsidenten, dem Kassier und einem Mitglied. Der Ausschuss trifft sich mehrmals im Jahr und rapportiert dem Stiftungsrat an dessen ordentlichen Sitzungen.

Dass die Anlage des oben erwähnten Sondervermögens mit einem etwas grösseren Risiko gehandhabt wird hat mit der Risikofähigkeit der Stiftung zu tun und soll wie oben erwähnt dazu führen, dass die Stiftung regelmässige Erträge erhält. Die Kursschwankungen sind wegen des Aktienanteils von rund 50% grösser als bei einem konservativen Depot, aber die Erfahrung hat gezeigt, dass sich die Schwankungen über die Jahre ausgleichen. Dies ist sogar im laufenden Jahr unter dem Eindruck der Covid-19 Krise zu beobachten. Bei der Anlage dieses Vermögens setzen wir konsequent nur auf kostengünstige Index-Fonds und verzichten auf Einzelanlagen.

Nach erfolgter Revision durch die PricewaterhouseCoopers AG in Basel wird der separate Bericht veröffentlicht. Wir danken an dieser Stelle den Revisoren für ihre professionelle Arbeit.

SANTHERA PHARMACEUTICALS



DARIO EKLUND, CHIEF EXECUTIVE OFFICER

Unsere Ambition ist es, Santhera zu einem Schlüsselunternehmen für Therapien zur Behandlung seltener neuromuskulärer Krankheiten zu entwickeln. Diesen Anspruch teile ich mit unseren weltweit 120 Mitarbeitenden. Mit Puldysa® (Idebenon) und Vamorolone ist Santhera einzigartig positioniert, um auf die medizinischen Bedürfnisse von Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) in allen Krankheitsstadien und unabhängig vom spezifischen genetischen Hintergrund der Krankheit einzutreten.

Puldysa® (Idebenon) – Fokus auf den Erhalt der Atmungsfunktion bei DMD

Unser am weitesten fortgeschrittener Produktkandidat ist Puldysa®. Das therapeutische Ziel mit Puldysa® besteht darin, die Atmungsfunktion bei Patienten mit DMD zu erhalten und die Zeitdauer bis zur Notwendigkeit einer Atmungsunterstützung zu verlängern. Nach dem Verlust der Gehfähigkeit sind im weiteren Verlauf der DMD-Erkrankung auch die Muskeln betroffen, die für die Atmung benötigt wer-

den. Die Schwächung der Atmungsmuskulatur führt zu einem fortschreitenden Verlust der Atmungsfunktion und letztlich zur Notwendigkeit einer Atmungsunterstützung. Gegenwärtig gibt es neben der unterstützenden Pflege keine zugelassenen Medikamente zur Behandlung des Verlusts der Atmungsfunktion. Santhera ist das einzige Unternehmen, das sein klinisches Entwicklungsprogramm darauf ausgerichtet hat, eine Behandlung zum Erhalt der Atmungsfunktion bei DMD zu finden. Im vergangenen Jahr haben wir einen Zulassungsantrag beim Ausschuss für Humanarzneimittel der Europäischen Arzneimittelagentur eingereicht, dessen Stellungnahme nun im vierten Quartal 2020 erwartet wird. Der Antrag beruht im Kern auf Daten einer positiven Phase 3 Studie (DEL0S) sowie Langzeitdaten der SYROS Studie.



Im Mai 2020 haben wir die Patientenrekrutierung einer weiteren Phase-3-SIDEROS-Studie, die grösste laufende DMD-Studie, abgeschlossen. Nun beabsichtigen wir eine Interimsanalyse durchzuführen und die Ergebnisse könnten sowohl in unseren in Europa hängigen Zulassungsantrag einfließen, als auch einen möglichen früheren Abschluss der Studie ermöglichen. Sofern der Behördenentscheid Ende Jahres positiv ist, erwarten wir die Markteinführung für Puldysa®, dem ersten Medikament für DMD-Patienten mit nachlassender Atmungsfunktion, im ersten Quartal 2021.



Vamorolone – Substanz mit neuartigem

Wirkungsprofil als Ersatz für Glukokortikoide in DMD

Das primäre therapeutische Ziel bei gehfähigen Knaben mit DMD, und bei der Entwicklung unseres zweiten DMD-Produktes Vamorolone, ist der Erhalt der motorischen Funktion und die Verzögerung der Zeit bis zur Rollstuhlabhängigkeit. Das durchschnittliche Alter von Knaben beim Auftreten erster Symptome von DMD liegt zwischen 3 und 5 Jahren. Die Patienten leiden unter einer fortschreitenden Muskelschwäche, die zu einem irreversiblen Verlust der Beweglichkeit führt, der typischerweise im Teenageralter auftritt. Vamorolone wird derzeit vom US-Unternehmen Revera Gen Biopharma Inc. in einer Zulassungsstudie (genannt VISION-DMD) in dieser Patientengruppe (Knaben im Alter von 4 – 7 Jahren) untersucht, mit dem Ziel, Glukokortikoide als Standardtherapie zu ersetzen. Glukokortikoide sind wirksame entzündungshemmende Mittel, doch ist ihre langfristige Verabreichung mit schwerwiegenden Nebenwirkungen verbunden, die ihren Einsatz einschränken und die Lebensqualität der Patienten erheblich mindern. Der Arzneimittelkandidat Vamorolone besitzt ein neuartiges Wirkungsprofil und zeigte in präklinischen und klinischen Studien starke entzündungshemmende Eigenschaften mit potenziell weniger Unverträglichkeiten als Glukokortikoid-Medikamente. Dies würde eine bedeutende Verbesserung der Behandlung für diese Patienten darstellen, für die ein erheblicher medizinischer Bedarf besteht. Erste Studienergebnisse werden Ende 2020 / Anfang 2021 erwartet. Santhera besitzt eine Option auf eine exklusive Sublizenz für Vamorolone in allen Indikationen und allen Ländern weltweit mit Ausnahme von Japan und Südkorea.

Gentherapeutische Forschung bei kongenitaler Muskeldystrophie (CMD)

CMD ist eine Gruppe von erblichen neuromuskulären Erkrankungen, die einen progressiven und potenziell lebensbedrohlichen Verlust von Muskelgewebe verursacht und häufig Neugeborene und Kinder betrifft. Gegenwärtig ist kein Medikament für CMD zugelassen und die Therapie beschränkt sich auf die Behandlung der Symptome. Ungefähr 50% aller CMD-Fälle fallen unter eine von zwei Subtypen CMD, genannt COL6-MD oder LAMA2-MD. Mit Omigapil hat Santhera bereits klinische Erfahrung in einer Phase 1 Studie gesammelt und gemeinsam mit dem Biozentrum der Universität Basel evaluieren wir seit Mitte 2019 zusätzlich einen neuartigen, gentherapeutischen Ansatz, der eine vielversprechende therapeutische Option für die Behandlung des Subtyps LAMA2 MD darstellen könnte. Dieses präklinische Programm wird durch einen Zuschuss von Innosuisse – der Innovationsagentur der Schweiz – unterstützt. Erst kürzlich haben wir zudem unser Kooperationsnetzwerk für diesen therapeutischen Ansatz mit Experten der führenden nationalen US-Forschungsuniversität Rutgers University erweitert. Unsere strategische Priorität für 2020 ist der neuromuskuläre Bereich mit dem Ziel der Marktzulassung für Pullysa und dem Erreichen der entsprechenden Entwicklungsmeilensteine für Vamorolone bei DMD. Parallel dazu treiben wir unser klinisches Programm für Lonodelestat für Mukoviszidose voran und evaluieren die weitere Diversifizierung unserer Entwicklungskandidaten in weiteren Indikationen in Zusammenarbeit mit Partnern.





Téléthon stand Fribourg 2019 pompier

Une météo clémente et favorable nous a accompagnés pour l'édition 2019

D'une fidélité exemplaire, nous avons retrouvé nos bénévoles pour un nouvel élan de solidarité. C'est une force inestimable qui nous pousse à continuer sans relâche : toutes les personnes touchées et tout ceux qui gravite autour d'eux ont besoin de nous. Notre centre de coordination a profité d'aller à la rencontre de nos bénévoles sous diverses formes et en fonction de leur souhait. C'est également un lancement officiel du Téléthon en septembre avec une nouvelle formule où chacun est libre d'aller et venir à sa guise avec des mini conférences sur l'aide sociale et la recherche. Une occasion de remercier tous les acteurs du Téléthon. Il ne faut jamais oublier que ce sont nos bénévoles, notre force vive. Le Téléthon, c'est surtout un rendez-vous en décembre mais c'est aussi un combat journalier contre la maladie, nos familles le savent mieux que quiconque. Pour la 6^{ème} année consécutive, une famille ambassadrice nous a représentés. Grâce à elle, nous savons exactement leurs besoins, leur quotidien, leurs défis. Afin d'illustrer le passage de l'enfance à la vie adulte, nous avons eu la chance d'être avec la famille Borgeaud. Jonas a fêté ses 18 ans durant son année d'ambassadeur. Il est actuellement en apprentissage de commerce. Il

a soif d'indépendance, envie de faire ses choix et nous avons respecté cette volonté tout au long de son année. Nous le remercions du fond du cœur pour son investissement ainsi que ses parents et sa sœur, qui l'accompagnent dans ses choix. Nos familles sont exceptionnelles et nous partageons avec elles une année intense, riche et avec une histoire unique. Nous les remercions du fond du cœur pour ce magnifique cadeau. Ces rencontres n'auraient jamais eu lieu sans l'étroite collaboration avec les assistantes sociales de l'ASRIMM. Nous saluons leur remarquable travail et leur précieuse collaboration tout au long de l'année. Ce même travail exceptionnel est réalisé avec la MGR au Tessin. Être proches de ceux que nous soutenons nous permet de rester en phase avec nos objectifs. Nous remercions également la FSRMM qui investit avec le soutien du Téléthon dans des projets universitaires afin de faire avancer la recherche et de freiner l'évolution de la maladie. Le confort du patient est également primordial. Aujourd'hui plus que jamais, nous avons besoin de résultats, de projets concrets afin de nous aligner avec les réalités actuelles. Les événements récents nous ont confortés dans cette optique et nous mettrons tout en œuvre pour continuer à être une fondation à taille humaine, dans un esprit familial et qui n'oubliera jamais que ce combat c'est celui des familles. C'est aussi créer des partenariats avec des entreprises qui partagent les mêmes valeurs afin d'apporter du sens et de l'authenticité dans notre collaboration.

2020

Nous vous donnons d'ores et déjà rendez-vous le 5 et 6 décembre 2020 ! Une édition qui sera différente mais où les mots solidarité, transparence, mobilisation et engagement prendront encore plus de sens.

Telethon 2019 in der Deutschschweiz



AMCA Clubmitglieder bei der Telethon Aktion in Romanshorn

Auch im vergangenen Jahr konzentrierten wir uns in der Deutschschweiz weiterhin auf zentrale Aktionen wie Mailings sowie lokale Sammelaktionen in mehreren Kantonen. Im Vordergrund standen hier Veranstaltungen von Vereinen und Organisationen, welche von vielen freiwilligen Helferinnen und Helfern getragen wurden. Einige dieser Aktionen werden seit mehr als 10, teils 20 Jahren durchgeführt und gehören zu den fixen Festterminen im Gesellschaftsleben ihrer Gemeinden. Im Unterschied zur Romandie finden die Aktionen in der Deutschschweiz nicht nur am Telethon-Wochenende anfangs Dezember, sondern über das ganze Jahr verteilt statt. Das erlaubt den Freiwilligen, flexibler auf die Pläne der eigenen Organisatoren einzugehen und, ein schöner Nebeneffekt, immer mehr auf die wettermässig bessere Sommerzeit auszuweichen. Wegen Pensionierungen und Stabsübergaben in einzelnen Korps mussten letztes Jahr in einigen Gemeinden die traditionellen Sammelaktionen ausfallen. Wir hoffen, dass sich die Zahl der sich engagierenden Korps im laufenden Jahr, trotz Corona-Krise, stabilisiert. Erfreulicherweise melden sich immer wieder neue Vereine, um Telethon zu unterstützen. Bereits zum dritten Mal hat sich beispielsweise der „Auto Moto Club Amici“ im Zürcher Oberland engagiert. Anlässlich der jährlichen Ausfahrt sam-

melten die Freunde schöner Autos für Telethon und zeigten damit, dass sie ihr Herz am richtigen Fleck haben. Auch unsere langjährigen Unterstützer von „Ein Herz für Telethon“ organisierten letztes Jahr wieder einen grossen Tanzanlass in Dübendorf. Bald schon eine Tradition sind die Sammelaktionen im Universitären Kinderspital beider Basel (UKBB) und im Universitätsspital Zürich, mitorganisiert von Hanspeter Hagnauer, dem Kassier der FRSM. An den Sammlungen am UKBB beteiligen sich jeweils auch Forscherinnen und Forscher des Biozentrums Basel, das mehrfach auch schon Stipendien der FRSM erhalten hat. So schliesst sich der Kreis vom Spendensammeln zur Forschung. Auch im Jahr 2019 haben wir in der Deutschschweiz auf Mailing-Aktionen gesetzt und erzielen damit mittlerweile fast die Hälfte unserer Spendeneinnahmen. Besonders erfolgreich war der Versand im November. Erneut positiv zu Buche geschlagen hat auch die Spendenaktion mit unseren Plüschtieren an den Schaltern der Post in mehreren Kantonen.

Wir danken den vielen freiwilligen Helferinnen und Helfern sowie den Spendern für ihre Engagement und ihre Solidarität für Menschen mit einer seltenen Krankheit. Zusammen haben wir auch letztes Jahr wieder einiges erreicht!

THOMAS STAFFELBACH, KOORDINATION DEUTSCHSCHWEIZ



Junge AMCA Club Freunde im Einsatz für Telethon

Telethon 2019 nella Svizzera italiana



Tutti in Piazza per S. Nicolao

Per la campagna di raccolta fondi 2019 il Comitato della Svizzera italiana ha mantenuto il motto precedente: „Fatti contagiare ... Telethonizzati”. La campagna ha visto impegnati i volontari nelle operazioni tradizionali e in alcune novità. L'ondata di generosità ha coinvolto pompieri e militi della Protezione Civile, farmacisti, parrucchieri, esercenti, ristoratori, musicisti, associazioni ricreative e sportive, carnevali, ospiti di case anziani e animatrici, bikers, ambulatori medici, persone affette da malattie genetiche rare con i propri famigliari, centri fitness e wellness, negozi e mercatini, studenti, scuole di volo, enti, cantine, associazioni di categoria, istituzioni comunali e cantonali, organizzatori di fiere e manifestazioni, volontari privati, centri commerciali, garage, carrozzerie, fornitori locali, ditte, sponsor e donatori individuali. Tra le numerose iniziative ricordiamo „Chrome for Christmas”, la prima sfilata notturna di S. Nicolao su Harley-Davidson che ha aperto ufficialmente l'evento luganese; „Tutti in Piazza Rezzonico per Telethon” e tutte le altre attività proposte dai nostri fedeli bikers. Telethon della Svizzera Italiana ha rafforzato la propria

presenza anche sui social media per restare al passo con i tempi, per cogliere l'attimo e soprattutto per raggiungere un maggior numero di sostenitori. La pagina Facebook, attiva dal 2018, ha superato i 350 followers; la pagina Instagram i 700, con 2350 profili seguiti.

Grazie ai fondi raccolti, la FTAS può continuare a sostenere nella nostra Regione l'essenziale operato del Centro Myosuisse Ticino e dell'Associazione Malattie Genetiche Rare Svizzera Italiana (MGR) che offre servizi di aiuto sociale e sostegni finanziari alle famiglie con membri colpiti da malattie genetiche rare.

La MGR collabora inoltre in modo importante alle attività della „Piattaforma malattie rare della Svizzera Italiana”, un ente fondato nell'ottobre 2016, che riunisce tutti gli attori della nostra Regione toccati direttamente dal tema delle malattie rare. Tale ente si inserisce nel „Piano nazionale sulle malattie rare”, adottato dal Consiglio federale nell'ottobre 2014, e ne rappresenta il braccio operativo per la Svizzera Italiana. In tale ambito sono proseguite nel 2019 in Ticino le operazioni per promuovere la realizzazione in Ticino del Centro malattie rare della Svizzera italiana, e dare così seguito anche nella nostra regione agli obiettivi prefissati dal Piano nazionale. La rappresentanza del presidente della MGR nelle riunioni di negoziato con l'Ente ospedaliero cantonale è stata strumentale per il raggiungimento di questo scopo.

SANDRO RUSCONI, PHD
MEMBRO DI COMITATO TELETHON SVIZZERA ITALIANA
MEMBRO DEL CONSIGLIO DI FONDAZIONE FSRMM

PARTENAIRES

Partner



La Fondazione Gabriele Charitable, Lugano

INSTITUTIONS FONDATRICES DE LA FSRMM

Stiftergesellschaften
Associazioni Fondatrici



www.asrimm.ch



muskelkrank & lebensstark
muskelgesellschaft.ch

www.muskelgesellschaft.ch

CONTACT

Kontakt
Contatti

FONDATION SUISSE DE RECHERCHE SUR LES MALADIES MUSCULAIRES (FSRMM)

SECRÉTARIAT

Chemin des Jordils 4 . 2016 Cortaillod

www.fsrmm.ch

Tél. 032 842 47 49

info@fsrmm.ch . philippe.rognon@fsrmm.ch

DONATIONS

N° CCP: 30-13114-3

N° IBAN: CH58 0076 9016 4217 0089 6

IMPRESSUM

Conception & Design: Barbara Kuberczyk Kommunikationsdesign

Typographie: Grafisches Service-Zentrum, Wohn- und Bürozentrum für Körperbehinderte, Reinach