

WPP

8

Il ruolo della comunicazione
per la società di domani

**Generare valore
e cambiamento culturale**

Idee, esperienze e storie per un mondo più
inclusivo e sostenibile

Francesca Pasinelli – Project Leader

 **The European House**
Ambrosetti



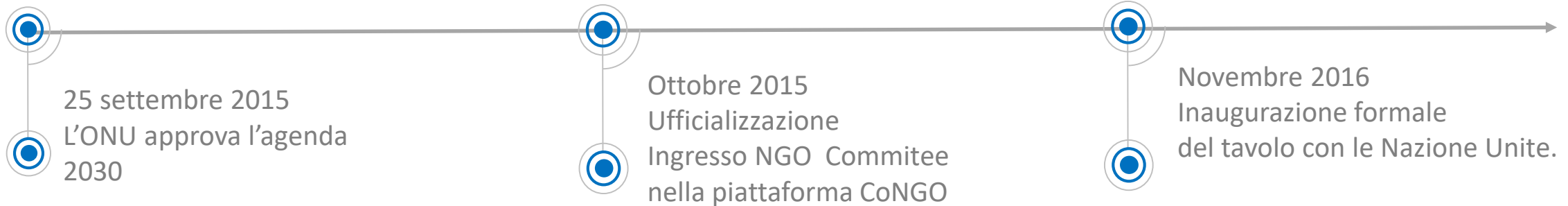


FONDAZIONE



*Nell'intraprendere questo grande viaggio collettivo, promettiamo che **nessuno verrà lasciato indietro**. Riconoscendo che **la dignità della persona umana è fondamentale**, desideriamo che gli Obiettivi e i traguardi siano raggiunti per tutte le nazioni, **per tutte le persone** e per tutti i segmenti (...) Il mondo che immaginiamo è un mondo dove vige il rispetto universale per i diritti dell'uomo e della sua dignità(...) **Un mondo giusto, equo, tollerante, aperto e socialmente inclusivo che soddisfi anche i bisogni dei più vulnerabili.***

(Introduzione della dichiarazione agenda 2030, 21/10/2015)





Fondazione Telethon, in linea con il 2030 dal 1990



Continueremo ad esistere fino a quando non scriveremo la parola cura accanto al nome di ogni malattia genetica.”

Susanna Agnelli
Presidente e co-fondatore Fondazione Telethon

Il senso

La rarità di una malattia non può né deve determinare il valore di una vita.

Nessuno verrà lasciato indietro. Nemmeno il più raro tra i rari.

La missione

Troveremo la cura alle malattie genetiche rare, con l'obiettivo di renderla accessibile a tutti

La strategia

Promuovendo la ricerca scientifica e contribuendo ad elevarne lo standard attraverso



Oltre all'etica, il valore sociale.



4.440 Le malattie genetiche rare note

70% Manifestazione dei sintomi nei primi 5 anni di vita ed in molti casi il decorso è fatale.

Le **malattie rare** globalmente considerate, sono responsabili del **4.2% degli anni di vita perduti**, ossia circa **4 volte** la perdita per il totale **delle malattie infettive (1.2%)**; 2 volte quella per il diabete mellito (2.6%); solo **di poco inferiore a quella per incidenti (5.7%)** e circa il 60% di quella per infarto del miocardio (8.6%). *

Dal 1990 a oggi la nostra ricerca ha indagato **sul 13% delle malattie genetiche rare** ad oggi note, generando un patrimonio di informazioni condiviso con la comunità scientifica attraverso **oltre 12.700 pubblicazioni** rese disponibili attraverso il sostegno di **una piattaforma accessibile a tutti i ricercatori del mondo**.

Siamo arrivati a dimostrare che **la cura è un traguardo raggiungibile. Per tutti.**



Allianza Industria Farmaceutica

TARGET

3.4: Entro il 2030, **ridurre di un terzo la mortalità prematura** da malattie non trasmissibili (...) attraverso la prevenzione e il trattamento

3.B: : **Sostenere la ricerca** e lo **sviluppo di vaccini e farmaci per le malattie trasmissibili e non trasmissibili** che colpiscono soprattutto i paesi in via di sviluppo; **fornire l'accesso a farmaci e vaccini essenziali** ed economici (*per le malattie rare s i intende economicamente sostenibili*) (...) **fornire l'accesso a farmaci per tutti.**



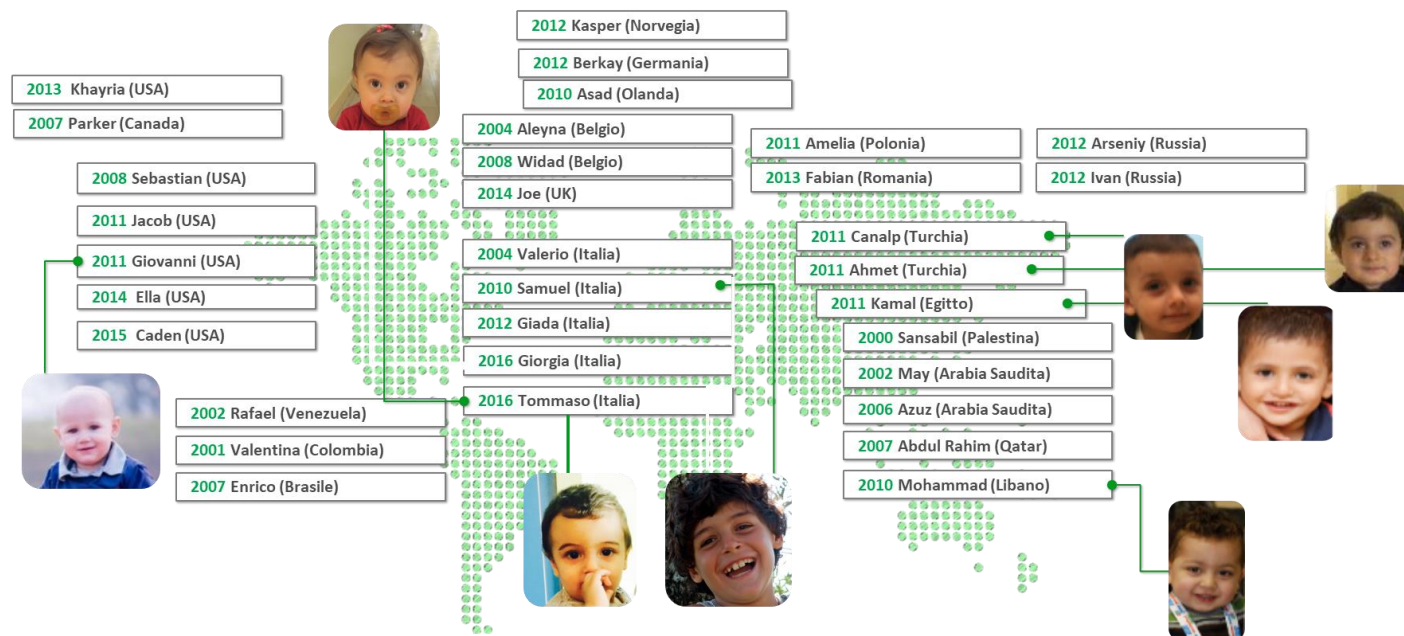
Un impatto concreto sul futuro: curare l'incurabile



Strimvelis: La prima terapia genica al mondo divenuta farmaco per i pazienti affetti da Ada-Scid, messa a punto dai ricercatori dell'SR-Tiget

Altre 5 malattie sono attualmente in sperimentazione clinica: la leucodistrofia metacromatica, la sindrome di Wiskott Aldrich, la Beta Talassemia, la Mucopolisaccaridosi 1 e la Mucopolisaccaridosi VI .

Sono oltre 100 i **bambini** che, arrivando da **tutto il mondo** all' **Istituto San Raffaele Telethon per la Terapia Genica** di Milano, **pioniere e leader mondiale** di questa tecnica, **hanno riconquistato la vita.**



TARGET

3.4: Entro il 2030, ridurre di un terzo la mortalità prematura da malattie non trasmissibili (...) attraverso la prevenzione e il trattamento

3.B: : **Sostenere la ricerca** e lo **sviluppo di vaccini e farmaci per le malattie** trasmissibili e **non trasmissibili** che colpiscono soprattutto i paesi in via di sviluppo; **fornire l'accesso a farmaci e vaccini essenziali** ed economici (*per le malattie rare s i intende economicamente sostenibili*) (...) **fornire l'accesso a farmaci per tutti.**



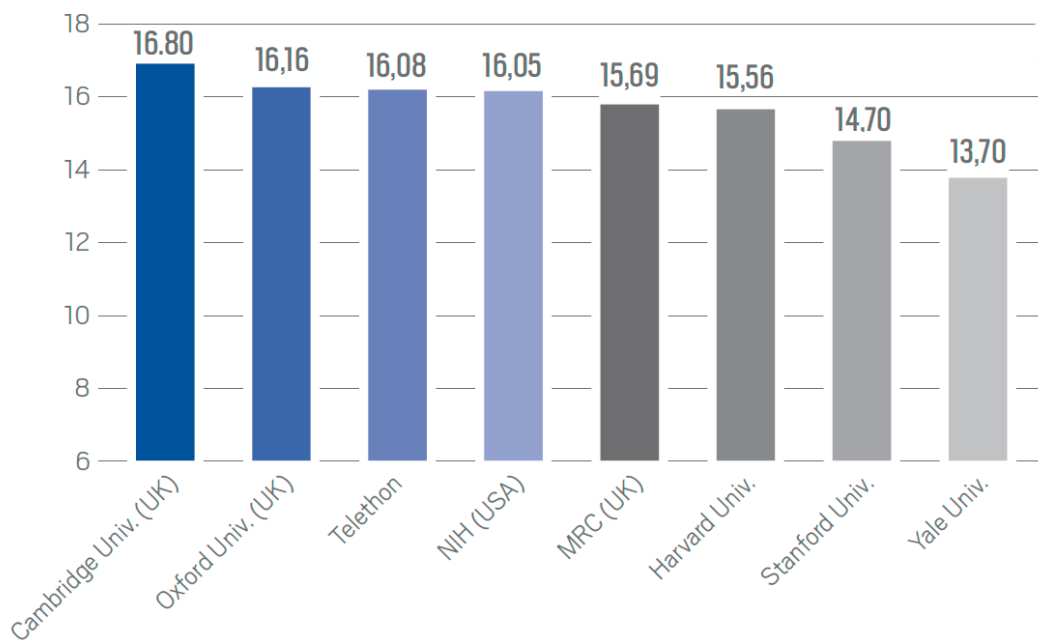
Per generare un impatto, finanziare ricerca non è sufficiente.



É necessario puntare all'eccellenza:

- Incoraggiare le innovazioni nei metodi e nello sviluppo di tecnologie e strumenti,
- premiare il merito di un numero crescente di professionisti in grado di competere con il panorama internazionale
- Investire nello sviluppo di infrastrutture di qualità, focalizzandosi sulla loro accessibilità per consentire una reale inclusione nella società.

Per questo **Fondazione Telethon** si è dotata di una **precisa governance**: si è sempre impegnata a finanziare solo l'eccellenza della ricerca scientifica italiana grazie a un **metodo di assegnazione dei fondi rigoroso e trasparente**, unico in Italia certificato in qualità.



CITATION INDEX

MISURA L'IMPORTANZA DI UNA SCOPERTA SCIENTIFICA BASANDOSI SUL NUMERO DI CITAZIONI CHE RICEVE IN ARTICOLI SCIENTIFICI PUBBLICATI SUCCESSIVAMENTE.

Target 9.1: Sviluppare **infrastrutture di qualità, affidabili, sostenibili e resilienti** – comprese quelle regionali e transfrontaliere – **per supportare lo sviluppo economico e il benessere degli individui**, (...)

Target 9.5: **Aumentare la ricerca scientifica**, migliorare le **capacità tecnologiche** del settore industriale in tutti gli stati – in particolare in quelli in via di sviluppo – nonché **incoraggiare le innovazioni** e incrementare considerevolmente, entro il 2030, il **numero di impiegati per ogni milione di persone**, **nel settore della ricerca** e dello sviluppo e la spesa per la ricerca – sia pubblica che privata – e per lo sviluppo



30 anni di investimenti e innovazione



1st call for research proposals



1st call for Neuro-muscular clinical projects



First major industrial partnership



SOFINNOVA PARTNERS FOR LIFE

SofinnovalTelethon fund

Undiagnosed Diseases Program launched

Just Like Home

FONDAZIONE



2019



1990



1994



1999

2000



Network of Biobanks



ARISLA

2008

2009

2010

Patient Registries



2016

2018



Research Projects

260M€ Invested
1901 Projects funded
1271 Research Groups
9119 Publications
523 Diseases studied



TIGEM

86M € Invested
20 Research Groups
199 Scientists supported
1335 Publications
1 Gene therapy trial



SR-TIGET

100M € Invested
13 Research Groups
158 Scientists supported
727 Publications
6 Gene therapy trials



ARISLA

4M € Invested
130 Scientists
205 Publications

Industrial Partnerships

10 Major partnerships
1 gene therapy on the market



Just Like Home

Multidisciplinary team
47 Families hosted from 24 Countries



Undiagnosed DP

2.2M € Invested
13 Clinical Centers
216 Medical reports
87 Diagnoses



SofinnovalTelethon

3 Investments approved



UII DM clinical projects

11M € Invested
40 Clinical Centers supported
6000 Patients enrolled
260 Publications



Network Biobanks

11 Centers involved
14 Partnerships with Patients Ass.
123.000 samples stored
1500 genetic diseases covered
611 Publications

Patient Registries

1.7M € Invested
8 neuromuscular diseases registries



52% of all ERC grants won in Italy in Life Sciences have been awarded to Telethon scientists



Al centro di un ecosistema economico-sociale



Target 17.6:

Rafforzare (...) l'accesso alle scoperte scientifiche, alla tecnologia e alle innovazioni, e migliorare la condivisione della conoscenza sulla base di modalità concordate (...)

Target 17.8:

rendere operativo il meccanismo per il rafforzamento della tecnologia della banca e della scienza, della tecnologia e dell'innovazione (...)

Target 17.17: Incoraggiare e promuovere partnership efficaci nel settore pubblico, tra pubblico e privato e nella società civile basandosi sull'esperienza delle partnership e sulla loro capacità di trovare risorse.