**FONDAZIONE TELETHON ASSEGNA 5,27 MILIONI DI EURO ALLA**

**RICERCA DI ECCELLENZA SULLE MALATTIE GENETICHE RARE**

*In vista della Giornata Mondiale delle Malattie Rare del 28 febbraio, annunciati i vincitori*

*dell’ultimo bando Telethon del 2022: 35 i progetti finanziati su tutto il territorio nazionale*

*Milano, 23 febbraio 2023***–** Nuova linfa per la ricerca italiana sulle malattie genetiche rare: **5 milioni e 270mila euro**, raccolti grazie alla generosità dei donatori italiani, permetteranno di finanziare **35 progetti in tutta Italia**. A pochi giorni dalla ricorrenza del 28 febbraio dedicata alle persone con malattie rare, Fondazione Telethon ha annunciato i 35 vincitori del primo round del bando aperto a ricercatori attivi sull’intero territorio nazionale.

La valutazione, conclusa alla fine del 2022, è stata affidata a una **commissione scientifica** composta da 28 scienziati in gran parte stranieri, attivi in prestigiosi istituti internazionali. Tra i progetti finanziati, una quota significativa andrà a indagare i meccanismi ancora ignoti o solo parzialmente chiariti di malattie genetiche tuttora prive di un trattamento specifico, ma non mancano anche progetti già focalizzati su potenziali approcci terapeutici. Tra le malattie oggetto di studio figurano sindromi molto rare come quella di Pitt-Hopkins o di Catel-Mankze accanto a patologie più note e studiate quali quella di Huntington o la distrofia muscolare di Duchenne, ma anche forme rare ed ereditarie di malattie ad alta diffusione come quella di Alzheimer.

Di fronte a patologie così gravi e nella maggior parte dei casi orfane di cura e interesse, l’impegno della Fondazione è garantire un sostegno costante alla ricerca: in quest’ottica, proprio in questi giorni prenderà il via il secondo round del bando, che prevederà l’assegnazione di una nuova tranche di fondi la prossima estate. A partire dal 2022, questa nuova modalità “multi-round” di finanziamento offre infatti ai ricercatori quattro occasioni nell’arco di tre anni per presentare i propri progetti, eventualmente rivisti alla luce dei commenti della commissione in caso di valutazione negativa.

“*Il finanziamento della ricerca è il cuore delle attività di Fondazione Telethon* – dichiara **Francesca Pasinelli**, **Direttore Generale di Fondazione Telethon** – *Per questo motivo cerchiamo continuamente di migliorare i processi di valutazione della ricerca, a partire dalla presentazione dei progetti. Siamo convinti che questo sia il solo modo di assicurare che i fondi raccolti siano investiti correttamente e vadano dunque a finanziare gli scienziati che rappresentano l’eccellenza nel proprio ambito. L'obiettivo è garantire l’avanzamento della ricerca sulle malattie genetiche rare, a partire dagli studi di base. In questa occasione, siamo molto soddisfatti di poter dire che abbiamo potuto finanziare tutti i progetti considerati meritevoli dalla commissione di valutazione, il che conferma la validità della formula ‘multiround’ che abbiamo scelto di utilizzare*”.

**I RICERCATORI FINANZIATI PER REGIONE**

**CAMPANIA**

* **Antonio Baldini**, Università Federico II di Napoli
* **Monica Dentice***,* Università Federico II di Napoli
* **Alessandro Fraldi***,* CEINGE Biotecnologie Avanzate Franco Salvatore di Napoli

**EMILIA-ROMAGNA**

* **Serena Carra**, Università degli Studi di Modena e Reggio-Emilia

**FRIULI-VENEZIA-GIULIA**

* **Alessandra Corazza**, Università degli Studi di Udine
* **Antonello Mallamaci**, Scuola Internazionale Superiore di Studi Avanzati (SISSA)

**LAZIO**

* **Gianluca Canettieri**, Sapienza Università di Roma

**LIGURIA**

* **Fabio Benfenati**, IstitutoItaliano di Tecnologia (IIT) di Genova
* **Valter Tucci**, Istituto Italiano di Tecnologia (IIT) di Genova
* **Michael Pusch**, Consiglio Nazionale delle Ricerche – CNR di Genova
* **Michela Tonetti**, Università degli Studi di Genova

**LOMBARDIA**

* **Massimo Alessio**, Università Vita-Salute San Raffaele
* **Giorgio Nevio Casari**, Università Vita-Salute San Raffaele
* **Maurizio D’Antonio**, Università Vita-Salute San Raffaele
* **Anna Maria Cariboni**, Università degli Studi di Milano
* **Diego Maria Fornasari**, Università degli Studi di Milano
* **Thomas Vaccari**, Università degli Studi di Milano
* **Marta Valenza**, Università degli Studi di Milano
* **Roberta Besio**, Università degli Studi di Pavia
* **Andrea Mazzanti**, Università degli Studi di Pavia
* **Carlo Sala**, CNR di Neuroscienze e di Ricerca Genetica e Biomedica
* **Elisa Di Pasquale**, CNR di Neuroscienze e di Ricerca Genetica e Biomedica

**PIEMONTE**

* **Enrica Boda,**Istituto di Neuroscienze Cavalieri Ottolenghi (NICO - Università di Torino)
* **Deborah Chiabrando**, Università degli Studi di Torino
* **Armando Genazzani**, Università del Piemonte Orientale

**TOSCANA**

* **Francesco De Logu**, Università degli Studi di Firenze
* **Michela Ori**, Università degli Studi di Pisa

**UMBRIA**

* **Loredana Bury**, Università degli Studi di Perugia
* **Paolo Gresele**, Università degli Studi di Perugia
* **Francesca Fallarino**, Università degli Studi di Perugia

**VENETO**

* **Letizia Mariotti**, CNR - Istituto di Neuroscienze di Padova
* **Bert Blaauw**, Istituto Veneto di Medicina Molecolare (VIMM)
* **Vanina Romanello**, Istituto Veneto di Medicina Molecolare (VIMM)
* **Paolo Bernardi**, Università degli Studi di Verona
* **Daniele Guardavaccaro**, Università degli Studi di Verona

**Fondazione Telethon ETS**

Fondazione Telethon ETS è una delle principali charity biomediche italiane, nata nel 1990 per iniziativa di un gruppo di pazienti affetti da distrofia muscolare. La sua missione è di arrivare alla cura delle malattie genetiche rare grazie a una ricerca scientifica di eccellenza, selezionata secondo le migliori prassi condivise a livello internazionale. Attraverso un metodo unico nel panorama italiano, segue l’intera “filiera della ricerca” occupandosi della raccolta fondi, della selezione e del finanziamento dei progetti e dell’attività stessa di ricerca portata avanti nei centri e nei laboratori della Fondazione. Telethon inoltre sviluppa collaborazioni con istituzioni sanitarie pubbliche e industrie farmaceutiche per tradurre i risultati della ricerca in terapie accessibili ai pazienti. Dalla sua fondazione ha investito in ricerca oltre 623 milioni di euro, ha finanziato 2.804 progetti con 1.676 ricercatori coinvolti e 589 malattie studiate. Ad oggi grazie a Fondazione Telethon è stata resa disponibile la prima terapia genica con cellule staminali al mondo, nata grazie alla collaborazione con l’industria farmaceutica. Strimvelis, questo il nome commerciale della terapia, è destinata al trattamento dell’ADA-SCID, una grave immunodeficienza che compromette le difese dell’organismo fin dalla nascita. Un’altra terapia genica frutto della ricerca Telethon resa disponibile è quella per una grave malattia neurodegenerativa, la leucodistrofia metacromatica, dal nome commerciale di Libmeldy. Questo approccio terapeutico è in fase avanzata di sperimentazione clinica per un’altra immunodeficienza, la sindrome di Wiskott-Aldrich. Altre malattie su cui la terapia genica messa a punto dai ricercatori Telethon è stata valutata nei pazienti sono la beta talassemia e due malattie metaboliche dell’infanzia, la mucopolisaccaridosi di tipo 6 e di tipo 1. Inoltre, all’interno degli istituti Telethon è in fase avanzata di studio o di sviluppo una strategia terapeutica mirata anche per altre malattie genetiche, come per esempio l’emofilia o diversi difetti ereditari della vista. Parallelamente, continua in tutti i laboratori finanziati da Telethon lo studio dei meccanismi di base e di potenziali approcci terapeutici per patologie ancora senza risposta.

**Per maggiori informazioni:**

**Ufficio stampa Fondazione Telethon - HAVAS PR Milan**

Thomas Balanzoni – thomas.balanzoni@havaspr.com – tel. 02 85457047, 346 3204520

Giovanna Giacalone – giovanna.giacalone@havaspr.com – tel. 02 85457053, 366 6123607