officinamalattierare@dossetti.it



DOTT. VINCENZO PIAZZA

Responsabile Rendicontazione Sociale - Telethon

L'IMPEGNO DI TELETHON PER LE MALATTIE RARE

Avanzare verso la cura delle malattie genetiche trasformando ricerca eccellente in terapie disponibili ai pazienti è l'obiettivo attorno al quale Telethon ha strutturato le sue attività mettendo a disposizione fondi vincolati a criteri di valutazione scientifica rigorosi e competitivi.

Dal 1990 (anno di costituzione), Telethon ha finanziato 2.200 progetti in diversi ambiti della ricerca su 444 malattie genetiche, con un investimento diretto di 299 milioni di Euro e la pubblicazione di 6.839 articoli scientifici di rilievo internazionale.

Pur continuando a finanziare ricerca di base, Telethon si sta avvicinando sempre più verso la cura e l'applicazione terapeutica, coerentemente alla propria missione. Oggi il 36% dei fondi è dedicato alla ricerca traslazionale, contro il 3,7% dei primi anni di vita della fondazione.

Questo impegno si è tradotto nel primo successo al mondo di terapia genica (protocollo ADA -SCID) e, più in generale, in una strategia di applicazioni cliniche all'avanguardia estesa ad altre malattie (leucodistrofia metacromatica e sindrome di Wiskott-Aldrich *in primis*). Un riconoscimento, in tal senso, arriva anche dalla rivista "Science" - una delle più prestigiose riviste in campo scientifico - che ha indicato tra le 10 scoperte più importanti del 2009 "il ritorno della terapia genica" con la descrizione di due studi che portano la firma della fondazione Telethon.

Il convegno "Malattie Rare e Disabilità" offre l'opportunità di condividere, se pur brevemente, il percorso fin qui svolto e le sfide per il futuro.

Maggiori approfondimenti su www.telethon.it

Associazione "G. Dossetti: i Valori" Sviluppo e Tutela dei Diritti – Via Giulio Salvadori 14/16, 00135 Roma
Tel.06 3389120 / 348 8118752 Fax. 06 30603259 www.dossetti.it - segreteria@dossetti.it