



FONDATION
SANFILIPPO
Suisse

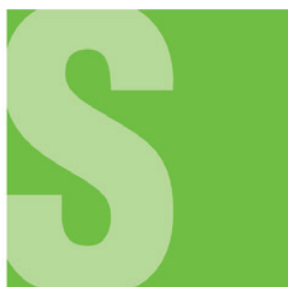
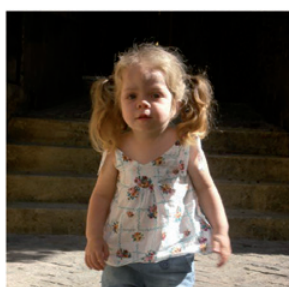
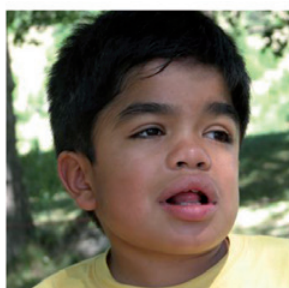
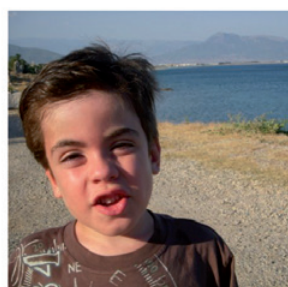


Michéline Calmy-Rey,
marraine de la Fondation

© Philippe Christin



Charlotte a maintenant 6 ans.



Novembre 2010

Merci de soutenir les actions de la Fondation permettant de
donner une lueur d'espoir à toutes les familles d'enfants malades.

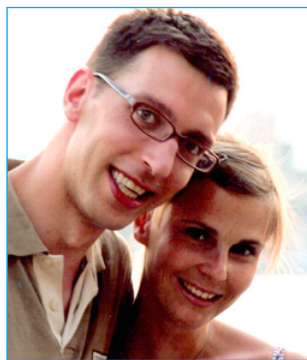
DONS : CCP n° 10-185368-3

Fondation Sanfilippo Suisse



Fondation à but d'utilité publique.

Mot du Président de la Fondation Sanfilippo Suisse



Frédéric et Stéphanie Morel

En 2010, notre combat continue : vaincre et trouver au plus vite un traitement pour la maladie de Sanfilippo. Grâce à vous, votre soutien et votre confiance, la Fondation a le plaisir de vous annoncer que Madame Corinne Fery-von Arx qui possède de l'expérience dans le domaine de la philanthropie, a rejoint la Fondation en tant que directrice. Elle a pour priorités le développement de la visibilité de la Fondation, la recherche de fonds et l'organisation de la première conférence MPS en Suisse.

Cette conférence que nous espérons pouvoir organiser d'ici décembre 2011 a déjà reçu un accueil très favorable des scientifiques et permettra aussi aux familles de se réunir, de s'échanger des informations et d'être informées sur l'évolution des programmes de recherche en cours.

Aussi, nous continuons à transmettre l'information auprès des familles Sanfilippo. Nous sommes heureux de constater que notre site a été consulté 130'000 fois ces 12 derniers mois.

L'assemblée générale s'est déroulée le 29 avril 2010. Les membres du conseil de Fondation et du comité scientifique ont approuvé les comptes annuels du premier exercice 08/09 et relancer les objectifs des programmes de recherche (www.fondation-sanfilippo.ch). Cependant, ce n'est qu'avec votre appui que nous réussirons à atteindre nos objectifs. Nous avons besoin de votre soutien !

Merci à vous !

Frédéric Morel
(Papa de Charlotte)

Prochains événements:

28 Février 2011 :

Journée Internationale des maladies rares

Printemps 2011 :

Concert en faveur de la Fondation Sanfilippo Suisse

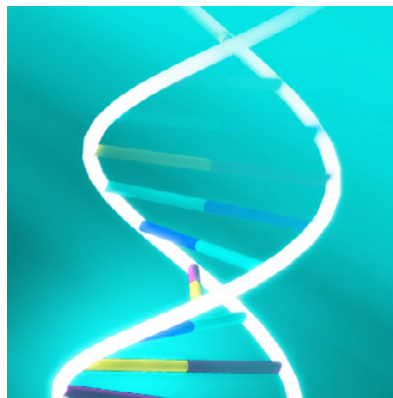
Mai 2011 :

3ème rassemblement de véhicules historiques et d'exception organisé par le Rotary-Club de Bellegarde et l'Ecurie la Meute

Derniers développements des programmes de recherche soutenus par la Fondation Sanfilippo Suisse

Le développement et l'évaluation des chaperons chimiques,

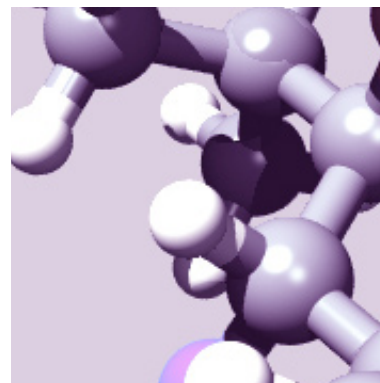
programme soutenu par la Fondation et conduit au CNRS/UMR (Paris) par l'équipe du Prof. Matthieu Sollogoub.



L'idée qui est poursuivie consiste en la synthèse de petites molécules, appelée chaperons chimiques, qui devraient être en mesure de corriger la structure et le transport de certaines formes mutées d'une enzyme digestive non fonctionnelle chez les patients souffrant de MPS III B. L'espoir est de restaurer la capacité de dégrader le sulfate d'héparane. Il est donc impératif d'assurer le suivi des travaux des chercheurs qui ont réussi au cours de ces derniers mois à produire les premières molécules conçues pour avoir une activité de chaperon chimique. L'évaluation de la spécificité et de l'activité de ces premières molécules est en cours dans des études *in vitro*. Si celles-ci s'avèrent positives, des tests sur des souris affectées par la maladie de Sanfilippo pourront être entrepris.

Greffe de moelle osseuse.

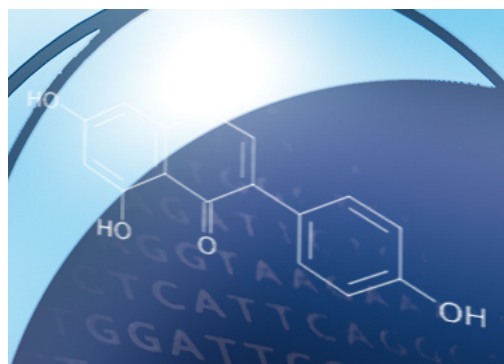
Les travaux de recherche du Dr Adeline Lau, au Women's and Children's Hospital, Département de recherche sur les maladies lysosomales, Australie, soutenu par la Fondation Sanfilippo, portent sur la transplantation de moelle osseuse. Une étude récente a montré que bien que des cellules saines aient pu être greffées chez des souriceaux atteints par la mycopolysaccharidose de type III A, cette greffe n'a pas conduit à une amélioration des atteintes neurologiques. Des études supplémentaires devront être réalisées afin de déterminer si la transplantation de moelle osseuse pourrait être envisagée pour le traitement de la MPS III.



Zacharon Pharmaceuticals :

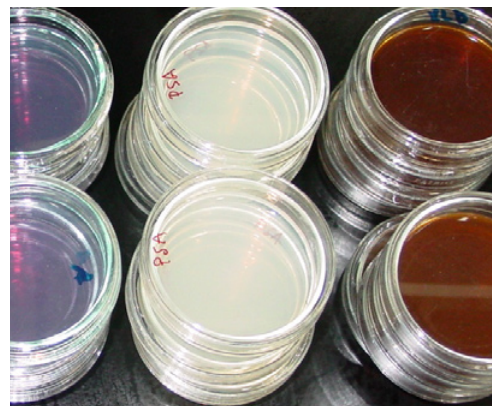
Cette petite société pharmaceutique (San Diego, Californie) développe des molécules qui altèrent la synthèse du sulfate d'héparane. Des études *in vitro* ont montré qu'en empêchant la maturation complète du sulfate d'héparane grâce à ces nouvelles molécules, des cellules de patients souffrant de différentes formes de MPS sont capables de dégrader le sulfate d'héparane et par là de limiter son accumulation. Les premiers tests effectués sur des souris souffrant de MPS III confirment que ces composés ont la capacité de réduire l'accumulation du sulfate d'héparane dans le cerveau. Sur la base de ces résultats prometteurs, des molécules ayant des caractéristiques compatibles avec un usage clinique chez l'homme sont en cours de développement.

Genistein



Une étude clinique est en cours en Angleterre qui cherche à déterminer l'effet de la génistéine sur le développement de MPS. A cette fin, des patients reçoivent un complément alimentaire sous la forme de génistéine, un composé naturellement présent dans le soja. Cette étude clinique est basée sur des travaux qui ont suggéré que la génistéine pouvait, par des mécanismes indirects, réduire la synthèse du sulfate d'héparane et par là son accumulation pathologique.

Shire Human Genetic Therapies, Inc. a commencé en juin dernier l'évaluation clinique de la sulfamidase administrée directement dans le fluide cérébrospinal (administration intrathécale) chez des patients souffrant de MPS III A. La sulfamidase, l'enzyme faisant défaut dans la MPS III A, a été produite par des techniques de génie génétique. Comme une administration par voie intraveineuse ne permet pas à cette enzyme d'atteindre le cerveau, il a été décidé de tenter de l'introduire directement dans le système nerveux. L'essai clinique s'adresse à une quinzaine de patients âgés d'au moins trois ans. Les résultats de l'étude devraient être connus début 2012.



Thérapie génique Sanfilippo type A

Programme organisé par l'Alliance Sanfilippo (France) et le Téléthon. Essai clinique automne/hiver 2010

Le but principal du premier essai clinique sera de montrer la tolérance à cette thérapie. Selon les conditions actuelles, l'essai devrait concerner 4 enfants âgés de 2 à 7 ans.

Thérapie génique MPS III B.

L'objectif de l'essai est d'introduire l'enzyme faisant défaut dans la MPSIII B (heparan sulfamidase).

Appel pour MPS III de type C

Un appel est lancé au niveau international aux familles concernées par la maladie de Sanfilippo de type C ou mucopolysaccharidose MPS III C afin de se faire connaître pour participer à un programme de recherche de 5 ans pour vaincre la maladie de Sanfilippo de type C

Pour plus d'information :

merci de nous envoyer un e-mail : info@fondation-sanfilippo.ch



2010 Appel d'offre aux projets - Universités suisses



Pour ce 2ème appel à projets, la Fondation désire financer principalement des programmes de recherche issus de chercheurs suisses.

Pour plus d'informations :

<http://www.fondation-sanfilippo.ch/index.php/fr/point-de-la-situation/ap-pel-doffres-aux-chercheurs-en-suisse-et-a-letranger->

Maladies rares - MPS

Eurordis - Projet de communauté mondiale Sanfilippo au sein du portail des «communautés maladies rares» - Une collaboration conjointe entre Eurordis (Organisation européenne des maladies rares) et NORD (National Organization for Rare Disorders)



L'objectif est de créer un réseau social en ligne pour les patients et les familles pour faciliter le partage des expériences sur les aspects essentiels de la vie avec une maladie rare. Le portail impliquera directement les associations de patients dans la gouvernance et la croissance de chaque communauté.

Le projet de la plateforme Sanfilippo est en formation avec la collaboration notamment d'Alliance Sanfilippo France et la Fondation Sanfilippo Suisse.



La 5^{ème} Conférence Européenne sur les maladies rares qui s'est déroulée à Cracovie, Pologne du 13 au 15 mai 2010 a réuni plus de 600 participants dont la Fondation Sanfilippo Suisse. Outre la réunion de réseautage, des sujets tels que les plans et stratégies à l'échelle nationale pour les maladies rares, l'information et l'éducation médicale, le comité européen pour les maladies rares, les questions de tests génétiques, la politique des recherches et les assistances téléphoniques ont été abordés. La conférence a été organisée dans le but de faciliter la consultation de la commission européenne sur les maladies rares et accéder à un consensus sur les actions privilégiées de politiques de santé publique pour les maladies rares.



MPS Society for Mucopolysaccharidose, UK a organisé du 27 au 28 août à l'Hilton Northampton une réunion centrée sur la maladie de Sanfilippo (MPSIII) offrant ainsi aux parents, partenaires, soignants et professionnels l'opportunité de se rencontrer et parler d'une manière informelle avec des professionnels leur permettant d'échanger leurs expériences. Parallèlement, les enfants et adultes malades avaient eux-mêmes leur propre programme social.

Cette rencontre a permis à la Fondation de renforcer les liens avec la Society for MPS Diseases.



Proraris - L'Alliance suisse des maladies rares a été constituée en juin 2010. Cette organisation va rassembler la centaine de fondations et associations existantes en Suisse et leur donner la possibilité de se faire entendre pour faire avancer la recherche médicale

Pour plus d'information : www.proraris.ch

Activités 2010

ACTION « Chocolat » Rotary Club Genève-Lac en faveur de la Fondation Sanfilippo Suisse

Durant le mois de décembre 2009, le Rotary Club de Genève-Lac a organisé sa première action chocolat en partenariat avec la chocolaterie Rohr à Genève en faveur de la Fondation Sanfilippo Suisse. Le 10 mars 2010, lors de la cérémonie de clôture de cette généreuse action, et en présence des Rotariens du club Genève-Lac et de Monsieur Rohr, un chèque de CHF 9'000 a été remis à Frédéric Morel, Président de la Fondation Sanfilippo Suisse.

«Il était une fois un 17 avril 2010 à l'hôtel Beau Rivage de Genève Mille et une stars»

550 enfants entre 2 et 10 ans étaient là, dans les salons du Beau Rivage, pour participer à un casting organisé par l'équipe du magazine Babybook. Seuls huit d'entre eux ont été les heureux mannequins d'un jour de shooting au Château de Gruyères. Dans cette aventure, la Fondation Sanfilippo Suisse était partenaire avec Babybook en faisant partie du jury. Le No 2 du magazine contient une page par ailleurs consacrée à la maladie de Sanfilippo.

Une seconde édition du Gala Sanfilippo

Ce second Gala – un Halloween Brunch organisé le dimanche 7 novembre à l'hôtel Mandarin Oriental, Genève, qui a été suivi d'un défilé mode enfant par le magasin V Young avec la prestigieuse collection italienne I Pincopallino, et d'une excitante vente aux enchères dirigée, cette année encore par Caroline Lang, Managing directrice de Sotheby's Genève, a dépassé toutes nos espérances. Grâce aux sponsors et aux donateurs, plus de CHF 105'000 ont été récoltés pour soutenir des programmes de recherche en cours.

Les images du Gala:

www.shootingdeluxe.ch

www.enzo-capaccio.com

Rassemblement de véhicules d'exception en valeur de la Fondation Sanfilippo



Pour la seconde année, le Rotary Club de Bellegarde, avec la participation de l'écurie La Meute, ont mis sur pied un rassemblement de véhicules historiques et d'exception au centre commercial de Val Thoiry le 30 mai 2010. Malgré une pluie battante presque tout au long de la journée, ce rassemblement a permis de récolter EUR 9'500 en faveur de la recherche sur la maladie de Sanfilippo.

Campagne d'affichage

The advertisement features a close-up of a young child's face with their eyes closed. A hand is gently touching the child's cheek. A blue speech bubble contains the text 'LE JOUEUR KADI JÉ LA MALADIE RARE'. Below the image, the word 'rare?' is written in large blue letters. The text below reads: 'Dans le monde, un enfant sur 70'000 meurt avant 20 ans, atteint de la maladie de Sanfilippo. C'est une lente agonie du système nerveux de l'enfant. En Suisse, il n'y a aucune étude scientifique pour soigner la maladie de Sanfilippo.' At the bottom, it says 'C'est grâce à vos dons que nous nous battons pour ces enfants en soutenant et développant la recherche sur cette maladie.' The logo of the Fondation Sanfilippo Suisse is in the bottom right corner, along with the contact information 'CCP 10-185368-3' and 'www.fondation-sanfilippo.ch'.

Dans la perspective de toucher et sensibiliser un large public à la terrible maladie de Sanfilippo, la Fondation relance une campagne d'affichage sur les transports publics genevois (TPG) du 29 novembre au 26 décembre 2010, dans le parking du Mont-blanc et Manor Vésenaz.

Voir l'affiche :

<http://www.fondation-sanfilippo.ch/index.php/fr/visuels-de-la-fondation-sanfilippo-suisse>

