



« Il reste toujours assez de force à chacun pour accomplir ce dont il est convaincu. »

{ Johann Wolfgang von Goethe }



FONDATION
SANFILIPPO
Suisse

RAPPORT ANNUEL 2010



Marraine de la Fondation

Mme Micheline Calmy-Rey | Présidente de la Confédération helvétique

Conseil de fondation

M. Frédéric et Mme Stéphanie Morel | Fondateurs et Président

Mme Stéphanie La Roche | Vice-Présidente

M. Emmanuel Veuve | Membre

M. Christophe Maier | Membre

Comité scientifique

Dre Danielle Berthola Reymond

Dr Stéphane Demotz

Dr Armand Bottani

Fondation

Mme Corinne Féry-von Arx, Directrice

Comité du Gala Sanfilippo

M. et Mme Antonio Battistini

Mme Sylvie Brunschwig

Mme Shaza Gahiga

Mme Surya Hill

Mme Namrita Hinduja

Mme Giulietta Kristinsson

Me Katia Radwanski

Mme Elena Rybolovleva

Mme Carolina Tardy

M. J. William Tavelli

Mme Geneviève Torriani

Mme Claire Vasfi

Sommaire

5	Éditorial 2010 du Président
6	La Fondation
8	ProRaris en Suisse
9	Bref historique des maladies rares en Europe
10	Que sont les mucopolysaccharidoses ?
11	Qu'est-ce que la maladie de Sanfilippo ?
12	Notre engagement pour la recherche
14	Sanfilippo Halloween Sunday Brunch
16	La sensibilisation par les actions
18	La force des réseaux
20	Rapport financier
24	Remerciements
27	Contacts et coordonnées bancaires

« La recherche avance mais la maladie évolue vite chez les enfants malades. Avec une ferme volonté, nous désirons continuer, dans les années à venir, à réunir familles, scientifiques mais également donateurs pour établir une passerelle entre les familles et les chercheurs afin que l'attente des familles stimule la recherche. »

F. Morel



Charlotte, 6 ans, dans les bras de son papa, Frédéric Morel

Éditorial 2010 du Président

Cette année 2010 a été marquée par de nouvelles réalisations dans nos champs d'activités et un engagement continu pour que les maladies rares soient mieux reconnues du grand public. Avec le soutien à quatre programmes de recherche - la thérapie génique, la greffe de moelle osseuse, les chaperons chimiques et dernièrement les essais de tréhalose, la Fondation veut apporter de l'espoir aux familles d'enfants atteints par la maladie de Sanfilippo, comme notre fille Charlotte, pour qu'un traitement curatif soit rapidement trouvé.

Le bilan du programme des chaperons chimiques (des molécules nouvellement synthétisées) s'est concrétisé par la réussite de la production de deux molécules inédites. C'est une avancée significative car la synthèse réalisée par l'équipe du Professeur Matthieu Sollogoub, à Paris était considérée comme difficile par les chercheurs.

Dès la création de la Fondation, suite au terrible diagnostic posé sur Charlotte en 2008, nous avons voulu privilégier les liens avec les réseaux maladies rares afin d'unir les efforts et faire progresser ensemble la recherche.

C'est avec l'Alliance Sanfilippo (France) que la Fondation a débuté son premier soutien au programme de thérapie génique et avec Team Sanfilippo (USA) qu'elle continue cette année à soutenir un programme en cofinancement.

En tant que membre fondateur de l'Alliance Maladies Rares Suisse, la Fondation a concrètement contribué à la création de ProRaris en Suisse en juin.

Cette année souligne aussi un tournant pour la Fondation Sanfilippo Suisse dans la mesure où les membres du Conseil de Fondation ont décidé, en avril 2010, d'engager une directrice pour assurer, avec son appui, la systématisation du suivi des activités en cours.

La recherche avance, mais la maladie évolue vite chez les enfants malades. Avec une ferme volonté, nous désirons continuer, dans les années à venir, à réunir familles, scientifiques mais également donateurs pour établir une passerelle entre les familles et les chercheurs afin que l'attente des familles stimule la recherche.

Je tiens à remercier chaleureusement celles et ceux qui, par leur engagement personnel et financier, soutiennent la Fondation Sanfilippo Suisse.

Frédéric Morel
Président et fondateur



La Fondation Sanfilippo Suisse

En août 2008, Stéphanie et Frédéric Morel apprennent que leur fille Charlotte souffrait de la maladie de Sanfilippo, une affection génétique rare, dégénérative et incurable. En novembre 2008, ils créent la Fondation Sanfilippo Suisse, fondation de droit privé, sans but lucratif, bénéficiant d'une exonération d'impôts et reconnue d'utilité publique. Elle est inscrite au Registre du commerce et placée sous la surveillance du Département fédéral de l'extérieur, à Berne.



Sa mission

La Fondation a pour mission de favoriser, développer, financer et promouvoir toute action de recherche scientifique visant à apporter des solutions thérapeutiques efficaces aux enfants atteints de mucopolysaccharidose, en particulier de type III (maladie de Sanfilippo) et ce dans les meilleurs délais.

Elle mène aussi une campagne active de sensibilisation afin de faire connaître et reconnaître la problématique des maladies rares, plus particulièrement la maladie de Sanfilippo.

« La Fondation favorise, développe, finance et promeut toute action de recherche scientifique visant à apporter des solutions thérapeutiques efficaces aux enfants atteints. »

Appel de projet en Suisse

La Fondation Sanfilippo Suisse a reconduit son appel d'offres afin de soutenir des projets de recherche dans les approches thérapeutiques innovantes pour la maladie de Sanfilippo (MPS III), en particulier des programmes de recherche issus de chercheurs suisses.

Les points clés Fondation Sanfilippo

1

Une coopération internationale

Une coopération avec le réseau européen pour faire progresser ensemble la recherche médicale.

2

La création d'une alliance en Suisse

Un des membres fondateurs de ProRaris, l'alliance faitière des maladies rares en Suisse.

3

Un comité d'experts scientifiques

Un comité scientifique qui examine et sélectionne - sur appels d'offres - des programmes qui ont un potentiel et auraient des effets sur la maladie de Sanfilippo.

4

Un financement durable

Un financement durable à des programmes de recherche prometteurs et innovants ainsi qu'au développement et suivi des travaux de recherche en cours.

5

Les efforts de recherche de fonds

Près d'un million et demi de francs récoltés et dédiés à sa mission à ce jour.

6

Une sensibilisation du grand public

Deux campagnes publicitaires de sensibilisation du grand public à la problématique des maladies rares en 2009 et 2010.

7

Deux galas annuels

Deux galas annuels avec défilé de mode pour enfants et vente aux enchères.

8

Un site internet pour les familles

Un soutien et informations aux familles Sanfilippo par le biais du site internet.

ProRaris en Suisse

PRORARIS



Alliance Maladies Rares – Suisse
Allianz Seltener Krankheiten – Sch
Alleanza Malattie Rare – Svizzera

« 470 millions de personnes affectées
dans le monde,
30 millions de personnes en Europe,
1/2 million de personnes en Suisse. »

La Suisse a franchi un pas de plus sur la question des maladies rares. ProRaris, l'Alliance Maladies Rares Suisse, est née le 26 juin 2010 à Fribourg ralliant 42 associations de patients. La mission de ProRaris consiste à unir les associations qui luttent contre les maladies rares sachant qu'en Suisse près de 500'000 personnes sont touchées.

À l'instar de la plupart des pays européens, la Suisse va élaborer une stratégie qui va lui permettre d'agir à l'échelle nationale.

La Fondation Sanfilippo Suisse a soutenu la création de ProRaris en étant avec Orphanet Suisse et l'Association Enfance et Maladies Orphelines (AEMO) notamment, l'un des membres fondateurs.



Crédits images © ProRaris

Depuis le haut, de gauche à droite:

Manon Weibel (AEMO), Béatrice Geissbuhler (Orphanet Suisse), Sandrine Dupuis (Association Prader Willi - antenne romande), Olivier Meyer (président AEMO), Jaques Rognon (Fondation Suisse de Recherche sur les Maladies Musculaires), Olivier Menzel (Fondation Blackswan), Esther Neiditsch (présidente ProRaris), Loredana D'Amato Sizonenko (Orphanet Suisse), Pierre Meyer (AEMO), Dominique Gugler (Association BBey Bleu - pour la sclérose tubéreuse de Bourneville), Anne-Françoise Auberson (vice-présidente ProRaris), Lilo Piguet, Charlotte et Frédéric Morel (Fondation Sanfilippo Suisse), Stéphane Dupuis (Association Prader-Willi - antenne romande), Bhira Meyer (vice-présidente AEMO)

Bref historique des maladies rares en Europe

L'intérêt pour les maladies rares est un phénomène relativement récent et la reconnaissance de ces maladies a passé par plusieurs étapes essentielles.

A la fin des années 70, les médecins parlent de maladies métaboliques - des maladies souvent causées par des dysfonctionnements cellulaires - mais ces maladies ont des symptômes difficilement déchiffrables et, par manque de connaissance scientifique faute de recherche, diagnostic et prise en charge s'avèrent problématiques. C'est au nord de l'Europe, plus particulièrement au Danemark dans les années 90, que les premiers centres spécialisés d'informations sur les pathologies rares sont recensés et que paraissent les premières études.

Par exemple, en 1994, le Dr Annie Wolf publie un rapport qui fait état de la situation des traitements des maladies rares dans les pays de la Communauté européenne. Orphanet, créé en 1996 en France - un site de référence mondiale sur les maladies rares - publie en 1997 son premier annuaire des maladies rares qui contient des informations sur plus de 900 pathologies, programmes de recherche en cours et centres spécialisés.

La Communauté européenne décide de s'attaquer avec plus d'ampleur à la question de ces maladies qui devient une des priorités de santé publique. La création d'Eurordis en 1997 - Fédération européenne qui regroupe 447 associations à ce jour - représente la voix des patients auprès des gouvernements européens et, sous son impulsion, le Parlement européen et le Conseil adoptent en 1999 une législation concernant les médicaments orphelins incitant l'industrie pharmaceutique à développer et commercialiser des médicaments pour le traitement de ces maladies.

Les lois sur les médicaments pédiatriques sont promulguées en 2006 et celles sur les thérapies avancées l'année suivante.

Dès 2007, un concept visant à améliorer la reconnaissance des maladies rares et l'accès à des traitements adéquats est proposé au niveau européen. L'an dernier, le Conseil européen adopte une recommandation qui invite les 27 états membres à entreprendre d'ici 2013 un deuxième plan d'actions. Son intention première est de donner un accès universel aux soins. De plus, il encourage l'unification de la nomenclature des maladies rares, la traçabilité dans tous les systèmes d'informations, le support à la recherche, le recensement des centres de compétence nationaux, le transfert d'expertise au niveau européen, l'organisation de filières de soins et le soutien à l'activité des associations de patients.

Par ailleurs, l'Organisation Mondiale de la Santé (OMS) a entrepris la révision de la classification internationale des maladies dans laquelle le groupe des maladies rares est inclus.

Il est estimé que près de 30 millions de personnes en Europe souffrent de l'une des 8'000 maladies rares identifiées à ce jour.

«Il est estimé que près de 30 millions de personnes en Europe souffrent de l'une des 8'000 maladies rares identifiées à ce jour.»

Que sont les mucopolysaccharidoses ?

Les mucopolysaccharidoses (MPS) et les maladies apparentées sont des maladies génétiques de surcharge lysosomale causées par l'incapacité de l'organisme à produire certaines protéines digestives (enzymes) spécifiques conduisant à l'accumulation d'une macromolécule appartenant à la famille des mucopolysaccharides.

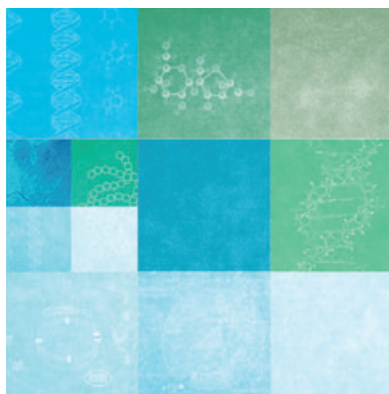
Les mucopolysaccharides sont des macromolécules constamment recyclées, constitués de longues chaînes de molécules de sucre qui sont d'une importance essentielle pour le fonctionnement cellulaire normal. Dans le cas des MPS, il y a une carence d'une enzyme lysosomale qui participe à la dégradation progressive d'un mucopolysaccharide. Il en résulte un dysfonctionnement des cellules se traduisant par de graves dommages. Tandis que ces maladies ne sont pas apparentées à la naissance, les symptômes se développent plus l'enfant grandit et plus les cellules deviennent endommagées.

Pour participer à l'avancée de la recherche, la Fondation met sur pied un premier congrès en Suisse sur le thème de « la recherche vers un traitement des MPS » du 8 au 10 décembre 2011 au Centre International de Conférences, Genève (CICG).

Dans l'objectif de se concentrer sur la recherche de pointe prometteuse et innovante, cette plateforme internationale permettra de faire le lien entre chercheurs, industrie et familles et sensibilisera l'opinion publique.

Syndrome		Enzyme déficiente
MPS I	Hurler, Scheie, Hurler-Scheie	α -L-Iduronidase
MPS II	Hunter	Iduronate sulfatase
▶ MPS III A	Sanfilippo A	Heparan-N-sulfatase
▶ MPS III B	Sanfilippo B	α -N-Acetylglucosaminidase
▶ MPS III C	Sanfilippo C	AcetylCoA : α -glycosaminide acetyltransferase
▶ MPS III D	Sanfilippo D	N-Acetylglucosamine 6-sulfatase
MPS IV A	Morquio A	Galactose 6-sulfatase
MPS IV B	Morquio B	β Galactosidase
MPS VI	Maroteaux-Lamy	N-Acetylgalactosamine 4-sulfatase (arylsulfatase B)
MPS VII	Sly	β -Glucuronidase
MPS IX		Hyaluronidase
ML II/III	I-Cell, Pseudo-Hurler	N-acetylglucosamine-1-
	Polydystrophy	Phosphotransferase

Qu'est-ce que la maladie de Sanfilippo ?



« Les traitements disponibles visent seulement à atténuer les symptômes, ils ne permettent pas encore de ralentir l'évolution de la maladie. »

La maladie de Sanfilippo ou syndrome de Sanfilippo, portant le nom du Dr. Sylvester Sanfilippo qui en a décrit les conditions en 1963, est une mucopolysaccharidose de type III (MPS III) due à la déficience d'une des quatre enzymes lysosomales responsables de la dégradation du sulfate d'héparane. Chacune de ces enzymes réalise une étape cruciale du catabolisme du sulfate d'héparane. Leur déficience se traduit par une dégénérescence nerveuse très importante aboutissant au décès entre l'âge de 10 et 20 ans car il n'existe aucun traitement à ce jour pour cette maladie.

Il existe quatre types de MPS III, à savoir les types A, B, C, D qui font référence au déficit de l'enzyme responsable d'une des étapes de la dégradation de l'héparane sulfate.

Chez un patient atteint du syndrome de Sanfilippo de type A, c'est l'enzyme responsable de la première étape de la dégradation du sulfate d'héparane qui fait défaut. Il en résulte une surcharge en sulfate d'héparane que le corps ne peut éliminer et qui sera stockée dans le cerveau. Chez les patients atteints du syndrome de Sanfilippo de type B, C ou D, le sulfate d'héparane n'est que partiellement dégradé de par l'absence d'une enzyme, ce qui résulte aussi en l'accumulation pathologique de dérivés du sulfate d'héparane.

Les scientifiques qui étudient la maladie de Sanfilippo continuent à chercher des moyens efficaces pour traiter ce syndrome. Les traitements disponibles visent seulement à atténuer les symptômes; ils ne permettent pas encore de ralentir l'évolution de la maladie.

Congrès 2011

«la recherche vers un traitement des MPS »

du 8 au 10 décembre 2011

Centre International de Conférences, Genève (CICG)

Organisé par la Fondation Sanfilippo Suisse : www.fondation-sanfilippo.ch

Notre engagement pour la recherche

La progression de la compréhension de la pathophysiologie de la maladie de Sanfilippo donne l'espoir que le développement d'un traitement est possible.

1

Le développement et l'évaluation des chaperons chimiques de la N-acétylglucosaminidase

Conduit par l'équipe du Professeur Matthieu Sollogoub, au CNRS/UMR de l'Université Pierre et Marie Curie, Paris, France

EUR 90'689.75
(CHF 123'843.13)

Ce projet de recherche et de développement, mené par l'équipe du Professeur Matthieu Sollogoub consiste à développer des inhibiteurs glycosidiques de la N-acétylglucosaminidase, l'enzyme faisant défaut dans la mucopolysaccharidose de type III B. L'idée qui est poursuivie consiste à synthétiser de petites molécules, appelées chaperons chimiques, qui devraient être en mesure de corriger la structure et le transport intracellulaire de certaines formes mutées d'une enzyme digestive non fonctionnelle chez les patients souffrant de la maladie de Sanfilippo (MPS III B). L'objectif de ces travaux est de restaurer la capacité de dégrader le sulfate d'héparane.

Le bilan d'un an de coopération avec l'Université Pierre et Marie Curie pour ces travaux de recherche et de développement est la réussite de la production de deux molécules inédites dont la synthèse était considérée comme difficile par les nombreux

chercheurs s'efforçant de les mettre au point. Des tests de l'effet chaperon sont en cours, de même que la rédaction d'un brevet. Celui-ci sera suivi par la rédaction d'un article que l'équipe du Professeur Sollogoub devrait publier dans un journal scientifique de premier plan.

Il est à noter que la Fondation a pris les mesures appropriées pour contrôler la propriété intellectuelle (brevet) issue des travaux qu'elle finance en cas d'application pour une MPS.

A ce jour, EUR 135'000 ont été alloués au programme des chaperons chimiques sur un budget total de EUR 300'000.

2

La thérapie génique intracérébrale

Programme organisé par l'Alliance Sanfilippo, France, et le Téléthon. Professeur Marc Tardieu, Hôpital du Kremlin-Bicêtre, Paris, France

EUR 30'000.-
(CHF 39'143.70)

Ce programme vise à préparer et organiser un traitement au cours duquel un gène correcteur sera injecté dans le cerveau d'enfants souffrant de la maladie de Sanfilippo (MPS III A) devant conduire à la production de l'enzyme déficiente dans le tissu du système nerveux central. Ce programme lancé en 2006 avec un budget d'environ 3 millions d'euros

prévoit des essais cliniques sur quatre enfants atteints par cette forme de la maladie de Sanfilippo. Les premiers résultats de l'étude pourraient être connus en 2012-2013.

Depuis 2008, près de 900'000 francs ont été affectés à des travaux de recherche, tenant compte de la constitution de la société SanOrphan. La Fondation soutient des approches variées visant au développement de traitements de la maladie de Sanfilippo.

3

Etude de l'activité thérapeutique du tréhalose dans les MPS

Essai soutenu par Team Sanfilippo USA et la Fondation Sanfilippo Suisse

USD 50'000.-
(CHF 48'110.-)

Les travaux du laboratoire du Professeur Marco Sardiello portent sur les mécanismes de formation des lysosomes. De là, ces chercheurs se proposent d'évaluer si une augmentation des fonctions lysosomales pourrait être exploitée comme option thérapeutique pour la MPS III. L'équipe a identifié un gène dont le produit, appelé TFEB, joue un rôle majeur dans le contrôle des fonctions lysosomales. En particulier, M. Sardiello et collègues ont montré que la surexpression du facteur TFEB conduit à l'augmentation de l'activité des lysosomes. Fait remarquable, ces chercheurs ont observé que des cellules issues de patients souffrant de la maladie de Batten chez lesquelles l'expression du facteur TFEB était augmentée montraient une réduction de lipofuscin, une substance lipidique s'accumulant dans les lysosomes. Le groupe de M. Sardiello évalue maintenant si une telle situation pourrait aussi être trouvée dans des cellules issues de patients MPS III A, B et C. Il est à noter

que l'expression du facteur TFEB est obtenue en traitant les cellules avec un composé totalement inoffensif qui est largement utilisé dans l'industrie alimentaire. Si les tests cellulaires in vitro s'avèrent positifs, la prochaine étape consistera à évaluer l'effet thérapeutique de cet additif alimentaire chez des souris souffrant de la maladie de Sanfilippo. Parallèlement l'équipe de M. Sardiello se propose de tester de nombreuses autres substances afin d'identifier celles pouvant également conduire à la réduction de l'accumulation de glycosaminoglycane dans des cellules issues de patients souffrant de MPS III B.



4

Greffe de moelle osseuse

Dr Adeline Lau,
Université d'Adelaïde, Australie

CHF 30'000.-

Les travaux de recherche du Dr Adeline Lau, au Women's and Children's Hospital, département de recherche sur les maladies lysosomales, Adelaïde, Australie, ont porté sur la transplantation de moelle osseuse sur des souriceaux. Les études réalisées par le Dr Lau ont montré dans le système expérimental utilisé que des greffes de moelle

osseuse de souris saines sur des souriceaux, qui vont à terme développer la maladie de Sanfilippo, ne permettent pas d'empêcher ou de retarder l'apparition des lésions neurologiques.

«Sanfilippo Halloween Sunday Brunch»

L'humeur était à célébrer Halloween à l'hôtel Mandarin Oriental Genève où, pour sa seconde édition, dimanche 7 novembre 2010, le Gala Sanfilippo réunissait les familles venues avec leurs enfants soutenir la cause des enfants atteints de la maladie de Sanfilippo, comme Charlotte.

Animé par Emilie Boiron, le gala a commencé par un brunch, puis un défilé de mode enfant spectaculaire et rythmé, orchestré par Claire Vasfi et sa fille du magasin V Young qui présentait la prestigieuse collection italienne I Pinco Pallino. La vente aux enchères, dirigée cette année encore par Caroline Lang, directrice générale de Sotheby's Genève, a dépassé toutes espérances.

Grâce aux sponsors, Hinduja Bank et Jetfly Aviation S.A., à nos donateurs et au résultat de la vente aux enchères, près de CHF 100'000 ont pu être récoltés pour nos programmes de recherche en cours. Les organisateurs et les généreux membres du comité du Gala Sanfilippo ont décidé de reconduire ce Gala le 13 novembre 2011.

Grâce aux sponsors, Hinduja Bank et Jetfly Aviation S.A., à nos donateurs et au résultat de la vente aux enchères, près de CHF 100'000, ont pu être récoltés pour nos programmes de recherche en cours.



HINDUJA BANK (SWITZERLAND)

JETFLY AVIATION S.A.

Organisation

Blue Heron Productions et son équipe

Président d'honneur

Professeur Stylianos E. Antonorakis

Présidente d'honneur du Gala

S.A.I.R. Comtesse Massimiliano Secco d'Aragona



1) Famille Hinduja / 2) Trick or Treat Room / 3) Stéphanie, Charlotte et Frédéric Morel / 4) Rita Xénakis, Dania Samawi et Absa Kane / 5) Mary Hofstetter, Head of Fundraising et Emilie Boiron, Présentatrice / 6) Final du Défilé / 7) Marie-Hélène Gabard et Mme la Comtesse Catharina Secco d'Aragona / 8) Olivia Sluijs-Chambost

Crédits images 1-2-3-4-6-8 © Enzo Capaccio, 5-7 © Shooting Deluxe

La sensibilisation par les actions

Babybook Magazine

Un casting, organisé le 17 avril 2010 par l'équipe du magazine Babybook, a fait rêver les 550 enfants entre 2 et 10 ans qui étaient rassemblés dans les Salons de l'Hôtel Beau-Rivage à Genève. Pourtant, seuls huit d'entre eux ont été les heureux mannequins d'une journée de séances photos au Château de Gruyères. La Fondation était partenaire du magazine Babybook en faisant partie du jury. Un article dans le No 2 du magazine contient une page entière consacrée à l'histoire de Charlotte et à la maladie de Sanfilippo.



Second rassemblement de véhicules d'exception

Depuis de nombreuses années, le Rotary Club de Bellegarde a à cœur d'organiser des collectes de fonds au profit de diverses associations. En 2009, le Club a souhaité tenter une nouvelle opération en organisant, avec l'Écurie la Meute, une exposition de véhicules d'exception sur le parking du centre commercial de Val Thoiry proposant des baptêmes et de la petite restauration.

Le produit de cette action est reversé à la Fondation Sanfilippo Suisse depuis deux ans. De nombreux sponsors et partenaires se sont ralliés à la cause et en deux éditions (2009-2010) plus de EUR 21'000 ont été reversés à la Fondation.





rare?

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.

C'est grâce à vos dons que nous nous battons pour ces enfants en soutenant et développant la recherche sur cette maladie.



CCP 10-185368-3 www.fondation-sanfilippo.ch

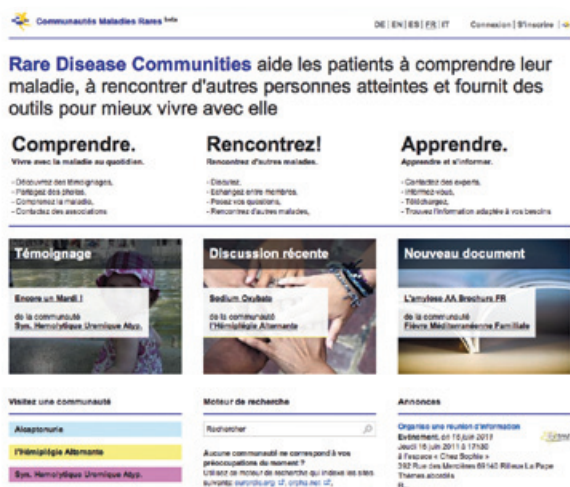
Campagne d'affichage

Pour la seconde année consécutive, la Fondation a engagé une campagne d'affichage avant Noël, du 29 novembre au 26 décembre 2010, sur les transports publics genevois (TPG) dans la perspective de sensibiliser un large public à la maladie infantile de Sanfilippo.

En permanence, plusieurs dizaines d'affiches sont postées gracieusement au parking du Mont-Blanc et une affiche à Manor Vésenaz.



La force des réseaux



En ligne

Le portail « Communautés maladies rares » développé par Eurordis en collaboration avec NORD (National Organization for Rare Disorders, USA) aide les patients à comprendre leur maladie, à rencontrer d'autres malades et fournit des informations pour mieux vivre avec la maladie. C'est un outil social en ligne à l'échelle mondiale qui implique directement les associations à gérer la croissance de leur « communauté ».

La Fondation participe à la création de la plateforme de la communauté Sanfilippo : www.rare-disease-communities.org



Témoignage des parents de Daniel

Daniel est né en bonne santé, animé, et a vite grandi. Le seul problème que nous avons remarqué était que son langage n'était pas très clair. L'orthophonie lui a été recommandée.

Quand Daniel était à la maternelle, les problèmes ont commencé à se poser. Il ne coopérait pas ou ne suivait pas les instructions correctement. Il ne pouvait pas jouer normalement avec les autres et, surtout, il ne pouvait pas exprimer clairement ses sentiments comme les autres et s'est senti frustré et en colère. Il a dû suivre une école spécialisée.

A l'âge de 9 ans, un médecin nous a suggéré de faire des tests. La nouvelle dévastatrice est alors tombée : Daniel est atteint d'une Mucopolysaccharidose de type III A ou Sanfilippo III A. La maladie est mortelle normalement avant 20 ans. Tous les espoirs que l'on avait pour cet enfant ont disparu en un instant. Chagrin, douleur, tristesse, des moments de totale incrédulité. Tout cela à cause d'une enzyme qui ne fonctionne pas correctement.

Depuis, nous avons trouvé des traitements qui semblent ralentir les symptômes mais qui ne sont pas curatifs. Daniel a aujourd'hui 20 ans.

Se rencontrer - se comprendre

Lysosomal Disease Network **WORLD** Symposium

Le 6ème symposium annuel mondial sur les maladies lysosomales qui s'est déroulé du 10-12 février 2010 à Miami, Floride, USA a permis de prendre contact avec des scientifiques, à savoir notamment l'entreprise Zacharon Pharmaceutique. À cette occasion, les relations ont été renforcées avec les fondations actives aux États-Unis, en particulier Team Sanfilippo qui se concentre sur les travaux de recherche de la maladie de Sanfilippo. Après discussion, Team Sanfilippo et la Fondation ont décidé de cofinancer un programme commun : le Tréhalose.



La 5ème conférence européenne des maladies rares à Cracovie, Pologne du 13 au 15 mai 2010, a été l'occasion pour la Fondation de faire partie des 600 participants qui ont pu se rencontrer, s'informer et partager les projets futurs concernant les stratégies nationales pour lutter contre les maladies rares.



La Society for Mucopolysaccharide Diseases a organisé une réunion du 27-28 août 2010 à Northampton, Grande-Bretagne centrée sur la maladie de Sanfilippo (MPS III) offrant aux familles l'occasion de faire connaissance, de parler d'une manière informelle avec des professionnels et de s'informer sur le programme d'enzymothérapie en cours en Grande-Bretagne.

Rue du Rhône 65
Case postale 3359
1211 Genève 3

Tél: 022 908 65 65
Fax: 022 908 65 55

e-mail: geneva@moorestephens.ch

Rapport de l'organe de révision
sur l'examen succinct
au Conseil de Fondation de la
Fondation Sanfilippo Suisse
Genève

Conformément au mandat qui nous a été confié, nous avons procédé à un examen succinct des états financiers de la Fondation Sanfilippo Suisse pour l'exercice arrêté le 31 décembre 2010.

Ces états financiers relèvent de la responsabilité du Conseil de Fondation alors que notre responsabilité consiste à émettre un rapport sur ces états financiers intermédiaires sur la base de notre examen succinct.

Nous avons effectué notre examen succinct selon la Norme d'audit suisse 910 (examen succinct). Cette norme requiert que l'examen succinct soit planifié et réalisé en vue d'obtenir une assurance modérée que les états financiers ne comportent pas d'anomalie significative. Un examen succinct comporte essentiellement des entretiens avec le personnel de la société et des procédures analytiques appliquées aux données financières intermédiaires. Il fournit donc un niveau d'assurance moins élevé qu'un audit. Nous avons effectué une revue et non un audit et, en conséquence, nous n'exprimons donc pas d'opinion d'audit.

Sur la base de notre examen succinct, nous n'avons pas relevé de faits qui nous laissent à penser que les états financiers ne donnent pas une image fidèle du patrimoine, de la situation financière et des résultats de la Fondation Sanfilippo Suisse, conformément à la loi suisse et aux statuts.

Genève, le 7 mars 2011

MOORE STEPHENS REFIDAR SA



Jacques Grossen
Expert réviseur agréé



Grégoire Etienne

Annexes : comptes annuels

Membre de la Chambre
fiduciaire

*A member firm of
Moore Stephens International
Limited - Members in
principal cities throughout
the world*

Rapport financier au 31 décembre 2010

Actif	31.12.2010 CHF	31.12.2009 CHF
Liquidités et équivalents	133'513	109'296
Titres et placements	0	5'388
Promesses de dons à recevoir et débiteurs	509'066	22'100
Actifs transitoires	14'447	2'075
Actifs circulants	657'027	138'862
TOTAL DE L'ACTIF	657'027	138'862

Passif		
Créanciers	2'500	6'388
Passifs transitoires	5'500	4'500
Fonds affectés (coûts - vidéo) - Loterie Romande	10'494	0
Fonds affectés (recherches) - Dr Marco Sardiello	48'110	0
Fonds étrangers	66'604	10'888
Capital de dotation	100'000	100'000
Résultat reporté	27'974	0
Résultat de l'exercice	462'449	27'974
Fonds propres	590'423	127'974
TOTAL DU PASSIF	657'027	138'862

Compte de profits et pertes du 1er janvier au 31 décembre 2010
(avec chiffres comparatifs 2008/2009)

PRODUITS	2010 CHF (365 jours)	2008/2009 CHF (405 jours)
Dons - Fonds libre	554'662	147'100
Dons - Fonds libre (Commune genevoise)	11'870	2'000
Total des dons - Fonds libre	566'532	149'100
Dons - Fonds affectés charges (Loterie Romande)	9'506	20'000
Total des dons - Fonds affectés aux charges de la Fondation	9'506	20'000
Total des dons - Fonds affectés aux programmes de recherches 1)	212'987	125'871
TOTAL DES PRODUITS	789'025	294'971

Répartition des fonds affectés pour la recherche

1) Fonds affectés aux programmes de recherches	2010 CHF (365 jours)	2008/2009 CHF (402 jours)
Dons - résultat de manifestations - affectés recherches	59'510	46'249
Produits de manifestations	107'526	102'028
Charges d'organisation Gala	(96'333)	(111'050)
Produits nets de manifestations - affectés recherches	70'703	37'227
Dons - Fonds affectés recherches ne résultant pas de manifestations	142'284	88'644
Total des dons - Fonds affectés aux programmes de recherches	212'987	125'871

2) Utilisation des fonds affectés - recherches	2010 CHF (365 jours)	2008/2009 CHF (402 jours)
Programme : «Dr. Sollogoub - Chaperons chimiques - Paris MPS III B»	123'843	68'115
Programme : «Thérapie Génique 2010 - Alliance Sanfilippo - MPS III A»	39'144	61'941
Programme : «Essai Trehalose - Dr. Sardiello - MPS III»	48'110	0
Programme : «Conférence MPS»	2'498	0
Programme : «Dr. Lau - Greffe de Moelle MPS III A»	0	30'000
Programme : «Création d'une Alliance Maladies Rares Suisse - ProRaris	0	4'000
Total des charges résultat de financement affectés recherches	213'595	164'056

CHARGES	2010 CHF (365 jours)	2008/2009 CHF (402 jours)
Total des charges résultat de financement affectés recherches 2)	213'595	164'056
Charges courantes		
Salaires et charges sociales	46'280	0
Frais de communications	869	0
Assurance	189	0
Indemnité membre du Comité scientifique	1'500	7'500
Frais de déplacements - Réunions Comités scientifiques, familles, Participation aux conférences MPS	14'780	4'737
Graphisme et impression	22'071	15'127
Frais de traduction	1'668	2'288
Publicité	3'535	18'727
Frais de constitution	0	3'216
Honoraires d'audit	3'120	3'000
Autres charges	1'477	1'618
Taxes, émoluments - DFI et TVA non récupérable	1'000	7'533
Total des charges	96'488	63'745
Utilisation des fonds affectés - charges		
Site Internet - Loterie Romande	0	17'480
Honoraires graphiste - Présentation + site internet - Loterie Romande	0	13'100
Vidéo et campagne de sensibilisation TPG - Loterie Romande	9'506	0
Total des charges résultant de financement affectés	9'506	30'580
Résultat net avant autres produits et charges	469'436	36'590
Activités financières		
Produits financiers	437	3'798
Perte de change	(5'300)	(8'327)
Intérêts et frais bancaires	(2'124)	(4'086)
Résultat de l'activité financière	(6'987)	(8'615)
RESULTAT NET DE L'EXERCICE	462'449	27'974

Notre sincère gratitude s'adresse à tous les donateurs et toutes celles et ceux qui nous ont soutenus dans nos activités.

Les associations et fondations

Association Enfance et Maladies Orphelines (AEMO)
Association La Florimontaine
Carigest SA, conseiller d'un généreux donateur
Fondation Alfred et Eugénie Baur
Fondation Bay
Fondation de bienfaisance de la Banque Pictet & Cie

Fondation genevoise de bienfaisance V. Rossi di Montelera
Fondation Edmond Adolphe de Rothschild
Sandoz Fondation de Famille

Les entreprises et institutions

Aebi Kaderli Gartencenter
Alinghi
Atelier Elément Terre
Avakian
Ajia Hotel Istanbul
Baboo
Babybook
Charlotte Bis
Les 3 Bouchons
Bon Génie
Boutique Septième Étage
Boutique V-Young
Capital International Sàrl
Cedar Partners SA
Champagne Jacquart
Chatila
Chopard
Compagnie vinicole Baron Edmond de Rothschild
Deutsche Bank (Suisse) SA
Diesel Kid Store
Dior
Roger Dubuis Genève
EA Games
Écurie La Meute
ENIGMA by Gianni Bulgari
Féminin Sacré
Galerie Gagosian, Genève
Gaëlle Grandjean
Gstaad Palace Tennis Camp
Henniez
Hermès
Hinduja Bank (Switzerland) Ltd.
Holmes Place
Hornung et Associés

Hôtel Guarda Golf Crans Montana
John Isaac Genève
Jahan Genève
Le Jardin Secret
Jetfly Aviation SA
JP Morgan
Loterie romande
Najeti Hôtel & Golfs
Mandarin Oriental, Genève
M-Concept Sàrl
Montblanc
Moore Stephens Refidar SA
NAEF & Cie
NAT Services SA Collaborateurs
OPI
Ovale
Pélichet NLC SA
Piaget
Ivo Pitanguy
Kerosen Prod
Le Rasoi
Restaurant Hôtel du Parc des Eaux-Vives
Rivella
Rotary Club de Bellegarde (France)
Rotary Club de Genève-Lac
Sanofi-Aventis (Suisse) SA
Sedelec SA
Serrurerie Klein
Simply Theater
Sparkle SA
Sweet Connection
Teuscher
Version M
Villebrequin

Notre reconnaissance va à M. Olivier Dunant qui est à nos côtés depuis la création de la Fondation.



Personnes privées

M. et Mme Jean-Marc et Marie-Axelle Annicchiarico	M. Jean-Daniel Liniger
M. Alfred Argi	Mme Odette Liniger
M. Touran Assefi	M. Francis Maillard
M. et Mme Antonio Battistini	M. Leo Marroni
Mme Kyra de Beaumont	Mme Anna Maurutto
Mme Madeleine Bertholet	Mme Sophie Metulescu
Mme Delphine Bertossa	M. Daniel Mingot
M. Jacques Bemberg	M. Pierre Mirabaud
Mme Katarina Bogicevik	M. Alain Morisod
Mme Yolande Cavallero	M. et Mme Christopher Mouravieff-Apostol
Me Oliver Chappaz	M. Daniel Paquier
Mme Adrienne Chèvre	Mme Rose-Marie Pastore
Mme Laurence Cogne	Mme Annie Pighin
M. Gérald Coutaz	M. Frédéric Plojoux
M. Brice Duffour	M. Frédéric Python
M. Olivier Dunant	M. Auguste Rigolet
M. et Mme Grégoire et Séverine Etienne	M. Gérald Rimer
Mme Denise Falquet	Mme Alice Rinderknecht
M. Harold de Fierlant	Mme J. Robinson
Mme S. Firmenich	M. Marc Rosset
M. Christian Garcia	M. Manuel Roumain
Mme Catherine Gautier le Berre	Mme Gloria Sallin
M. Marc Girardelli	Mme Katharina Sands
M. et Mme Alfred et Christiane Golay	Comte et Comtesse Massimiliano et Catherine Secco d'Aragona
Mme Simone Golay	M. Dean Constantine Soldatos
M. Jean-Claude Gremion	M. Eduardo Sonoda
M. Jean-Pierre Grillet	Mme Jasmine von Spee
M. Jacques Grossen	M. Michel François Stadelmann
M. Hervé Edmond Guinand	Mme Lykke Stjernswärd
M. et Mme Roger et Jacqueline Guinand	Mme Van Ta
M. Daniel Haberstick	M. Olivier Tallent
Mme Christiane Hamann	M. Sébastien Tallent
M. Daniel et Mary-Claire Jacquet Hertig	M. et Mme Marco et Geneviève Torriani
M. Mark Paul Hoeke	Mme Paula Verholen Canonica
M. Jean Ilg	Mme Kirsten Vogelsong
M. et Mme Jean-Louis Klein	M. Didier Voirol
Mme Madeleine Kogevinas	M. Serge Vukmanovic
M. et Mme David et Rita Labarthe	M. Alexandre de Weck
M. Charles de Laguiche	

Les communes

Commune de Bardonnex
Commune de Bellevue
Commune de Cologny

Commune du Grand-Saconnex
Commune de Gy
Commune de Presinge

Dons



Compte postal

No 10-185368-3

Compte bancaire

UBS Genève	612153.00N
Code Swift	UBSWCHZH80A
Clearing	0240
Code IBAN	CH560024024061215300N



Contact



Fondation Sanfilippo Suisse

C/o NAT Services SA
Rue de Jargonnant 2
1207 Genève
www.fondation-sanfilippo.ch

Personnes de contact :

Frédéric Morel, président
+ 41 78 720 73 17
frederic.morel@fondation-sanfilippo.ch

Corinne Féry-von Arx, directrice
+41 78 745 08 28
corinne.fery@fondation-sanfilippo.ch

Ce rapport a été imprimé grâce à la générosité
de Moore Stephens Refidar SA, Genève

MOORE STEPHENS REFIDAR SA

audit – comptabilité – fiscalité – family office

société fiduciaire

Genève | Lausanne | Nyon

MOORE STEPHENS REFIDAR SA
rue du Rhône 65, 1204 Genève
www.moorestephens.ch