



FONDATION  
SANFILIPPO  
Suisse

RAPPORT ANNUEL 2011  
ANNUAL REPORT 2011



# SOMMAIRE

## CONTENTS

Éditorial du Président   <a href="#">President's Editorial</a>	Page 4
Mot de la directrice   <a href="#">A Word from the Director</a>	Page 6
Sauver les enfants   <a href="#">Saving Children</a>	Page 8
La Fondation en résumé   <a href="#">The Foundation in Brief</a>	Page 9
La maladie de Sanfilippo   <a href="#">Sanfilippo Disease</a>	Page 10
Comprendre et traiter   <a href="#">Understanding and Treating</a>	Page 12
Les axes de recherche   <a href="#">Lines of Research</a>	Page 13
Le congrès international MPS 2011   <a href="#">The 2011 International Congress on MPS</a>	Page 17
En parler, c'est commencer à agir   <a href="#">Talking about it, a first step toward Action</a>	Page 24
Le gala   <a href="#">The Gala</a>	Page 25
Le documentaire   <a href="#">The Documentary</a>	Page 28
La Fondation en action   <a href="#">The Foundation in Action</a>	Page 29
Rapport financier   <a href="#">Financial Report</a>	Page 33
Remerciements   <a href="#">Acknowledgements</a>	Page 36
Réseau Sanfilippo   <a href="#">Sanfilippo Network</a>	Page 39
Membres de la Fondation   <a href="#">Members of the Foundation</a>	Page 41
Contacts et coordonnées bancaires   <a href="#">Contacts and Bank Details</a>	Page 43

## ÉDITORIAL DU PRÉSIDENT



L'année 2011 aura été celle qui a permis à la Fondation Sanfilippo Suisse d'amplifier ses deux pôles d'activités, à savoir le soutien à la recherche médicale et la sensibilisation du grand public à la problématique des maladies rares, notamment la maladie de Sanfilippo.

L'organisation en décembre 2011 du premier congrès international, en Suisse, sur les mucopolysaccharidoses (MPS) apparaît comme l'événement majeur de cette année. L'intérêt et l'implication dans la recherche d'associations de parents comme la nôtre sont maintenant reconnus dans la communauté scientifique et nous avons le sentiment d'avoir participé à faire avancer la communication et la collaboration entre les milieux concernés cela dans l'intérêt des patients.

Alors que de récentes percées dont le programme de thérapie génique ou encore l'enzymothérapie donnent de l'espoir aux familles, la Fondation Sanfilippo Suisse affiche plus que jamais la ferme volonté de continuer à faire progresser la recherche.

En 2011, un nouveau programme prometteur concernant les MPS IVB et VII est venu s'ajouter aux axes de recherche que nous soutenons. Nous avons aussi reconduit notre gala annuel qui a réuni plus de parents et d'enfants que les éditions précédentes. Enfin, autre projet important de l'année 2011, Madame Marie-Fleur Stalder a réalisé un documentaire intitulé « Les Enfants de Sanfilippo » qui est disponible au public. Nous avons pu compter sur des soutiens plus nombreux permettant la réalisation d'actions de solidarité au bénéfice de notre cause et ainsi contribuer à faire avancer la recherche et la sensibilisation.

Que le conseil et les comités de la Fondation, tous nos donateurs, sponsors, partenaires, supporters, bénévoles et amis soient ici chaleureusement remerciés d'être si fidèlement à nos côtés. Il ne faut pas baisser les bras, il faut continuer à nous battre ensemble afin de trouver au plus vite un traitement pour la maladie de Sanfilippo. C'est une véritable course pour la vie des enfants malades, comme Charlotte, ma fille pour qui je rêve souvent d'une vie normale comme celle de tous les autres enfants.

Frédéric Moul

## PRESIDENT'S EDITORIAL

The year 2011 was the year of increased efforts from the part of the Sanfilippo Foundation Switzerland in pursuing its two core activities, namely supporting medical research and building public awareness on the problems associated with rare diseases, especially Sanfilippo disease.

The organisation of the First International Congress on Mucopolysaccharidosis (MPS) in Switzerland in December 2011 was the highlight of the year. The interest and involvement in research of parents' associations like ours are now recognised by the scientific community and we feel we have helped in furthering communication and collaboration between the two sides in the interest of patients.

Considering current breakthroughs, like gene or enzyme therapy program that give hope to families, the Sanfilippo Foundation Switzerland's determination to help advance research is stronger than ever.

In 2011, a promising new program concerning MPS type IVB and VII was added to the lines of research we support. We also held our annual gala which brought together more parents and children than in previous years. Furthermore, another important project of 2011 was the creation of a documentary film by Mrs. Marie-Fleur Stalder entitled "The Sanfilippo Children" which is available to the public. We saw an increase of solidarity for our cause and support for our actions with a view to building awareness with regard to Sanfilippo disease.

We extend our warm thanks to the Foundation's Board and its committees, all our donors, sponsors, partners, supporters, volunteers and friends for their continued support. We should not despair, we must continue to fight together in order to find a treatment for Sanfilippo as soon as possible. It is a real race for the lives for children like my daughter Charlotte, for whom I dream of having a normal life that of other children.

Frédéric Moul



## MOT DE LA DIRECTRICE

C'est en avril 2010 que le Conseil de Fondation m'a engagée comme directrice, un nouveau challenge dans mon parcours professionnel car il ne relevait pas du monde scientifique.

L'année 2011 s'est très vite imposée comme ambitieuse et importante avec le projet de l'organisation d'un congrès international sur le thème de la recherche vers un traitement des mucopolysaccharidoses (MPS). Pour la première fois, chercheurs, scientifiques, professionnels de la santé, l'industrie et surtout des familles de patients se sont rencontrés en Suisse.

Dans l'objectif de réunir à Genève les spécialistes du champ, nous avons fait appel à l'expertise du Dr Slavica Masina qui a conçu le programme scientifique du congrès en regroupant plus d'une vingtaine de présentations de travaux prometteurs en cours aujourd'hui dans le monde.

La présence à Genève d'une trentaine de parents d'enfants atteints de MPS venant d'Europe et d'ailleurs, souvent à la tête d'associations de patients, avait toute son importance car se sont ces familles qui sont perçues comme véritables moteurs pour l'avancée de la recherche. De par leurs connaissances acquises par leur vécu, elles incitent à la recherche et même plus, récoltent des fonds pour la financer. J'ai découvert, avec admiration, la force de leurs actions.

Cette année a été donc forte et particulière puisque la Fondation a tracé un sillon dans le paysage scientifique international et surtout social en tissant de forts liens avec ces familles d'enfants atteints de MPS, particulièrement de MPS III.

Corinne Feing-von Arx

Daniel

## A WORD FROM THE DIRECTOR

The Foundation Board appointed me as director in April 2010, a new challenge in my professional career, as I was new to the scientific world.

The year 2011 quickly turned out to be an ambitious and important one with the planning of an international congress on the theme of research for a treatment of Mucopolysaccharidosis (MPS). For the first time, researchers, scientists, health and industry professionals, and above all families of patients got together in Switzerland.



With the objective of bringing together specialists in the field in Geneva, we called on the expertise of Dr. Slavica Masina who drafted the congress's scientific programme by gathering more than twenty presentations of promising current research in the world today.

The presence in Geneva of some thirty parents of children suffering from MPS from Europe and elsewhere, often at the head of patients associations, was very significant because these families are perceived as the true catalysts of progress in research. With their first-hand knowledge, they encourage research and even raise funds to finance it. I have been greatly moved by the strength of their actions.

This year has thus been strong and special because the Foundation has left its mark in the international scientific and above all social landscape by forging links with these families of children affected by MPS, particularly MPS III.

Corinne Fey-von Arx



## SAUVER LES ENFANTS

En août 2008, Stéphanie et Frédéric Morel apprenaient que leur fille Charlotte (aujourd'hui âgée de 8 ans) souffrait de la maladie de Sanfilippo, une affection génétique rare, dégénérative et incurable. Désespérés par ce terrible diagnostic, ils décident, en novembre 2008, de créer la Fondation Sanfilippo Suisse pour lutter contre cette maladie. 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'intérieur, à Berne.

## SAVING CHILDREN

In August 2008, Stéphanie and Frédéric Morel learned that their daughter Charlotte (today aged 8) suffered from Sanfilippo disease, a rare degenerative and incurable genetic disorder. Distraught by this terrible diagnosis, they decided in November 2008, to create the Sanfilippo Foundation Switzerland to fight against the disease. A nonprofit foundation under Swiss private law, tax exempt and recognised as community service, it is listed in the Trade Register and placed under the supervision of the Federal Department of Home Affairs in Bern.



# LA FONDATION EN RÉSUMÉ THE FOUNDATION IN BRIEF

## Deux objectifs

1. Favoriser, développer, financer et promouvoir toute action de recherche scientifique visant à apporter des solutions thérapeutiques efficaces aux enfants atteints de mucopolysaccharidose;
2. Mener une campagne active de sensibilisation afin de faire connaître et reconnaître la problématique des maladies rares, plus particulièrement la maladie de Sanfilippo.

## Des valeurs

1. Expertise et engagement du comité scientifique;
2. Encadrement et suivi sur le long terme des programmes sélectionnés et financés.

## Two Objectives

1. Encouraging, developing, financing and promoting all scientific research towards effective therapeutic solutions for children affected by Mucopolysaccharidosis;
2. Conducting an active awareness campaign to disseminate information and increase knowledge on the problems of rare diseases, particularly Sanfilippo disease.

## Values

1. Expertise and commitment of the scientific committee;
2. Long term supervision and monitoring of selected and funded programs.

## APPEL DE PROJETS DE RECHERCHE

La Fondation Sanfilippo Suisse 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.

## CALL FOR RESEARCH PROPOSALS

The Sanfilippo Foundation Switzerland is issuing its call for proposals to support research projects focused on innovative therapeutic approaches for Sanfilippo syndrome (MPS III), in particular research programs from Swiss researchers.

## LA MALADIE DE SANFILIPPO OU SYNDROME DE SANFILIPPO

La maladie de Sanfilippo ou syndrome de Sanfilippo est une maladie génétique rare.

Près de 30 millions de personnes en Europe souffrent de l'une des 7'000 maladies rares identifiées à ce jour. En Suisse, cela représente approximativement 500'000 personnes touchées, c'est-à-dire 6,5% de la population.

La maladie de Sanfilippo portant le nom du Dr Sylvester Sanfilippo qui en a décrit les conditions en 1963, se manifeste chez les enfants souffrant d'une déficience de l'une des quatre protéines digestives (enzymes) conduisant à l'accumulation du sulfate d'héparane dans des compartiments cellulaires nommés lysosomes. Le sulfate d'héparane est une macromolécule qui appartient à la famille des mucopolysaccharides qui sont d'une importance essentielle pour le fonctionnement cellulaire normal.

Le sulfate d'héparane s'accumule principalement dans les cellules du cerveau. Cette accumulation se traduit par une atteinte très importante du système nerveux aboutissant au décès en règle générale entre l'âge de 10 à 20 ans car il n'existe aucun traitement à ce jour pour cette maladie.

La maladie de Sanfilippo est une mucopolysaccharidose (MPS) de type III (MPS III).

On classe la MPS III en quatre sous-types selon le déficit enzymatique impliqué :

- MPS III sous-type A : déficit de l'héparan N-sulfatase ou N-sulfoglucosamine sulfohydrolase (SGSH)
- MPS III sous-type B : déficit de l'alpha-N-acétylglicosaminidase (NAGLU)
- MPS III sous-type C : déficit de l'alpha-glucosaminide N-acétyltransférase (HGSNAT)
- MPS III sous-type D : déficit de la N-acétylglicosamine-6-sulfatase (GNS)

Le mode de transmission est autosomique récessif pour les quatre types.

## SANFILIPPO DISEASE OR SANFILIPPO SYNDROME

The Sanfilippo disease or Sanfilippo syndrome is a rare genetic disease.

Nearly 30 million people in Europe suffer from one of the 7,000 rare diseases identified to date. In Switzerland, this represents approximately 500,000 patients affected, making up 6,5% of the population.

Sanfilippo disease is named after Dr. Sylvester Sanfilippo who described the condition in 1963. The disease affects children that present a deficiency in one of the four digestive proteins (enzymes) leading to the accumulation of heparan sulfate in cellular compartments known as lysosomes. Heparan sulfate is a macromolecule belonging to the family of the Mucopolysaccharides which are vital for the normal functioning of the cell.

Heparan sulfate accumulates mainly in brain cells causing major damage to the nervous system. The life expectancy of an affected child generally is around 10 and 20 years, as there is, as yet, no cure for the disease.

Sanfilippo disease is a Mucopolysaccharidosis (MPS), of type III (MPS III).

MPS III is divided into four sub-types depending on the enzyme deficiency involved:

- MPS III sub-type A: deficit of heparan N-sulfatase ou N-sulfoglucosamine sulfohydrolase (SGSH)
- MPS III sub-type B: deficit of alpha-N-acetylglucosaminidase (NAGLU)
- MPS III sub-type C: deficit of alpha-glucosaminide N-acetyltransferase (HGSNAT)
- MPS III sub-type D: deficit of N-acetylglucosamine-6-sulfatase (GNS)

The mode of transmission is autosomal recessive for all four types.

# TRANSMISSION D'UNE MALADIE AUTOSOMIQUE RÉCESSIVE

## TRANSMISSION OF AN AUTOSOMAL RECESSIVE DISEASE

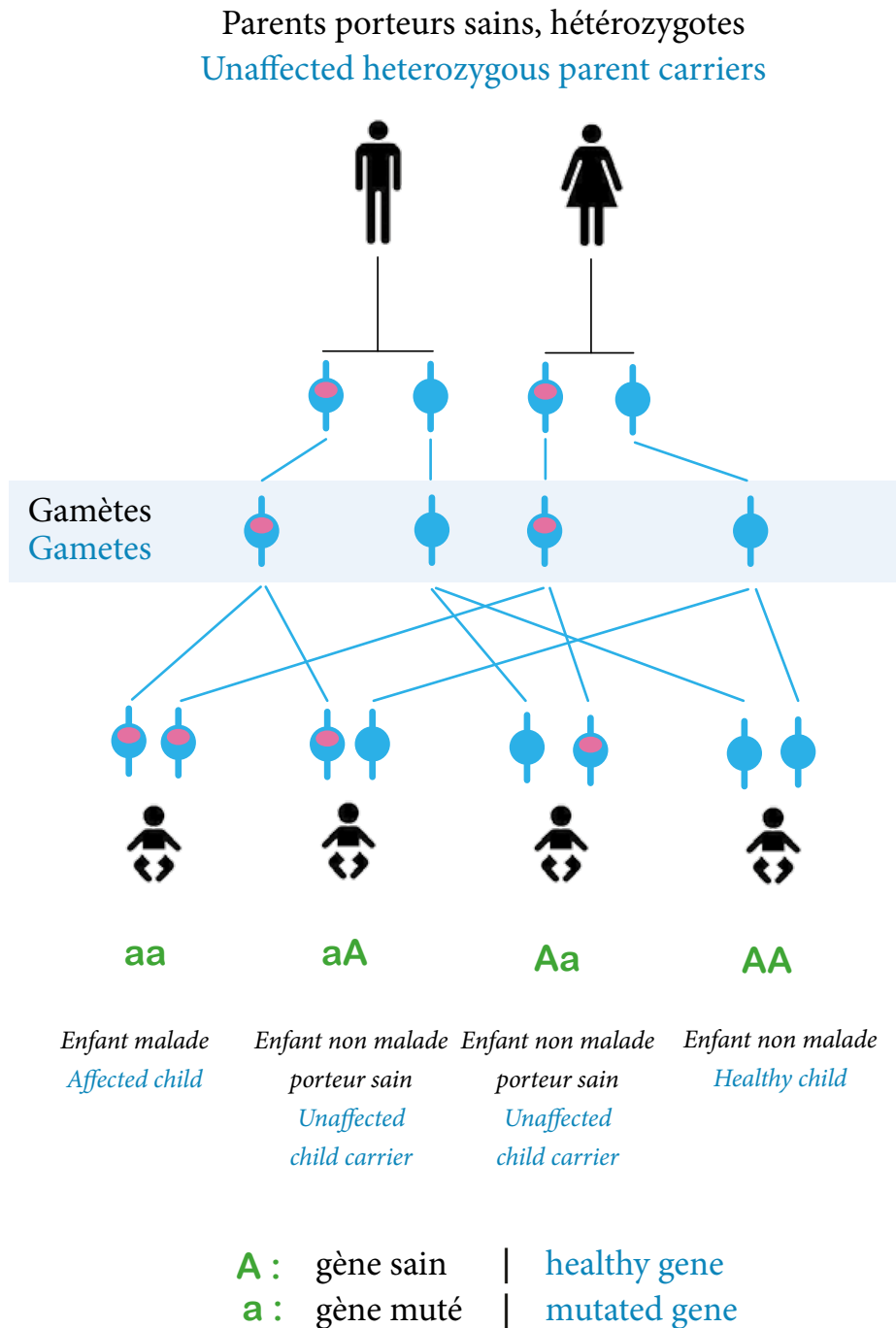


Schéma © Eddie Baret, Alliance Sanfilippo



Elouan

Laura

Image: Sarah Kheffi

**COMPRENDRE ET TRAITER**  
**UNDERSTANDING AND TREATMENT**

# LES AXES DE RECHERCHE DE 2008 À 2010

## LINES OF RESEARCH FROM 2008 TO 2010

### La greffe de moelle osseuse

---



(Travaux de recherche par le Dr Adeline Lau, Université d'Adélaïde, Australie)

Les études réalisées par le Dr Adeline Lau au Women's and Children's Hospital, Adélaïde, Australie, ont montré 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 de lésions neurologiques. Bien que la transplantation de moelle osseuse soit utilisée avec succès dans plusieurs désordres d'accumulation lysosomale, l'étude a conclu que cette approche ne constitue pas une approche cliniquement exploitable pour la MPS III.

### Bone marrow transplantation

---

(Research work by Dr. Adeline Lau, University of Adélaïde, Australia)

Studies carried out by Dr. Adeline Lau at the Women's and Children's Hospital, Adélaïde, Australia, have shown that bone marrow transplantation from healthy mice to baby mice which in time will develop Sanfilippo disease, do not prevent or delay the apparition of neurological lesions. Although bone marrow transplantation are used with success in several lysosomal storage disorders, the study concluded that this approach does not constitute a clinically useful approach for MPS III.

2008-2009 CHF 30'000

---

### La thérapie génique intracérébrale

---



(Programme organisé par Lysogène, le Téléthon France et le Pr Marc Tardieu, Hôpital Necker-Enfants Malades et Hôpital Kremlin Bicêtre, Paris)

Le démarrage du premier essai clinique de thérapie génique de phase I/II pour les enfants atteints de MPS IIIA est le grand événement de cette année 2011 en Europe. Le principe de la thérapie génique consiste en l'introduction d'un gène correcteur dans le cerveau des enfants malades qui doit conduire à la production de l'enzyme déficiente dans le tissu du système nerveux central. L'essai clinique SAF-301 conduit par le Pr Tardieu sur quatre enfants atteints par cette forme de la maladie de Sanfilippo vise à évaluer la bonne tolérance au traitement proposé pendant une période d'observation. Si les résultats s'avèrent concluants, la phase clinique III sera alors programmée sur un plus grand nombre d'enfants en 2013.

### Intracerebral gene therapy

---

(Program organised by Lysogene, the Téléthon France and Prof. Marc Tardieu, Hôpital Necker-Enfants Malades and Hôpital Kremlin Bicêtre, Paris)

The start of the first clinical trial of phase I/II gene therapy for children suffering from MPS IIIA was a marked event for 2011 in Europe. The principle of gene therapy consists of introducing a corrector gene into the brain of sick children which should lead to the production of the missing enzyme in the tissue of the central nervous system. The SAF-301 clinical trial conducted by Prof. Tardieu on four children affected by this form of Sanfilippo disease aimed to evaluate the tolerance to the treatment proposed during the observation period. If the results prove conclusive, a clinical phase III trial will then be extended to a larger number of children in 2013.

2009-2010 CHF 101'085

---

# LES AXES DE RECHERCHE DE 2008 À 2010

## LINES OF RESEARCH FROM 2008 TO 2010

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



(Conduit par le groupe franco-britannique du Pr Matthieu Sollogoub, UMPC Université Paris 6, UMR CNRS 6514, Poitiers, France, Glycobiology Institute, Oxford, UK)

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

Au cours de 2011 une série de composés ont été synthétisés et évalués dans plusieurs tests enzymatiques et cellulaires. Il a été une grande satisfaction d'observer que deux molécules se sont effectivement révélées être des inhibiteurs spécifiques de la N-acétylglucosaminidase. Plus réjouissant encore, l'un de ces deux composés, appelé simplement beta, s'est avéré être capable de restaurer l'activité de l'enzyme incriminée. C'est la première fois qu'il a été montré avec succès que l'activité de la N-acétylglucosaminidase peut être restaurée de manière spécifique avec un chaperon moléculaire. Les prochaines étapes du projet vont consister à améliorer les caractéristiques pharmacologiques de cette molécule, en particulier sa capacité à atteindre le système nerveux central, ainsi qu'à augmenter son efficacité et sa spécificité. L'objectif est d'évaluer l'une de ces molécules dans un modèle animal de la maladie de Sanfilippo afin de déterminer si ces nouveaux composés constituent effectivement des candidats de substances médicamenteuses qui pourraient être testés en clinique.

Un brevet protégeant ces molécules a été rédigé et soumis à l'Office européen des brevets.

### The development and evaluation of chemical chaperones of N-acetylglucosaminidase

(Conducted by Prof. Matthieu Sollogoub's Franco-British group, UMPC Université Paris 6, UMR CNRS 6514, Poitiers, France, Glycobiology Institute, Oxford, UK)

This ongoing research and development project led by Prof. Sollogoub consists of developing glycosidic inhibitors of N-acetylglucosaminidase, the missing enzyme in MPS IIIB. The idea consists of synthesizing small molecules called chemical chaperones, which are designed to correct the structure and the intracellular transport of certain mutated forms of the nonfunctional enzyme in patients suffering from this form of Sanfilippo disease (MPS IIIB). The objective of this work is to restore the capacity to break down heparan sulfate.

In 2011 a series of compounds were synthesised and evaluated in several enzyme and cell tests. It was rewarding to observe that the two molecules turned out to act as specific inhibitors of N-acetylglucosaminidase. Even more encouraging, one of the two compounds, simply called beta, was found to restore the activity of the incriminated enzyme. It is the first clear proof that the activity of N-acetylglucosaminidase can be restored by the specific action of a molecular chaperone. The ensuing stages of the project will consist of improving the pharmacological characteristics of this molecule, in particular its capacity to reach the central nervous system, as well as increasing its efficacy and its specificity. The objective is to evaluate one of these molecules in an animal model of Sanfilippo disease in order to determine if these new compounds are effective candidate substances for medical use and ready for clinical testing.

A patent protecting these molecules has been drafted and filed with the European Patent Office.

# LES AXES DE RECHERCHE EN 2011

## LINES OF RESEARCH IN 2011

### Etude de l'activité thérapeutique du tréhalose dans les MPS

---



(Essai dirigé par l'équipe du Pr Marco Sardiello, Texas Children's Hospital, Houston, Texas, USA)

L'équipe du Pr Marco Sardiello travaille sur les mécanismes de formation des lysosomes. Récemment, ces chercheurs ont découvert qu'un programme génétique contrôle le recyclage cellulaire par la régulation de la biogenèse et la fonction des lysosomes. Les chercheurs ont identifié un gène, appelé TFEB, qui agit comme un moteur moléculaire pour la plupart des gènes qui exercent des fonctions lysosomales. L'équipe a démontré qu'en augmentant la quantité de TFEB, les cellules sont poussées à fabriquer plus de lysosomes et, par conséquent, renforcent leur capacité de dégradation.

Ce projet vise à tester si l'augmentation de la capacité de dégradation cellulaire au moyen du gène TFEB pourrait constituer une approche thérapeutique pour la maladie de Sanfilippo. L'objectif final est d'identifier des composés capables d'activer TFEB afin d'obtenir une activité accrue dans les cellules où la fonction des lysosomes est altérée en raison d'un défaut génétique. Ces composés seraient alors étudiés en tant que candidats de médicaments dans des essais pré-cliniques in vitro et dans des modèles animaux de la maladie de Sanfilippo.

### Study of the therapeutic action of trehalose in MPS

---

(Trial led by the team of Prof. Marco Sardiello, Texas Children's Hospital, Houston, Texas, USA)

Prof. Marco Sardiello's team is working on lysosome formation mechanisms. Recently, these researchers have discovered that a genetic program controls cellular recycling by regulating biogenesis and lysosome function. The researchers have identified a gene known as TFEB which acts as a molecular driver for most of the genes with lysosomal functions. The team has shown that increasing the quantity of TFEB causes the cells to produce more lysosomes and consequently reinforce their breakdown capacity.

This project aims to test whether increasing cellular breakdown capacity using the TFEB gene could constitute a therapeutic approach for Sanfilippo disease. The final objective is to identify compounds capable of activating TFEB in order to obtain increased cellular activity where lysosome function is compromised because of a genetic defect. These compounds would then be studied as drug candidates in preclinical in vitro trials and in animal models of Sanfilippo disease.

---

2010-2011 CHF 48'110

# LES AXES DE RECHERCHE EN 2011

## LINES OF RESEARCH IN 2011

Développement d'inhibiteurs de la galactosidase  $\beta$  et de la glucuronidase  $\beta$  comme candidats de molécules chaperons dans des modèles in vitro des syndromes de Morquio B et de Sly.



(Programme mené par le laboratoire du Pr Olivier Martin, Université d'Orléans, France)

L'objectif de ce projet est le développement d'inhibiteurs spécifiques de la galactosidase  $\beta$  et de la glucuronidase  $\beta$ , deux enzymes dont les formes mutées causent le syndrome de Morquio B (MPS IVB) et le syndrome de Sly (MPS VII). Ces deux enzymes contrôlent respectivement la dégradation du sulfate de kératane et des glycosaminoglycans contenant des résidus d'acide uroniques. Lorsque l'activité de ces deux enzymes est perdue ou fortement diminuée suite à des mutations, ces grosses structures glucidiques s'accumulent dans l'organisme et conduisent au développement de ces deux syndromes dévastateurs pour les individus touchés. À l'heure actuelle il n'existe aucun traitement pour ces deux mucopolysaccharidoses.

L'hypothèse de travail de ce projet est que des inhibiteurs de ces deux enzymes puissent agir comme chaperons moléculaires et conduire, pour certaines mutations, à une récupération d'une partie de l'activité enzymatique.

Le travail expérimental qui a maintenant débuté consiste tout d'abord en l'élaboration et la synthèse de molécules pouvant potentiellement être des inhibiteurs de la galactosidase  $\beta$  et de la glucuronidase  $\beta$  et ce en utilisant comme point de départ des molécules inhibant l'activité d'enzymes semblables. Une fois ces molécules produites elles seront testées sur des enzymes purifiées afin de caractériser leur spécificité, ainsi que sur des cellules dérivées de patients affectés par les syndromes de Morquio B et de Sly, ce dans le but de déterminer si ces activités enzymatiques peuvent être en partie restaurées. Il est attendu que ce travail se déroule sur une période d'un an.

Development of inhibitors of galactosidase  $\beta$  and the glucuronidase  $\beta$  as candidate molecular chaperones in in-vitro models of Morquio B and Sly syndromes.

(Program conducted by the laboratory of Prof. Olivier Martin, University of Orleans, France)

The objective of this project is the development of specific inhibitors of galactosidase  $\beta$  and glucuronidase  $\beta$ , two enzymes whose mutated forms cause Morquio B syndrome (MPS IVB) and Sly syndrome (MPS VII). These two enzymes respectively control the breakdown of keratan sulfate and glycosaminoglycans containing residues of uronic acid. When the activity of these two enzymes is lost or strongly diminished following mutations, the large glucidic structures accumulate in the organism and lead to the development of these two devastating syndromes for affected individuals. To date there is no treatment for these two types of mucopolysaccharidosis.

The project's working hypothesis is that the inhibitors of these two enzymes would act as molecular chaperones and for certain mutations lead to partial recovery of enzymatic activity.

The experimental work already in progress consists first of all of elaborating and synthesizing potential inhibitors of galactosidase  $\beta$  and glucuronidase  $\beta$  starting from molecules which inhibit the activity of similar enzymes. Once the molecules are produced they will be tested on purified enzymes in order to characterise their specificity, and on cells derived from patients suffering from Morquio B and Sly syndromes, in order to determine if the enzymatic activities can be partially resorted. This work is expected to last one year.

2011-2012 CHF 36'000





*Du 8 au 10 décembre 2011, la Fondation Sanfilippo Suisse, ses sponsors et partenaires, ont tenu le premier congrès international sur le thème de la recherche vers un traitement des mucopolysaccharidoses (MPS) au Centre International de Conférences Genève (CICG).*

*From the 8th to 10th of December the Sanfilippo Foundation Switzerland together with its sponsors and partners, held the first international congress based on the theme of Research into Treatment for Mucopolysaccharidosis (MPS) at the International Conference Centre Geneva (CICG).*



Images: Enzo Capaccio

# CONGRÈS INTERNATIONAL MPS 2011 2011 INTERNATIONAL MPS CONGRESS

# CONGRÈS INTERNATIONAL MPS 2011

## 2011 INTERNATIONAL MPS CONGRESS

### Objectifs

- Identifier les dernières recherches prometteuses et innovantes pour tenter de traiter les MPS ;
- Informer les familles, les médecins, les entreprises de biotechnologie, les start-up sur les traitements thérapeutiques et rendre l'information publique ;
- Stimuler les échanges entre les familles et le corps médical;
- Donner un espace aux parents et aux enfants pour se connaître, se parler, s'entraider.

### Objectives

- Identifying the latest promising and innovative research in an attempt to treat MPS;
- Informing families, medical staff, biotechnology companies, and start-ups about the therapies and making the information public;
- Stimulating exchange between families and medical professionals;
- Giving parents and children an area to meet, talk and help each other.



Participants

Images: Erizo Capaccio



Pr Marc Tardieu et Audey Butstraen



Karen Aiach

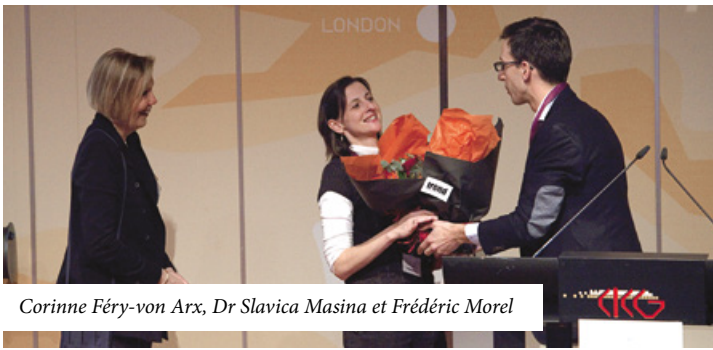


Pr John Hopwood , Cecilia Medrano et Pr Alexey Pshezhetsky

### SPONSORS | SPONSORS



## FAITS ET CHIFFRES | FACTS AND FIGURES



Corinne Féry-von Arx, Dr Slavica Masina et Frédéric Morel



Pr Daniel Shermann et Pr Dao Pan



Christophe Maier et Dr Robin Jackman



Dr Olivier Menzel, Pr Matthieu Sollogoub et Dr Stéphane Demotz

Images: Enzo Capaccio

Un des moteurs de l'organisation de la conférence était le désir d'établir une passerelle entre les familles et les chercheurs.

Cette rencontre a rassemblé plus de 125 participants dont une soixantaine de scientifiques venant d'organismes de recherche internationaux, d'universités, d'institutions de la santé, et de l'industrie. Parmi les scientifiques, 27 sont venus des pays de l'Union européenne (dont 12 de France), 27 venaient de Suisse et 8 avaient fait le voyage des États-Unis, du Canada et d'Australie.

36 familles ont répondu à notre appel, provenant de France (9), de Suisse (4), d'Espagne (4), de Turquie (4), de Russie (3), du Portugal (2), de Bosnie-Herzégovine (2), des États-Unis (2), d'Argentine (1), d'Italie (1), de Grande-Bretagne (1), de Pologne (1), d'Irlande (1), et de Biélorussie (1).

Un programme social et d'activités a été conçu par l'équipe d'éducateurs de la Fondation Cap Loisirs pour 7 enfants Sanfilippo A et B de 6 à 10 ans et soutenu par la Fondation Etoile Filante.

Par ailleurs, 3 adultes atteints de MPS IV A et VI ont suivi les présentations de la conférence.

One of the Catalysts of the Conference was the Desire to Establish a Bridge between Families and Researchers.

This meeting brought together over 125 participants including some sixty scientists from international research organisations, universities, health institutions, and private industry. Among the scientists, 27 came from European Union countries (12 of them from France), while 27 were from Switzerland and 8 made the trip from the USA, Canada and Australia.

36 families answered our invitation coming from France (9), Switzerland (4), Spain (4), Turkey (4), Russia (3), Portugal (2), Bosnia-Herzegovina (2), the USA (2), Argentina (1), Italy (1), Great Britain (1), Poland (1), Ireland (1), and Belarus (1).

The educational team of the Cap Loisirs Foundation designed a social activities program for 7 Sanfilippo A and B children, aged from 6 to 10 years. The program was sponsored by the Etoile Filante Foundation.

Furthermore, 3 adults with MPS IV A and VI also attended the presentations of the conference.





Image: Enzo Cappaccio

## PARTICIPATION INTERNATIONALE

Le congrès a débuté avec les allocutions de bienvenue du Dr Elizabeth Mason, Organisation Mondiale de la Santé (OMS), du Pr Jacques-André Romand, Médecin Cantonal de Genève, du Dr Loredana d'Amato Sizonenko, Responsable de la plateforme Orphanet en Suisse, et de M. Dominique Dunant, Président, Carigest SA.

Parmi les intervenants du programme scientifique on comptait les présentations majeures du Pr John Hopwood, Women's and Children's Hospital, Adélaïde, Australie, du Dr Patrick Haslett, Shire Human Genetic Therapies, Massachusetts, USA, du Pr Marc Tardieu, Hôpital Bicêtre, Paris et du Prof. Lena Kjellen, Université d'Uppsala, Suède.

Vingt conférenciers complétaient ce programme, chercheurs issus des universités de Graz, Gdansk, Padoue, Orléans, Paris, Barcelone, Manchester, Montréal, Houston, Cincinnati, Columbus, de l'École Polytechnique Fédérale de Lausanne, ainsi que des représentants de l'industrie pharmaceutique tels que Lysogene, Shire, Zacharon et Orphazyme de même que l'Association Française contre les Myopathies, la Fondation Blackswan et la Gebert Rüt Stiftung basées toutes deux en Suisse.

## INTERNATIONAL PARTICIPATION

The congress opened with welcoming speeches by Dr. Elizabeth Mason of the World Health Organisation (WHO), Prof. Jacques-André Romand, Geneva State General Surgeon, Dr. Loredana d'Amato Sizonenko, Head of the Orphanet platform in Switzerland, and Mr. Dominique Dunant, President of Carigest SA.

The scientific program included major presentations by Prof. John Hopwood, Women's and Children's Hospital, Adelaide, Australia; Dr. Patrick Haslett, Shire Human Genetic Therapies, Massachusetts, USA; Prof. Marc Tardieu, Bicêtre Hospital, Paris and Prof. Lena Kjellen, University of Uppsala, Sweden.

Twenty other speakers completed this program - researchers from the universities of Graz, Gdansk, Padua, Orleans, Paris, Barcelona, Manchester, Montreal, Houston, Cincinnati, Columbus, the Ecole Polytechnique Fédérale de Lausanne; representatives of the pharmaceutical industry such as Lysogene, Shire, Zacharon and Orphazyme and the Association Française contre les Myopathies, as well as the Swiss based Blackswan Foundation and the Gebert Rüt Stiftung.



## BILAN ENCOURAGEANT

- Les recherches avancent et donnent des résultats, il est raisonnable d'espérer qu'un traitement puisse être trouvé dans un avenir proche;
- Le premier essai de thérapie génique fin 2011 pour les enfants atteints de MPS IIIA est une percée scientifique mondiale et un espoir immense pour les familles;
- Le congrès a conduit à la future coopération entre deux équipes de chercheurs des États-Unis et de Grande-Bretagne;
- Le projet d'un futur congrès est lancé en partenariat avec une autre association de parents;
- La Fondation a reçu de nouveaux projets de recherche à examiner;
- Les différentes associations de parents présentes sont plus que jamais soudées et coordonnent leurs actions.

## ENCOURAGING RESULTS

- Research is making progress and producing results; it is reasonable to hope that a treatment can be found in the near future;
- The first gene therapy trial at the end of 2011 for children suffering from MPS IIIA is a world scientific breakthrough and a great hope for families;
- The congress has led to future cooperation between two teams of researchers from the USA and Great Britain;
- Plans for a future congress have been made in partnership with another association of parents;
- The Foundation has received new research projects for consideration;
- The various parents' associations present joined efforts to coordinate their actions.

« Je voudrais vous remercier chacun personnellement et la Fondation Sanfilippo pour ce remarquable congrès. Nous avons été parfaitement bien accueillis et le congrès rassemblant ainsi quasi tous les spécialistes du champ a été particulièrement utile ».

*Professeur Marc Tardieu, Université Paris Sud, Hôpitaux universitaires Paris Sud, Institut Pasteur et INSERM, France.*

« I would like to thank everyone personally and the Sanfilippo Foundation for this remarkable congress. We were very well received and the congress was particularly useful in bringing together all the specialists in the field ».

*Professor Marc Tardieu, Université Paris Sud, Hôpitaux universitaires Paris Sud, Institut Pasteur and INSERM, France.*

« ...Je voudrais dire que c'était la conférence des traitements futurs des MPS, la conférence de l'espoir ... C'était très utile pour tous les parents d'enfants MPS du monde entier. Je suis très heureuse de pouvoir partager toutes mes notes avec les parents russes. J'ai été impressionnée par l'attitude à l'égard des enfants atteints de MPS. En Russie, les médecins se sentent juste désolés pour eux et disent qu'il n'y a rien à faire. À Genève, j'ai appris que nous ne devrions pas être simplement désolés pour eux, que nous devons les aimer et nous battre pour eux autant que nous le pouvons. Je vous remercie de m'avoir appris cela ! ».

*Tatiana Dmitrieva, Russie, mère de deux enfants MPS IIIA*

« ..I could say that it was the conference of MPS future treatment, the conference of hope ... It was very useful for all parents of children with MPS worldwide. I am very happy to be able to share all my notes with Russian parents. I was impressed by the attitude with regard to children suffering from MPS. In Russia, doctors merely feel sorry for them and say there is nothing they can do. In Geneva, I learnt that we should not simply feel sorry for them; we should love them and fight for them as much as we can. I thank you for having taught me that! ».

*Tatiana Dmitrieva, Russia, mother of two children with MPS IIIA*

« ... Nous apprécions votre dévouement et vos efforts de sensibilisation pour soutenir la recherche concernant Sanfilippo. Nous allons continuer à travailler sur nos projets de thérapie génique pour Sanfilippo A et B. Le congrès a également contribué à nous conduire à coopérer avec une autre équipe sur le développement de la thérapie génique Sanfilippo C. Nous croyons qu'ensemble, nous allons atteindre notre objectif, le développement de thérapies pour traiter ces maladies dévastatrices et améliorer la qualité de vie de ces enfants et leurs familles ».

*Dr Haiyan Fu, Dr Douglas McCarty, Centre de thérapie génique, Institut de recherche au Nationwide Children's Hospital, Université de l'Etat de l'Ohio, Columbus, Ohio, USA*

« ... We really appreciate your dedication and efforts to raise awareness of and to support Sanfilippo research. We will keep working on our gene therapy projects for Sanfilippo A and B. The meeting also led to our collaboration with another team on developing Sanfilippo C gene therapy. We believe that together we will achieve our goal, developing therapies to treat these devastating diseases and improve the quality of life for these children and their families ».

*Dr. Haiyan Fu, Dr. Douglas McCarty, Center For Gene Therapy, The Research Institute at Nationwide Children's Hospital, The Ohio State University, Columbus, Ohio, USA*

## CK FROM SCIENTISTS AND FAMILIES

« ..Je suis très heureuse de savoir que je ne suis pas seule et que d'autres parents sont concernés et partagent mes préoccupations et cela m'aide à vivre ! ».

*Natalia Arakcheeva, Biélorussie, mère d'un enfant MPS IIIA*

« ..I am very happy to know that I am not alone and that other parents face and shared my concerns and that helps me live! ».

*Natalia Arakcheeva, Belarus, mother of one child with MPS IIIA*

« Le congrès international MPS 2011 de Genève a été un véritable succès et j'ai été inspirée par le fort soutien des familles de patients ».

*Professeur Dao Pan, Département de pédiatrie, Université de Cincinnati, Cincinnati, Ohio, USA*

« The MPS 2011 International Congress in Geneva was truly a successful meeting and I was inspired by the strong support from patient family ».

*Professor Dao Pan, Department of paediatrics, University of Cincinnati, Cincinnati, Ohio, USA*

« A Genève, nous avons compris que nos enfants peuvent avoir un avenir. Merci de tout cœur pour cela. Maintenant, nous avons plus de force pour lutter ».

*Cristina Sanchez Sala et Emilio Lopez Alvarez, Stop Sanfilippo, Barcelone, Espagne, parents d'un enfant MPS IIIB*

« In Geneva, we understood that our children can have a future. I give you heartfelt thanks for that. Now we have more strength to fight on ».

*Cristina Sanchez Sala and Emilio Lopez Alvarez, Stop Sanfilippo, Barcelona, Spain, parents of a child with MPS IIIB*

Charlotte



*« ....Quelle émotion de vous voir si nombreux à ce troisième Gala de la Fondation Sanfilippo. Ensemble nous progresserons... ensemble, déjouons le temps,...j'ai confiance !... »*

*S.A.I.R. Comtesse Massimiliano Secco d'Aragona,  
Présidente d'honneur du Gala*

*“ ....I am very moved to see so many of you here, for the third Gala of the Sanfilippo Foundation. Together we will make progress ... together, let us thwart time,...I'm confident!... »*

*H.I.R.H. Countess Massimiliano Secco d'Aragona,  
Honorary Gala Chairperson*

**EN PARLER C'EST COMMENCER À AGIR**  
**TALKING ABOUT IT, A FIRST STEP TOWARD ACTION**



# GALA SANFILIPPO / SANFILIPPO GALA

Twinkle Twinkle Little Stars Organisation | Organization : Blue Heron Productions



Image: Shooting Deluxe

## TOUJOURS PLUS NOMBREUX

Cette troisième édition du gala Sanfilippo s'est déroulée le dimanche 13 novembre 2011 au Grand Hôtel Kempinski de Genève avec le généreux soutien des banques Hinduja et J. Safra. Plus de 230 invités, sponsors et personnalités, familles, accompagnées de 120 enfants sont venus soutenir la cause des enfants souffrant de la maladie de Sanfilippo. Le nombre de participants est croissant d'année en année, toujours plus nombreux à unir leurs forces pour la recherche.

Présentée par Nev'eda Tegin, ce gala a eu plusieurs temps forts. Axel et Alizée, deux jeunes danseurs âgés de 9 ans, gagnants 2010 de l'émission de variétés « La France a un incroyable talent » ont donné une prestation unique, pleine de joie de vivre. Un défilé de mode a été mis en scène par Claire Vasfi (boutique V-Young) rassemblant enfants et mamans. Ces modèles d'un jour ont réjoui les invités. Caspita a lancé durant ce gala le bracelet spécialement créé pour la Fondation Sanfilippo Suisse. Une vente aux enchères conduite par Caroline Lang de Sotheby's et une tombola ont couronné cette journée exceptionnelle qui a permis, grâce à la générosité de tous, de rapporter la somme de CHF 130'000 destinée au financement du congrès MPS.

## EVER MORE NUMEROUS

This third edition of the Sanfilippo gala took place on Sunday 13th November 2011 at the Grand Hotel Kempinski Geneva with the generous contribution of the Hinduja Bank and J. Safra Bank. Over 230 guests, sponsors and personalities, families, accompanied by 120 children came to support the cause of children suffering from Sanfilippo disease. The number of participants increased every year, ever more numerous in joining forces for research.

The gala was introduced by Nev'eda Tegin, and had several highlights. Axel and Alizée, two nine-year-old dancers, winners of the 2010 talent contest "La France a un incroyable talent", gave an exceptional performance full of "joie de vivre". Claire Vasfi from V-Young Boutique organised a fashion show for children and mothers. The one-day models were a big success with the guests. The gala also saw the launch of Caspita's bracelet specially created for the Sanfilippo Foundation Switzerland. An auction sale directed by Caroline Lang from Sotheby's and a tombola completed this exceptional day which, thanks to everyone's generosity, raised the sum of CHF 130'000 that was used toward funding the MPS congress.

EVÉNEMENT ORGANISÉ GRÂCE À LA  
GÉNÉROSITÉ DE NOS SPONSORS  
EVENT ORGANIZED THANKS TO THE  
GENEROSITY OF OUR SPONSORS



HINDUJA BANK (SWITZERLAND) LTD

# GALA SANFILIPPO / SANFILIPPO GALA



Axel et Alizée



Victor Vidal



Frédéric Morel



Carolina Tardy et son fils



Namrita Hinduja et son fils



Ajay Hinduja et ses filles



Nevèda Tegin, Julien Clément, Kirsty et Ernesto Bertarelli et leur fille, Brad Butterworth et sa fille



Michèle et Jacob Safra



La salle des festivités



Carolina Tardy, Cristina Diamantini, Mary Hofstetter



Image: Enzo Capaccio

Sylvie Brunshwig et Arlène Bonnard



Image: Enzo Capaccio

Stéphanie Morel et son fils



Image: shooting Deluxe

Nadine Ayssoy et sa fille



Image: shooting Deluxe

Ricardo et Katia Radwanski et leur fils



Image: Enzo Capaccio

Charlotte Morel



Image: Enzo Capaccio

Suryia Hill et ses enfants



Image: shooting Deluxe

Eléonor Castellana, Stéphanie La Roche, Laurent Kyd, Anne Sonnex Kyd et Léonardo Castellana



Image: Enzo Capaccio

Claire Vasfi et le défilé des enfants



Image: Enzo Capaccio

Elie et Ludmila Joory

# LE DOCUMENTAIRE

«Les enfants de Sanfilippo»

*Un film réalisé par Mme Marie-Fleur Stalder*

Courant 2011, Mme Marie-Fleur Stalder a réalisé un documentaire sur les enfants atteints de la maladie de Sanfilippo.

Ce film va à la rencontre de familles dont les enfants sont atteints de MPS IIIA, B et C. Par de là les rires des enfants et l'effervescence des jours d'été quand le film a principalement été tourné, on comprend mieux la réalité des familles vivant avec des enfants atteints d'une maladie rare, évolutive, et à ce jour sans traitement. On y découvre que les quotidiens sont compliqués, les diagnostics parfois tardifs, l'éducation toujours modifiée et les rapports de fratrie transformés.

On y découvre aussi cet amour qui unit et rassemble, et les combats qui donnent des ailes. On y voit le deuil, le désespoir de l'absence de traitement. Le Pr Marc Tardieu, principal investigateur de l'essai de thérapie génique pour la maladie de Sanfilippo de type A, actuellement en cours, a également participé à ce documentaire.

Mme Marie-Fleur Stalder met ce matériel documentaire à disposition des associations, familles et des personnes ayant besoin de communiquer sur les maladies rares, et en particulier la maladie de Sanfilippo. Le film a été présenté en avant-première lors du congrès des MPS 2011 à Genève en décembre 2011, et est disponible en consultation sur Internet:

<http://youtu.be/RPG4w92Rgbl>

La Fondation Sanfilippo Suisse et la Loterie Romande ont soutenu ce projet.

# THE DOCUMENTARY

«The Sanfilippo Children»

*A documentary film by Mrs. Marie-Fleur Stalder*

In the course of 2011, Mrs. Marie-Fleur Stalder directed a documentary on children suffering from the Sanfilippo disease.

This film sought to show families whose children are affected by MPS IIIA, B and C. Above and beyond the laughs of the children and the effervescence of summer days when the film was mostly shot, we get a better idea of the reality of families living with children suffering from a rare, progressive and, so far, incurable disease. We discover the difficulties of daily life, of sometimes, late diagnosis, the modifications to this children's education and their changed relations with siblings.

We also discover the love that unites and keeps these families together, and their inspiring struggles. We see grief and despair at the lack of treatment. Prof. Marc Tardieu, head of the ongoing gene therapy trial of type-A Sanfilippo disease also participated in this documentary.

Mrs. Marie-Fleur Stalder has placed this documentary material at the disposal of associations, families and persons who need to communicate about rare diseases, and in particular Sanfilippo disease. The film was screened for the first time at the 2011 MPS Congress in Geneva in December 2011, and is available for online viewing:

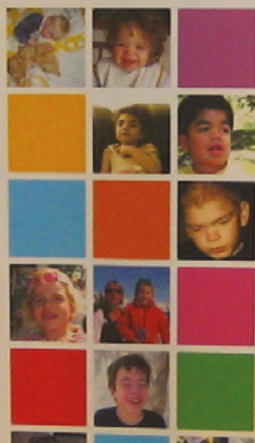
<http://youtu.be/RPG4w92Rgbl>

The Sanfilippo Foundation Switzerland and the Loterie Romande supported this project.





FONDATION  
SANFILIPPO  
Suisse



19 février 2011

## La première Journée internationale des maladies rares en Suisse

*Cette première journée nationale d'information sur les maladies rares organisée par ProRaris au Kursaal de Berne a réuni 450 participants sous la thématique de « l'inégalité d'accès aux soins ». La présence de plus de 30 associations de patients de maladies rares, dont la Fondation Sanfilippo Suisse, de professionnels de la santé, de scientifiques et de politiques a permis un échange pour les patients. « Cette journée historique constitue une première étape vers la reconnaissance de cette problématique en tant qu'enjeu majeur de santé publique en Suisse » a expliqué Esther Neiditsch, Présidente de ProRaris.*

19th February 2011

## The First International Rare Disease Day in Switzerland

*This first national day of information on rare diseases organised by ProRaris at the Kursaal in Bern brought together 450 participants with the theme of "Inequality of access to care". The presence of more than 30 associations of rare disease patients, including the Fondation Sanfilippo Switzerland, health professionals, scientists and politicians enabled a dialogue on behalf of patients. "This historical day constitutes a first stage towards recognizing this problem as a major public health issue for Switzerland" noted Esther Neiditsch, Chairwoman of ProRaris.*



LA FONDATION EN ACTION  
THE FOUNDATION IN ACTION

20 mars 2011

### Un concert pour la recherche

Le Chœur de Vernier, sous la direction de Franz Josefovski et accompagné par Isabelle Longchamp, a offert un très beau concert en faveur de la recherche sur la maladie de Sanfilippo. Au programme de ce concert, on trouvait aussi les prestations de Marie-Carmen Josefovski (soprano) et Yves Josefovski (ténor) ainsi que la jeune pianiste Victoria Slaboszewicz. Pour ce moment musical au Temple de la Madeleine à Genève, des œuvres de J. Brahms, R. Schumann, F. Mendelssohn et F. Liszt avaient été choisies. CHF 1'420 ont été versés à la Fondation.

20th March 2011

### A concert for Research

The Vernier Choir, directed by Franz Josefovski and accompanied by Isabelle Longchamp, offered a beautiful concert in aid of research on Sanfilippo disease. The concert program included performances by Marie-Carmen Josefovski (soprano) and Yves Josefovski (tenor) as well as the young pianist Victoria Slaboszewicz. The concert venue was the Temple de la Madeleine in Geneva, and comprised works by J. Brahms, R. Schumann, F. Mendelssohn and F. Liszt. The event raised CHF 1'420 for the Foundation.



4 mai 2011

### Humagora 2011

Philiass a organisé à Genève la 5ème édition d'Humagora. Plus de 300 personnes ont pris part à cette plateforme annuelle d'échange et de dialogue visant à créer des liens entre le secteur privé et le secteur à but non lucratif. Organisée sous forme d'exposition et de « marché », entreprises et associations se sont ainsi rencontrées, 60 organisations sélectionnées dont la Fondation Sanfilippo Suisse ont pu présenter les projets qu'elles désiraient mettre en place.

4th May 2011

### Humagora 2011

Philiass organised the 5th edition of Humagora in Geneva. More than 300 people took part in this annual platform for dialogue and information exchange aimed at forging links between the private and nonprofit sectors. Designed as an exhibit and a fair, it facilitated the encounter of businesses and associations; 60 organisations, including the Sanfilippo Foundation Switzerland, were invited to participate and were able to present projects they wished to implement.



14 mai 2011

### Bal Victoria Helvetica

La Société Philanthropique d'étudiants Victoria Helvetica est la plus jeune et dynamique des sociétés genevoises. Depuis 1986, dans un esprit d'amitié et de solidarité, elle organise chaque année un bal en faveur d'une action pour les enfants, en 2011 il a été dédié aux enfants atteints de la maladie de Sanfilippo.

14th May 2011

### Victoria Helvetica Ball

The student Philanthropic Society Victoria Helvetica is the youngest and most dynamic of Geneva's societies. Since 1986, in a spirit of friendship and solidarity, it organises a yearly ball in benefit of a children's charity. In 2011 it was dedicated to children suffering from Sanfilippo disease.





15 mai 2011  
Action Véhicules d'exception

Le Rotary Club de Bellegarde et l'Ecurie automobile « La Meute » ont organisé à Val Thoiry, France, leur troisième journée de voitures d'exception permettant le temps d'une journée de découvrir de magnifiques modèles et de participer à des baptêmes de la route. Ce rassemblement annuel de voitures historiques et de prestige a déjà permis d'offrir CHF 36'000 pour soutenir les programmes de recherche de la Fondation, dont CHF 10'992 pour cette édition 2011.

15th May 2011  
Action Outstanding Vehicles

The Rotary Club of Bellegarde and the Automobile Stable "La Meute" organised their third exceptional event day in Val Thoiry, France, featuring a classic car exhibition and passenger road baptisms. This annual gathering of historical and prestige cars has already raised CHF 36'000 in support of the Foundation's research programs with CHF 10'992 coming from the 2011 edition.



Image: Marc Guillemin

9 juin 2011  
L'Open des Décideurs

En 1996, la Journée Open des Décideurs a été créée par deux chefs d'entreprise afin de remercier leurs clients. Cette 16ème édition au Bâtiment des Forces Motrices à Genève a réuni à nouveau des entreprises partenaires voulant offrir à leurs invités des rencontres professionnelles permettant le développement économique de la région.

La journée avait pour thème « Les mobilités dans le futur vues par un philosophe et un futurologue », avec les participations de M. Luc Ferry, philosophe et ancien ministre français de l'Éducation nationale, et le Dr Pascal Feillard, PSA Peugeot Citroën. Comme chaque année, une organisation caritative a bénéficié de la générosité des partenaires, la Fondation Sanfilippo choisie pour cette édition, a reçu un généreux chèque de CHF 5'000 par le groupement des partenaires.

9th June 2011  
Open Day for Decision Makers

The Decision Makers Open Day was created in 1996 by two company leaders to thank their customers for their fidelity. This 16th edition at the Bâtiment des Forces Motrices in Geneva once again brought together partner companies wishing to offer their guests professional contacts to help the economic development of the region.

The Open Day's theme was "Future mobilities as seen by a philosopher and a futurologist", with the participation of Mr. Luc Ferry, philosopher and former French Minister of National Education, and Dr. Pascal Feillard, PSA Peugeot Citroën. A charitable organisation is chosen every year to benefit from the partners' generosity; this year the Sanfilippo Foundation Switzerland received a generous cheque for CHF 5'000 from the partner's group.



*Août 2011- Avril 2012*  
**Collaboration avec la  
 Fondation Compétences  
 Bénévoles**

La Fondation Compétences Bénévoles vient en aide aux organisations à but non lucratif et met à leur disposition des professionnels confirmés qui offrent leurs compétences à titre bénévole dans le cadre d'un projet précis. La Fondation Sanfilippo Suisse souhaitait le soutien de deux bénévoles, l'un qualifié pour la guider dans l'organisation logistique du congrès et l'autre dans la gestion de la communication face à cet événement mais également à plus long terme. Un manager en communication d'une entreprise active dans le domaine médical et une responsable d'un service de presse ont accompagné ce projet.

*August 2011- April 2012*  
**Collaboration with the  
 Compétences Bénévoles  
 Foundation**

The Compétences Bénévoles Foundation comes to the aid of nonprofit organisations by offering the services of experienced professionals who volunteer their skills for a given project. The Sanfilippo Foundation Switzerland required the support of two volunteers to help with the logistical planning of the congress and to assist in the management of the communication for this event. A corporate communication manager specialised in the medical field and a chief press officer assisted this project.



*Décembre 2011*  
**Une vidéo dans les TPG**

Pour la troisième année consécutive, la Fondation a engagé une campagne de sensibilisation sur la maladie de Sanfilippo avant Noël au moyen d'une vidéo diffusée dans les transports publics genevois (TPG).

Par ailleurs, des affiches sont gracieusement postées en permanence au parking du Mont-Blanc à Genève.

*December 2011*  
**A Video in the TPG**

For the third year running, before Christmas, the Foundation undertook an awareness campaign about Sanfilippo disease. It consisted of a video displayed in the Geneva Public Transports (TPG) system.

Moreover, posters are graciously displayed on a permanent basis in the Mont-Blanc car-park in Geneva.





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

MOORE STEPHENS REFIDAR SA  
Rue du Rhône 65  
Case postale 3359  
1211 Genève 3  
Tél : +41 (0)22 908 65 65  
Fax : +41 (0)22 908 65 55  
e-mail : geneva@moorestephens.ch  
www.moorestephens.ch

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 2011.

Ces états financiers relevant de la responsabilité du Conseil de Fondation ainsi que notre responsabilité consistant 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 310 (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 26 mars 2012

MOORE STEPHENS REFIDAR SA



Jacques Grossen  
Expert Révisur agréé



Grégoire Etienne

## RAPPORT FINANCIER FINANCIAL REPORT

Annexes : comptes annuels

Membre de la Chambre fédérale  
Ar. Jug. no. 2009, n. 114, 115, 116, 117, 118, 119, 120, 121, 122, 123, 124, 125, 126, 127, 128, 129, 130, 131, 132, 133, 134, 135, 136, 137, 138, 139, 140, 141, 142, 143, 144, 145, 146, 147, 148, 149, 150, 151, 152, 153, 154, 155, 156, 157, 158, 159, 160, 161, 162, 163, 164, 165, 166, 167, 168, 169, 170, 171, 172, 173, 174, 175, 176, 177, 178, 179, 180, 181, 182, 183, 184, 185, 186, 187, 188, 189, 190, 191, 192, 193, 194, 195, 196, 197, 198, 199, 200, 201, 202, 203, 204, 205, 206, 207, 208, 209, 210, 211, 212, 213, 214, 215, 216, 217, 218, 219, 220, 221, 222, 223, 224, 225, 226, 227, 228, 229, 230, 231, 232, 233, 234, 235, 236, 237, 238, 239, 240, 241, 242, 243, 244, 245, 246, 247, 248, 249, 250, 251, 252, 253, 254, 255, 256, 257, 258, 259, 260, 261, 262, 263, 264, 265, 266, 267, 268, 269, 270, 271, 272, 273, 274, 275, 276, 277, 278, 279, 280, 281, 282, 283, 284, 285, 286, 287, 288, 289, 290, 291, 292, 293, 294, 295, 296, 297, 298, 299, 300, 301, 302, 303, 304, 305, 306, 307, 308, 309, 310, 311, 312, 313, 314, 315, 316, 317, 318, 319, 320, 321, 322, 323, 324, 325, 326, 327, 328, 329, 330, 331, 332, 333, 334, 335, 336, 337, 338, 339, 340, 341, 342, 343, 344, 345, 346, 347, 348, 349, 350, 351, 352, 353, 354, 355, 356, 357, 358, 359, 360, 361, 362, 363, 364, 365, 366, 367, 368, 369, 370, 371, 372, 373, 374, 375, 376, 377, 378, 379, 380, 381, 382, 383, 384, 385, 386, 387, 388, 389, 390, 391, 392, 393, 394, 395, 396, 397, 398, 399, 400, 401, 402, 403, 404, 405, 406, 407, 408, 409, 410, 411, 412, 413, 414, 415, 416, 417, 418, 419, 420, 421, 422, 423, 424, 425, 426, 427, 428, 429, 430, 431, 432, 433, 434, 435, 436, 437, 438, 439, 440, 441, 442, 443, 444, 445, 446, 447, 448, 449, 450, 451, 452, 453, 454, 455, 456, 457, 458, 459, 460, 461, 462, 463, 464, 465, 466, 467, 468, 469, 470, 471, 472, 473, 474, 475, 476, 477, 478, 479, 480, 481, 482, 483, 484, 485, 486, 487, 488, 489, 490, 491, 492, 493, 494, 495, 496, 497, 498, 499, 500, 501, 502, 503, 504, 505, 506, 507, 508, 509, 510, 511, 512, 513, 514, 515, 516, 517, 518, 519, 520, 521, 522, 523, 524, 525, 526, 527, 528, 529, 530, 531, 532, 533, 534, 535, 536, 537, 538, 539, 540, 541, 542, 543, 544, 545, 546, 547, 548, 549, 550, 551, 552, 553, 554, 555, 556, 557, 558, 559, 560, 561, 562, 563, 564, 565, 566, 567, 568, 569, 570, 571, 572, 573, 574, 575, 576, 577, 578, 579, 580, 581, 582, 583, 584, 585, 586, 587, 588, 589, 590, 591, 592, 593, 594, 595, 596, 597, 598, 599, 600, 601, 602, 603, 604, 605, 606, 607, 608, 609, 610, 611, 612, 613, 614, 615, 616, 617, 618, 619, 620, 621, 622, 623, 624, 625, 626, 627, 628, 629, 630, 631, 632, 633, 634, 635, 636, 637, 638, 639, 640, 641, 642, 643, 644, 645, 646, 647, 648, 649, 650, 651, 652, 653, 654, 655, 656, 657, 658, 659, 660, 661, 662, 663, 664, 665, 666, 667, 668, 669, 670, 671, 672, 673, 674, 675, 676, 677, 678, 679, 680, 681, 682, 683, 684, 685, 686, 687, 688, 689, 690, 691, 692, 693, 694, 695, 696, 697, 698, 699, 700, 701, 702, 703, 704, 705, 706, 707, 708, 709, 710, 711, 712, 713, 714, 715, 716, 717, 718, 719, 720, 721, 722, 723, 724, 725, 726, 727, 728, 729, 730, 731, 732, 733, 734, 735, 736, 737, 738, 739, 740, 741, 742, 743, 744, 745, 746, 747, 748, 749, 750, 751, 752, 753, 754, 755, 756, 757, 758, 759, 760, 761, 762, 763, 764, 765, 766, 767, 768, 769, 770, 771, 772, 773, 774, 775, 776, 777, 778, 779, 780, 781, 782, 783, 784, 785, 786, 787, 788, 789, 790, 791, 792, 793, 794, 795, 796, 797, 798, 799, 800, 801, 802, 803, 804, 805, 806, 807, 808, 809, 810, 811, 812, 813, 814, 815, 816, 817, 818, 819, 820, 821, 822, 823, 824, 825, 826, 827, 828, 829, 830, 831, 832, 833, 834, 835, 836, 837, 838, 839, 840, 841, 842, 843, 844, 845, 846, 847, 848, 849, 850, 851, 852, 853, 854, 855, 856, 857, 858, 859, 860, 861, 862, 863, 864, 865, 866, 867, 868, 869, 870, 871, 872, 873, 874, 875, 876, 877, 878, 879, 880, 881, 882, 883, 884, 885, 886, 887, 888, 889, 890, 891, 892, 893, 894, 895, 896, 897, 898, 899, 900, 901, 902, 903, 904, 905, 906, 907, 908, 909, 910, 911, 912, 913, 914, 915, 916, 917, 918, 919, 920, 921, 922, 923, 924, 925, 926, 927, 928, 929, 930, 931, 932, 933, 934, 935, 936, 937, 938, 939, 940, 941, 942, 943, 944, 945, 946, 947, 948, 949, 950, 951, 952, 953, 954, 955, 956, 957, 958, 959, 960, 961, 962, 963, 964, 965, 966, 967, 968, 969, 970, 971, 972, 973, 974, 975, 976, 977, 978, 979, 980, 981, 982, 983, 984, 985, 986, 987, 988, 989, 990, 991, 992, 993, 994, 995, 996, 997, 998, 999, 1000

Review report to the  
Foundation Board of  
The Sanfilippo Swiss Foundation  
Geneva

MOORE STEPHENS REFIDAR SA  
Rue du Rhône 65  
Case postale 3359  
1211 Genève 3  
Tél : +41 (0)22 908 65 65  
Fax : +41 (0)22 908 65 55  
e-mail : geneva@moorestephens.ch  
www.moorestephens.ch

In accordance with your instructions, we have reviewed the interim financial statements of The Sanfilippo Swiss Foundation for the year ended 31 December 2011.

These interim financial statements are the responsibility of the Foundation Board. Our responsibility is to issue a report on these interim financial statements based on our review.

Our review was conducted in accordance with Swiss Auditing Standard 910 applicable to review engagements, which requires that a review be planned and performed to obtain moderate assurance about whether the interim financial statements are free from material misstatement. A review is limited primarily to inquiries of personnel and analytical procedures applied to financial data and thus provides less assurance than an audit. We have not performed an audit and, accordingly, we do not express an audit opinion.

Based on our review, nothing has come to our attention that causes us to believe that the interim financial statements do not comply with the financial reporting policies as set out in the notes.

Geneva, 26 March 2012

MOORE STEPHENS REFIDAR SA



Jacques Grossen  
Licensed Audit Expert



Grégoire Etienne

Enclosures

Membre de la Chambre fédérale  
An independent member firm of Moore Stephens International Limited - members in principal cities throughout the world

**BILAN AU 31 DÉCEMBRE 2011 | BALANCE SHEET AT 31 DECEMBER 2011**  
(avec chiffres comparatifs 2010) | (with comparative figures for 2010)

	31.12.2011	31.12.2010
	CHF	CHF
<b>ACTIF / ASSETS</b>		
Liquidités et équivalents   Cash or equivalent	152'999	133'513
Promesses de dons à recevoir et débiteurs   Debtors	68'180	509'066
Actifs transitoires   Prepaid expenses and accrued income	1'690	14'447
<b>Actifs circulants   Current assets</b>	<b>222'869</b>	<b>657'027</b>
Participation SanOrphan SA	500'000	-
<b>Autres   Other assets</b>	<b>500'000</b>	<b>-</b>
<b>TOTAL DE L'ACTIF   TOTAL ASSETS</b>	<b>722'869</b>	<b>657'027</b>
<b>PASSIF   LIABILITIES</b>		
Créanciers   Creditors	15'299	2'500
Fonds affectés - recherche   Reserve - Donations allocated funds	11'585	58'604
Passifs transitoires   Accrued liabilities	14'400	5'500
<b>Fonds étrangers   Liabilities</b>	<b>41'284</b>	<b>66'604</b>
Capital	100'000	100'000
Résultat report   Retained earnings	490'423	27'974
Résultat de l'exercice   Profit for the year	91'162	462'449
<b>Fonds propres   Shareholders' equity</b>	<b>681'585</b>	<b>590'423</b>
<b>TOTAL DU PASSIF   TOTAL LIABILITIES</b>	<b>722'869</b>	<b>657'027</b>
<b>COMPTE DE PROFITS ET PERTES   INCOME STATEMENT FOR THE YEAR 2011</b> <b>DU 1ER JANVIER AU 31 DÉCEMBRE 2011   FROM JANUARY 1ST TO 31 DECEMBER 2011</b> (avec chiffres comparatifs 2010)   (with comparative figures for 2010)		
	2011	2010
	CHF	CHF
<b>PRODUITS   INCOME</b>		
Dons - fonds libres   Donations - free funds	49'261	554'662
Dons - fonds libres (Commune Genevoise)   Donations - free funds (municipality)	2'600	11'870
<b>Total des dons - Fonds libre   Total Free funds</b>	<b>51'861</b>	<b>566'532</b>
Total des dons - Fonds affectés à l'organisation de la Conférence   Donations - funds allocated to Conference organisation	1) 350'769	-
Total des dons - Fonds affectés aux charges de la Fondation   Donations - funds allocated to foundation expenses	-	9'506
Total des dons - Fonds affectés aux programmes de recherches   Donations - funds allocated to research	3) -	212'987
<b>TOTAL DES PRODUITS   TOTAL INCOME</b>	<b>402'630</b>	<b>789'025</b>
<b>CHARGES   EXPENSES</b>		
<b>Total des charges résultat de financement affectés recherches   Expenses resulting from funds allocated to research</b>	4) 1'496	211'097
<b>Total des charges résultat de financement affectés à la Conférence   Expenses resulting from funds allocated to Conference org.</b>	2) 175'002	2'498
<b>Charges courantes   Operating expenses</b>		
Salaires et charges sociales   Salaries and social taxes	63'583	46'280
Frais de communications   Communication	1'015	869
Assurance   Insurance	315	189
Indemnité membre du Comité Scientifique   Allowance member of Scientific Committee	0	1'500
Frais de déplacements - Réunions Comités scientifiques, familles   Travel expenses - Scientific Committees meetings	2'274	13'600
Graphisme et impression   Printing and graphism	9'977	22'071
Frais de traduction   Translation expenses	422	1'668
Publicité   Advertising	7'482	3'535
Frais de constitution   Setting-up costs		
Honoraires légaux et de révision   Legal and accounting fees	3'580	3'120
Participation aux Conférences MPS   MPS Conferences participation	712	1'180
Autres charges   Other expenses	772	1'477
Taxes, émoluments - DFI et TVA non récupérable   Taxes and fees - DFI	773	1'000
<b>Total des charges courantes   Total operating expenses</b>	<b>90'905</b>	<b>96'488</b>
<b>Utilisation des fonds affectés à charges   Use of allocated funds- expenses</b>		
Soutien à la réalisation du film "Les enfants de Sanfilippo"   Support to the movie " Sanfilippo children"	31'666	-
Soutien à l'organisation de la "Journée internationale des maladies rares"   Support organisation of the "Rare Disease Day"	4'000	-
Vidéo et campagne de sensibilisation TPG - Loterie Romande / Movie and advertising TPG - Loterie romande	-	9'506
<b>Total des charges résultant de financement affectés   Total allocated funds expenses</b>	<b>35'666</b>	<b>9'506</b>
<b>Résultat net avant autres produits et charges   Net income before other income and expenses</b>	<b>99'561</b>	<b>469'436</b>
<b>Activités financières   Financial activities</b>		
Produits financiers   Financial income	201	437
Perte de change   Exchange loss	(4'706)	(5'300)
Intérêts et frais bancaires   Interest and bank charges	(3'895)	(2'124)
<b>Résultat de l'activité financière   Financial result</b>	<b>(8'399)</b>	<b>(6'987)</b>
<b>TOTAL   TOTAL EXPENSES</b>	<b>311'468.00</b>	<b>326'576.00</b>
<b>RESULTAT NET DE L'EXERCICE   NET PROFIT FOR THE YEAR</b>	<b>91'162</b>	<b>462'449</b>

## RÉPARTITION DES FONDS AFFECTÉS À L'ORGANISATION DE LA CONFÉRENCE FUNDS ALLOCATED TO CONFERENCE REPARTITION

<b>1. Fonds affectés à l'organisation de la Conférence</b> Funds allocated to conference	2011 CHF	2010 CHF	<b>2. Utilisation des fonds affectés à la Conférence</b> Use of conference allocated funds	2011 CHF	2010 CHF
Dons résultant de manifestations affectés à la Conférence Funds resulting from manifestation allocated to conference	-	-	Indemnités versées aux familles et aux scientifiques Allowances for families and scientists	55'983	-
Produits de manifestations affectés à la Conférence	265'125	-	Programme d'encadrement des enfants atteints par une MPS Coaching programme for children suffering from a MPS	6'305	-
Manifestation income allocated to conference	-133'750	-	Charge de traduction simultanée durant la Conférence	12'000	-
Charges d'organisation Gala   Gala organisation expenses	<b>131'375</b>	-	Translation expenses	-	-
Sponsoring d'entreprise pharmaceutique affecté à la Conférence Drug firm sponsoring allocated to the conference	23'059	-	Infrastructure, nourriture et logement Facilities, food and accomodation	51'638	-
Vente de billets affectés à la Conférence	3'963	-	Assurance	3'503	-
Sale of Conference entrance tickets	192'373	-	Insurance	30'106	-
Dons ne résultant pas de manifestation affectés à la Conférence	<b>219'395</b>	-	Publicité et graphisme Advertising and graphism	15'467	2'498
Other funds	-	-	Frais d'organisation Organisation expenses	-	-
<b>Total des dons affectés à l'organisation de la Conférence</b>	<b>350'770</b>	-	<b>Total des charges résultant de financement affectés à la Conférence</b>	<b>175'002</b>	<b>2'498</b>
Total funds allocated to conference	-	-	Total expenses resulting from funds allocated to conference	-	-

## RÉPARTITION DES FONDS AFFECTÉS POUR LA RECHERCHE FUNDS ALLOCATED TO RESEARCH REPARTITION

<b>3. Fonds affectés aux programmes de recherches</b> Funds allocated to research	2011 CHF	2010 CHF	<b>4. Utilisation des fonds affectés - recherches</b> Use of research allocated funds	2011 CHF	2010 CHF
Dons résultant de manifestations - Affectés recherches Funds resulting from manifestation allocated to research	-	59'510	Programme : "Dr. Sollogoub - Chiaperons chimiques - Paris MPSIII B" Program: "Dr. Sologub - Chemical Chiaperones - Paris MPSIII B"	1'496	123'843
Produits de manifestations	-	107'526	Programme : "Thérapie Génique 2010 - Alliance Sanfilippo - MPSIII A" Program: "Gene Therapy 2010 - Alliance Sanfilippo - A MPSIII "	-	39'144
Manifestation income allocated to research	-	(96'333)	Programme : "Essai Trehalose MPS III" - Dr. Sardiello Program: "Trehalose Test MPS III" - Dr Sardiello	-	48'110
Charges d'organisation Gala   Gala organisation expenses	-	70'703	<b>Total des charges résultant de financement affectés recherches</b>	<b>1'496</b>	<b>211'097</b>
Produits nets de manifestations - Affectés recherches Net income resulting from manifestation -allocated to research	-	142'284	Total expenses resulting from funds allocated to research	-	-
Dons - Fonds affectés recherches ne résultant pas de manifestations Other funds	-	-		-	-
<b>Total des dons - Fonds affectés aux programmes de recherches</b>	<b>-</b>	<b>212'987</b>			
Total funds allocated to research	-	-			



Nous exprimons une reconnaissance particulière à Me Olivier Dunant et l'Étude Borel & Barbey pour leur engagement à nos côtés depuis la création de la Fondation.

Notre sincère gratitude s'adresse à tous nos généreux donateurs, sponsors, partenaires et bénévoles qui ont soutenu notre action.

We wish to express our special thanks to Mr. Olivier Dunant and the Étude Borel & Barbey for their unwavering support since the creation of the Foundation.

Our sincere gratitude goes to all those generous donors, sponsors, partners and volunteers who have supported our action.

Joséphine

Image: Famille Butstream

REMERCIEMENTS  
ACKNOWLEDGEMENTS

## LES PERSONNES PRIVÉES | PRIVATE PERSONS

M. Philippe Amon  
M. et Mme Jean-Marc et  
Marie-Axelle Annicchiarico  
M. Diego Aponte  
Mme Emmanuelle Argand  
Mme Christine Ausoni  
M. et Mme Antonio et Sandra Battistini  
M. Jacques Bemberg  
Mme Madeleine Bertholet  
Mme Danielle Bertola  
Me Louis Boissier  
Mme Sophie Bron Pajares  
Mme Nazife Caglayan  
Mme Yvonne Cavallero  
M. Philippe Charriol  
M. Pascal Chevalley  
Mme Adrienne Chevre  
M. Julien Clément  
M. Gérald Coutaz  
Mme Lolli Dalmazio  
Mme Marie-France Dubuis  
M. et Mme Brice et Karen Duffour  
Me Olivier Dunant  
M. et Mme Robert et  
Paula Fentener Van Vlissingen  
Mme Elisabeth Fernandez  
Mme Sophie Firmenich  
Me Marc Fisher  
Mme Yasma Fuleihan

Mme Marie-Antoinette Furtado  
Mme Catherine Gautier le Berre  
M. et Mme Alfred et Christiane Golay  
Mme Simone Golay  
M. Jacques Grossen  
M. Hervé Edmond Guinand  
Feue Mme Yvonne Guyon  
M. Daniel Habertisch  
M. Jean Ilg  
Mme Thalia Jacoby  
M. et Mme Daniel et  
Mary-Claire Jacquet Hertig  
Mme Ludmila Joory  
Mme Miruna Klaus  
M. Florian Klein  
M. Mathias Kohler  
Mme Rebecca Lang  
M. Christoph La Roche  
M. Jean-Daniel Liniger  
Mme Odette Liniger  
M. Francis Maillard  
M. Erwin Mathieu  
Mme Anna Maurutto  
Mme Sophie Metulescu  
M. Pierre Mirabaud  
Mme Elisabeth de Montfalcon  
M. et Mme Christopher Mouravieff-Apostol  
M. Daniel O'Hanlon  
Mme Liliana Pantoreggi

Mme Rose-Marie Pastore  
M. Michel Penet  
Mme Magali Poffet  
M. Joshua Putman Prentice  
Mme Anne Seilheimer Prentice  
M. et Mme Ricardo et Katia Radwanski  
Comtesse de Reina Cessa  
M. et Mme Georges et Janik Reymond  
M. et Mme Auguste et Nelly Rigolet  
M. Gérald Rimer  
M. Alain Rolland  
Mme Christa Roth  
Mme Chantal Ruch  
Mme Elena Rybolovleva  
Mme Katharina Sand  
M. Dean Constantine Soldatos  
M. Eduardo Sonoda  
Marquis et Marquise Enrico Spinola  
M. Michel François Stadelmann  
M. Didier Stauffer  
M. Philippe Studer  
M. Olivier Tallent  
M. et Mme René et Hanna Trachsel  
Mme Sarah Uldry  
Me Alexandre de Weck  
M. Corrado Zamperini

## LES INSTITUTIONS PUBLIQUES | PUBLIC INSTITUTIONS

Commune de Bardonnex  
Commune de Chêne-Bougeries

Commune de Collonge-Bellerive  
Commune de Presinge

École de Presinge  
République et Canton de Genève

## LES ASSOCIATIONS ET FONDATIONS | ASSOCIATIONS AND FOUNDATIONS

Amicale Auxilium  
Carigest SA, conseiller d'un généreux donateur  
Chœur de Vernier  
Fondation Alfred et Eugénie Baur  
Fondation de bienfaisance  
de la Banque Pictet

Fondation Compétences Bénévoles  
Fondation Étoile Filante  
Fondation Famille Firmenich  
Fondation genevoise de bienfaisance Valeria  
Rossi di Montelera  
Fondation Edmond Adolphe de Rothschild

Fondation Dr Corinne Schuler  
Fondation Téléthon Action suisse  
Fondation Hans Wilsdorf  
Gebert Rüf Stiftung

## LES INSTITUTIONS | INSTITUTIONS

Centre International de Conférences de Genève  
Église Protestante de Genève

Loterie Romande  
Rotary Club de Bellegarde (France)

## REMERCIEMENTS | ACKNOWLEDGMENTS

### LES ENTREPRISES | CORPORATE DONORS

<i>After the Rain Geneva SA</i>	<i>Cyrillus (Suisse) SA</i>	<i>O.P.I.</i>
<i>Aquaparc SA</i>	<i>Deutsche Bank (Suisse) SA</i>	<i>Papeterie Brachard et Cie</i>
<i>Astor Film Lounge</i>	<i>Diesel Swiss SA</i>	<i>Paradelta</i>
<i>Atelier Le Jardin Secret</i>	<i>Domaine du Logis, une autre idée du vin</i>	<i>Payot SA, Geneva branch</i>
<i>Babybook</i>	<i>EA Swiss Sarl</i>	<i>Parkgest Services SA</i>
<i>Baby Gym World</i>	<i>Écurie La Meute</i>	<i>Piaget SA, Manufacture Haute Horlogerie</i>
<i>Bank J. Safra (Switzerland) Ltd</i>	<i>ENIGMA by Gianni Bulgari</i>	<i>Sandra Piretti Yoga</i>
<i>BCD Travel Suisse SA</i>	<i>Étude Borel &amp; Barbey</i>	<i>Ivo Pitanguy, Clinica beauty</i>
<i>Bernaqua</i>	<i>Faber-Castell</i>	<i>Pom d'Api Sarl</i>
<i>BK Organisation SA</i>	<i>Favarger chocolates and cocoas</i>	<i>Rafting.ch Adventure Center Sarl</i>
<i>Bon Génie, Brunshwig Holding SA</i>	<i>Forte Village Sardaigne</i>	<i>RJ Romain Jerome</i>
<i>Bordier &amp; Cie</i>	<i>France Loisirs Suisse</i>	<i>Elie Saab</i>
<i>La Bulle d'Air Genève Suisse</i>	<i>Frédérique Constant SA</i>	<i>SanOrphan SA</i>
<i>Capital Group Corporate</i>	<i>La Gavotte</i>	<i>Sedelec SA</i>
<i>International, Geneva branch</i>	<i>Gemacona SA McDonald's Restaurants</i>	<i>Septième Étage Sarl</i>
<i>Cartier Genève, subsidiary of</i>	<i>Genève-Servette Hockey Club SA</i>	<i>Serrurerie Klein</i>
<i>Richemont Suisse SA</i>	<i>Genzyme A Sanofi Company</i>	<i>Shire Human Genetic Therapies Inc.</i>
<i>Caspita Haute Joaillerie SA</i>	<i>Givaudan Suisse SA</i>	<i>Six Senses Private Residences</i>
<i>La Cave du Palais de Justice SA</i>	<i>Geneva Golf Club</i>	<i>Anita Smaga SA</i>
<i>Cedar Partners (Suisse) SA</i>	<i>Grand Hotel Kempinski Geneva</i>	<i>Sweet Connection</i>
<i>Charlène B. Studio</i>	<i>Sources Minérales Henniez SA</i>	<i>Swiss Vapeur Parc SA</i>
<i>Charlotte Bis</i>	<i>Hermès (Suisse) SA</i>	<i>Tennis Club de Genève</i>
<i>Chatila SA</i>	<i>Hinduja Bank (Switzerland) Ltd.</i>	<i>Tod's</i>
<i>Clarence Chronometrie SA</i>	<i>Molard Jouets SA</i>	<i>Toni &amp; Guy Geneva SA</i>
<i>Club de vol libre du Salève</i>	<i>Moncler</i>	<i>Verdura Golf &amp; Spa Resort, Sicile</i>
<i>Confetti Box Petrolito</i>	<i>Moore Stephens Refidar SA</i>	<i>Victoria Coiffure SA</i>
<i>Compagnie Vinicole</i>	<i>Naef Holding SA</i>	<i>Vitam' Parc</i>
<i>Baron Edmond de Rothschild</i>	<i>Najeti Hôtels &amp; Golfs</i>	<i>V-Young Sarl</i>
<i>Conny-Land AG</i>	<i>NAT Services SA</i>	<i>Maria Xuan Vo Van</i>
<i>Côté Fleurs SA</i>	<i>Océane Institut Sarl</i>	<i>4loo Webdesign</i>
<i>Covance Central Laboratory Services SA</i>	<i>L'Open des Décideurs</i>	
<i>Cucamona</i>	<i>Opera Gallery (Suisse) SA</i>	

### LES BÉNÉVOLES | VOLUNTEERS

*M. David Bovy*  
*Dr Alda Grosso*

*Mme Danielle Nobs*  
*Mme Cindy Queloz*

*Mme Christa Roth*  
*Mme Liliana Sokoloff-Crivat*

Nous remercions les membres du Conseil de Fondation, les membres du comité scientifique et les membres du comité du gala pour leur soutien, engagement et disponibilité pour la Fondation.

Nous remercions aussi nos familles, nos amis et collègues et tous ceux et celles qui, en dehors de cette liste, sont fidèlement présents.

Nous réitérons toute notre sympathie à la famille d'Aurélien Gabriel qui nous a quittés à l'âge de 15 ans le 5 mars 2011.

We thank the members of the Foundation Board, the members of the scientific committee and the members of the gala committee for their support, commitment and availability for the Foundation.

We also thank our families, our friends and colleagues and all those outside this list who have given their faithful presence.

We reiterate all our condolences to the family of Aurélien Gabriel who left us at the age of 15 on March 5th 2011.



David

RÉSEAU SANFILIPPO  
THE SANFILIPPO NETWORK

## RÉSEAU SANFILIPPO | THE SANFILIPPO NETWORK

### SUISSE | SWITZERLAND

#### GENÈVE | GENEVA

Frédéric Morel  
[info@fondation-sanfilippo.ch](mailto:info@fondation-sanfilippo.ch)

---

### ESPAGNE | SPAIN

#### BARCELONE | BARCELONA

Belen Zafra  
[sanfilippobarcelona@gmail.com](mailto:sanfilippobarcelona@gmail.com)

#### BARCELONE | BARCELONA

Emilio Lopez  
[emilio@stopsanfilippo.org](mailto:emilio@stopsanfilippo.org)

---

### FRANCE | FRANCE

#### PARIS

Karen Aiach  
[www.sanfilippo-syndrome.org](http://www.sanfilippo-syndrome.org)

#### SAINT- ARROUMEX

Guilhain Higonnet  
[Sanfilippo-sud@orange.fr](mailto:Sanfilippo-sud@orange.fr)

---

### PAYS-BAS | NETHERLAND

#### KINDEREN EN KANSEN

[www.kinderenenkansen.nl](http://www.kinderenenkansen.nl)

---

### POLOGNE | POLAND

#### CRACOVIE | KRAKOW

Arleta Feldman  
[maciek@lepszyoznan.pl](mailto:maciek@lepszyoznan.pl)

---

### ETATS-UNIS | USA

#### ALABAMA

Misty Luthcke  
[www.miracle4will.com](http://www.miracle4will.com)

#### NEW YORK

Jill Wood  
[jw.mps3c@yahoo.com](mailto:jw.mps3c@yahoo.com)

#### WELLESLEY, MA

Stuart Siedman  
[contact@bensdream.org](mailto:contact@bensdream.org)

#### NEW YORK

Kathleen Buckley  
[kbucley12866@gmail.com](mailto:kbucley12866@gmail.com)

#### TEXAS

Roy Zeighami  
[contact@sf4k.org](mailto:contact@sf4k.org)

---

### CANADA | CANADA

#### ONTARIO

Elizabeth Linton  
[scrf@alifeeforelisa.org](mailto:scrf@alifeeforelisa.org)

#### TORONTO

Tom and Sarah Hamza  
[info@stridesforsophie.ca](mailto:info@stridesforsophie.ca)

---





MEMBRES DE LA FONDATION  
MEMBERS OF THE FOUNDATION

## MEMBRES DE LA FONDATION

## MEMBERS OF THE FOUNDATION

### **Marraine de la Fondation | Honorary Patron of the Foundation**

Mme Micheline Calmy-Rey - *Présidente de la Confédération helvétique en 2011 | President of the Swiss Confederation in 2011*

### **Conseil de Fondation | Foundation Board**

M. et Mme Frédéric et Stéphanie Morel - *Fondateurs et Président | Founders and Chairperson*

Me Stéphanie La Roche - *Vice-Présidente | Vice-Chairperson*

Me Emmanuel Leibenson - *Membre | Member*

M. Christophe Maier - *Membre | Member*

### **Comité scientifique | Scientific Committee**

Dre Danielle Bertola Reymond

Dr Armand Bottani

Dr Stéphane Demotz

Dr Nicolas Lantz

### **Fondation | Foundation**

Mme Corinne Féry-von Arx - *Directrice | Director*

Dr Slavica Masina - *Consultante, congrès MPS 2011 | Consultant, 2011 MPS Congress*

### **Présidente d'honneur du Gala | Honorary Gala Chairperson**

S.A.I.R. Comtesse | **H.I.R.H. Countess** Massimiliano Secco d'Aragona

### **Président d'honneur du Congrès international MPS 2011**

### **Honorary Chairman of the 2011 International Congress on MPS**

Pr Stylianos E. Antonarakis

### **Comité du Gala Sanfilippo | Sanfilippo Gala Committee**

Mme Nadine Aysoy

M. et Mme Antonio Battistini

Mme Sylvie Brunschwig

Mme Cristina Diamantini

Mme Paula Fentener van Vlissingen-Sendas

Mme Yasma Fuleihan

Mme Surya Hill

Mme Namrita Hinduja

M. Thierry Lavalley

Mme Elisabeta Mauro Boselli

Mme Katia Radwanski

Mme Elena Rybolovleva

Mme Michèle Safra

Mme Carolina Tardy

Mme Geneviève Torriani

Mme Claire Vasfi



Fondation Sanfilippo Suisse | [Sanfilippo Foundation Switzerland](#)

C/o NAT Services SA  
Rue de Jargonnant 2  
1207 Genève  
[www.fondation-sanfilippo.ch](http://www.fondation-sanfilippo.ch)

Personnes de contact | [Contact Persons](#)

Frédéric Morel, président | [President](#) : + 41 78 720 73 17

Email : [frederic.morel@fondation-sanfilippo.ch](mailto:frederic.morel@fondation-sanfilippo.ch)

Corinne Féry-von Arx, directrice | [Director](#) : +41 78 745 08 28

Email : [corinne.fery@fondation-sanfilippo.ch](mailto:corinne.fery@fondation-sanfilippo.ch)

Compte postal | [Postal Account](#) No 10-185368-3

Compte bancaire UBS Genève | [Bank Account](#) UBS Geneva 612153.00N

Code Swift | [Swift Code](#) UBSWCHZH80A

Clearing | [Branch Code](#) 0240

Code IBAN CH560024024061215300N



Charlotte

# MOORE STEPHENS

## REFIDAR SA

---

audit - comptabilité - fiscalité - family office

Société fiduciaire  
Genève | Lausanne | Nyon



FONDATION SANFILIPPO SUISSE | RAPPORT ANNUEL 2011

---

CE RAPPORT ANNUEL A ÉTÉ IMPRIMÉ GRÂCE À LA GÉNÉROSITÉ DE MOORE STEPHENS REFIDAR SA  
PRINT WITH THE GENEROUS SUPPORT OF MOORE STEPHENS SA REFIDAR