



FONDATION
SANFILIPPO
Suisse



Daniel, Charlotte et Léo, septembre 2012

RAPPORT ANNUEL 2012 | ANNUAL REPORT 2012

MISSION

La Fondation Sanfilippo Suisse favorise, développe, finance et promeut 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).

MISSION

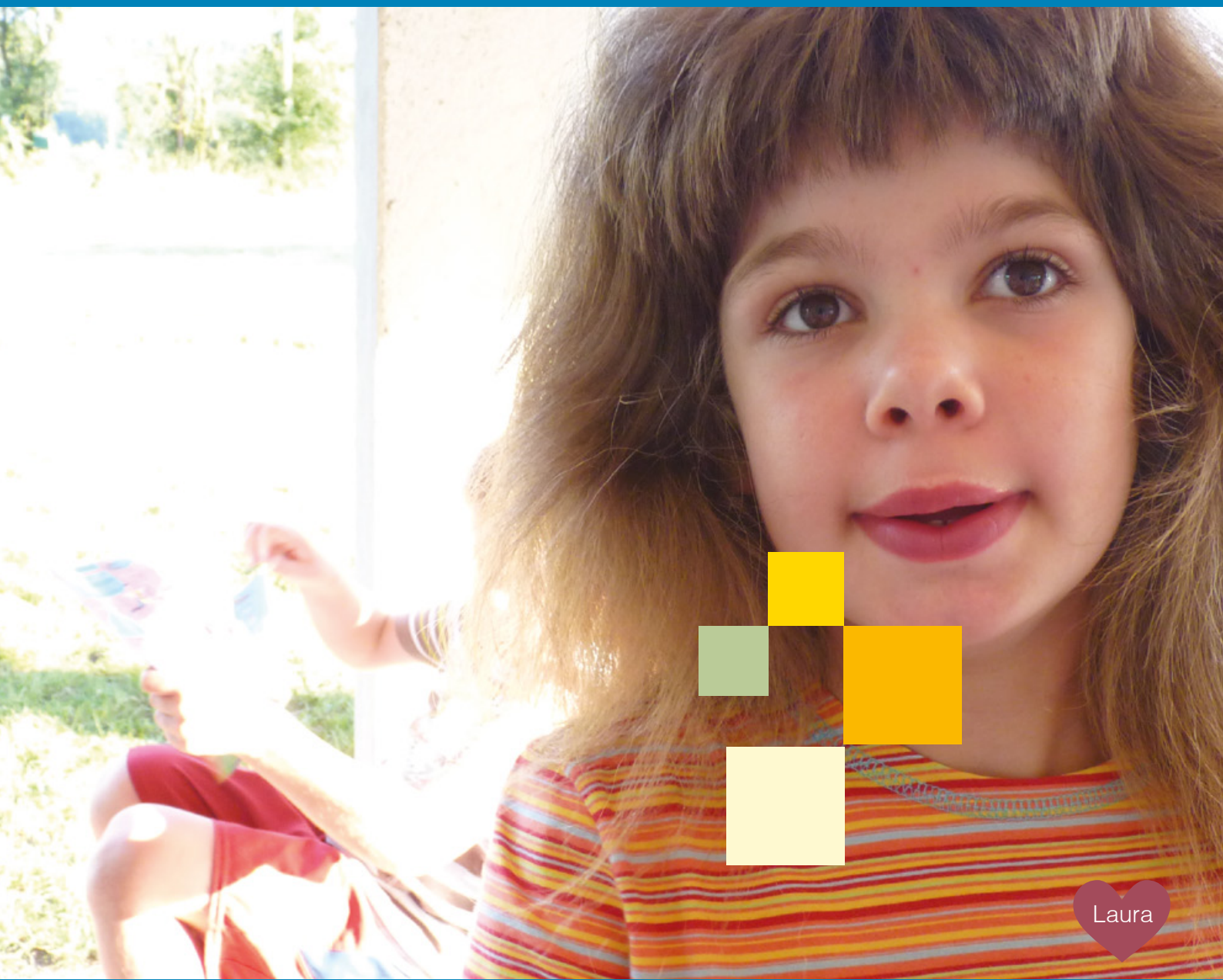
The Sanfilippo Foundation Switzerland supports, develops, finances and promotes all scientific research towards effective therapeutic solutions for children affected by mucopolysaccharidosis and, in particular, type III (Sanfilippo syndrome).



SOMMAIRE CONTENTS

ÉDITORIAL DU PRÉSIDENT PRESIDENT'S EDITORIAL	5
COMPRENDRE LE PROBLÈME DANS LA MALADIE DE SANFILIPPO UNDERSTANDING THE PROBLEM WITH REGARD TO THE SANFILIPPO SYNDROME	7
PROGRAMMES DE RECHERCHE FINANCÉS PAR LA FONDATION EN 2012 RESEARCH PROGRAMS FUNDED BY THE FOUNDATION IN 2012	11
ACTIONS DE SENSIBILISATION CAMPAIGNS	22
RAPPORT FINANCIER FINANCIAL REPORT	31
REMERCIEMENTS ACKNOWLEDGMENTS	35

ÉDITORIAL DU PRÉSIDENT PRESIDENT'S EDITORIAL



Laura

Nous sommes arrivés, à l'aube du cinquième anniversaire de la Fondation, à un tournant important qui nous a amenés, en fin d'année 2012, à réfléchir sur nos priorités et adopter une stratégie afin de réaliser nos objectifs.

Sans nul doute, grâce à votre grande générosité, le travail accompli durant les quatre dernières années a permis de faire avancer la recherche pour la maladie de Sanfilippo de manière très significative, notamment par le soutien à six programmes de recherche, mais également de faire connaître la Fondation et toute la problématique des maladies rares.

Toutefois, notre ferme volonté est de nous professionnaliser en continuant à nous mobiliser pour aller plus loin dans le développement et la gestion des travaux de recherche que nous soutenons dans le but d'assurer un meilleur accès au traitement pour les patients. C'est la raison pour laquelle, avec l'aide de généreux donateurs et des membres de la Fondation, nous avons lancé la société Dorphan S.A. pour permettre à des projets à fort potentiel thérapeutique de se transformer en traitements pour les enfants atteints de maladies rares (lire en page 17).

Tout au long de cette année, les membres du conseil scientifique se sont également concentrés sur l'évaluation de nouveaux programmes porteurs en perspective que nous espérons être en mesure de mettre en place prochainement. L'un d'eux serait conduit en Suisse, c'est un grand pas en avant qui nous réjouit.

Durant cette année, un 4ème gala Sanfilippo a été reconduit avec succès. En bref, la Fondation a continué à jouer un rôle d'informations auprès de la communauté, elle a également bénéficié de plusieurs généreuses initiatives privées et spontanées (lire page 28).

Nous avons placé les jalons pour pouvoir surmonter le challenge des prochaines années qui consiste à développer des traitements pour tous nos enfants malades. C'est tous ensemble que nous pourrons gagner ce combat. Je voudrais vous remercier du fond du cœur de votre généreux soutien.

We are nearing the Foundation's fifth anniversary. This is an important turning point and motivated us, at the end of 2012, to reflect on our priorities and adopt an active strategy to achieve our objectives.

It is, without a doubt, thanks to your immense generosity that the work accomplished during the last four years has allowed research into the Sanfilippo syndrome to make significant steps forward, in particular through the Foundation's support of six research programs but also in making people aware of the Foundation and the whole issue of rare diseases.

However, we really wish to professionalise our work by continuing to mobilise our energies to further develop and manage the research work that we support with the aim of ensuring better access to treatments for patients. That is why, with the support of generous donors and members of the Foundation, we have set up the company, Dorphan S.A., in order to allow research projects with high therapeutic potential to become treatments for those children who are affected by rare diseases (see page 17).

The members of the Scientific Committee have equally throughout the last year focussed on evaluating new potentially promising programs, which we hope to get shortly underway. We are proud to announce a big step forward as one of the new projects would be conducted in Switzerland.

The 4th Sanfilippo Gala last year was a success. In summary, the Foundation has continued to play an awareness raising role in relation to the community and has equally benefited from generous private and spontaneous initiatives (see page 28).

We have established benchmarks that will allow us to surmount in the coming years the challenge of developing treatments for all our sick children. Together we can win this fight. I wish to thank you from the bottom of my heart for your generous support.

Frédéric Maul



Ligne/Line 1 : Daniel de 2 à 6 ans, Daniel a aujourd'hui 21 ans / Daniel from 2 to 6 years. Today Daniel is 21 years old

Ligne/Line 2 : La petite Aurélie, malheureusement décédée en 2011, à différents âges de sa vie. / The little Aurélie who unfortunately died in 2011, at different stages of her life. Ligne/Line 3: Elouan, le frère de Laura, à différents âges. Elouan a aujourd'hui 9 ans / Elouan, Laura's brother, at different ages. Today Elouan is 9 years old

COMPRENDRE UNDERSTANDING



Ligne/Line 1 : Daniel de 8 à 19 ans, Daniel a aujourd'hui 21 ans / Daniel from 8 to 19 years. Today Daniel is 21 years old

Ligne/Line 2: Laura à différents âges, elle a aujourd'hui 11 ans / Laura at different ages. Today she is 11 years old

Ligne/Line 3 : Charlotte à différents âges, elle a aujourd'hui 9 ans. / Charlotte at different ages. Today she is 9 years old

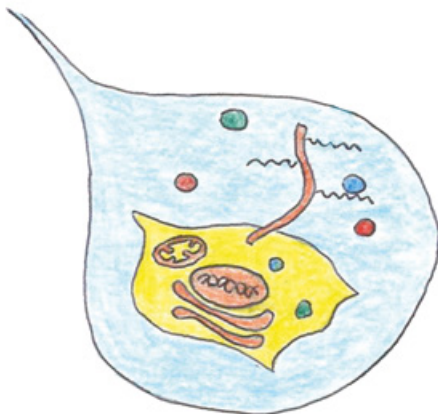
COMPRENDRE LE PROBLÈME DANS LA MALADIE DE SANFILIPPO
UNDERSTANDING THE PROBLEM WITH REGARD TO THE SANFILIPPO SYNDROME

LA MALADIE DE SANFILIPPO

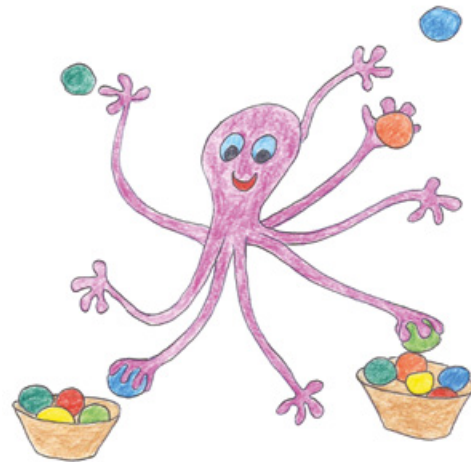
THE SANFILIPPO DISEASE

La cellule est l'unité de base de notre corps. Chaque cellule contient un grand nombre de structures différentes qui sont principalement des protéines, des sucres et des acides nucléiques (notre ADN). Ces structures sont sans cesse transformées, renouvelées et transportées.

Des longues chaînes de sucres, comparables aux bras d'un poulpe, orchestrent le mouvement de ces molécules. Elles permettent aussi aux cellules de s'accrocher à d'autres cellules et de bouger dans le corps. Les bras de ce poulpe sont constamment recyclés grâce à des ciseaux (scientifiquement appelés enzymes).



The cell is the basic unit of our body. Every cell contains a large number of different structures, mainly proteins, sugars and nucleic acids (our DNA). These structures are forever being transformed, renewed and transported.



Long chains of sugars, a bit like the tentacles of an octopus, orchestrate the movement of these molecules. They also allow cells to stick to other cells and move around the body. These octopus tentacles are continuously being recycled thanks to scissors (in scientific terms: enzymes).

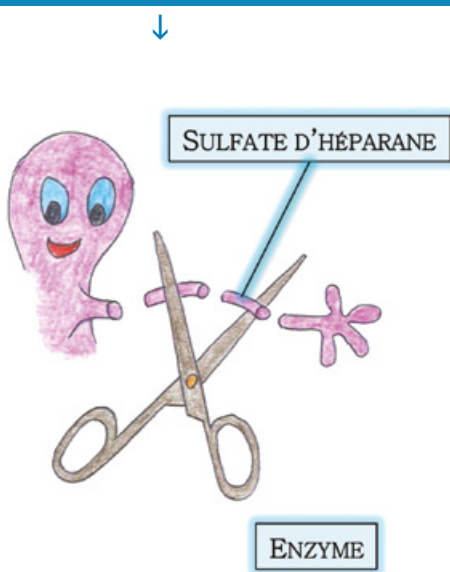
LE PROBLÈME DANS LA MALADIE DE SANFILIPPO

THE PROBLEM IN RELATION TO THE SANFILIPPO SYNDROME

Le schéma ci-dessous illustre une situation normale dans laquelle le sulfate d'héparane, qui correspond à de longues chaînes de molécules de sucre comparables aux bras d'un poulpe, est sans cesse renouvelé à l'aide de ciseaux qui coupent et éliminent ces structures pour faire de la place à de nouvelles.

Le schéma du milieu montre la situation dans laquelle les ciseaux ne sont plus fonctionnels et, par conséquent, les bras s'accumulent dans le corps, notamment dans le cerveau, laissant apparaître ainsi les troubles associés à la maladie de Sanfilippo.

A droite, les ciseaux ont pu être en partie réparés grâce à des chaperons chimiques. Bien que cette correction ne soit que partielle, il se pourrait que cela suffise pour atténuer certains symptômes de la maladie.



The diagram above shows a normal situation in which heparan sulphate, or the long chains of sugar molecules comparable to the tentacles of an octopus, is forever being renewed with the assistance of scissors that cut and eliminate these structures in order to make way for new ones.



In the middle, the diagram shows the situation where the scissors are no longer working and, consequently, the tentacles accumulate in the body, particularly in the brain, resulting in the appearance of the disorders associated with the Sanfilippo syndrome.



On the right, it has been possible to partially repair the scissors thanks to the use of chemical chaperones. Although this correction is only partial, it might be enough to attenuate some of the symptoms of the disease.

LES PISTES DE TRAITEMENT

AVENUES FOR TREATMENT



A ce jour, il n'y a malheureusement aucun traitement thérapeutique pour la maladie de Sanfilippo. Depuis plusieurs années, les chercheurs ont notamment imaginé les méthodes suivantes pour surmonter cette maladie:

Unfortunately, there is still no therapeutic treatment for the Sanfilippo syndrome. For some years now, researchers have come up with the following methods, in particular, for overcoming the disease:

THÉRAPIE GÉNIQUE:

La thérapie génique qui consiste à introduire les gènes pour recoder les ciseaux (enzyme) afin de leur permettre de couper les bras du poulpe.

GENETIC THERAPY:

Consists of introducing genes to recode the scissors (enzymes) in order to enable them to cut the tentacles of the octopus.

THÉRAPIE ENZYMATIQUE:

La thérapie enzymatique de substitution qui a pour but d'injecter directement les ciseaux qui sont défectueux chez les patients. Cette thérapie reste problématique et délicate car dans le cas de la maladie de Sanfilippo, il faut introduire les ciseaux dans le cerveau et la barrière hémato-encéphalique est relativement imperméable aux grosses structures comme les enzymes.

ENZYLE SUBSTITUTION THERAPY:

The aim is to inject the scissors directly into the patient in order to replace the faulty ones. This therapy remains difficult and delicate since, in the case of the Sanfilippo syndrome, the scissors have to be introduced into the brain and the blood-brain barrier is relatively impermeable to large structures such as enzymes.

CHAPERONS CHIMIQUES:

Les chaperons chimiques sont de petites molécules chimiques qui vont se lier aux ciseaux pour leur permettre de fonctionner à nouveau et, même si pas tout à fait correctement, suffisamment bien pour effectuer leur travail et par là atténuer les symptômes de la maladie.

CHEMICAL CHAPERONES:

Are small chemical molecules that are going to link themselves to the scissors to enable them to function, or partially function again and, thus attenuate the symptoms of the disease.

PROGRAMMES PROGRAMS



PROGRAMMES DE RECHERCHE FINANCÉS PAR LA FONDATION EN 2012
RESEARCH PROGRAMS FUNDED BY THE FOUNDATION IN 2012

DÉVELOPPEMENT D'INHIBITEURS DE LA GALACTOSIDASE β ET DE LA GLUCURONIDASE β COMME CANDIDATS DE MOLÉCULES CHAPERONS DANS DES MODÈLES IN VITRO DES SYNDROMES DE MORQUIO B ET DE SLY.

DEVELOPMENT OF GALACTOSIDASE β AND GLUCURONIDASE β INHIBITORS AS CANDIDATE MOLECULAR CHAPERONES IN IN-VITRO MODELS OF MORQUIO B AND SLY SYNDROMES.



Pr Olivier Martin

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

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

L'objectif de ce projet est le développement d'inhibiteurs spécifiques de la galactosidase β et de la glucuronidase β , deux enzymes dont les formes mutées causent le syndrome de Morquio B (MPS IVB) et le syndrome de Sly (MPS VII).

The objective of this project is the development of galactosidase β and glucuronidase β specific inhibitors, two enzymes whose mutated forms cause Morquio B syndrome (MPS IVB) and Sly syndrome (MPS VII).



Les premiers résultats ont été très prometteurs et c'est pourquoi la Fondation a d'ores et déjà décidé, fin 2012, de prolonger ce projet d'une année (jusqu'à fin 2013); Grâce à cela, des données solides sur les enzymes permettront d'envisager des études précliniques pour 2014.

The first results have been very promising and thus the Foundation decided at the end of 2012 to extend this project by a year (until the end of 2013); Thanks to this, solid data about the enzymes will allow to consider pre-clinical studies for 2014.

Ces deux enzymes contrôlent respectivement la dégradation du sulfate de kératane et des glycosaminoglycanes contenant des résidus d'acides 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.

Le travail expérimental qui a débuté l'an dernier, a consisté tout d'abord en l'élaboration et la synthèse de molécules pouvant potentiellement être des inhibiteurs de la galactosidase β et de la glucuronidase β 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.

These two enzymes respectively control the breakdown of keratan sulphate and of glycosaminoglycans containing the residues of uronic acids. When the activity of these two enzymes is lost or strongly diminished as a result of mutations, these large glucidic structures accumulate in the organism and lead to the development of the two devastating syndromes : Morquio B and Sly.

To date, there is no treatment for these two types of mucopolysaccharidoses.

The experimental work that started last year consisted of developing and synthesizing molecules that may potentially act as galactosidase β and glucuronidase inhibitors.

This initially involves developing molecules that inhibit the activity of similar enzymes. Once these molecules are produced, they will be tested on purified enzymes to characterise their specificity, and on cells derived from patients affected by the Morquio B and Sly syndromes, to determine whether the enzymes activities are partially restored.

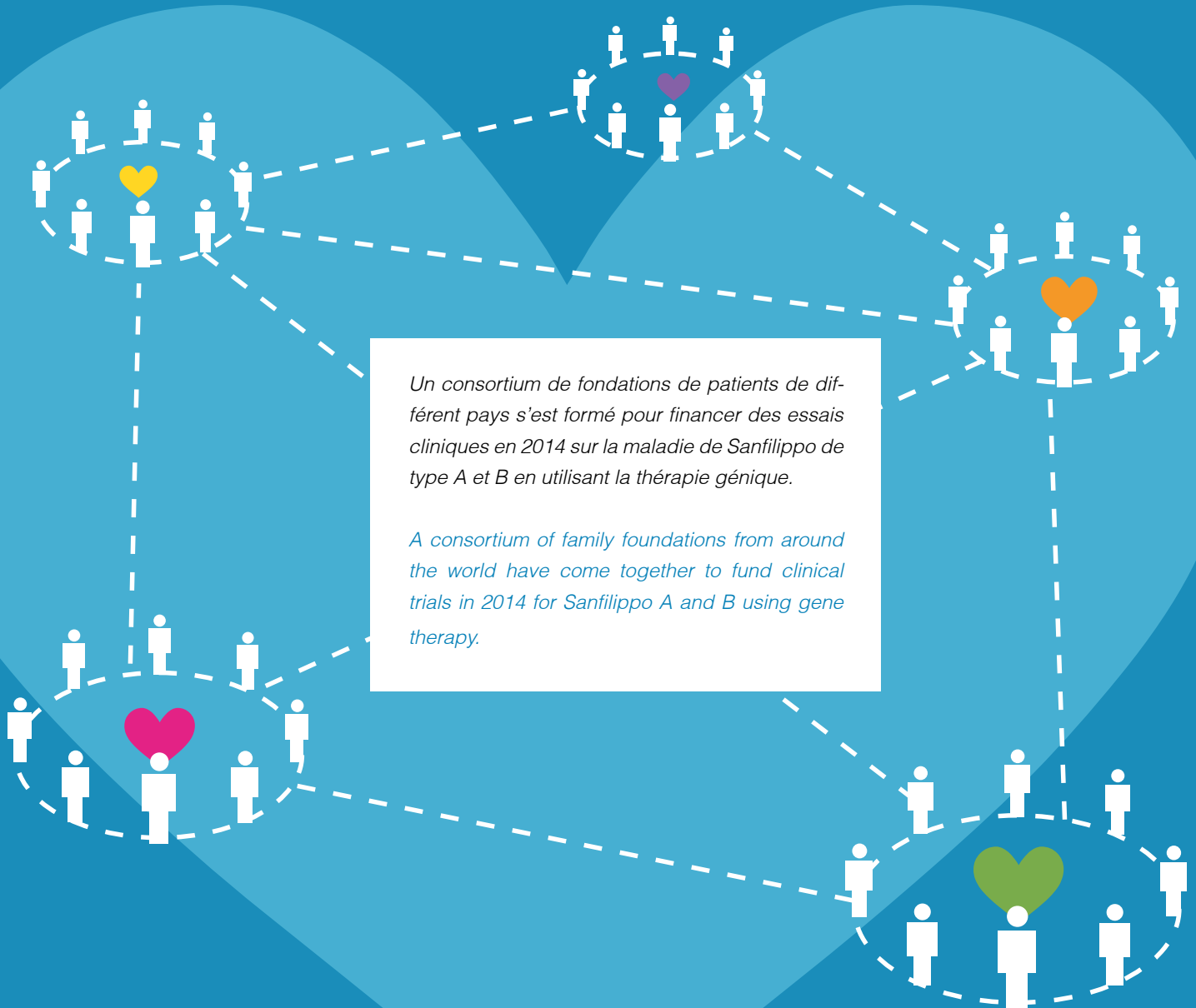


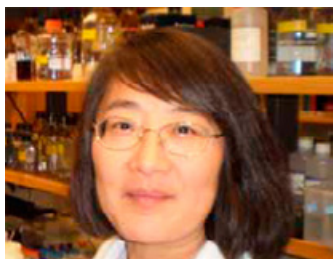
CHF 26'437.-

Montant alloué en 2012
Amount allocated in 2012

THÉRAPIE GÉNIQUE POUR MPS IIIA ET B

GENE THERAPY FOR MPS IIIA AND B.





Les essais seront effectués au Children's Hospital à Columbus, Ohio, aux États-Unis par l'équipe de Dr Haiyan Fu.

The trials will be conducted at Nationwide Children's Hospital in Columbus, Ohio, United States by the team of Dr. Haiyan Fu.

Les deux produits phares, ABX-A et ABX-B, sont aptes à transporter le produit thérapeutique au système nerveux central dans le but de prévenir et / ou inverser les effets des erreurs génétiques qui causent la maladie. Les ABX-A et ABX-B induisent des cellules dans le système nerveux central et le tube digestif pour produire les enzymes manquantes et aider à réparer et prévenir les dommages causés aux cellules. Les études menées sur de grands modèles animaux ont montré que les ABX-A et ABX-B sont bien tolérés avec des effets secondaires minimales. Surtout, les études chez des animaux atteints du syndrome de Sanfilippo ont démontré sans précédent l'effet thérapeutique bénéfique pendant des mois après le traitement. Une dose unique de ABX-A ou de ABX-B a restauré de manière significative le fonctionnement cellulaire et celui des organes. En outre, l'espérance de vie des animaux atteints de la maladie de Sanfilippo a augmenté de plus de 100% un an après le traitement par rapport aux animaux témoins non traités. De même, les animaux traités avec les ABX-A et ABX-B ont démontré des corrections de défauts cognitifs durables après l'administration du médicament. Ces résultats sont cohérents avec les études de plusieurs laboratoires suggérant que les traitements avec les ABX-A et ABX-B pourraient être potentiellement bénéfiques aux patients atteints du syndrome de Sanfilippo.

Les produits ABX-A et ABX-B seront administrés de manière à permettre un acheminement efficace des médicaments vers l'ensemble du corps et du système nerveux central - un avantage significatif sur les options thérapeutiques actuelles.

The two lead products, ABX-A and ABX-B, uniquely deliver the therapeutic product to the central nervous system with the aim of preventing and/or reversing the effects of the genetic errors that cause the disease. ABX-A and ABX-B induce cells in the central nervous system and digestive tract to produce the missing enzymes and help repair and prevent damage caused to the cells. Safety studies conducted in large animal models have demonstrated that delivery of ABX-A and ABX-B are well-tolerated with minimal side effects. Importantly, efficacy studies in animals with Sanfilippo syndrome have demonstrated unprecedented therapeutic benefit months after treatment.

A single dose of ABX-A or ABX-B significantly restored normal cell and organ function and increased the lifespan of animals with Sanfilippo disease over 100% a year after treatment compared to untreated control animals.

Similarly, animals treated with ABX-A and ABX-B demonstrated corrections of cognitive defects that remained months after drug administration.

These results are consistent with studies from several laboratories suggesting ABX-A and ABX-B treatment could potentially benefit patients with Sanfilippo syndrome Type A and B, respectively.

ABX-A and ABX-B will be administered systemically for efficient drug delivery to the whole body and central nervous system - a significant advantage over current therapy options.



CHF 191'700.-

Participation de la Fondation Sanfilippo Suisse au consortium

Participation of the Sanfilippo Foundation Switzerland in the consortium

MISE EN PLACE D'UN NOUVEAU PROGRAMME

ESTABLISHMENT OF A NEW PROGRAM

Au cours de l'année 2012, le comité scientifique de la Fondation a conduit une évaluation afin de trouver de nouveaux programmes de recherche prometteurs.

During the course of 2012, the Foundation's scientific committee carried out an evaluation in order to identify new promising research programs.

Le comité a identifié un programme qui est basé sur la compréhension des mécanismes enzymatiques gouvernant la physiologie des GAG et qui serait développé avec l'Université de Genève (UNIGE) et les Hôpitaux Universitaires de Genève (HUG). Ce premier programme de recherche issu de chercheurs suisses représente un pas important qui est très encourageant pour la Fondation Sanfilippo Suisse.

The committee identified a program, which is based on understanding the enzyme mechanisms that govern the GAG physiology, and would be developed with the University of Geneva (UNIGE) and the Hôpitaux Universitaires de Genève (HUG - Geneva University Hospitals). This first research program coming from Swiss researchers represents a major step, which is very encouraging for the Sanfilippo Foundation Switzerland.

APPEL DE PROJETS DE RECHERCHE

CALL FOR RESEARCH PROPOSALS

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.

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

RECONNAISSANCE

RECOGNITION

Une salle de conférence a été nommée au nom de la Fondation à la clinique de neurologie pédiatrique du Texas Children's Hospital, Houston, Texas, États-Unis, en reconnaissance de son soutien à la recherche du Pr Marco Sardiello - *modulation pharmacologique de l'activité lysosomale comme approche thérapeutique pour le traitement des MPS* - qu'il a menée l'an dernier.

A conference room at the paediatric neurology clinic of the Texas Children's Hospital, Houston, Texas, United States, has been named after the Foundation in recognition of its support for the research of Prof. Marco Sardiello - *pharmacological modulation of lysosomal activity as a therapeutic approach for the treatment of MPS* - that he carried out last year.

ZOOM SUR LE LANCEMENT DE DORPHAN S.A.

ZOOM ON THE LAUNCH OF DORPHAN S.A.

Depuis presque 5 ans, la Fondation Sanfilippo Suisse soutient des projets « découverte ».

The Sanfilippo Foundation Switzerland has been supporting «discovery» projects for nearly five years.

*A l'origine de tout médicament, il y a une idée d'un scientifique ou une découverte.
Behind every medicine, there is an idea of a scientist or a discovery.*

La Fondation a déployé des efforts financiers importants, notamment pour le programme très prometteur des chaperons chimiques mené par l'équipe du Pr Matthieu Sollogoub à l'Université Marie Curie à Paris, dont elle détient le brevet pour les MPS.

The Foundation has committed substantial financial resources in favour, in particular, of the very promising program into chemical chaperones lead by the team of Prof. Matthieu Sollogoub at the Université Marie Curie in Paris, for which it holds the patent for MPSs.

Toutefois, elle n'a ni la capacité humaine ni les fonds nécessaires pour gérer le bon développement jusqu'en phase des essais cliniques.

It has, however, neither the human capacity nor the funds necessary to manage the proper development to clinical trials.

C'est pour cela, qu'avec l'aide de généreux donateurs, les membres de la Fondation ont décidé de créer la société **DORPHAN S.A.** pour professionnaliser la gestion des projets qui avancent en leur donnant une meilleure chance d'atteindre la phase clinique.

That is why, with the assistance of generous donors, the members of the Foundation have decided to set up the company, **DORPHAN S.A.** to professionalise the management of the projects that are moving forward, giving them a better chance of attaining the clinical phase.

Ceci devrait permettre que des projets soutenus initialement par la Fondation ne soient pas abandonnés ou utilisés à d'autres fins, mais puissent peut-être réellement se transformer en médicaments pour la maladie de Sanfilippo.

This should mean that projects initially supported by the Foundation do not have to be abandoned or used for other purposes, but may perhaps really be transformed into medicines for the Sanfilippo syndrome.

 www.dorphan.com

DORPHAN 

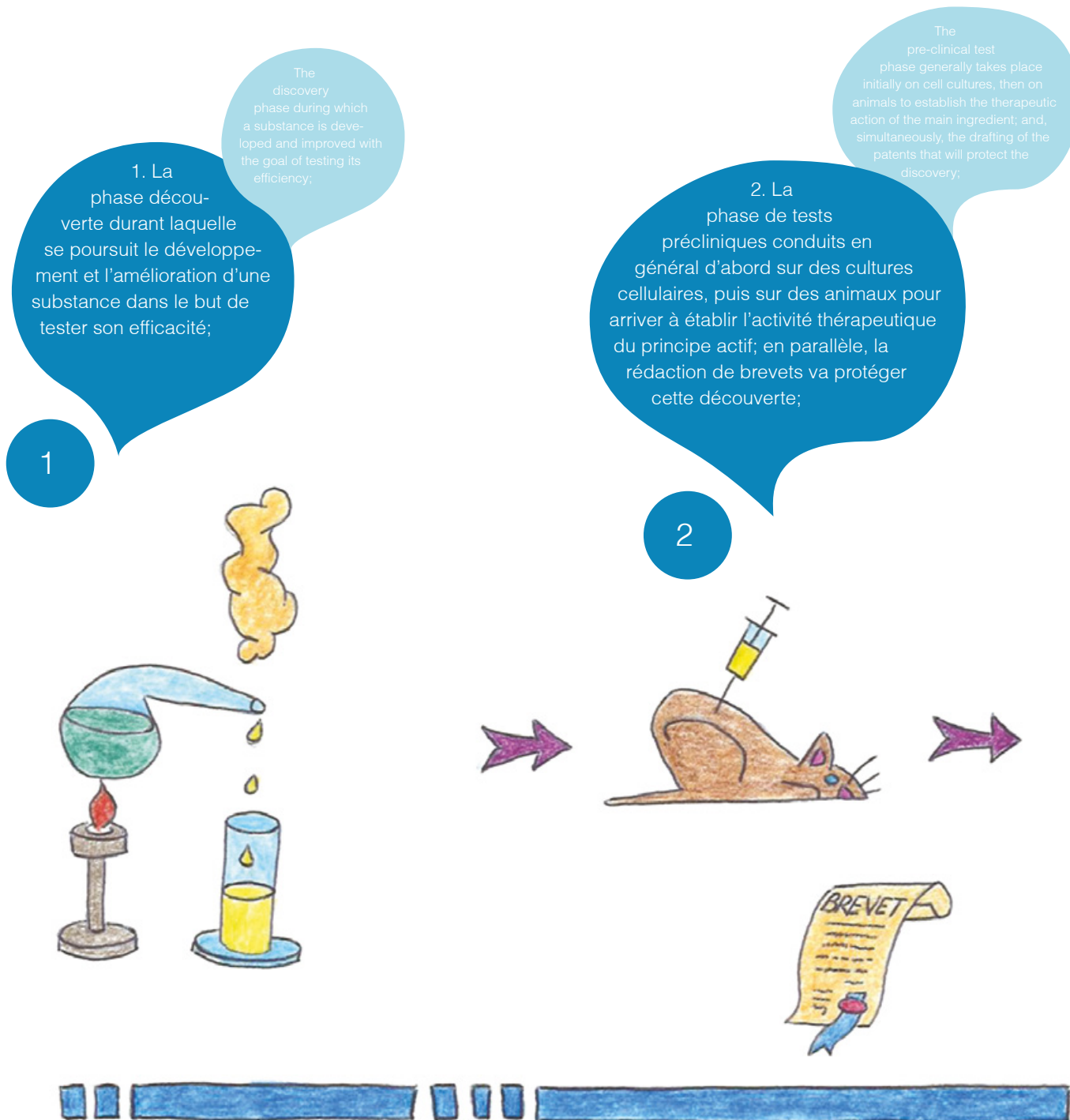


Pour qu'un projet de recherche fondamentale soit développé jusqu'à la mise sur le marché d'un médicament efficace pour les patients souffrant d'une maladie, il s'écoule en général de 5 à 15 ans et d'importants moyens financiers sont nécessaires.

It generally takes 5 - 15 years and substantial financial means for a basic research project to develop right up to the marketing stage of a medicine that is effective for patients suffering from a disease.

LES PHASES DE DÉVELOPPEMENT D'UN MÉDICAMENT

THE DEVELOPMENT PHASES OF A MEDICINE



FONDATION SANFILIPPO SUISSE
SANFILIPPO FOUNDATION SWITZERLAND

DORPHAN S.A.

POUR LA MALADIE DE SANFILIPPO

FOR SANFILIPPO SYNDROME



Swissmedic
EMA
FDA

GRAND GROUPE PHARMACEUTIQUE
BIG PHARMACEUTICAL COMPANY

ZOOM SUR UNE THÉRAPIE GÉNIQUE

ZOOM ON A GENE THERAPY

Cinq ans après son lancement, le programme SAF-301 de Lysogene est devenu le premier programme clinique et pédiatrique d'Europe à utiliser la thérapie génique intracérébrale.

In the 5 years from project initiation, Lysogene's SAF-301 became Europe's first pediatric clinical program using intra-cerebral gene therapy.

La thérapie génique traite certaines maladies causées par la déficience d'un gène, et est particulièrement efficace contre les maladies rares pour lesquelles aucun traitement médicamenteux satisfaisant n'existe.

Gene therapy is appropriate for the treatment of diseases caused by the failure of a single gene, and is particularly suitable for rare diseases for which there is no satisfactory drug treatment.

Depuis quelques années, de plus en plus d'entreprises testent la thérapie génique et obtiennent des résultats prometteurs. Les progrès récemment obtenus en terme d'ingénierie des adénovirus ont permis de réduire l'occurrence de réponses immunes graves. Lysogene utilise un système de libération de virus adéno-associés (AAVs). Ces AAVs sont rapidement devenus l'un des vecteurs viraux les plus fréquemment utilisés lors d'essais cliniques de thérapie génique. Ils sont très sûrs, non pathogènes et considérés comme bénins par le système immunitaire humain.

Over the last several years, a growing number of companies have conducted gene therapy trials yielding increasingly promising results. Recent advances in the engineering of adenoviruses have reduced the likelihood of severe immune responses. Lysogene's approach utilizes an Adeno-Associated Viruses (AAVs) delivery system. AAVs have rapidly become one of the most frequent viral vectors in gene therapy clinical trials. They have a very good safety record, are non-pathogenic and are considered benign by the human immune system.

La thérapie génique de Lysogene peut être utilisée pour traiter certaines maladies génétiques du système nerveux central. Ces maladies résultent de mutations génétiques à l'origine d'enzymes déficientes ou manquantes. Le traitement de Lysogene est introduit directement dans le cerveau des patients par stéréotaxie, une procédure chirurgicale courante et sûre.

Lysogene's gene therapy approach can be used to treat a variety of genetic diseases with a CNS component. These diseases are the result of genetic mutations which produce deficient or missing enzymes.



CHF 125'105.-

Programme soutenu par la Fondation Sanfilippo Suisse en 2009, 2010 et 2012.

Program supported by the Sanfilippo Foundation Switzerland in 2009, 2010 and 2012.

Le traitement consiste en un vecteur viral porteur d'ADN qui encode un gène fonctionnel et thérapeutique afin de remplacer un gène muté. Ce vecteur viral transporte les gènes dans les neurones, qui sont alors capables de produire l'enzyme manquante pour traiter ou inverser les conséquences de la maladie.

Selon la société, ce procédé est particulièrement adapté pour traiter la MPS IIIA (mucopolysaccharidose de type IIIA). Les patients atteints de MPS IIIA présentent une mutation du gène N-sulfoglucosamine sulphohydrolase (SGSG).

Lysogene a mené plusieurs études sur l'efficacité, la toxicité et la biodistribution précliniques du SAF-301. Les résultats positifs obtenus en termes de sécurité et d'efficacité lors des essais précliniques lui ont permis de réaliser une étude clinique de phase I/II sur des patients atteints de la maladie de Sanfilippo de type A (lancée en août 2011).

Quatre patients ont participé à cette étude et ont tous reçu le traitement expérimental de thérapie génique. Ils seront évalués sur la base de critères d'efficacité et de sécurité, comprenant des paramètres biologiques, radiologiques et cliniques.

Lysogene a particulièrement concentré ses efforts sur l'élaboration du plan de développement réglementaire et clinique du SAF-301. La méthodologie rigoureuse de la société ainsi que ses interactions avec les autorités de régulation européennes lui ont permis de rapidement prendre en compte les résultats obtenus et passer à l'étape clinique du SAF-301. Lysogene restera en contact permanent avec les autorités de régulation européennes et américaines pour garantir le développement continu et la commercialisation du SAF-301.

Lysogene's treatment is delivered directly into the brain of affected patients via stereotaxis, a safe and common surgical procedure.

The treatment consists of a viral vector carrying DNA that encodes a functional, therapeutic gene in order to replace a mutated gene. The viral vector carries the genes into the brain cells which are then able to produce the missing enzyme treating and/or reversing the consequences of the disease.

The Company's first indication is for MPS IIIA (Mucopolysaccharidosis of type IIIA). Patients with MPS IIIA have a mutation in the N-sulphoglucosamine sulphohydrolase (SGSH) gene.

Lysogene has conducted a number of pre-clinical efficacy, toxicity and biodistribution studies on SAF-301. The positive safety and efficacy outcomes demonstrated in the pre-clinical studies have enabled Lysogene to launch the clinical trial Phase I/II in Sanfilippo Type A patients (started August 2011).

This trial is fully enrolled with 4 patients, all of which have received the investigational gene therapy treatment. Patients will be evaluated on both efficacy and safety measures, including biological, radiological and clinical parameters.

Lysogene has spent considerable effort in developing the regulatory and further clinical development plan for SAF-301. The Company's rigorous methodology and interactions with the European regulatory authorities to date have illustrated its ability to quickly incorporate feedback as demonstrated by the speed in which SAF-301 was brought to the clinic. Lysogene will maintain consistent dialogue with regulatory authorities both in Europe and the United States to ensure the continued development and commercialization of SAF-301.



Karen Aiach

Fondatrice, présidente
Alliance Sanfilippo France

PDG
Lysogene France

Founder, President
Alliance Sanfilippo France

CEO
Lysogene France

ACTIONS CAMPAIGNS



Photo: Stéphane Dupuis

ACTIONS DE SENSIBILISATION CAMPAIGNS

SOLIDARITÉ AUTOUR DES MALADIES RARES EN SUISSE

SOLIDARITY IN RELATION TO RARE DISEASES IN SWITZERLAND

JOURNÉE INTERNATIONALE DES MALADIES RARES

INTERNATIONAL RARE DISEASES DAY

Placée sous le signe de la solidarité, la deuxième édition de la Journée internationale des maladies rares en Suisse a été organisée à Lausanne le 25 février 2012 par ProRaris, l'organisation faîtière nationale pour les maladies rares.

Plus de 350 participants ont rencontré les trente-deux associations de patients présentes, dont la Fondation Sanfilippo Suisse, et pris part aux débats. La participation de M. Pierre-Yves Maillard, Conseiller d'État, en charge du Département de la santé et de l'action sociale du Canton de Vaud, et de M. Pascal Strupler, Directeur de l'Office fédéral de la santé publique (OFSP), ainsi que des représentants des médecins, des assurances maladies et de l'industrie pharmaceutique témoignent d'une véritable prise de conscience publique et politique de la problématique des maladies rares.

Anchored in the principle of solidarity, the second International Rare Diseases Day in Switzerland was organised in Lausanne on 25th February 2012 by ProRaris, the national umbrella organisation for rare diseases.

More than 350 participants met and took part in the discussion with the thirty-two patient associations present, including the Sanfilippo Foundation Switzerland. The participation of Mr. Pierre-Yves Maillard, State Councilor, in charge of the Department of Health and Social Action of the Canton of Vaud, and Mr. Pascal Strupler, Director of the Swiss Federal Office of Public Health (FOPH), as well as representatives of doctors, health insurance bodies and the pharmaceutical industry reflect a real public and political awareness of the issue of rare diseases.



Photo: Stéphane Dupuis

«Afin d'apporter sa contribution à la stratégie nationale maladies rares, ProRaris sera un interlocuteur vigilant et impliqué dans le cadre des échanges souhaités par l'Office fédéral de la santé publique.» explique Mme Esther Neiditsch, secrétaire générale, ProRaris.

"In order to contribute to the national strategy on rare diseases, ProRaris will be a vigilant and involved partner in the framework of the exchanges sought by the Federal Office of Public Health", explained Mrs. Esther Neiditsch, General Secretary of ProRaris.





PARTENARIAT / PARTNERSHIP

Mentionnez la Fondation Sanfilippo Suisse lorsque vous prenez rendez-vous. Le 10% de chaque achat sera reversé à la Fondation, et ceci jusqu'au 13 octobre 2013.

Mention the Sanfilippo Foundation Switzerland when you make an appointment. 10% of each purchase will be donated to the Foundation, and this until 13th October 2013.

pourquoi le garder?



Si vous ne le portez pas,
envisagez de le vendre.

Vendez les bijoux, les diamants et les montres de luxe que vous ne portez plus à CIRCA.

Qu'il s'agisse d'un diamant d'un carat ou d'une collection entière, CIRCA garantit une expertise fiable, le meilleur prix et un règlement immédiat pour vos biens.

+41(0)22-3103071 | CIRCAJEWELS.COM

CIRCA®

GALA SANFILIPPO

SANFILIPPO GALA

La Fondation a tenu la quatrième édition du gala Sanfilippo le 14 octobre 2012 au Grand Hôtel Kempinski Genève et présenté un défilé de mode enfants «Il Gufo Bambini vestiti da Bambini». Sous la présidence d'honneur de la Comtesse Catharina Secco d'Aragona et animé par Mme Nev'eda Tegin, ce traditionnel dimanche en famille a réuni plus de 200 invités et une centaine d'enfants pour soutenir la recherche et combattre ensemble la maladie de Sanfilippo. Les convives ont pu suivre les présentations du Pr Stylianos Antonarakis sur les maladies génétiques et du Dr Stéphane Demotz sur le développement des programmes de recherche soutenus par la Fondation.

Une vente aux enchères menée par Mme Caroline Lang de Sotheby's, avec notamment une œuvre de Jeff Koons offerte par l'artiste, a contribué à récolter la somme de CHF 100'000 entièrement consacrée aux programmes de recherche en cours de la Fondation.

The Foundation held the fourth edition of the Sanfilippo Gala on 14th October 2012 at the Grand Hotel Kempinski Geneva. A children's fashion show: «Il Gufo Bambini vestiti da Bambini» was presented during the event. This traditional family Sunday, under the patronage of the Honorary Chairperson, Countess Catharina Secco d'Aragona, and hosted by Ms. Nev'eda Tegin, brought together more than 200 guests and some one hundred children to support research and engage together in the fight for the Sanfilippo syndrome. The guests received presentations from Prof. Stylianos Antonarakis on genetic diseases and from Dr. Stéphane Demotz on the development of the research programs supported by the Foundation.

The auction directed by Mrs. Caroline Lang of Sotheby's included a number of items, in particular a work by Jeff Koons offered by the artist himself and contributed to raising a total of CHF 100,000 dedicated entirely to the Foundation's current research programs.



CIRCA



SAFRA GROUP

HINDUJA BANK (SWITZERLAND) LTD

Sponsor principal | [Principal sponsor](#)

Sponsor associé | [joint sponsor](#)

Sponsor associé | [joint sponsor](#)

Organisation | [Organisation](#) : Blue Heron Productions



01



02



03



04



05



06



07



08



10



09



11



12

01. Corinne Féry-von Arx, Stéphanie Morel, Guido Chiavelli (CEO Il Gufo), Vivien Yakopin (Circa), Mary Hofstetter, Linda Leclerc, Caroline Lang, Frédéric Morel et sa fille Charlotte. 02. Kari Gahiga et son fils. 03. Shaza Gahiga et Elisabetta Boselli-Mauro. 04. Charlotte Morel parmi les enfants. 05. La famille Boselli-Mauro. 06. La famille Fentener van Vlissingen-Sendas 07. Sylvie Brunchwitz, Christine Chavanon et Martine Lovering. 08. Betty Neumann, Sylvia Bourne et Katia Radwanski. 09. Nadine Aysoy, Elisabetta Boselli-Mauro et Ludmila Joory. 10. La salle des enfants. 11. Me Monique Caillat et Me Xavier Auberson 12. Baronne Isabelle de Vinck, Marie-Hélène de Sangosse, la Comtesse Secco d'Aragona (Présidente d'honneur du gala) et Laure Sarasin.



13



14



15



16



17



18



19



20



21



22



23



24

13. Vivien Yakopin (Circa) 14. Nadine Aysoy et Caroline Lang de Sotheby's 15. Pr Stylianos E. Antonarakis, parrain de la Fondation 16. Dr Stéphane Demotz 17. La salle des festivités 18. La famille Hinduja 19. La Comtesse Secco d'Aragona, Céline Zinnow (Cartier), le Comte Secco d'Aragona et Beatriz de Villegas (Be Africa SA). 20-21-24. Le défilé Il Gufo Bambini 22-23. Le final du défilé avec Linda Leclerc et Nev'eda Tegin

Crédit photos: Patrick Grob
Crédit photos: Audrey Leclerc (02, 05, 06)

VOIX SOLIDAIRES / L'AMICALE AUXILIUM

UNITED VOICE / AMICALE AUXILIUM



Les membres de l'amicale Auxilium ont organisé un dîner de soutien le 24 mars 2012 à la salle polyvalente de Dardagny pour soutenir la cause des enfants atteints par la maladie de Sanfilippo.

The members of The «Amicale Auxilium» organised a dinner in support of children suffering from the Sanfilippo syndrome on 24th March 2012 in the Dardagny multi-purpose hall.

Cette manifestation a permis de récolter CHF 20'000 qui sont entièrement utilisés à la réalisation d'une action sociale qui s'est déroulée en deux phases bien distinctes.

Premièrement, une sortie en montagne a été organisée le dimanche 16 septembre au parc animalier de Merlet, à Chamonix (France) regroupant une vingtaine de personnes et de familles d'enfants Sanfilippo, avec la présence de M. Ismaël Santos, ancien capitaine de basket du Real Madrid devenu un guide aguerri de haute montagne.

Cette aventure a été filmée en vue de la réalisation d'un documentaire visant, dans un second temps, à sensibiliser l'opinion publique au moyen de diffusion auprès des médias et des entreprises.

En outre, le guide Ismaël Santos s'était fixé l'objectif d'escalader les 82 sommets de 4 000 mètres d'altitude des Alpes. Il ne lui restait que 25 pics à gravir pour réaliser son projet lorsqu'il a décidé que dorénavant chaque nouvelle ascension serait dédiée à un enfant souffrant de la maladie de Sanfilippo dans le cadre de **l'Escalade avec Sanfilippo** (Escalando con Sanfilippo).

They managed to raise CHF 20,000, all of which went to support a social action that was carried out in two distinct phases.

Firstly, a mountain excursion was organised on Sunday, 16th September to the Merlet animal park in Chamonix (France) bringing together some twenty people and the families of Sanfilippo children in the presence of Mr. Ismaël Santos, a former basketball captain of Real Madrid and now a very experienced high-altitude mountain guide.

This adventure was filmed with a view to creating a documentary intended, subsequently, to raise public awareness via its dissemination to media and business.

The guide Ismaël Santos has, in addition, set himself the goal of climbing the 82 4,000-metre summit peaks in the Alps. He had only 25 peaks left to climb to achieve his project when he decided that henceforth every new climb would be dedicated to a child suffering from Sanfilippo syndrome in the framework of **Climbing with Sanfilippo** (Escalando con Sanfilippo).

L'ATELIER ZIK

ZIK WORKSHOP

Le 25 juillet 2012, les 16 jeunes stagiaires de l'Atelier Zik - un stage créé par M. Henry Duffour pour l'IFAC (formation, animation, conseil, au service de la vie locale) et la ville de Thonon-les-Bains - ont donné un concert à la médiathèque/cour de la visitation à Thonon-les-Bains au cours duquel un chapeau a tourné au profit de la Fondation Sanfilippo Suisse. Ce spectacle a permis de récolter 310 Euros.

On 25th July 2012, the 16 young trainees from Atelier Zik - a traineeship programme created by Mr. Henry Duffour for the IFAC (training, animation, advice at the service of local life) and the town of Thonon-les-Bains - gave a concert at the Thonon-les-Bains media library/cour de la visitation during which a hat was passed around for the benefit of the Sanfilippo Foundation Switzerland. The show managed to raise 310 Euros.



ANNIVERSAIRES BIRTHDAYS

La famille Grillet, Mme Elisabeth Janssens, la Comtesse Catharina Secco d'Aragona et son fils Nicolo, 10 ans, ont choisi de fêter leur anniversaire respectif d'une manière différente et généreuse. Tous ont demandé aux invités de choisir de faire un don à la Fondation pour la recherche en guise de cadeau. Adultes et enfants ont été si nombreux à répondre positivement à leur appel que le montant de la donation en faveur de la Fondation s'est élevé à CHF 12'000.

The Grillet Family, Mrs. Elisabeth Janssens, Countess Catharina Secco d'Aragona and her son, Nicolo, 10 years old, chose to celebrate their respective birthdays in a very different and generous fashion. All of them asked their guests to make a donation to the Foundation for research as their gifts. Adults and children all generously responded to their appeal, which raised CHF 12,000 for the Foundation.



IMMERSION COMMUNAUTAIRE

COMMUNITY IMMERSION

Pour leur travail de Bachelor, cinq étudiants en 3ème année de médecine ont exposé les différents rôles d'associations, présentes en Suisse romande et s'occupant de maladies orphelines.

La Fondation a été l'une des 25 associations de patients retenues selon des critères spécifiques, et a participé à l'étude qui a notamment démontré que ces associations gagnent en visibilité et ont un rôle central dans la prise en charge de ces maladies.

De même, un travail de maturité a été écrit par une collégienne sur la mucopolysaccharidose de type III (maladie de Sanfilippo), intitulé « un combat contre le temps ».

For their initial third-level studies, five third-year medicine students presented the various roles that play associations located in French-speaking Switzerland dealing with rare diseases.

The Foundation was one of the 25 associations of patients selected on the basis of the specific criteria and participated in the study which, in particular, demonstrated that these associations achieve extra visibility and have a central role to play when it comes to action being taken about these diseases.

Also, an end-of-school project on mucopolysaccharidosis III (Sanfilippo syndrome), entitled «A fight against time», was written by a secondary school pupil.



LA MALADIE
FRAPPE AU HASARD,
NOUS SOMMES TOUS
CONCERNÉS.

MERCI DE NOUS
AIDER A SAUVER
CES ENFANTS !

CCP 10-185368-3

www.fondation-sanfilippo.ch

RAPPORT FINANCIER FINANCIAL REPORT

MOORE STEPHENS

Rapport de l'organe de révision
sur l'examen succinct
au 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)58 911 86 00
Fax : +41 (0)58 911 86 97
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 2012.

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.

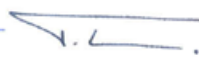
Sur la base de notre examen succinct, nous n'avons pas relevé de faits qui nous laissent à penser que les états financiers ne donnent pas une image fidèle du patrimoine, de la situation financière et des résultats de la Fondation Sanfilippo Suisse, conformément à la loi suisse et aux statuts.

Genève, le 10 avril 2013

MOORE STEPHENS REFIDAR SA



Jacques Grossen
Expert réviseur agréé



Tony Lerch

In accordance with your instructions, we have reviewed the interim financial statements of The Sanfilippo Swiss Foundation for the year ended 31 December 2012.

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.

Annexes : comptes annuels

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

AU 31 DÉCEMBRE 2012

31ST DECEMBER 2012

BILAN AU 31 DECEMBRE 2012

BALANCE SHEET AT 31ST DECEMBER 2012

	Notes	31.12.2012 CHF	31.12.2011 CHF
ACTIF / ASSETS			
Liquidités et équivalents / <i>Cash or equivalent</i>		377'695	152'999
Promesses de dons à recevoir et débiteurs / <i>Debtors</i>		13'500	68'180
Actifs transitoires / <i>Prepaid expenses and accrued income</i>		4'634	1'690
Actifs circulants / <i>Current assets</i>		395'829	222'869
Participation / <i>Participation</i>		1'185'417	500'000
Actifs immobilisés / <i>Other assets</i>		1'185'417	500'000
TOTAL DE L'ACTIF / <i>TOTAL ASSETS</i>		1'581'246	722'869
PASSIF / LIABILITIES			
Créanciers / <i>Creditors</i>		77	15'299
Passifs transitoires / <i>Accrued liabilities</i>		10'995	14'400
Fonds affectés (recherches) - Dr. Olivier Martin	5	13'944	11'585
Fonds affectés (recherches) - Thérapie Génique MPS III Fr.)	5	24'020	0
Fonds affectés (recherches) - Thérapie Génique MPS III (USA)	5	191'700	0
		<i>Reserve - Donations allocated funds</i>	
Fonds étrangers / <i>Liabilities</i>		240'735	41'284
Capital de dotation / <i>Capital</i>		100'000	100'000
Résultat reporté / <i>Retained earnings</i>		581'585	490'423
Résultat de l'exercice / <i>Result of the year</i>		658'926	91'162
Fonds propres / <i>Shareholders' equity</i>		1'340'511	681'585
TOTAL DU PASSIF / <i>TOTAL LIABILITIES</i>		1'581'246	722'869

COMPTE DE PROFITS ET PERTES

INCOME STATEMENT FOR THE YEAR 2012

	Notes	CHF (365 jours/days)	CHF (365 jours/days)
PRODUITS / INCOME			
Dons - Fonds libres / <i>Donations - free funds</i>		1'185'619	49'261
Dons - Fonds libres (Commune genevoise) / <i>Donations - free funds (municipality)</i>		8'000	2'600
Total des dons - Fonds libres		1'193'619	51'861
Dons - Fonds affectés aux programmes de recherche / <i>Donations - funds allocated to research</i>	1	182'406	0
Dons - Fonds affectés à l'organisation de la Conférence / <i>Donations - funds allocated to Conference organisation</i>	3	5'000	350'769
TOTAL DES PRODUITS / <i>TOTAL INCOME</i>		1'381'025	402'630
CHARGES / EXPENSES			
Utilisation des fonds affectés - recherches / <i>Use of allocated funds- expenses</i>			
Charges résultant de financement affectés à la recherche / <i>Expenses resulting from funds allocated to research</i>	2	242'157	1'496
Charges résultant de financement affectés à d'autres programmes / <i>Expenses resulting from funds allocated to Conference</i>	4	1'220	210'668
		243'376	212'164
Charges courantes / <i>Operating expenses</i>			
Salaires et charges sociales / <i>Salaries and social taxes</i>		64'053	63'583
Frais de communications / <i>Communication</i>		1'149	1'015
Assurance / <i>Insurance</i>		315	315
Indemnité membre du Comité Scientifique / <i>Allowance member of Scientific Committee</i>		0	0
Frais de déplacements et de représentations / <i>Travel expenses - Scientific Committees meetings</i>		2'958	2'274
Graphisme, impression, traduction et publicité / <i>Printing, graphism, translation and marketing expenses</i>		18'068	17'881
Honoraires de légaux de révision et de tiers / <i>Legal and accounting fees</i>		4'810	3'580
Frais informatiques, conférences MPS et frais divers / <i>MPS Conferences participation and other expenses</i>		3'896	1'484
Taxes, émoluments - DFI / <i>Taxes and fees - DFI</i>		530	773
Total des charges / <i>Total operating expenses</i>		95'779	90'905
Résultat net avant autres produits et charges		1'041'870	99'561
Activités financières			
Produits financiers / <i>Financial income</i>		273	201
Perte non réalisée sur titres et participation / <i>Unrealized loss on securities and investment</i>	5f	(380'000)	0
Perte de change / <i>Exchange loss</i>		(334)	(4'706)
Intérêts et frais bancaires / <i>Interest and bank charges</i>		(2'882)	(3'895)
Résultat de l'activité financière / <i>Financial result</i>		(382'944)	(8'399)
RESULTAT NET DE L'EXERCICE / <i>NET RESULT FOR THE YEAR</i>		658'926	91'162

ANNEXE AUX COMPTES ANNUELS CLOS AU 31 DECEMBRE 2012
 NOTES TO THE FINANCIAL STATEMENTS FOR THE PERIOD ENDED 31ST DECEMBER 2012

	(365 jours/days)	(365 jours/days)
1) Total des dons - Fonds affectés aux programmes de recherches / Donations - funds allocated to research	182'406	0
<i>Se décomposant de la manière suivante : / Are composed as follows :</i>		
Dons résultant de manifestations affectés à la recherche / Funds resulting from manifestation allocated to research	89'632	0
Produits de manifestations affectés à la recherche / Manifestation income allocated to research	186'594	6'540
Charges d'organisation de manifestations / Conference organisation expenses	(93'820)	0
	<hr/> 182'406	<hr/> 6'540
Dons d'entreprises pharmaceutiques affectés à la recherche / Pharmas sponsoring allocated to research	0	1'300
Dons ne résultant pas de manifestations affectés à la recherche / Other funds	0	500
	<hr/> 0	<hr/> 1'800
Total des dons affectés aux programmes de recherche / Total funds allocated to research	182'406	8'340
2) Total des charges résultant de financement affectés / Use of research allocated funds	242'157	1'496
<i>Se décomposant de la manière suivante : / Are composed as follows :</i>		
Programme du Dr. Sollogoub - Chaperons Chimiques MPS III B / Program: "Dr. Sollogoub - Chaperons Chimiques MPS III B"	0	1'496
Programme de Mme Aiach - Thérapie Génique Paris MPS III A / Program: "Mme Aiach - Thérapie Génique Paris MPS III A"	24'020	0
Programme de Dr. Martin - Chaperons Chimiques MPS II et VII / Program: "Dr. Martin - Chaperons Chimiques MPS II et VII"	26'437	0
Participation Abeona Therapeutic - Thérapie Génique (USA) / Investment Abeona Therapeutic - "Thérapie Génique" (USA)	191'700	0
3) Dons - Fonds affectés à l'organisation de la Conférence / Donations - funds allocated to conference	5'000	350'769
<i>Se décomposant de la manière suivante : / Are composed as follows :</i>		
Dons résultant de manifestations affectés à la conférence / Funds resulting from manifestation allocated to conference	5'000	0
Produits de manifestations affectés à la conférence / Manifestation income allocated to conference	0	265'125
Charges d'organisation de manifestations / Conference organisation expenses	0	(133'750)
	<hr/> 5'000	<hr/> 131'375
Sponsoring d'entreprises pharmaceutiques affectés à la conférence / Pharmas sponsoring allocated to the conference	0	23'059
Ventes de billets affectés à la conférence / Sell of conference entrance tickets	0	3'963
Dons ne résultant pas de manifestations affectés à la conférence (y compris Loterie Romande) / Other funds	0	192'373
	<hr/> 0	<hr/> 219'394
Total des dons affectés à l'organisation de la Conférence / Total funds allocated to conference	5'000	350'769
4) Charges résultant de financement affectés à des programmes / Use of conference allocated funds	1'220	210'668
<i>Se décomposant de la manière suivante : / Are composed as follows :</i>		
<u>Organisation de la 1ère Conférence MPS à Genève / Organization of the first MPS's conference in Geneva</u>		
Indemnités versés aux familles atteintes par une MPS / Allowance for families	0	36'000
Indemnités versés aux scientifiques (Conférenciers) / Allowance for scientists	0	19'983
Programme d'encadrement des enfants atteints par une MPS / Coaching programme for children suffering from a MPS	0	6'305
Charges de traduction (simultané durant la Conférence) / Translation expenses	0	12'000
Infrastructure, nourritures, logements et décoration / Facilities, food and accomodation	630	51'638
Assurances / Insurances	0	3'503
Publicité, impression et graphisme / Advertising and graphism	0	30'106
Frais d'organisation de la Conférence / Organization expenses	0	15'467
	<hr/> 630	<hr/> 175'002
<u>Autres projets soutenus durant l'année / Other projects supported during the year</u>		
Soutien à la réalisation d'une sortie en montagne (Amicale Auxilium) / Support of the realization of a mountain trip (Amicale Auxilium)	590	0
Soutien à la réalisation du film "Les enfants de Sanfilippo" Mme M. Stalder / Support of the making of the movie "Les enfants de Sanfilippo"	0	31'666
Soutien à l'organisation de la "Journée Internationale des maladies rares" / Support of the organization of "Journée Internationale des maladies rares"	0	4'000
	<hr/> 590	<hr/> 35'666
Total des charges résultant aux soutiens à des programmes / Total expenses arising in support of programs	1'220	210'668

ANNEXE AUX COMPTES ANNUELS CLOS AU 31 DÉCEMBRE 2012
 NOTES TO THE FINANCIAL STATEMENTS FOR THE PERIOD ENDED 31ST DECEMBER 2012

5) Variation du poste de réserve au passif du bilan / Evolution of the reserve position in liabilities

a) Fonds Affectés (recherches) - Dr. Olivier Martin / Affected funds (researches) - Dr. Olivier Martin

Report solde réserve au 1er janvier / Reported reserve balance as at 1st January	11'585	0
Affectation du solde d'autres programmes de recherches (selon point 5b) / Allocation of the balance of other research programs (as point 5b)	0	3'245
Dons reçus durant l'année affectés à la recherche (selon point 1) / Donations received during the year affected to the research (as point 1)	28'796	8'340
Soutien au programme de recherches durant l'année / Support of the research program during the year	(26'437)	0
	13'944	11'585

b) Fonds Affectés (recherches) - Dr. Marco Sardiello / b) Affected funds (researches) - Dr. Marco Sardiello

Report solde réserve au 1er janvier / Reported reserve balance as at 1st January	0	48'110
Dons reçus durant l'année affectés à la recherche (selon point 1) / Donations received during the year affected to the research (as point 1)	0	0
Soutien au programme de recherches durant l'année / Support of the research program during the year	0	(44'865)
Affectation à d'autres programmes de recherches (selon point 5 a) / Assignment to other research programs (as point 5 a)	0	(3'245)
	0	0

c) Fonds Affectés (coûts - Vidéo) - Loterie Romande / Affected funds (Video costs) - Loterie Romande

Report solde réserve au 1er janvier / Reported reserve balance as at 1st January	0	10'494
Soutien au projet durant l'année / Support of research program of the year	0	(10'494)
	0	0

d) Fonds Affectés (recherches) - Alliance Sanfilippo - Thérapie Génique MPS III A / Affected funds (researches) - "Alliance Sanfilippo - Thérapie Génique MPS III A"

Dons reçus durant l'année affectés à la recherche (selon point 1) / Donations received during the year affected to the research (as point 1)	24'020	0
Soutien au programme de recherches durant l'année / Support of the research program during the year	0	0
	24'020	0

e) Abeona Therapeutic - Thérapie génique MPS III (USA) / Abeona Therapeutic - "Thérapie génique MPS III" (USA)

Dons reçus durant l'année affectés à la recherche (selon point 1) / Donations received during the year affected to the research (as point 1)	129'591	0
Utilisation de dons libre pour soutien au programme / Use of free donations to program support	62'109	0
Soutien au programme de recherches durant l'année / Support of the research program during the year	0	0
	191'700	0

f) Perte non réalisée sur titres et participation / Unrealized loss on securities and investment

La perte non réalisée sur la participation SanOrphan SA est liée à la revalorisation des actifs de celle-ci suite à l'entrée dans le capital-actions de nouveaux actionnaires. Durant le dernier trimestre 2012, la raison sociale de cette participation a été modifiée en Dorphan SA. / The unrealized loss on the SanOrphan SA investment is linked to the revaluation of this investment following the entry of new shareholders. During the first quarter of 2012, the name of this investment was amended in Dorphan SA.

REMERCIEMENTS AKNOWLEDGMENTS



La Fondation Sanfilippo Suisse remercie chaleureusement tous les donateurs, sponsors, partenaires, supporters dont les contributions ont généreusement soutenu les activités de la Fondation durant l'année 2012.

The Sanfilippo Foundation Switzerland warmly thanks all the donors, sponsors, partners, supporters whose contributions have generously supported the Foundation's activities during the year 2012.

Notre gratitude s'adresse à Me Olivier Dunant et l'Étude Borel & Barbey pour leur fidèle soutien et à toutes les personnes qui ont fait de généreux dons .

We are grateful to Mr. Olivier Dunant and the Etude Borel & Barbey for their continued support and to all those who have made generous donations.



LES PERSONNES PRIVÉES PRIVATE PERSONS

M. Rémo Ambrosio, M. et Mme Cédric et Stéphanie Anker , M. et Mme Jean-Marc et Marie-Axelle Annicchiarico, M. Diego Aponte, M. et Mme Jean et Hong Ngu Balsiger Nguyen, M. Jacques Bemberg, Mme Madeleine Bertholet, Mme Kirsty Bertarelli, M. et Mme Patrick et Danielle Bertola Reymond, M. Antoine Bertrand, M. René Bohnenblust, M. Robert Borgis, M. Stephen Bourquard, Mme Francesca Brignone, Mme Sophie Bron Pajares, Mme Felicitas Bugnon, Mme Stéphanie Burgler, Mme Enrica van Caloen di Rovasenda, Mme Noor Charkhi, Dr Virginie Chaves -Vischer, M. François Chevalley, Mme Adrienne Chèvre, M. Guido Chiavelli, M. Paulo Coelho, M. et Mme Franco et Sybille Coluni, Mme Anna-Maria Corbetta, M. Gérald Coutaz, M. et Mme Brice et Karen Duffour, Mme Catherine Duffour, M. Henry Duffour, Me Olivier Dunant, Mme Alison Erikson, Mme Sophie Eykerman, M. Gérard Falquet, Mme Elisabeth Fernandez, Famille Salvatore Ferragamo, M. et Mme Harold et Olivia de Fierlant, Me et Mme Marc et Christina Fischer, M. Lancelot Frick, M. et Mme Kari et Shaza Gahiga, Mme Catherine Gautier le Berre, M. et Mme Alfred et Christiane Golay, M. Nicolas Golay, Mme Simone Golay, Mme Benedetta Greggio, Dr Jean-Pierre Grillet, M. Michel Grillet, M. et Mme Pierre et Sylvia Grillet, M. Jacques Grossen, M. Hervé Edmond Guinand, Mme Viviane van Haecke, Me Michel-Alexandre Halpérin, M. Walter Heuri, M. Jean Hottinger, Mme Sandra Isabelle Innarelli, Mme Thalia Jacoby, M. et Mme Daniel et Mary-Claire Jaquet-Hertig, M. Fred Javet, M. et Mme Markus et Sally Jerger, M. Absa Kane, Mme Miruna Klaus, M. et Mme Jean-Louis et Claudine Klein, M. Jeff Koons, Mme Kinga Kukorelly, M. Ali Kursun, Mme Sophie de Laguiche, M. et Mme Carlo et Jacqueline Lavizzari, Mme Linda Leclerc, M. Gian Paolo Leproni, Mme Astrid von Liechtenstein, M. Jean-Daniel Liniger, Mme Odette Liniger, Mme Anna Maurutto, Mme Sophie Metulescu, M. Arnaud Michel, M. Daniel Mingot, M. Pierre Mirabaud, Mme Véronique le Monies de Sagazan, Mme Paola Montauti, Mme Elizabeth de Montfalcon, Mme Ruth Morel, M. et Mme Christopher et Coraline Mouravieff-Apostol, M. Andrea Oberli, Dr August Oetker, M. Alfred Oetker, Mme Christina Oiticica, M. Daniel Paquier, M. Michel Penet, Mme Magali Dhyana Poffet, Mme Leila de Raemy, M. Denis Reboli, M. et Mme Georges et Nicole Reymond, M. et Mme Auguste et Nelly Rigolet, M. Gérald Rimer, Comte et Comtesse Ruiz Berdejo, M. Geoffroy de Saint Périer, Mme Katarina Sand, Mme Trudi Schaffhauser, M. Thomas Schlittler, S.A.I.R. Comtesse Massimiliano Secco d'Aragona et Nicolo Secco d'Aragona, M. Renaud Smith, Mme Anne-Virginie La Spada-Gaide, Mme Jasmine von Spee, Marquis et Marquise Enrico et Benedetta Spinola, Mme Sabine Solari, M. Dean Constantine Soldatos, M. Michel Stadelmann, Mme Van Ta, M. Olivier Tallent, M. Sébastien Tallent, M. Andrea Tardy, Mme Monique Thurig, M. Jean Turrettini , Mme Tatiana Verevskaya, Mme Veronica Verholen Canonica, M. Sébastien Vidal, M. et Mme Juan et Geneviève de Vinck, Me Alexandre De Weck, M. Franz Wenk, Mme Anne Zacharias.

LES INSTITUTIONS PUBLIQUES PUBLIC INSTITUTIONS

Commune de Bardonnex, Commune de Chêne-Bougeries, Commune de Choulex, Commune de Collonge-Bellerive , Commune de Gy, Ville de Carouge, Commune de Presinge.

LES ASSOCIATIONS ET FONDATIONS ASSOCIATIONS & FOUNDATIONS

Amicale Auxilium, Association Enfance et Maladies Orphelines, Fondation Alfred et Eugénie Baur, Fondation de bienfaisance de la Banque Pictet, Fondation genevoise de bienfaisance Valeria Rossi di Montelera, Fondation Edmond Adolphe de Rothschild, Fondation Dr Corinne Schuler, Union des Paysannes de Satigny.

LES ENTREPRISES CORPORATE DONORS

After the Rain Geneva SA, Aquaparc SA, Art Junction, Atelier Le Jardin Secret, Auberge de Presinge, Basics-Linda Leclerc, Bernaqua, La Bulle d'Air Genève Suisse, Capital Group Companies Inc., Cartier Genève/ succursale Richemont Suisse SA, Caspita Haute Joaillerie SA, La Cave du Palais de Justice SA, Cheese Cake & Co, Chocolats et Cacaos Favarger SA, CIRCA Jewels SA, Le Cirque du Soleil, Compagnie Vinicole Baron Edmond de Rothschild, Confetti Box - Petrolito, Edgar Curtis, Deutsche Bank (Suisse) SA, Diesel Swiss SA, Domaine des Remparts Hôtel & Spa Marrakech, Dominique Levy Fine Art, Eastwest Hotel SA, ÉNIGMA by Gianni Bulgari, Estancia San Martin Family Home and Polo Club, Étude Borel & Barbey, Fusion des Sens Sàrl, La Gavotte, Genève-Servette Hockey Club SA, Grand Hotel Kempinski Geneva, Guarda Golf Hotel Crans-Montana, Hawick Cashmere of Scotland, Helvetica Media SA, Hinduja Bank (Switzerland) Ltd, Jean et Philippe Ilg SA, Il Gufo, Imprimerie Lenzi SA, Institut Jaques-Dalcroze, Lamborghini Club Romand, Laura Moser-Pastry & Cake Design, Lav- Labyrinthe Aventure SA, Lungarno Collection, Small Luxury Hotels of the World, Majid el Sohl & Coast Sullenger, Mandarin Hotel Oriental Geneva, Molard Jouets SA, Moore Stephens Refidar SA, Najeti Hôtels & Golfs, NAT Services SA, Nestlé Waters (Suisse) SA, Olly & Suzi, O.P.I., Pashma, Payot SA, Geneva branch, Piaget SA - Manufacture Haute Horlogerie, Yvo Pitanguy - clinica beauty, La Réserve Genève, Revolution Prco SA, Royal Malewane, South Africa, Safra Group, Salon de Coiffure Mélodie, SEB, Sedelec SA, Septième Étage Sàrl, Société Privée de Gérance SA, Swiss Vapeur Parc SA, Synergy Asset Management SA, Tennis Club de Genève, The Little Gym, Tod's, Venetoulis SA, Verdura Golf & Spa Resort, Sicile, Victoria Coiffure SA, Vinivore SA, 4loo Webdesign.

Nous remercions également les membres du conseil de Fondation, les membres du comité scientifique et les membres du comité gala Sanfilippo pour leur fidèle engagement à la cause.

We also thank the members of the Board, the members of the scientific committee and the members of the gala committee for their faithful commitment to the cause.



Merci aux donateurs anonymes dont la générosité ne reste pas anonyme dans nos coeurs.
Thanks to anonymous donors whose generosity does not remain anonymous in our hearts.

LA FONDATION THE FOUNDATION

MARRAINE DE LA FONDATION | HONORARY PATRON OF THE FOUNDATION

Mme Micheline Calmy-Rey

PARRAIN DE LA FONDATION | HONORARY PATRON OF THE FOUNDATION

Pr Stylianos E. Antonarakis

CONSEIL DE FONDATION | FOUNDATION BOARD

M. et Mme Frédéric et Stéphanie Morel - Fondateurs et Président, Me Stéphanie La Roche - Vice-Présidente, Me Emmanuel Leibenson - Membre

COMITÉ SCIENTIFIQUE | SCIENTIFIC COMMITTEE

Dre Danielle Bertola Reymond, Dr Armand Bottani, Dr Nicolas Lantz

FONDATION | FOUNDATION

Mme Corinne Féry-von Arx – Directrice

PRÉSIDENTE D'HONNEUR DU GALA | HONORARY GALA CHAIRPERSON

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

COMITÉ DU GALA SANFILIPPO | SANFILIPPO GALA COMMITTEE

Mme Nadine Aysoy, Mme Elisabetta Boselli-Mauro, Mme Sylvie Brunschwig, Mme Isabelle de Vinck, Mme Cristina Diamantini, Mme Paula Fentener van Vlissingen-Sendas, Mme Shaza Gahiga, Mme Namrita Hinduja, Mme Ludmila Joory, M. Thierry Lavalley, Mme Isabelle Lavizzari, Mme Linda Leclerc, Mme Katia Radwanski, Mme Vanessa Sabet, Mme Michèle Safra, Mme Elly Sistovaris, Mme Carolina Tardy, Mme Geneviève Torriani, Mme Claire Vasfi, Mme Vivian Yakopin



Compte postal | Postal account

No 10-185368-3

Compte bancaire | Bank account

UBS Genève 612153.00N

Code Swift | Swift code (BIC)

UBSWCHZH80A

Clearing 0240

Code IBAN

CH560024024061215300N

Personnes de contact | contact persons

Frédéric Morel, président | President : + 41 (0) 78 720 73 17

Corinne Féry-von Arx, directrice | Director : +41 (0) 78 745 08 28

Email : frederic.morel@fondation-sanfilippo.ch

corinne.fery@fondation-sanfilippo.ch

Adresse | address

c/o NAT Services SA

2, rue de Jargonnant

1207 Genève | Geneva

www.fondation-sanfilippo.ch



CHANGEMENT À L'INTERNE INTERNAL CHANGE

Pr Stylianos E. Antonarakis devient le parrain de la Fondation aux côtés de Mme Micheline Calmy-Rey qui en est déjà la marraine.

Dr Stéphane Demotz membre du comité scientifique et M. Christophe Maier, membre du conseil de Fondation ont démissionné de la Fondation et ont rejoint la société Dorphan S.A. afin d'assurer le développement des programmes de recherche. Les membres de la Fondation tiennent à les remercier pour leur investissement depuis la création de la Fondation.

Prof. Stylianos E. Antonarakis became a patron of the Foundation alongside Mrs. Micheline Calmy-Rey, who is already a patron.

Dr. Stéphane Demotz member of the scientific committee and Mr. Christopher Maier, a member of the Board of the Foundation have resigned and joined the company Dorphan S.A. to ensure the development of research programs. Members of the Foundation would like to thank them for their investment since the creation of the Foundation.

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

MOORE STEPHENS REFIDAR SA



audit - comptabilité - fiscalité - family office

Société fiduciaire
Genève | Lausanne | Nyon