



FONDATION
SANFILIPPO
Suisse



RAPPORT ANNUEL 2013
ANNUAL REPORT 2013

SOMMAIRE

CONTENTS



Éditorial du Président	4
Letter from the President	4
Mission	5
Mission	5
Rétrospectives des réalisations	6
A Look back at our Achievements	6
Entretien avec le Pr Stylianos E. Antonarakis, parrain de la Fondation	8
Interview with Prof. Stylianos E. Antonarakis, Foundation's Honorary Patron	9
Notre engagement pour la recherche	10
Our Commitment to Research	11
Action pour le cinquième anniversaire	16
The Fifth Anniversary Campaign	17



18	Le brunch gala Sanfilippo
19	The Sanfilippo Gala Brunch
22	Les actions solidaires
22	Solidarity Actions
25	Le rapport financier
25	Financial Report
31	Cinq ans en photos
31	Five Years in Photography
32	Remerciements
32	Acknowledgements
35	Contacts et coordonnées bancaires
35	Contacts and Bank Account Details



ÉDITORIAL

DU PRÉSIDENT

PRESIDENT'S EDITORIAL

2013 marque le cinquième anniversaire de la Fondation et nous permet de faire le bilan des réalisations que vous trouverez en page 6. Ces dernières n'ont été possibles au fil de ces années qu'avec votre soutien qui a contribué à faire progresser la recherche.

2013 marks the fifth anniversary of the Foundation and gives us the opportunity to take a look at our achievements, which you will find on page 6. These were possible over the years with your support, which helped research to move forward.

Au cours de ces cinq dernières années, la recherche scientifique vers des traitements de la maladie de Sanfilippo a fait de grands pas ; certains programmes de recherche sont en phase clinique. Cependant, nous sommes portés par un sentiment d'urgence pour nos enfants. C'est la raison pour laquelle des associations de patients dans le monde, actives comme nous dans la recherche d'un traitement pour les enfants Sanfilippo, se sont regroupées, démontrant que l'union fait la force pour arriver au but.

Over the course of the past five years, scientific research on treatments for Sanfilippo syndrome has made huge leaps forward; some research programs are in the clinical trial phase. However, we are driven by a sense of urgency for our children. This is why patient associations across the world, working, like our own, in the areas of research and treatment for children with Sanfilippo, have united to show that we have the power to achieve our goal together.

Dans ce contexte, la Fondation Sanfilippo Suisse fait partie d'un consortium de fondations de patients qui participe au financement des travaux de l'équipe du Dr Fu au Nationwide Children's Hospital, Columbus, Ohio, États-unis afin de pouvoir lancer des essais cliniques en 2014-2015. Ce modèle d'engagement a d'ailleurs reçu un prix (voir page 12).

In this context, the Sanfilippo Foundation Switzerland is part of a consortium of patient foundations which is involved in funding the work of the team led by Dr. Fu at Nationwide Children's Hospital, Columbus, Ohio, USA. Its aim is to launch clinical trials in 2014-2015. This commitment model has received an award (see page 13).

La Fondation soutient aussi l'essai clinique de thérapie génique réalisé à l'hôpital Bicêtre, Paris.

The Foundation is also supporting the clinical trial in gene therapy being held at Bicêtre Hospital, Paris. Moreover, we have been able to launch our first research program led by Swiss scientists, in collaboration with the University of Geneva (UNIGE) and the University Hospital of Geneva (HUG).

En parallèle, nous sommes très heureux d'avoir pu lancer en collaboration avec l'Université de Genève (UNIGE) et les Hôpitaux Universitaires de Genève (HUG), notre premier programme de recherche issu de scientifiques suisses.

This year, we welcomed the second Patron of the Foundation, Prof. Stylianos E. Antonarakis, and I would like to take this opportunity to thank him warmly for his commitment to our cause. We would also like to welcome Dr. Dani Bach who has joined the Scientific Committee.

Cette année, nous avons accueilli le parrain de la Fondation, le Pr Stylianos E. Antonarakis, et je profite pour le remercier chaleureusement de son engagement pour notre cause. Nous souhaitons également la bienvenue au Dr Dani Bach qui a rejoint le Comité scientifique.

Finally, to celebrate our fifth anniversary and with the aim of raising awareness and providing information for the very young, we have produced a children's book ; « Noé and Noa » which will be distributed in primary schools in Geneva in order to raise the topic of difference with pupils and open up a dialogue regarding « living in harmony ».

Enfin, à l'occasion du cinquième anniversaire et dans l'objectif de sensibiliser et informer les plus jeunes, un conte a vu le jour ; « Noé et Noa » sera distribué dans les écoles primaires genevoises pour évoquer la différence avec les élèves et ouvrir un dialogue en lien avec le « vivre ensemble ».

Thanks to you, research is making progress, but Charlotte, like many other children, is still awaiting treatment. We must continue in our common fight, so that together we can support research programs.

Grâce à vous, la recherche avance mais Charlotte, comme beaucoup d'enfants, n'a pas encore de traitement. Nous devons continuer à nous battre afin de soutenir ensemble les programmes de recherche.

Frédéric Moul



MISSION

MISSION

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

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

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

The Foundation also conducts an active awareness campaign to disseminate information and increase knowledge on the problems of rare diseases, particularly Sanfilippo syndrome.

RÉTROSPECTIVE

DES RÉALISATIONS

A LOOK BACK AT OUR ACHIEVEMENTS

2008-2013

L'organisation de cinq brunch galas Sanfilippo avec notre traditionnel défilé de mode enfants

Organising five Sanfilippo Gala Brunches with our traditional kids' fashion show

Le financement de sept programmes de recherche prometteurs et innovants

Financing seven promising and innovative research programs

La création de quatre campagnes d'affichage sur les transports publics genevois (TPG), et des affiches aux parkings du Mont-Blanc et Manor Vésenaz

Creating four poster advertising campaigns on Geneva's public transport (TPG), and poster campaigns in the car parkings at Mont-Blanc and Manor Vésenaz

2010

La Fondation est cofondatrice de ProRaris, Alliance Maladies Rares Suisse

The Foundation is co-founder of ProRaris, Alliance of Rare Diseases Switzerland

2011

L'organisation du premier congrès international sur les mucopolysaccharidoses (MPS) en Suisse

Organising the first International Conference on Mucopolysaccharidosis (MPS) in Switzerland

Le soutien à la réalisation d'un film documentaire intitulé « Les enfants de Sanfilippo »

Supporting the creation of a documentary film entitled « The Sanfilippo Children »

2013

La publication d'un livre « Noé et Noa » destiné aux enfants afin de les sensibiliser à la problématique de la différence, du handicap, de l'intégration et du respect des diversités

Publishing the children's book « Noé et Noa » aimed at raising awareness among children on issues regarding difference, disability, integration and respecting diversity

EN BREF..

QUELQUES CHIFFRES

KEY STATISTICS

+ 4 MIO.

de francs récoltés pour la recherche / francs collected for research

500'000

francs levés à l'occasion des cinq galas / raised on the occasion of five galas

+ 17'000

vues sur Youtube du film « Les enfants de Sanfilippo » financé par la Fondation Sanfilippo Suisse et la Loterie Romande / views on Youtube of the film « Sanfilippo Children » funded by the Sanfilippo Foundation Switzerland and the Loterie Romande

8'000

maladies rares répertoriées actuellement qui affectent 6% à 8% de la population globale

rare diseases which have so far been identified, affecting 6% to 8% of the global population

80%

de ces maladies sont d'origine génétique. Elles sont chroniques et mettent en danger le pronostic vital

of these diseases are genetic. They are chronic and reduce life expectancy

230 MIO.

de personnes atteintes de maladies rares dans le monde / people affected by rare diseases worldwide

30 MIO.

de personnalités atteintes en Europe dont : / people affected in Europe, including :



3.5 MIO.

en Grande-Bretagne / in Great Britain



3 MIO.

en France / in France



500'000

en Suisse / in Switzerland

Les premières victimes sont les enfants car trois maladies sur quatre mettent leur vie en péril très tôt

The main victims are children, as 3 out of 4 diseases put their lives at risk at a very young age



PR STYLIANOS E. ANTONARAKIS

Pr Stylianos E. Antonarakis est le principal chercheur et directeur du Département de médecine génétique et développement au centre médical universitaire (CMU). Il est aussi le directeur de l'Institut sur la génétique et la génomique de Genève (iGE3). En 2013, il a accepté de devenir le parrain de la Fondation Sanfilippo Suisse.

Pr Antonarakis, pourquoi avez-vous accepté de soutenir le combat de la Fondation Sanfilippo Suisse contre la maladie ?

Un grand nombre de maladies génétiques sont rares et le généticien connaît très bien les nombreux problèmes qu'engendre chacune de ces maladies : la méconnaissance de la maladie par beaucoup de professionnels de santé, le temps nécessaire pour établir le diagnostic, le peu d'intérêt accordé par l'industrie pharmaceutique, le manque de soutien à des besoins spécifiques, le fait qu'il n'existe que très peu d'experts dans le monde, le manque de financement accordé à la recherche contre la maladie, les faibles moyens de pression mis en place pour aider les patients et leurs familles et la difficulté de créer des groupes de patients pour faire avancer chaque maladie génétique rare. Une des missions du généticien est donc de soutenir une maladie génétique rare lorsqu'il en a l'opportunité.

De plus, le syndrome de Sanfilippo occupe une place particulière dans mon cœur : lorsque je suis parti, en tant que jeune médecin chercheur, étudier la génétique à l'université John Hopkins à Baltimore, le premier patient qui m'a été attribué à l'hôpital de jour souffrait du syndrome de Sanfilippo.

Je me souviens parfaitement de cette patiente et de sa famille, et de toutes leurs interrogations et de tous leurs espoirs pour l'avenir !

Selon vous, quels sont les progrès récents et les thérapies en développement concernant la maladie de Sanfilippo (MPS III) ?

Les recherches méticuleuses sur le syndrome de Sanfilippo menées sur la souris et d'autres cobayes sont, à mon avis, la voie la plus prometteuse en ce qui concerne l'élaboration de traitements thérapeutiques. C'est pourquoi le financement pour encourager cette recherche est l'investissement le plus judicieux.

Avec la création d'iGE3 que vous dirigez, Genève est-elle en train de devenir un centre de compétence dans la technologie génomique ? Quelles peuvent être les implications de ces développements sur les maladies rares et en particulier la maladie de Sanfilippo ?

L'iGE3 rassemble pour la première fois l'énergie et les diverses expertises des scientifiques des facultés de médecine et de science de l'université de Genève afin de résoudre les problèmes génétiques, de comprendre l'importance de la variation génomique dans différentes maladies et d'utiliser des organismes cobayes pour découvrir les mécanismes moléculaires de la maladie et tester des traitements thérapeutiques. En outre, la participation de collègues des départements « ELSI » (Domaines de recherche en matière sociale, éthique, juridique) nous apporte un cadre social solide dans lequel intégrer l'analyse du génome.

Selon vous, quelles sont les prévisions de développement relatif aux maladies rares en Suisse ?

Il existe plusieurs initiatives qui s'occupent des problèmes complexes et variés des maladies rares. Les agences fédérales et cantonales s'éveillent à la prise de conscience internationale. Mais plus important encore, les associations de patients et les initiatives privées qui montrent l'exemple au profit des patients et de leurs familles. J'encourage vivement les associations de patients à intensifier leurs efforts et faire pression aux niveaux politique et social afin que les choses avancent. Après tout, la Suisse est un pays qui prend soin de ses minorités, et ainsi les maladies rares pourraient être mieux « servies » ici.

ENTRETIEN

Prof. Stylianos E. Antonarakis is the principal investigator and chairman of the Department of Genetic Medicine and Development at the University of Geneva Medical School, as well as the Director of the Institute of Genetics and Genomics of Geneva (iGE3). In 2013, he agreed to become a Patron of the Sanfilippo Foundation Switzerland.

Prof. Antonarakis, why did you agree to support the struggle of the Sanfilippo Foundation Switzerland against the disease?

A large number of genetic disorders are rare, and the geneticist is very familiar with the many problems around each one of these disorders. These include the lack of knowledge of the disease by many health professionals, the longtime to diagnosis, the lack of interest from the pharmaceutical industry, the lack of support for the specific needs, the existence of only a few experts in the world, the lack of funds for research in the disease, the weakness in lobbying for the needs of the patients and their families, and the difficulty to create patient groups in order to push the agenda regarding each of the rare diseases. Therefore any opportunity to promote a rare genetic disorder is part of the mission of a geneticist.

In addition, the Sanfilippo syndrome has a special place in my heart because when I went to Johns Hopkins in Baltimore to study genetic medicine as a young physician scientist, a case of Sanfilippo was my first assigned patient in the outpatient clinic.

I vividly remember the patient and her family and all the questions and hopes for the future!

In your opinion, what are recent developments and emerging therapies for the Sanfilippo syndrome (MPS III) ?

The thorough investigation of mouse and other models of Sanfilippo syndrome is for me the most promising avenue for the development of therapeutic interventions. Therefore funds to promote this research are the most wise investment.

With the creation of iGE3 you run, is Geneva becoming a center of expertise in genomics technology? What might be the implications of these developments on rare diseases and especially the Sanfilippo syndrome?

The iGE3 brings together for the first time the forces and diverse expertise of scientists from the Medical and Sciences faculties of the University of Geneva in order to solve genetics problems, understand the importance of the genomic variation in different disorders, and use model organisms to figure out the molecular mechanisms of disease and to test therapeutic interventions. In addition the participation of colleagues from the “ELSI” fields (Ethical, Legal, Social fields of Investigation) provides a strong societal framework in which to integrate the genome analysis.

In your opinion, what is the development forecast on rare diseases in Switzerland ?

There are several efforts in order to deal with the various challenging issues on rare diseases. The Federal and Cantonal agencies are waking up to the international awareness. More importantly, however, the patient’s organisations, and private efforts are presently leading the way forward for the benefit of the patients and their families. I strongly encourage the patient’s organisations to intensify their efforts and lobby at the political and social levels in order to advance their agendas. Switzerland after all is a country that takes care of the minorities, and thus the rare disorders could be well « served » in this country.



NOTRE ENGAGEMENT POUR LA RECHERCHE

RECHERCHE FONDAMENTALE

1.

La prévention de l'accumulation intracellulaire de fragments de sulfate d'héparane dans les cellules de patients Sanfilippo

Le projet de recherche conduit dans le laboratoire du Dr Ariane de Agostini, et que la Fondation Sanfilippo Suisse a mis sur pied et finance, a pour objectif d'évaluer si l'accumulation pathologique du sulfate d'héparane dans les cellules de patients atteints de mucopolysaccharidoses peut être diminuée en bloquant sa dégradation à la surface cellulaire.

Plusieurs mucopolysaccharidoses, comme la maladie de Sanfilippo (mucopolysaccharidose de type III), la maladie de Sly (mucopolysaccharidose de type VII) et plusieurs autres, aujourd'hui encore, ne disposent d'aucune option thérapeutique. Différentes approches sont explorées pour tenter de mettre sur pied des traitements efficaces.

La thérapie génique, la transplantation de cellules souches, les composés chaperons, la réduction de la synthèse du sulfate d'héparane et l'infusion d'enzymes recombinantes de remplacement constituent les principaux axes de développement sur lesquels de nombreux groupes de recherche académiques et des compagnies pharmaceutiques travaillent.

Il n'a toutefois pas encore été étudié si la modification de la dégradation du sulfate d'héparane pouvait limiter son accumulation dans les cellules de patients souffrant de la maladie de Sanfilippo (mucopolysaccharidose de type III).

Les détails biochimiques des étapes de la dégradation de ce composé cellulaire sont encore mal connus, mais il est établi que le sulfate d'héparane, lors de sa dégradation normale, est tout d'abord coupé en gros fragments qui sont internalisés par les cellules puis coupés en tout petits fragments dans les lysosomes. Cette dernière étape est défectueuse dans

la maladie de Sanfilippo, ce qui conduit à l'accumulation de gros fragments de sulfate d'héparane dans les cellules et à leur dysfonctionnement.

L'hypothèse du projet conduit par le Dr de Agostini est qu'en bloquant la dégradation initiale de l'héparane, on limiterait son internalisation et son accumulation pathologique à l'intérieur des cellules.

Il est attendu que des voies alternatives de dégradation de l'héparane sulfate, à l'extérieur des cellules, puissent être d'autant favorisées et tout de même conduire à l'élimination rénale de ce composé.

Cette hypothèse pourra être testée grâce à des produits inhibiteurs, produits développés pour des applications en oncologie



Principal investigateur
Dr Ariane de Agostini
Université de Genève (UNIGE)
et les Hôpitaux Universitaires

CHF 70'000 (2013-2014)
BUDGET TOTAL CHF 210'000
RÉPARTI SUR 3 ANS

FUNDAMENTAL RESEARCH

1.

The prevention of accumulation of heparan sulphate fragments in the cells of Sanfilippo patients

Principal investigator
Dr. Ariane de Agostini
University of Geneva (UNIGE) and the
University Hospital of Geneva (HUG)

CHF 70,000 (2013-2014)
TOTAL BUDGET CHF 210,000
DIVIDED UP OVER THREE YEARS

The research project being conducted in Dr. Ariane de Agostini's laboratory which has been provided and financed by the Sanfilippo Foundation Switzerland aims to evaluate whether the pathological accumulation of heparan sulphate in the cells of patients with mucopolysaccharidoses can be decreased by blocking degradation at the cell surface.

Today, mucopolysaccharidoses, such as Sanfilippo disease (mucopolysaccharidosis type III), Sly syndrome (mucopolysaccharidosis type VII) and several others still do not have a single therapeutic option available to them.

Different approaches have been explored in an attempt to provide effective treatment. Gene therapy, stem cell transplants, chaperone compounds, the reduction of heparan sulphate synthesis and the infusion of recombinant replacement enzymes are the main areas of development on which numerous academic research groups and pharmaceutical companies are working.

However, it has not yet been studied whether the modification of the degradation of heparan sulphate can limit its accumulation in the cells of patients suffering from Sanfilippo disease (mucopolysaccharidosis type III).

The biochemical details of the stages of the degradation of this cellular compound are still not well known, it has been established that during its normal degradation, heparan sulphate is first broken down into large fragments which are internalised by the cells then broken down into very small fragments in the lysosomes.

This last stage is faulty in Sanfilippo disease which leads to the accumulation of large fragments of heparan sulphate in the cells and to their malfunctioning.

The hypothesis of the project being led by Dr. de Agostini is that, by blocking the initial degradation of heparan, internalisation and pathological accumulation within the cells could be limited.

It is expected that alternative methods of heparan sulphate degradation outside of the cells could be more favourable and could also lead to renal elimination of this compound.

The hypothesis can be tested with inhibitors products, developed products for applications in oncology.

2.

Thérapie génique pour MPS IIIA et IIIB

Ce programme concerne la thérapie génique dont l'objectif est de corriger le gène défectueux pour les MPS IIIA et B. L'équipe du Dr Haiyan Fu au Nationwide Children's Hospital a développé une procédure de thérapie génique, élaborant un vecteur AAV9 qui porte le gène pour NAGLU, l'enzyme manquante dans la MPS IIIB des patients, et qui a démontré la capacité de traverser la barrière hémato-encéphalique. Bien que l'impact neurologique soit le problème majeur, la maladie de Sanfilippo affecte le corps entier. Il est donc important de traiter l'ensemble du système nerveux et autant d'organes que possible afin d'avoir le meilleur résultat.

Cette technique de thérapie génique est peu invasive et montre l'expression répandue dans tout le corps. Par une intraveineuse unique de ce vecteur AAV9-NAGLU vers l'ensemble du corps et du système nerveux, l'équipe a réussi à restaurer l'enzyme et corriger le stockage lysosomal pathologique dans le cerveau, la moelle épinière et plusieurs tissus somatiques dans des souris modèles adultes MPS IIIB.

Plus important encore, les souris traitées par le vecteur AAV9 ont démontré une amélioration significative du comportement et une augmentation de l'espérance de vie.

Les chercheurs pensent qu'ils sont en bonne voie pour faire avancer cette approche de thérapie génique vers des essais cliniques en 2014-2015 et appliquer cette technique à d'autres formes de MPS dont la MPS IIIA pour laquelle

le Dr Douglas McCarty développe le vecteur AAV9. Une équipe a été mise sur pied afin d'obtenir l'approbation de la FDA (Agence américaine des produits alimentaires et médicamenteux) pour planifier la phase I/II des essais cliniques pour les patients atteints de MPS IIIA et IIIB.

Un essai est également envisagé en Espagne.

Les scientifiques bénéficient du soutien d'un consortium de fondations de patients de différents pays : The Sanfilippo Research Foundation, USA, The Children's Medical Research Foundation, USA, The Sanfilippo Children's Research Foundation, Canada, Team Sanfilippo, USA, Stop Sanfilippo, Espagne et La Fondation Sanfilippo Suisse.

Ce modèle de coopération a reçu en septembre 2013 la récompense de « Champions de l'espoir » du célèbre Global Genes Project - l'une des principales organisations de défense des patients atteints de maladies rares et génétiques dans le monde - pour leur travail en faveur des thérapies pour les enfants Sanfilippo.



Principaux investigateurs
Dr Haiyan Fu et Dr Douglas McCarty
Research Institute at Nationwide Children's
Hospital, Columbus, Ohio, États-Unis.

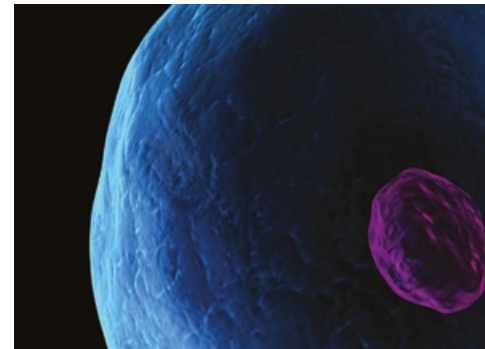
USD 300'000
PARTICIPATION FONDATION
SANFILIPPO SUISSE 2012-2013



2. Gene Therapy for MPS IIIA and IIIB

Principal investigators
Dr. Haiyan Fu and Dr. Douglas McCarty
Research Institute at Nationwide
Children's Hospital, Columbus, Ohio,
United States.

USD 300,000
SANFILIPPO FOUNDATION
SWITZERLAND
PARTICIPATION
IN 2012-2013



This program concerns gene therapy, the aim of which is to correct the gene defect for MPS IIIA and B. Dr. Haiyan Fu's team at the Nationwide Children's Hospital has developed a gene therapy procedure, using the vector AAV9 which carries the gene for NAGLU, the enzyme missing in patients with MPS IIIB, and which has displayed the ability to cross the brain-blood barrier.

Although the neurological impact is a major problem, Sanfilippo disease affects the entire body. It is therefore important to treat the entire nervous system and as many organs as possible in order to achieve the best result. This gene therapy technique is minimally invasive and shows widespread expression throughout the whole body.

Through a single intravenous injection of the vector AAV9-NAGLU towards the entire body and the nervous system, the team has succeeded in restoring the enzyme and correcting the pathological lysosomal storage in the brain, the spinal cord and several somatic tissues in MPS IIIB adult mouse models. More importantly, the mice treated with the vector AAV9 have shown a significant improvement in their behaviour and an increase in life expectancy.

The researchers believe that they are on the right track to enable them to advance this type of gene therapy to clinical trials in 2014-2015 and apply this technique to other forms of MPS, including MPS IIIA, for

which Dr. Douglas McCarty is developing the vector AAV9.

A team has been created to obtain approval from the FDA (US Food and Drug Administration) in order to plan the phase I/II clinical trials for patients suffering from MPS IIIA and IIIB.

A trial is also planned in Spain.

The scientists benefit from the support of a variety of patient foundations from different countries: The Sanfilippo Research Foundation, USA, The Children's Medical Research Foundation, USA, The Sanfilippo Children's Research Foundation, Canada, Team Sanfilippo, USA, Stop Sanfilippo, Spain and The Sanfilippo Foundation Switzerland.

In September 2013, this model of cooperation received the « Champions of Hope » award from the renowned Global Genes Project - one of the main organisations for the protection of patients suffering from rare genetic disorders throughout the world - for their work in favour of therapies for Sanfilippo children.

3.

Thérapie génique pour les MPS IIIA



Principal investigateur
Pr Marc Tardieu
Service de neuropédiatrie
Hôpital Bicêtre Paris, France

SAF-301 est le premier produit de thérapie génique intracérébral à entrer dans une phase I/II d'essai clinique pédiatrique en Europe, et l'un des tout premiers au monde. Quatre enfants ont été inclus dans cet essai clinique et ont reçu le traitement expérimental en 2011-2012.

L'essai clinique P1-SAF-301 de phase I/II est une étude clinique évaluant la tolérance et l'innocuité d'une administration intracérébrale d'un vecteur (AAVrh10) portant la copie du N-sulfoglucosamine sulphonydrolase (gène SGSH défectueux dans la MPS IIIA) et le facteur de modification 1 des sulfatases (SUMF1) nécessaire pour activer la protéine SGSH pour le traitement de la mucopolysaccharidose de type IIIA (maladie de Sanfilippo de type A).

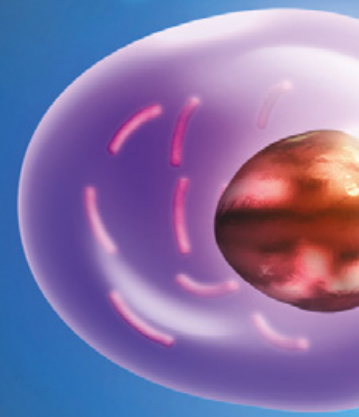
Le traitement consiste en une injection directe du médicament expérimental SAF-301 sur les deux côtés du cerveau en une seule session de neurochirurgie. L'objectif principal a été d'évaluer la tolérance et la sécurité associées au traitement proposé par un an de suivi.

En plus des mesures de toxicité et des effets indésirables, les chercheurs ont évalué le rétrécissement du cerveau (une caractéristique des MPS IIIA) et les changements de comportement : l'attention, le sommeil et le bénéfice cognitif.

L'objectif secondaire de cet essai était de rassembler ces données essentielles à la conception de la phase ultérieure, qui sera, quant à elle, principalement dédiée à l'évaluation de l'efficacité du traitement.

En conclusion, les données préliminaires permettent à ce jour de soutenir que le profil d'innocuité du médicament expérimental SAF-301 est acceptable pour le traitement des patients atteints de la maladie de Sanfilippo de type A.

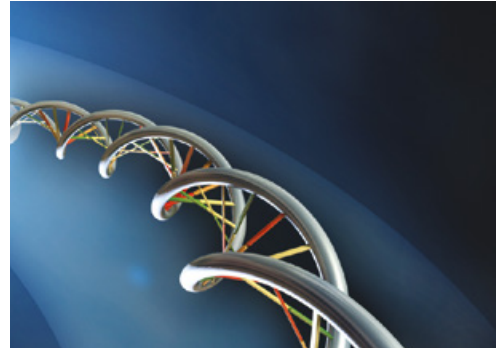
CHF 150'000
PROGRAMME SOUTENU EN
2009, 2010, 2012 ET 2013



APPEL D'OFFRE

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).

3. Gene Therapy for MPS IIIA.



Principal investigator
Prof. Marc Tardieu
Neuropaediatrics Department
Hôpital Bicêtre Paris, France

CHF 150,000
PROGRAM SUPPORTED IN
2009, 2010, 2012 AND 2013



SAF-301 is the first intracerebral gene therapy product to enter phase I/II of a paediatric clinical trial in Europe, and one of the first in the world. Four children were included in this clinical trial and received experimental treatment in 2011-2012.

The clinical trial P1-SAF-301 for phase I/II is a clinical study which evaluates the tolerance and innocuousness of an intracerebral administration of a vector (AAVrh10) carrying the copy of the N-sulphoglucosamine sulphohydrolase (gene SGSH which is defective in MPS IIIA) and the sulphatase-modifying factor 1 (SUMF1) required to activate the protein SGSH to treat mucopolysaccharidosis type IIIA (Sanfilippo syndrome type A).

The treatment consists of a direct injection of the experimental medication SAF-301 in both sides of the brain in one single session of neurosurgery.

The main aim was to evaluate the tolerance and safety associated with the proposed treatment with one year of monitoring. In addition to measuring toxicity and undesirable effects, the researchers evaluated the shrinking of the brain (a characteristic of MPS IIIA) and changes in behaviour: attention, sleep and cognitive benefit.

The secondary objective of this trial was to collect data which is essential for the design of the concept for the next stage which, for its part, will be mainly dedicated to the evaluation of the effectiveness of the treatment.

In conclusion, the initial data currently allows it to be stated that the innocuousness of the experimental medication SAF-301 is acceptable for the treatment of patients suffering from type A Sanfilippo disease.

CALL FOR RESEARCH

The Sanfilippo Foundation Switzerland is sending out its call to support research projects focused on innovative therapeutic approaches for Sanfilippo syndrome (MPS III).



Illustration réalisée par Christelle
Le Guen extraite du livre
« Noé et Noa »

ACTION POUR LE CINQUIÈME ANNIVERSAIRE

Sensibiliser les enfants aux maladies rares

L'idée d'un livre pour faire connaître les maladies rares auprès des enfants des écoles a été lancée au cours d'une réunion du comité du gala en 2011. Il est né de la rencontre avec Diane Baatard, conteuse, notamment au Service d'onco hématologie pédiatrique des Hôpitaux universitaires genevois (HUG). Très touchée par la cause, elle a écrit Noé et Noa en une nuit, d'un seul jet. Christelle Le Guen en a fait par la suite les illustrations avec beaucoup de sensibilité.

La Fondation a réalisé cet album grâce au financement de la Fondation Hans Wilsdorf et des services des Éditions de la Joie de lire. Il vise également à sensibiliser les enfants de 7 à 11 ans à la question de la différence, du handicap et du respect. L'ouvrage est offert aux écoles permettant ainsi d'aborder la problématique dans les classes.

Charles Beer, Conseiller d'État, chef du Département de l'instruction publique (DIP) (2003-2013) a accueilli positivement la réalisation et la distribution de l'ouvrage et en a facilité sa diffusion au sein des établissements scolaires.

La Direction générale de l'enseignement obligatoire (DGEO) a confirmé son intérêt à une double diffusion du livre : dans chaque atelier du livre (bibliothèque) des 170 écoles primaires du canton de Genève et au DIP-SEM documentation avec une série d'exemplaires en prêt pour les enseignants.

Un encart a été placé dans le journal des enseignants en proposant l'accompagnement de Diane Baatard pour amener les enfants à réfléchir sur la question.

” *« Il est des vies qui sont différentes, il nous appartient de les faire connaître à tous et en particulier aux enfants ». Par ces mots, la Fondation Sanfilippo Suisse (du nom d'une maladie rare dégénérative) introduit l'album « Noé et Noa » qui évoque avec sensibilité la question de la différence, du handicap, de l'intégration et du respect des diversités. Comment supporter les moqueries de ses camarades envers une petite sœur qui ne ressemble pas aux autres ? Pourquoi les autres ne comprennent-ils pas ? Les questions de Noé, 11 ans, dépassent la seule maladie précitée et peuvent ouvrir un vaste débat en lien avec le « vivre ensemble ». C'est pourquoi la Fondation Sanfilippo Suisse est autorisée à remettre aux écoles primaires genevoises l'album Noé et Noa, qui trouvera certainement sa place dans l'atelier du livre. De plus, la Fondation offre, aux enseignants de 4P à 7P qui le souhaiteraient, l'accompagnement d'une conteuse, auteure de l'album, pour introduire ce thème délicat.*

”

Ce livre est une manière de partager notre espérance. Nous serions heureux de vous l'offrir. N'hésitez pas à le demander. « Noé et Noa » pourra ainsi continuer son voyage grâce à vous.



THE FIFTH ANNIVERSARY CAMPAIGN

Raising awareness among children about rare diseases

The idea of a book to teach children in schools about rare diseases was raised at a gala committee meeting in 2011. It came to life in a meeting with Diane Baatard, storyteller, namely at the Paediatric Onco-Haematology Unit of the University Hospital of Geneva (HUG). Tremendously moved by the cause, she wrote « Noé and Noa » in one fell swoop. Christelle Le Guen then provided sensitive illustrations for the book.

The Foundation published the book thanks to funding from the Hans Wilsdorf Foundation and the services of the publishing house Éditions de la Joie de lire. Its goal is also to raise awareness of the issues regarding difference, disability and respect among children aged 7 to 11 years. The publication is delivered to schools, enabling discussion of these issues in class.

Charles Beer, member of the Geneva Government and Head of the Public Education Department (DIP) (2003-2013) warmly welcomed the creation and distribution of the publication and facilitated its circulation in educational establishments.

The General Directorate of Public Education of Primary School (DGEO) confirmed its interest in the book being circulated in two ways: in every book workshop (library) in the 170 primary schools of the Geneva canton, and in the DIP-SEM archives, with a series of copies for teachers to borrow.

An insert was placed in the teachers' newsletter offering a visit from Diane Baatard to help children reflect on the issue.



” « People have different lives, and it's our job to make people aware of that, especially children ». This is how the Sanfilippo Foundation Switzerland (named after a rare degenerative disease) introduces the storybook « Noé and Noa » which raises awareness of the issues of difference, disability, integration and respecting diversity. How do you cope with your friends mocking your little sister who doesn't look like the others? Why don't the others understand? Noé, 11, asks questions which go beyond the disease mentioned above and raise a vast debate regarding « living in harmony ». This is why the Sanfilippo Foundation Switzerland has been permitted to supply Geneva primary schools with the storybook Noé and Noa, which will certainly find a home in the book workshop. In addition, the Foundation is offering a visit from the author to teachers of classes 4P to 7P who request it, to help introduce this delicate subject.

”

This book is a way of sharing our hope. We would be delighted to provide you with a copy. Please do not hesitate to ask. The book « Noé and Noa » can continue its journey, thanks to you.



LE BRUNCH GALA

SANFILIPPO



Pour la cinquième année consécutive, la Fondation a accueilli le dimanche 24 novembre 2013 quelques 340 invités dont 140 enfants et adolescents à l'Hôtel Président Wilson de Genève, partenaire du gala. Un record absolu de fréquentation depuis sa création !

Le comité d'organisation a su donner une nouvelle énergie à cet événement, grâce notamment à une loterie diamant offerte par CIRCA conjuguée avec une vente de coupes de champagne à l'arrivée des invités et à la joyeuse performance des enfants qui ont défilé sur un « catwalk » au son de leurs musiques préférées dans des tenues prêtées par la maison MANOR. Ignacio Moreno a orchestré ce défilé et Dorien Smith a magnifiquement animé la partie musicale.

La vente aux enchères dirigée par Caroline Lang de Sotheby's fut aussi un des moments forts, elle a été clôturée pour la première fois d'un appel à une contribution solidaire pour la recherche, permettant ainsi de lever plus de 115'000 francs pour le premier programme de recherche que la Fondation soutient en Suisse.



HINDUJA BANK (SWITZERLAND) LTD

DORPHAN

CIRCA®

Organisation : JBRP | Crédit photos : Team Reporters / Marina Roque de Pinho



THE SANFILIPPO GALA BRUNCH

On Sunday 24th November 2013, for the fifth year in a row, the Foundation welcomed 340 guests, including 140 children and young people, to Geneva's President Wilson Hotel, our gala partner. A record number of guests since it began!

The organisation committee gave the event a new energy, particularly thanks to a Diamond Lottery provided by CIRCA combined with the sale of champagne on guests' arrival and the joyous performance of the children, who walked down a « catwalk » to the sound of their favourite music in clothes loaned by the company MANOR. Ignacio Moreno planned this fashion show and Dorien Smith did an excellent job of hosting the musical section.

The auction by Caroline Lang from Sotheby's was another great occasion. It closed for the first time with a call for a charitable contribution to research, allowing us to raise over 115, 000 francs for the first research program the Foundation is supporting in Switzerland.

Photographies du Brunch Gala, pages suivantes:

Photographs of the Gala Brunch, next pages:

1. Ambiance décor 2. Emanuel La Roche et sa fille 3. Ludmila Joory et sa fille 4. Stéphanie La Roche-Dunant et ses enfants 5. Olivier Dunant et une amie 6. Carolina Tardy, Nadine Aysoy et la Comtesse Secco d'Aragona 7. Karmaan Hinduja 8. Frédéric Morel et sa fille, Diane Baatard et Corinne Féry-von Arx 9. Danielle Bertola Reymond et Patrick Reymond 10. Le Comité du gala Sanfilippo 11. Pr Farhad et Nikki Hafezi et leurs filles 12. Christine Tardy, Patrice Bottollier-Depois et leur fils 13. Dr Nicolas Lantz, Dr Stéphane Demotz et sa fille 14. Stéphanie Morel, Joëlle Belina, Paula Fentener van Vlissingen-Sendas, Caroline Lang et Namrita Hinduja 15. Le défilé des enfants 16. Pr Matthieu Sollogoub 17. Paula Fentener van Vlissingen-Sendas et son fils 18. La Comtesse Secco d'Aragona et son fil cadet 19. Kari Gahiga, Ajay Hinduja, Andrea Tardy, Alex Mauro et le Marquis Spinola 20. Dr Julie Charollais-Thoening, Dr Estelle Gallienne et Pr Olivier Martin 21. La Marquise Spinola et le Comte Chandon Moët 22. Cristina Diamantini et Kirit Shah 23. Caroline Lang 24. Alex Mauro, Guillaume Francioli et Elisabetta Bosseli-Mauro 25. Emmanuel Leibenson et sa fille 26. Isabelle Lavizzari, sa fille, Caroline et Benjamin Lavizzari et leurs enfants 27. et 28. Le défilé des enfants.



1



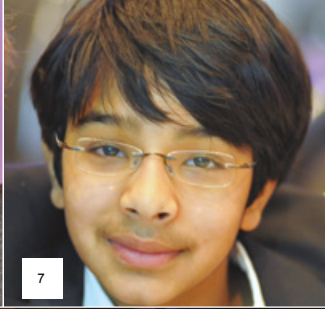
2



3



6



7



8



11



12



13



17



18



19



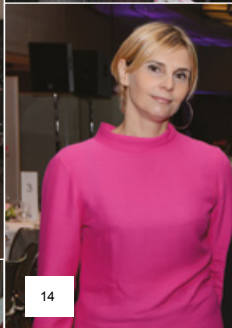
22



23



24



ACTIONS SOLIDAIRES

SOLIDARITY ACTIONS

La 4^{ème} édition 2013
Exposition & défilé de nombreuses voitures d'exception

Le Rotary Club de Bellegarde et l'Écurie La Meute ont proposé à l'instar des précédentes éditions, une exposition de véhicules d'exception sur le parking du centre commercial de Val Thoiry le dimanche 26 mai 2013. Les visiteurs ont eu la possibilité d'offrir un don en faveur de la Fondation en choisissant de faire un baptême dans une voiture historique ou d'exception. Petite restauration et boissons, stand de modélisation avec vente de maquettes étaient disponibles sur place. Un chèque de 6'000 euros a été généreusement offert à la Fondation.

4th edition 2013
Supercar Exhibition and Rally

As in previous editions, on Sunday 26th May 2013, the Bellegarde Rotary Club and the team of La Meute offered a supercar exhibition at the Val Thoiry shopping centre car park. Visitors were able to make a gift to the Foundation in exchange of taking their maiden voyage in a classic or supercar. Snacks and drinks and a merchandising stand selling model cars were also available. A cheque for 6,000 Euros was generously donated to the Foundation.



Journée internationale des maladies rares

La 3^{ème} Journée internationale des maladies rares, organisée le samedi 25 février 2013 à l'Université de Zürich-Irchel, a réuni environ 300 participants et plus de 30 associations de patients. La Fondation était présente et a tenu un stand. La participation de nombreuses personnalités scientifiques et politiques, dont celle de Carlo Conti, Président de la Conférence des directeurs cantonaux de la santé, témoigne d'une forte mobilisation en faveur des patients atteints de maladies rares, mais surtout d'une prise de conscience publique et politique accrue. Pascal Strupler, Directeur de l'Office fédéral de la santé publique (OFSP), a ainsi confirmé l'élaboration d'une stratégie nationale pour les maladies rares pour le deuxième trimestre 2014.

International Rare Disease Day

The 3rd International Rare Disease Day, held on Saturday 25th February 2013 at the University of Zurich-Irchel, brought together around 300 participants and over 30 patients' associations. The Foundation was in attendance and ran a stand. The participation of numerous scientific and political figures, including Carlo Conti, President of the Conference of Cantonal Health Directors, demonstrated the extent to which people were willing to spring into action to support people with rare diseases, but most of all, that public and political awareness had increased. As a result, Pascal Strupler, Director of the Swiss Federal Office of Public Health (OFSP), confirmed the creation of a national strategy for rare diseases for the second quarter of 2014.





ATELIER ZIK - ZIK WORKSHOP

Soirée caritative

Une soirée a été organisée par Ornella Grillet avec le restaurant Le Mess, à Carouge le jeudi 13 juin 2013. Une partie des bénéfices réalisés durant la soirée a été reversée à la recherche médicale soutenue par la Fondation.

Charity Evening

An evening was organized by Ornella Grillet together with the restaurant Le Mess, in Carouge on Thursday, 13th June 2013. A portion of the profits made during the evening was donated to medical research supported by the Foundation.

Atelier Zik en concert

Coachée par Henry Duffour et son équipe (Pierre-Jean Duffour, Benjamin Riggi, Olivier Fleury et Stéphanie Gerlier), une quinzaine d'adolescents musiciens/chanteurs sont venus livrer le résultat scénique d'une semaine de répétitions intenses au cours de plusieurs concerts en juillet 2013 dans la région de Thonon-les-Bains. Lors des concerts du 24 et 25 juillet, un chapeau a tourné, comme l'an dernier au profit de la Fondation.

Zik Workshop in Concert

Coached by Henry Duffour and his team (Pierre-Jean Duffour, Benjamin Riggi, Olivier Fleury and Stéphanie Gerlier), around fifteen teenage musicians/singers came to present the on-stage result of a week of intense rehearsals during several concerts in July 2013 in the area of Thonon-les-Bains. At the concerts on 24th and 25th July, a hat was passed around, just like the year before, for donations to the Foundation.



<http://youtu.be/A3HTgtxlqIU>

Vidéo sur YouTube

Un film a été tourné à l'occasion de la sortie organisée par les membres de l'Amicale Auxilium au Parc de Merlet pour une vingtaine de personnes dont trois enfants Sanfilippo en septembre 2012. Le film de la journée (12 minutes) est visible depuis le mois de mai 2013.

YouTube Video

In September 2012, an outing to Parc de Merlet organised by the members of the Auxilium Association for around twenty people, including three children with Sanfilippo syndrome, was filmed. The film of the day (12 minutes) has been available to view since May 2013.

ACTIONS SOLIDAIRES

SOLIDARITY ACTIONS

Jeux Olympiques

En juin, Benedetta Spinola a organisé avec minutie des Jeux olympiques pour les jeunes à Frontenex, Genève. La journée qui comportait huit disciplines différentes s'est déroulée de manière très joyeuse et sportive pour tous. Les athlètes d'un jour ont lié la Fondation à leur performance et généreusement offert CHF 3'965 à la Fondation.

Olympic Games

In June, Benedetta Spinola organised the Youth Olympic Games at Frontenex, Geneva. The day-long event, which included eight different sports, was a joyous and sporting occasion for everybody. The one-day athletes associated the Foundation with their performance and generously donated 3,965 CHF.



1^{er} Slalom de Genève

Les Écuries Heldan Rallye Team, Écurie La Meute, Écurie Lemman, Écurie Ouest-Romand et l'ACS Genève ont organisé une nouvelle manifestation, le 1^{er} Slalom de Genève qui s'est déroulé à Palexpo les 22 et 23 septembre 2013. C'est une course automobile inédite, avec un parcours se déroulant en intérieur et en extérieur. Un stand d'information de la Fondation a été gracieusement offert durant cette manifestation.

1st Geneva Slalom

The Heldan Rallye, La Meute, Lemman, Ouest-Romand and Geneva ACS teams organised a new event, the 1st Geneva Slalom, which took place at Palexpo on 22th -23th September 2013. The event is an unprecedented car race with a course which runs indoors and outdoors. An information stand for the Foundation was graciously provided during this event.

RAPPORT FINANCIER

FINANCIAL REPORT

MOORE STEPHENS

Rapport de l'organe de révision
sur le contrôle restreint
au Conseil de Fondation de
Fondation Sanfilippo Suisse
Genève

MOORE STEPHENS REFIDAR SA
Place Bel-Air 5
Case postale 1347
1260 Nyon 1
Tel : +41 (0)58 911 86 00
Fax : +41 (0)58 911 86 99
e-mail : nyon@moorestephens.ch
www.moorestephens.ch

En notre qualité d'organe de révision, nous avons contrôlé les comptes annuels (bilan, compte de profits et pertes et annexe) de Fondation Sanfilippo Suisse pour l'exercice arrêté au 31 décembre 2013.

La responsabilité de l'établissement des comptes annuels incombe au Conseil Fondation alors que notre mission consiste à contrôler ces comptes. Nous attestons que nous remplissons les exigences légales d'agrément et d'indépendance.

Notre contrôle a été effectué selon la Norme suisse relative au contrôle restreint. Cette norme requiert de planifier et de réaliser le contrôle de manière telle que des anomalies significatives dans les comptes annuels puissent être constatées. Un contrôle restreint englobe principalement des auditions, des opérations de contrôle analytiques ainsi que des vérifications détaillées appropriées des documents disponibles dans l'entreprise contrôlée. En revanche, des vérifications des flux d'exploitation et du système de contrôle interne ainsi que des auditions et d'autres opérations de contrôle destinées à détecter des fraudes ne font pas partie de ce contrôle.

Lors de notre contrôle, nous n'avons pas rencontré d'élément nous permettant de conclure que les comptes annuels ne sont pas conformes à la loi et aux statuts.

Nyon, le 12 mai 2014

MOORE STEPHENS REFIDAR SA


Jacques Grossen
Expert-réviseur agréé
Réviseur responsable


Déborah Dépraz
Expert-réviseur agréé

Annexes : comptes annuels (bilan, compte de profits et pertes et annexe)

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

MOORE STEPHENS

Report of the statutory auditors
on the limited statutory examination
to the Foundation Board of
Fondation Sanfilippo Suisse
Geneva

MOORE STEPHENS REFIDAR SA
Place Bel-Air 5
Case postale 1347
1260 Nyon 1
Tel : +41 (0)58 911 86 00
Fax : +41 (0)58 911 86 99
e-mail : nyon@moorestephens.ch
www.moorestephens.ch

As statutory auditors, we have examined the financial statements (balance sheet, income statement and notes) of Fondation Sanfilippo Suisse for the year 2013 ended 31 December 2013.

These financial statements are the responsibility of the Foundation Board. Our responsibility is to perform a limited statutory examination on these financial statements. We confirm that we meet the licensing and independence requirements as stipulated by Swiss law.

We conducted our examination in accordance with the Swiss Standard on the Limited Statutory Examination. This standard requires that we plan and perform a limited statutory examination to identify material misstatements in the financial statements. A limited statutory examination consists primarily of inquiries of company personnel and analytical procedures as well as detailed tests of company documents as considered necessary in the circumstances. However, the testing of operational processes and the internal control system, as well as inquiries and further testing procedures to detect fraud or other legal violations, are not within the scope of this examination.

Based on our limited statutory examination, nothing has come to our attention that causes us to believe that the financial statements do not comply with Swiss law and the foundation's articles of incorporation.

Nyon, 12 May 2014

MOORE STEPHENS REFIDAR SA


Jacques Grossen
Licensed Audit Expert


Déborah Dépraz
Licensed Audit Expert

Enclosures: financial statements (balance sheet, income statement and notes)

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

BILAN AU 31 DECEMBRE 2013 / BALANCE SHEET AT 31st DECEMBER 2013

	Notes	31.12.2013 CHF	31.12.2012 CHF
ACTIF / ASSETS			
Liquidités et équivalents / <i>Cash and cash equivalent</i>		288'866	377'695
Promesses de dons à recevoir et débiteurs / <i>Debtors</i>		12'800	13'500
Actifs transitoires / <i>Prepaid expenses and accrued income</i>		1'670	4'634
Actifs circulants / <i>Current assets</i>		303'336	395'829
Participation / <i>Securities and investments</i>	5	1'316'516	1'185'417
Actifs immobilisés / <i>Other assets</i>		1'316'516	1'185'417
TOTAL DE L'ACTIF / <i>TOTAL LIABILITIES</i>		1'619'853	1'581'246
 PASSIF / LIABILITIES			
Créanciers / <i>Creditors</i>		1'714	77
Passifs transitoires / <i>Accrued liabilities</i>		7'990	10'995
Fonds Affectés (recherche/ <i>Affected funds (research)</i>)	6	139'956	0
Fonds Affectés (recherche) / <i>Affected funds (research)</i> - Dr Olivier Martin	6	0	13'944
Fonds Affectés (recherche) / <i>Affected funds (research)</i> - Thérapie Génique MPS III Fr.)	6	0	24'020
Fonds Affectés (recherche) / <i>Affected funds (research)</i> - Thérapie Génique MPS III (USA)	6	0	191'700
Fonds Affectés (recherche) / <i>Affected funds (research)</i> - Dr de Agostini (Genève)	6	66'667	0
Fonds Affectés / <i>Affected funds</i> - Livre Noé & Noa	6	2'953	0
Fonds Affectés - Affiches / <i>Affected funds - "Posters - advertising"</i>	6	15'610	0
Fonds étrangers / <i>Current liabilities</i>		234'891	240'735
Capital de dotation / <i>Capital</i>		100'000	100'000
Résultat reporté / <i>Retained earnings</i>		1'240'511	581'585
Résultat de l'exercice / <i>Result of the year</i>		44'451	658'926
Fonds propres / <i>Shareholder's equity</i>		1'384'962	1'340'511
TOTAL DU PASSIF / <i>TOTAL LIABILITIES</i>		1'619'853	1'581'246

COMPTE DE PROFITS ET PERTES / INCOME STATEMENT FOR THE YEAR 2013
DU 1ER JANVIER AU 31 DECEMBRE 2013 / From 1st January 1 to 31st December 2013

	2013	2012
	CHF	CHF
Notes	(365 jours) (365 days)	(365 jours) (365 days)
PRODUITS / INCOME		
Dons - Fonds libres / Donations - free funds	1'057'930	1'185'619
Dons - Fonds libres (Commune genevoise) / Donations - free funds (municipality)	4'300	8'000
Total des dons - Fonds libres / Total donations - free funds	1'062'230	1'193'619
Dons - Fonds affectés aux programmes de recherche / Donations - funds allocated to research	1 232'533	182'406
Dons - Fonds affectés aux autres programmes / Donations - funds allocated to other programs	3 17'047	5'000
TOTAL DES PRODUITS / TOTAL INCOME	1'311'811	1'381'025
CHARGES / EXPENSES		
Utilisation des fonds affectés - recherches		
Charges résultant de financements affectés à la recherche / Use of allocated funds - expenses	2 1'148'950	242'157
Charges résultant de financements affectés à d'autres programmes / Expenses resulting from funds allocated to other programs	4 17'047	1'220
	1'165'997	243'376
Charges courantes / Operating expenses		
Salaires et charges sociales / Salaries and social charges	67'288	64'053
Frais de communications / Communication	1'256	1'149
Assurance / Insurance	315	315
Frais de déplacements et de représentations / Travel expenses	3'257	2'958
Graphisme, impression, traduction et publicité / Printing, graphism, translation and marketing expenses	15'197	18'068
Honoraires de légaux de révision et de tiers / Legal and accounting fees	10'149	4'810
Frais informatiques, conférences MPS et frais divers / MPS Conferences participation and other expenses	1'400	3'896
Taxes, émoluments - DFI / Taxes and fees - DFI	500	530
Total des charges / Total operating expenses	99'361	95'779
Résultat net avant autres produits et charges / Net result before other income and expenses	46'453	1'041'870
Activités financières / Financial activity		
Produits financiers et divers / Financial income	240	273
Perte non réalisée sur titres et participation / Unrealised loss on securities and investment	-	(380'000)
Perte de change / Exchange loss	(814)	(334)
Intérêts et frais bancaires / Interests and bank charges	(1'426)	(2'882)
Résultat de l'activité financière / Financial result	(2'001)	(382'944)
RESULTAT NET DE L'EXERCICE / NET RESULT FOR THE YEAR	44'451	658'926

**ANNEXE AUX COMPTES ANNUELS / NOTES TO THE FINANCIAL STATEMENTS
CLOS AU 31 DECEMBRE 2013 / FOR THE PERIOD ENDED 31st DECEMBER 2013**

	2013	2012
	CHF	CHF
Notes	(365 jours) (365 days)	(365 jours) (365 days)
1) Total des dons - Fonds affectés aux programmes de recherche / Donations - funds allocated to research	232'533	182'406
<u>Se décomposant de la manière suivante : / Are composed as follows :</u>		
Dons ne résultant pas de manifestations affectés à la recherche / Funds not resulting from events allocated to research	117'323	89'632
Produits de manifestations affectés à la recherche / Events income allocated to research	166'202	186'594
Charges d'organisation de manifestations / Events organisation expenses	(50'992) 232'533	(93'820) 182'406
Total des dons affectés aux programmes de recherche / Total funds allocated to research	232'533	182'406
2) Total des charges résultant de financements affectés / Use of research allocated funds	1'148'950	242'157
Programme / Program du Dr de Agostini Genève	56'556	0
Programme / Program de Mme Aiach - Thérapie Génique Paris MPS III A	0	24'020
Programme / Program de Dr Martin - Chaperons Chimiques MPS II et VII	0	26'437
Participation à / Investment Dorphan SA	5 916'417	0
Participation / Investment Abeona Therapeutics - Thérapie Génique (USA)	5 36'020	191'700
Attribution à la réserve pour programme de recherche / Affected to the reserve for a research program	139'956	0
3) Dons - Fonds affectés aux autres programmes / Donations - funds allocated to other programs	17'047	5'000
<u>Se décomposant de la manière suivante : / Are composed as follows :</u>		
Dons résultant de manifestations affectés à la conférence / Funds resulting from manifestation allocated to conference	0	5'000
Soutien au projet de livre "Noé et Noa" / Support for the project Book "Noé et Noa"	17'047	0
	<hr/> 17'047	<hr/> 5'000
4) Charges résultant de financements affectés à des programmes / Use of allocated funds to other programs		
<u>Se décomposant de la manière suivante : / Are composed as follows :</u>		
<u>Organisation de la 1ère Conférence MPS à Genève / Organisation of the first MPS's conference in Geneva</u>		
Infrastructure, nourritures, logements et décoration / Facilities, food and accomodation	0	630
<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 realisation of a mountain trip (Amicale Auxilium)	0	590
Soutien à la réalisation du livre "Noé et Noa" / Support of the realisation of the project Book "Noé et Noa"	17'047	0
Total des charges résultant aux soutiens à des programmes / Total expenses arising in support of other programs	17'047	1'220

ANNEXE AUX COMPTES ANNUELS / NOTES TO THE FINANCIAL STATEMENTS
CLOS AU 31 DECEMBRE 2013 (suite) / FOR THE PERIOD ENDED 31st DECEMBER 2013 (continued)

	2013		2012
	CHF		CHF
Notes	(365 jours)		(365 jours)
	(365 days)		(365 days)

5) Participations / Investments

a) Dorphan SA, ayant son siège à l'EPFL (Lausanne) / [Dorphan SA, Headquarters in EPFL \(Lausanne\)](#)

94%	1'269'000	92%	1'185'417
-----	-----------	-----	-----------

La société a pour but l'identification, l'acquisition, le développement, la commercialisation et la vente de programmes de recherche pour les maladies rares et orphelines. / [The aim of the company is the identification, acquisition, development, marketing and sale of research programs for rare and orphan diseases.](#)

Durant l'exercice 2013, la Fondation a souscrit pour CHF 1'000'000 lors de l'augmentation de capital réalisée par Dorphan SA. Cet investissement a été financé par un don du même montant. Etant donné que, à ce jour, les recherches de Dorphan SA n'ont pas encore abouti, la société a uniquement des dépenses. Par conséquent, le Conseil de fondation estime prudent d'amortir la participation dans Dorphan SA jusqu'à concurrence des fonds propres de la société au 31.12.2013. / [During the year 2013, the Foundation subscribed CHF 1'000'000 to the capital increase by Dorphan SA. This investment was financed by a donation of the same amount. Given the fact that, as of today, the researches made by Dorphan SA have not produced results, the company has only expenses. Therefore, the Board considers as prudent to depreciate the investment in Dorphan SA up to the net asset value of the company as at 31.12.2013.](#)

b) Abeona Therapeutics LLC, ayant son siège à Cleveland (USA) / [Abeona Therapeutics LLC, Headquarters in Cleveland \(USA\)](#)

10%	47'516	0%	0
-----	--------	----	---

La société a notamment pour but le développement et la commercialisation d'un programme de thérapie génique pour les MPS III A et B. / [The company aims are the development and commercialisation of a program of gene therapy for MPS III A and B.](#)

Entre 2012 et 2013, la Fondation a acquis 10'889 actions d'Abeona Therapeutics LLC pour un montant total de USD 300'000. USD 200'000 (CHF 191'700) ont été directement comptabilisés en charge courant 2012 en tant que "charges résultant de financement affectés à la recherche". En 2013, USD 50'000 (CHF 44'980 - gain de change CHF 8'960 = CHF 36'020) ont été comptabilisés en "charges résultant de financement affectés à la recherche" et USD 50'000 (CHF 47'516) ont été activés en tant que participation. Le Conseil de fondation juge prudent d'activer qu'une partie de la participation étant donné qu' Abeona Therapeutics LLC n'a, pour l'instant, que des dépenses liées à la recherche. / [Between 2012 and 2013, the Foundation acquired 10'889 shares in Abeona Therapeutics LLC for a total amount of USD 300'000. USD 200'000 \(CHF 191'700\) were directly expensed in 2012 as "expenses resulting from funding allocated to research". In 2013, USD 50'000 \(CHF 44'980 - exchange gain CHF 8'960 = CHF 36'020\) were recorded as "expenses resulting from funding allocated to research" and USD 50,000 \(CHF 47'516\) were capitalised as investment. The Board considers as prudent to capitalise only a part of the investment as Abeona Therapeutics LLC has, for the moment, only expenses related to research.](#)

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

a) [Fonds Affectés \(recherche\) / Affected funds \(research\)](#)

Dons reçus durant l'année affectés à la recherche (selon point 1) / [Donations received during the year affected to the research \(as point 1\)](#)

139'956	0
---------	---

b) [Fonds Affectés \(recherche\) - Dr Olivier Martin / Affected funds \(research\) - "Dr. Olivier Martin"](#)

Report solde réserve au 31 décembre / [Reported reserve balance as at 31st December](#)

13'944	11585
Affectation du solde d'autres programmes de recherche (selon point 6e) / Affected to others research program (as point 6e)	(13'944)
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
Soutien au programme durant l'année / Support of the research program during the year	28'796
0	(26'437)
<u>0</u>	<u>13'944</u>

ANNEXE AUX COMPTES ANNUELS / NOTES TO THE FINANCIAL STATEMENTS
CLOS AU 31 DECEMBRE 2013 (suite) / FOR THE PERIOD ENDED 31st DECEMBER 2013 (continued)

	2013	2012
	CHF	CHF
Notes	(365 jours)	(365 jours)
	(365 days)	(365 days)
c) Fonds Affectés (recherche) - Alliance Sanfilippo - Thérapie Génique MPS III A / Affected funds (research) - "Alliance Sanfilippo - Thérapie Génique MPS III A"		
Report solde réserve au 31 décembre / Reported reserve balance as at 31st December	24'020	0
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	24'020
Soutien au programme durant l'année / Support of the research program during the year	(24'020)	0
	<hr/> 0	<hr/> 24'020
d) Abeona Therapeutics - Thérapie génique MPS III A et B (USA) / Abeona Therapeutics - "Thérapie génique MPS III A et B (USA)"		
Report solde réserve au 31 décembre / Reported reserve balance as at 31st December	191'700	0
Dons reçus durant l'année affectés à la recherche (selon point 1) / Donations received during the year affected to the research (as point 1)	36'020	129'591
Utilisation de dons libres pour soutien au programme / Use of free donations to program support	0	62'109
Soutien au programme durant l'année / Support of the research program during the year	(227'720)	0
	<hr/> 0	<hr/> 191'700
e) Fonds Affectés (recherche) - Dr de Agostini (Genève) / Affected funds (research) - "Dr de Agostini (Genève)"		
Affectation solde fonds affectés (selon point 6b) / Affected balance of funds affected (as point 6b)	13'944	0
Dons reçus durant l'année affectés à la recherche (selon point 1) / Donations received during the year affected to the research (as point 1)	123'223	0
Soutien au programme durant l'année / Support of the research program during the year	(70'500)	0
	<hr/> 66'667	<hr/> 0
f) Fonds Affectés Livre - Affected funds Book - "Noé & Noa"		
Dons reçus durant l'année affectés à la réalisation du livre (selon point 3) / Donations received during the year affected to the book (as point 3)	20'000	0
Soutien au programme durant l'année / Support of the program during the year	(17'047)	0
	<hr/> 2'953	<hr/> 0
g) Fonds Affectés - Affiches / Affected funds - "Posters - advertising"		
Dons reçus durant l'année affectés à la réalisation des affiches / Donations received during the year affected to the posters realisation	15'610	0
Soutien au programme durant l'année / Support of the program during the year	0	0
	<hr/> 15'610	<hr/> 0

7) Analyse des risques / Risk Analysis

Le Conseil de fondation a procédé à une évaluation des risques mais cette dernière n'a pas été formellement protocolée. / The Board of the foundation conducted a risk assessment, but it has not been formalized.

CINQ ANS EN PHOTOGRAPHIE *FIVE YEARS IN PHOTOGRAPHY*

Reportage sur la TSR « Le portrait de Charlotte, atteinte d'une maladie rare appelée syndrome de Sanfilippo » en 2009
TSR « Portrait of Charlotte, suffering from a rare disease called Sanfilippo syndrome » in 2009



Défilé lors d'un des premiers galas de la Fondation Sanfilippo Suisse
Kids Fashion Show during one of the first Sanfilippo Galas



Collonge-Bellerive (GE)
CES MALADES OUBLIÉS



Frédéric Morel



1er congrès des maladies rares organisé par la Fondation Sanfilippo Suisse
1st Congress of rare diseases organized by the Sanfilippo Foundation Switzerland in 2011

Affiches 2009, 2010 et 2011 de la Fondation Sanfilippo Suisse
Posters 2009, 2010 and 2011 of the Sanfilippo Foundation Switzerland



Participation active à la création de ProRaris, agence faitière nationale pour les maladies rares en Suisse
Active participation in the creation of ProRaris, national agency for the rare diseases in Switzerland



UN IMMENSE MERCI !

A HUGE THANK YOU !

À notre Marraine Madame Micheline Calmy-Rey et notre Parrain Pr Stylianos E. Antonarakis d'être là à nos côtés.

To our Honorary Patrons Micheline Calmy-Rey and Prof. Stylianos E. Antonarakis to be there on our sides.

À l'Étude Borel & Barbey pour son appui constant. À tous nos donateurs, sponsors, partenaires, supporters, amis et bénévoles pour leur présence continue. Aux membres du Conseil de Fondation, aux membres du Comité scientifique et aux membres du Comité d'organisation du gala Sanfilippo pour leur fidèle engagement à la cause.

To Borel & Barbey for its ongoing support. To all our donors, sponsors, partners, supporters, friends and volunteers for their continued presence. To the members of the Board of Trustees, members of the Scientific Committee and members of the Organising Committee for the gala Sanfilippo for their faithful commitment to the cause.

Les personnes privées

Private persons

M. Rémo Ambrosio, « Les Amis de la Cagnotte », M. et Mme Jean-Marc et Marie-Axelle Annicchiarico, M. Michel Arnaud, M. Étienne d'Arenberg, Mme Christiane Attinger, Mme Véronique Barbey, M. et Mme Daniel et Roberta Belfer, M. Jacques Bemberg, M. et Mme Viktor et Stéphanie Benardete, M. Jean Benedict, Mme Madeleine Bertholet, M. et Mme Patrick et Danielle Bertola Reymond, M. Olivier Bertrand, M. A. Bezerra Schoeninger, M. Robert Borgis, Me Luca Bozzo, Mme Felicitas Bugnon, Mme Louise Brun, Mme Enrica van Caloen di Rovasenda, Mme Liliana Cantoreggi, M. Guido Caratsch, M. Gérard Casella, Comte et Comtesse Chandon Moët, Dre Virginie Chaves -Vischer, M. Pascal Chevalley, Mme Adrienne Chèvre, M. Gérald Coutaz, Mme Sylvie Dabbah, Mme Christiane Dawson, Mme Arlette Degeneve, M. et Mme Brice et Karen Duffour, M. Henry Duffour, Me Olivier Dunant, Mme Alison Erikson, M. Grégoire Étienne, M. et Mme Gérard et Denise Falquet, M. Daniel Ferranini, M. et Mme Harold et Olivia de Fierlant, Me Marc Fischer, M. et Mme Olivier et Marie Francisci, M. Jean-Pierre Frattini, M. et Mme Kari et Shaza Gahiga, Mme Catherine Gautier le Berre, M. et Mme Alfred et Christiane Golay, M. et Mme Nicolas et Diane Golay, Mme Feu Simone Golay, M. et Mme Terence et Else Grave, M. Jean-Claude Gremion, Mme Ornella Grillet, M. Jacques Grossen, M. Hervé Edmond Guinand, Mme Viviane van Haecke, Pr et Mme Farhad et Nikki Hafezi, Mme Anne-Marie Hagger, M. et Mme Roland et Kathy Hifler, M. Rudolf Huber, M. et Mme Daniel et Mary-Claire Jaquet-Hertig, Mme Miruna Klaus, M. et Mme Jean-Louis et Claudine Klein, M. Mathias Kohler, M. et Mme David et Rita Labarthe, M. Charles-Louis de Laguiche, M. Nicolas Lantz, M. Benjamin Lavizzari, M. et Mme Carlo et Jacqueline Lavizzari, Mme Linda Leclerc, M. et Mme Philippe et Catherine Leopold Metzger, M. Gian Paolo Leproni, Mme Évelyne Levy, Mme Odette Liniger, Mme Lydia Mackenzie, M. et Mme Francis et Sandra Maillard, Mme Anna Maurutto, M. Charly Maret, Mme Stéphanie Marxer, Mme Salima Messali, Mme Sophie Metulescu, Mme Elizabeth de Montfalcon, M. Ignacio Moreno, M. et Mme Christopher et Coraline Mouravieff-Apostol, Mme Michèle Muller, M. et Mme Claude et Sylvie Nahum, Mme Danielle Nobs, M. Grégoire Notz, M. Daniel Paquier, Mme Rose-Marie Pastore, Mme Béatrice Paterno, M. Michel Penet, Dr Étienne Perrin, Mme Isabelle Petalas-Mira, Mme Annie Pighin, M. et Mme Auguste et Nelly Rigolet, M. David Rimer, M. et Mme Frédéric et Lucia RoCHAT, M. Andreas Roetheli, Mme Marina Roque de Pinho, M. et Mme Philippe et Maddalena Rudloff, Me Sonia Ryser, M. K. Schilling, M. Thomas Schlittler, M. Dean Constantine Soldatos, Marquis et Marquise Spinola, M. Michel-François Stadelmann, Mme Natalia Standrovskaya, Mme Van Ta, M. Tom Tirabosco, M. René Trachsel, Mme Shomreh Vahabzadeh, M. Daniel Verderese, M. Pierre Vincent, M. Patrick Vuille, Me Alexandre de Weck, Mme Annik Wetter, M. Hacer Pinar Yildirim

Merci à Me Olivier Dunant pour son soutien infaillible depuis cinq ans

Thank you to Mr. Olivier Dunant for his unflinching support for five years



MERCI

THANK YOU

Aux donateurs anonymes dont la générosité ne reste pas anonyme dans nos cœurs.

To the anonymous donors whose generosity does not remain anonymous in our hearts.

Les institutions publiques / Public Institutions

Commune de Chêne-Bougeries, Commune de Collonge-Bellerive, Commune de Gy, Commune de Presinge

Les associations et fondations / Associations & foundations

Association Enfance et Maladies Orphelines (AEMO), Carigest SA - conseiller d'un généreux donateur, Écurie La Meute, Famsa Foundation, Fondation Alfred et Eugénie Baur, Fondation de bienfaisance du Groupe Pictet, Fondation genevoise de bienfaisance Valeria Rossi di Montelera, Fondation Edmond Adolphe de Rothschild, Fondation Dr Corinne Schuler, Fondation Hans Wildsorf, Loterie Romande, Rotary Club de Bellegarde (France)

Les entreprises / Corporate donors

Basics Linda Leclerc, Capital Group Companies Inc., Cheesecake & Co SARL, CIRCA Jewels SA, Dorphan SA, Étude Borel & Barbey, Gagosian Gallery Inc., succursale de Genève, Gruyeria SA, Hinduja Bank (Switzerland) Ltd, Hôtel Président Wilson, Genève, Imprimerie Lenzi SA, Jean et Philippe Ilg SA, Kalis Sarl, Manor Holding SA, Moore Stephens Refidar SA, toute l'équipe de NAT Services SA, Nestlé Waters (Suisse) SA, Orpheu's Art, Ovale SA, Piaget SA, Manufacture Haute Horlogerie, Real Madrid, CF, SEB, Sedelec SA, Soneva Resorts, Residences & Spas, Sotheby's SA, succursale de Genève, Vinivore SA, Trans Continental SA, W&Cie SA, 4looWeb & Graphic Design

MEMBRES

DE LA FONDATION SANFILIPPO SUISSE

MEMBERS OF THE SANFILIPPO FOUNDATION



Marraine et parrain de la Fondation
Honorary Patrons of the Foundation

Mme Micheline Calmy-Rey, 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

**Dr Dani Bach, Dre Danielle Bertola Raymond,
Dr Armand Bottani, Dr Nicolas Lantz**

Présidente d'honneur du Gala
Honorary Gala Chairperson

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

Fondation / Foundation

Mme Corinne Féry-von Arx – Directrice

Comité du Gala Sanfilippo
Sanfilippo Gala Committee

**Mme Nadine Aysoy, Mme Joëlle Belina, Mme Elisabetta
Boselli-Mauro, Mme Cristina Diamantini, Mme Paula
Fentener van Vlissingen-Sendas, Mme Shaza Gahiga,
Mme Namrita Hinduja, Mme Ludmila Joory, Mme Isabelle
Lavizzari, Mme Elly Sistovaris, M. Renaud Smith, Mme
Benedetta Spinola, Mme Carolina Tardy, Mme Vivien Yakopin**

COORDONNÉES

BANCAIRES

BANK ACCOUNT DETAILS

Compte postal / Postal account
No 10-185368-3

Compte bancaire / Bank account
UBS Genève 612153.00N
Code Swift UBSWCHZH80A
Clearing 0240
Code IBAN CH560024024061215300N

Fondation Sanfilippo Suisse
c/o NAT Services SA
2, rue de Jargonnant
1207 Genève
www.fondation-sanfilippo.ch

Personnes de contact / Contacts :
Frédéric Morel, président
+ 41 (0) 78 720 73 17
frederic.morel@fondation-sanfilippo.ch

Corinne Féry-von Arx, directrice
+41 (0) 78 745 08 28
corinne.fery@fondation-sanfilippo.ch

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

Merci pour leur soutien depuis 5 ans
Thank you for their support for 5 years