



FONDATION
SANFILIPPO
Suisse

RAPPORT ANNUEL 2015
ANNUAL REPORT 2015



FONDATION
SANFILIPPO
Suisse

Fondation Sanfilippo Suisse

2, rue de Jargonnant
1207 Genève
Tél. +41 22 700 1822
Site : www.fondation-sanfilippo.ch

Personnes de contact

Frédéric Morel

Président
Tél. + 41 (0) 79 959 6318
Email : frederic.morel@fondation-sanfilippo.ch

Isabelle Costes

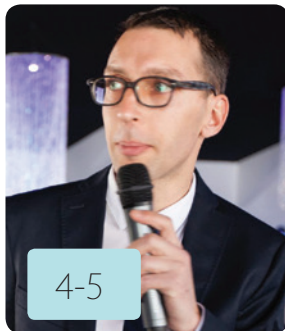
Directrice
Tél. +41 (0) 79 751 9300
Email : isabelle.costes@fondation-sanfilippo.ch

DONS

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

SOMMAIRE CONTENTS

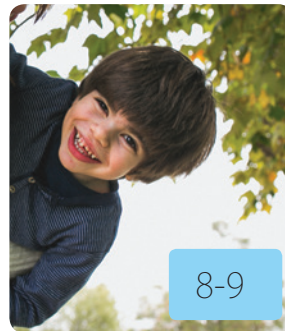
Éditorial
Editorial



La relève
Continuation



La Fondation
The Foundation



En bref pour rappel
A Brief Reminder



La recherche scientifique
Scientific Research



Les événements de collecte
Fundraising Events



La sensibilisation
Raising Awareness



La solidarité
Solidarity



Le rapport financier
The Financial Report



Remerciements
Acknowledgements



« L'espoir, c'est l'élément magique qui fait agir »



L'année 2015 a été forte d'engagements, et en accord avec le proverbe qui dit « *l'espoir, c'est l'élément magique qui fait agir* », la Fondation Sanfilippo Suisse a intensifié son action pour la science. En effet, c'est uniquement par la recherche que des thérapies seront trouvées et pourront un jour sauver nos enfants.

Outre les trois programmes de recherche inscrits au portefeuille de cette année, nous nous sommes lancés le défi majeur de réunir, pour la deuxième fois à Genève, plus d'une centaine de scientifiques et familles du monde entier concernés par la maladie de Sanfilippo et les maladies de surcharge lysosomale. Le Dr Ron Hogg, avec l'appui du Comité scientifique consultatif, a bâti le programme de cette conférence internationale. Ce forum nous a donné une occasion unique de renforcer les liens avec les experts de la maladie et le terrain propice pour identifier de nouveaux programmes de recherche à soutenir avec d'autres associations de patients.

Presque simultanément en novembre, M. Maxime Luthringer organisait avec le Comité d'action, la nouvelle édition du Gala Sanfilippo dans le cadre féérique du Lodge d'Hiver de la Réserve Genève !

En outre, nous avons ciblé la population genevoise par deux fois pour continuer notre action de sensibilisation à la problématique des maladies rares. D'une part, lors de notre campagne annuelle d'affichage sur les Transports publics genevois (TPG) et dans quelques parkings de la ville, et d'autre part, nous en étions très heureux, avec huit drapeaux flottant au logotype de la Fondation sur le pont du Mont-Blanc aux côtés de ceux de la Ville et de la Confédération pendant une semaine en novembre dernier.

Cette année était également une année charnière dans la mesure où nous avons anticipé le départ à la fin de l'année de notre très chère Directrice, Madame Corinne Féry-von Arx, et commencé à préparer la relève. Mademoiselle Paulina Märklin, pendant trois mois, et Madame Isabelle Costes ont pris une part active dans l'élaboration des diverses activités que la Fondation a mises sur pied. Nous avons également été ravis d'accueillir le Dr Susan Hill comme nouveau membre du Comité scientifique.

Nous profitons pour remercier du fond du cœur Madame Corinne Féry-von Arx pour les années qu'elle a consacrées à la Fondation. Sans elle, toutes nos actions n'auraient pas pu être réalisées. C'est aussi avec beaucoup d'émotion que nous souhaitons tout le meilleur à Corinne pour tous ses nombreux futurs projets, précisons que Corinne ne nous quitte pas entièrement, heureusement, car elle a accepté de rejoindre le Conseil de fondation.

Nous vous invitons à découvrir comment les soutiens de nos donateurs, sponsors, partenaires et amis ont concrètement appuyé nos activités, notamment la recherche. Nous tenons également à remercier chaleureusement chaque donateur qui a contribué à la Fondation d'une manière ou d'une autre pour nous donner les moyens, le courage et la force de combattre la maladie.

Stéphanie et
Frédéric Moul

*"Hope is the magical
element which makes us act"*



The year 2015 saw many commitments, and in keeping with the proverb which states "hope is the magical element which makes us act", the Sanfilippo Foundation Switzerland has intensified its action towards science. In effect, it is only through research that therapies will be found and will, one day, be able to save our children.

In addition to the three research programs included in this year's portfolio, we have embarked on the major challenge of bringing together, for the second time in Geneva, more than one hundred scientists and families from all over the world connected with Sanfilippo Syndrome and lysosomal storage diseases. Dr. Ron Hogg, with the support of the Scientific Advisory Committee, has put together the program for this international conference. This forum has given us the unique opportunity to strengthen relationships with experts of the disease and the fertile ground to identify new research programs to be supported with other patients' associations.

Almost at the same time in November, Mr. Maxime Luthringer organised with the Action Committee the new edition of the Sanfilippo Gala in the idyllic setting of the Winter Lodge at La Réserve Geneva Hotel !

Furthermore, we have targeted the Geneva population on two occasions to continue our awareness action regarding the issue of rare diseases. On the one hand, during our annual poster campaign on Geneva Public Transports (TPG) and in some car parks in the city, and, on the other hand, we were very pleased with it, with eight flags revealing the logotype of the Foundation on Mont-Blanc Bridge alongside those of the City and the Confederation for one week in November.

This year was also a pivotal year insofar as we have anticipated the departure, at the end of the year, of our dear Director, Mrs. Corinne Féry-von Arx, and started to prepare for her successors. Both Miss Paulina Märklin, for three months, and Mrs. Isabelle Costes played an active role in the development of the various activities that the Foundation has established. We were also delighted to welcome Dr. Susan Hill as a member of the Scientific Committee.

We would like to thank from the bottom of our heart Mrs. Corinne Féry-von Arx for the years that she has devoted to the Foundation. Without her, all our actions would not have been carried out. It is also with great emotion that we wish Corinne all the best for her many future projects. We would like to point out that Corinne won't be leaving us entirely, fortunately, since she has agreed to join the Foundation Board.

We invite you to discover how the support of our donors, sponsors, partners and friends have given practical support to our activities, notably research. We would also like to kindly thank each donor who has contributed to the Foundation in one way or another in order to give us the means, courage and strength to fight the disease.

*Stéphanie et
Frédéric Maul*

LA RELÈVE CONTINUATION

« Une expérience pleinement enrichissante »

"A truly rewarding experience"



Durant presque six ans, j'ai développé, en tant que Directrice avec le Président, le Conseil et les Comités, les activités de la Fondation Sanfilippo Suisse. Ma gratitude s'adresse à toute l'équipe et à tous nos donateurs qui ont permis de les déployer. Ce fut une expérience pleinement enrichissante.

J'ai suivi avec beaucoup d'espoir, l'évolution de la recherche concernant la maladie de Sanfilippo. Ces dernières années, elle a progressé à grands pas se focalisant dorénavant sur le développement de plusieurs approches thérapeutiques. Aujourd'hui, nous pouvons penser que certaines de ces pistes aboutiront à des traitements.

J'ai également été témoin de l'indéfectible lien qui soude les parents d'enfants malades.

Je pense à une mère qui écrivait dans son blog en novembre dernier: « ... J'ai passé Thanksgiving à Genève où j'ai rencontré nos familles internationales. Je suis venue pour une conférence scientifique, mais surtout je suis venue pour rencontrer mes familles MPS (mucopolysaccharidose) ».

Ensemble ces familles sont des leviers importants qui font progresser la science; elles poursuivent un combat pour la vie - celle de leurs enfants - qui doit être entendu et soutenu.

Pour la poursuite de cet engagement avec les parents de Charlotte Morel et de tous les membres de la Fondation avec lesquels j'ai eu beaucoup de plaisir à travailler, avec Mesdames Isabelle Costes et Marie Galtié qui me succèdent, je rejoins le Conseil de fondation.

For nearly six years, I have developed, as Director along with the President, the Board and the Committees, the activities of the Sanfilippo Foundation Switzerland. My gratitude goes to all the team and to all our donors who have enabled to deploy them. It has been a truly rewarding experience.

I have followed, with a lot of hope, the evolution of research on Sanfilippo Syndrome. In recent years, it has made great progress and is now focusing on the development of several therapeutic approaches. Today, we believe that some of these approaches will lead to treatments.

I have also seen the unbreakable bond which unites the parents of sick children.

I am thinking of a mother who wrote in her blog in November: "...I have spent Thanksgiving in Geneva where I have met our international families. I have come for a scientific conference, but, above all, I have come to meet my MPS (mucopolysaccharidosis) families".

Together these families are important cogs who are advancing science; they continue to fight for life - that of their children - which must be understood and supported.

To continue this commitment with the parents of Charlotte Morel and all members of the Foundation with whom I have been very pleased to work, with Mrs. Isabelle Costes and Mrs. Marie Galtié who are succeeding me, I will be joining the Foundation Board.

Corinne Feing-von Arx

« C'est avec beaucoup d'enthousiasme que nous avons rejoint la Fondation »

"It is with great enthusiasm that we have joined the Foundation"



Nous tenons tout d'abord à saluer le travail accompli par Madame Corinne Féry-von Arx et la remercions pour ce qu'elle a apporté à la Fondation durant toutes ces années : ses compétences et son savoir-faire professionnels chaque jour de la semaine, mais aussi son sourire et sa bonne humeur.

Nous lui souhaitons de pouvoir apprécier une vraie et belle qualité de vie avec de nouveaux projets.

C'est avec beaucoup d'enthousiasme que nous avons rejoint en janvier 2016 le bureau de la Fondation Sanfilippo Suisse.

Notre engagement sera total et nous nous emploierons du mieux possible à poursuivre l'œuvre de Corinne tout en cherchant à mener de nouvelles actions qui, nous l'espérons, permettront de faire avancer la recherche, dans le but d'assurer un avenir meilleur aux enfants atteints de la maladie de Sanfilippo.

We would firstly like to praise the work accomplished by Mrs. Corinne Féry-von Arx and thank her for what she has brought to the Foundation during all these years: her professional skills and expertise each and every day of the week, but also her smile and cheerfulness.

We wish her a real and good quality of life with many new projects.

It is with great enthusiasm that we have joined, in January 2016, the Sanfilippo Foundation Switzerland.

We will be totally committed and will work tirelessly to continue Corinne's work while seeking to carry out further action which, we hope, will allow us to advance research in order to ensure a better future for children affected by Sanfilippo Syndrome.

Isabelle Arx

Nassir Galbi



Organisation non-gouvernementale, créée en 2008, reconnue d'utilité publique, qui bénéficie d'une exonération fiscale (tous les dons versés à la Fondation sont déductibles du revenu chez le donateur), la Fondation Sanfilippo Suisse est une fondation suisse de droit privé.

Elle a pour but 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).

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

Non-governmental organisation, founded in 2008, recognised as being of public interest, which enjoys a tax exemption (all donations to the Foundation are tax deductible), the Sanfilippo Foundation Switzerland is a Swiss private law foundation.

It aims to promote, develop, finance and promote all scientific research towards effective therapeutic treatment options for children affected by mucopolysaccharidosis, and particularly type III (Sanfilippo syndrome).

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



ORGANIGRAMME FONDATION SANFILIPPO SUISSE 2016

ORGANISATIONAL CHART 2016



Marraine de la Fondation
Honorary Patron of the Foundation
Madame Micheline Calmy-Rey



Parrain de la Fondation
Honorary Patron of the Foundation
Pr Stylianos E. Antonarakis

Conseil de fondation / Board



Madame et Monsieur
Stéphanie et Frédéric Morel
Fondateurs, Président



Maître
Stéphanie La Roche
Vice-Présidente



Madame
Corinne Féry-von Arx
Membre



Maître
Emmanuel Leibenson
Membre

Comité d'action Action Committee

Madame Elisabetta Boselli-Mauro
Madame Enrica van Caloen
Madame Corinne Féry-von Arx
Madame Isabelle Lavizzari
Madame Arlette Marcos
Madame Benedetta Spinola
Madame Gaëlle Wolf

Bureau Fondation Office

Madame Isabelle Costes
Madame Marie Galtié

Comité scientifique Scientific Committee

Docteur Dani Bach
Docteure Danielle Bertola
Docteur Armand Bottani
Docteure Susan Hill
Docteur Nicolas Lantz

Organe de révision Statutory Auditor

Moore Stephens Refidar SA

Organe de supervision Supervision of the Swiss Confederation

Surveillance des fondations
Département fédéral de l'intérieur

EN BREF POUR RAPPEL A BRIEF REMINDER

Qu'est-ce qu'une maladie rare ?

Une maladie rare se définit comme une affection qui touche moins d'une personne sur 2'000 et qui nécessite des efforts combinés spéciaux pour sa prise en charge. Il existe plus de 7'000 pathologies rares répertoriées. D'origine génétique dans 80% des cas, les autres causes sont infectieuses, auto-immunes, dégénératives ou tumorales. Elles sont le plus souvent chroniques, invalidantes et peuvent mettre le pronostic vital en jeu. La plupart se déclarent au plus jeune âge, alors que certaines se dissimulent pendant de longues années.

Les maladies rares concernent 30 millions de personnes dans l'Union européenne, soit 6.5% de la population.

À l'échelle de la Suisse, plus de 500'000 personnes sont concernées dont 86'000 en Suisse romande.

What is a Rare Disease?

A rare disease is defined as an ailment which affects less than one person out of 2,000 and which requires special combined efforts for its treatment. There are more than 7,000 rare conditions listed. Of genetic origin in 80% of cases, the other causes are infectious, auto-immune, degenerative or tumour-induced. They are most often chronic, disabling and can be potentially life-threatening. Most are detected at a very early age, whilst some do not appear for many years.

Rare diseases affect 30 million people in the European Union, i.e. 6.5% of the population.

Throughout Switzerland, more than 500,000 people are affected including 86,000 in French-speaking Switzerland.

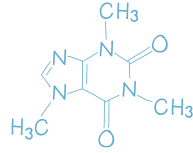
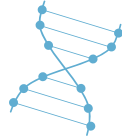
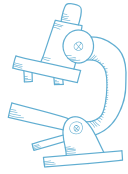
Appel à projets de recherche

La Fondation Sanfilippo Suisse reconduit un appel d'offres afin de soutenir des projets de recherche axés sur une approche thérapeutique pour le syndrome de Sanfilippo (MPS III). Les propositions qui offrent une approche innovante bénéficieront d'une attention spéciale.

Call for Research Proposals

The Sanfilippo Foundation Switzerland is sending out a call to support research projects focused on a therapeutic approach for Sanfilippo syndrome (MPS III). Proposals that offer an innovative approach will be given special consideration.





Qu'est-ce que la maladie de Sanfilippo ?

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

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

What is Sanfilippo Syndrome?

Sanfilippo Syndrome, which was named after Dr. Sylvester Sanfilippo, who described its conditions in 1963, is a type III mucopolysaccharidosis (MPS III) caused by the deficiency of one of the four lysosomal enzymes responsible for the breakdown of heparan sulphate. Each of these enzymes performs a crucial stage in the catabolism of heparan sulphate. Their deficiency results in a very significant nerve degeneration that generally leads to death before the age of 20.

There are four types of MPS III, namely types A, B, C and D, which refer to the deficiency of the enzyme responsible for one of the stages in the breakdown of heparan sulphate.



LA RECHERCHE SCIENTIFIQUE



Dr Stéphane Demotz

DORPHAN S.A. - Fondateur et CEO
EPFL Innovation Park - Lausanne, Suisse
Founder and CEO - EPFL Innovation Park
Lausanne, Switzerland

La thérapie chaperon développée par DORPHAN S.A.

Contexte scientifique

La gangliosidose à GM1 et la maladie de Morquio de type B (également appelée mucopolysaccharidose IVB) sont deux maladies apparentées du stockage lysosomal, en relation l'une avec l'autre et causées par la déficience de l'activité de la bêta-galactosidase. Il n'y a, à ce jour, aucun traitement qui puisse être rendu accessible aux patients, pour la plupart des enfants, atteints de l'une de ces maladies graves et le plus souvent mortelles à brève échéance. Il existe une option susceptible d'apporter un avantage thérapeutique aux patients, fondée sur l'utilisation de composés pharmacologiques dits chaperons.

Objectif des travaux

Développement préclinique d'un chaperon pharmacologique pour le traitement de la gangliosidose à GM1 et de la maladie de Morquio de type B. Le développement préclinique de cette molécule est actuellement en cours, avec pour objectif le début des études cliniques sur l'homme en 2017.

Réalisations

DORPHAN développe actuellement un chaperon pharmacologique à partir d'un iminosucre identifié dans le cadre d'un programme élargi de chimie médicale. Il s'agit d'un inhibiteur spécifique de la bêta-galactosidase indiquant une vigoureuse activité de type chaperon répartie sur un large éventail de lignées cellulaires propres au patient. Après administration intraveineuse ou orale sur des animaux, il a été démontré que la molécule pénétrait dans le cerveau et dans les os, deux types d'organes sérieusement atteints par ces maladies. La synthèse de la molécule a été remodelée, en vue de production à grande échelle et de fabrication de matériau pour la phase clinique.

Contribution de la Fondation Sanfilippo Suisse

Contribution by the Sanfilippo Foundation Switzerland

Chaperone Therapy being developed by DORPHAN S.A.

Scientific Background

GM1-gangliosidosis and Morquio disease type B (also called mucopolysaccharidosis IVB) are two related lysosomal storage diseases caused by deficiency in beta-galactosidase activity. There is, to date, no treatment available to be offered to patients, in most cases children, afflicted by one of these severe and often rapidly fatal diseases. An option that may bring therapeutic benefit to the patients is based on the use of pharmacological chaperone compounds.

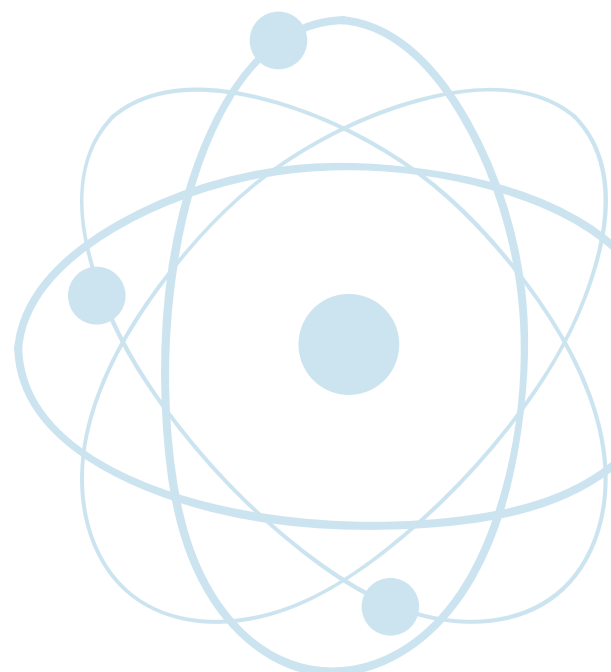
Objective of the Works

Preclinical development of a pharmacological chaperone for the treatment of GM1-gangliosidosis and Morquio disease type B. The preclinical development of the molecule is currently pursued with the aim of initiating clinical studies in man in 2017.

Achievements

DORPHAN is developing an iminosugar-based pharmacological chaperone identified through an extensive medicinal chemistry program. It is a specific inhibitor of beta-galactosidase that shows a robust chaperone activity across a large panel of patient cell lines. Following intravenous or oral administration in animals, the molecule has been shown to enter the brain and the bones, which are two organs severely affected in these diseases. Synthesis of the molecule was redesigned to render it suitable for large scale production and manufacturing of material for the clinical phase.

CHF 2'500'000
depuis/since 2011



LA RECHERCHE SCIENTIFIQUE



Dr Marc Martinell
CEO, Minoryx Therapeutics
Barcelone, Espagne
CEO, Minoryx Therapeutics
Barcelona, Spain

La thérapie chaperon développée par Minoryx Therapeutics

Contexte scientifique

La société Minoryx Therapeutics est engagée dans la découverte de médicaments fabriqués à partir de petites molécules appelées chaperons pharmacologiques, qui facilitent la restauration de la fonction d'une enzyme rendue déficiente par des mutations génétiques. Dans le cadre d'une approche complémentaire, Minoryx développe également à partir d'une petite molécule des médicaments qui combattent les dysfonctions cellulaires consécutives à la déficience correspondante de la protéine.

Objectif des travaux

Minoryx identifie des chaperons pharmacologiques non-compétitifs appliqués à des erreurs innées du métabolisme, comme la gangliosidose à GM1 et la maladie de Morquio de type B (MPS IV), liées à la déficience de l'enzyme bêta-galactosidase.

Le programme est dans la phase d'optimisation.

Réalisations

La plupart des chaperons pharmacologiques imitent le substrat de l'enzyme en se liant au site actif de la protéine cible. Il en résulte une inhibition de l'activité de l'enzyme à de plus fortes concentrations, ne laissant qu'une étroite fenêtre thérapeutique.

Par le biais de sa plateforme technologique innovante SEE-Tx™, Minoryx identifie une nouvelle génération de chaperons pharmacologiques non-compétitifs en termes de substrat, offrant une fenêtre thérapeutique potentiellement plus large. Ces molécules de nouvelle génération s'attachent sur des sites allostériques à l'enzyme et améliorent leurs propriétés médicamenteuses, spécialement pour les indications concernant la participation du CNS (système nerveux central).

Contribution de la Fondation Sanfilippo Suisse
Contribution by the Sanfilippo Foundation Switzerland

Chaperone Therapy being developed by Minoryx Therapeutics

Scientific Background

Minoryx Therapeutics is dedicated to discovering medications based on small molecules called pharmacological chaperones which facilitates the recovery of the function of an enzyme rendered deficient by genetic mutations. As a complementary approach, Minoryx also develops small molecule based drugs which counteract the cellular dysfunctions originated by the corresponding protein deficiency.

Objective of the Works

Minoryx identifies non-competitive pharmacological chaperones applied to inborn errors of metabolism, such as GM1-gangliosidosis and Morquio B disease type B (MPS IV), which are related with the deficiency of the enzyme beta-galactosidase.

The program is at optimization phase.

Achievements

Most pharmacological chaperones mimic the enzyme substrate by binding to the active site of the target protein. This inhibits enzyme activity at higher concentrations, leaving only a narrow therapeutic window.

Through its innovative technology platform SEE-Tx™, Minoryx identifies a new generation of non-substrate competitive pharmacological chaperones that have a potentially broader therapeutic window. These new generation molecules bind to allosteric sites on the enzyme and improve their drug-like properties, particularly for indications with CNS (Central Nervous System) involvement.

€ 50'000 en/in 2015

Un total de / Total support of € 150'000 depuis/ since 2014

LA RECHERCHE SCIENTIFIQUE



Dre Ariane de Agostini

Université de Genève (UNIGE)
et Hôpitaux Universitaires de Genève (HUG)
University of Geneva (UNIGE)
and the University Hospitals of Geneva (HUG)

La recherche fondamentale avec l'UNIGE et les HUG

*Troisième et dernière
année de recherche.*

Contexte scientifique

Aujourd'hui, il n'existe pas d'options thérapeutiques disponibles pour de nombreuses formes de mucopolysaccharidoses (MPS), comme celles de Sanfilippo (MPS III), de Sly (MPS VII) et encore beaucoup d'autres. Différentes approches ont été explorées, dans le cadre de tentatives d'élaboration de traitements efficaces.

La Fondation Sanfilippo Suisse a mis en place et financé pour une durée de trois ans (2013-2016) la recherche menée par le laboratoire du Dre Ariane de Agostini.

Objectif de la recherche

L'objectif de la recherche consiste à évaluer si l'accumulation pathologique de sulfate d'héparane dans les cellules des patients souffrant de mucopolysaccharidoses peut être réduite en bloquant sa dégradation initiale à la surface de la cellule. L'effet de l'inhibition de la dégradation du sulfate d'héparane, en limitant son accumulation dans les cellules des patients souffrant du syndrome de Sanfilippo, n'a pas encore été étudié et les expériences en cours sont conduites in vitro sur des lignées cellulaires.

Réalisations

Les voies métaboliques participant au cycle de reconstitution du sulfate d'héparane sont partiellement connues, au niveau de la biosynthèse et de la dégradation lysosomale, mais le cycle de reconstitution de ces molécules n'est pas entièrement compris. Il a été établi qu'elles sont d'abord décomposées en gros fragments

qui sont absorbés par les cellules, puis de nouveau décomposés dans les lysosomes en minuscules agglomérats qui sont alors recyclés. Ce dernier stade ne se produit pas correctement chez les patients atteints de Sanfilippo, ce qui entraîne l'accumulation de gros fragments dans les cellules puis leur défaillance. L'hypothèse du projet conduit par le Dre de Agostini est qu'en bloquant la dégradation initiale de l'héparane, nous pouvons limiter son absorption et son accumulation pathologique à l'intérieur des cellules.

Il est prévu que ce traitement aboutisse à l'élimination préférentielle de ce composé par les voies rénales. Cette hypothèse est en cours d'essai au moyen de produits inhibiteurs développés pour des applications oncologiques.

L'organisation expérimentale permet de suivre la production, la sécrétion et la distribution granulométrique des sulfates d'héparane dans des lignées cellulaires modèles.

Actuellement, les inhibiteurs obtenus dans un cadre de collaboration internationale sont testés sur des cellules cultivées afin de mesurer leurs effets sur le cycle de reconstitution du sulfate d'héparane.

Contribution de la Fondation Sanfilippo Suisse
Contribution by the Sanfilippo Foundation Switzerland

Fundamental Research with UNIGE and HUG

Third and last year of research work.

Scientific Background

Today, there are no therapeutic options available for many forms of mucopolysaccharidoses (MPS), such as Sanfilippo (MPS III), Sly (MPS VII) and many others. Different approaches have been explored in an attempt to establish effective treatments.

The Sanfilippo Foundation Switzerland has established and financed for a duration of three years (2013-2016) the research conducted in Dr. Ariane de Agostini's laboratory.

Objective of the Research

The objective of the research is to evaluate whether the pathological build-up of heparan sulphate in the cells of patients with mucopolysaccharidoses can be reduced by blocking its initial breakdown at the cell surface. The effect of inhibiting the breakdown of heparan sulphate in limiting its build-up in the cells of patients suffering from Sanfilippo syndrome has not yet been studied and current experiments are conducted in vitro on cell lines.

Achievements

The metabolic pathways involved in heparan sulfate turnover are partially known, at the level of biosynthesis and lysosomal degradation but the cellular turnover of these molecules is not completely understood. It has been established that they are first broken down into large fragments which are absorbed by the cells and

then broken down in the lysosomes into very small building blocks that are recycled. This last stage does not occur correctly in patients with Sanfilippo, which leads to the build-up of large fragments in the cells and to their failure. The hypothesis for the project conducted by Dr. de Agostini is that by blocking the initial breakdown of heparan, we can limit its absorption and its pathological build-up inside the cells.

It is expected that this treatment will lead to the preferential elimination of this compound via renal channels. This hypothesis is being tested thanks to inhibitor products developed for applications in oncology.

The experimental setup allows to follow the production, secretion and size distribution of heparan sulfates in model cell lines.

Currently, inhibitors obtained through international collaboration are tested on cultured cells to measure their effects on heparan sulfate turnover.

CHF 210'000

répartis sur trois ans / divided over three years

LA RECHERCHE SCIENTIFIQUE

La deuxième conférence internationale

La deuxième conférence internationale « La maladie de Sanfilippo et les maladies apparentées de surcharge lysosomale » s'est tenue au Starling Hôtel Genève du 26 au 28 novembre 2015 avec les précieux soutiens de nos donateurs, sponsors et partenaires.

L'objectif de ce deuxième événement était de rassembler les chercheurs académiques, les familles et les industriels. Cette deuxième édition donnait l'occasion de présenter la recherche clinique et préclinique, quatre ans après l'organisation de notre première conférence.



La conférence a débuté par l'allocution du Pr Stylianos E. Antonarakis, Chairman, Département de médecine génétique et développement, Faculté de médecine, Université de Genève. La session d'ouverture, animée par le Dr De Luca, Waypoint Capital Genève, a esquissé la base juridique pour la désignation de médicament orphelin et l'approbation en Europe et aux États-Unis.



Parmi les dix-sept intervenants, on comptait les présentations majeures du Pr John Hopwood, South Australian Health and Medical Research Institute, Adelaide (Australie), du Pr Marc Tardieu service de neurologie pédiatrique, INSERM (Institut National de la Santé et de la Recherche Médicale), Université Paris Sud (France) et du Pr Hans Aerts, Département de biochimie, Leiden Université (Pays-Bas).



Quatorze conférenciers ont aussi largement contribué au succès du programme scientifique.

L'académie était représentée par le Pr Andreas Gal et le Dr Zoltan Lukacs du centre médical universitaire de Hambourg-Eppendorf, le Dr Eugen Mengel du centre médical universitaire de Mainz, le Pr Rob Wynn et le Dr Brian Bigger de l'Université de Manchester ainsi que le Pr Fritz Wijburg du centre médical académique d'Amsterdam.

- 1) Pr Stylianos E. Antonarakis
- 2) Pr John Hopwood
- 3) Dr Tim Miller et Mme Michelle Berg



SCIENTIFIC RESEARCH

The Second International Conference

The Second International Conference on “Sanfilippo Syndrome and Related Lysosomal Storage Diseases” was held at the Starling Hotel in Geneva from 26th to 28th November 2015 with the invaluable support of our donors, sponsors and partners.

The objective of this second event was to bring together academic researchers, families and industrialists. This second edition provided the opportunity to present clinical and preclinical research four years after organising our first conference.



The conference started with a short speech by Prof. Stylianos E. Antonarakis, Chairman, Department of Genetic Medicine and Development, Faculty of Medicine, University of Geneva. The opening session, hosted by Dr. De Luca, Waypoint Capital Geneva, outlined the legal basis for the designation of rare medicine and its approval in Europe and the United States.



Among the seventeen speakers, there were the major presentations by Prof. John Hopwood, South Australian Health and Medical Research Institute, Adelaide (Australia), Prof. Marc Tardieu, Department of Paediatric Neurology, INSERM (French National Institute for Health and Medical Research), South Paris University (France) and Prof. Hans Aerts, Department of Biochemistry, Leiden University (The Netherlands).

Fourteen conference speakers also largely contributed to the success of the scientific program.

- 1) Dr Stéphane Demotz
et Dr Giampiero De Luca
- 2) Dr Ron Hogg et Mme Claire Martin

The academic sector was represented by Prof. Andreas Gal and Dr. Zoltan Lukacs from the University Medical Centre of Hamburg-Eppendorf; Dr. Eugen Mengel from the University Medical Centre of Mainz; Prof. Rob Wynn and Dr. Brian Bigger from the University of Manchester as well as Prof. Fritz Wijburg from the Academic Medical Centre of Amsterdam.

Le programme complet est disponible sur :
Full program and conference report are available at:
www.cismf.org

LA RECHERCHE SCIENTIFIQUE

La deuxième conférence internationale

Les start-up actives dans le développement clinique et pré-clinique comprenaient le Dr James Callaway, ArmaGen Inc., Calabasas, CA, Madame Samantha Parker, Lysogene, Paris, le Dr Tim Miller, Abeona Therapeutics, Dallas, TX, le Dr Marc Martinell, Minoryx Therapeutics, Barcelone et le Dr Stéphane Demotz, Dorphan SA, Lausanne, tandis que le Dr Segundo Mariz EMA, Londres, Madame Paloma Tejada, EURORDIS, Paris et le Pr Hülya Ozsahin, Swissmedic, Berne venaient des organismes de régulation européens.

En parallèle, un programme pour les enfants Sanfilippo accompagnant leurs parents était conduit par la Fondation Cap Loisirs et financé par l'Amicale Auxilium.

The active start-ups in the clinical and preclinical development sectors were represented by Dr. James Callaway, ArmaGen Inc., Calabasas, CA, Mrs. Samantha Parker, Lysogene, Paris, Dr. Tim Miller, Abeona Therapeutics, Dallas, TX, Dr. Marc Martinell, Minoryx Therapeutics, Barcelona and Dr. Stéphane Demotz, Dorphan SA, Lausanne, whilst Dr. Segundo Mariz EMA, London, Mrs. Paloma Tejada, EURORDIS, Paris and Prof. Hülya Ozsahin, Swissmedic, Bern were present on behalf of European regulatory agencies.

At the same time, a program for the Sanfilippo children who were accompanying their parents was led by the Cap Loisirs Foundation and funded by the Auxilium friendship circle.

Comité scientifique consultatif / Scientific Advisory Committee

Dr Ron Hogg

Consultant scientifique, rédacteur médical, Omniscience SA, Genève
Scientific consultant, medical writer, Omniscience SA, Geneva

Dr Dani Bach

Biologiste moléculaire
Manager partner, Aravis, Zürich
Molecular biologist, managing partner, Aravis, Zurich

Dre Diana Ballhausen

Division de pédiatrie moléculaire, CHUV, Lausanne
Division of molecular paediatrics, University Hospital of Lausanne

Dr Armand Bottani

Service de médecine génétique, HUG, Genève
Service of genetic medicine
the Geneva University Hospitals, Geneva

Dr Nicolas Lantz

Pharmacologue, Roche, Bâle
Pharmacologist, Roche, Basel

Dre Marianne Rohrbach

Division métabolisme, Kinderspital, Zürich
Metabolism division, Zurich Children's Hospital

Événement organisé avec les précieux soutiens de nos donateurs, sponsors et partenaires :

Event organized with the invaluable support of our donors, sponsors and partners:



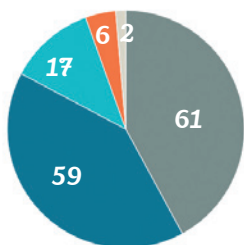
Le comité de la
Famille Firmenich



The Second International Conference

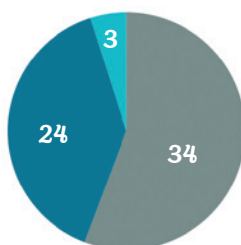
Quelques statistiques et chiffres / Some Statistics and Figures

Répartition des 145 participants
Breakdown of the 145 Participants



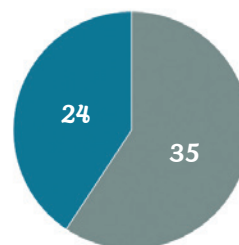
- Professionnels / Professionals
- Familles / Families
- Fondation / Foundation
- Enfants Sanfilippo / Sanfilippo Children
- Journalistes / Journalists

Répartition des 61 professionnels
Breakdown of the 61 Professionals



- Industrie / Industry
- Académie / Academy
- Agences de régulation / Regulatory Agencies

Répartition des 59 participants familles
Breakdown of the 59 Family Participants



- Membres d'une famille / Family Members
- Associations de patients / Patients Associations



LA RECHERCHE SCIENTIFIQUE

La deuxième conférence internationale, conclusions

Ce forum a offert **un lieu unique de partage d'information**, d'échange tout en mobilisant les synergies des participants ;

Ces interactions sont de très grande importance pour aller plus vite encore vers des essais thérapeutiques multiples ;

Les différentes approches thérapeutiques en cours pourraient **mener à des traitements potentiels** et une thérapie de multimodalité pourrait bien être l'avenir.

et...



Témoignages de familles

« Nous avons noué de nombreux contacts importants avec les médecins et les parents. Cette expérience ainsi que les informations dont nous disposons maintenant sont d'une grande importance ».

S.B. Serbie

La conférence a permis à **plusieurs groupes de patients venus de différents continents** de tenir une réunion internationale à Genève en marge du congrès ;

Les **membres d'une start-up ont organisé une petite réunion** profitant du moment opportun de la présence de certains de leurs collègues venus du monde entier pour présenter ses activités ;

Deux équipes **ont accepté l'idée d'une collaboration internationale** concernant des produits (cellules modèles) utiles pour poursuivre l'étude de l'une des équipes ;

C'était l'occasion pour la Fondation d'**identifier des partenaires potentiels** pour son projet « Rare Diseases Partnership » ;

La conférence a procuré **un terrain fertile pour le Comité scientifique** de la Fondation pour trouver de nouveaux programmes de recherche à financer en 2016-2017 ;

Une journaliste de CheckOrphan a **écrit un article basé sur la présentation du Dr Rob Wynn** « la greffe de moelle osseuse dans les maladies lysosomales ».



The Second International Conference, Conclusions

This forum offered a **unique venue for discussing and sharing information** whilst mobilising the synergies of the participants;

These interactions are of **great importance for faster progression** towards multiple therapeutic tests;

The different therapeutic approaches in progress **could lead to potential treatments** and multimodality therapy could well be the future.

and...

The conference enabled **several patient groups from different continents** to hold an international meeting in Geneva outside the conference;

The **members of a start-up hold a short meeting** taking advantage of the presence of some of its colleagues from all over the world in order to present its activities;

Two teams **accepted the idea of international collaboration** concerning products (model cells) that are useful for pursuing the study of one of the teams;

This was the opportunity for the Foundation **to identify potential partners** for its "Rare Diseases Partnership" project;

The conference provided **fertile ground for the Foundation's Scientific Committee** to look for new research programs to be funded in 2016-2017;

A journalist from CheckOrphan **wrote an article based on Dr. Rob Wynn's presentation** on "bone marrow transplantation in lysosomal diseases".



Testimonies from Families

"We have made many important contacts with doctors and parents. This experience and the information that we now have are of great importance".

S.B. Serbia



LA RECHERCHE SCIENTIFIQUE

La deuxième conférence internationale



Entretien avec le Pr Marc Tardieu
Service de neurologie pédiatrique, INSERM
unité 1012, Université Paris Sud, France.

Interview with Prof. Marc Tardieu
Department of Paediatric Neurology, INSERM
unit 1012, South Paris University, France.

Vous avez accepté pour la 2ème fois d'être l'un des orateurs principaux de la conférence internationale, d'après vous, quel est l'impact de l'organisation d'une telle conférence ?

Cet impact est différent pour les familles, les industriels et les universitaires. Prenant le point de vue de l'universitaire : l'impact est grand du fait des échanges avec des collègues du monde entier que je n'ai pas souvent l'occasion de voir. Des collaborations scientifiques en ont découlé. Il est aussi important de rencontrer les industriels : la recherche industrielle nous est parfois moins bien connue. Ce meeting donne un forum important pour ces échanges rares.

Dans quelle mesure le rôle des associations de patients est déterminant dans le développement de thérapies pour arriver à des traitements ?

Les associations et les parents ont un rôle important pour créer des registres et faciliter la connaissance de l'histoire naturelle. Ils ont un rôle essentiel lors de la définition des points finaux d'étude (voir par exemple le texte que l'IRDiRC - International Rare Diseases Research Consortium - est en train d'élaborer sur ce sujet). Les associations doivent aussi revoir tous les documents des essais qui sont destinés aux parents/patients. A l'inverse, ce meeting et les associations permettent de faire la pédagogie des essais thérapeutiques avec leur complexité, leur lenteur, leurs exigences qui paraissent initialement excessifs aux patients. Enfin les associations ont un rôle majeur d'aiguillon vis-à-vis de tous les participants y compris venant des agences.

You have agreed for the second time to be one of the keynote speakers at the international conference. In your opinion, what is the impact of the organisation of such a conference?

This impact is different for families, industrialists and academics. From the academic's perspective: the impact is big due to the discussions with colleagues from all over the world whom I don't often have the opportunity to see. Scientific collaboration has resulted from this. It is also important to meet industrialists: industrial research is sometimes less familiar to us. This meeting offers an important forum for these rare discussions.

To what extent is the role of patient associations decisive in the development of therapies that will result in treatments?

Associations and parents have an important role in creating registers and facilitating the knowledge of natural history. They have a crucial role in defining the study end points (see, for example, the text that the IRDiRC - International Rare Diseases Research Consortium - is currently preparing on this subject). Associations must also review all testing documents which are intended for parents/patients. Inversely, this meeting and the associations help to educate about therapeutic tests with their complexity, slowness and requirements which initially seem excessive to patients. Lastly, associations play a major role as an incentive to all participants, including from the agencies.



Témoignages de familles

Testimonies from Families

« Nous tenions à vous remercier pour l'organisation du congrès et la prise en charge, qui nous ont permis d'en apprendre plus en 24 heures qu'en 6 mois ! La qualité des conférences et des échanges nous ont permis de reprendre un peu d'espoir dans l'avancée des traitements de cette maladie ».

"We wanted to thank you for organising the conference and hosting it, which has allowed us to learn more in 24 hours than in six months! The quality of the conferences and discussions has again given us a little hope in the progress of treating this disease".

M. et B. J.L. France

M. and B. J.L. France



LES ÉVÉNEMENTS DE COLLECTE FUNDRAISING EVENTS

Race for Gift *La première course solidaire de Suisse*

L'événement sportif « Race for Gift » qui se déroulait le dimanche 31 mai sur la Rotonde du Mont-Blanc à Genève, a donné un nouveau souffle à l'événementiel de la Fondation. En prenant part à la seconde édition de cet événement mutualisé auquel 22 autres organisations caritatives ou humanitaires participaient, nous avons eu la possibilité de toucher autrement une nouvelle catégorie de donateurs et mettre en avant la problématique des maladies rares.



30 coureurs et marcheurs aux couleurs de la Fondation
30 runners and walkers wearing the Foundation's colours



Trophées : 3 / Trophies: 3

- 1 **Vainqueur** coureur du 5 km catégorie masculine avec M. Julien Lyon, athlète du Stade de Genève.
Winner in the 5 km male running category with Mr. Julien Lyon, member of Stade de Genève athletic club.
- 2 **Vainqueur** de la plus importante collecte de dons, catégorie organisation avec CHF 18'560.
Winner of the largest amount raised in the organisation category with CHF 18'560.
- 3 **Vainqueur** de la plus importante collecte de dons, catégorie collecteur avec CHF 4'700 pour la collecte de Charlotte.
Winner of the largest amount raised in the solicitor category with CHF 4'700 raised for Charlotte.

Pour mieux communiquer, nous avons également créé et intégré une page Facebook sur le site Internet de la Fondation. Grâce aux coureurs ou marcheurs qui ont choisi les couleurs de la Fondation et à la forte mobilisation de leur entourage, de leurs réseaux sociaux et des liens solidaires tissés à l'occasion de cet événement sportif, la Fondation a pu accomplir un très beau score dans le but de soutenir ses axes de recherche afin de trouver un traitement pour la maladie de Sanfilippo.

M. Sami Kanaan, Maire >
de la Ville de Genève (2015)
et M. Julien Lyon

Race for Gift *The first Swiss Solidarity Race*

The "Race for Gift" sports event, which took place on Sunday 31st May on the Mont-Blanc Rotunda in Geneva, has breathed new life into the Foundation's events. By taking part in the second edition of this shared event in which 22 other charities or humanitarian organisations participated, we had the opportunity to reach out to a new category of donors and highlight the issue of rare diseases.

For better communication, we also created and included a Facebook page on the Foundation's website. Thanks to the runners or walkers who chose the colours of the Foundation and to the strong mobilisation around them, their social networks and the solidarity links established during this sports event, the Foundation was able to accomplish a very good score in support of its areas of research so that a treatment can be found for Sanfilippo Syndrome.



LES ÉVÉNEMENTS DE COLLECTE FUNDRAISING EVENTS

Sanfilippo On Ice

GALA 2015

Le traditionnel gala brunch, baptisé cette année « Sanfilippo On Ice Gala 2015 » s'est tenu le dimanche 22 novembre 2015 au sein du Lodge d'Hiver de La Réserve Genève.

Valentine Caporale de Yes FM a présenté avec charme et sourire cette nouvelle édition placée sous le signe de la féerie de l'hiver. Les convives se sont vus proposer des animations variées telles que le « Living Snow Globe » (acrobaties et mouvements de danse réalisés au sein d'une énorme boule à neige), le « dompteur de bulles » Billy Bolla et le traditionnel défilé de mode au cours duquel des enfants ont présenté la collection automne-hiver proposée par le Bongénie.

La vente aux enchères, dirigée par M. Olivier Fichot de Genève Enchères, a eu pour dernier lot un appel aux contributions solidaires. Enfin, l'élection de la Princesse des Neiges et du Prince des Glaces, tant attendue par les enfants venus déguisés, a conclu cette journée.

La générosité de notre sponsor, de nos partenaires et des participants permettra à la Fondation de développer un nouveau programme de recherche pour 2016-2017.

The traditional gala brunch, this year-called the "Sanfilippo On Ice Gala 2015", was held on Sunday 22nd November 2015 in the Winter Lodge at La Réserve Genève.

With charm and laughter, Valentine Caporale from Yes FM presented this new edition on the theme of the winter wonderland. The guests enjoyed a variety of entertainment such as the "Living Snow Globe" (acrobatics and dance movements performed inside a huge snow ball), Billy Bolla, the "bull tamer" and the traditional fashion show during which some of the children modelled the autumn and winter collection presented by Bongénie.

The last lot of the auction sale, presided by Mr. Olivier Fichot from the Genève Enchères auction house, was a call for solidarity contributions. The day ended with the election, so eagerly anticipated by the costumed children, of the Snow Princess and Ice Prince.

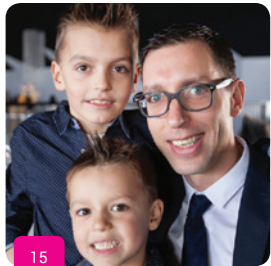
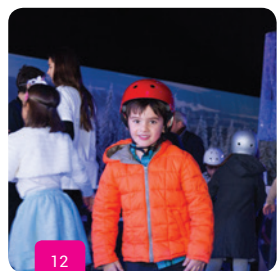
The generosity of our sponsor, our partners and the participants will enable the Foundation to develop a new research program for 2016-2017.



Participants : 150
Enfants / Children: 50
Jeunes modèles / Young models: 20



Vente aux enchères et
Contributions solidaires / Auction sale
and solidarity contributions: CHF 28'700



Comité d'action - Action Committee 2015

- | | |
|------------------------------|------------------------|
| Mme Diane Baatard | Mme Namrita Hinduja |
| Mme Elisabetta Boselli-Mauro | Mme Isabelle Lavizzari |
| Mme Enrica van Caloen | Mme Arlette Marcos |
| Mme Isabelle Costes | Mme Benedetta Spinola |
| Mme Shaza Gahiga | |

Organisation / Organisation



Présidente d'Honneur / Honorary President
S.A.I.R. Comtesse Massimilano Secco d'Aragona

Photographe : Thibaut Bouvier - Photopro.Event

1) M. Ajay et Mme Namrita Hinduja 2) S.A.I.R. Comtesse Secco d'Aragona, son fils et une amie 3) Les acrobates du Living Snow Globe 4) Mme Benedetta Spinola et Mme Enrica van Caloen et d'autres invités 5) Mme Isabelle Costes et Mme Arlette Marcos 6) La patinoire 7) M. Riadh Fessi et Mme Natalia Standrovskaya et sa fille 8) M. Giuseppe Bucci, Mme Marie Valvo, Mme Valentine Caporale et M. Maxime Luthringer 9) Mme Isabelle de Vinck et Mme Enrica van Caloen 10) Mme Celine van Till 11) Me et Mme Luca et Nathalie Bozzo et Me Stéphanie La Roche et leurs enfants 12) Les petits patineurs 13) Les candidats à l'élection de la Princesse des Neiges et du Prince des Glaces 14) Sofia La Roche et Rodolfo Secco d'Aragona, les élus 15) M. Frédéric Morel et ses fils 16) Mme Sylvie Brunschwrig 17) Mme Valentine Caporale et M. Olivier Fichot 18) Les adolescents qui ont participé au défilé de mode

Sponsors :



HINDUJA BANK (SWITZERLAND) LTD



avec le programme C.A.S

LA SENSIBILISATION RAISING AWARENESS



Pavoisement du pont du Mont-Blanc

A l'occasion de l'organisation de la conférence internationale, nous avons obtenu l'autorisation du Conseil administratif de la Ville de Genève de faire flotter sur le pont du Mont-Blanc des drapeaux au logotype de la Fondation aux côtés de ceux de la Ville et de la Confédération du 9 au 15 novembre 2015.

Mont-Blanc Bridge bedecked with Flags

When organising the international conference, we obtained the authorisation from the Administrative Council of the City of Geneva to bedeck Mont-Blanc Bridge with flags bearing the logotype of the Foundation alongside those of the City and the Confederation, from 9th to 15th November 2015.



Campagne d'affichage sur les Transports publics genevois (TPG)

Nous avons reconduit une campagne d'affichage sur les Transports publics genevois (TPG) et les parkings Manor Vésenaz, Nations et Vésenaz Centre du 25 février au 24 mars 2015 autour de la Journée internationale des maladies rares célébrée le 28 février.

Poster Campaign on Geneva Public Transports (TPG)

We renewed a poster campaign on Geneva Public Transports (TPG) and in the Manor Vésenaz, Nations and Vésenaz Centre car parks from 25th February to 24th March 2015 in the context of the International Day of Rare Diseases celebrated on 28th February.

Les familles et les chercheurs ont besoin de vous pour que les enfants atteints par la maladie de Sanfilippo gardent l'espoir qu'un jour ils pourront vivre au-delà de 20 ans.

notre soutien est précieux

CCP 10-185368-3



28 février 2015
Journée Internationale des Maladies Rares



www.fondation-sanfilippo.ch

LA SENSIBILISATION RAISING AWARENESS



Les présentations en chiffres / The presentations in figures:
2014-2015 : 88
2015 : 21



Noé et Noa

A l'occasion de son cinquième anniversaire, la Fondation Sanfilippo Suisse a réalisé le livre *Noé et Noa* dans l'objectif de sensibiliser les enfants (7-11 ans) des écoles primaires genevoises aux problématiques de la différence, du handicap, de l'intégration et du respect des diversités.

Grâce au généreux soutien de la Fondation André & Cyprien et aux nombreuses demandes des enseignants, Madame Diane Baatard, auteure du conte, a pu conduire des présentations dans les classes de février 2014 à avril 2015.

Noé and Noa

For its fifth anniversary, the Sanfilippo Foundation Switzerland published the book, *Noé and Noa*, in order to raise awareness among children (aged 7-11) in Geneva primary schools about the issues of difference, disability, integration and respect for diversity.

Thanks to the generous support of the André & Cyprien Foundation and to the many requests from teachers, Mrs. Diane Baatard, author of the short story, was able to give presentations to the classes from February 2014 to April 2015.

«...
Les enfants ont bien
compris le message que
vous vouliez leur faire
passer...»

G.C. 5P - École d'Avully



« ...J'ai également eu beaucoup de plaisir à vous accueillir une seconde fois dans ma classe avec mes nouveaux élèves et leur faire découvrir l'histoire de Noé et Noa. C'est toujours avec la même émotion que l'on ressent chez les enfants, qui réalisent à quel point les mots peuvent être blessants au fur et à mesure des aventures de Noé et de sa petite soeur.

Votre manière de conter est extraordinaire, les enfants boivent vos mots et vous dévorent des yeux.

Et la manière de parler de la problématique des mots méchants était tout à fait adéquate et très imagée! Les enfants ont bien compris le message que vous vouliez leur faire passer et nous en avons rediscuté ce matin: certains m'ont dit qu'ils avaient inventé leur signalétique pour interdire aux mots méchants de s'incruster en eux.

En bref, donc, l'expérience s'est de nouveau avérée très enrichissante pour eux et ils ont eu beaucoup de plaisir à la vivre ! ».

“...The
children have fully
understood the message
that you wanted to pass on to
them...”

G.C. 5P - Avully School

“...I was also very pleased to welcome you a second time to my class with my new pupils to allow to discover the story of Noé and Noa. The same emotion is always felt among the children, who realise to what extent words can be hurtful throughout the adventures of Noé and his little sister.

Your way of telling a story is extraordinary; the children drank in your words and couldn't take their eyes off you.

And your way of talking about the issue of cruel words was suitably adequate and full of imagery! The children fully understood the message that you wanted to pass on to them and we discussed it again this morning; some have told me that they had invented their signs in order to prevent cruel words from taking root in them.

So, in short, the experience has again proven very rewarding for them and they were very pleased to have had it!”

LA SOLIDARITÉ / SOLIDARITY

5^{ème} Journée internationale des maladies rares 5th International Day of Rare Diseases

« Vivre avec une maladie rare, jour après jour, main dans la main »

Comme chaque année, la Fondation a pris part à cette 5^{ème} Journée internationale des maladies rares qui s'est déroulée à l'Université de Fribourg le samedi 28 février 2015 sous le haut patronage du Conseiller fédéral M. Alain Berset, Chef du Département fédéral de l'intérieur. L'approbation et la mise en œuvre du concept national « maladies rares » a été au centre des discussions de cette journée. M. Oliver Peters, vice-directeur de l'Office fédéral de la santé publique (OFSP) est venu répondre en direct aux questions des patients.



M. Oliver Peters, vice-directeur de l'Office fédéral de la santé publique (OFSP) / Deputy Director of the Federal Office of Public Health (FOPH)

« Cette journée a permis un dialogue et un échange très constructifs. Ainsi la nécessité de fédérer les efforts entre les différents acteurs, que ce soient les cantons, la Confédération, les universités, les hôpitaux, les chercheurs, les médecins, les soignants et les patients, a été réaffirmée » a expliqué Esther Neiditsch, ex-Secrétaire générale de ProRaris.

“Living with a Rare Disease, Day after Day, Hand in Hand”

As it does every year, the Foundation took part in this 5th International Day of Rare Diseases which was held at the University of Fribourg on Saturday 28th February 2015 under the patronage of the Federal Councillor, Mr. Alain Berset, Head of the Federal Department of the Interior. The approval and implementation of the national rare diseases concept was at the centre of the day's discussions. Mr. Oliver Peters, Deputy Director of the Federal Office of Public Health (FOPH) was present to respond directly to the questions of patients.



“This day has allowed some very constructive dialogue and exchange. In this way, the need to unite the efforts of the different stakeholders, whether it be cantons, the Confederation, universities, hospitals, researchers, doctors, caregivers and patients, has been reaffirmed” explained Esther Neiditsch, former General Secretary of ProRaris.

Concept national maladies rares Une première victoire...

Elaboré par l'OFSP avec le soutien des acteurs concernés, dont ProRaris, le concept national maladies rares repose sur une méthodologie consultative et participative et poursuit trois objectifs principaux : diagnostiquer chaque maladie dans un délai utile, garantir un traitement de qualité, y compris son remboursement, et une mise à disposition des ressources destinées à soutenir et guider les patients et les proches dans leurs démarches quotidiennes. Le Conseil fédéral a approuvé le plan du concept national le 13 mai 2015. La mise en œuvre comprendra 19 mesures regroupées en quatre projets phares sur la période 2015 - 2017.

National Rare Diseases Concept A first Victory...

Developed by the FOPH with the support of the stakeholders, including ProRaris, the national rare diseases concept is based on an advisory and participatory methodology and pursues three main objectives: diagnose each disease in a timely manner, ensure high-quality treatment, including its reimbursement and provision of the resources intended to support and guide patients and relatives in their daily lives. The Federal Council approved the plan for the national concept on 13th May 2015. Its implementation will include 19 measures grouped into four flagship projects over the period of 2015 - 2017.

LA SOLIDARITÉ / SOLIDARITY

Les actions solidaires / Actions in the Community

Atelier Zik

Cette année encore l'Atelier Zik a renouvelé son fidèle soutien à la Fondation. Coachés par M. Henry Duffour et son équipe, de jeunes musiciens ont livré en plusieurs concerts le résultat scénique de leur stage de musique. Durant le concert du 22 juillet 2015 à Thonon, un chapeau a tourné au profit de la Fondation.

Zik Workshop

This year again, the Zik Workshop renewed its loyal support to the Foundation. Coached by Mr. Henry Duffour and his team, the young musicians presented the scenic results of their music workshop in several concerts. During the concert in Thonon on 22nd July 2015, a hat was passed around to collect money for the Foundation.



Anniversaires

Mesdames Claudine Klein et Stéphanie Morel, la grand-maman et la maman de Charlotte, ont fêté leur anniversaire respectif en associant la Fondation. Elles ont demandé aux invités de faire un don à la Fondation en guise de cadeau. Tous ont très généreusement répondu à cette suggestion et la somme de CHF 5'000 a été remise à la Fondation.

Birthdays

Mrs. Claudine Klein and Mrs. Stéphanie Morel, Charlotte's grandma and mum, celebrated their respective birthdays by including the Foundation. They asked guests to make a donation to the Foundation instead of a gift. Everyone responded very generously to this suggestion and the sum of CHF 5,000 was donated to the Foundation.

C.A.S. (Créativité-Action-Service)

Pour la deuxième fois, les élèves du programme C.A.S. de l'Institut Florimont coopèrent avec la Fondation et cette année, sur deux projets spécifiques : Race for Gift et le Sanfilippo On Ice Gala 2015. Dans le cadre du premier projet, ils ont soutenu la collecte ainsi que la participation à la course de M. Julien Lyon, ancien élève de l'Institut, et animé des ateliers pour enfants lors du second.

C.A.S. (Creativity-Action-Service)

For the second time, students enrolled on the C.A.S. program at the Institut Florimont cooperated with the Foundation and this year, on two specific projects: Race for Gift and the Sanfilippo On Ice Gala 2015. As part of the first project, they supported the fundraising efforts and participation in the race for Mr. Julien Lyon, a former student of the Institut. In the second project, they hosted workshops for children.



Slalom de Genève

Suite aux succès des deux premières éditions (2013 et 2014), les organisateurs du Slalom de Genève (Heldan Rallye Team, Ecurie La Meute, Ecurie Ouest-Romand, Automobile Club Suisse Genève - ACS Genève) ont réitéré l'expérience à Palexpo les 22 et 23 août 2015. Durant ce week-end, coureurs automobile suisses et étrangers, et spectateurs ont été sensibilisés à la problématique des maladies rares par le stand tenu par la Fondation.

Geneva Slalom

Following the success of the first two editions (2013 and 2014), the organisers of the Geneva Slalom (Heldan Rally Team, La Meute Racing Team, West Romandie Racing Team, Swiss Automobile Club-Geneva Chapter) repeated the experience at the Palexpo Exhibition and Congress Centre on 22nd and 23rd August 2015. During this weekend, the Foundation's stand allowed Swiss and foreign car racers and spectators to learn about the issue of rare diseases.

Domaine de la Gracieuse

Chaque année, le Domaine de la Gracieuse de Lonay fait don du résultat de la vente annuelle « bricolage » à une œuvre suisse pour enfants en difficultés. Ce marché de Noël a récolté la somme de CHF 2'000 que la direction et l'ensemble des résidents participant à l'atelier ont choisi de faire parvenir à la Fondation.

Domaine de la Gracieuse

Each year, the Domaine de la Gracieuse apartment hotel in Lonay donates the proceeds of its annual craft sale to a Swiss charity for children with disorders. This Christmas Market raised the sum of CHF 2,000 that the management and all the residents participating in the workshop chose to offer to the Foundation.



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

Tél : +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 ci-joints de Fondation Sanfilippo Suisse, comprenant le bilan, le compte de profits et pertes et l'annexe pour l'exercice arrêté au 31 décembre 2015.

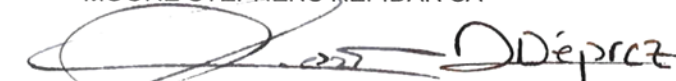
La responsabilité de l'établissement des comptes annuels incombe au conseil de fondation alors que notre mission consiste à contrôler ces comptes. Nous attestons que nous remplissons les exigences légales d'agrément et d'indépendance.

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 suisse et aux statuts de la fondation.

Genève, le 31 mai 2016

MOORE STEPHENS REFIDAR SA



Jacques Grossen
Expert-réviseur agréé
Réviseur responsable

Déborah Dépraz
Expert-réviseur agréé

Annexe : Comptes annuels

As statutory auditor, we have examined the accompanying financial statements of Fondation Sanfilippo Suisse, which comprise the balance sheet, statement of income and notes for the year ended 31 December 2015.

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 testing 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 accompanying financial statements do not comply with Swiss law and the foundation's articles of incorporation.

Enclosure : Financial statements

LE RAPPORT FINANCIER THE FINANCIAL REPORT

BILAN AU 31 DÉCEMBRE 2015 / BALANCE SHEET AT 31ST DECEMBER 2015

	Notes	31.12.2015 CHF	31.12.2014 CHF
ACTIF / ASSETS			
Liquidités / Cash and cash equivalent		69'348	158'051
Titres cotés en bourse / Listed securities	4	47'516	0
Trésorerie à court terme / Cash and cash equivalent		116'865	158'051
Débiteurs / Debtors		175'000	0
Débiteurs divers / Other receivables		1'700	9'150
Actifs transitoires / Prepaid expenses and accrued income		7'867	1'582
Autres créances à court terme / Total account receivables		184'567	10'732
Total actif circulant / Total current assets		301'432	168'783
Dorphan SA	4	0	900'000
Minoryx Therapeutics S.L.	4	0	19'051
Abeona Therapeutics Inc.	4	0	47'516
Participations / Investments in subsidiaries		0	966'567
Titres - Minoryx Therapeutics S.L.	4	19'051	0
Immobilisations financières / Financial assets		19'051	0
Total actif immobilisé / Total non-current assets		19'051	966'567
TOTAL DE L'ACTIF / TOTAL ASSETS		320'483	1'135'350
PASSIF / LIABILITIES			
Dettes résultant de l'achat de biens et de prestations de services / Creditors		1'643	14'257
Fonds affectés programme / Affected funds research - Dr. de Agostini	5	0	66'667
Fonds affectés / Affected funds - Livre / Book Noé et Noa	5	4'800	13'200
Passifs de régularisation / Accrued liabilities		5'900	10'335
Total des capitaux étrangers à court terme / Total current liabilities		12'343	104'458
Capital de dotation / Capital		100'000	100'000
Résultat reporté / Retained earnings		930'891	1'284'962
Résultat de l'exercice / Result of the year		-722'751	-354'071
Capitaux propres / Equity		308'140	1'030'891
TOTAL DU PASSIF / TOTAL LIABILITIES		320'483	1'135'350

LE RAPPORT FINANCIER THE FINANCIAL REPORT

COMPTE DE PROFITS ET PERTES / INCOME STATEMENT
DU 1^{ER} JANVIER AU 31 DÉCEMBRE 2015 / FROM 1ST JANUARY TO 31ST DECEMBER 2015

	Notes	2015 CHF	2014 CHF
Dons libres / <i>Donations - free funds</i>		218'555	141'057
Subventions / <i>Donations - free funds (municipality)</i>		1'000	6'000
Dons affectés à la conférence / <i>Donations - funds allocated to conference</i>		169'000	0
Dons affectés à la campagne de sensibilisation / <i>Donations - funds allocated to awareness campaign</i>		0	15'610
Dons affectés / <i>Donations - funds allocated to</i> - Livre / <i>Book</i> Noé et Noa		8'400	29'753
Dons affectés à la recherche déduction des frais d'organisation / <i>Donations - funds allocated to research</i>	3	186'671	406'157
Sponsoring et produits des entrées et de ventes aux enchères / <i>Sponsoring and events income</i>	3	50'638	113'291
Produits divers / <i>Various incomes</i>		0	516
<i>Donations et produits / Donations and incomes</i>		634'265	712'383
Programme / <i>Program</i> Minoryx S.L.		-52'749	-102'428
Programme / <i>Program</i> Abeona Therapeutics Inc.		0	-373'467
Programme / <i>Program</i> du Dr. de Agostini		-76'140	-76'140
Programme / <i>Program</i> Dorphan SA		-900'000	-369'000
Livre / <i>Book</i> Noé et Noa		-6'300	-37'060
Organisation de la 2 ^{ème} Conférence Sanfilippo à Genève / <i>Second Sanfillipo conference organisation in Geneva</i>		-175'059	0
Campagne de sensibilisation / <i>Raising awareness</i>		-18'555	-17'219
<i>Total des programmes soutenus durant l'année / Total supported programs during the year</i>		-1'228'804	-975'314
Salaires et charges sociales / <i>Salaries and social charges</i>		-84'863	-64'284
Loyer et frais de bureaux / <i>Office rent and expenses</i>		-14'057	-2'798
Frais de communications / <i>Communication expenses</i>		-2'657	-1'648
Honoraires légaux et de révision / <i>Legal and audit fees</i>		-10'672	-3'110
Honoraires de graphiste / <i>Graphism expenses</i>		-300	-4'020
Publicité / <i>Marketing expenses</i>		-3'127	-3'277
Autres charges / <i>Other expenses</i>		-9'544	-9'846
Taxes et émoluments / <i>Taxes and fees</i>		-1'331	-500
<i>Total charges d'exploitation / Total operating charges</i>		-126'552	-89'483
Intérêts bancaires / <i>Bank interests</i>		100	192
Frais bancaires / <i>Bank fees</i>		-2'871	-1'829
Résultat de change / <i>Exchange result</i>		1'110	-21
<i>Produits et charges financières / Financial income and charges</i>		-1'661	-1'657
RESULTAT NET DE L'EXERCICE / NET RESULT FOR THE YEAR		-722'751	-354'071

LE RAPPORT FINANCIER THE FINANCIAL REPORT

ANNEXE AUX COMPTES ANNUELS CLOS AU 31 DÉCEMBRE 2015
NOTES TO THE FINANCIAL STATEMENTS CLOSED ON 31ST DECEMBER 2015

1) Activité de la Fondation

La Fondation a été créée le 25 novembre 2008, date d'inscription au registre du commerce. / [The Foundation has been created on 25th November 2008, date of registration in the Commercial Register.](#)

L'activité principale de la Fondation, établie à Genève, est de favoriser, développer, financer et promouvoir toute action de recherche scientifique visant à apporter des solutions thérapeutiques efficaces aux enfants atteints de la mucopolysaccharidose, en particulier de type III et ce dans les meilleurs délais. / [The main activity of the Foundation, stated in Geneva, is to encourage, develop, finance and promote all scientific research aimed to find efficient therapeutic solution for children having cystic fibrosis, in particular type III and this in the shortest delay.](#)

Les membres du Conseil de Fondation sont les suivants : / [Members of the Foundation Board are:](#)

Morel Frédéric, de Colombier (NE), à Collonge-Bellerive
La Roche Stéphanie, de Genève, à Cologny
Féry-von Arx Corinne, de Lancy, à Messery, F
Leibenson Emmanuel, de Cernier, à Genève
Morel Stéphanie, de Colombier (NE), à Collonge-Bellerive

2) Principales méthodes comptables / Significant accounting principles

Les principales méthodes comptables appliquées pour présenter certains postes des états financiers sont les suivantes : / [The principal accounting methods applied for the presentation of the financial statements are the following:](#)

a) Spécialisation des exercices / Accruals principle

Les produits et les charges sont comptabilisés au fur et à mesure qu'ils sont acquis ou qu'elles sont engagées (et non lors de leur encaissement ou de leur paiement) et enregistrés dans les comptes de la période concernée. / [The financial statements are prepared on the accrual basis; thus, income and expenses are accounted for when they are acquired or engaged \(and not at the date of payment\) and registered into the books of accounts accordingly.](#)

b) Participation / Investment in subsidiaries

Les participations sont évaluées à leur coût d'acquisition et la nécessité de comptabiliser une dépréciation est contrôlée chaque année. [Investments in subsidiaries are evaluated at cost and a depreciation test is made on a yearly basis.](#)

3) Total des dons - Fonds affectés aux programmes de recherches / Total Donation - Funds allocated to research **237'310** **528'921**

[Se décomposant de la manière suivante : / Are composed as follows:](#)

Dons ne résultant pas de manifestations affectés à la recherche / Funds not resulting from events allocated to research	251'370	392'959
Produits de manifestations affectés à la recherche / Events income allocated to research	50'638	206'777
Charges d'organisation de manifestations / Events organisation expenses	(64'698)	(70'815)
	<u>237'310</u>	<u>528'921</u>

4) Participations / Investment in subsidiaries

a) **Dorphan SA**, ayant son siège à l'EPFL (Lausanne) / [Dorphan SA, Headquarters in EPFL \(Lausanne\)](#) 94% 0 94% 900'000

La société a pour but l'identification, l'acquisition, le développement, la commercialisation et la vente de programmes de recherches 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.](#)

A la clôture 2015, le Conseil de Fondation estime prudent d'amortir la participation dans Dorphan SA jusqu'à concurrence des fonds propres de la société au 31.12.2015. Etant donné que, à ce jour, les recherches de Dorphan SA n'ont pas encore abouti, la société a uniquement des dépenses. Une dépréciation de CHF 900'000 a ainsi été comptabilisée cette année. / [At the closing 2015, the Board considers as prudent to depreciate the investment in Dorphan SA up to the net asset value of the company as at 31.12.2015. Given the fact that, as of today, the researches made by Dorphan SA have not produced results, the company has only expenses. Consequently, an impairment of CHF 900'000 has been booked this year.](#)

LE RAPPORT FINANCIER THE FINANCIAL REPORT

ANNEXE AUX COMPTES ANNUELS CLOS AU 31 DÉCEMBRE 2015
NOTES TO THE FINANCIAL STATEMENTS CLOSED ON 31ST DECEMBER 2015

b) **Abeona Therapeutics LLC**, ayant son siège à Cleveland (USA) /
Abeona Therapeutics LLC, Headquarters in Cleveland (USA) 0% 0 10% 47'516

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 commercialization of a program of gene therapy for MPS III A and B.*

Entre 2012 et 2014, la Fondation a acquis 18'889 actions de Abeona Therapeutics LLC pour un montant total de USD 700'000. En 2014, USD 400'000 (2013 : USD 50'000) ont été comptabilisés en "charges résultant de financement affectés à la recherche". Le Conseil de Fondation juge prudent d'activer qu'une partie de la participation étant donné que Abeona Therapeutics LLC n'a, pour l'instant, que des dépenses liées à la recherche. / *Between 2012 and 2014, the Foundation acquired 18'889 shares in Abeona Therapeutics LLC for a total amount of USD 700'000. In 2014, USD 400'000 (2013: USD 50'000) were accounted as "expenses resulting from financing allocated to research". 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.*

En 2015, la société a fusionné avec PlasmaTech Biopharmaceutical Inc., la nouvelle société créée, Abeona Therapeutics Inc., est dorénavant cotée aux Etats-Unis. / *In 2015, the company merged with PlasmaTech Biopharmaceutical Inc. the new resulting company is now listed in the USA.*

Le pourcentage de détention de la Fondation est devenu inférieur à 1%, les titres cotés détenus sont donc présentés à l'actif circulant pour leur coût d'acquisition. / *The holding percentage becomes lower than 1 %, the listed securities held are therefore presented in the current asset at cost.*

c) **Minoryx Therapeutics S.L.**, ayant son siège à Barcelone (Espagne) /
Minoryx Therapeutics S.L., Headquarters in Barcelona (Spain) 0.8% 19'051 5% 19'051

La société a notamment pour but le développement et la commercialisation d'un programme de chaperons chimiques pour Morquio. / *The company aims are the development and commercialization of a program of chemical chaperone for Morquio.*

Entre 2014, la Fondation a acquis 577 actions de Minoryx Therapeutics S.L. pour un montant total de EUR 100'000 ainsi qu'un engagement de souscrire à EUR 50'000 de capital-actions complémentaire en juillet 2015. La différence entre le montant payé et les fonds propres détenus au 31.12.2014 a été comptabilisée en "charges résultant de financement affectés à la recherche". / *In 2014, the Foundation acquired 577 shares in Minoryx Therapeutics S.L. for a total amount of USD 100'000. The Foundation has also signed a commitment to subscribe EUR 50'000 for the increase in the share capital. The Board considers as prudent to capitalise only a part of the investment as Minoryx Therapeutics LLC has, for the moment, only expenses related to research. The difference between the paid amount and the shareholders' equity held on 31.12.2014 was accounted as "expenses resulting from financing allocated to research".*

En 2015, suite à la souscription additionnelle, la fondation détient 865 actions. Le pourcentage de détention s'est abaissé à 0.8%. Ces titres sont alors présentés parmi les autres immobilisations financières. / *In 2015, following a capital increase, the Foundation holds 865 shares. The holding percentage has decreased to 0.8%. These shares are therefore presented in the Financial assets.*

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

a) **Fonds Affectés (recherches) / Affected funds (research)**

Report solde réserve au 31 décembre / *Reported reserve balance as at 31st December*

	2015 CHF	2014 CHF
Report solde réserve au 31 décembre / <i>Reported reserve balance as at 31st December</i>	0	139'956
Dons reçus durant l'année affectés à la recherche / <i>Donations received during the year affected to the research</i>	0	0
Soutien au programme durant l'année / <i>Support of the research program during the year</i>	0	(139'956)
	0	0

LE RAPPORT FINANCIER THE FINANCIAL REPORT

ANNEXE AUX COMPTES ANNUELS CLOS AU 31 DÉCEMBRE 2015
NOTES TO THE FINANCIAL STATEMENTS CLOSED ON 31ST DECEMBER 2015

b) Fonds Affectés (recherches) - Dr. de Agostini (Genève) / Affected funds research		
Report solde réserve au 31 décembre / Reported reserve balance as at 31st December	66'667	66'667
Dons reçus durant l'année affectés à la recherche / Donations received during the year affected to the research	0	66'667
Soutien au programme durant l'année / Support of the research program during the year	(66'667)	(66'667)
	<u>0</u>	<u>66'667</u>
c) Fonds Affectés - Livre Noé & Noa / Affected funds - Book Noé et Noa		
Report solde réserve au 31 décembre / Reported reserve balance as at 31st December	13'200	2'953
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)	0	40'000
Soutien au programme durant l'année / Support of the program during the year	(8'400)	(29'753)
	<u>4'800</u>	<u>13'200</u>
d) Fonds Affectés - Affiches/ Affected funds - Posters		
Report solde réserve au 31 décembre / Reported reserve balance as at 31st December	0	15'610
Dons reçus durant l'année affectés à la réalisation des affiches / Donations received during the year affected to the posters realization	0	0
Soutien au programme durant l'année / Support of the program during the year	0	(15'610)
	<u>0</u>	<u>0</u>
6) Nombre d'employés en équivalent temps plein / Average number of employees		
	2015	2014
Le nombre d'employés en moyenne annuelle s'élève à : / The number of employees a yearly average is :	1	1
7) Engagement découlant de bail à loyer / Lease commitments		
	2015	2014
	CHF	CHF
Engagement de moins d'un an / Less than one year commitment	3'888	0
Engagement de plus d'un an / More than one year commitment	0	0

Les autres points de l'annexe selon Art. 959c CO ne s'appliquent pas. / There are no further matters than require disclosure in accordance with Art. 959c CO.

REMERCIEMENTS ACKNOWLEDGEMENTS

Nous exprimons notre profonde gratitude à toutes celles et ceux qui, de par leur engagement et leur soutien, ont permis de faire avancer la recherche et de réaliser les projets importants de cette année 2015.

Nos chaleureux remerciements vont à toutes les nombreuses personnes qui ont offert des dons tout au long de l'année. Par souci de discrétion et de confidentialité, nous avons décidé de ne pas citer les donateurs privés.

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

Aux membres du Conseil de fondation, aux membres du Comité scientifique et aux membres du Comité d'action pour leur fidèle engagement à la cause.

Au Dr Ron Hogg et aux membres du Comité scientifique consultatif pour leur expertise lors de la conférence.

À Me Olivier Dunant pour son soutien infaillible et à l'Étude Borel & Barbey pour son appui constant.

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

À Madame Celine van Till, à Messieurs Mathias Bêche, Olivier Fichot, Julien Lyon et Paul Waroquier pour leur disponibilité.

À Mesdemoiselles Ninya Hinduja et Paulina Märklin pour leur intérêt et efficacité.

À tous nos bénévoles pour leur présence continue.

Our warm thanks go to all the many persons who made donations throughout the year. For the sake of discretion and confidentiality, we have decided not to include private donors.

To our Honorary Patrons Mrs. Micheline Calmy-Rey and Prof. Stylianos E. Antonarakis to be there by our side.

To the members of the Board, members of the Scientific Committee and members of the Action Committee for their faithful commitment to the cause.

To Dr. Ron Hogg and to the members of the Scientific Advisory Committee for their expertise during the conference.

To Mr. Olivier Dunant for his unfailing support and to Borel & Barbey for its ongoing support.

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

To Mrs. Celine van Till, Mr. Mathias Bêche, Mr. Olivier Fichot, Mr. Julien Lyon and Mr. Paul Waroquier for their availability.

To Ms. Ninya Hinduja and Ms. Paulina Märklin for their interest and efficiency.

To all our volunteers for their continued presence.

**Aux Associations
et Fondations
To Associations
and Foundations :**

Association Enfance Maladie Orpheline
Atelier Zik
Carigest SA-conseiller d'un généreux
donateur
Comité Philanthropique de la famille
Firmenich
Fondation Alfred et Eugénie Baur
Fondation André & Cyprien
Fondation Cap Loisirs
Fondation de bienfaisance du groupe
Pictet
Fondation Dr Corinne Schuler
Fondation Edmond Adolphe
de Rothschild
Fondation FRTM
Fondation Genève Tourisme et
Congrès
Fondation genevoise de bienfaisance
Valeria Rossi di Montelera
Fondation ROGER DE SPOELBERCH
Fondation Rumsey Cartier
Fondation Tell et Un Tel
Fundacion Stop Sanfilippo
L'Amicale Auxilium

Loterie Romande
Slalom de Genève
Team Sanfilippo Foundation

**Aux Institutions publiques
To Public Institutions :**

Commune de Choulex
Commune de Jussy
Ville de Genève

**Aux entreprises
To Companies :**

4loo Webdesign
Amicus Therapeutics
Bongénie Grieder Genève
Bulgari SA
Capital Group
Cedar Partners
Deutsche Bank (Suisse) SA
Dior Joaillerie
Domaine Clarence Dillon
Domaine de la Gracieuse
Etude Borel & Barbey
Genève Enchères
Genève Servette Hockey Club
Genzyme A Sanofi Company
Hinduja Bank (Switzerland) SA

Imprimerie Lenzi SA
Institut Florimont
Jean et Philippe Ilg SA
La Réserve Genève
Maxime Luthringer Consulting
M-Concept
Moore Stephens Refidar SA
Mosaïc Sàrl
Nat Services SA
Nestlé Waters (Suisse) SA
Omniscience
Ovale SA
Pharmacie Populaire
Ralph Lauren
Remarq
Starling Hotel and Conference Center
Geneva
Tetra Laval SA Back Office
Vinivore SA
W&Cie SA



We express our deep gratitude to all those, who by their commitment and support, helped to advance research and implement the important projects of this year 2015.

Ce rapport annuel a été réalisé grâce à la générosité de Moore Stephens Refidar SA

Realised with the generous support of Moore Stephens Refidar SA

MOORE STEPHENS

REFIDAR SA

audit - comptabilité - fiscalité - family office

Société fiduciaire
Genève | Lausanne | Nyon