



Julia, 7 ans, et sa petite soeur

2020

RAPPORT ANNUEL

FONDATION 
SANFILIPPO
SUISSE

NOUS CONTACTER



FONDATION SANFILIPPO SUISSE

2, rue de Jargonant
1207 Genève
+41 22 700 1822
info@fondation-sanfilippo.ch
www.fondation-sanfilippo.ch



Isabelle Costes
Directrice
+41 79 751 9300
isabelle.costes@fondation-sanfilippo.ch



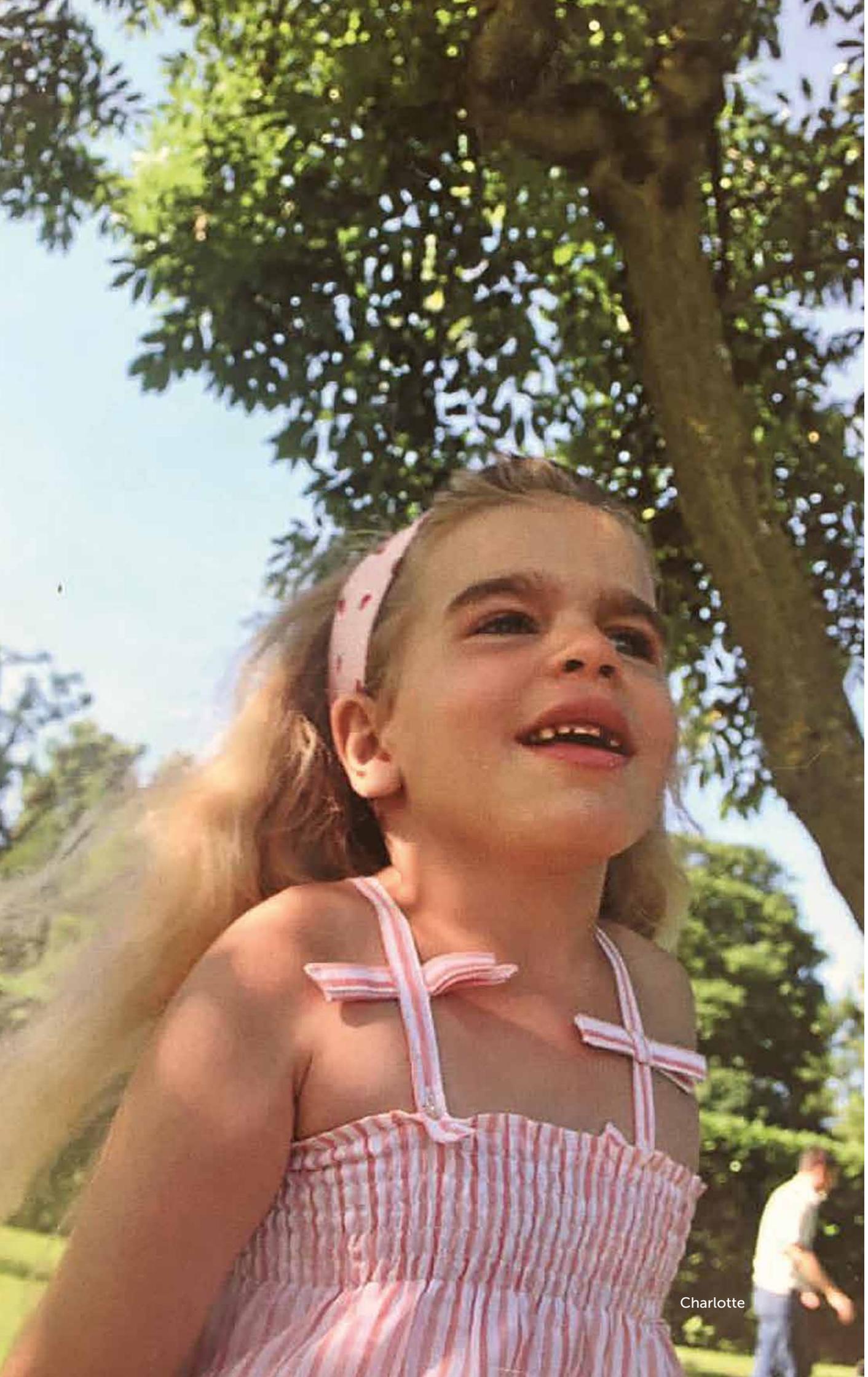
FAIRE UN DON

Compte bancaire UBS
CH56 0024 0240 6121 5300 N
Compte postal CCP-10-185368-3



SOMMAIRE

LE MOT DU PRÉSIDENT	5
LE MOT DE LA DIRECTRICE	6
LA FONDATION	7
MISSIONS ET VALEURS	8
ORGANISATION	9
LA MALADIE DE SANFILIPPO, UNE MALADIE RARE	10
QU'EST-CE QUE LA MALADIE DE SANFILIPPO ?	11
QU'EST-CE QU'UNE MALADIE RARE ?	13
LA RECHERCHE SCIENTIFIQUE	16
PROGRAMMES SOUTENUS	17
CONFÉRENCE SCIENTIFIQUE	22
LES ACTIONS DE LA FONDATION	26
ACTIONS DE COLLECTE DE FONDS	27
ACTIONS SOLIDAIRES	27
ACTIONS DE VISIBILITÉ	28
LES ÉLÉMENTS FINANCIERS	30
BILAN	32
COMPTE DE PROFITS ET PERTES	33
ANNEXE AUX COMPTES ANNUELS	34
LES REMERCIEMENTS	36



Charlotte

LE MOT DU PRÉSIDENT



Frédéric Morel
Fondateur et Président de la Fondation
Sanfilippo Suisse

Cette année, l'écriture et le partage de ce mot revêtent un caractère particulier. Charlotte nous a quittés en mars dernier, après un long combat contre la maladie.

Comment supporter de dire au revoir à son enfant ? Comment accepter l'inacceptable ? Comment tolérer une telle injustice ? En poursuivant notre mission et en continuant de lutter pour que plus aucun enfant ne meurt de la maladie de Sanfilippo.

Charlotte a été une profonde source d'inspiration pour nous tous. Par son courage et sa détermination, elle nous montrait le chemin. Elle enseignait à son entourage les valeurs de la vie. Elle était un exemple, elle était digne et vaillante, et son courage n'avait d'égale que sa patience.

Elle nous a appris ce qu'était l'amour, celui qui se comprend sans un mot, au détour d'un geste ou d'un regard. Ce fut un honneur et un privilège de partager sa trop courte vie. Son sourire illuminait notre existence, son âme se manifestait avec force dans son regard si intense, ses rires remplissaient nos cœurs de tendresse, nous faisant oublier l'espace d'un instant, la maladie et sa souffrance. La force et le courage dont Charlotte a fait preuve lors du combat qu'elle a mené jusqu'à son dernier souffle me servent à présent de boussole, de repère et de phare lorsqu'il m'arrive de douter.

Je conclurai cet édito en empruntant ces quelques mots à Jean d'Ormesson : « Je t'aime dans le temps. Je t'aimerai jusqu'au bout du temps. Et quand le temps sera écoulé, alors je t'aurai aimée. Et rien de cet amour, comme rien de ce qui a été, ne pourra jamais être effacé ».

Merci à vous tous pour votre engagement, pour votre présence, pour vos dons et pour votre soutien indéfectible à la Fondation.

LE MOT DE LA DIRECTRICE



Isabelle Costes
Directrice de la Fondation Sanfilippo Suisse

Pour la Fondation, les premiers jours de mars 2021 ont été marqués par un moment particulièrement douloureux avec la disparition de Charlotte.

Charlotte avait été diagnostiquée de la maladie de Sanfilippo en 2008. Malheureusement, malgré les efforts entrepris à travers le monde et la mobilisation pour trouver un traitement, la maladie a été plus rapide que la recherche.

Nos pensées les plus affectueuses vont à Frédéric, son Papa, à l'origine de la Fondation Sanfilippo Suisse, à sa Maman ainsi qu'à l'ensemble de sa famille, ses frères et sœurs, et tous ceux qui l'entouraient de leur amour.

2020 a été une année à part pour nous tous, une année qui a bousculé notre vie quotidienne sur le plan professionnel comme personnel. La Fondation a poursuivi son engagement même si ce fut dans des conditions bien particulières. Les actions de collectes de fonds que nous avons

l'habitude de conduire ont été stoppées mais nous avons pu compter sur le généreux soutien de nos donateurs, piliers de notre mission.

Le caractère hors norme de l'année dernière nous a amené à repenser et élargir notre mode de fonctionnement. Des trois programmes de recherche que nous avons soutenus, deux ont été cofinancés avec la fondation Sanfilippo australienne. Cette nouvelle alliance met en exergue l'importance de travailler tous ensemble vers un objectif commun, vaincre la maladie. Nous continuerons, dans les années à venir, à nous rapprocher d'autres fondations Sanfilippo à travers le monde pour augmenter les chances de trouver un traitement.

L'organisation de la troisième conférence scientifique sur « Le syndrome de Sanfilippo et les maladies apparentées », en novembre 2020, aura été le point d'orgue de cette année.

Elle a rassemblé en visioconférence familles et scientifiques. Ce rendez-vous attendu de tous a permis de constater les avancées de la recherche mais aussi de renforcer les liens entre les chercheurs et tous les intervenants de la lutte contre la maladie de Sanfilippo.

2020 nous aura rappelé l'essentiel, rester solidaires face à l'adversité et à la maladie.

Je voudrais vous remercier, vous tous, que vous soyez donateurs, chercheurs ou bénévoles d'être toujours là, à nos côtés. Votre générosité, votre engagement et votre soutien sont la colonne vertébrale de notre action.

Nous allons poursuivre notre combat, avec et grâce à vous, pour que les enfants Sanfilippo aient l'espoir de la vie.



LA FONDATION

MISSIONS & VALEURS

Créée le 21 novembre 2008, la Fondation Sanfilippo Suisse est une fondation de droit privé, à but non lucratif, bénéficiant d'une exonération d'impôts et reconnue d'utilité publique. Elle est inscrite au Registre du commerce de Genève et placée sous la surveillance du Département fédéral de l'intérieur, à Berne.

MISSIONS

- Soutenir toute action de recherche scientifique innovante visant à apporter des solutions thérapeutiques efficaces aux enfants atteints de mucopolysaccharidose (MPS), en particulier de type III (maladie de Sanfilippo).
- Faire connaître et reconnaître l'importance de la problématique des maladies rares qui représentent un défi de santé publique à l'échelle mondiale.

VALEURS

- Dialogue et solidarité entre les acteurs de la communauté Sanfilippo
- Expertise et engagement scientifique
- Transparence

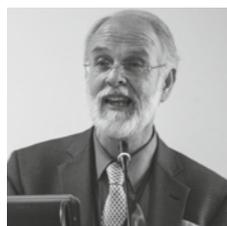


ORGANISATION

MARRAINE ET PARRAINS



Micheline
Calmy-Rey



Pr Stylianos
E. Antonarakis



Julien Lyon

CONSEIL DE FONDATION



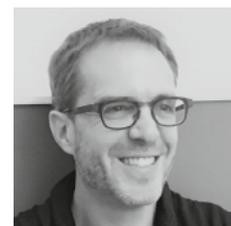
Me Arnaud Cywie



Corinne
Féry-von Arx



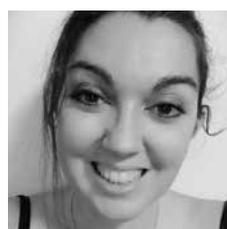
Me Stéphanie
La Roche,
Vice-Présidente



Me Emmanuel
Leibenson



Frédéric Morel,
Président-
Fondateur



Anais di Nardo



Natascha Siegrist

ORGANE DE RÉVISION

Moore Stephens Refidar SA

COMITÉ D'ACTION

Christine Chavanon

Arlette Marcos

Virginie Soulié

BUREAU DE LA FONDATION

Isabelle Costes

Marie Galtié

COMITÉ SCIENTIFIQUE

Dre Danielle Bertola
Reymond

Dr Armand Bottani

Dr Nicolas Lantz

ORGANE DE SUPERVISION SUISSE

Département fédéral de l'intérieur

Surveillance des fondations



**LA MALADIE DE
SANFILIPPO, UNE
MALADIE RARE**

QU'EST-CE QUE LA MALADIE DE SANFILIPPO ?

La maladie de Sanfilippo ou syndrome de Sanfilippo, du nom du Dr Sylvester Sanfilippo qui en a décrit les conditions en 1963, est une maladie génétique rare dont la prévalence est estimée à 1 naissance sur 70 000. Les premières manifestations de la maladie apparaissent généralement entre 2 et 6 ans. Elle laisse aux enfants atteints une espérance de vie limitée qui ne dépasse pas les 20 ans.

LA DÉFICIENCE D'UNE ENZYME

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

Le sulfate d'héparane s'accumule principalement dans les cellules du cerveau mais aussi dans les poumons ainsi que dans les os et devient toxique. Cette accumulation se traduit par une atteinte très importante du système nerveux, par des problèmes respiratoires et par une déformation physique.

QUATRE TYPES DE MUCOPOLYSACCHARIDOSES

La maladie de Sanfilippo appartient à une catégorie de maladie appelée mucopolysaccharidose (MPS), plus particulièrement connue sous le nom de MPS de type III.

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



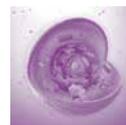
MPS III sous-type A : déficit de l'héparane N-sulfatase ou N-sulfoglucosamine sulfohydrolase (SGSH)



MPS III sous-type B : déficit de l'alpha-N-acétylglucosaminidase (NAGLU)



MPS III sous-type C : déficit de l'alpha-glucosaminidase N-acétyltransférase (HGSNAT)



MPS III sous-type D : déficit de la N-acétylglucosamine-6-sulfatase (GNS)

UN MODE DE TRANSMISSION AUTOSOMIQUE RÉCESSIF

Le mode de transmission du syndrome de Sanfilippo est autosomique récessif pour les quatre types de MPS ce qui signifie qu'un enfant a des risques d'être atteint si ses deux parents sont porteurs de la même mutation génétique responsable de la maladie.

Les maladies qui se transmettent sur le mode autosomique récessif sont des maladies génétiques frappant indifféremment le sexe féminin et masculin.

Une maladie est dite autosomique récessive quand une anomalie touche les deux exemplaires du gène hérité d'un des parents, entraînant la maladie. Chaque parent d'une personne atteinte de la maladie est lui-même porteur d'une anomalie génétique, sans être forcément malade. On dit qu'ils sont porteurs sains.



QU'EST-CE QU'UNE MALADIE RARE ?

Une maladie rare est définie dans la Communauté Européenne comme une affection invalidante ou menaçante pour la vie qui affecte 1 personne sur 2000 et qui nécessite des efforts combinés spéciaux pour sa prise en charge.

Une large majorité des maladies rares est d'origine génétique et leurs principales victimes sont des enfants.

Ces maladies sont souvent chroniques, évolutives, dégénératives et entraînent des handicaps qui altèrent la qualité de vie.

Pendant des décennies, la recherche médicale et l'industrie pharmaceutique ont délaissé les maladies rares. Les coûts de développement d'un médicament pour de telles maladies ne pourraient, en effet, être amortis du fait de leur commercialisation à un nombre limité de patients. Cette situation est aggravée par les problématiques auxquelles les patients et leurs familles doivent faire face à savoir les retards et erreurs de diagnostic, l'absence d'informations et de traitements curatifs.

QUELQUES CHIFFRES

8000

maladies rares répertoriées à ce jour*

470

millions de personnes touchées par une maladie rare dans le monde soit **1** individu sur **17***

80 %

d'entre elles sont d'origine génétique.*

30

millions de personnes atteintes en Europe**

580 000

personnes concernées en Suisse soit **6.5 %** de la population**

Les **20 %** restants ont des causes infectieuses ou sont des maladies auto-immunes et des cancers.*

3 maladies sur **4** sont des maladies pédiatriques qui mettent la vie des enfants en péril** :

35 %

des décès ont lieu avant l'âge de 1 an.

10 %

entre 1 et 5 ans

12 %

entre 5 et 15 ans

* Sources : ProRaris

** Sources : Alliances Maladies Rares

Néanmoins, ces dernières années, des progrès spectaculaires ont été réalisés, non seulement grâce aux efforts des associations ou fondations établies par les familles concernées et à ceux des chercheurs pour trouver des traitements. Mais aussi grâce au fait que depuis quelques années, les maladies rares ont été intégrées dans les politiques de recherche et de santé publique. Il reste indispensable de poursuivre et d'intensifier les efforts pour que de nombreuses maladies rares, dont la maladie de Sanfilippo, ne restent pas des maladies orphelines c'est-à-dire sans traitement efficace.

LES 10 ANS DE PRORARIS EN SUISSE



Il y a 10 ans, la Suisse franchissait un pas supplémentaire sur la problématique des maladies rares. Plusieurs associations de patients, parmi lesquels la Fondation Sanfilippo Suisse, créaient ProRaris, l'Alliance Maladies Rares Suisse.

Cette organisation faitière est née de la nécessité d'unir les associations qui luttent contre les maladies rares et de mettre en commun leurs forces.

À l'instar de la plupart des pays européens, la Suisse s'est ainsi dotée d'une stratégie qui lui permet d'agir à l'échelle nationale.







**LA RECHERCHE
SCIENTIFIQUE**

PROGRAMMES SOUTENUS

1. Le programme de recherche fondamentale développé par la Docteure Ariane de Agostini puis mené conjointement par le Professeur Stéphane Sizonenko et la Docteure Noémie Veraldi avec l'Université de Genève (UNIGE) et les Hôpitaux Universitaires de Genève (HUG), Genève, Suisse.



Le premier semestre de l'année 2020 a été employé à compléter les études sur le modèle cellulaire MPS IIIA en démontrant l'effet positif des inhibiteurs de l'héparanase qui diminuent l'accumulation intracellulaire des fragments toxiques de l'HS.

Suite à ces résultats encourageants, les chercheurs ont planifié la suite du projet avec la Fondation en rédigeant un plan budgétaire et expérimental de traitement sur le modèle de souris transgéniques MPS IIIA. Dans ce cadre, ils ont décidé d'effectuer une dernière expérience sur la lignée de cellules correspondantes pour valider la fréquence du traitement. Ceci a permis d'observer que l'effet d'une seule dose d'inhibiteur d'héparanase dure jusqu'à 48h.

L'autorisation pour l'expérimentation animale a été accordée par les autorités compétentes et il a été par conséquent décrété d'établir une colonie de souris transgéniques MPS IIIA à l'EPFL. L'objectif de cette étude est de confirmer l'effet

positif des inhibiteurs d'héparanase in vivo chez des souris transgéniques MPS IIIA en utilisant la spectroscopie protonique par résonance magnétique (^1H -MRS) qui permet de quantifier de nombreux métabolites témoins de l'activité et de l'intégrité cérébrale in vivo, chez ces souris anesthésiées. Cet ensemble de mesures sera complété par des analyses structurales en imagerie de diffusion (DTI) et de marqueurs de neuro-inflammation dans le cerveau, ex vivo. L'étape préclinique est indispensable pour permettre la poursuite d'investigations en vue du développement d'un traitement thérapeutique chez des patients dans un contexte de recherche clinique. Ces travaux sont conduits en collaboration avec le groupe du Professeur Sizonenko des HUG.

INTITULÉ DU PROJET

Interférer avec la première étape du catabolisme des héparanes sulfates (HS) comme stratégie pour diminuer l'accumulation pathologique intracellulaire chez les patients atteints du syndrome de Sanfilippo.

Subvention 2020 : **CHF 96 953.-**

Subvention totale (2013, 2014, 2015, 2016, 2018, 2019, 2020) : **CHF 601 906.-**

2. Le programme de recherche conduit par la Docteure Louise O'Keefe, Université d'Adélaïde, et le Sahnri (South Australia Health and Medical Research Institute), Adélaïde, Australie.



Fin 2019, la Fondation Sanfilippo Suisse et la Sanfilippo Children's Foundation ont accordé une bourse d'incubateur au Docteur Louise O'Keefe de l'Université d'Adélaïde. La Dre O'Keefe a pour objectif d'étudier l'autophagie dans les modèles de mouches Sanfilippo de types A et C et de déterminer si le ciblage de ce processus peut constituer une voie thérapeutique appropriée pour Sanfilippo.

L'autophagie est un processus cellulaire naturel qui permet d'éliminer les déchets. Dans le cas de la maladie de Sanfilippo, l'autophagie est moins efficace et on espère que des améliorations de l'autophagie puissent conduire à une réduction de l'accumulation d'héparane sulfate et à une amélioration de la fonction cellulaire.

Pour le projet, qui a débuté en mars 2020, la nourriture fournie aux mouches Sanfilippo de types A et C a été complétée par deux médicaments connus pour augmenter l'activité d'autophagie dans les cellules.

Des tests préliminaires réalisés sur les larves de mouches de Sanfilippo de type A ont montré une amélioration de l'autophagie grâce à la présence de l'un des médicaments dans les cellules des larves. Les mouches adultes ont ensuite été soumises à des tests visant à examiner leur activité physique et leur fonction neuronale. Les premiers résultats de ces tests indiquent que le même médicament a pu augmenter l'activité des mouches Sanfilippo de type A et C.

Des travaux sont également en cours pour déterminer si les mouches Sanfilippo plus âgées bénéficieront d'une amélioration de l'autophagie comme ce serait le cas chez les enfants atteints de Sanfilippo qui ne sont généralement pas diagnostiqués avant l'âge de 4 à 6 ans.

En raison des perturbations liées à la COVID-19, le calendrier du projet a été prolongé et se terminera en décembre 2021.

OBJECTIF DE LA RECHERCHE

Étude de l'autophagie, un processus naturel à l'intérieur des cellules, qui permet d'éliminer et de recycler les composants cellulaires qui ne sont pas nécessaires ou qui ne fonctionnent plus. Le projet examinera également si l'augmentation des niveaux d'autophagie peut soulager les symptômes de la maladie de Sanfilippo et quelles parties de ce processus pourraient être ciblées pour le développement de futures thérapies.

Ce projet est cofinancé avec la Sanfilippo Children's Foundation (Freshwater, Australie).

Subvention 2020 : **CHF 26 207.-**

3. Le programme de recherche mené par la Docteure Adeline Lau et la Professeure Kim Hemsley, Université de Flinders, (Adelaïde, Australie), en collaboration avec le Professeur Vito Ferro, Université de Queensland, (Saint-Lucia, Australie).



La Dre Adeline Lau de l'Université Flinders a obtenu une bourse translationnelle cofinancée par la Fondation Sanfilippo Suisse et la Sanfilippo Children's Foundation. Avec ses collaborateurs, la Professeure associée Kim Hemsley (Université Flinders) et le Professeur Vito Ferro (Université Queensland), la Dre Lau travaille à la mise au point de candidats médicaments potentiels pour la thérapie par chaperon pharmaceutique (PCT) ainsi que la thérapie par réduction du substrat (SRT) et à leur test sur des souris de type A de Sanfilippo.

La PCT et la SRT sont deux voies thérapeutiques différentes pour la maladie de Sanfilippo et toutes deux impliquent l'utilisation de petites molécules. Les médicaments PCT visent à se lier à l'enzyme déficiente restante et à la stabiliser lui permettant ainsi d'atteindre sa destination finale et de décomposer l'héparane sulfate. En revanche, les médicaments de la SRT visent à réduire la quantité d'héparane sulfate produite en premier lieu afin qu'elle s'accumule moins dans l'organisme. Les médicaments PCT sont plus spécifiques à certains types de patients car ils ciblent des modifications structurelles spécifiques des enzymes résultant de certains types de mutations génétiques tandis que les médicaments SRT pourraient potentiellement être utilisés pour tous les patients atteints de Sanfilippo et d'autres troubles qui stockent également l'héparane sulfate (syndromes de Hurler, Hunter et Sly).

Depuis le début du projet en mai 2020, l'équipe a élargi les tests d'un panel de chaperons et d'inhibiteurs de substrats à partir de ceux qui avaient été identifiés dans un projet antérieur. Ceux-ci ont été analysés dans des cellules fibroblastes humaines et de souris pour déterminer si chaque médicament pouvait améliorer les niveaux d'héparane sulfate.

Deux candidats médicaments SRT ont ensuite été administrés quotidiennement à des souris Sanfilippo de type A à partir de l'âge de trois semaines, directement dans l'estomac, afin de s'assurer que les souris recevaient la bonne dose. L'équipe a identifié une dose adéquate qui a permis de réduire de 21% le taux d'héparane sulfate dans le cerveau, sans effet indésirable apparent. Le groupe poursuit ses études sur les médicaments réducteurs de substrat afin de déterminer la stabilité de ce principal candidat SRT en vue de tester ses effets sur les symptômes comportementaux de Sanfilippo chez les souris.

Des travaux sont en cours pour cribler les médicaments candidats PCT dans des cellules fibroblastiques humaines et de souris de type Sanfilippo A afin de confirmer les meilleurs candidats. Une fois que deux candidats principaux auront été sélectionnés, ils seront administrés séparément par voie orale à des souris Sanfilippo de type A afin de déterminer leur efficacité in vivo.

Enfin, l'équipe cherchera à tester les candidats SRT et PCT en association les uns avec les autres ou avec d'autres approches thérapeutiques pour voir s'ils peuvent maximiser les effets du traitement de la maladie de Sanfilippo.

OBJECTIF DE LA RECHERCHE

Étudier l'efficacité des médicaments candidats contre la maladie de Sanfilippo de type A. La recherche devra permettre de déterminer leurs degrés de non-toxicité et d'efficacité.

Ce projet est cofinancé avec la Sanfilippo Children's Foundation (Freshwater, Australie).

Subvention 2020 : **CHF 99 501.-**



APPEL AU SOUTIEN DE PROJETS DE RECHERCHE

LA FONDATION SANFILIPPO SUISSE LANCE UN NOUVEL APPEL À PROJETS DE RECHERCHE INNOVANTS VISANT À FAIRE AVANCER LA COMPRÉHENSION DES MALADIES APPARENTÉES AUX MUCHOPOLYSACCHARIDOSES, LE DIAGNOSTIC DES PATIENTS ET LE DÉVELOPPEMENT CLINIQUE DES MÉDICAMENTS.

Les propositions doivent être envoyées à :

info@fondation-sanfilippo.ch



CONFÉRENCE SCIENTIFIQUE

La Fondation a organisé, les 12 et 13 novembre, sa troisième conférence scientifique portant sur « Le syndrome de Sanfilippo et les maladies apparentées ».

En raison des restrictions sanitaires, la conférence sur le syndrome de Sanfilippo s'est tenue en visioconférence.

Cinq ans après la deuxième conférence, cette nouvelle édition a été l'occasion de faire un point de situation sur l'avancée de la recherche.

Les objectifs de cette conférence digitale étaient les suivants :

- Réunir des participants du monde entier : universitaires, scientifiques, industriels et laboratoires de biotechnologie, représentants d'organisations de parents et familles d'enfants touchés par la maladie de Sanfilippo ;
- Évaluer l'évolution des programmes de recherche et des essais cliniques vers un traitement ;
- Renforcer, au niveau international, les échanges et la coopération entre tous les acteurs.

A ce jour, il n'existe malheureusement aucun traitement pour le syndrome de Sanfilippo, il est primordial de stimuler la recherche sur cette maladie.

La conférence a débuté par une allocution de bienvenue prononcée par le Professeur Stylianos Antonarakis (Président et Professeur émérite de médecine génétique à l'Université de Genève). Elle a été ensuite suivie par douze présentations orales qui ont permis d'aborder :

- Le dépistage et le diagnostic ;
- Les traitements précoces et expérimentaux ;
- Les MPS et maladies apparentées ;
- Les études cliniques sur la MPS III (thérapie génique, ERT, SRT et petites molécules).

Les quatorze intervenants ont pu échanger librement entre eux lors du forum de discussion qui leur était exclusivement réservé.

Issus à la fois des universités de Cambridge (Royaume-Uni), Manchester (Royaume-Uni), Saint-Jacques-de-Compostelle (Espagne), Genève (Suisse) et d'entreprises de biotechnologie telles que Abeona Therapeutics (USA), Allievex Corporation (USA), Denali Therapeutics (USA), Inventiva Pharma (France), Lysogene (France), Sangamo Therapeutics (USA), Seelos Therapeutics (USA), tous les intervenants ont contribué au succès du programme scientifique de la conférence.

La conférence s'est terminée par une table ronde animée par le Dr Armand Bottani au cours de laquelle les experts scientifiques ont pu répondre aux questions des familles.



LE COMITÉ D'ORGANISATION

- **Dre Danielle Bertola Reymond**
Membre du Comité Scientifique de la Fondation
- **Dr Armand Bottani**
Médecin chef, Département de génétique médicale (Hôpital du Valais, Sion, Suisse);
Membre du Comité Scientifique de la Fondation
- **Mme Corinne Féry-von Arx**
Membre du Conseil de Fondation
- **Dr Ron Hogg**
Consultant scientifique, Rédacteur médical (OmniScience SA, Genève, Suisse)

Les résumés de la conférence sont consultables sur le site Internet de la Fondation :
www.fondation-sanfilippo.ch

Événement organisé avec le précieux soutien de nos sponsors et partenaires :

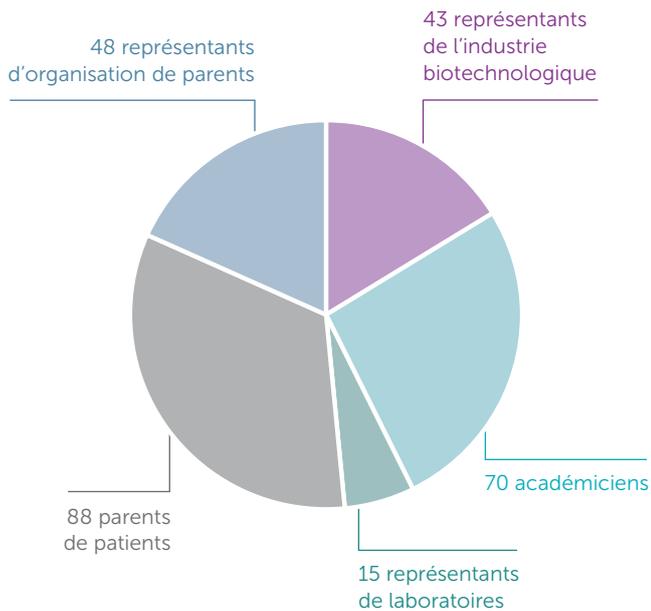


DONNÉES CHIFFRÉES

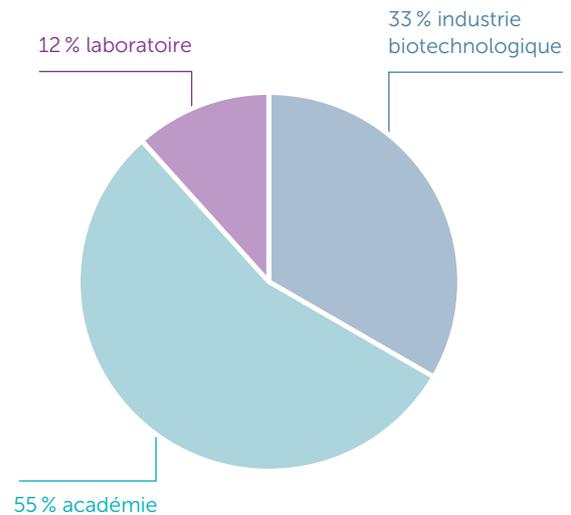
264

personnes, issus de **31** pays,
se sont inscrites à la conférence.

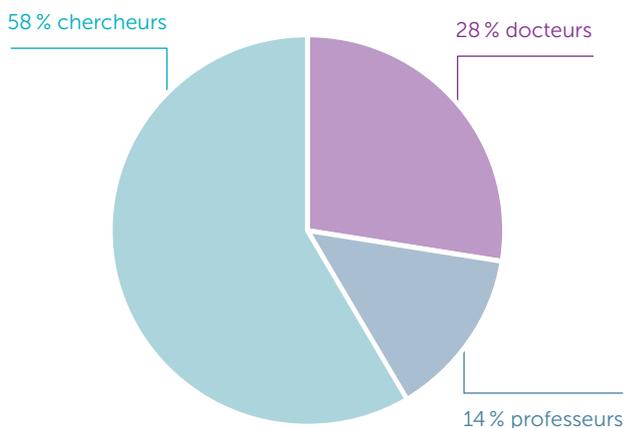
Répartition des 264 inscrits



Répartition par secteurs d'activités



Répartition par professions



BILAN ENCOURAGEANT

La conférence fut l'occasion de :

- Partager et échanger des informations ;
- Faire le point sur les derniers traitements et essais thérapeutiques potentiels ;
- Stimuler la collaboration et combiner les recherches dans le sens d'un traitement ;
- Construire des relations et développer des synergies avec des partenaires ;
- Lancer un appel pour le financement de projets de recherche innovants ;
- Recevoir un nouveau projet de recherche à examiner par le Comité Scientifique.

TÉMOIGNAGES DE FAMILLE...



Nous tenions à vous remercier pour cette organisation ainsi que pour la qualité des interventions qui se sont succédées. Nous avons déjà pu participer à la 2nde conférence il y a 5 ans à Genève ; même si le temps passe trop vite, et qu'un espoir de traitement s'éloigne de plus en plus pour notre enfant, il est toujours plaisant d'avoir une vision globale et actualisée de l'avancée de la recherche internationale pour nos enfants. Et nous ne pouvons qu'apprécier l'avancée des programmes en 5 ans !

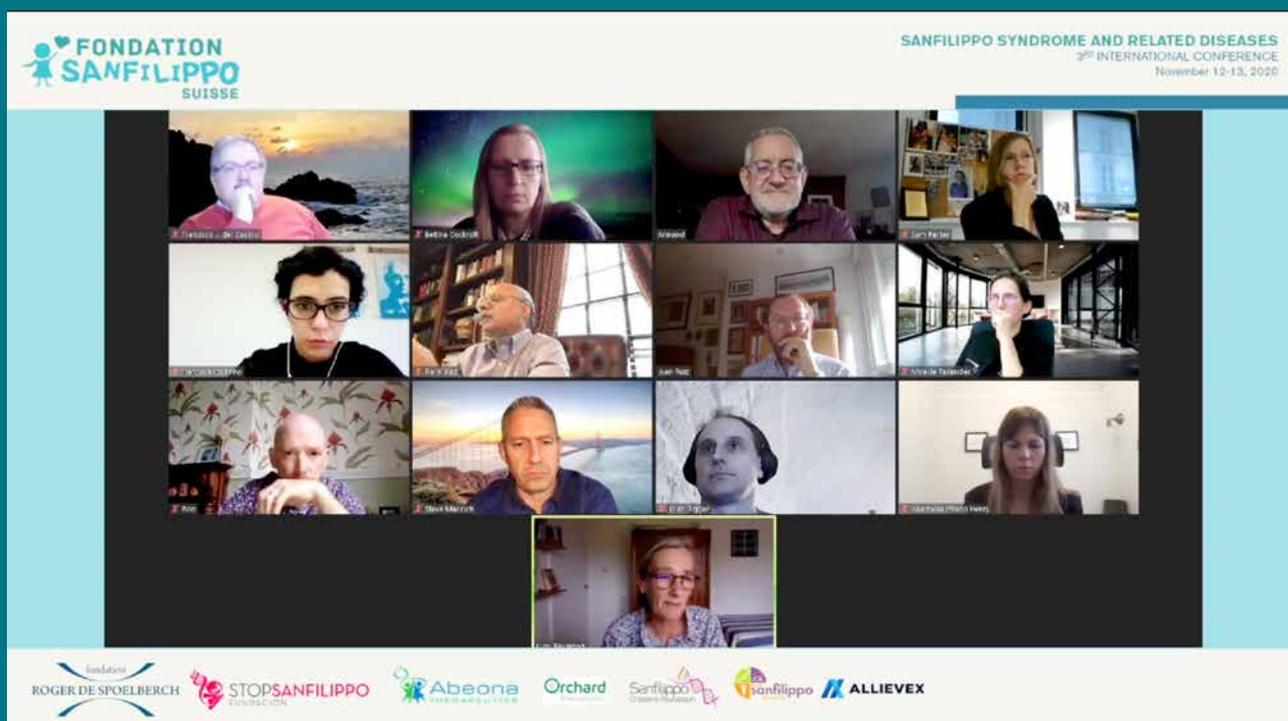
B. et M. J-L, parents de Pierre, 10 ans

ET DE SCIENTIFIQUE

Merci infiniment de m'avoir donné l'occasion de faire une présentation du programme Allievex. La conférence était vraiment remarquable et je suis impressionné par le fait que vous soyez parvenus à rassembler tous les groupes qui développent des thérapies pour les MPS III. Nos discussions (...) ont été très productives.



S. M., Allievex Corporation



Les conférenciers durant la table ronde



**LES ACTIONS DE
LA FONDATION**

ACTIONS DE COLLECTE DE FONDS

Crise sanitaire oblige, toutes les actions de collecte de fonds prévues en 2020 ont été annulées. Tout au long de cette année si particulière, la Fondation a néanmoins pu bénéficier du soutien fidèle et précieux de ses donateurs.

Grâce à leur générosité, il lui a été possible de poursuivre son combat ainsi que ses activités de soutiens au programme de recherche pour contribuer à faire avancer la recherche scientifique.

ACTIONS SOLIDAIRES

LA SUBVENTION À LA FONDATION PRIVÉE DES HUG

Fondation
privée des **HUG**

Très concernée quant à l'impact de la COVID-19 sur les enfants, la Fondation a fait un don exceptionnel de **CHF 30 000.-** à la Fondation privée des HUG. Ces fonds ont été notamment alloués au soutien du projet suivant :

La COVID-19 et les droits des enfants : ce projet consiste à créer un observatoire des droits de l'enfant pour compiler les données extraites de la littérature relative à la protection de la santé de l'enfant en période de crise sanitaire de grande ampleur puis de les diffuser.

L'analyse de ces données permettra de définir de nouveaux indicateurs, de veiller au respect des droits de l'enfant au niveau du canton de Genève et de mieux faire face à une situation de crise sanitaire dans le futur.

ACTIONS DE VISIBILITÉ



LA CAMPAGNE SUR LES TRANSPORTS PUBLICS GENEVOIS (TPG)

Poursuivant sa mission de sensibilisation aux maladies rares et à leur problématique, la Fondation a reconduit du 12 février au 10 mars sa campagne d'affichage sur les TPG lors de la Journée internationale des maladies rares célébrée le 28 février.

LA CAMPAGNE D’AFFICHAGE DANS GENÈVE DOUBLÉE DE LA CAMPAGNE DIGITALE

Dans un souci de sensibilisation de l’opinion public aux enfants porteurs de la maladie de Sanfilippo et pour accroître la notoriété de la Fondation, une campagne d’affichage a été déployée dans Genève d’avril à juin.

En parallèle, une communication sur les réseaux sociaux de la Fondation a été mise en place tout au long du mois d’avril.

LES CAMPAGNES D’AFFICHAGE DANS LES PARKINGS MANOR-VESENAZ ET NATIONS

La Fondation a utilisé ses emplacements publicitaires comme supports de communication pour faire passer un message de sensibilisation et donner de la visibilité à la Fondation pendant :

- La Journée internationale des maladies rares (février-août) ;
- La crise sanitaire pour sensibiliser l’opinion à la vulnérabilité des enfants atteints d’une maladie rare et plus particulièrement la maladie de Sanfilippo (septembre-décembre).

**PROTÉGEZ-VOUS!
PROTÉGEZ-NOUS!** #STAYSAFE

[fondation-sanfilippo.ch](https://www.fondation-sanfilippo.ch)

**FONDATION
SANFILIPPO
SUISSE**



LE PAVOISEMENT DU PONT DU MONT-BLANC

Du 16 au 22 novembre, pour clôturer la conférence scientifique et marquer la Journée internationale de la maladie de Sanfilippo, des drapeaux aux couleurs de la Fondation ont fièrement flottés sur le pont du Mont-Blanc.



LES ÉLÉMENTS FINANCIERS



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
T +41 (0)58 911 86 00
F +41 (0)58 911 86 99
nyon@moore.swiss
www.moore.swiss

En notre qualité d'organe de révision, nous avons contrôlé les comptes annuels ci-joints de la Fondation Sanfilippo Suisse, comprenant le bilan, le compte de résultat et l'annexe pour l'exercice arrêté au 31 décembre 2020.

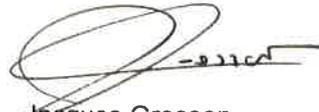
La responsabilité de l'établissement des comptes annuels incombe au conseil de fondation alors que notre mission consiste à contrôler ces comptes. Nous attestons que nous remplissons les exigences légales d'agrément et d'indépendance.

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.

Nyon, le 22 juin 2021

MOORE STEPHENS REFIDAR SA


 Jacques Grossen
 Expert-réviseur agréé
 Réviseur responsable


 Deborah Dépraz
 Expert-réviseur agréé

Annexe : Comptes annuels

As statutory auditor, we have examined the accompanying financial statements of Foundation Sanfilippo Suisse, which comprise the balance sheet, statement of income and notes for the year ended 31 December 2020.

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

BILAN AU 31 DECEMBRE 2020

	Notes	31.12.2020 CHF	31.12.2019 CHF
ACTIF			
Liquidités		2 995 738	3 664 195
Trésorerie à court terme		2 995 738	3 664 195
Autre créances à court terme		7447	47 917
Autres créances à court terme		7447	47 917
Total actif circulant		3 003 185	3 712 112
Participations financières	3	266 281	66 281
Participations financières		266 281	66 281
Total actif immobilisé		266 281	66 281
TOTAL DE L'ACTIF		3 269 465	3 778 393
PASSIF			
Fonds affectés présentation livre Noé et Noa	4	4800	4800
Fonds affectés Loterie Romande	4	5000	0
Fonds affectés pour les programmes de recherche	4	345 682	486 870
Passifs de régularisation		8954	20 853
Capitaux étrangers à court terme		364 436	512 523
Capital de dotation		100 000	100 000
Résultat reporté		3 165 869	3 194 461
Résultat de l'exercice		-360 840	-28 592
Capitaux propres		2 905 029	3 265 869
TOTAL DU PASSIF		3 269 465	3 778 393

COMPTE DE PROFITS ET PERTESdu 1^{er} janvier au 31 décembre 2020

	Notes	2020 CHF	2019 CHF
Dons libres		55 085	190 908
Dons affectés à la recherche		257 038	99 130
Dons affectés à la recherche déduction des frais d'organisation		-8411	41 932
Dons Loterie Romande		0	5000
Dons et produits		303 711	336 971
Programme Clair Bois		0	-11 942
Programme du Dre de Agostini		-96 953	-116 063
Programme Dorphon SA		0	-24 999
Programme Adelaide (avec Fondation Australie)		-26 207	0
Programme Flinders (avec Fondation Australie)		-99 501	0
Autres programmes		-34 377	0
Campagne de sensibilisation		-18 061	-12 614
Total des programmes soutenus durant l'année		-275 099	-165 618
Salaires et charges sociales	6	-153 476	-118 726
Loyer et frais de bureaux		-25 843	-19 227
Frais de communications		-1232	-1440
Honoraires légaux et de révision		-9038	-13 989
Honoraires de graphiste		-6778	-2253
Publicité et cotisation		-9508	-9085
Autres charges		-40	-1889
Taxes et émoluments		-1000	-900
Total charges d'exploitation		-206 915	-167 509
Intérêts bancaires		6426	13 548
Frais bancaires		-909	-797
Résultat de change		-188 055	-45 186
Produits et charges financières		-182 537	-32 435
RÉSULTAT NET DE L'EXERCICE		-360 840	-28 592

ANNEXE AUX COMPTES ANNUELS

CLOS AU 31 DÉCEMBRE 2020

1 ACTIVITÉ DE LA FONDATION

La fondation a été créée le 25 novembre 2008, date d'inscription au registre du commerce.

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.

Les membres du Conseil de Fondation sont les suivants :

Morel Frédéric, de Colombier (NE), à Collonge-Bellerive

La Roche Stéphanie, de Genève, à Cologny

Cywie Arnaud, de France, à Genève

Di Nardo Di Maio Anaïs, de Meyrin, à Meyrin

Féry-von Arx Corinne, de Lancy, à Messery, F

Leibenson Emmanuel, de Cernier, à Genève

Siegrist Fischer Natascha, de Rümikon, à Begnins

2 PRINCIPALES MÉTHODES COMPTABLES

Les principales méthodes comptables appliquées pour présenter certains postes des états financiers sont les suivantes :

a) Spécialisation des exercices

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.

b) Participation

Les participations sont évaluées à leur coût d'acquisition et la nécessité de comptabiliser une dépréciation est contrôlée chaque année.

3 PARTICIPATIONS FINANCIÈRES

		2020		2019
		CHF		CHF
Dorphan SA, ayant son siège à l'EPFL (Lausanne)	94 %	1	94 %	1
Diverses participations détenues à moins de 20 %		266 280		66 280
		266 280		66 280

La société Dorphan SA a pour but l'identification, l'acquisition, le développement, la commercialisation et la vente de programmes de recherche pour les maladies rares et orphelines.

A la clôture 2019, le conseil de fondation a estimé prudent d'amortir entièrement la participation dans Dorphan SA. Etant donné que, à ce jour, les recherches de Dorphan SA n'avaient pas encore abouti, la société avait uniquement des dépenses.

4 VARIATION DU POSTE DE RÉSERVE AU PASSIF DU BILAN

	2020	2019
	CHF	CHF
Fonds Affectés - Livre Noa & Noé		
Report solde réserve au 31 décembre	4800	4800
Soutien au programme durant l'année	-	-
	4800	4800
Fonds Affectés - Loterie Romande		
Report solde réserve au 31 décembre	-	-
Soutien aux actions 2021 reçu en 2020	5000	-
	5000	-
Fonds Affectés - programmes de recherche		
Report solde réserve au 31 décembre	486 870	586 000
Engagement programmes durant l'exercice	(141 188)	(99 130)
	345 682	486 870

5 NOMBRE D'EMPLOYÉ EN ÉQUIVALENT TEMPS PLEIN

	2020	2019
Le nombre d'employé en moyenne annuelle s'élève à :	1	1

6 RÉDUCTION D'HORAIRES DE TRAVAIL

Des RHT ont été obtenus pour les mois d'avril à juin 2020 pour un montant de CHF 14 167.40.

Les autres points de l'annexe selon Art. 959c CO ne s'appliquent pas.



**LES
REMERCIEMENTS**

La Fondation Sanfilippo Suisse remercie chaleureusement sa marraine et ses parrains, sponsors, partenaires, donateurs, membres du Conseil de Fondation, membres du Conseil Scientifique, membres du Comité d'Action, bénévoles, amis dont la générosité, l'engagement et la présence ont permis de soutenir ses activités.

Nous exprimons également notre profonde gratitude à tous ceux et celles qui ont fait des dons tout au long de l'année 2020. Par souci de discrétion et de confidentialité, nous avons décidé de ne pas citer les donateurs privés.

ASSOCIATIONS ET FONDATIONS

FONDATION ALFRED ET EUGENIE BAUR
 FONDATION HUBERT TUOR
 FONDATION PRIVÉE DES HUG
 FONDATION ROGER DE SPOELBERCH
 FONDATION VRM
 FUNDACION STOP SANFILIPPO
 SANFILIPPO CHILDREN'S FOUNDATION
 TEAM SANFILIPPO FOUNDATION

INSTITUTION PUBLIQUE

COMMUNE DE PRESINGE



ENTREPRISES

AGENCE S
 ABEONA THERAPEUTICS
 ALLIEVEX CORPORATION
 CHEZ MARIE JO
 ETUDE BOREL & BARBEY
 IMMOFOR
 INGENI SA LAUSANNE
 M CONCEPT
 MELLE JEANNE SARL
 MOORE STEPHENS REFIDAR SA
 NEO ADVERTISING SA
 OMNISCIENCE SA
 OPTION K
 ORCHARD THERAPEUTICS
 REMARQ
 SEDELEC
 TP PUBLICITE SA
 VOXIA COMMUNICATION

**UN IMMENSE MERCI !
 ENSEMBLE POUR VAINCRE
 SANFILIPPO !**

Il était une fois,

une jolie petite princesse se prénommant Charlotte.

Charlotte avait les yeux aussi bleus que l'océan et ses cheveux étaient aussi blonds que le blé. Elle laissait souvent entrouverte la fenêtre de son âme qui se manifestait avec force dans son regard. On pouvait alors y voir le courage dont cette jolie princesse faisait preuve. Loin des châteaux et des contes de fées, Charlotte endurait malheureusement beaucoup de souffrance. Peut-être s'était-elle trompée de conte ?

Son sourire faisait chavirer les cœurs de tous ceux qui croisaient sa route, tout autant que ses éclats de rire. Mais derrière le goût de Charlotte pour la musique et pour la vie se cachait une bien triste réalité. La jolie petite princesse était malade mais peu s'en doutait. Aucune bonne fée ne réussit à la guérir. Aucun prince charmant ne réussit à rompre le sort que la méchante sorcière Sanfilippa lui avait jeté. Alors la jolie petite princesse grandit avec bravoure et détermination sous les yeux de sa famille qui l'aimait tant, même si leurs regards s'étaient ternis d'injustice et si la maladie avait entaché leur cœur de tristesse. Charlotte montrait la route enseignant à son entourage les valeurs de la vie. Comme disait son ami le Petit Prince, « on ne voit bien qu'avec le cœur. L'essentiel est invisible pour les yeux ».



Charlotte, la petite princesse, qui ne deviendra jamais adulte, restera pour son entourage, comme dans le conte de Saint-Exupéry, la Rose « unique au monde ». Puisqu'aucun prince charmant ne réussit à réveiller cette jolie petite princesse, Charlotte épuisée, dansa vers les étoiles pour vivre son dernier voyage et pour rejoindre le pays des roses éternelles. Elle échangea son fauteuil roulant pour une splendide paire d'ailes afin d'aller là où tout est amour et là où la douleur n'existe pas.

CE RAPPORT ANNUEL A ÉTÉ RÉALISÉ GRÂCE À LA GÉNÉROSITÉ DE MOORE STEPHENS REFIDAR SA



MOORE

AUDIT • TAX & LEGAL • ADVISORY • FINANCIAL SERVICES

NYON • GENÈVE • LAUSANNE • www.moore.swiss