



Il pacco gara di Telethon Walk of Life Napoli, domenica 21 aprile la solidarietà corre in maniera sostenibile

## Descrizione





## FONDAZIONE TELETHON ETS

Fondazione Telethon ETS Ã una delle principali charity biomediche italiane, Ã **nata nel 1990** per iniziativa di un gruppo di pazienti affetti da distrofia muscolare. La sua missione Ã di arrivare alla cura delle malattie genetiche rare grazie a una ricerca scientifica di eccellenza, selezionata secondo le migliori prassi condivise a livello internazionale. Attraverso un metodo unico nel panorama italiano, segue lâ€™intera âœœfiliera della ricercaâ€• occupandosi della raccolta fondi, della selezione e del finanziamento dei progetti e dellâ€™attivitÃ stessa di ricerca portata avanti nei centri e nei laboratori della Fondazione. Telethon inoltre sviluppa collaborazioni con istituzioni sanitarie pubbliche e industrie farmaceutiche per tradurre i risultati della ricerca in terapie accessibili ai pazienti.

**Dalla sua fondazione ha investito in ricerca oltre 660 milioni di euro, ha finanziato 2960 progetti con 1720 ricercatori coinvolti e 630 malattie studiate.** Ad oggi grazie a Fondazione Telethon Ã stata resa disponibile la prima terapia genica con cellule staminali al mondo, nata grazie alla collaborazione con lâ€™industria farmaceutica e destinata al trattamento dellâ€™ADA-SCID, una grave immunodeficienza che compromette le difese dellâ€™organismo fin dalla nascita. Nel 2023 Fondazione Telethon Ã diventata **responsabile della produzione e distribuzione del farmaco nellâ€™Unione europea**. Unâ€™altra terapia genica frutto della ricerca Telethon resa disponibile Ã quella per una grave malattia neurodegenerativa, la leucodistrofia metacromatica.

Questo approccio terapeutico Ã in fase avanzata di sviluppo per unâ€™altra immunodeficienza, la sindrome di Wiskott-Aldrich. Altre malattie su cui la terapia genica messa a punto dai ricercatori Telethon Ã stata valutata nei pazienti sono la beta talassemia e due malattie metaboliche dellâ€™infanzia, la mucopolisaccaridosi di tipo 6 e di tipo 1. Inoltre, allâ€™interno degli istituti Telethon sono in fase avanzata di studio strategie terapeutiche mirate anche per altre malattie genetiche, come per esempio lâ€™emofilia o diversi difetti ereditari della vista. Parallelamente, continua in tutti i laboratori finanziati da Telethon lo studio dei meccanismi di base e di potenziali approcci terapeutici per patologie ancora senza risposta.