



RAPPORT ANNUEL

Jahresbericht
Rapporto annuale

2024

SOMMAIRE

Inhaltsverzeichnis
Indice

3/4
AVANT-PROPOS
Vorwort . Premessa

5
**CONSEILS DE
FONDATION**
Stiftungsräte
Consigli di Fondazione

6
**BUTS DE LA
FONDATION**
Stiftungszwecke
Obiettivi della Fondazione

7
**SEAL
THERAPEUTICS AG**

8
**RAPPORT DU
CONSEIL
SCIENTIFIQUE**
Bericht des
wissenschaftlichen Beirats
Rapporto del
Consiglio scientifico

10
RAPPORTS 2024
Berichte . Rapporti

12
ENMC

13
CARE-NMD-CH

14 / 15
CHIFFRES + FAITS
Zahlen + Fakten . Fatti + cifre

16 / 17
FINANCES
Finanzen . Finanze

18
**SANTHERA
PHARMACEUTICALS**

20
TÉLÉTHON

23
PARTENAIRES
Partner

AVANT-PROPOS

Vorwort
Premessa

Parmi les 18 projets de recherche qui lui ont été soumis, la FSRMM a pu en soutenir 5 durant l'année sous revue. La condition préalable est une rigueur scientifique assurée ainsi qu'une conformité avec nos objectifs statutaires. Notamment cette dernière condition n'est pas toujours remplie.

Un changement est intervenu au sein du conseil scientifique : Le professeur Denis Jabaudon, Université de Genève, a donné sa démission après 10 ans de loyaux services. Nous le remercions sincèrement pour sa précieuse collaboration. Le professeur Werner Z'Graggen, de l'Hôpital de l'Île à Berne, a eu l'amabilité de prendre sa place. Grâce à sa longue expérience clinique en tant que neurologue, il apportera un point de vue supplémentaire lors de l'évaluation des projets de recherche.

La collaboration avec **Only Project (anciennement Association Monégasque contre les Myopathies)** a été approfondie. Cette organisation prend désormais en charge chaque année le coût de deux bourses. Cette collaboration est d'autant plus importante que les gains du **Téléthon**, l'un de nos piliers traditionnels de financement, sont malheureusement en baisse depuis quelques années. De nouvelles sources de financement sont dès lors les bienvenues.

Le projet **Care-NMD-CH**, dirigé par la professeure Veronika Waldböth à la Haute école zurichoise des sciences appliquées (ZHAW), a pu être achevé avec succès fin 2024 (cf. p. 13).

En reconnaissance de son engagement de longue date en faveur de la recherche dans le domaine des maladies musculaires, la FSRMM



ALAIN PFULG, PRÉSIDENT

s'est vue décerner le **Success Stories Award** par la **Swiss Biotech Association**. Cette distinction nous encourage à persévérer dans notre engagement.

C'est avec grande satisfaction que je constate que cette année encore, la FSRMM a été très active à de nombreux niveaux. Ces engagements ne sont possibles que grâce à nos généreux donateurs. Qu'ils soient à nouveau tous sincèrement remerciés !

Unter den 18 eingereichten Forschungsprojekten konnte die FSRMM im Berichtsjahr deren 5 unterstützen. Voraussetzung ist eine wissenschaftlich gesicherte Stringenz sowie eine Übereinstimmung mit unseren statutarischen Zielen. Insbesondere Letzteres ist nicht immer erfüllt.

Im wissenschaftlichen Beirat ist ein personeller Wechsel zu verzeichnen: Prof. Denis Jabaudon, Universität de Genève, gab nach 10 Jahren seinen Austritt. Wir danken ihm aufrichtig für seine wertvolle Mitarbeit. Seinen Platz übernimmt freundlicherweise Prof. Dr. med.

Werner Z'Graggen, Inselspital Bern. Mit seiner langjährigen klinischen Erfahrung als Neurologe wird er bei der Beurteilung der Forschungsprojekte eine zusätzliche Sicht einbringen können.

Die Zusammenarbeit mit der **Only Project (ehemals Association Monégasque contre les Myopathies)** wurde vertieft. Diese Organisation übernimmt nunmehr jährlich die Kosten von zwei Stipendien. Diese Zusammenarbeit ist umso wichtiger, als die Erträge des **Téléthons**, eine unserer traditionellen Finanzierungssäulen, seit einigen Jahren leider zurückgehen. Neue Finanzierungsquellen sind deshalb äusserst willkommen.

Das Projekt **Care-NMD-CH** unter der Leitung von Prof. Veronika Waldböth an der Zürcher Hochschule für Angewandte Wissenschaften (ZHAW) wurde Ende 2024 erfolgreich abgeschlossen (vgl. S. 13).

Die **Swiss Biotech Association** hat der FSRMM in Anerkennung ihres langjährigen Einsatzes zugunsten der Forschung im Bereich der Muskelkrankheiten den **Success Stories Award** verliehen. Diese Auszeichnung bestärkt uns in unserem Engagement.

Mit grosser Genugtuung darf ich feststellen, dass die FSRMM auch dieses Jahr auf zahlreichen Ebenen sehr aktiv war. Diese Tätigkeiten sind nur dank unseren grosszügigen Spendern möglich. Ihnen allen sei erneut aufrichtig gedankt!

Bei 18 Projekten di ricerca inviatici, la FSRMM ha scelto di sostenerne 5 durante l'anno in esame. I criteri fondamentali per il finanziamento restano l'elevato rigore scientifico e la conformità agli obiettivi statutari. Quest'ultimo requisito, in particolare, non è sempre pienamente soddisfatto.

Il Prof. Denis Jabaudon, dell'Università di Ginevra, ha rassegnato le dimissioni dal Consiglio scientifico dopo dieci anni di servizio. Desideriamo esprimergli il nostro più sentito ringraziamento per il prezioso contributo offerto. Siamo lieti di annunciare che il Prof. Werner Z'Graggen, MD, dell'Inselspital di Berna, ha accettato di prendere il suo posto. Grazie alla sua pluriennale esperienza clinica in neurologia, apporterà una preziosa prospettiva nella valutazione dei progetti di ricerca.

La collaborazione con **Only Project (ex Association Monégasque contre les Myopathies)** è stata ulteriormente rafforzata. L'organizzazione finanzia ora due borse di studio all'anno. Si tratta di un sostegno particolarmente significativo, considerando il calo costante, negli ultimi anni, delle entrate provenienti dal **Téléthon**, uno dei pilastri storici del nostro finanziamento. Nuove fonti di sostegno economico sono quindi estremamente benvenute.

Il progetto **Care-NMD-CH**, condotto dalla Professoressa Veronika Waldböth dell'Università di Scienze Applicate di Zurigo (ZHAW), si è concluso con successo alla fine del 2024 (vedi pag. 13).

La **Swiss Biotech Association** ha conferito alla FSRMM il **Success Stories Award**, in riconoscimento del suo impegno pluriennale nella ricerca sulle malattie muscolari. Questo importante riconoscimento e motiva ulteriormente il nostro lavoro.

Sono lieto di constatare che anche quest'anno la FSRMM è stata attiva su diversi fronti. Tutto ciò è possibile solo grazie alla generosità dei nostri donatori, ai quali va, ancora una volta, il nostro più sentito ringraziamento.

CONSEIL DE FONDATION

Stiftungsrat
Consiglio di Fondazione

ALAIN PFULG

Avocat, Berne (Président)

MARKUS A. RÜEGG

Prof. Dr. Biozentrum, Universität Basel (Vice-président)

DIDIER BERBERAT

Avocat, anc. Conseiller aux Etats, La Chaux-de-Fonds

CHRISTINE

DE KALBERMATTEN

Directrice de l'association MaRaVal – Maladies rares Valais, Sion

NICOLE GUSSET

Dr., Präsidentin der Schweizerischen Muskelgesellschaft

HANSPETER HAGNAUER

Kassier, eidg. dipl. Bankbeamter, Häfelfingen

LAURENT VON GUNTEN

membre du comité ASRIMM, Neuchâtel

NICOLAS MERMOD

Prof. emeritus, Université de Lausanne, St-Sulpice

PAOLA RICCI

anc. Partner Ares Life Sciences, Luins (VD)

SANDRO RUSCONI

Prof. emeritus, Università di Friburgo, Arosio

SACHA STEGMANN

Responsable informatique OFCOM, Brugg

ANNA MARIA SURY

Delegata Téléthron Ticino, Muralto

GEORGE THALMANN

Prof. Dr. med., Chefarzt Urologie am Inselspital Bern

JACQUES ROGNON

Dr hc ès sciences techniques EPFL, anc. administrateur
d'EOS Holding, Colombier (Président d'honneur)

CONSEIL SCIENTIFIQUE

Wissenschaftlicher Beirat
Consiglio scientifico

MARKUS A. RÜEGG

Prof. Dr., Biozentrum, Universität Basel (Président)

MATTHIAS CHIQUET

Prof. Dr., Universität Bern

WERNER Z'GRAGGEN

Prof. Dr. med. Inselspital Bern

BERNHARD WEHRLE-HALLER

Pr Dr, Université de Genève

ELIANE ROULET-PEREZ

Pre Dr méd., Service de neuropédiatrie, CHUV, Lausanne

BUTS DE LA FONDATION

Stiftungszwecke
Obiettivi della Fondazione

La Fondation s'occupe des aspects scientifiques des maladies musculaires (myopathies) des enfants et des adultes. La Fondation a pour but de promouvoir en Suisse la recherche scientifique sur les maladies musculaires. A cette fin, elle décerne en premier lieu des bourses à des chercheurs travaillant dans ce domaine. En second lieu, elle encourage matériellement les activités scientifiques par d'autres moyens appropriés. La Fondation soutient les buts poursuivis par les associations fondatrices (ASRIMM et la Schweizerische Muskelgesellschaft) et coordonne ses efforts avec ceux d'organismes étrangers poursuivant le même but.

« La Fondation s'occupe des aspects scientifiques des maladies musculaires (myopathies) des enfants et des adultes. »

Die Stiftung befasst sich mit den wissenschaftlichen Aspekten der Muskelkrankheiten (Myopathien) von Kindern und Erwachsenen. Die Stiftung bezweckt die Förderung der wissenschaftlichen Forschung auf dem Gebiet der Muskelkrankheiten in der Schweiz. Dies erfolgt in erster Linie durch Gewährung von Stipendien an aktiv tätige Forscher, in zweiter Linie durch andere materielle Förderung wissenschaftlicher Tätigkeiten. Die Stiftung unterstützt die Ziele der Stiftergesellschaften (ASRIMM und Schweizerische Muskelgesellschaft) und ist bestrebt, ihre Anstrengungen mit ausländischen Organisationen, die denselben Zweck verfolgen, zu koordinieren.

La Fondazione si occupa degli aspetti scientifici delle malattie muscolari (miopatie) dei bambini e degli adulti. La Fondazione ha l'obiettivo di promuovere in Svizzera la ricerca scientifica sulle malattie muscolari. A tale fine, essa conferisce innanzitutto borse di ricerca per progetti che indagano in questo ambito e può inoltre sostenere materialmente le attività scientifiche con altri mezzi ritenuti adeguati. La Fondazione sostiene gli obiettivi perseguiti dalle associazioni fondatrici (ASRIMM e Schweizerische Muskelgesellschaft) e coordina i propri sforzi con quelli di organizzazioni estere impegnate per il medesimo scopo.

SEAL THERAPEUTICS AG

Bericht über den Fortschritt von SEAL Therapeutics



Gründer von SEAL Therapeutics
des Biozentrums (v.l.n.r.):
Prof. Markus Rüegg, Dr. Thomas
Meier, Dr. Judith Reinhard

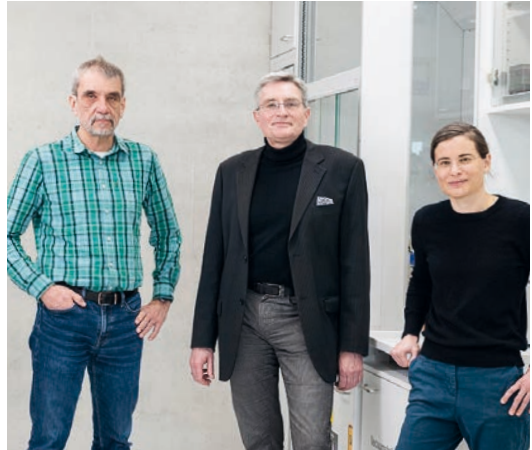


Foto: Universität Basel, Christian Flierl

SEAL Therapeutics fokussiert seine Forschungsaktivitäten auf die Entwicklung einer möglichen Therapie zur Behandlung von Patienten mit LAMA2-Muskeldystrophie (LAMA2-MD). Der ursprünglich am Biozentrum der Universität Basel unter der Leitung von Prof. Markus Rüegg und Dr. Judith Reinhard entwickelte und durch die FSRMM und andere Patientenorganisationen unterstützte Therapieansatz ist mittlerweile im TiermodeLL wissenschaftlich umfassend validiert.

Die Forscher konnten zeigen, dass das bei Patienten fehlende Strukturprotein LAMA2 funktionell ersetzt werden kann. Dazu wurden körpereigene Proteine neu konfiguriert, um als sogenannte Linkerproteine zu wirken. Diese übernehmen zentrale Funktionen des fehlenden LAMA2-Proteins und können so dem Muskelabbau entgegenwirken.

SEAL Therapeutics (SEAL Tx) wurde gegründet, um den vielversprechenden Therapieansatz in klinischen Studien an Patienten

zu erproben und langfristig zur Zulassung zu bringen. Im vergangenen Jahr hat das Team von SEAL Tx zahlreiche Gespräche mit potenziellen Industriepartnern geführt, um den klinischen Einsatz der SEAL-Technologie vorzubereiten.

Im Zentrum steht dabei insbesondere die Herstellung der viralen Vektoren, die die therapeutisch wirksamen Gensequenzen für die Linkerproteine enthalten und per Infusion verabreicht werden sollen. Die hohen Qualitätsanforderungen sowie die enorme Menge der benötigten Viruspartikel und die damit verbundenen Kosten stellen dabei eine erhebliche Herausforderung dar. Die Auswahl möglicher Kollaborationspartner, welche diese Produktion übernehmen können, ist daher komplex. Gleichzeitig sind Anstrengungen nötig, um die finanziellen Mittel in mehrstelliger Millionenhöhe zu beschaffen, welche die Herstellung dieser Viruspartikel zum möglichen klinischen Einsatz finanzieren sollen.

Rapport du conseil scientifique



À l'automne 2024, un total de 18 demandes de projets dans le domaine des maladies neuromusculaires ainsi que trois demandes concernant la polymyalgie rhumatica ont été soumises. Parmi les projets neuromusculaires, cinq demandes étaient très éloignées des objectifs de la fondation, ce qui a rendu leur financement impossible. Après un examen approfondi et en tenant compte des avis d'experts internationaux, le comité scientifique a recommandé le financement de cinq projets dans le domaine des maladies neuromusculaires ainsi que d'un projet sur la polymyalgie rhumatica. Cette année encore, « Only Project » prend en charge le financement de deux initiatives qui seront récompensées par les bourses intitulées « Paul Pettavino Fellowship » et « Philippe Ferreyrolles Fellowship ».

Tous les projets en cours sont écrits dans la brochure des projets 2025 (disponible sur le site web ou au secrétariat).

Alle laufende Projekte sind in der Projektbroschüre 2025 beschrieben (erhältlich über Webseite oder Sekretariat).

Tutti i progetti in corso sono descritti nell'opuscolo progetti 2025 (disponibile sul sito web o presso la segreteria).

Bericht des wissenschaftlichen Beirats

Rapporto del Consiglio scientifico



PROF. MARKUS A. RÜEGG,
PRÉSIDENT

Im Herbst 2024 wurden insgesamt 18 Projektgesuche im Bereich neuromuskulärer Erkrankungen sowie drei Anträge zu Polymyalgia rheumatica eingereicht. Von den neuromuskulären Projekten lagen fünf Anträge zu weit ausserhalb der Stiftungszwecke, sodass eine Förderung nicht möglich war. Nach eingehender Prüfung und unter Einbezug internationaler Expertenmeinungen empfahl der wissenschaftliche Beirat die Finanzierung von fünf Projekten im Bereich neuromuskulärer Erkrankungen sowie eines Projekts zu Polymyalgia rheumatica. Auch in diesem Jahr übernimmt «Only Project» die Finanzierung von zwei Vorhaben, die als Titel «Paul Pettavino Fellowship» beziehungsweise «Philippe Ferreyrolles Fellowship» gekennzeichnet werden.

Nell'autunno 2024 sono state inviate alla Fondazione 18 domande per progetti nel campo delle malattie neuromuscolari e tre domande per la polimialgia reumatica. Tra i progetti neuromuscolari, cinque domande trattavano temi non abbastanza inerenti agli obiettivi della Fondazione e non sono entrati nel processo di valutazione. Dopo un esame approfondito e tenendo conto del parere di esperti internazionali, il comitato scientifico ha raccomandato il finanziamento di cinque progetti nel campo delle malattie neuromuscolari e di un progetto sulla polimialgia reumatica. Anche quest'anno, «Only Project» elargisce la «Borsa Paul Pettavino» e la «Borsa Philippe Ferreyrolles» a due dei progetti selezionati.

Projets . Projekte . Progetti

Prof. Andrea Klein Inselspital Bern (Paul Pettavino Fellowship)

Prof. Frédéric Allain und Prof. Michael Sinnreich

ETH Zürich und Universitätsspital Basel

Dr. Simone Bersini Ente Ospedaliero Cantonale, Lugano

(Philippe Ferreyrolles Fellowship)

Prof. Christoph Handschin Universität Basel

Dr. med. Nils Briel Universitätsspital Zürich

Dr. med. Lisa Christ Inselspital Bern

Rapports 2024

Diagnostic moléculaire et mécanismes naturels de protection des myopathies mitochondriales



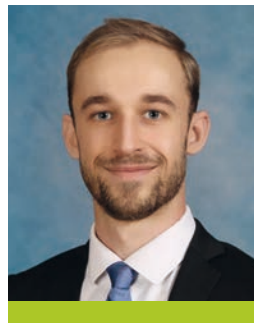
PROF. ALEXIS JOURDAIN
UNIVERSITE DE LAUSANNE

BOURSE 2022 – 2024

Les maladies mitochondriales sont un groupe de maladies génétiques rares qui affectent principalement les tissus ayant de grands besoins en énergie, comme les muscles squelettiques, le cœur et le cerveau. Dans les muscles, ces maladies peuvent provoquer une grande variété de symptômes : faiblesse musculaire, intolérance à l'exercice, douleurs, crampes, troubles du tonus, perte de masse musculaire et, dans les formes sévères, paralysie progressive. Ces atteintes peuvent être isolées ou s'accompagner d'autres troubles comme des troubles neurologiques, cardiaques ou métaboliques.

Ces maladies sont causées par des défauts des mitochondries, les « centrales énergétiques » des cellules. Or, malgré les progrès des techniques de séquençage de l'ADN, l'identification des gènes responsables de ces maladies reste difficile : chez près de 50 % des patients, on ne parvient pas à trouver l'anomalie génétique responsable, ce qui rend le diagnostic et le suivi thérapeutique incertains.

Dans ce projet, nous avons utilisé une approche génétique à large échelle (CRISPR-Cas9) pour identifier de façon systématique les gènes essentiels au bon fonctionnement des mitochondries. Nous avons ainsi constitué un inventaire de 481 gènes indispensables à la production d'énergie cellulaire, dont 157 déjà connus pour être liés à des maladies mitochondriales humaines. Cette liste enrichie contient aussi de nombreux nouveaux gènes candidats qui pourraient expliquer des cas non diagnostiqués de myopathies mitochondriales ou d'autres troubles neuromusculaires. Cet inventaire représente une avancée majeure pour le diagnostic génétique des maladies musculaires d'origine mitochondriale. Il pourra guider les analyses



DR. MARCELL HARHAI
UNIVERSITE DE LAUSANNE

génétiques des patients, améliorer la précision des diagnostics, orienter les choix thérapeutiques, et faciliter le développement futur de traitements personnalisés ciblant les défauts mitochondriaux.

Entwicklung einer Open-source-Software für die Erfassung und Analyse von Muskel-MRT-Daten bei fazio-skapulo-humeraler Muskeldystrophie



DR. CLAUDIA WEIDENSTEINER
UNIVERSITÄT BASEL

FORSCHUNGSTIPENDIUM
2024

Die Magnetresonanztomographie (MRT) spielt eine entscheidende Rolle bei der Diagnose und den Verlaufskontrollen der fazioskapulohumeralen Muskeldystrophie (FSHD). Ziel unseres Projekts war die Entwicklung eines standardisierten MRT-Aufnahmeprotokolls sowie einer Software zur standardisierten Datenauswertung. Diese Standardisierung ist für die anstehenden klinischen Studien wichtig, um eine Vergleichbarkeit der Daten aus verschiedenen klinischen Zentren sicherzustellen – selbst wenn die Daten mit unterschiedlichen MRT-Tomographen aufgenommen wurden. Das MRT-Aufnahmeprotokoll gewährleistet reproduzierbare Messergebnisse unabhängig vom Tomographentyp. Bei der Auswertungssoftware wurden vorhandene Softwareapplikationen adaptiert und integriert, so dass die Daten eingelesen, verarbeitet und in einem standardisierten Format wieder ausgelesen und gespeichert werden können. Die Datenauswertung wurde an bereits vorhandenen FSHD-Studiendaten getestet. Software und Aufnahmeprotokoll zeichnen sich durch ihre Transparenz und Adaptierbarkeit aus und wurden zur freien Verfügung veröffentlicht, um in Studien bei FSHD und anderen Muskelerkrankungen eingesetzt zu werden.

ENMC

Mid-Career Mentoring Programme

Depuis 2021, l'ENMC met en œuvre le programme de mentorat à mi-carrière, conçu pour soutenir les chercheurs dans le domaine des maladies neuromusculaires (NMD) qui se trouvent à un moment charnière de leur carrière – en développant des lignes de recherche indépendantes, en dirigeant des équipes et en établissant des réseaux de collaboration. Son principal objectif est de former la prochaine génération de spécialistes internationaux des maladies neuromusculaires et de leaders potentiels en les aidant à exploiter pleinement leur potentiel et à renforcer leur impact sur le paysage de la recherche. Le programme n'est pas axé sur la formation scientifique ou clinique, mais plutôt sur la développement professionnel, du leadership de l'avancement stratégique de la carrière. Les domaines de mentorat comprennent l'élargissement des réseaux professionnels, l'augmentation de la visibilité, le renforcement de la collaboration avec l'industrie, l'amélioration de la rédaction des demandes de subvention et l'amélioration de la délégation du travail. Le mentorat aide également ces personnes à comprendre le paysage plus large des NMD, y compris l'engagement avec la biotechnologie, les sociétés pharmaceutiques, les organismes de réglementation et les organisations de patients.

EUROPEAN
NEURO
MUSCULAR
CENTRE



Chaque participant est associé à deux ou trois mentors issus d'un groupe de 28 experts, choisis pour la complémentarité de leurs expériences (par exemple, dans le monde universitaire et dans l'industrie). Ces mentors rencontrent leur mentoré individuellement, environ 4 à 6 fois par an, dans le cadre de sessions virtuelles ou en personne. Le cycle complet de mentorat s'étend généralement sur trois ans. Actuellement, le programme compte 7 participants actifs, dont 4 ont récemment achevé leur parcours de mentorat. Les réactions ont été extrêmement posi-

tives. Selon elles, le programme les a aidées à fixer des priorités, à prendre confiance en elles, à franchir des étapes académiques (par exemple, l'obtention d'un poste de professeur associé) et à mieux concilier leurs responsabilités personnelles et professionnelles. Tous les participants ont indiqué qu'ils étaient très proches de leurs mentors et ont exprimé le souhait de maintenir ces relations au-delà du programme formel.

CARE-NMD-CH

Care Management verbesserte Versorgung und Zufriedenheit

Care Managerinnen,
Projektteam und Dozierende



Im Rahmen des Projekts Care-NMD-CH wurde zwischen 2020 und 2025 ein evidenzbasiertes, familienzentriertes Care Management (CM) für Menschen mit neuromuskulären Erkrankungen (NMD) in der Schweiz entwickelt, implementiert und wissenschaftlich evaluiert. Ziel war es, die Versorgungsqualität zu verbessern und eine koordinierte, interprofessionelle Betreuung nachhaltig zu verankern.

Die Care Managerinnen, die an acht neuromuskulären Zentren tätig waren, absolvierten eine zweijährige, berufsbegleitende Weiterbildung, die im Rahmen des Projekts konzipiert wurde. Sie vernetzten sich standortübergreifend, führten Praktika durch und erstellten praxisnahe Fallberichte. Die Mehrheit konnte ihre Tätigkeit auch nach Projektende fortsetzen – ein deutliches Zeichen für den praktischen Nutzen und die institutionelle Verankerung dieser neuen Rolle.

Erste Evaluationsergebnisse zeigten, dass die durchschnittliche Zufriedenheit mit dem

Care Management sehr hoch war. Auch die Versorgungsqualität in den beteiligten Zentren wurde von Betroffenen und Angehörigen äusserst positiv bewertet. Durch ihre koordinierende Rolle stärkten die Care Managerinnen die interprofessionelle Zusammenarbeit, verbesserten die Kommunikation zwischen Patient:innen, Familien und Fachpersonen und trugen zur Reduktion von Versorgungslücken bei. Erste wissenschaftliche Publikationen sind in Vorbereitung.

Das Projekt wurde von der ZHAW im Auftrag der Schweizerischen Muskelgesellschaft durchgeführt – in Zusammenarbeit mit führenden Spitälern und Institutionen aus allen drei Sprachregionen der Schweiz.

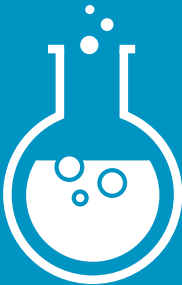
Ein herzlicher Dank gilt der Schweizerischen Muskelgesellschaft, der FSRMM, der ALS Stiftung sowie allen teilnehmenden Patient:innen, Angehörigen und Fachpersonen für ihre engagierte Mitwirkung und wertvolle Unterstützung.

CHIFFRES + FAITS

Zahlen + Fakten . Fatti + Cifre

1987 – 2024

Dépenses totales . Gesamtaufwendungen . Investimenti totali
1987 – 2024: CHF 34 Mio



PROJETS DE RECHERCHE

Forschungsprojekte . Progetti di ricerca

CHF 27'712 (COÛTS TOTAUX . Gesamtkosten . Costi totali)

 169 (NOMBRE TOTAL DES BOURSES . Stipendien gesamt . Borse di ricerca totali)

BASEL	CHF 8'718		52
UNI	CHF 6'756		40
FMI	CHF 1'962		12

BERN	CHF 3'439		25
-------------	------------------	---	----

ZÜRICH	CHF 4'861		27
UNI	CHF 2'108		11
ETH	CHF 2'753		16

LAUSANNE	CHF 3'288		18
UNI	CHF 2'437		13
EPFL	CHF 851		5

GENÈVE	CHF 6'824		44
---------------	------------------	---	----

FRIBOURG	CHF 99		1
-----------------	---------------	---	---

LUGANO	CHF 483		2
---------------	----------------	---	---

MONTANT . Betrag . importo *1000 (CHF)

ESSAIS CLINIQUES

Klinische Studien . Studi clinici



CHF 743  8

PROJETS DE DIAGNOSTIC

Projekte Diagnostik .

Progetti di diagnostica



CHF 1597  14

CONFERENCES + ATELIERS

Meetings + Workshops

Conferenze + workshop



ENMC

CHF 1138  282

Autre

CHF 434  44

MONTANT . Betrag . importo *1000 (CHF)

AUTRES INVESTISSEMENTS

Andere Investitionen

Altri investimenti

MD/PhD programme

CHF 780  5

Formation . Weiterbildungen .

Corsi di formazione

CHF 125  3

Myosuisse Netzwerk + Registres de patients

CHF 286

Chaire de Myologie Uni Basel

CHF 300

Collagen VI-Alliance

CHF 13  2

Polymyalgie rhumatismale

CHF 791  6

FINANCES

Finanzen . Finance

LES CHIFFRES CLÉS DE L'ANNÉE 2024

Die Kennzahlen des Jahres 2024 . Le cifre dell'anno 2024

IN CHF	2024	2023
Actif circulant . Umlaufvermögen . Attivo circolante	1'184'632	1'236'864
Liquidités . davon Liquidität . Liquidità	1'184'632	1'236'864
Placements . Anlagen . Investimenti	20'405'293	18'598'388
Recettes selon les buts de la Fondation . Erträge gem. Stiftungszweck . Proventi ai sensi degli obiettivi di Fondazione	944'323	933'143
dont Téléthon . davon Telethon . di cui Telethon	300'000	290'000
dont Bienfaiteurs . davon Spenden . di cui donazioni	28'045	27'804
dont Fondations . davon Stiftungen . di cui fondazioni	616'277	615'339
Dépenses selon les buts de la Fondation . Aufwendungen gem. Stiftungszweck . Oneri ai sensi degli obiettivi di Fondazione	– 820'647	– 1'246'837
dont bourses et séminaires . davon Stipendien & Seminare . di cui borse e seminari	– 740'667	– 1'212'454
dont cotisations . davon Mitgliedschaften . di cui quote associative	– 79'979	– 34'383
Résultat brut selon les buts de la Fondation . Bruttoergebnis gem. Stiftungszweck . Risultato lordo ai sensi degli obiettivi di Fondazione	123'675	-313'694
Frais de personnels . Personalaufwand . Spese di personale	– 68'352	– 48'970
Mandate & Fundraising . mandats et collecte de fonds . mandati e raccolta fondi	– 149'840	– 164'169
Autres frais de gestion . übriger betrieblicher Aufwand . altri oneri di gestione	– 67'088	– 63'934
Résultat net selon les buts de la Fondation . Nettoergebnis gem. Stiftungszweck . Risultato netto ai sensi degli obiettivi di Fondazione	– 161'605	– 590'768
Résultat net après attribution/utilisation des réserves de l'héritage* . Nettoergebnis nach Zuweisung/Verwendung Reserven Erbschaft* . Netto dopo attribuzione/utilizzazione delle riserve del lascito*	1'661'458	615'092

* Les variations des placements sont exclues, mais apparaissent dans les comptes détaillés qui sont disponibles auprès du secrétariat.

* Die Schwankungen der Anlagen sind hier ausgeklammert, erscheinen jedoch in der detaillierten Jahresrechnung, erhältlich auf Anfrage im Sekretariat.

* Le fluttuazioni degli investimenti sono qui escluse, ma appaiono nel conto annuale dettagliato disponibile presso la segreteria.

KOMMENTAR ZU DEN FINANZEN



HANSPETER HAGNAUER,
KASSIER

Der Jahresabschluss der Stiftung weist für das Geschäftsjahr 2024 einen Gewinn von CHF 1'661'458. Diese Zahl, welche auch im Jahresbericht publiziert wird, entspricht dem Resultat unter Ausklammerung der Finanzaufwendungen und -erträge. Verglichen mit dem Vorjahr ein erfreuliches Ergebnis. Die Finanzanlagen haben bei allen Anlageklassen positiv performt.

Die ausbezahlten Stipendien beliefen sich im Jahr 2024 auf rund CHF 740 Tsd., deutlich weniger als im Vorjahr. Die übrigen Kosten wie Löhne, Mandate und übrige Betriebskosten bewegen sich auf Vorjahreshöhe.

Die Erträge aus Spenden, Stiftungen und Téléthon entsprachen ziemlich genau dem Budget. Die Erträge aus der Erbschaft steigen dagegen erfreulicherweise jedes Jahr an. Der abgeschlossene Umbau der Liegenschaft in Cemier

ist abgeschlossen und trägt zum Ergebnis bei. Das Vermögen der Stiftung ist bei verschiedenen Banken (UBS, BCN und BLKB) konservativ angelegt. Die oben erwähnte positive Entwicklung an den Finanzmärkten hat zu einem markanten Buchgewinn von ca. CHF 1,9 Mio. geführt. Die erzielte Rendite der Anlagen (Kapitalerträge und Buchgewinne) bei den Anlagen betrug insgesamt ca. 8% und ist sehr erfreulich. Unsere Anlagestrategie konzentriert sich auf stetige Erträge und unsere Stiftung kann Kursschwankungen gut verkraften. Die Vergangenheit zeigt, dass auf Kursverluste auch Kursgewinne folgen können. Auf die Risiken wie Bonität, Währungen und Laufzeiten richten wir unser besonderes Augenmerk. Die Asset-Allocation haben wir in den letzten Jahren dabei nur punktuell angepasst.

HANSPETER HAGNAUER, KASSIER

SANTHERA PHARMACEUTICALS

Im Jahr 2024 und bis Mitte 2025 hat Santhera erneut bedeutende Erfolge erzielt: AGAMREE® (Vamorolon) hat inzwischen in zahlreichen Ländern die Zulassung bekommen, die internationale Versorgung wurde ausgeweitet, und neue Studien konnten initiiert werden. Damit rückt ein zentrales Ziel näher: möglichst vielen Menschen mit Duchenne Muskeldystrophie (DMD) frühzeitig Zugang zu einer gut verträglichen Therapie zu ermöglichen. Es ist mir eine Freude, die wichtigsten Entwicklungen mit Ihnen zu teilen.



SHABIR HASHAM, MD, CHIEF MEDICAL OFFICER

Weltweite Zulassungen und Marktzugänge für AGAMREE – Weiterer Fortschritt bei der Behandlung der Duchenne Muskeldystrophie

Nach den zentralen Zulassungen Ende 2023/Anfang 2024 durch die zuständigen Behörden in den USA, der EU und UK (FDA, EMA und MHRA) sowie den ersten Verkäufen in den USA und Deutschland, konnte Santhera seine globale Expansionsstrategie konsequent wei-

ter umsetzen. So wurde AGAMREE im April 2024 in Grossbritannien vollumfänglich kommerziell verfügbar gemacht. Zahlreiche vorbereitende Aktivitäten folgten, so dass das Medikament inzwischen in weiteren Ländern erhältlich ist oder kurz vor der Einführung steht.

Besonders erfreulich ist auch die Zulassung in China im Dezember 2024. Die Markteinführung durch unseren Partner Sperogenix ist für Mitte 2025 vorgesehen. Bereits seit Mai 2024 erhalten erste Patienten AGAMREE dort über ein spezielles Frühzugangsprogramm.

Im Rahmen dieser internationalen Zulassungsprozesse ist für uns besonders bedeutsam, dass verschiedene Aufsichtsbehörden die verbesserten Sicherheitsmerkmale von AGAMREE im Vergleich zu herkömmlichen Kortikosteroiden, bei vergleichbarer Wirksamkeit, ausdrücklich anerkannt haben. AGAMREE hat entzündungshemmende Eigenschaften, verursacht keine Wachstumsverzögerungen und bewahrt die Knochengesundheit. Dieses Medikament hat das Potenzial, die therapeutische Landschaft für DMD neu zu definieren. AGAMREE dürfte einen bedeutenden Fortschritt in der Be-

handlung von DMD darstellen und die Lebensqualität der Betroffenen erheblich verbessern.

Gelungene Markteinführung und wachsende Nachfrage in Europa

Santhera arbeitet intensiv daran, AGAMREE in weiteren europäischen Ländern schnellstmöglich verfügbar zu machen. Dabei werden wir unter anderem von unserem Partner GENESIS Pharma unterstützt, der AGAMREE in mehreren mittel- und südosteuropäischen Ländern vertreibt. So können immer mehr Kinder und Jugendliche mit DMD von dieser innovativen Therapie profitieren.

Partnerschaft mit Catalyst sichert die Versorgung in Nordamerika

Durch unseren US-Partner Catalyst Pharmaceuticals ist AGAMREE seit März 2024 in den USA erhältlich. Catalyst verzeichnete bereits im ersten Jahr signifikante Umsätze, die die Erwartungen deutlich übertrafen, und treibt zudem die Zulassungsaktivitäten in Kanada und Mexiko aktiv voran. Meilensteinzahlungen und Lizenzgebühren aus dieser Partnerschaft stärken die finanzielle Basis von Santhera nachhaltig.

Langzeitdaten und klinische Erweiterung nach der Zulassungslassung

Im zweiten Halbjahr 2024 startete das so genannte Post-Marketing-Programm zur weiteren Charakterisierung des Nutzen-Risiko-Profiles von AGAMREE. Die offene GUARDIAN-Studie ermöglicht Patienten, die bereits im Entwicklungsprogramm eingeschlossen waren, die Behandlung fortzusetzen, während systematisch Langzeitdaten zu Sicherheit und Wirksamkeit erhoben werden. Darüber hinaus wurden Studien für jüngere Patientengruppen und zur kardioprotektiven Wirkung von Agamree aufgesetzt.

In mehreren Ländern wurden mittlerweile Named Patient- und Early Access-Programme initiiert, die Patienten unter gewissen Auflagen den Zugang zu neuen Medikamenten oder The-

rapien bereits vor offizieller Zulassung ermöglichen. So läuft etwa seit Juni 2024 ein entsprechendes Programm in Spanien, das Patienten vor der Kostenübernahme durch die Krankenkassen mit AGAMREE versorgt.

AGAMREE birgt Potenzial für weitere Indikationen

Vamorolon stellt eine „Entwicklungspipeline in einem Molekül“ dar und bietet über die erste Indikation DMD hinaus Anwendungsmöglichkeiten. Im neuromuskulären Bereich läuft derzeit eine von der FDA finanzierte klinische Phase-2-Pilot-Studie mit Vamorolon bei Becker-Muskeldystrophie (BMD), einer fortschreitenden Muskelschwundkrankheit, die der DMD ähnelt, aber in der Regel milder verläuft.

Als dissoziatives Steroid hat Vamorolon darüber hinaus das Potenzial, weitere entzündliche Erkrankungen zu behandeln, bei denen eine langfristige Kortikosteroidtherapie zwar notwendig, aber aufgrund erheblicher Nebenwirkungen problematisch ist. Gemeinsam mit Catalyst prüfen wir die Entwicklung von AGAMREE als Steroidalternative für weitere seltene Krankheiten, insbesondere im pädiatrischen Bereich, bei denen ein Produktprofil wie das von AGAMREE einen klaren klinischen Nutzen gegenüber den derzeitigen Behandlungsstandards erwarten lässt und für die ein hoher medizinischer Bedarf besteht.

AGAMREE verändert die Behandlung von DMD mit besseren Aussichten für die Betroffenen.

Wir setzen alles daran, künftig an erreichte Erfolge anzuknüpfen. Auch im Namen meiner Kolleginnen und Kollegen aus Geschäftsleitung, Verwaltungsrat und dem gesamten Santhera-Team danke ich Ihnen für Ihr Interesse und Ihre Unterstützung.

TELETHON



info@telethon.ch, www.telethon.ch

Une récolte de
dons unique
pour les personnes
atteintes de
maladies
neuromusculaires



Tournage des reportages à Bâle avec Alain Pfulg, président de la FSRMM . Dreharbeiten der Reportagen in Basel mit Alain Pfulg, Präsident der FSRMM . Riprese dei reportage a Basilea con Alain Pfulg, presidente della FSRMM

Depuis bientôt quarante ans, la Fondation Téléthon Action Suisse œuvre pour soutenir la recherche et améliorer le quotidien des personnes atteintes de maladies neuromusculaires. Grâce à l'engagement de milliers de bénévoles, elle contribue à faire progresser la connaissance scientifique et à renforcer l'accompagnement des malades.

Notre trésor : les bénévoles

En 2024, la mobilisation des bénévoles est restée exemplaire. Notamment en Suisse romande et au Tessin, des milliers de personnes ont fait preuve d'imagination et d'une grande solidarité pour créer des repas, des lotos, des défis sportifs ou des ventes artisanales au profit du Téléthon.

Les sapeurs-pompiers, les jeunes gens vaudoises, les samaritains et de très nombreux autres groupements se sont mobilisés dans un seul objectif : récolter des fonds.

Le centre de coordination du Téléthon Suisse accompagne près de 300 manifestations chaque année, que ce soit en termes de conseil, de logistique pour le matériel et de suivi de leur expérience sur le terrain.

Chaque initiative a contribué à renforcer notre impact et nous leur adressons notre plus profonde gratitude.

Un reportage sur la recherche à Bâle

Avec la précieuse collaboration de la FSRMM, nous avons réalisé un reportage inédit dans les laboratoires de Bâle. Cette immersion avec les équipes des Prs. Markus Rüegg et Susan Treves a permis de mettre en lumière le travail des chercheurs, d'expliquer les avancées scientifiques en cours, les enjeux financiers et de vulgariser au maximum cette thématique pour le grand public. Un reportage à retrouver sur la chaîne YouTube du Téléthon.

Le deuxième tome des aventures de Mia

Depuis 2023, nous éditons un livre jeunesse illustré comme objet d'appel aux dons. Cette aventure divertissante pour toute la famille nous permet d'aborder avec distance et humour les difficultés liées à la maladie. L'histoire de Mia a conquis les petits et les grands en partageant des valeurs comme la solidarité, la diversité et l'inclusion.

Pour la deuxième année, notre présence au Salon du livre de Genève a été une belle occasion de faire découvrir nos livres à un public varié, au travers de dédicaces avec les autrices, d'atelier avec notre illustratrice et de belles rencontres.

Eine einzigartige Spendensammlung für Menschen mit neuromuskulären Erkrankungen

Seit fast vierzig Jahren setzt sich die Stiftung Telethon Aktion Schweiz dafür ein, die Forschung zu unterstützen und den Alltag von Menschen mit neuromuskulären Erkrankungen zu verbessern. Dank dem Engagement von Tausenden von Freiwilligen trägt sie dazu bei, das wissenschaftliche Wissen voranzubringen und die Betreuung der Betroffenen zu stärken.

Unser Schatz: die Freiwilligen

Im Jahr 2024 blieb das Engagement der Freiwilligen beispielhaft. Besonders in der Westschweiz und im Tessin zeigten Tausende von Menschen Einfallsreichtum und grosse Solidarität, indem sie Mahlzeiten, Lottospiele, sportliche Herausforderungen oder Handwerksverkäufe zugunsten von Telethon organisierten. Feuerwehrcorps, Jugendgruppen aus dem Kanton Waadt, Samaritervereine und viele andere Gruppen engagierten sich mit einem gemeinsamen Ziel: Spenden zu sammeln. Das Koordinationszentrum Telethon Schweiz begleitet jedes Jahr rund 300 Veranstaltungen – mit Beratung, Logistik für das Material und Betreuung der Erfahrungen vor Ort. Jede Initiative hat dazu beigetragen, unsere Wirkung zu verstärken, und wir möchten ihnen unseren tiefsten Dank aussprechen.

Eine Reportage über die Forschung in Basel

In enger Zusammenarbeit mit der FSRMM haben wir eine noch nie dagewesene Reportage in den Basler Laboren realisiert. Diese Einblicke mit den Teams von Profs. Markus Rüegg und Susan Treves ermöglichten es, die Arbeit der

Forschenden zu beleuchten, die aktuellen wissenschaftlichen Fortschritte und finanziellen Herausforderungen zu erklären und das Thema für die breite Öffentlichkeit möglichst verständlich darzustellen. Die Reportage ist auf dem YouTube-Kanal von Telethon zu finden.

Der zweite Band von Mias Abenteuern

Seit 2023 geben wir ein illustriertes Kinderbuch als Spendenaufruf heraus. Dieses unterhaltsame Abenteuer für die ganze Familie erlaubt es uns, mit Abstand und Humor über die Schwierigkeiten im Zusammenhang der Krankheit zu sprechen. Mias Geschichte hat Jung und Alt begeistert, indem sie Werte wie Solidarität, Vielfalt und Inklusion vermittelt. Zum zweiten Mal war unsere Präsenz auf der Buchmesse in Genf eine schöne Gelegenheit, unsere Bücher einem vielfältigen Publikum vorzustellen – mit Signierstunden der Autorinnen, einem Workshop mit unserer Illustratorin und vielen schönen Begegnungen.



Sophie Evard et Nicole Devals, créatrices de notre livre jeunesse, au Salon du livre de Genève
Sophie Evard und Nicole Devals, die Autorinnen unseres Kinderbuchs, auf der Buchmesse in Genf
Sophie Evard e Nicole Devals, creatrici del nostro libro per bambini, al Salone del Libro di Ginevra

Una raccolta fondi unica per le persone affette da malattie neuromuscolari



L'équipe
qui prépare la
polenta au Tessin

Das Team,
das im Tessin
Polenta zubereitet

Il team che
prepara la polenta
in Ticino

Fin dalla sua creazione, la Fondazione Telethon Azione Svizzera si è dedicata a sostenere la ricerca e ad aiutare le persone affette da malattie neuromuscolari. Nel corso degli anni, l'organizzazione ha mobilitato migliaia di volontari e raccolto ingenti fondi per far progredire le conoscenze e migliorare la vita dei pazienti.

Il nostro patrimonio: i volontari

Nel 2024, la mobilitazione dei volontari è rimasta esemplare. In particolare nella Svizzera romanda e in Ticino, migliaia di persone hanno messo in campo molta creatività e grande solidarietà organizzando pranzi, cene, lotterie, sfide sportive o vendite artigianali a favore del Telethon. I pompieri, varie associazioni, i samaritani e molti altri gruppi si sono mobilitati con un unico obiettivo: raccogliere fondi. Il centro di coordinamento di Telethon accompagna ogni anno circa 300 eventi, fornendo consulenza, logistica per il materiale e supporto sul campo. Ogni iniziativa ha contribuito a rafforzare il nostro impatto. Siamo profondamente grati a tutti coloro che si sono adoperati in questo senso.

Un reportage sulla ricerca a Basilea

Con la preziosa collaborazione della FSRMM, abbiamo realizzato un reportage unico nei laboratori di Basilea. La visita, accompagnata dai team dei Prof. Markus Rüegg e Susan Treves, ha permesso di mettere in luce il lavoro dei ricercatori, spiegare i progressi scientifici in corso e divulgare questo tema al grande pubblico. Il reportage è disponibile sul canale YouTube di Telethon.

Il secondo volume delle avventure di Mia

Dal 2023, pubblichiamo un libro illustrato per bambini come oggetto per la raccolta fondi. Attraverso le avventure di Mia, divertenti per tutta la famiglia, possiamo affrontare con distacco e umorismo le difficoltà legate alla malattia. La storia di Mia ha conquistato grandi e piccoli trasmettendo valori come solidarietà, diversità e inclusione. Per il secondo anno, la nostra presenza al Salone del Libro di Ginevra è stata una bella occasione per far conoscere i nostri libri a un pubblico variegato, attraverso sessioni di autografi con le autrici, un atelier con la nostra illustratrice e tanti begli incontri.

PARTENAIRES

Partner



FONDATION TÉLÉTHON ACTION SUISSE
STIFTUNG TELETHON AKTION SCHWEIZ
FONDAZIONE TELETHON AZIONE SVIZZERA



ONLY
PROJECT

anciennement Association Monégasque
contre les Myopathies

Philippe Ferreyrolles Fellowship
Paul Pettavino Fellowship

**DR. H.C. EMILE
DREYFUS-STIFTUNG**



DUCKERT



David Bruderer Stiftung, Uitikon
SWF Stiftung für wissenschaftliche Forschung, Zürich

INSTITUTIONS FONDATRICES DE LA FSRMM

Stiftergesellschaften
Associazioni Fondatrici



www.asrimm.ch



www.muskelgesellschaft.ch

CONTACT

Kontakt
Contatti

FONDATION SUISSE DE RECHERCHE SUR LES MALADIES MUSCULAIRES (FSRMM)

SECRÉTARIAT

Chemin des Saules 4B . 2013 Colombier

www.fsrm.ch

Tel. 078 629 63 92

info@fsrm.ch . philippe.rognon@fsrm.ch

DONATIONS

N° IBAN: CH58 0076 9016 4217 0089 6

IMPRESSUM

Photographie: Vera Markus, Téléthron, Santhera Pharmaceuticals

Conception & Design: Barbara Kuberczyk Kommunikationsdesign

Typographie: Grafisches Service-Zentrum, Wohn- und Bürozentrum für Körperbehinderte, Reinach