



BILANCIO AL 31 DICEMBRE 2016

STATO PATRIMONIALE

CONTO ECONOMICO

RELAZIONE SULLA GESTIONE

STATO PATRIMONIALE

| ATTIVO | 31/12/2016 | 31/12/2015 |
|--|-------------------|-------------------|
| A) CREDITI VERSO ASSOCIATI PER QUOTE | | |
| B) IMMOBILIZZAZIONI | | |
| <i>I) Immobilizzazioni immateriali</i> | | |
| Totale immobilizzazioni immateriali (I) | 0 | 0 |
| <i>II) Immobilizzazioni materiali</i> | | |
| 1) Immobili | 0 | 0 |
| 2) Impianti e attrezzature | 0 | 0 |
| 3) altri beni | 0 | 0 |
| Totale immobilizzazioni materiali (II) | 0 | 0 |
| <i>III) Immobilizzazioni finanziarie</i> | | |
| 1) partecipazioni | 0 | 0 |
| 2) crediti | 0 | 0 |
| 3) altri titoli | 269.845 | 666.933 |
| Totale immobilizzazioni finanziarie (III) | 269.845 | 666.933 |
| Totale immobilizzazioni (B) | 269.845 | 666.933 |
| C) ATTIVO CIRCOLANTE | | |
| <i>I) Rimanenze</i> | | |
| 1) Materie prime, sussidiarie e di consumo | 0 | 0 |
| 2) Prodotti finiti e merci | 0 | 0 |
| 3) materiale generico contribuito da terzi e da utilizzare in occasione di attività di found rising | 0 | 0 |
| 4) Altro | 0 | 0 |
| Totale rimanenze (I) | 0 | 0 |
| <i>II) Crediti</i> | | |
| 1) Verso clienti | | |

| | | |
|--|----------------|------------------|
| a) Esigibili entro 12 mesi | 0 | 0 |
| b) Esigibili oltre 12 mesi | 0 | 0 |
| Totale crediti verso clienti (1) | 0 | 0 |
| 2) Crediti per liberalità da ricevere | | |
| a) Esigibili entro 12 mesi | 0 | 0 |
| b) Esigibili oltre 12 mesi | 0 | 0 |
| Totale crediti per liberalità da ricevere (2) | 0 | 0 |
| 3) Verso altri | | |
| a) Esigibili entro 12 mesi | 0 | 0 |
| b) Esigibili oltre 12 mesi | 0 | 0 |
| Totale crediti verso altri (3) | 0 | 0 |
| Totale crediti (II) | 0 | 0 |
| <i>III) Attività finanziarie che non costituiscono immobilizzazioni</i> | | |
| 1) titoli | 0 | 0 |
| Totale Attività finanziarie che non costituiscono immobilizzazioni (III) | 0 | 0 |
| <i>IV) Disponibilità liquide</i> | | |
| 1) Depositi bancari e postali | 713.344 | 433.952 |
| 2) Assegni | 0 | 0 |
| 3) Denaro e valori in cassa | 0 | 0 |
| Totale disponibilità liquide (IV) | 713.344 | 433.952 |
| Totale attivo circolante (C) | 713.344 | 433.952 |
| TOTALE ATTIVO | 983.189 | 1.100.885 |

| PASSIVO | 31/12/2016 | 31/12/2015 |
|--|-------------------|-------------------|
| A) PATRIMONIO NETTO | | |
| I) Patrimonio libero | 1.100.885 | 1.024.111 |
| 1) Risultato gestionale esercizio in corso | (117.696) | 76.774 |
| 2) Risultato gestionale da esercizi precedenti | 1.100.885 | 1.024.111 |
| 2) Riserve statutarie | 0 | 0 |
| 3) Contributi in conto capitale liberamente utilizzabili | 0 | 0 |
| II) Fondo di dotazione dell'Ente | 0 | 0 |
| III) Patrimonio vincolato | 0 | 0 |
| Totale patrimonio netto (A) | 983.189 | 1.100.885 |
| B) FONDI PER RISCHI E ONERI | | |
| | 0 | 0 |
| C) TRATTAMENTO DI FINE RAPP. DI LAVORO SUB. | | |
| | 0 | 0 |
| D) DEBITI | | |
| 1) Debiti per contributi ancora da erogare | | |
| a) Entro 12 mesi | 0 | 0 |
| b) Oltre 12 mesi | 0 | 0 |
| Totale debiti per contributi ancora da erogare (1) | 0 | 0 |
| 2) Debiti verso banche | | |
| a) Entro 12 mesi | 0 | 0 |
| b) Oltre 12 mesi | 0 | 0 |
| Totale debiti verso banche (2) | 0 | 0 |
| 3) Debiti verso altri finanziatori | | |
| a) Entro 12 mesi | 0 | 0 |
| b) Oltre 12 mesi | 0 | 0 |
| Totale debiti verso altri finanziatori (3) | 0 | 0 |
| 4) Debiti verso fornitori | | |
| a) Entro 12 mesi | 0 | 0 |
| b) Oltre 12 mesi | 0 | 0 |

| | | |
|--|----------------|------------------|
| Totale debiti verso fornitori (4) | 0 | 0 |
| 5) Debiti tributari | | |
| a) Entro 12 mesi | 0 | 0 |
| b) Oltre 12 mesi | 0 | 0 |
| Totale debiti tributari (5) | 0 | 0 |
| 6) Debiti vs istituti di prev. e sicur. sociale | | |
| a) Entro 12 mesi | 0 | 0 |
| b) Oltre 12 mesi | 0 | 0 |
| Totale debiti vs ist. prev. e sicur. soc. (13) | 0 | 0 |
| 7) Debiti per rimborsi spese nei confronti di lavoratori volontari | | |
| a) Entro 12 mesi | 0 | 0 |
| b) Oltre 12 mesi | 0 | 0 |
| Totale debiti per rimb. spese nei confronti di lav. volontari (14) | 0 | 0 |
| 7) Altri debiti | | |
| a) Entro 12 mesi | 0 | 0 |
| b) Oltre 12 mesi | 0 | 0 |
| Totale altri debiti (14) | 0 | 0 |
| Totale debiti (D) | 0 | 0 |
| TOTALE PASSIVO | 983.189 | 1.100.885 |

C ONTO ECONOMICO

| | <i>31/12/2016</i> | <i>31/12/2015</i> |
|---------------------------------------|-------------------|-------------------|
| A) PROVENTI | | |
| 1) Proventi da attività tipiche | 0 | 0 |
| a) Da contributi su progetti | 0 | 0 |
| b) Da contratti con enti pubblici | 0 | 0 |
| c) Da soci ed associati | 0 | 0 |
| d) Da non soci | 0 | 0 |
| a) Altri proventi | 0 | 0 |
| 2) Proventi da raccolta fondi | 161.648 | 180.639 |
| a) Raccolta di fondi "GoFAR" | 71.793 | 101.103 |
| b) Proventi da contributi | 89.855 | 79.536 |
| c) Ricavi di vendita | 0 | 0 |
| 3) Proventi da attività accessorie | 0 | 0 |
| a) Da contributi su progetti | 0 | 0 |
| b) Da contratti con enti pubblici | 0 | 0 |
| c) Da soci ed associati | 0 | 0 |
| d) Da non soci | 0 | 0 |
| e) Altri proventi | 0 | 0 |
| 4) Proventi finanziari e patrimoniali | 10.161 | 23.768 |
| a) Da depositi bancari | 7.249 | 20.927 |
| b) Da altre attività | 0 | 0 |
| c) Da patrimonio edilizio | 0 | 0 |
| d) Da altri beni patrimoniali | 2.912 | 2.841 |
| 5) Proventi straordinari | 0 | 0 |
| a) Da attività finanziaria | 0 | 0 |

| | | |
|----------------------------|---|---|
| b) Da attività immobiliari | 0 | 0 |
| c) Da altre attività | 0 | 0 |
| 6) Altri proventi | 0 | 0 |

| | | |
|----------------------------|----------------|----------------|
| Totale proventi (A) | 171.809 | 204.407 |
|----------------------------|----------------|----------------|

B) ONERI

| | | |
|---|---------|---------|
| 1) Oneri da attività tipiche | 288.329 | 126.162 |
| a) Materie prime | 0 | 0 |
| b) Servizi | 282.192 | 122.132 |
| c) Godimento beni di terzi | 0 | 0 |
| d) Personale | 0 | 0 |
| e) Ammortamenti | 0 | 0 |
| f) Oneri diversi di gestione | 6.137 | 4.030 |
| 2) Oneri promozionali e di raccolta di fondi | 0 | 0 |
| a) Campagna di sensibilizzazione e raccolta GoFar | 0 | 0 |
| b) Attività ordinaria di promozione | 0 | 0 |
| 3) Oneri da attività accessorie | 0 | 0 |
| a) Materie prime | 0 | 0 |
| b) Servizi | 0 | 0 |
| c) Godimento beni di terzi | 0 | 0 |
| d) Personale | 0 | 0 |
| e) Ammortamenti | 0 | 0 |
| f) Oneri diversi di gestione | 0 | 0 |
| 4) Oneri finanziari e patrimoniali | 0 | 0 |
| a) Su prestiti bancari | 0 | 0 |
| b) Su altri prestiti | 0 | 0 |
| c) Da patrimonio edilizio | 0 | 0 |
| d) Da altri beni patrimoniali | 0 | 0 |
| 5) Oneri straordinari | 0 | 0 |
| a) Da attività finanziaria | 0 | 0 |
| b) Da attività immobiliari | 0 | 0 |

| | | |
|---|------------------|----------------|
| c) Da altre attività | 0 | 0 |
| 6) Oneri di supporto generale | 1.176 | 1.471 |
| a) Materie prime | 0 | 0 |
| b) Servizi | 1.076 | 1.365 |
| c) Godimento beni di terzi | 0 | 0 |
| d) Personale | 0 | 0 |
| e) Ammortamenti | 0 | 0 |
| f) Oneri diversi di gestione | 100 | 106 |
| 7) Altri oneri | 0 | 0 |
| Totale oneri (B) | 289.505 | 127.633 |
| 23) AVANZO (DISAVANZO) DI GESTIONE | (117.696) | 76.774 |

Il Presidente

Filomena D'AGOSTINO



RELAZIONE SULLA GESTIONE

PREMESSA

Il “Comitato RUDI” nasce con l’intento di compiere azioni finalizzate alla solidarietà economica, civile e culturale nel campo dell’assistenza sociale e socio sanitaria a favore di tutti i soggetti affetti dall’Atassia di Friedreich (AF).

L’Atassia di Friedreich (AF) è stata descritta per la prima volta dal dottor Nikolaus Friedreich nel 1863. La malattia è causata dalla mutazione di un gene, detto X25, scoperto nel 1996 (senior author Prof. Massimo Pandolfo) e localizzato sul cromosoma 9. Oggi la AF è facilmente identificabile mediante un test genetico molecolare eseguibile con un semplice prelievo di sangue.

Dal punto di vista clinico la FA insorge solitamente nell’infanzia o nell’adolescenza, con meno frequenza in età adulta. Caratterizzata da una progressiva perdita della coordinazione motoria, i primi sintomi sono la difficoltà nella corsa e nelle attività sportive in genere. Vengono colpiti generalmente per primi gli arti inferiori, provocando instabilità nel cammino. Successivamente compaiono disturbi nella coordinazione delle mani e nell’articolazione della parola. Anche se i disturbi sono progressivi, il decorso della malattia è variabile. Tuttavia sono molti i pazienti costretti all’uso della sedia a rotelle dopo circa dieci anni dall’esordio.

Attualmente non c’è evidenza di una terapia farmacologica efficace. Assume pertanto particolare importanza il trattamento terapeutico riabilitativo.

In data 4 novembre 2005, con atto pubblico a rogito notaio Ettore MORONE in Torino, Repertorio 107.660 – Raccolta 16.549, il Comitato RUDI si è dotato di un nuovo statuto sociale conforme alle disposizioni previste dal Decreto Legislativo 4 dicembre 1997, n. 460 ed ha ottenuto l’iscrizione all’anagrafe delle Organizzazioni non lucrative di utilità sociali tenuto presso l’Agenzia delle entrate.

Il “Comitato RUDI - ONLUS” si propone di:

- 1) svolgere le sue attività a favore delle persone affette da AF ed ai loro familiari diffondendo le problematiche inerenti la patologia, utilizzando tutti i mezzi di comunicazione e mediante incontri presso sedi e strutture ricettive;
- 2) fornire assistenza socio-sanitaria alle persone colpite dall' AF e divulgare le conoscenze e le novità in materia di trattamento terapeutico;
- 3) prestare assistenza sociale nel senso di far confluire le condizioni di svantaggio concernenti gli indigenti, gli anziani ed i portatori di handicap;
- 4) organizzare convegni e congressi collaborando con le associazioni già esistenti, presenti anche all'estero, favorendo l'attività di volontariato, anche per facilitare gli scambi di informazione scientifica a livello nazionale ed internazionale.

Per il raggiungimento degli scopi sociali e socio-sanitari e per favorire l'avanzamento della ricerca scientifica per la cura dell' AF, il "Comitato RUDI" ha sollecitato e sollecita la collaborazione delle autorità, di enti ed istituti anche mediante la raccolta di fondi ed effettua opera di sensibilizzazione tra la gente, sottolineando il carattere di patologia rara e le possibilità di cura.

Ad oggi, il Comitato RUDI ONLUS può contare su numerosi e volenterosi sostenitori che svolgono attività di sensibilizzazione e perseguono le finalità sociali del Comitato in maniera assolutamente volontaria ed a titolo esclusivamente gratuito in quasi tutte le regioni italiane.

DESCRIZIONE SULLE ATTIVITÀ SOCIALI DELL'ESERCIZIO CHIUSO AL 31.12.2016

Fund raising

Nel corso dell'esercizio 2016 attività sociali si sono sviluppate e consolidate in maniera consistente grazie agli sforzi profusi da numerosi sostenitori attivamente impegnati nelle attività di raccolta fondi e sensibilizzazione. Il 31 dicembre 2016 si è conclusa la dodicesima campagna internazionale di sensibilizzazione e raccolta fondi GoFAR.

Nell'esercizio sociale 2016 il Comitato RUDI ha così raccolto donazioni per complessivi Euro 161.648; occorre evidenziare il versamento del 5x1000 per l'annualità 2014 pari a Euro 89.855.

Le disponibilità liquide, tutte depositate presso istituti di credito italiani, hanno generato proventi finanziari per Euro 10.161.

L'approccio innovativo da noi proposto ha reso possibile in questo anno appena conclusosi, il consolidamento di una reale alleanza tra le associazioni mondiali dedicate all'atassia di Friedreich e la finalizzazione degli sforzi dei ricercatori verso obiettivi ben precisi e verificabili.

Obiettivi di natura non finanziaria perseguiti

Nell'anno 2016 il Comitato RUDI ha proseguito la sua opera di facilitazione tra i diversi gruppi dei ricercatori, clinici, case farmaceutiche e i rappresentanti dei pazienti. Tali interventi sono stati finalizzati a portare all'interno dei gruppi di lavoro le esigenze e gli interessi dei malati FRDA.

Contestualmente il Comitato RUDI, avvalendosi di consulenti scientifici di comprovata esperienza a livello mondiale, ha conferito il finanziamento di circa 750.000\$ a Manuela Corti, PT, PhD e al Dr. Barry Byrne del Powell Gene Therapy Center dell'Università della Florida per lo svolgimento di un programma completo di terapia genica della durata di 18 mesi, rivolto a correggere il difetto di base che determina l'atassia di Friedreich (AF). Il programma include sia gli studi preclinici che la pianificazione degli studi clinici sugli umani e terminerà con la richiesta alla FDA americana e/o all'ISS (Istituto Superiore Sanità) italiano di attivazione di studi clinici sui pazienti AF.

Questo progetto di terapia genica mira a trattare contemporaneamente sia l'aspetto cardiologico sia quello neurologico della patologia mediante l'inserimento nel cuore e nel sistema nervoso di un gene della fratassina funzionante, utilizzando come vettore un virus adeno-associato. Per raggiungere gli obiettivi preposti, il progetto sviluppa ed impiega diverse nuove tecniche. Il progetto rappresenta una importante pietra miliare nello sviluppo di una strategia di cura che potrebbe migliorare drasticamente la qualità di vita dei pazienti, e si connota essere il primo programma completo di terapia genica per la AF. GoFAR spera che la innovativa strategia adottata di supportare finanziariamente una istituzione pubblica con esperienza significativa nei trattamenti di terapia genica per le malattie rare, aumenterà notevolmente l'opportunità per i pazienti AF di partecipare allo sviluppo di un trattamento efficace e che ciò consentirà di ridurre la distanza che ci separa dallo sviluppo clinico di una terapia.

Nell'esercizio finanziario 2016, il Comitato RUDI onlus ha sostenuto la prima parte di finanziamento del progetto per 271.734 €.

Inoltre nell'anno 2016, il Comitato RUDI ha proseguito la sua opera di sensibilizzazione relativa alle problematiche della patologia rivolta ad Istituzioni e singoli cittadini mediante comunicazioni a mezzo stampa e telematico.

Impieghi

Nell'anno 2016 il Comitato RUDI per perseguire i suoi scopi ha sostenuto i seguenti oneri finanziari:

- Progetto di ricerca: "Clinical trial readiness for AAV mediate gene therapy in Friedreich' Ataxia", University of Florida Office of Research-Contract & Grand Accounting Service, Gainesville, Florida 32611, UF Contract n° AWD00638. (Maggiori dettagli nell'Allegato)

FATTI ACCADUTI DOPO LA CHIUSURA DELL'ESERCIZIO

Il Comitato RUDI onlus nel 2017 ospiterà in Italia a Pisa, la 2nd IARC (International Ataxia Research Conference) organizzata in collaborazione con FARA (US) ed ATAXIA.

COMMENTO ALLE VOCI DEL BILANCIO AL 31.12.2016

Entrate

Nell'anno 2016 il Comitato RUDI ha registrato entrate per Euro 171.809 così dettagliate:

| | | |
|---|------|--------|
| Contributi 5x1000 annualità 2013 | Euro | 89.855 |
| Proventi da depositi bancari e attività finanziaria | Euro | 10.161 |
| Altri contributi da privati e aziende | Euro | 71.793 |

Uscite

Il totale delle uscite è stato pari ad Euro 289.505 come sotto specificato:

| | | |
|--------------------------------------|------|---------|
| Finanziamento Progetti di ricerca | Euro | 282.724 |
| Incontri scientifici con ricercatori | Euro | 5.605 |
| Oneri diversi di gestione | Euro | 1.176 |

Gestione finanziaria

Nel corso dell'esercizio 2016 il Comitato RUDI Onlus non ha contratto nessun debito finanziario ed ha proseguito con l'attività di investimento liquidità non ancora utilizzata. Al 31 dicembre 2016 risultavano investimenti a basso profilo di rischio per Euro 269.845.

Disponibilità liquide finali d'esercizio

Le disponibilità liquide finali d'esercizio al 31.12.2016 presentano un saldo positivo pari ad Euro 713.344.

I fondi sono tutti depositati nei conti correnti bancari e postali presso UNICREDIT Banca S.p.A. e Poste Italiane S.p.A.

Torino, lì 28.04.2017

Il Presidente
Filomena D'AGOSTINO



Allegato



COMITATO RUDI - ONLUS

www.fagofar.org

Terapia genica nell' atassia di Friedreich mediante l'uso di un vettore AAV (Adeno Associated Virus)

RIASSUNTO

GoFAR ha conferito il finanziamento di circa 750.000 \$ a Manuela Corti, PT, PhD del Powell Gene Therapy Center dell'Università della Florida per lo svolgimento di un programma completo di terapia genica della durata di 18 mesi, rivolto a correggere il difetto di base che determina l'atassia di Friedreich (AF). Il programma includerà sia gli studi preclinici sia la pianificazione degli studi clinici sugli umani.

L'obiettivo a lungo termine della ricerca è di sviluppare una strategia di trattamento per l'Atassia di Friedreich (AF), una delle più comuni forme di atassia, mediante lo sviluppo di un programma di terapia genica. A oggi, la AF non è curabile e gli unici interventi disponibili sono orientati a ridurre parzialmente i sintomi e non trattare la vera causa della malattia. L'origine della malattia è dovuta a un difetto dannoso nel gene Fratassina che ha implicazioni sia sul sistema neurologico sia su quello cardiaco. Il piano di ricerca si concentra sulla correzione di entrambi gli aspetti cardiaci e neurologici della malattia. Pertanto, l'obiettivo di questo programma è di stabilire un trattamento realistico per l'AF correggendo l'errore genetico utilizzando un veicolo (AAV virus) per trasportare un gene funzionante della Fratassina sia nelle cellule del cuore sia del sistema nervoso. Saranno testate due modalità di somministrazione del gene corretto della Fratassina AAV9-FXN: tramite la combinazione di un'infusione intravenosa (IV) e un'iniezione intratecale (IT) direttamente nel liquido spinale. Gli obiettivi specifici della proposta sono la valutazione della sicurezza del trattamento del veicolo AAV9-FXN in un nuovo modello di topo, che presenta molti dei sintomi dei pazienti umani. Il programma prevede anche l'ottimizzare della produzione su larga scala del veicolo AAV9-FXN, con un nuovo metodo di produzione per essere certi di avere sufficiente quantità del veicolo necessario per gli studi clinici umani. Non ultimo il programma si propone di portare a termine tutti gli studi preclinici necessari per ottenere l'approvazione all'esecuzione dei test clinici su umani sia negli US (Food and Drug Administration) che in EU (European Medicines Agency).

Fasi del programma

Fase 1 - Studi preliminari di base

Obiettivo 1: valutare l'efficacia della somministrazione per via intravenosa (IV) del vettore con Fratassina rAAV9-CBA-FXN in un modello di topo condizionale knock-down per prevenire e correggere le fenomenologie cardiaca e neurologica della malattia.

Obiettivo 2: confrontare l'efficienza della somministrazione di rAAV9-CBA-FXN per via IV con la somministrazione combinata IV e intratecale (IT) in primati non umani.

Fase 2 - Studi preclinici preparativi alla sperimentazione clinica

Obiettivo 3: valutare la sicurezza, la biodistribuzione e l'immunogenicità della combinazione di somministrazione IV e IT di rAAV9-CBA-FXN in ratti non-afetti da AF (Sprague Dawley) e primati non umani.

Obiettivo 4: Preparazione alla sperimentazione clinica:

a) preparazione del vettore per la sperimentazione clinica (GMP, Good Manufacturing Practice)

b) preparazione della documentazione necessaria ad ottenere le autorizzazioni alla sperimentazione clinica in UE e USA.

APPENDIX B BUDGET

Budget, timeline and objectives alignment (18-month period)

| Objective | Budget | Timeline |
|---|------------------|--|
| 1. Study in FRDA mouse model with two route of administration | \$45,000 | Completed within 8 months from award date |
| 2. Study in NHP to assess route of administration related biodistribution and toxicity | \$50,000 | Completed within 10 months from award date |
| 3. Pre-clinical and clinical grade vector manufacturing to be used in animal and IND enabling studies | \$380,000 | Pre-clinical vector will be ready for use in objective 1 and 2. Clinical grade vector will be ready within 18 months from award date |
| 4. Complete pre-IND meeting with FDA for gene therapy study in FRDA patients | \$35,000 | Completed within the 18 months from award date |
| Salary support for PI and personnel 18 months | \$237,749 | |
| TOTAL | \$747.479 | |

Article 6 - Costs, Billings and Other Support

- 6.1 Total Funding. Sponsor shall fund a maximum amount of seven hundred forty-seven thousand seven hundred forty-nine Dollars (\$ 747,749) for the Project according to the budget that is presented in Appendix B.
- 6.2 Payments. Sponsor shall pay University in accordance with the following schedule after receipt of an invoice.

| Amount | Date or Event |
|------------|--|
| \$ 300,000 | Upon signing of the Present Research Agreement |
| \$ 300,000 | JULY 15, 2017 |
| \$ 147,749 | AT THE PRESENTATION OF THE FINAL REPORT |

VIA GIACOSA 21BIS - 10125 Torino
 TEL.+39 011 19500253
 C.F. 97638210019
 filomena.dagostino@fagofar.org