

2025

**RAPPORT
ANNUEL**

Jahresbericht
Rapporto annuale

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 – 9 40 ANS FSRMM

40 Jahre FSRMM
40 Anni FSRMM

10 – 11 RAPPORT DU CONSEIL SCIENTIFIQUE

Bericht des
wissenschaftlichen Beirats
Rapporto del
Consiglio scientifico

12 – 14 RAPPORTS

Berichte . Rapporti

15 SWISS MEETING ON MUSCLE RESEARCH

16 – 17 SEAL THERAPEUTICS AG

18 – 19 CHIFFRES + FAITS

Zahlen + Fakten . Fatti + cifre

20 – 21 FINANCES

Finanzen . Finanze

22 TÉLÉTHON

23 PARTENAIRES

Partner

AVANT-PROPOS

Vorwort
Premessa

**Faire, c'est comme vouloir,
mais en beaucoup plus fort.**

SOURCE INCONNUE

Imaginez : vous êtes les heureux parents de deux fils. À l'enfance, on découvre que tous deux souffrent d'une maladie musculaire. Rares sont les médecins qui connaissent ces maladies et sont capables d'établir un diagnostic fiable. On sait peu de choses sur leur évolution à long terme. Il n'existe pas de médicaments.

Confrontés à cette réalité brutale, Monique et Jacques Rognon refusent de baisser les bras. En 1985, ils fondent avec d'autres personnes concernées la FSRMM dans le but de faire avancer la recherche sur les maladies musculaires. Depuis lors, la recherche a fait d'énormes progrès. En Suisse, c'est la FSRMM qui, grâce à de généreux dons, y a apporté une contribution essentielle.

Au cours de l'année sous revue, la FSRMM a célébré son 40^e anniversaire dans la grande salle de l'Hôtel de ville de Berne en présence de nombreux compagnons de route, d'invités ainsi que de représentants des milieux politiques et scientifiques. Une occasion de rendre hommage à l'œuvre exceptionnelle du couple Rognon. Comme souvent, c'est grâce à l'initiative de parents d'enfants atteints que des branches de la recherche médicale bénéficient d'un soutien ciblé, alors qu'elles risqueraient autrement de passer entre les mailles du filet car leur pertinence est jugée trop faible pour les grands programmes de financement publics. Dans le



ALAIN PFULG
Président

domaine des maladies musculaires, diverses études cliniques sont actuellement en cours et les premiers médicaments ont obtenu leur autorisation de mise sur le marché. La recherche continuera à faire des progrès substantiels à l'avenir. Et la FSRMM continuera à y contribuer. Oui, agir, c'est définitivement plus que vouloir et en parler !

**Machen ist wie wollen,
nur viel krasser.**

QUELLE UNBEKANNT

Stellen Sie sich vor: Sie sind glückliche Eltern zweier Söhne. Im Kindesalter stellt sich heraus, dass beide an einer Muskelkrankheit leiden. Es gibt kaum Ärzte, die diese Krankheiten kennen und eine verlässliche Diagnose stellen können. Über den langfristigen Verlauf ist wenig bekannt. Medikamente gibt es nicht.

Mit dieser brutalen Realität konfrontiert, weigern sich Monique und Jacques Rognon zu resignieren. 1985 gründen sie mit anderen Betroffenen die FSRMM mit dem Zweck, die Erforschung der Muskelkrankheiten voranzutreiben. Seitdem hat die Forschung enorme Fortschritte erzielt. Im Inland ist es die FSRMM, welche

dazu – dank grosszügiger Spenden – einen wesentlichen Beitrag geleistet hat.

Im Berichtsjahr beging die FSRMM ihr 40-jähriges Jubiläum im grossen Saal des Berner Rathauses mit zahlreichen Wegbegleitern, Gästen sowie Vertretern aus Politik und Wissenschaft. Gelegenheit, die herausragende Leistung des Ehepaars Rognon zu würdigen. Wie so oft, ist es der Initiative von Eltern betroffener Kinder zu verdanken, dass medizinische Forschungszweige gezielt unterstützt werden, die sonst zwischen Stuhl und Bank fallen würden, weil ihre Relevanz für die grossen staatlichen Förderprogramme zu gering ist. Im Bereich der Muskelkrankheiten laufen heute verschiedenen klinische Studien und erste Medikamente erhielten die Marktzulassung. Die Forschung wird auch in Zukunft substantielle Fortschritte machen. Und die FSRMM wird weiterhin ihren Beitrag dazu leisten. Ja, machen ist definitiv mehr, als wollen und darüber reden!

**Fare è come volere,
ma molto più concreto.**

AUTORE SCONOSCIUTO

Immaginate di essere i genitori felici di due figli. Durante l'infanzia scoprite che entrambi sono affetti da una malattia muscolare. Esistono pochissimi medici in grado di riconoscere queste patologie e di formulare una diagnosi affi-

dabile. Si sa poco sul decorso a lungo termine e non esistono terapie efficaci.

Di fronte a questa dura realtà, Monique e Jacques Rognon rifiutano di arrendersi. Nel 1985 fondano, insieme ad altre famiglie coinvolte, la FSRMM con l'obiettivo di promuovere la ricerca sulle malattie muscolari. Da allora la ricerca ha compiuto progressi straordinari. In Svizzera è la FSRMM che ha contribuito in modo determinante a questi risultati, grazie alla generosità dei suoi donatori.

Nel corso dell'anno in esame, la FSRMM ha celebrato il suo 40° anniversario nella Sala del Gran Consiglio del Municipio di Berna, alla presenza di numerosi sostenitori, ospiti e rappresentanti del mondo politico e scientifico. È stata un'occasione per rendere omaggio allo straordinario impegno dei coniugi Rognon. Come spesso accade, sono proprio i genitori di bambini colpiti dalla malattia a dare impulso alla ricerca in ambiti che altrimenti rischierebbero di essere trascurati dai grandi programmi pubblici di finanziamento a causa delle loro dimensioni limitate.

Oggi, nel campo delle malattie muscolari, sono in corso numerosi studi clinici e i primi farmaci hanno già ottenuto l'autorizzazione all'immissione in commercio. La ricerca continuerà certamente a compiere progressi significativi anche negli anni a venire, e la FSRMM continuerà a dare il proprio contributo. Perché fare è decisamente molto di più che volere o semplicemente parlarne.

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. em., Dr., Université de Lausanne, St-Sulpice

PAOLA RICCI

Anc. Partner Ares Life Sciences, Luins (VD)

SANDRO RUSCONI

Prof. em., Dr., Università di Friburgo, Arosio

SACHA STEGMANN

Responsable informatique OFCOM, Brugg

ANNA MARIA SURY

Delegata Téléthron Ticino, Muralto

GEORGE THALMANN

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

JACQUES ROGNON

Dr ès sciences techniques EPFL, Dr h.c., 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.

40 ans de recherche sur les maladies musculaires

C'est dans un cadre solennel que la FSRMM a célébré, le 22 octobre 2025, son 40e anniversaire dans la salle du Grand Conseil à Berne. Il y a quarante ans, le fondateur de la Fondation, Jacques Rognon, n'aurait sans doute jamais imaginé l'essor qu'allait connaître l'institution. Alain Pfulg a rappelé les débuts modestes de cette petite structure disposant de moyens limités, qu'il a comparée au vaste « navire » qu'est devenue aujourd'hui la Fondation, capable d'investir chaque année près d'un million de francs dans la recherche. Markus Rüegg, président du conseil scientifique, a souligné que, grâce au soutien constant de la Fondation, la Suisse compte aujourd'hui un nombre remarquable de groupes de recherche dédiés spécifiquement à l'étude des maladies musculaires. Cette évolution a également été illustrée de manière éloquent par Serge Braun, directeur de Généthron en France. Il a montré les progrès considérables réalisés en seulement quarante ans dans le développement de thérapies pour les maladies musculaires. Ces avancées ont été rendues possibles grâce à un soutien ciblé et durable à la recherche, assuré en France depuis près de cinquante ans par l'Association Française contre les Myopathies (AFM-Téléthon), de manière comparable à l'action menée par la FSRMM en Suisse. Le monde politique était représenté par Barbara Gysi, présidente de la Commission de la sécurité sociale et de la santé publique du Conseil national. Elle a présenté le projet de loi fédérale sur les mesures de lutte contre les maladies rares, actuellement en consultation, et a salué le rôle essentiel de la Fondation, tout en lui souhaitant plein succès pour la poursuite

40
JAHRE
ANS



de sa mission. Les nombreux invités issus des milieux scientifiques, politiques et de la santé ont apprécié l'accompagnement musical de la soirée et ont profité de l'apéritif, généreusement offert par les sponsors, pour dialoguer dans une ambiance conviviale. La Fondation se considère non seulement comme un soutien à la recherche, mais également comme un acteur de mise en réseau entre science, médecine, politique et société. En effet, seule une collaboration étroite permet de transformer les avancées scientifiques en thérapies concrètes et accessibles pour les personnes concernées. Cette célébration marquait également la conclusion d'une série de six événements organisés dans les principales villes de Suisse. Ces manifestations avaient pour objectif de renforcer la sensibilisation du public aux maladies musculaires et de présenter les progrès de la recherche à un large public.





40 Jahre Forschung für Muskelkrankheiten

In festlichem Rahmen feierte die FSRMM am 22. Oktober 2025 ihr 40-jähriges Bestehen im Grossratssaal in Bern. Für den Stiftungsgründer Jacques Rognon wäre es vor vier Jahrzehnten wohl kaum vorstellbar gewesen, welche Entwicklung die Stiftung nehmen würde. Alain Pfulg erinnerte an die bescheidenen Anfänge der kleinen, nur spärlich ausgestatteten Organisation und verglich sie mit dem bedeutenden «Schiff», das die Stiftung heute darstellt und das jährlich rund eine Million Franken in die Forschung investieren kann.

Markus Rüegg, Präsident des wissenschaftlichen Beirats, hob hervor, dass die Schweiz dank der kontinuierlichen Unterstützung der Stiftung heute über eine beachtliche Zahl von Forschungsgruppen verfügt, die sich gezielt der Erforschung von Muskelerkrankungen widmen. Eindrücklich zeigte dies auch der Gastredner Serge Braun, Direktor von Généthon in Frankreich. Er veranschaulichte, welche bedeutenden Fortschritte innerhalb von nur 40 Jahren bei der Entwicklung von Therapien für Muskelerkrankungen erzielt werden konnten. Entscheidend dafür war eine langfristige und gezielte Förderung der Forschung, wie sie in Frankreich seit beinahe 50 Jahren von der Association Française contre les Myopathies (AFM-Téléthon) getragen wird – in vergleichbarer Weise wie durch die FSRMM in der Schweiz.

Als Vertreterin der Politik sprach Barbara Gysi, Präsidentin der Kommission für soziale Sicherheit und Gesundheit des Nationalrats. Sie erläuterte das derzeit in der Vernehmlassung befindliche Bundesgesetz über Massnah-

men zur Bekämpfung seltener Krankheiten und würdigte die wichtige Rolle der Stiftung. Zugleich wünschte sie der FSRMM weiterhin viel Erfolg bei der Verfolgung ihrer Ziele.

Die zahlreichen Gäste aus Wissenschaft, Politik und Gesundheitswesen genossen die musikalische Umrahmung des Abends und nutzten den anschliessenden Apéro, der dank grosszügiger Unterstützung von Sponsoren ermöglicht wurde, für einen lebhaften Austausch. Die Stiftung versteht sich nicht nur als Förderin der Forschung, sondern auch als wichtige Vernetzerin zwischen Wissenschaft, Medizin, Politik und Gesellschaft. Denn nur durch eine enge Zusammenarbeit können wissenschaftliche Erkenntnisse in konkrete und zugängliche Therapien für Betroffene überführt werden.

Mit der Jubiläumsfeier fand zugleich eine Veranstaltungsreihe mit sechs Anlässen in den grössten Städten der Schweiz ihren Abschluss. Diese Veranstaltungen hatten zum Ziel, das öffentliche Bewusstsein für Muskelerkrankungen zu stärken und die Fortschritte der Forschung einer breiten Öffentlichkeit näherzubringen.



40 anni di ricerca sulle malattie muscolari

Il 22 ottobre 2025 la FSRMM ha celebrato solennemente ha celebrato il suo 40° anniversario nella sala del Gran Consiglio di Berna. Quarant'anni fa, il fondatore, Jacques Rognon, avrebbe difficilmente potuto immaginare lo sviluppo che l'istituzione avrebbe conosciuto. Alain Pfulg ha ricordato gli inizi modesti di questa piccola organizzazione, allora dotata di risorse limitate, paragonandola al grande «vascello» che la Fondazione rappresenta oggi, capace di investire ogni anno circa un milione di franchi nella ricerca.

Markus Rüegg, presidente del consiglio scientifico, ha sottolineato come, grazie al sostegno costante della Fondazione, la Svizzera possa oggi contare su un numero significativo di gruppi di ricerca dedicati specificamente allo studio delle malattie muscolari. Questo sviluppo è stato illustrato in modo eloquente anche da Serge Braun, direttore di Généthon in Francia, che ha illustrato gli importanti progressi compiuti in soli quarant'anni nello sviluppo di terapie per le malattie muscolari. Tali risultati sono stati resi possibili grazie a un sostegno mirato e continuativo alla ricerca, garantito in Francia da quasi cinquant'anni dall'Association Française contre les Myopathies (AFM-Téléthon), in modo analogo a quanto svolto dalla FSRMM in Svizzera. Il mondo politico era rappresentato da Barbara Gysi, presidente della Commissione della sicurezza sociale e della sanità del Consiglio nazionale. Nel suo intervento ha illustrato il progetto di legge federale sulle misure di contrasto alle malattie rare, attualmente in consultazione, e ha espresso il proprio apprezzamento per il



ruolo fondamentale della Fondazione, augurandole pieno successo nel proseguimento della sua missione.

I numerosi ospiti provenienti dagli ambienti scientifici, politici e sanitari hanno apprezzato l'accompagnamento musicale della serata e hanno colto l'occasione dell'aperitivo, offerto grazie alla generosità degli sponsor, per intrattenersi in vivaci scambi. La Fondazione si considera non solo un sostegno alla ricerca, ma anche un importante punto di collegamento tra scienza, medicina, politica e società. Infatti, è unicamente attraverso una stretta collaborazione di questi attori che i progressi scientifici possono trasformarsi in terapie concrete e accessibili per le persone colpite.

La celebrazione ha inoltre segnato la conclusione di una serie di sei eventi organizzati nelle principali città della Svizzera. Queste manifestazioni avevano l'obiettivo di rafforzare la sensibilizzazione dell'opinione pubblica sulle malattie muscolari e di presentare a un vasto pubblico i progressi della ricerca.

Rapport du conseil scientifique



À l'automne 2025, un total de 22 demandes de projets dans le domaine des maladies neuromusculaires ainsi que quatre demandes concernant la polymyalgia rheumatica ont été soumises. Parmi les projets neuromusculaires, quatre 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 neuf projets dans le domaine des maladies neuromusculaires. Cette année encore, Only Project-AMM 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 2026 (disponible sur le site web ou au secrétariat).

Alle laufende Projekte sind in der Projektbroschüre 2026 beschrieben (erhältlich über Webseite oder Sekretariat).

Tutti i progetti in corso sono descritti nell'opuscolo progetti 2026 (disponibile sul sito web o presso la segreteria).

Bericht des wissenschaftlichen Beirats

Rapporto del Consiglio scientifico



PROF. MARKUS A. RÜEGG
Président

Im Herbst 2025 wurden insgesamt 22 Projektgesuche im Bereich neuromuskulärer Erkrankungen sowie vier Anträge zu Polymyalgia rheumatica eingereicht. Von den neuromuskulären Projekten lagen vier 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 neun Projekten im Bereich neuromuskulärer Erkrankungen. Auch in diesem Jahr übernimmt Only Project-AMM die Finanzierung von zwei Vorhaben, die als Titel „Paul Pettavino Fellowship“ beziehungsweise „Philippe Ferreyrolles Fellowship“ gekennzeichnet werden.

Nell'autunno 2025 sono state inviate alla Fondazione 22 domande per progetti nel campo delle malattie neuromuscolari e quattro domande per la polimialgia reumatica. Tra i progetti neuromuscolari, quattro 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 nove progetti nel campo delle malattie neuromuscolari. Anche quest'anno Only Project-AMM elargisce la «Borsa Paul Pettavino» e la «Borsa Philippe Ferreyrolles» a due dei progetti selezionati.

Projets . Projekte . Progetti

Prof. Perrine Castets Université de Genève

Prof. Maud Frieden Université de Genève

Dr. Miriam Filippi ETH Zürich

Prof. Jonathan Hall ETH Zürich

Dr. Museer Lone Universitätsspital Zürich

Dr. Fabian Passini ETH Zürich

Prof. Bernhard Wehrle-Haller Université de Genève

Dr. Claudia Weidensteiner Universitätsspital Basel

Dr Nadège Zanou/Dr Alex Vicino Université de Lausanne

Rapports

Berichte . Reporti



THOMAS LAUMONIER
Bourse 2022 – 2023

Signature moléculaire, métabolisme et potentiel thérapeutique des cellules musculaires humaines de réserve

Dans un muscle sain, les cellules souches musculaires se trouvent dans un état de repos appelé quiescence. En laboratoire, il est possible de produire des cellules musculaires humaines dites « réserve », qui présentent des caractéristiques proches de celles des cellules souches au repos. Parmi elles, certaines expriment fortement une protéine appelée Pax7; ces cellules correspondent à un état de repos particulièrement profond et peuvent être

considérées comme « endormies ». Jusqu'à présent, l'identification de ces cellules nécessitait un marquage intracellulaire qui les rendait inutilisables pour des études fonctionnelles. Nous avons donc exploré une nouvelle approche permettant de les isoler sans les altérer, en utilisant leur autofluorescence, c'est à dire la lumière qu'elles émettent spontanément. Les cellules ont été séparées selon leur niveau de fluorescence, puis analysées afin d'évaluer l'expression de Pax7, leur capacité à se réactiver, à se multiplier, à se différencier et à réparer un muscle lésé. Les cellules dites « de réserve » présentent une fluorescence naturelle trois fois plus élevée que les cellules musculaires en prolifération (myoblastes). Les cellules les plus fluorescentes correspondent majoritairement à celles exprimant fortement Pax7, indiquant un état « endormi ». Bien qu'elles se réactivent plus lentement, elles prolifèrent et conservent leur capacité à contribuer efficacement à la régénération musculaire, y compris après une nouvelle lésion musculaire. Cette approche permet d'isoler différentes sous populations de cellules souches musculaires humaines fonctionnelles, ouvrant de nouvelles perspectives pour de futures applications thérapeutiques.



**SUSAN TREVES /
FRANCESCO ZORZATO**
Stipendium 2022 – 2023

Auswirkung von RYR1-Mutationen auf die Funktion der Muskelspindeln und auf den Bewegungsapparat

Mutationen im Gen *RYR1* gehören zu den häufigsten Ursachen angeborener Muskelerkrankungen. Das Gen produziert den sogenannten Ryanodin-Rezeptor 1, einen wichtigen Kalziumkanal in Muskelzellen. Ist dieser gestört, kommt es zu Muskelschwäche, verminderter Muskelspannung und Entwicklungsstörungen.

Viele betroffene Patientinnen und Patienten zeigen zusätzlich Veränderungen des Skeletts, etwa Skoliose, Fehlstellungen der Hüfte oder der Füße sowie überbewegliche Gelenke. Die Ursachen dieser Skelettveränderungen sind bisher jedoch kaum verstanden. Im Zentrum dieses Projekts stehen sogenannte Muskelspindeln. Diese spezialisierten Sinnesorgane in den Muskeln messen Dehnung und Bewegung und leiten Informationen an das Nervensystem weiter. Neuere Untersuchungen zeigen, dass auch Muskelspindeln den Ryanodin-Rezeptor 1 enthalten. Deshalb vermuten wir, dass *RYR1*-Mutationen nicht nur die Muskelkraft, sondern auch die Funktion der Muskelspindeln beeinträchtigen und dadurch Fehlentwicklungen des Skeletts fördern können. Um dies zu untersuchen, wurden verschiedene Mausmodelle mit unterschiedlichen *RYR1*-Mutationen analysiert. Besonders deutlich waren die Veränderungen bei den sogenannten dHT-Mäusen, einem Mausmodell für eine schwere Form der *RYR1*-bedingten kongenitalen Myopathie (Multi-Mincore-Myopathie). Bei ihnen zeigten die Muskelspindeln auffällige strukturelle Veränderungen. Gleichzeitig hatten diese Tiere Probleme mit Gleichgewicht und Bewegungskoordination. Zudem entwickelten sie ausgeprägte Verkrümmungen der Wirbelsäule wie Kyphose und Skoliose. Andere untersuchte Mausmodelle zeigten dagegen kaum Auffälligkeiten. Um die genaue Rolle des Proteins besser zu verstehen, wurden moderne Proteomanalysen durchgeführt. Dabei werden die Eiweiße einzelner Muskelspindeln direkt untersucht. Erste Ergebnisse zeigen, dass der Gehalt an Ryanodin-Rezeptor in Muskelspindeln deutlich reduziert sein kann. Die bisherigen Resultate unterstützen die Annahme, dass *RYR1*-Mutationen nicht nur die Muskulatur selbst, sondern auch die Funktion der Muskelspindeln beeinträchtigen und damit zur Entstehung von Skelettfehlbildungen beitragen können.



MICHAEL BACHMANN
Stipendium 2021 – 2024

Neue Aspekte des TGF β -Signal-systems in der Muskelhomöostase und -regeneration

Die Regeneration von Muskeln ist ein komplexer lebens-langer Prozess. Dabei werden Muskelstammzellen aktiviert, vermehren sich und fusionieren miteinander, um neue Muskelfasern zu bilden. Eine wichtige Rolle spielen dabei Botenstoffe der sogenannten TGF β -Familie. Während Myostatin und TGF β 1 bereits als Hemmer des Muskelwachstums bekannt sind, weiss man über die Funktionen von TGF β 2 und TGF β 3 bisher deutlich weniger.

Im Rahmen dieses Projekts wurden die Expression und Aktivität dieser beiden Varianten untersucht. Unsere Ergebnisse zeigen, dass Muskelzellen während der Regeneration bevorzugt TGF β 2 und TGF β 3 bilden, während TGF β 1 hauptsächlich von Immunzellen stammt. Dies deutet darauf hin, dass TGF β 2 und TGF β 3 eine wichtige Rolle bei der normalen Muskelregeneration spielen. Besonders interessant ist, dass sich ihre Wirkung deutlich von jener von TGF β 1 unterscheidet. TGF β 1 fördert krankhafte Vernarbungen des Muskelgewebes, wie sie beispielsweise bei der Duchenne-Muskeldystrophie auftreten. Frühere Therapieversuche zur Hemmung von TGF β 1 scheiterten jedoch oft an starken Nebenwirkungen, weil gleichzeitig auch wichtige Funktionen von TGF β 2 und TGF β 3 beeinträchtigt wurden. Die im Projekt gewonnenen Erkenntnisse über Struktur und Aktivität dieser Moleküle helfen nun, diese Unterschiede besser zu verstehen. Zudem konnten wir zeigen, dass TGF β 2 und TGF β 3 meist gemeinsam gebildet werden und dadurch besonders wirksam sind. Muskelzellen können diese Moleküle selbst aktivieren, wodurch die Entwicklung von Muskelzellen und der Aufbau des Muskelgewebes unterstützt werden. In der nächsten Projektphase sollen diese Mechanismen weiter untersucht werden. Ziel ist es, neue Therapien gegen Muskelerkrankungen und krankhafte Muskelvernarbungen zu entwickeln, ohne die normale Muskelregeneration zu beeinträchtigen.

SWISS MEETING ON MUSCLE RESEARCH

En tant que conférencière principale du Meeting 2025, avec environ 80 participants nous avons eu le plaisir d'accueillir Maaïke van Putten du Leiden University Medical Center. Par ses travaux passionnants sur les effets du déficit en dystrophine sur les capacités cognitives dans des modèles murins, elle a enrichi de manière remarquable le programme scientifique. Elle a également participé activement aux discussions et aux présentations de posters, contribuant ainsi à des échanges scientifiques particulièrement dynamiques. Avec le soutien de Téléthon Equipe, la collecte de fonds de la communauté scientifique en faveur du Téléthon 2025 a également été lancée durant le meeting.

Als Keynote-Speakerin des Meetings 2025 mit rund 80 Teilnehmenden konnten wir Maaïke van Putten vom Leiden University Medical Center gewinnen. Mit ihren spannenden Erkenntnissen zu den Auswirkungen des Dystrophinmangels auf kognitive Fähigkeiten in Mausmodellen bereicherte sie das wissenschaftliche Programm nachhaltig. Darüber hinaus beteiligte sie sich engagiert an den Diskussionen und Posterpräsentationen und trug damit wesentlich zum lebendigen wissenschaftlichen Austausch bei. Mit Unterstützung des Téléthon Equipe wurde während des Meetings zudem die Spendensammlung der Forschungsgemeinschaft für den Téléthon 2025 lanciert.

Come keynote speaker del Meeting 2025 con un'ottantina di partecipanti abbiamo avuto il piacere di accogliere Maaïke van Putten del Leiden University Medical Center. Con le sue interessanti ricerche sugli effetti della mancanza di distrofina sulle capacità cognitive nei modelli murini, ha arricchito in modo significativo il programma scientifico. Inoltre, ha partecipato attivamente alle discussioni e alle presentazioni dei poster, contribuendo in maniera importante al vivace scambio scientifico. Durante il meeting è stata inoltre lanciata con il sostegno dell'equipe Téléthon la raccolta fondi della comunità scientifica a favore della campagna Téléthon 2025.



SEAL THERAPEUTICS AG

Eine von Prof. Markus Rüegg und Dr. Judith Reinhard am Biozentrum der Universität Basel entwickelte Gentherapie soll künftig die Behandlung von Patienten mit LAMA2-Muskeldystrophie (LAMA2-MD) ermöglichen. Die daraus hervorgegangene SEAL Therapeutics AG, die von FSRMM unterstützt wird, bündelt die von Prof. Rüegg und Dr. Reinhard erarbeiteten Daten und Erkenntnisse sowie eine komplementäre Technologie, die an der Rutgers University (USA) entwickelt wurde.



Der von SEAL Therapeutics verfolgte Ansatz beruht auf dem kombinierten Einsatz zweier Linkerproteine, die mittels viralem Gentransfer verabreicht werden. In umfassenden Experimenten in einem krankheitsrelevanten Tiermodell zeigt dieser Ansatz eine hohe Wirksamkeit. In den kürzlich im renommierten Fachjournal *Molecular Therapy* veröffentlichten Arbeiten zeigen die Wissenschaftler, dass eine einmalige Verabreichung der Therapie zu einer umfassenden Verbesserung der Histologie und Funktion der Muskulatur führt. Insbesondere wurde die Therapie so weiterentwickelt, dass auch die mit der Krankheit einhergehende Lähmung verhindert werden kann. Darüber hinaus belegt die Studie, dass die Therapie auch in einem fortgeschrittenen Krankheitsstadium wirksam ist.

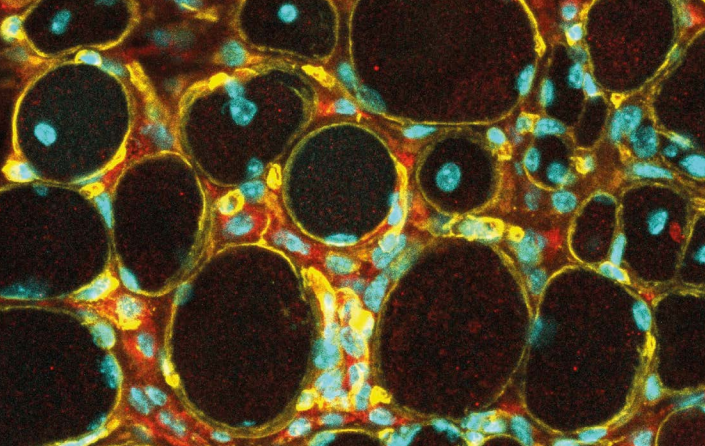
Aufgrund der vielversprechenden Ergebnisse im Tiermodell hat SEAL Therapeutics die nächsten Schritte zur Prüfung der potenziellen Therapie an Patienten eingeleitet. Ein kritischer Punkt ist dabei die industrielle Produktion der benötigten Viruspartikel, an die insbesondere hinsichtlich der Qualität sehr hohe Anforderungen gestellt werden. Zudem ist die benötigte Menge an Viruspartikeln so

gross, dass die Herstellung auf grosse Volumen skalierbar sein muss. All diese Anforderungen sind mit hohen Kosten verbunden und stellen erhebliche technische Herausforderungen dar.

SEAL Therapeutics hat erste Pilotversuche mit zwei in der Schweiz ansässigen Herstellern durchgeführt und dabei die Qualität der Viruspartikel detailliert untersucht. Dabei hat sich gezeigt, dass eine Produktion in guter Qualität möglich ist. Weiterführende Experimente sind in Planung, um den Herstellungsprozess zu optimieren und so die Herstellung für klinische Anwendungen gemäss den Vorgaben der regulatorischen Behörden zu ermöglichen. Zudem versucht SEAL Therapeutics, die nötige Finanzierung sicherzustellen.

Neben der FSRMM erhält SEAL Therapeutics hierfür mittlerweile auch finanzielle Unterstützung von anderen Patientenorganisationen, darunter „Emily's future is now“, Associazione Svizzera LAMA2 (Schweiz) und Stichting Voor Sara (Niederlande). Das gemeinsame Ziel besteht darin, diesen vielversprechenden Therapieansatz so schnell wie möglich zur Behandlung von Patienten einsetzen zu können.

* Reinhard et al., (2026). Dual AAV gene therapy using laminin-linking proteins ameliorates muscle and nerve defects in LAMA2-related muscular dystrophy, *Molecular Therapy*, Vol. 34, Issue 5



Bei der LAMA2-Muskeldystrophie ist das Muskelfasergerüst (gelb) geschwächt, sodass Muskelfasern degenerieren und Immunzellen (rot) in das Gewebe einwandern.

Dans la dystrophie musculaire liée à LAMA2, la structure de soutien des fibres musculaires (jaune) est affaiblie, ce qui entraîne la dégénérescence des fibres musculaires et l'infiltration de cellules immunitaires (rouge) dans le tissu.

Une thérapie génique développée par le Prof. Markus Rüegg et la Dre Judith Reinhard au Biozentrum de l'Université de Bâle devrait à l'avenir permettre le traitement des patients atteints de dystrophie musculaire liée à LAMA2 (LAMA2-MD). La société SEAL Therapeutics AG, soutenue par la FSRMM, regroupe les données et connaissances développées par le Prof. Rüegg et la Dre Reinhard, ainsi qu'une technologie complémentaire mise au point à la Rutgers University (États-Unis).

L'approche développée par SEAL Therapeutics repose sur l'utilisation combinée de deux protéines de liaison administrées par transfert génique viral. Des expériences approfondies réalisées sur un modèle animal représentatif de la maladie ont démontré une efficacité élevée de cette stratégie. Dans une étude récemment publiée dans la revue scientifique renommée *Molecular Therapy*, les chercheurs montrent qu'une administration unique du traitement entraîne une amélioration importante de l'histologie et de la fonction musculaire. La thérapie a notamment été optimisée afin de prévenir également la paralysie associée à la maladie.

L'étude démontre en outre que le traitement reste efficace même à un stade avancé de la maladie. Au vu de ces résultats prometteurs obtenus chez l'animal, SEAL The-

rapeutics a lancé les étapes préparatoires en vue d'évaluer cette thérapie potentielle chez les patients. Un enjeu majeur réside dans la production industrielle des particules virales nécessaires, soumise à des exigences très élevées en matière de qualité. De plus, les quantités requises sont considérables, ce qui impose un procédé de fabrication capable d'être adapté à grande échelle. L'ensemble de ces exigences implique des coûts élevés et représente un défi technique important.

SEAL Therapeutics a déjà réalisé des essais pilotes avec deux fabricants basés en Suisse et a procédé à une analyse détaillée de la qualité des particules virales produites. Les résultats ont montré qu'une production de haute qualité était possible. Des expériences supplémentaires sont en cours de préparation afin d'optimiser le procédé de fabrication et de permettre une production conforme aux exigences des autorités réglementaires pour une utilisation clinique. Parallèlement, SEAL Therapeutics poursuit ses efforts pour garantir le financement nécessaire.

Outre la FSRMM, SEAL Therapeutics bénéficie désormais également du soutien financier d'autres organisations de patients, parmi lesquelles « Emily's Future is Now », Associazione Svizzera LAMA2 (Suisse) et Stichting Voor Sara (Pays-Bas). Leur objectif commun est de rendre cette approche thérapeutique prometteuse accessible aux patients le plus rapidement possible.

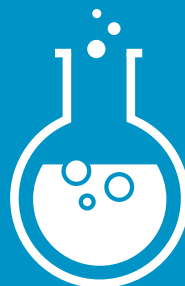


CHIFFRES + FAITS

Zahlen + Fakten . Fatti + Cifre

1987 – 2025

Dépenses totales . Gesamtaufwendungen . Investimenti totali
1987 – 2025: CHF 35 Mio



PROJETS DE RECHERCHE

Forschungsprojekte . Progetti di ricerca

CHF 28'678 (COÛTS TOTAUX . Gesamtkosten . Costi totali)

 175 (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 5'416		31
UNI	CHF 2'293		12
ETH	CHF 3'123		19

LAUSANNE	CHF 3'488		19
UNI	CHF 2'637		14
EPFL	CHF 851		5

GENÈVE	CHF 7'035		45
---------------	------------------	---	----

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 1634  14

CONFERENCES + ATELIERS

Meetings + Workshops

Conferenze + workshop



ENMC

CHF 1171  290

Autre

CHF 468  46

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 353

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 2025

Die Kennzahlen des Jahres 2025 . Le cifre dell'anno 2025

IN CHF	2025	2024
Actif circulant . Umlaufvermögen . Attivo circolante	3'267'855	1'184'632
Liquidités , davon Liquidität . Liquidità	3'203'295	1'184'632
Placements , Anlagen . Investimenti	20'608'306	20'405'293
Recettes selon les buts de la Fondation . Erträge gem. Stiftungszweck . Proventi ai sensi degli obiettivi di Fondazione	1'113'320	944'323
dont Téléthon , davon Telethon . di cui Telethon	300'000	300'000
dont Bienfaiteurs , davon Spenden . di cui donazioni	67'500	28'045
dont Fondations/AMM , davon Stiftungen/AMM . di cui fondazioni/AMM	745'820	616'277
Dépenses selon les buts de la Fondation . Aufwendungen gem. Stiftungszweck . Oneri ai sensi degli obiettivi di Fondazione	– 872'327	– 820'647
dont bourses et séminaires , davon Stipendien & Seminare . di cui borse e seminari	– 835'973	– 740'667
dont cotisations , davon Mitgliedschaften . di cui quote associative	– 36'353	– 79'979
Résultat brut selon les buts de la Fondation . Bruttoergebnis gem. Stiftungszweck . Risultato lordo ai sensi degli obiettivi di Fondazione	240'993	123'675
Frais de personnels . Personalaufwand . Spese di personale	– 65'467	– 68'352
Mandate & Fundraising , mandats et collecte de fonds . mandati e raccolta fondi	– 162'946	– 149'840
Autres frais de gestion , übriger betrieblicher Aufwand . altri oneri di gestione	– 60'848	– 67'088
Résultat net selon les buts de la Fondation . Nettoergebnis gem. Stiftungszweck . Risultato netto ai sensi degli obiettivi di Fondazione	– 48'268	– 161'605
Résultat net après attribution/utilisation des réserves de l'héritage* . Nettoergebnis nach Zuweisung/Verwendung Reserven Erbschaft* . Netto dopo attribuzione/utilizzazione delle riserve del lascito*	2'128'565	1'661'458

* 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 2025 einen Gewinn von CHF 2'128'565 aus. Diese Zahl entspricht dem Resultat unter Ausklammerung der Finanzaufwendungen und -erträge. Die Finanzanlagen haben bei allen Anlageklassen positiv performt.

Die ausbezahlten Stipendien beliefen sich im Jahr 2025 auf rund CHF 836 Tsd., leicht höher als im Vorjahr. Die übrigen Kosten wie Löhne, Mandate und übrige Betriebskosten bewegen sich ebenfalls auf Vorjahreshöhe.

Erfreulich sind die Spenden von Gönnern und Stiftungen im letzten Jahr gestiegen, dazu erhalten wir von Only Project (AMM) jedes Jahr die Kosten für zwei Stipendien erstattet.

Die Erträge und Kursgewinne aus dem Vermögen der Erbschaft haben sich im Berichtsjahr wiederum erfreulich entwickelt. Gegen Ende des Jahres 2025 hat der Stiftungsrat beschlossen, die Aktienanteile um CHF 3 Mio. zu reduzieren in Erwartung von fallenden Kursen.

Die aufgelaufenen Erträge aus dem Erbschaftsvermögen der letzten Jahre (gemäss Erbschaft dürfen nur die Erträge zur Finanzierung verwendet werden) wurden in der Buchhaltung auf die regulären Konti der Stiftung bei BLKB und BCN übertragen. Die Liquidität dort beläuft sich per Jahresende auf rund CHF 3 Mio., genügend um ohne weitere Erträge die Stipendien von 3 Jahren zu finanzieren.

HANSPETER HAGNAUER, KASSIER

TELETHON

Créer un lien solidaire pour les familles et la recherche

→ info@telethon.ch, www.telethon.ch

Fresque-Lego

Monique et Jacques Rognon

En 2025, la Fondation Téléthon Action Suisse poursuit son engagement en faveur des personnes atteintes d'une maladie génétique rare. En soutenant la recherche et en sensibilisant le public, elle contribue à faire progresser les connaissances scientifiques tout en renforçant la visibilité de ces maladies.

Une mobilisation citoyenne essentielle

Tout au long de l'année, l'engagement des bénévoles s'est concrétisé, en particulier en Suisse romande et au Tessin. Sapeurs-pompiers, jeunes, samaritains et de nombreux autres groupements se sont mobilisés avec un objectif commun : soutenir les familles et la recherche. Le centre de coordination du Téléthon Suisse a accompagné près de 300 manifestations, en apportant conseil, matériel et soutien logistique. Ces actions constituent un pilier central de l'impact du Téléthon.

Une fresque LEGO géante

Parmi les temps forts de 2025, le record du monde de la plus grande fresque LEGO a marqué les esprits en Suisse romande. Initié par Brickmasters.ch et soutenu par l'ADNV (Association de Développement du Nord Vaudois), ce projet d'envergure a rassemblé bénévoles, familles, partenaires et public autour d'un objectif commun : assembler plus de 300'000 briques pour donner vie à ce record. Au-delà de la performance, cette fresque a offert une forte visibilité médiatique au Téléthon et a généré un bénéfice de Fr. 23'000.-.

Renforcer le dialogue avec la recherche

Le 22 octobre 2025, le centre de coordination et des membres du conseil de fondation du Téléthon ont participé au 40^e anniversaire de la FSRMM, dans la salle du Grand Conseil bernois, afin de célébrer la fondation créée par Monique et Jacques Rognon en 1985. Le 17 novembre, notre présence au Swiss meeting on muscle research à Macolin visait à promouvoir une collecte Téléthon en ligne organisée par les chercheurs, mise sur pied en collaboration avec Raffaella Willmann. Malgré des échanges riches et une sensibilisation importante, cette initiative n'a pas rencontré le succès espéré, mais a permis d'identifier des enseignements utiles pour l'avenir.

Livre jeunesse : Mia et Bijou, la vache affectueuse

Depuis 2023, le Téléthon Suisse édite un livre jeunesse illustré comme objet d'appel aux dons. En 2025, la parution du troisième tome, Bijou, la vache affectueuse, confirme l'intérêt du public pour ce projet culturel et solidaire. La sélection du premier tome des aventures de Mia pour la Bataille des livres a permis au Téléthon d'entrer dans près de 300 classes romandes, offrant une opportunité précieuse de sensibilisation des enfants aux valeurs de solidarité, de diversité et d'inclusion. La présence du Téléthon au Salon du livre de Genève reste un temps fort pour rencontrer les jeunes lecteurs et renforcer la visibilité du projet grâce à des dédicaces, des ateliers et des échanges.



PARTENAIRES

Partner



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



**ONLY
PROJECT**

Philippe Ferreyrolles Fellowship
Paul Pettavino Fellowship

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



DUCKERT



David Bruderer Stiftung, Uitikon

SWF Stiftung für wissenschaftliche Forschung, Zürich

VSM Stiftung

INSTITUTIONS FONDATRICES DE LA FSRMM

Stiftergesellschaften
Associazioni Fondatrici



CONTACT

Kontakt
Contatti

FONDATION SUISSE DE RECHERCHE SUR LES MALADIES MUSCULAIRES (FSRMM)

SECRÉTARIAT

Chemin des Saules 4B . 2013 Colombier

www.fsrmm.ch

Tel. 078 629 63 92

info@fsrmm.ch . philippe.rognon@fsrmm.ch

DONATIONS

N° IBAN: CH58 0076 9016 4217 0089 6

IMPRESSUM

Photographie: Vera Markus, Téléthron

Conception & Design: Barbara Kuberczyk Kommunikationsdesign

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