



## LE MALATTIE GENETICHE

### **Che cos'è una malattia genetica?**

Le malattie genetiche sono causate da alterazioni nel Dna e si trasmettono per via ereditaria. Possono colpire qualsiasi organo e manifestarsi a qualunque età. Sono migliaia, la maggior parte con un decorso grave o letale e ad oggi senza una terapia efficace.

### **Quante sono?**

Se ne conoscono oltre seimila e ognuna di queste, presa singolarmente, colpisce un numero limitato di persone. Complessivamente in Italia però sono quasi tre milioni le persone affette da una malattia genetica.

### **Perché Telethon si occupa di malattie genetiche?**

Perché le malattie genetiche, data la bassa frequenza con cui si manifestano nella popolazione, sono trascurate dai grandi investimenti pubblici e privati che finanziano la ricerca su patologie più diffuse. Per questo riferendosi alle malattie genetiche si parla spesso di malattie "orfane".

### **Su quante malattie Telethon ha finanziato progetti?**

Telethon, grazie ai finanziamenti e alle donazioni degli italiani, ha studiato più di 400 malattie genetiche, soprattutto le malattie neuromuscolari, come la distrofia di Duchenne, la malattia di Charcot-Marie-Tooth e l'atrofia muscolare spinale e a quelle neurologiche come la Sclerosi Laterale Amiotrofiche (Sla) e la malattia di Alzheimer.