

DOMANDE FREQUENTI SUL PROGRAMMA DI SOVVENZIONI LGMD

1. Chi è Sarepta?

Sarepta Therapeutics è un'azienda biotecnologica globale, impegnata in una missione urgente: ideare una medicina genetica di precisione per le malattie rare che devastano vite e abbreviano futuri. Disponiamo di più di 40 programmi in tutto il nostro portafoglio e attualmente abbiamo programmi clinici in fase di sviluppo per i pazienti con distrofie muscolari dei cingoli, distrofia muscolare di Duchenne e altre patologie neuromuscolari e correlate al SNC. La nostra sede centrale è a Cambridge, Massachusetts; disponiamo inoltre di uffici in tutto il mondo.

2. Qual è l'obiettivo del programma di sovvenzioni LGMD?

Questo programma di sovvenzioni è alla ricerca di domande che supportino una diagnosi precoce di LGMD e/o una maggiore partecipazione a programmi di test genetici consolidati. Le proposte devono essere originali, significative e devono includere modi di affrontare una o più delle seguenti aree:

1. Promuovere il riconoscimento di segni e sintomi precoci di LGMD
2. Migliorare la partecipazione ai test genetici e ai programmi di consulenza genetica
3. Consentire alle famiglie di avere un ruolo attivo nell'ottenere una diagnosi confermata

3. Qual è l'obiettivo degli sforzi profusi da Sarepta?

Le nostre iniziative si propongono di avere un impatto positivo a lungo termine per le famiglie, ad esempio un accesso precoce alle cure specialistiche, un aumento della partecipazione alle sperimentazioni cliniche e un miglioramento dell'accesso a potenziali trattamenti futuri per la comunità LGMD.

4. Qual è la scadenza della domanda?

Il programma di sovvenzioni invita le Organizzazioni per la tutela dei pazienti e le organizzazioni non governative a presentare una proposta di progetto originale tra il 5 maggio 2022 e il 5 settembre 2022. Le domande inoltrate successivamente a questo termine non saranno accettate.

5. Possono presentare domanda i soggetti non iscritti a un'Organizzazione per la tutela dei pazienti o non membri di un'organizzazione non governativa?

Coloro che traggono ispirazione dalla nostra causa devono allinearsi con un'organizzazione no-profit che scelga di sostenere la Sua idea ai fini dell'inoltro della domanda. L'organizzazione allineata sovrintenderà al completamento della domanda e del lavoro da Lei proposto. Se desidera ricevere aiuto nell'identificazione di una potenziale collaborazione con un'organizzazione per la tutela dei pazienti, può inviare un'e-mail a advocacy@Sarepta.com.

6. Descrivere gli elementi importanti del programma di sovvenzioni.

- a. Le domande si accetteranno dal 5 maggio 2022 al 5 settembre 2022.
- b. Le domande qualificanti saranno valutate in base ai criteri descritti nel presente documento.
- c. I richiedenti saranno informati dei risultati della revisione della domanda entro il 30 settembre 2022.
- d. Qualora la Sua domanda risultasse idonea alla sovvenzione, avvieremo un breve periodo di contrattazione. I destinatari della sovvenzione saranno annunciati pubblicamente.
- e. I fondi saranno erogati a beneficio della Sua organizzazione a completamento del contratto.
- f. Successivamente all'erogazione dei fondi, alla Sua organizzazione sarà concesso un limite massimo di un anno per completare le attività descritte nella Sua proposta.
- g. Alla fine dell'anno, i destinatari di una sovvenzione forniranno un riepilogo degli sforzi profusi e

descriverranno i principali outcome.

- h. Sarepta si riserva il diritto di verificare l'uso dei fondi per lo scopo previsto descritto nella proposta.
- i. Sarepta può scegliere di mettere in risalto il lavoro della Sua organizzazione attraverso le nostre comunicazioni. Ciò può includere comunicazioni interne ed esterne, siti Web di Sarepta e social media.

7. Chi si occuperà di esaminare le candidature e selezionare i destinatari?

Il Comitato per le Sovvenzioni di Sarepta esaminerà le domande e selezionerà i vincitori.

8. Qual è il sito Web da cui inviare la domanda?

Può inviare la Sua richiesta accedendo alla seguente pagina:

<https://Sarepta.com/LGMDGrantAwardProgram>

9. Sovvenzioni:

Sarepta attribuirà sovvenzioni in denaro affinché le Organizzazioni per la tutela dei pazienti o le Organizzazioni non governative possano mettere in atto i loro progetti. Saranno assegnati fino a 100.000 dollari statunitensi (USD) e il numero di aggiudicatari sarà determinato dal comitato di selezione al fine di ottimizzare i fondi disponibili. Specifichi nella Sua domanda l'importo della sovvenzione che desidera ricevere, fino a un massimo di 100.000 dollari (USD); fornisca inoltre un budget di supporto. Tutti i candidati riceveranno una risposta in cui si specificherà il risultato della revisione della loro domanda.

10. Dopo l'assegnazione delle sovvenzioni:

Sarepta potrebbe voler condividere informazioni su proposte selezionate al fine di mettere in risalto il prezioso lavoro svolto in diverse regioni del mondo. In questo senso, Sarepta può scegliere di condividere il nome della Sua organizzazione e le informazioni sugli sforzi da Lei descritti sui nostri canali social media e sui siti Web statunitensi (Sarepta.com e Limbgirdle.com). Così come previsto per le procedure standard di assegnazione di sovvenzioni, Sarepta si riserva il diritto di verificare l'uso dei fondi designati allo scopo descritto.

11. Come fare affinché una domanda possa essere ritenuta valida?

- La domanda deve essere presentata tra il 5 maggio 2022 e il 5 settembre 2022.
- Le domande devono essere presentate corredate dell'adeguata documentazione dello stato dell'organizzazione no-profit o non governativa.
- Le domande devono contenere una descrizione delle attività che abbreviano il percorso diagnostico della LGMD e/o migliorano la partecipazione ai programmi di test genetici esistenti.
- Le attività descritte nella proposta devono essere completate entro un anno.
- Il lavoro proposto da un'organizzazione non deve essere specifico per un determinato sottotipo.
- Il Comitato per le sovvenzioni di Sarepta valuterà ulteriormente l'idoneità delle domande utilizzando la guida di valutazione di seguito.

12. Una volta ritenuta idonea, come viene valutata una domanda dal Comitato per le sovvenzioni di Sarepta?

Il comitato per le sovvenzioni valuterà le domande per un impatto specifico e misurabile eventualmente derivante dagli sforzi profusi. Inoltre, Sarepta avrà interesse a comprendere alcuni dei valori meno tangibili. Di seguito trova la rubrica che sarà utilizzata dal comitato per le sovvenzioni al fine di facilitare il processo decisionale.

Razionale del programma	
	In che modo questa proposta di progetto è un modo significativo ed efficace per supportare una diagnosi precoce di LGMD e/o migliorare la partecipazione ai test genetici?
Valutazione dei fattori di successo	
	Esiste un modo tangibile e misurabile per valutare il successo del programma? Quale/i regione/i potrebbe/potrebbero essere influenzata/e dagli sforzi descritti?
Creatività della proposta	
	In che misura questa proposta di programma è unica?
	Quali nuovi meccanismi saranno costruiti, quali nuovi membri della comunità sanitaria saranno coinvolte o quale sarà la nuova connessione che si formerà all'interno della comunità attraverso questo sforzo?
Natura ispiratrice della proposta	
	La proposta stimola modi interessanti e nuovi per coinvolgere la comunità LGMD? Quale/i regione/i potrebbe/potrebbero essere interessata/e dal lavoro?
	La proposta ha il potenziale di ispirare altre organizzazioni di sostegno o di responsabilizzare la comunità LGMD ad agire?
	In che modo la proposta incoraggia la partecipazione ai test genetici e ai programmi di consulenza?
	Il programma ha un impatto duraturo a livello individuale o di comunità?
Inclusività dell'intera comunità LGMD	
	La proposta del progetto affronta le esigenze dell'intera comunità LGMD e non i sottotipi genetici specifici singoli?
	In che modo il progetto affronterà i problemi legati alla diversità globale e all'equità all'interno della comunità LGMD e promuoverà una comunità LGMD unificata e globale?

13. Quando si comunicheranno le decisioni ai candidati?

I richiedenti saranno informati delle decisioni prese dal comitato per le sovvenzioni prima del 30 settembre 2022.

14. Come e quando saranno assegnati i fondi del programma di sovvenzioni?

Se la Sua organizzazione sarà scelta come destinataria della sovvenzione, Lei riceverà un contratto da parte di Sarepta. Al termine del contratto, l'Organizzazione per la difesa dei pazienti o l'Organizzazione non governativa riceverà un assegno via posta (negli Stati Uniti) oppure i fondi saranno erogati in modo virtuale (al di fuori degli Stati Uniti). I fondi erogati nel quadro della Sovvenzione non sono trasferibili e non saranno effettuate sostituzioni se non a esclusiva discrezione dello Sponsor, come descritto nel presente documento relativo alle domande frequenti sul Programma. L'Organizzazione dei pazienti sarà responsabile di tutte le tasse federali/nazionali, statali e locali.

15. Qualora la mia organizzazione fosse selezionata come destinataria del premio, quali sarebbero le mie responsabilità?

A seguito dell'implementazione del programma (entro 12 mesi dalla ricezione dei fondi), la Sua organizzazione sarà responsabile della condivisione di un riepilogo del programma, nel quale si delineeranno gli esiti degli sforzi profusi. Il riepilogo può includere informazioni quali:

- Testimonianze del paziente/caregiver
- Fotografie (sarà necessario ricevere le debite autorizzazioni ai fini della condivisione)
- Statistiche sul numero di persone raggiunte (si prega di omettere qualsiasi informazione sanitaria personale riguardante il singolo paziente)
- Altri modi misurabili per illustrare il successo del programma

16. E se ho altre domande?

Contattare direttamente advocacy@Sarepta.com in caso di domande.

Processo di presentazione della domanda:**17. Come posso candidarmi?**

1. Si prega di compilare il modulo di presentazione online disponibile qui:

<https://Sarepta.com/LGMDGrantAwardProgram>

Il modulo richiede informazioni di contatto standard nonché

- a. la Documentazione dello stato dell'organizzazione no-profit o non governativa.
 - b. Numero identificativo (il Suo codice identificativo univoco all'interno della Sua organizzazione, in genere un codice fiscale o altro codice identificativo fornito dal governo, ad esempio TIN, IVA, BRN, ecc.)
 - c. Informazioni sul budget
2. Allegare i dettagli del programma, tra cui una lettera di richiesta, informazioni generali sul programma e il budget per il progetto

18. Cosa devo inserire nei dettagli del programma che caricherò?

Fornire un documento Word o PDF che includa una lettera di richiesta firmata, un riepilogo del programma e un budget del progetto.

Lettera di richiesta:

Si prega di fornire una Lettera di Richiesta firmata su carta intestata della Sua organizzazione. La preghiamo di specificare la missione della Sua organizzazione, un titolo per lo sforzo proposto, nonché una breve descrizione dello sforzo che sta proponendo. Una lettera di richiesta normalmente è lunga 1-2 pagine.

Riepilogo del programma:

- Nome/titolo della proposta
- Per gli obiettivi specifici del programma, fare riferimento alla regione geografica di riferimento
- Descrizione del modo in cui si intendono raggiungere gli obiettivi del programma
- Tempistica approssimativa per l'esecuzione del progetto, che illustra l'uso del budget entro un anno
- Se sono stati sviluppati contenuti (presentazione di diapositive, manuali, materiali promozionali formativi, social media, contenuti pianificati), si prega di fornirli.
- Tutte le proposte inviate DEVONO essere contenute originali. Se si fa riferimento a materiale già pubblico (quali articoli o standard medici, fare riferimento alla fonte ma non includere le ristampe).
- La preghiamo di condividere il modo in cui misurerà il successo dello sforzo descritto nella Sua proposta.

Budget: si prega di specificare l'importo totale del budget richiesto (in USD) e il modo in cui saranno assegnati questi fondi