

MEMORIA 2021





Índice

- 03 Carta del Presidente**
- 04 ¿Quiénes somos?**
- 05 El equipo**
- 06 Proyecto de terapia génica**
- 11 Programa de protones**
- 16 Otras acciones**
- 20 Nuestros amigos**
- 21 La Fundación en los medios**
- 22 Impacto en las redes sociales**
- 23 Transparencia**

Carta del presidente

Este 2021 ha sido un año marcado de principio a fin por la nueva normalidad que nos ha obligado a convivir con la COVID-19. Sin embargo, hemos seguido creciendo y ayudando a aquellos que más lo necesitan. Progresivamente, se han ido retomando los principales retos que dieron paso al nacimiento de la fundación sin perder la esperanza y acompañada de una capacidad de adaptación brillante. En especial si se trata de los pacientes y sus familias, los cuales han podido retomar y acceder a los tratamientos que en su momento les arrebató la pandemia.

A pesar de haber sido un año divergente, no ha supuesto un obstáculo para continuar avanzado con nuestro proyecto de terapia génica. La fundación, junto a nuestra fundación hermana EE. UU. Columbus Children's Foundation, ha lanzado el programa Objetivo 10 con el propósito de desarrollar y acelerar tratamientos efectivos de terapia génica para diez enfermedades raras en diez años. La valoración de estas enfermedades se realiza a través de un comité científico de expertos y la manufactura a través del acuerdo de la Fundación con Viralgen, lo que supone una reducción de costes y tiempo muy significativos.

Podemos decir con ilusión que 2021 también ha sido un año significativo para los pacientes, ya que hemos garantizado la protonterapia en nuestro país, provocando un descenso importante en el número de pacientes derivados al extranjero. Así mismo, hemos firmado 24 convenios con empresas nacionales e internacionales con el fin de facilitar el desarrollo y el acceso a los tratamientos basados en terapia génica para determinadas enfermedades raras.

Gracias a todos por el esfuerzo efectuado a lo largo de 2021. Al equipo humano de profesionales que están haciendo posible avanzar en materia de investigación médica, a los artistas que han seguido fomentando la cultura musical a pesar de las restricciones impuestas, a las entidades colaboradoras que apoyan profundamente el desarrollo de la cura de estas enfermedades raras, así como a la Columbus Children's Foundation por compartir la misma pasión que nosotros. ¡Seguimos imparables!

DAMIÀ TORMO



¿Quiénes somos?

Fundación Columbus

La Fundación Columbus es una organización privada, independiente y sin ánimo de lucro constituida en 2017. Siendo conscientes de la importancia que la innovación y las nuevas tecnologías tienen en el ámbito de la salud, nuestra misión fundamental es la de **facilitar el acceso a las terapias más avanzadas y efectivas a niñas y niños con cáncer y enfermedades raras**, con el objetivo de mejorar su esperanza y calidad de vida. Asimismo, trabajamos para promover y divulgar la cultura, impulsando actividades que permitan su acercamiento a la sociedad.

Columbus Children's Foundation

Columbus Children's Foundation fue creada en marzo de 2019 y tiene su sede en Chapel Hill, Carolina del Norte (EE. UU.). Ambas entidades trabajamos conjuntamente brindando **apoyo financiero para acelerar el avance de los ensayos clínicos de terapia génica para enfermedades genéticas raras**, así como para facilitar su acceso a todos los niños que puedan beneficiarse de ellas.

Presidente FC

Damià Tormo

Secretario FC

Javier García

Director financiero FC

Marc Marco

Patronos FC

Damià Tormo

Javier García

María Rosa Carulla

Beatriz Sobrino

Mercedes Calabuig

Blanca Garín

El equipo de la Fundación

Patronato



Damià Tormo
Presidente FC



Javier García
Secretario FC



Jude Samulski
Presidente CCF



Krystof Bankiewicz
CEO CCF



Sheila Mikhail
Fundadora CCF



Rosa Carulla



Mercedes Calabuig



Beatriz Sobrino



Robert Long



Matt Kane

Equipo de gestión



Blanca Garín
Cofundadora y
patrona FC



Jacoba García
Marketing y
comunicación FC



Laura Hameed
CEO CCF

Asesores científicos:

Robert Armstrong, Ph.D.
Gloria Glez-Aseguinolazo, Ph.D.
Philippe Moullier, MD, Ph.D.
Sharon Hesterlee, Ph.D.

Proyecto de terapia génica

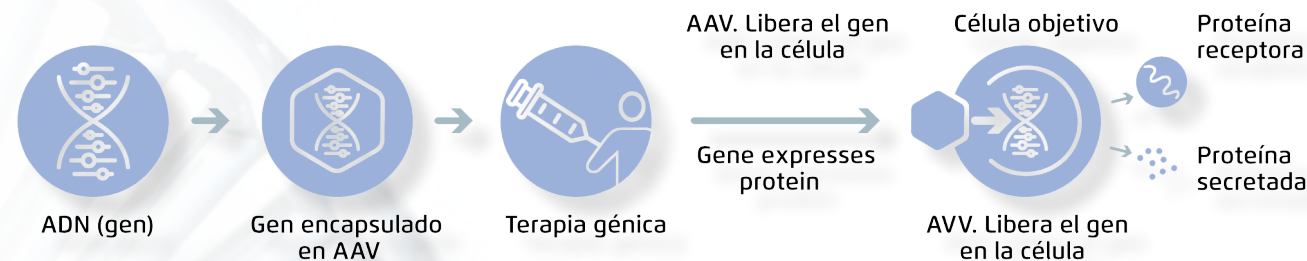
¿Qué es la terapia génica?

La terapia génica es un tipo de tratamiento que utiliza genes para tratar o prevenir enfermedades **insertando un gen en las células de un paciente.**

Esta técnica permite:

- Sustituir el gen causante del trastorno por uno sano.
- Agregar genes que ayudan a tratar o combatir la enfermedad.
- Desactivar genes que están ocasionando problemas.

Sustitución del gen defectuoso por el gen correcto:



Proyecto de terapia génica



fundación
columbus

Objetivo10™

Creamos el Programa **Objetivo 10**, con el propósito de desarrollar tratamientos efectivos de terapia génica para diez enfermedades raras en diez años.



Valoración enfermedad

A través de un comité
científico de expertos.



Desarrollo fármaco

Fármacos que no existen
en el mercado.



Manufactura

Reducción de costes y
tiempo muy significativos.



Paciente

Acceso al fármaco
a tempo

Proyecto de terapia génica

Detalles de la evolución de las distintas actividades, acciones y proyectos que se han desarrollado a lo largo de 2021:

Programa(AADC)

Operación de Candela, última niña española afectada con parkinson infantil.

Firma de acuerdo para cubrir los gastos médicos de hospitalización prolongada y transporte sanitario a los pacientes del Hospital Brodno (Varsovia) durante 2021.

Nuevo vector AAV para AADC en proceso de producción en Viralgen.

Niemann Pick C

University College de Londres (UCL) inicia un proyecto para desarrollar los ensayos preclínicos. Acceso a la producción de vectores virales y financiación (UK MCR).

La fabricación del tratamiento se realizará en Viralgen Vector Core.

Niemann Pick A

En fase preclínica, ya que se encuentra en proceso el informe de patología,

Construcciones de los vectores AAV2 y AAV9.

Proyecto de terapia génica

Detalles de la evolución de las distintas actividades, acciones y proyectos que se han desarrollado a lo largo de 2021:

Duchene

La fabricación del fármaco para la distrofia Muscular Duchene (Rare DMD mutation): Cure Rare Disease, se encuentra completada.

Cure SPG50 (SPG50)

Lote de 2L, 50L, 250L del vector, completado y liberado para tratar a Michael (EE.UU).
Presentación del IND de EE. UU para un ensayo clínico completo para Michel y 2-3 niños más.
Lote de 500L del vector para tratar a 3-6 niños europeos adicionales (España, Francia, etc.)

CTNNB1

Colaboración con los afectados de la enfermedad CTNNB1 en España como interlocutores entre familias españolas y el proyecto de investigación de Spela Mirosevic en Eslovenia.

Asesoramiento a familias para la creación de la Asociación CTNNB1 en España.

Testimonio

Candela, la última niña con Párkinson infantil en España.

Andrés, padre de Candela, comenta que: *“Entre los muchos cambios que observamos tras la operación de Candela se encuentra uno de los más deseados por nosotros: Candela puede sostener su cabeza. Su continua irritabilidad ha desaparecido”*.



Papel de la Fundación

En diciembre de 2021 tiene lugar la operación de Candela en el hospital Brodno (Varsovia) por el Dr. Krystof Bankiewicz. Gracias a la campaña #luzparacandela se recaudaron los fondos suficientes para la operación. Con ella ya son casi 30 niños y niñas tratados en el mundo de los 150 casos diagnosticados.

Proyecto de protones

¿Qué es la protonterapia?

La terapia de protones es una forma avanzada de radioterapia externa que utiliza **haces de protones de alta energía** para irradiar un tumor.

Se trata de un tratamiento especialmente indicado en **situaciones clínicas delicadas** en las que el tumor se encuentra en áreas de difícil acceso y/o cercanas a órganos y tejidos importantes, así como en el caso de **tumores pediátricos** donde los tejidos y órganos se encuentran en pleno desarrollo.

Proyecto de protones

Debido a la apertura de los dos centros de protones en Madrid en 2019 y 2020, se produjo un descenso importante en el número de pacientes derivados al extranjero.

Durante 2021 hemos asistido a un total de 55 nuevos pacientes.



11 pacientes

Derivados al extranjero.
Todos al PSI de Suiza.



2 nuevos pacientes

Derivados a Madrid,
a la CUN de Navarra.



**17 consultas
de pacientes españoles**

Logística y plan del tratamiento en Madrid. Búsqueda de alojamiento para pacientes de otras comunidades autónomas.



Gracias a las **ayudas económicas**, los pacientes y sus acompañantes pudieron desplazarse al centro de protonterapia para recibir el tratamiento.

Proyecto de protones

Debido a la apertura de los dos centros de protones en Madrid en 2019 y 2020, se produjo un descenso importante en el número de pacientes derivados al extranjero.

Durante 2021 hemos asistido a un total de 55 nuevos pacientes.



**19 pacientes
nuevos**

Asistidos sin equipo médico para acceder al tratamiento en Madrid. La gran mayoría procedentes de latinoamérica.



**5 nuevas
familias españolas**

Asistidos sin equipo médico para el acceso al tratamiento, bien por la seguridad social o bien de manera privada.



**1 familia
chilena**

Asistidos para recibir el tratamiento de protones en la Clínica de Navarra.



Gracias a las **ayudas económicas**, los pacientes y sus acompañantes pudieron desplazarse al centro de protonterapia para recibir el tratamiento.

Proyecto de protones

Participación en la tramitación de ley catalana para no derivar pacientes protonterapia al extranjero.

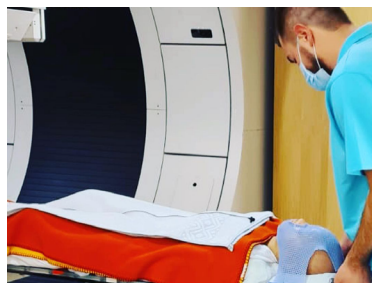
El Parlament de Catalunya aprueba garantizar la protonterapia en esa comunidad, y dar prioridad a la derivación a hospitales de otras comunidades autónomas. Sólo recurrirán a la derivación al extranjero como última opción, cuando no haya más alternativa.

En el trámite de esta aprobación, aportamos datos al debate parlamentario y nuestro nombre se oyó en el Parlament apoyando y demostrando con nuestra actividad la necesidad de esta aprobación.

Testimonio

Argenis, paciente venezolano con cáncer infantil.

El padre de Argenis, nos contaba ilusionado: *“Muy contentos Argenis y yo porque llegó la hora de volar a Zurich a iniciar el tratamiento de protonterapia para su cáncer infantil. Un nuevo recorrido nos espera, pero con la fé y la certeza de que todo irá bien. De la mano de Fundación Columbus apoyándonos en éste camino”*.



Papel de la Fundación

En agosto de 2021 Argenis se iba rumbo a Zurich para comenzar su tratamiento de protones en el centro Paul Scherrer Institute (PSI). Se trata de un instituto de investigación multidisciplinario que construye y opera instalaciones de investigación grandes y complejas y las pone a disposición de las comunidades científicas nacionales e internacionales.

Otras acciones

Conciertos Dolor y Esperanza Octubre 2021:

La Fundación Columbus organizó **una gira de tres conciertos** que culminó en la Catedral de Santiago de Compostela el día 30 de octubre.

Los conciertos presentaron un programa que se encuadró bajo el título “Dolor y esperanza”. La gira se inició el 26 de octubre en la Catedral de Orense, continuó el día 27 en la Basílica de Santa María la Mayor de Pontevedra y cerró en la Catedral de Santiago de Compostela el 30 de octubre. Los eventos tuvieron como objetivo **recaudar fondos para tratar a los niños Meir y Yehudit**, dos hermanos israelitas que sufren párkinson infantil (AADC). El objetivo se consiguió y con el dinero recaudado se podrá financiar la operación de terapia génica para los pequeños.

Otras acciones

Concierto solidario #luzparacandela:

La Fundación Columbus organizó un concierto con el fin de conseguir **financiación para la operación de Candela**, última paciente española afectada por parkinson infantil.

En Julio de 2021 se celebró un concierto solidario con el objetivo de conseguir financiación para la operación de Candela, la última niña española diagnosticada con AADC, que tuvo lugar en diciembre. El concierto se celebró en los Jardines de Chillida Leku en el que participaron los artistas **ELE y Alex Ubago**. El objetivo se consiguió y con el dinero recaudado se pudo financiar la operación de terapia génica en diciembre.

Otras acciones

Firma de un acuerdo de colaboración para ayudar a recaudar fondos para niños con AGU:

La Fundación Columbus y los padres de **Jor, un niño de 5 años** afectado por una enfermedad rara llamada Aspartilglucosaminuria (AGU) para la que actualmente no existe tratamiento y que afecta a unos **150 pacientes en el mundo**.



donaesperanza.es

A través del acuerdo les permitimos utilizar nuestra estructura fundacional y ser el canal a través del cual recaudar los fondos que ellos consigan levantar a través de distintas actividades benéficas. Todo gestionado a través de su web donaesperanza.es.

Otras acciones

Fusión con la **Associació Irai** y publicación del **Libro** “**Ahora sí, te quiero como eres**”, escrito por la madre de Irai.

Irai es la primera paciente española tratada con terapia génica para parkinson infantil. Una vez tratada Irai, la Associació Irai nos trasfiere todos sus fondos que se destinan íntegramente al programa de AADC para **seguir tratando al resto de niñ@s en el mundo** con esta enfermedad. Lo que recauden a partir de ahora lo destinarán a la Fundación.

También participamos en la publicación del libro consiguiendo que la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER) escriba el prólogo para el mismo. Un **porcentaje de la venta de los libros se destinará a la Fundación** para el programa de AADC. El libro es una guía para acompañar el proceso de aceptación con hij@s con enfermedades raras.



Amigos de la Fundación

Detrás de Fundación Columbus hay un universo de **personas y entidades que nos apoyan** poniendo a disposición de nuestra causa sus recursos, esfuerzo e ilusión. **GRACIAS** a la generosidad de todos ellos podemos seguir avanzando en nuestra misión de acercar la innovación a quienes más lo necesitan.



PiperJaffray.



GRADOCELL



Brodno Hospital



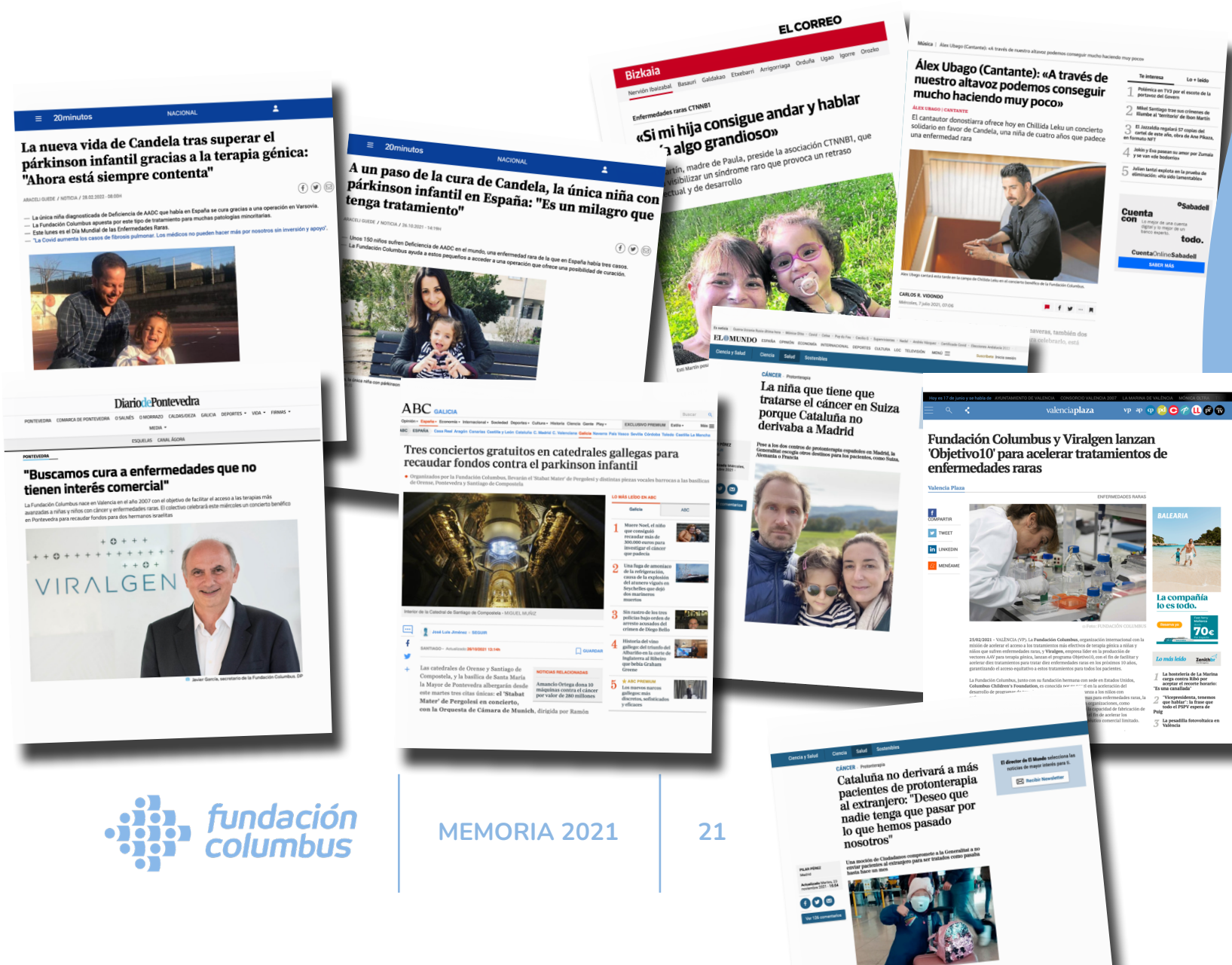
ThermoFisher
SCIENTIFIC



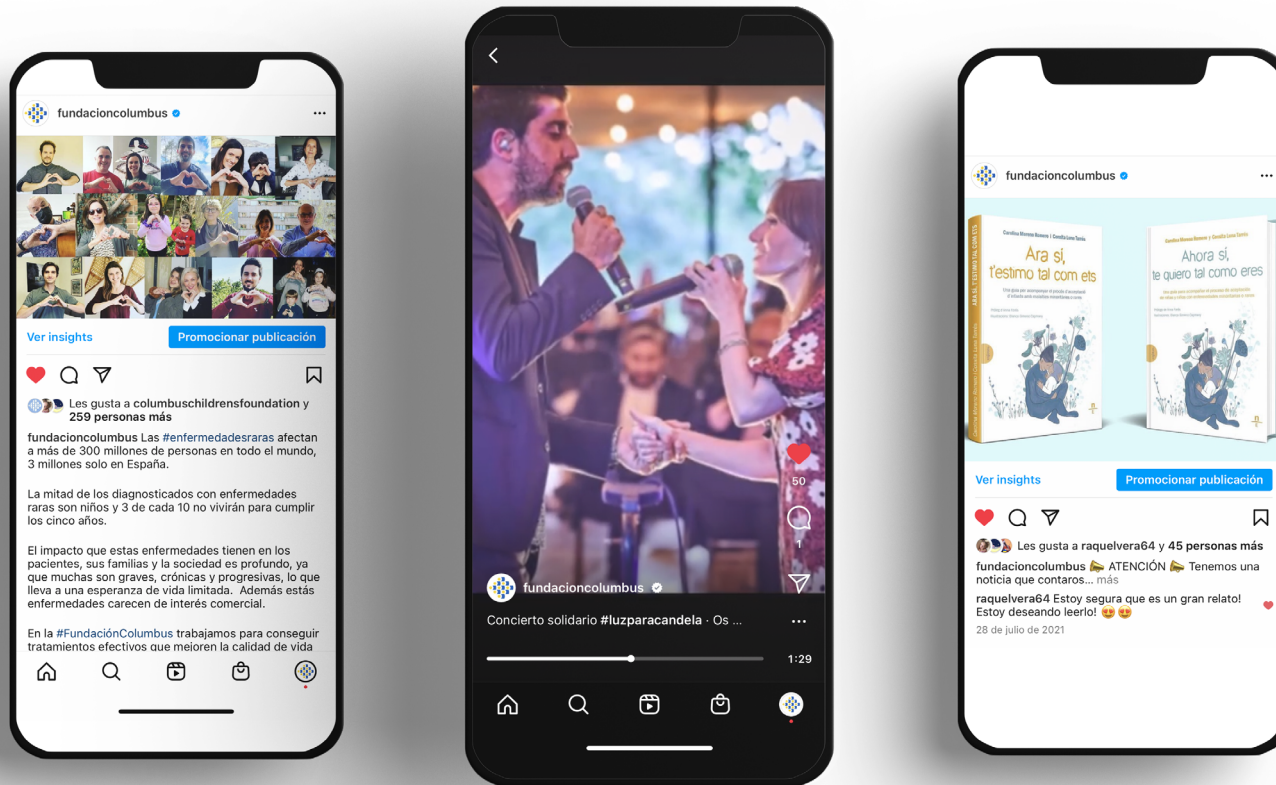
Apariciones en medios

Noticias destacadas

Medios locales y nacionales se han hecho eco de noticias como los conciertos *Dolor y Esperanza* y el concierto *Luz para Candela*, la presentación del *Objetivo 10*, los pacientes catalanes derivados al extranjero para tratamientos de protonterapia o los avances con los enfermos de CTN-NB1.



Impacto en redes sociales



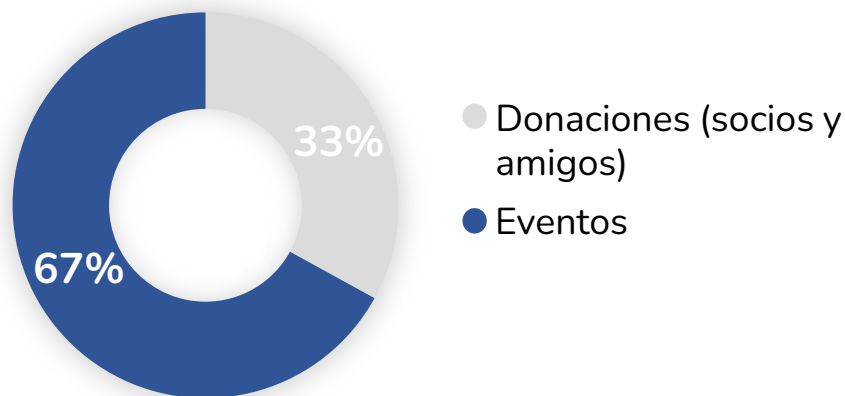
Nuevos seguidores

Aumentamos el número de seguidores en redes sociales, consiguiendo 2.137 seguidores nuevos: en Instagram aumentamos 1.486, en Facebook conseguimos 298 nuevos, Twitter aumenta 232 seguidores y en LinkedIn 121 perfiles empiezan a seguirnos.

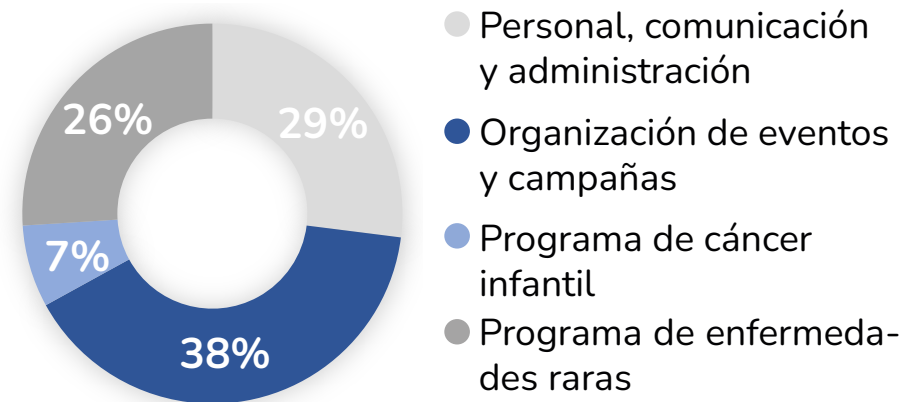
Transparencia

Las cuentas anuales de la Fundación Columbus correspondientes a 2021 han sido auditadas por 3e Auditores. Durante el presente ejercicio, hemos obtenido y empleado los recursos de la siguiente manera:

Origen de los fondos

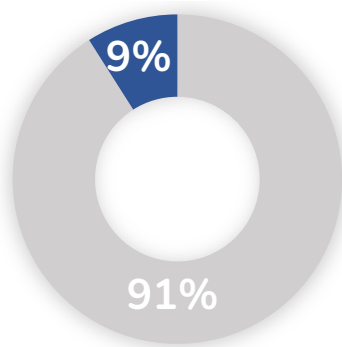


Destino de los fondos

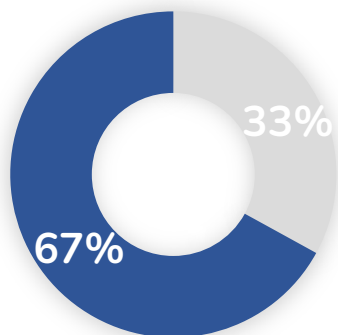


Transparencia

Origen de los fondos 2020



Origen de los fondos 2021



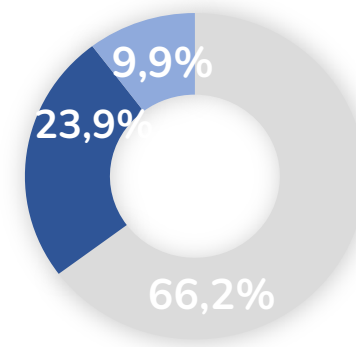
- En **personal, comunicación y administración** hemos conseguido reducir los gastos a la mitad (-37,2%). Estamos orgullosos de estar a medio camino de reducir los gastos estructurales de la Fundación para cumplir el objetivo que nos propusimos para 2022.

- En 2021 aumenta la **organización de eventos y campañas** (+14,1%) debido al descenso de restricciones durante la pandemia. Esto lleva a aumentar la recaudación de fondos en un 58%.

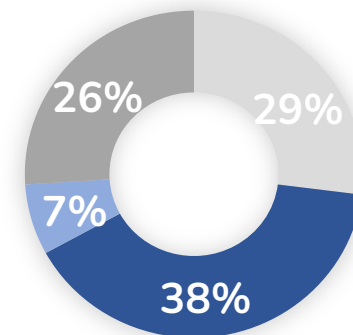
- En 2021 reducimos el gasto destinado al **programa de cáncer infantil** (- 2,9%) debido a la apertura de centros de protones en España y la ley catalana que reduce el envío de pacientes de protonterapia al extranjero.

- Se retoma la inversión en el **programa de enfermedades raras** (+26%) que se paralizó en el año 2020.

Destino de los fondos 2020



Destino de los fondos 2021





info@fundacioncolumbus.org

Calle Roger de Lauria, 6, 6o A | 46002 | Valencia

Calle José Abascal 58, 7D | 28003 | Madrid

+34 910 571 655

fundacioncolumbus.org

