



MEMORIA 2024





TABLA DE *contenido*

02\Carta del presidente

21\DANA

04\¿Quiénes somos?

22\Amigos de la Fundación Columbus

05\Terapia génica

23\Presencia en medios

15\Cáncer infantil

25\Transparencia

16\Otras acciones

28\Hacia 2025...



CARTA DEL *Presidente*

Queridos amigos:

Un año más, tengo el privilegio de daros la bienvenida a esta memoria anual, donde recogemos con gratitud y entusiasmo **los hitos alcanzados por la Fundación Columbus a lo largo de 2024.**

Ha sido un año marcado por el crecimiento, la consolidación y, sobre todo, por la esperanza transformada en hechos. Cada paso que hemos dado ha tenido un propósito claro: **acercar las terapias más innovadoras y eficaces a los niños y niñas que luchan contra enfermedades raras y cáncer infantil.**

Nuestra misión no solo se mantiene firme, sino que se refuerza día a día gracias a la generosidad de una red humana y profesional comprometida con la salud y el bienestar de los más vulnerables. Entre los avances más relevantes de este año, celebramos la expansión de nuestro **programa de terapia génica**, que ha permitido tratar a más niños y niñas con enfermedades raras como la SPG50, en colaboración con centros internacionales de excelencia.

El próximo objetivo es lograr que los tratamientos con terapias avanzadas para enfermedades raras puedan realizarse en España. Esto permitirá reducir significativamente los costes, facilitará el acceso y el acompañamiento a las familias durante el proceso, y contribuirá a la creación de un ecosistema y know how en tratamientos de terapias avanzadas en España. Creemos que este paso es clave para garantizar una atención más equitativa, eficiente y sostenible a los niños que más lo necesitan.

Todo ello ha sido posible gracias también a la colaboración estrecha con nuestra fundación hermana en EE. UU., la Columbus Children's Foundation, y al impulso de nuestros eventos culturales solidarios, que han vuelto a llenar salas y corazones gracias a nuestro querido embajador, **Il Soldato**.

Este año quiero poner en valor, especialmente, el papel de **Columbus Venture Partners**, la gestora de inversión en biotecnología que dio origen a esta fundación. Su visión filantrópica, basada en la ciencia como motor de cambio social, sigue siendo la raíz que nutre nuestra labor. La alianza entre inversión, conocimiento y propósito es el pilar que convierte a la Fundación Columbus en una plataforma real de transformación.

Gracias, una vez más, al equipo que hace posible cada paso, a nuestros colaboradores institucionales, y a todos vosotros: socios, donantes y amigos. Con vuestro apoyo, seguimos haciendo realidad lo que parecía imposible.

Juntos, estamos construyendo un mundo donde la esperanza no es una promesa, sino una realidad tangible.

Con profunda gratitud y compromiso,

Damià Tormo

Presidente de la Fundación Columbus.



¿QUIÉNES *somos?*



EL EQUIPO DE *gestión*

Patronato:



Damià Tormo
Presidente FC



Javier García
Secretario FC



Mercedes Calabuig
Patrona



Beatriz Sobrino
Patrona



Ana López
Patrona

Equipo de gestión:



Blanca Garín
Directora y patrona



Jacoba García
Marketing y comunicación



PROYECTO DE *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:

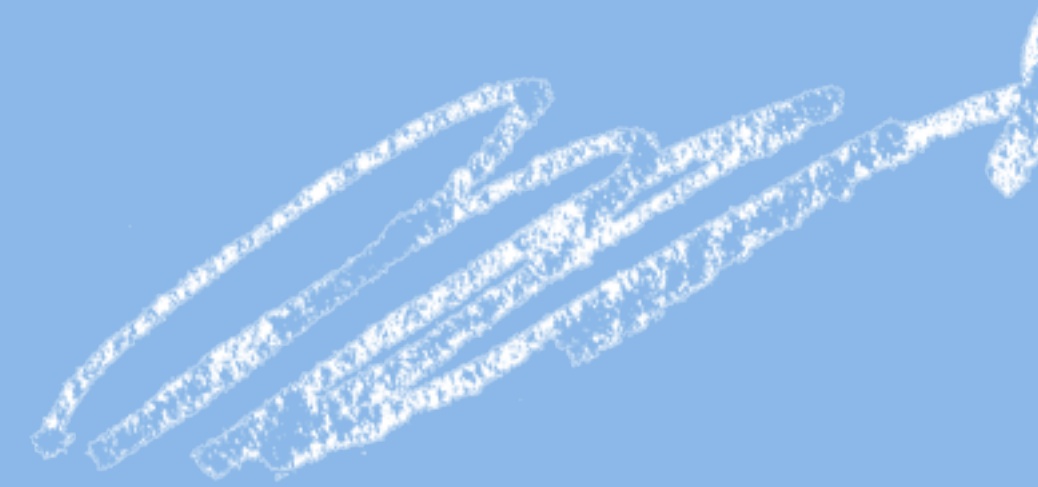
- Sustituir el gen causante del trastorno por uno sano.
- Agregar genes que ayudan a tratar o combatir la enfermedad.
- Desactivar genes que están ocasionando problemas.

Sustitución del gen defectuoso por el gen correcto:



En 2021, creamos el **Programa Objetivo 10**, con el propósito de desarrollar tratamientos efectivos de terapia génica para **diez enfermedades raras en diez años**.





Impulsando terapias génicas para enfermedades raras con alto impacto y baja visibilidad

En 2024, la alianza estratégica entre la Fundación Columbus y Elpida Therapeutics ha demostrado ser una pieza clave en el desarrollo de terapias génicas para enfermedades raras, como la **SPG50** o la **CMT4J**. Esta colaboración nace de una visión compartida: avanzar en programas que las empresas biotecnológicas tradicionales encuentran difíciles de completar.

Elpida Therapeutics continúa consolidándose como un agente disruptivo en el ámbito de las terapias avanzadas. Su cartera se centra en programas de gran solidez científica que fueron **descartados por empresas biotecnológicas o que no recibieron inversión** para avanzar debido a poblaciones de pacientes pequeñas, pero que tienen datos científicos excelentes sobre los cuales construir un programa y lanzar la ciencia y la oportunidad. A través de esta colaboración, Fundación Columbus canaliza su compromiso con los niños y niñas afectados por enfermedades raras, ayudando a transformar conocimiento en oportunidad.

Durante este año, gracias al impulso conjunto con Elpida, se han dado pasos decisivos para la aplicación clínica de **la terapia génica Melpida**, con la que ya han sido tratados varios menores. Asimismo, Elpida continúa expandiendo su cartera de programas a través de un proceso de solicitud diseñado para instituciones académicas y fundaciones.

Esta alianza refuerza la misión fundacional de Columbus: ser un puente entre la ciencia más prometedora y los pacientes más vulnerables, eliminando barreras económicas y burocráticas.

Alianza CON VIRALGEN

Producción de terapias génicas de vanguardia para enfermedades raras

La colaboración entre la Fundación Columbus, la Columbus Children's Foundation y Viralgen es uno de los pilares fundamentales que hacen posible nuestro programa de terapia génica. Viralgen es el socio **encargado de la fabricación de los vectores virales adeno-asociados (AAV)**, esenciales para el desarrollo y administración de terapias génicas seguras y eficaces.

Gracias a esta alianza, hemos podido avanzar en tratamientos destinados a enfermedades raras y ultra-raras como la deficiencia de L-aminoácido aromático descarboxilasa o parkinson infantil (AADC), o la paraplejia espástica tipo 50 (SPG50). La calidad, escalabilidad y eficiencia en los procesos de producción de Viralgen han sido determinantes para que terapias altamente complejas puedan llegar a los pacientes de forma más rápida, segura y, sobre todo, accesible.

Viralgen ofrece a nuestros programas acceso directo a **ciencia de vanguardia** en la aplicación de vectores AAV para fines terapéuticos. Esta base científica, combinada con una **capacidad de producción de primer nivel**, permite escalar tratamientos desde fases de investigación hasta su aplicación clínica, lo que se traduce en **terapias más asequibles y con mayor impacto social**.

Gracias a esta colaboración los pacientes afectados por una enfermedad rara sin tratamiento hasta ahora, encuentran hoy una esperanza real donde antes solo había incertidumbre.

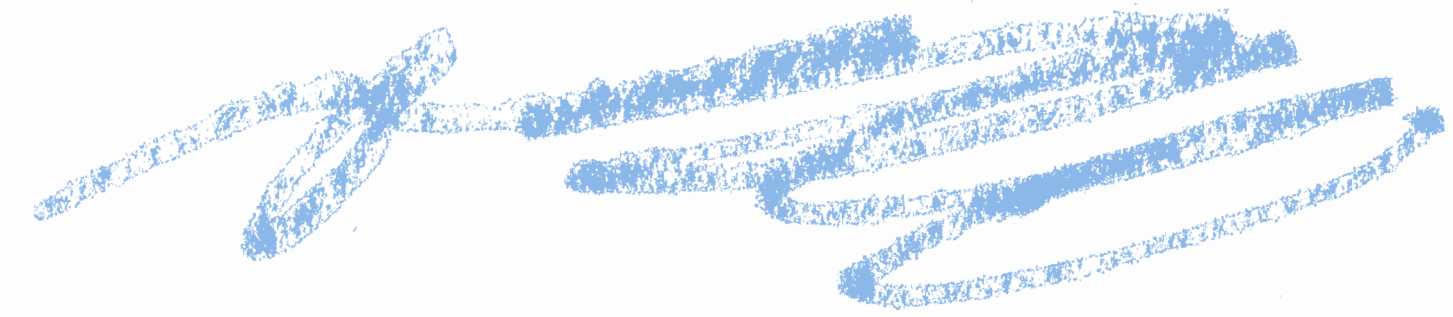
¿CON QUÉ *enfermedades raras* TRABAJAMOS?

	R&D	Preclínica	IND	Fase I/II	Fase II/III	Colaboradores
AADC Aromatic L - Amino Acid Decarboxylase Deficiency						
SPG50 Spastic paraplegia 50						
CMT4J Charcot Marie Tooth disease type 4 J						
NPC* Niemann Pick type C						
CTNNB1 Catenin (Cadherin-associated protein), beta 1						

*Actualmente gestionado por University College of London.

En algunos casos, como en el caso de la enfermedad rara NPC, la Fundación Columbus participa puntualmente en una parte del proceso de desarrollo de la terapia. Mientras que en otros, como en el caso de AADC, o SPG50, los proyectos son propios de la Fundación Columbus y suponen una gestión de mayor continuidad.

PROGRAMA AADC



Nuevos protocolos para una enfermedad devastadora y casi invisible.

El **déficit de AADC (ácido L-amino decarboxilasa aromática)**, también conocido como **párkinson infantil**, es un trastorno neurológico hereditario extremadamente raro que afecta la capacidad del cerebro para producir neurotransmisores esenciales como la dopamina y la serotonina. Esta condición se manifiesta durante el primer año de vida, con síntomas muy graves: retraso global del desarrollo, hipotonía, rigidez muscular, movimientos involuntarios, trastornos del sueño, espasmos y, en muchos casos, episodios de paro cardíaco. Su diagnóstico es difícil y escaso, lo que hace que la esperanza de vida sea aún incierta, y que muchas familias pasen años sin respuestas claras ni opciones de tratamiento.

Desde la Fundación Columbus, mantenemos nuestro firme compromiso con los niños y niñas que padecen esta enfermedad tan severa y poco atendida. En 2024, hemos **continuado impulsando el desarrollo de nuevos protocolos clínicos para aplicar la terapia génica como vía terapéutica en el AADC**, buscando no solo detener el avance de la enfermedad, sino restaurar funciones neurológicas esenciales para la calidad de vida. Hasta la fecha la Fundación ha facilitado el tratamiento de **33 niños y niñas de 13 países diferentes**, tanto con ayudas directas como cubriendo el seguro médico de la operación.

Nuestra labor en este campo se centra en **garantizar el acceso a estos tratamientos experimentales**, en colaboración con centros médicos especializados y organizaciones internacionales, en un esfuerzo conjunto por transformar el pronóstico de estos menores.

Colaboradores:



PROGRAMA SPG50



Un ensayo pionero en Europa que abre una nueva vía de esperanza.

Se trata de un trastorno neurodegenerativo de progresión lenta causado por una mutación genética que afecta la función neuronal. Los síntomas incluyen retraso global del desarrollo, discapacidad intelectual moderada o grave, dificultades del habla o ausencia del lenguaje, microcefalia, convulsiones y espasticidad progresiva, que puede llegar a afectar tanto extremidades inferiores como superiores, derivando en tetraplejia y pérdida de control del torso.

En 2024 la Fundación Columbus hizo realidad el **ensayo único en España y pionero en Europa de terapia génica para tratar a niños y niñas afectados por esta enfermedad rara**. El ensayo de tipo compasivo, desarrollado en el **servicio de pediatría del Hospital Universitario Donostia (Osakidetza)**, ha contado con la dirección de la Dra. Itxaso Martí, experta en neuropediatría y enfermedades neuromusculares. Con el apoyo de la **Plataforma de Investigación Clínica del IIS BioGipuzkoa**, el ensayo ha seguido un protocolo estricto de evaluación de eficacia y seguridad del tratamiento en niños y niñas mayores de 10 años, en un entorno clínico de excelencia.

Gracias a este esfuerzo conjunto, **Alejandro y Sergio**, 2 de los 3 únicos casos identificados en España hasta ese momento con SPG50, recibieron su tratamiento de terapia génica en 2024. Con Alejandro y Sergio ya son 6 los niños tratados en todo el mundo hasta la fecha.

Colaboradores:



PROGRAMA SPG50

Alejandro

Alejandro es el primer caso español de SPG50 que ha recibido tratamiento de terapia génica Melpida en España gracias al ensayo pionero en Europa liderado por la Fundación Columbus.

En colaboración con Elpida Therapeutics, Viralgen y el Hospital Universitario Donostia, la Fundación Columbus inició un ensayo de tipo compasivo revolucionario en Europa destinado a abordar la SPG50, ensayo en el que Alejandro se pudo tratar el 7 de mayo de 2024.



PROGRAMA SPG50

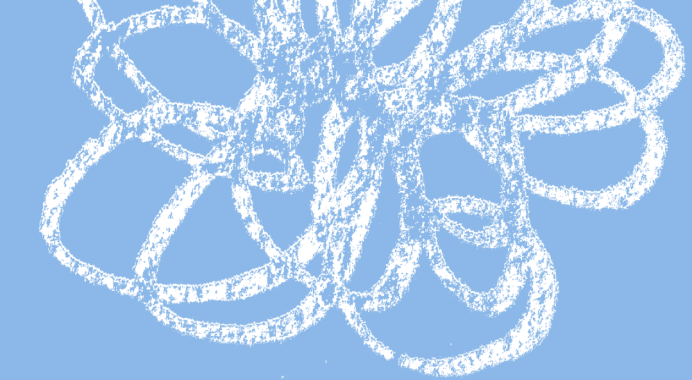
Sergio

A los 17 años una nueva oportunidad llamaba a la puerta de Sergio. Gracias al ensayo de tipo compasivo desarrollado en el servicio de pediatría del Hospital Universitario Donostia, finalmente, Sergio recibió su tratamiento de Melpida el 30 de julio de 2024.

Este ensayo cuenta con el apoyo de la Plataforma de Investigación Clínica del IIS BioGipuzkoa que actúa como promotor de este relevante ensayo, que supone las pruebas del producto en personas con SPG50 para demostrar eficacia y seguridad del producto en mayores de 10 años.



PROGRAMA CMT4J



Avances hacia un posible tratamiento.

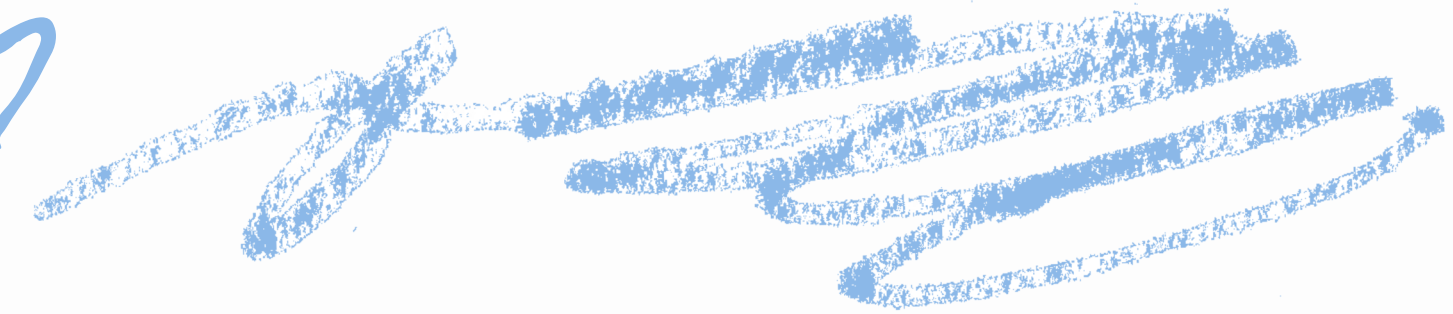
Charcot-Marie-Tooth tipo 4J (CMT4J) es una enfermedad neurológica hereditaria, rara y devastadora, causada por mutaciones en el gen FIG4. Los síntomas principales incluyen dificultad para respirar, debilidad muscular, incoordinación, tono muscular pobre en el recién nacido, ausencia de reflejos (arreflexia), dificultad para caminar e incoordinación y dificultad para sentir o mover algunas partes del cuerpo.

Durante 2024, la Fundación Columbus ha dado un paso clave en su compromiso con esta enfermedad colaborando en el **Estudio de Historia Natural de CMT4J**, en alianza con Elpida Therapeutics y otras instituciones internacionales, que incluye a centros como la Universidad de Florida, Stanford, UT Southwestern o Viralgen, entre otros, y al apoyo del Instituto de Medicina Regenerativa de California (CIRM). Este estudio, registrado como NCT06151600, ya ha incluido a sus **dos primeros pacientes** y recopilará datos fundamentales que permitirán diseñar un futuro ensayo clínico de terapia génica, previsto para los próximos meses.

Los datos de este estudio serán fundamentales para determinar los objetivos de los ensayos clínicos, identificar posibles biomarcadores y perfeccionar los objetivos terapéuticos. Estos conocimientos guiarán el desarrollo de tratamientos efectivos para CMT4J, mejorando la precisión y eficacia de futuros ensayos clínicos.

Colaboradores:  **ELPIDA**
THERAPEUTICS

PROGRAMA CTNNB1



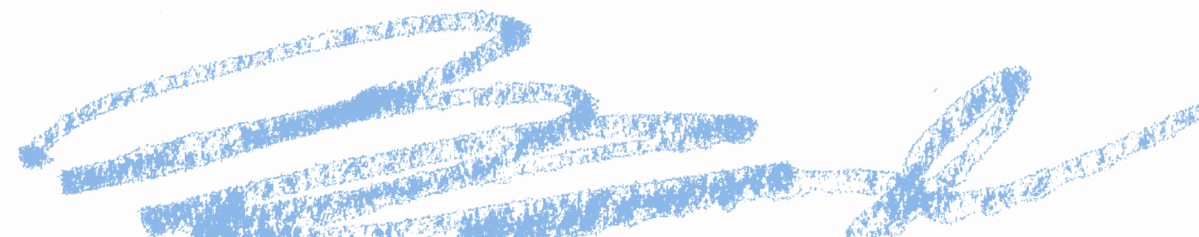
Comprometidos con CTNNB1, una nueva esperanza

El **síndrome CTNNB1** es un trastorno neurológico grave y poco frecuente causado por una mutación en el gen CTNNB1, ubicado en el cromosoma 3p22.1. Identificado por primera vez en 2012, afecta a 1 de cada 50.000 niños a nivel mundial. Esta condición, mayoritariamente causada por mutaciones de novo, genera retraso global del desarrollo, discapacidad intelectual, ausencia o severas dificultades en el habla, problemas motores, microcefalia y trastornos de conducta como autismo, TDAH o alteraciones del sueño. En España ya se han diagnosticado más de 40 casos.

La Fundación Columbus, fiel a su misión de acercar terapias avanzadas a niños con enfermedades raras, ha asumido un papel activo en el desarrollo de una posible solución terapéutica para esta patología. A través de una **alianza con la CTNNB1 Foundation y Viralgen**, la fundación apoya la producción de URBAGEN, una terapia génica pionera diseñada específicamente para tratar esta alteración genética. Gracias a la colaboración con Viralgen, se ha podido asegurar una fabricación prioritaria y a bajo coste, crucial para que estas terapias, aún sin alternativa comercial, puedan avanzar hacia su fase clínica.

En 2024, Columbus ha intensificado su colaboración con la **Asociación CTNNB1 España**, con el objetivo de poder tratar a los primeros pacientes en 2025 dentro de un ensayo clínico.

Colaboradores:



PROYECTO DE *cáncer infantil*

Concluye con éxito el **Programa de Protonterapia** habiéndose conseguido el objetivo del mismo: que los niños españoles con cáncer infantil y sus familias ya no tengan que desplazarse al extranjero para recibir este tratamiento. **Un total de 155 familias** se han beneficiado del Programa de Protonterapia.

Actualmente, tratándose la inmensa mayoría de pacientes en nuestro país, **la Fundación Columbus realiza una labor de asesoramiento** en materia de protonterapia a las familias que lo soliciten como organización de referencia en esta materia.

Ahora que hemos conseguido que los niños y niñas con cáncer puedan acceder a la protonterapia en nuestro país gracias a la apertura de dos centros de protonterapia en Madrid (Centro Protonterapia Quirón Salud y Unidad de Protonterapia Clínica Universidad de Navarra), reconvertimos el programa de protonterapia en el nuevo programa de cáncer infantil, buscando dar acceso a los pacientes a nuevas terapias innovadoras que consigan curar cánceres raros para los que no existe tratamiento hoy en día.

Gracias a que la Fundación Columbus apoyó e hizo campaña para disponer de esta terapia en España, se han podido tratar hasta la fecha cientos de pacientes en los dos centros de protonterapia en nuestro país.



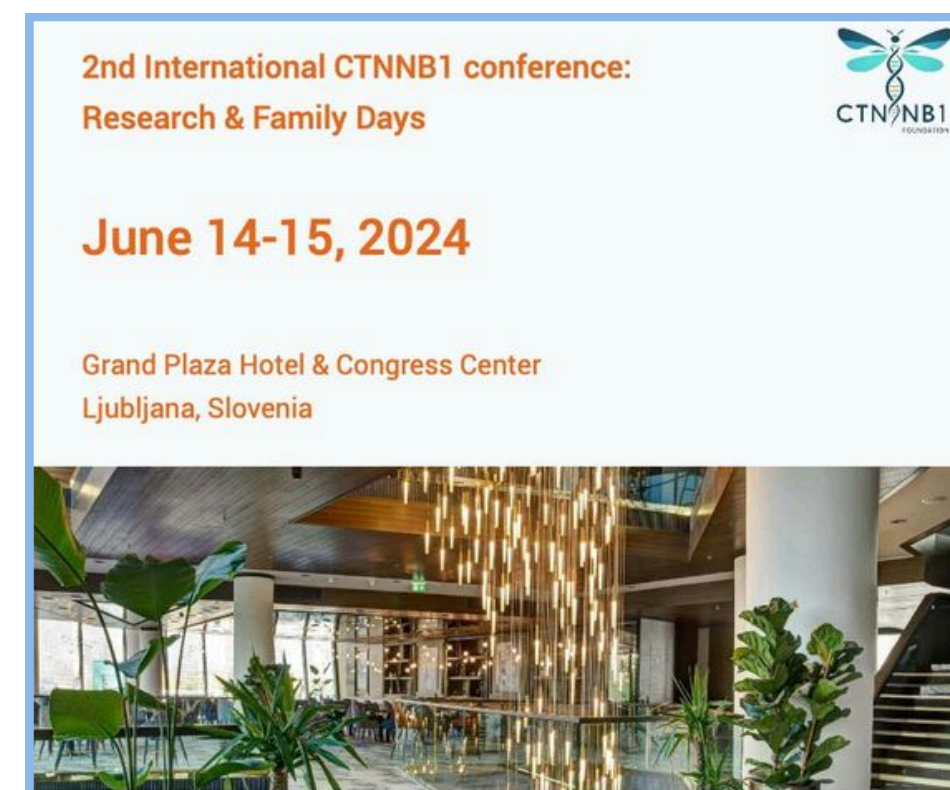
OTRAS ACCIONES *Innovación*

II Congreso Internacional de Síndrome CTNNB1

La Fundación Columbus ha participado activamente en el II Congreso Internacional de Síndrome CTNNB1, celebrado los días 14 y 15 de junio de 2024 en Ljubljana, Eslovenia, seguido de un examen clínico de los niños afectados, que tuvo lugar el 15 y 16 de junio. Este congreso ha reunido a expertos, investigadores, clínicos, familias y organizaciones de todo el mundo, con un foco principal en el avance de tratamientos para este síndrome ultra raro de origen genético.

El programa del congreso se centró especialmente en los progresos en terapia de sustitución génica, así como en la preparación clínica necesaria para llevar estas terapias a los pacientes. También se presentaron actualizaciones sobre otros enfoques terapéuticos en desarrollo, con el objetivo de ofrecer nuevas oportunidades a las familias que conviven con esta enfermedad, que afecta al desarrollo neurológico y motor de los niños desde edades muy tempranas.

La presencia de la Fundación Columbus en este evento reafirma su compromiso con el impulso de la investigación, la colaboración internacional y el desarrollo de terapias avanzadas para enfermedades genéticas poco frecuentes.



OTRAS ACCIONES *Innovación*

Columbus Investor Day 2024

El Columbus Investor Day 2024 se celebró como un punto de encuentro internacional de referencia entre inversores, startups, científicos y líderes del sector salud, con el propósito de impulsar soluciones innovadoras en biotecnología y medicina avanzada. Organizado por Columbus Venture Partners, este evento reflejó no solo la apuesta por la innovación y el progreso científico, sino también el **firme compromiso social que define a su brazo filantrópico: la Fundación Columbus.**

La Fundación estuvo presente para recordar que la tecnología y la inversión adquieren su sentido más profundo cuando se traducen en esperanza real para quienes más lo necesitan. En ese espíritu transformador de la inversión en impacto social, el evento sirvió también como plataforma para visibilizar las terapias génicas que la Fundación desarrolla para tratar enfermedades raras en niños, muchas de las cuales han sido posibles gracias a los vínculos generados entre ciencia, inversión responsable y filantropía.



OTRAS ACCIONES *Cultura*

Noche benéfica en el Teatro Real de Madrid

El 20 de abril de 2024, la Fundación Columbus y Art & Hope organizaron una velada benéfica inolvidable en el Teatro Real de Madrid, con el objetivo de recaudar fondos para el desarrollo de terapias génicas dirigidas a enfermedades raras de origen genético. La cena solidaria, celebrada sobre el escenario del emblemático teatro y con el telón de fondo de la ópera Los maestros cantores de Núremberg, reunió a destacados referentes del arte, la música y la alta gastronomía en un gesto colectivo de esperanza.

La cita contó con una cena exclusiva a “cuatro manos” a cargo de dos grandes chefs de la gastronomía española: Elena Arzak y Ramón Freixa. El evento estuvo amenizado por actuaciones musicales de primer nivel, con artistas como la soprano Dragana Paunovic, el barítono Alejandro von Büren, y el violonchelista Ángel Luis Quintana, entre otros. Además, se presentó la obra “Irai coloring the world”, creada especialmente para la Fundación Columbus por el artista internacional Okuda San Miguel, subastada en Nueva York.



OTRAS ACCIONES *Cultura*

III Edición del Festival RenHacer

El festival se celebró del 6 al 16 de septiembre destinado a recaudar fondos para el tratamiento de enfermedades raras infantiles de origen genético. En concreto, los fondos recaudados fueron destinados a continuar los esfuerzos para el tratamiento de niños afectados con SPG50.

La columna vertebral del festival constó de tres conciertos en el que se interpretó el concierto de piano de Edvard Grieg en la menor opus 16, y la Sinfonía número 4 en mi menor opus 98 de Johannes Brahms. Los conciertos tuvieron lugar en San Sebastián (Kursaal) el 11 de septiembre, el 13 de septiembre en Bilbao (Euskalduna), y el cierre será en la Basilica de Arantzazu el sábado 14 de septiembre. El festival contó con la participación estelar del pianista Joaquín Achúcarro y la Orquesta Sinfónica de Bilbao (BOS) bajo la dirección musical de Ramón Tebar.



OTRAS ACCIONES *Cultura*

#UnidosporlaDANA

La Fundación Columbus organizó un concierto solidario el 11 de diciembre en la emblemática Parroquia Museo de San Nicolás de Valencia cuyo objetivo fue recaudar fondos para los afectados por la DANA, canalizados a través de la ONG valenciana Farmamundi, reconocida por su amplia experiencia en la promoción de la salud y la ayuda farmacéutica en situaciones de emergencia.

El evento contó con la participación de Ángel Luis Quintana, destacado chelista y amigo de la Fundación Columbus, la prestigiosa escuela coral de los Pequeños Cantores de Valencia, el tenor Eduardo Sandoval, y la organista de la Parroquia de San Nicolás, Atsuko Takano.



#COLUMBUSCONFARMAMUNDI POR LA DANA

Alianza solidaria ante la emergencia: Fundación Columbus y Farmamundi tras la DANA en Valencia

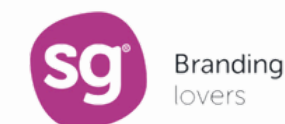
La devastadora DANA que afectó a Valencia en octubre de 2024 dio lugar a una alianza estratégica entre la Fundación Columbus y Farmamundi. Esta colaboración permitió canalizar recursos de forma ágil y efectiva para atender a las comunidades más vulnerables, especialmente en materia de salud, higiene, alimentación y apoyo logístico. Desde la misma semana de la catástrofe, Farmamundi ha distribuido más de 13 toneladas de material sanitario, de protección y de higiene. Además, ha activado varios convenios con organizaciones y ayuntamientos, para atender las necesidades más urgentes de la población, tanto en ayudas directas como en atención en salud mental o alimentaria.

Farmamundi y Fundación Columbus continúan sus esfuerzos para ayudar a los municipios afectados por el paso de la DANA. Ambas organizaciones han centrado sus acciones en la recuperación de las principales zonas, priorizando necesidades urgentes como el acceso a productos sanitarios y de higiene básica en las zonas afectadas, además de alimentos y apoyo logístico para familias en situación de vulnerabilidad.

Ambas organizaciones, profundamente vinculadas a Valencia, han demostrado que la colaboración entre agentes sociales con misiones complementarias puede amplificar el impacto en momentos de crisis. Esta alianza, nacida de una emergencia, se proyecta ya hacia nuevas iniciativas enfocadas en la infancia y colectivos vulnerables, reafirmando el compromiso compartido con la salud, la equidad y la mejora de la calidad de vida.

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. Actualmente contamos con más de 20 empresas amigas de la Fundación.



PRESENCIA EN *medios*



EL MUNDO
DÍA MUNDIAL DE LAS ENFERMEDADES RARAS

El desafío de las enfermedades raras: una batalla que se sigue librando en la sombra

El último día de febrero se conmemora el Día Mundial de las Enfermedades Raras. Cerca de tres millones de españoles padecen alguna de las 7.000 que existen. Un elevado porcentaje afronta estas patologías con problemas de acceso a los fármacos y las terapias, sufriendo diagnósticos tardíos y desigualdades en la atención médica.



[Comentar](#)

LARAZÓN
ATUSALUD

Fundación Columbus y enfermedades raras

Este mes empezará en España un ensayo clínico pionero con niños de corta edad que están afectados por la paraplejia espástica 50, una enfermedad muy rara que afecta a unas decenas de personas en todo el mundo

- Solo el 6% de las enfermedades raras tiene tratamiento farmacológico
- «A mis hijos, con una enfermedad rara, les han pegado y tirado por la escalera»



La tripanofobia es el miedo irracional a las inyecciones y las agujas. Bragimo / Agencia ICAI

LARAZÓN
ATUSALUD

Alejandro, el primer niño tratado contra la SPG50 en España

Acaban de darle el alta hospitalaria. Es el quinto paciente con paraplejia espástica 50 en recibir terapia génica en el mundo

- «El cerebro no duele, por eso se puede operar sin anestesia»
- Volver a aprender a hablar tras sufrir un ictus: "Hablo muy despacio. Me dicen que parezco extranjera"



▲Alejandro, con SPG50, y su madre en el hospital. MEDINAFOTOGRAFO / LA RAZÓN

elCorreoGallego

Sergio se convierte en la séptima persona en el mundo en recibir un tratamiento genético único

- La medicación que ofrece este ensayo clínico para la enfermedad rara SPG 50 puede administrarse en España desde este año y es pionero en Europa
- El joven gallego de Mesía es uno de los tres casos que hay en el país



El joven gallego entró a recibir el tratamiento el 30 de julio / CEDIDA

SE2

"La ciencia debe arreglar otros problemas antes de intentar que vivamos eternamente": cómo la terapia génica ayuda a niños con enfermedades raras

Aimar Bretos entrevista a Javier García, presidente de Viralgen y secretario de la Fundación Columbus, que desarrolla un programa de terapia génica para niños con enfermedades raras



LAS PROVINCIAS

Blanca Garín, la ingeniera solidaria que llena auditorios

Hace cinco años que esta valenciana se involucró en la Fundación Columbus, y desde entonces se ha convertido en una especie de ángel de la guarda que ayuda a familias con niños afectados de enfermedades raras; ahora se ha volcado con los afectados por la DANA



Blanca Garín, una de las personas que está detrás de la Fundación Columbus. LP

deia

La BOS y Joaquín Achúcarro participarán en el Festival RenHacer en septiembre

Tendrá como sedes Euskalduna Jauregia y el Santuario de Arantzazu, y su objetivo es recaudar fondos contra las enfermedades raras

Andrés Portero
Bilbao | 24-08-24 | 11:31



La BOS y Joaquín Achúcarro participarán en el Festival RenHacer en septiembre

EL DIARIO VASCO

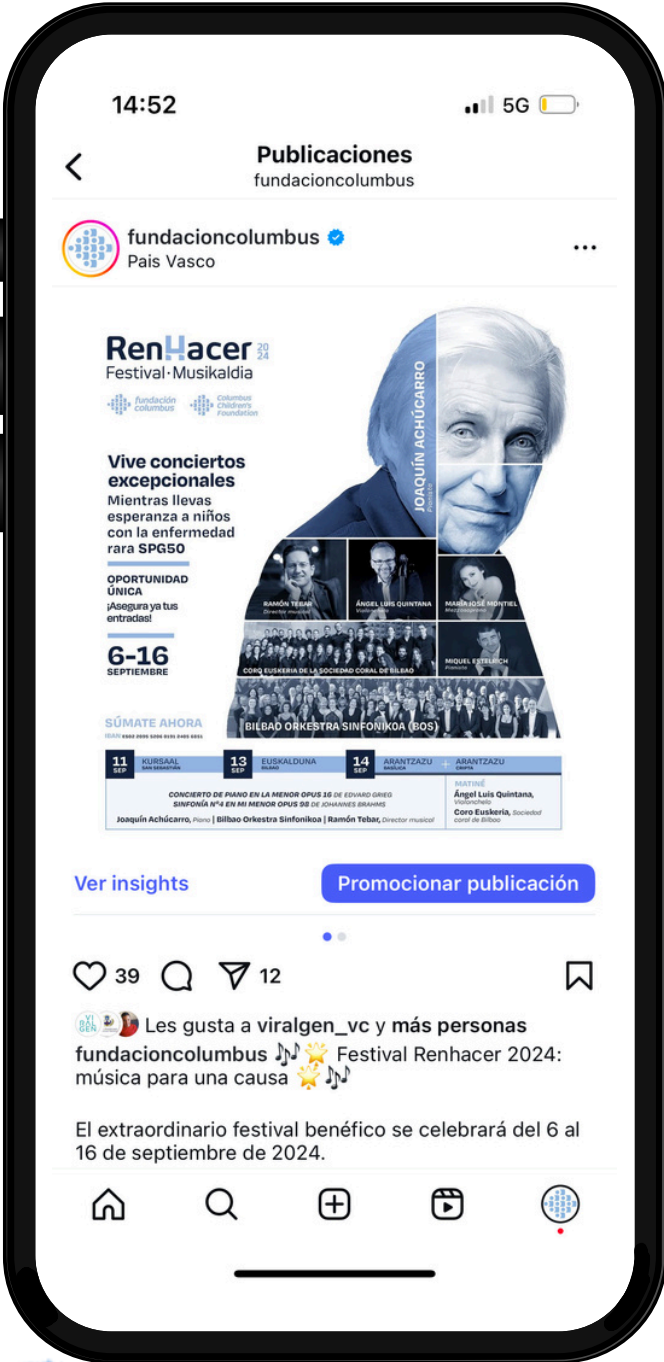
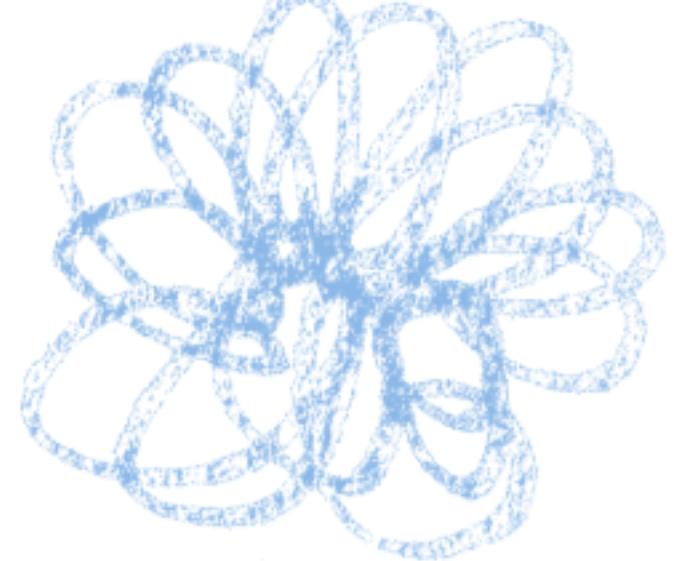
Gipuzkoa comienza un ensayo clínico pionero en Europa con niños con una enfermedad rara

Alejandro, sevillano de 12 años afectado por la SPG50, será el primero en recibir a principios de mayo el vector y el gen producido en Donostia por la empresa Viralgen



Alejandro, en el centro, rodeado de sus padres David y Yamin, y sus hermanos, Adrián y Martín.

PRESENCIA EN *medios*





Instagram

+624

Total: 4.745



Facebook

+152

Total: 2.058



Twitter

+46

Total: 574



Linkedin

+424

Total: 1.249

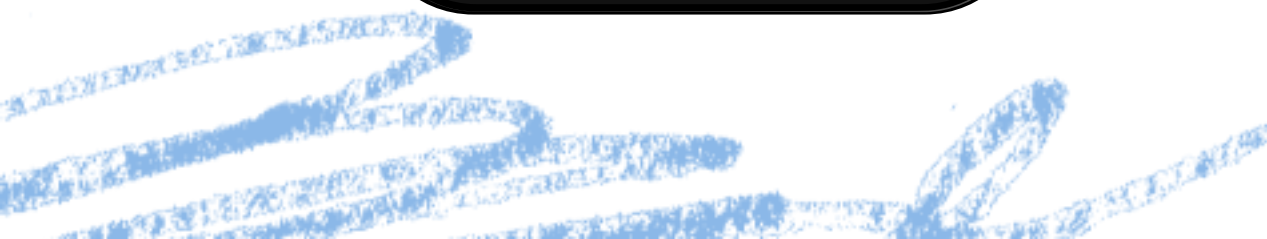


Newsletter

+365

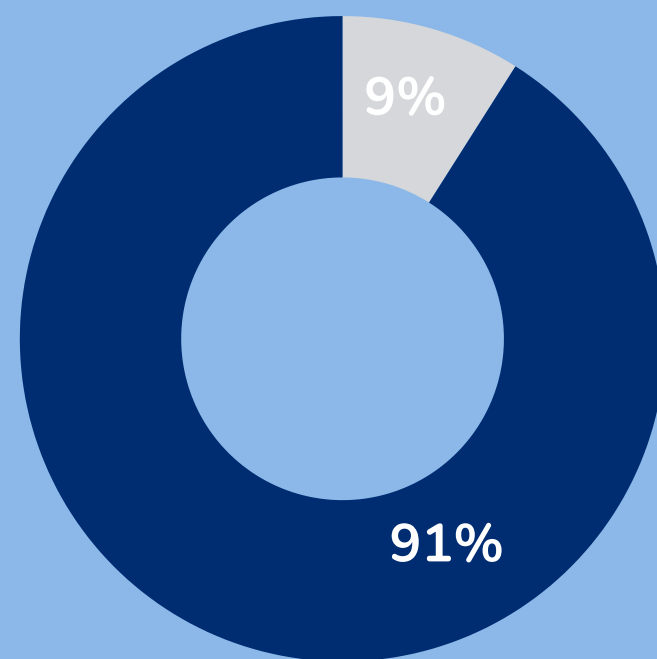
Total: 844

ALCANCE +1.611



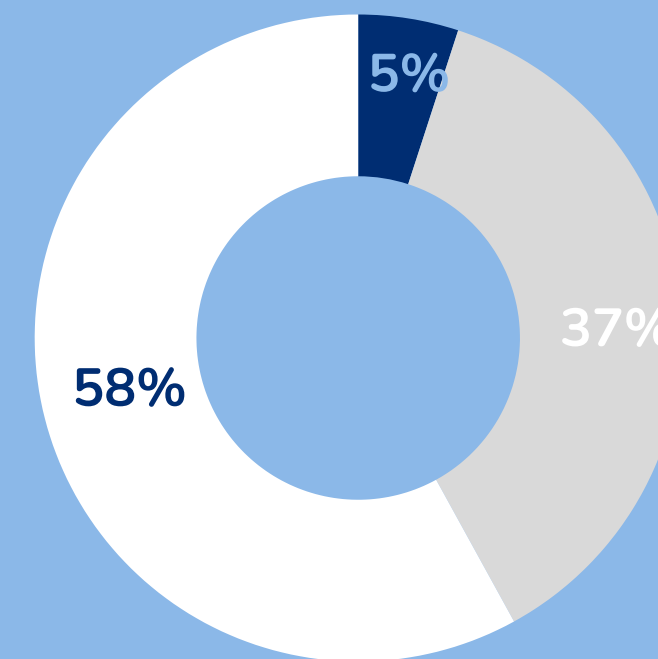
Transparencia DE LOS FONDOS

Origen de fondos



- Donaciones de socios, amigos y donaciones puntuales
- Captación de fondos a través de programa cultural

Destino de fondos

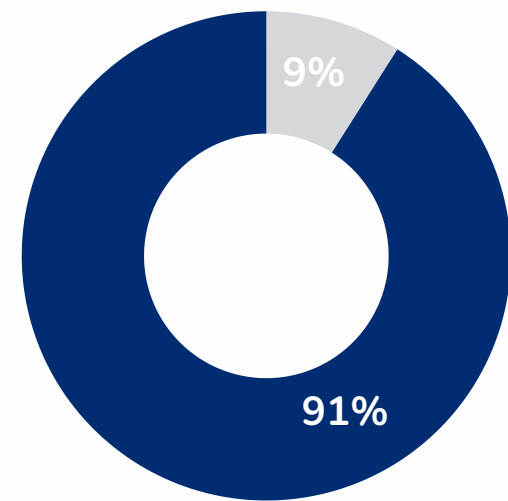


- Estructura
- Programa cultural
- Programa de enfermedades raras

* El estudio de la situación financiera de la Fundación Columbus realizado por los auditores y correspondiente a 2023 queda a disposición de quien lo solicite.
Ver **cuentas anuales** y **auditoría de cuentas**.

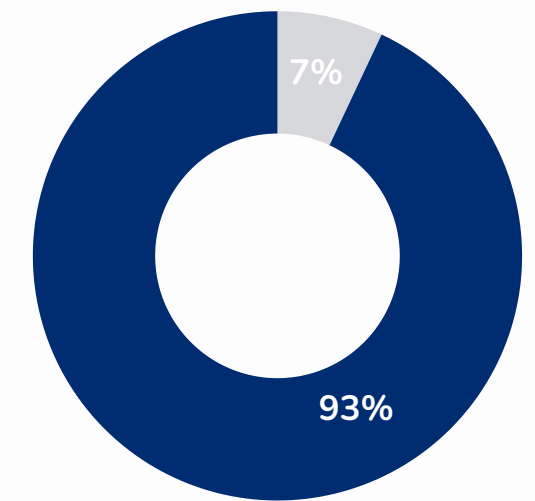
Transparencia DE LOS FONDOS

Origen de fondos 2024

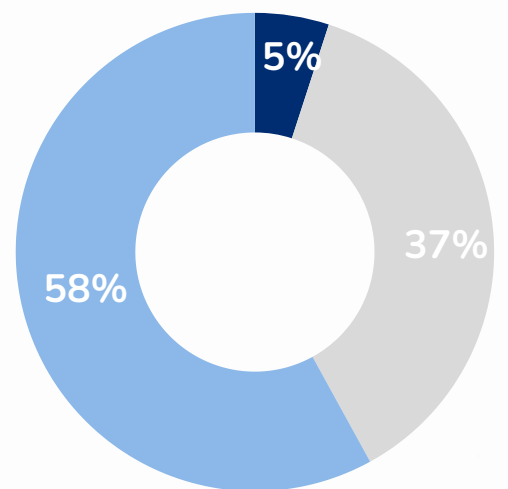


- Donaciones de socios, amigos y donaciones puntuales
- Captación de fondos a través de programa cultural

Origen de fondos 2023

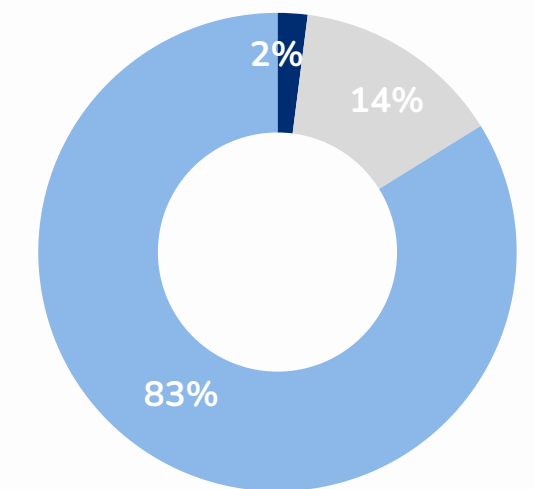


Destino de fondos 2024



- Estructura
- Programa cultural
- Programa de enfermedades raras

Destino de fondos 2023



Transparencia DE LOS FONDOS



● Objetivo reducción de gastos estructurales conseguido

Seguimos dando continuidad al objetivo que nos propusimos en 2020 de reducir los gastos estructurales de manera que no superaran el 15 % de los fondos obtenidos. Un año más, los gastos destinados a estructura siguen siendo inferiores al objetivo propuesto, siendo este año de tan solo un 5%.

● Destino de fondos a enfermedades raras

La reducción en el destino de fondos al programa de enfermedades raras se debe a la financiación de los tratamientos de Alejandro y Sergio en España gracias al ensayo clínico de tipo compasivo desarrollado en el servicio de pediatría del Hospital Universitario Donostia (Osakidetza).

● Origen de los fondos

La disminución de la captación de fondos a través del programa cultural de un 93% a un 91% se debe a un ligero aumento del porcentaje de fondos de origen “donaciones de socios y amigos” del 7% al 9% a pesar de no haber una reducción en términos absolutos.



HACIA 2025...

Tras un 2024 de grandes avances, alianzas sólidas y momentos profundamente transformadores, en 2025 queremos seguir renovamos nuestro compromiso con más fuerza que el año anterior. Trabajamos para que los tratamientos no solo existan, sino que lleguen a tiempo y lo más cerca posible de quienes los necesitan.

Uno de nuestros grandes retos será lograr que terapias como la de **SPG50** puedan administrarse en nuestro país, para lo cual ya estamos en conversaciones con centros clínicos e instituciones sanitarias de referencia. Paralelamente, continuaremos desarrollando la terapia génica para **CTNNB1**, con el objetivo de iniciar el primer ensayo clínico en pacientes a finales de 2025 o comienzos de 2026.

Además, en 2025 abriremos nuevos caminos. Ampliaremos nuestro alcance a nuevas enfermedades raras como **Krabbe** y **CLN7**, para ofrecer esperanza a familias que hoy no cuentan con ninguna alternativa terapéutica.

La Fundación Columbus seguirá siendo un puente entre la ciencia y la vida, entre la investigación y el acceso real. Porque cada niño merece una oportunidad. Y cada familia, una esperanza.

¡Muchas gracias!



fundación
columbus