

Memoria 2019



fundación
columbus





Índice

03 ¿Quiénes somos?

04 El equipo

05 Carta del presidente

06 Nuestro trabajo

06 Columna de la directora

07 Programa de protones

10 Programa de terapia génica

11 • Programa de AADC

15 • Programa de Niemann Pick-C

18 La cultura como movimiento solidario: Il Soldato & Friends

20 Nos movemos por el cáncer infantil y las enfermedades raras

21 Nuestros amigos

22 La fundación en los medios

23 Transparencia

¿Quiénes somos?

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.



Presidente

Damià Tormo

Secretario

Javier García

Directora general

Ana Gómez

Director financiero

Marc Marco

Patronos

Damià Tormo

Javier García

María Rosa Carulla

Beatriz Sobrino

Mercedes Calabuig

EL EQUIPO

Los impulsores de la **Fundación Columbus** fueron **Damià Tormo** y **Javier García**, quienes actualmente ocupan el cargo de presidente y secretario, respectivamente.

Ambos cuentan con una dilatada experiencia en el ámbito de la biotecnología de la salud y deciden crear la fundación para que esta sea el vehículo que haga posible que aquellos que lo necesiten puedan beneficiarse de los avances tecnológicos.

El Patronato está compuesto por ambos fundadores, así como por **Rosa Carulla, Beatriz Sobrino y Mercedes Calabuig**, esta última recientemente incorporada al órgano de gobierno.

El equipo se completa con un grupo de profesionales de diferentes ámbitos, quienes trabajan en el día a día de la entidad.

CARTA DEL PRESIDENTE

Queridos amigos:

A lo largo de este 2019, hemos seguido trabajando para acercar a la sociedad el trabajo llevado a cabo en materia de investigación médica y que supone un cambio radical en la forma en que se están tratando algunas de las enfermedades más devastadoras.

Este es el caso de la aplicación de terapia génica para abordar algunas enfermedades de origen genético. Tras los exitosos ensayos clínicos realizados en EE.UU., en mayo de 2019, iniciamos en Varsovia las primeras intervenciones. Este programa de salud ha comenzado con el tratamiento de la **deficiencia de la descarboxilasa de aminoácidos aromáticos (AADC)**, conocida como párkinson juvenil, la primera enfermedad ultrarrara monogénica neurodegenerativa que la entidad está tratando.

Gracias al trabajo realizado hemos conseguido los medios, la tecnología y el equipo humano para hacer realidad este nuevo programa, el cual no habría sido posible sin la constitución en marzo de 2019 de la fundación en Estados Unidos, **Columbus Children's Foundation**, con sede en Carolina del Norte. Todavía nos queda mucho recorrido, pero podemos estar orgullosos de tener acceso a una red global de expertos y colaboradores en terapia génica, que abarca desde aspectos preclínicos, a desarrollo clínico, cuestiones regulatorias y producción. Esto nos permite colaborar con muchos grupos de investigación y facilitar el desarrollo de estas terapias, que dado el pequeño número de pacientes, no tienen interés económico para las empresas farmacéuticas. Nuestro objetivo es que se desarrolle la cura para estas enfermedades y que llegue a todos los pacientes que lo necesitan en todo el mundo.



Damià Tormo





Ana Gómez

Nuestro Trabajo

COLUMNA DE LA DIRECTORA

En nuestra misión de seguir acercando las nuevas tecnologías a las personas que más lo necesitan, decidimos poner el foco durante este 2019 en aquellos niños que sufren enfermedades minoritarias, poco frecuentes, de difícil diagnóstico, pero igualmente importantes: las **enfermedades ultrarraras**.

En la mayoría de las ocasiones, el diagnóstico de estas enfermedades suele ser complicado y las familias tienen que recorrer un arduo camino hasta encontrar la causa de las mismas. Además, existe una complicación añadida y es que la mayor parte de estas enfermedades de componente genético carecen de cura y solo cuentan con tratamientos que intentan paliar los síntomas que presentan.

Siendo conscientes de la realidad en la que viven estos pacientes, desde la **Fundación Columbus** hemos puesto en marcha un programa que pretende dar acceso a un tratamiento efectivo basado en **terapia génica** a algunas de las más devastadoras enfermedades monogénicas neurodegenerativas que afectan a los más pequeños. Este ha sido el objetivo marcado para el primero de estos trastornos genéticos en los que comenzamos a trabajar, la deficiencia de aminoácido aromático de descarboxilasa (deficiencia de AADC), y que nos ha ayudado a dar esperanza y calidad de vida a más de una decena de familias en todo el mundo.

Este nuevo proyecto nos ha permitido reafirmarnos en nuestro compromiso de facilitar el acceso a tratamientos innovadores sin olvidarnos de seguir acompañando a familias y pequeños afectados por un cáncer en esta difícil travesía que supone el diagnóstico de una enfermedad. En esta línea, y gracias a nuestro **programa de acceso a la terapia con protones**, hemos conseguido ayudar a más de 50 familias a lo largo de este año y seguiremos trabajando en ello durante el próximo 2020.

Todos ellos han sido y seguirán siendo nuestra razón de ser.

PROGRAMA 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.

Papel de la fundación

Durante el año 2019, España ha seguido sin contar con ningún centro sanitario en el que se suministrara la terapia con protones. Es por eso que desde nuestra entidad hemos continuado con el **programa de ayuda a niños con cáncer** para que, en aquellos casos indicados por el equipo médico del hospital, pudieran ser tratados en un centro europeo. En concreto, nuestro trabajo ha seguido centrado en las siguientes acciones:



Proceso de atención



Coordinación con el equipo médico

Una vez el equipo médico multidisciplinar decide que la terapia con protones es el tratamiento indicado para el paciente, **acompañamos a la familia** en todo el proceso administrativo para la obtención de la aprobación del tratamiento en el extranjero por parte de la Seguridad Social.



Asistencia administrativa

En coordinación con el equipo médico y el centro extranjero, prestamos asistencia en todo lo que tiene que ver con la **preparación y envío de la documentación** requerida.



Respaldo logístico

Asistimos a la familia en toda la **organización** del viaje, así como en la búsqueda de alojamiento para su estancia en el extranjero, y en cualesquiera otros aspectos que fueran necesarios.



Ayuda económica

Tramitamos **ayudas económicas** en todo lo relacionado con el viaje y estancia en el país extranjero, cuando las circunstancias familiares así lo precisen.

Actividad y testimonios

Durante 2019, hemos seguido ayudando a muchos pacientes haciendo más llevadero su traslado y estancia en el extranjero durante el tratamiento. En total, hemos acompañado a más de 50 familias en todo el proceso, intentando dar respuesta a aquellas inquietudes que se han ido planteando durante su personal travesía. **Su tranquilidad ha sido y sigue siendo nuestra razón de ser.**



"Con toda nuestra enorme angustia por el diagnóstico de nuestra hija, la Fundación Columbus facilitó de forma importantísima nuestro aterrizaje en un país distinto, en un entorno diferente, y con una lengua que no dominábamos. Toda nuestra vida estaremos agradecidos a la Fundación Columbus por su intermediación".

Joana, mamá de Nora, diagnosticada de tumor cerebral de la estirpe pineoblastoma y tratada en Essen (Alemania).



"La Fundación Columbus fue el gran impulso hacia el tratamiento con protones. Sin ellos esta aventura habría sido imposible. Alma y yo les estaremos eternamente agradecidas".

Clara, mamá de Alma, diagnosticada de un endimoma y tratada en Suiza.



"Essen es nuestro hogar gracias a los cuidados de todo el equipo médico del WPE y de la atención de la familia Ronald McDonald House, y todo esto fue posible gracias al tiempo, esfuerzo y ayuda económica que nos dio la Fundación Columbus".

Luisa, mamá de Pol, diagnosticado de un rabiomiosarcoma y tratado en Essen (Alemania).

Jessica, mamá de Elías, diagnosticado de un endimoma y tratado en Essen (Alemania).

PROGRAMA DE TERAPIA GÉNICA

A principios de 2019, pusimos en marcha nuestro segundo proyecto que tiene como objetivo el desarrollo de **tratamientos de última generación de terapia génica para enfermedades ultrarraras neurodegenerativas**.

La terapia génica es un tipo de tratamiento que utiliza genes para tratar o prevenir enfermedades, permitiendo insertar un gen en las células de un paciente en lugar de utilizar un fármaco o cirugía.

Sustitución del gen defectuoso por el gen correcto:



Programa AADC en Varsovia (Polonia)

La primera enfermedad ultrarrara monogénica neurodegenerativa que desde la **Fundación Columbus** estamos tratando a través del desarrollo de soluciones con terapia génica es la **deficiencia de la descarboxilasa de aminoácidos aromáticos (AADC)**, también conocida como párkinson juvenil. Se trata de un trastorno neurológico heredado genéticamente que afecta a la capacidad del cerebro para producir neurotransmisores, especialmente la dopamina y la serotonina, dos de los más esenciales y necesarios para la vida diaria.

Tras los exitosos y esperanzadores resultados obtenidos en EE.UU. en 2018, se comenzó a tratar pacientes en Varsovia (Polonia) por el mismo equipo de expertos y bajo la dirección del *Dr. Krys Bankiewicz* de la Universidad de Ohio (OSU). A lo largo de todo 2019, se ha atendido a un total de 12 niños dentro de este programa europeo, entre los que se encuentra Irai, la primera paciente española en recibir dicho tratamiento.



Dr. Krys Bankiewicz

El objetivo de la Fundación Columbus es conseguir que ningún paciente quede fuera del ensayo clínico y facilitar el proceso para su acceso al mismo.



Huzaifah Marcus Hallie Swathi Rian Haia Aimar Ted Irai Anía Kacper





“Estamos muy agradecidos al
Doctor Krys Bankiewicz.
Su investigación de más de 15 años
y su compromiso han traído
a los niños con AADC y a sus familias
**una oportunidad de curación
que ya es una realidad**
para muchos de ellos”.

Javier García
Secretario y patrono

Irai:

La niña que nació dos veces



Irai es una de las 150 pacientes afectadas en el mundo por la deficiencia de aminoácido aromático de descarboxilasa –deficiencia de AADC– también conocida como párkinson juvenil. Una enfermedad que, hasta ahora, no tenía cura. Sin embargo, la terapia génica está cambiando la historia.

EL PRIMER NACIMIENTO



Irai nació el 16 de julio de 2014. Aunque durante las primeras semanas parecía normal, pronto se hizo evidente que algo no iba bien.

Al año de su nacimiento, se logró un diagnóstico. Padecía una enfermedad ultrarrara conocida como **párkinson juvenil**.

Esta deficiencia es causante de que el cerebro parezca “desconectado” del cuerpo, impidiéndole moverse, sostener la cabeza y hablar, entre otros síntomas.

EL VIACRUCIS

El día a día con Irai era extremadamente duro. Apenas dormía tres horas. Cuando despertaba su malestar era continuo, lo que provocaba sus permanentes lamentos.

Sufría crisis en las que sus ojos se elevaban, se tensaba, emitía quejidos que hacían evidente su gran dolor. Luego quedaba exhausta.

Con la esperanza de que lograra alguna mejora la trataron, primero, en el Hospital de Barcelona, y luego en un centro especializado de Alicante, donde se obtuvieron algunas mejoras, pero nada más.



EL SEGUNDO NACIMIENTO

El 14 de mayo de 2019, en el Hospital Brodno de Varsovia, el *Doctor Krystof Bankiewicz* de la Universidad de Ohio (OSU) y su equipo realizaron una compleja operación para llevar la terapia génica a sus neuronas.

Gracias al **éxito de la intervención**, el cerebro de Irai pudo comenzar a producir los neurotransmisores que han permitido restaurar la conexión entre su cuerpo y su cerebro.



Gracias por apoyar esta causa.

Gracias por permitir que niñas, niños y familias como la de Irai, tengan la esperanza de un “segundo nacimiento”.

Programa Niemann Pick - C

La enfermedad *Niemann Pick del tipo C (NPC)* está causada por un defecto en el ADN que hace que no se produzcan correctamente las **proteínas que transportan el colesterol**, provocando que este se acumule en el interior de las células causando daños estructurales e incapacidad funcional. Como resultado, se ven afectados órganos básicos como los pulmones, hígado, bazo y las neuronas.

Actualmente no existe una cura para esta enfermedad y es por eso que desde la **Fundación Columbus** estamos trabajando junto a la *University College de Londres (UCL)* y sus investigadores para ayudarles a dar el salto del laboratorio a la clínica y acercar las terapias a los afectados.

En España existen alrededor de 40 personas diagnosticadas de *Niemann Pick tipo C*. Marta, una niña de 5 años, es una de ellas.



Reto: ‘El viaje de Marta’

Con el objetivo de visibilizar esta enfermedad y concienciar a la sociedad sobre la misma, se inició **el reto El viaje de Marta, a través del cual animamos a la gente a que compartiera en sus perfiles de redes sociales un ‘selfie’ emulando con una mano un catalejo** -que representa el viaje de la pequeña hacia su cura y la “C” de *Niemann Pick C* y Columbus-.

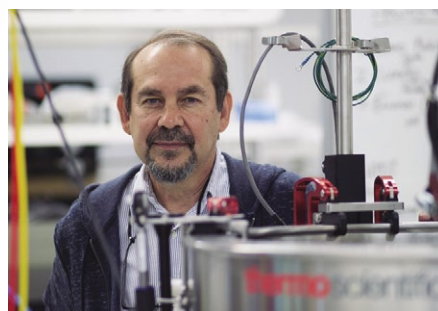
Gracias a la firma de un Convenio de Colaboración con la **FUNDACIÓN TELEFÓNICA**, enmarcado dentro de sus Retos Solidarios, se consiguió el apoyo de más de 1.200 personas y visibilizar así la lucha frente a esta enfermedad ultrarrara.





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 ultrarraras**, así como para facilitar su acceso a todos los niños que puedan beneficiarse de ellas.



Jude Samulski
Fundador y patrono

Cofundador de la compañía líder de terapia génica AskBio, con más de 40 años de experiencia en este campo y primer investigador en transformar el virus adenoasociado (AAV) en un vector seguro y efectivo para administrar genes corregidos in vitro.



Sheila Mikhail
Fundadora y patrona

Cofundadora de AskBio y actual CEO de la compañía, cuenta con una dilatada experiencia como abogada en el campo de la salud, habiendo trabajado para compañías como Bayer, Gilead, GSK, Sanofi y Aventis.



Laura Hameed
Directora general

Cuenta con dos décadas de experiencia en el campo de las biociencias, así como en el ámbito de las entidades sin ánimo de lucro.

LA CULTURA COMO MOVIMIENTO SOLIDARIO: **Il Soldato & Friends**

Durante este año, hemos seguido promoviendo y divulgando la cultura en España a través de la celebración de **conciertos benéficos** en algunos de los lugares más especiales del territorio nacional y en los que hemos tenido la suerte de colaborar con artistas de primer nivel que han querido acompañar a *Il Soldato*, un chelo del año 1.800, propiedad de la fundación, en su misión de dar a conocer la labor de la organización.

Entre dichos artistas se hallan nuestra embajadora, **María José Montiel, Soleá Morente y Auxiliadora Toledano.**



Gala lírica. Teatro del Museo de la Universidad de Navarra. Pamplona. | **Gala lírica.** Teatro Victoria Eugenia. San Sebastián.
Concierto en el Auditorio Global Omnium del Acuario de Sevilla. | **Concierto en el Museo del Prado.** Madrid.

LA CULTURA COMO MOVIMIENTO SOLIDARIO: Concierto del Museo del Prado

Evento único, organizado para celebrar el **segundo aniversario de la Fundación Columbus**. En él contamos con la colaboración de artistas de primer nivel internacional:

María José Montiel, Ángel Luis Quintana, Iván Martín,
Sheila Gómez y Toni Pearson.

Gracias al Museo del Prado
por cedernos una de las salas más especiales
como escenario de **una noche inolvidable**.



NOS MOVEMOS POR EL CÁNCER INFANTIL Y LAS ENFERMEDADES RARAS

Hemos aprovechado este año para celebrar diferentes eventos e iniciativas que nos han permitido **visibilizar nuestra labor** de facilitar el acceso a terapias innovadoras en el ámbito del cáncer infantil y las enfermedades raras, y **concienciar sobre la importancia de la investigación**, a la vez que nos han permitido recaudar fondos para seguir llevando a cabo nuestra misión.



**Concierto solidario
Kilómetros para Irai.**
Sala La Leyenda. Madrid.



**Participación en la campaña
#AmazonGoesGold** mediante
la celebración de un concierto
benéfico en su sede de Madrid.



**Noche benéfica
El Viaje de Marta.**
Ciudad de la Raqueta. Madrid.



**Carrera benéfica Kilómetros
contra el Parkinson Infantil.**
San Sebastián.



**Cena benéfica junto a la
Fundación Querer.**
Hotel Villamagna. Madrid.

Nuestros amigos

Detrás de **Fundación Columbus** hay un universo de personas y entidades que nos han apoyado poniendo a disposición de nuestra causa sus recursos, esfuerzo e ilusión. Gracias a todos ellos hemos podido seguir avanzando en nuestra misión de acercar la innovación a los que más lo necesitan. **¡Gracias a todos por vuestra generosidad!**



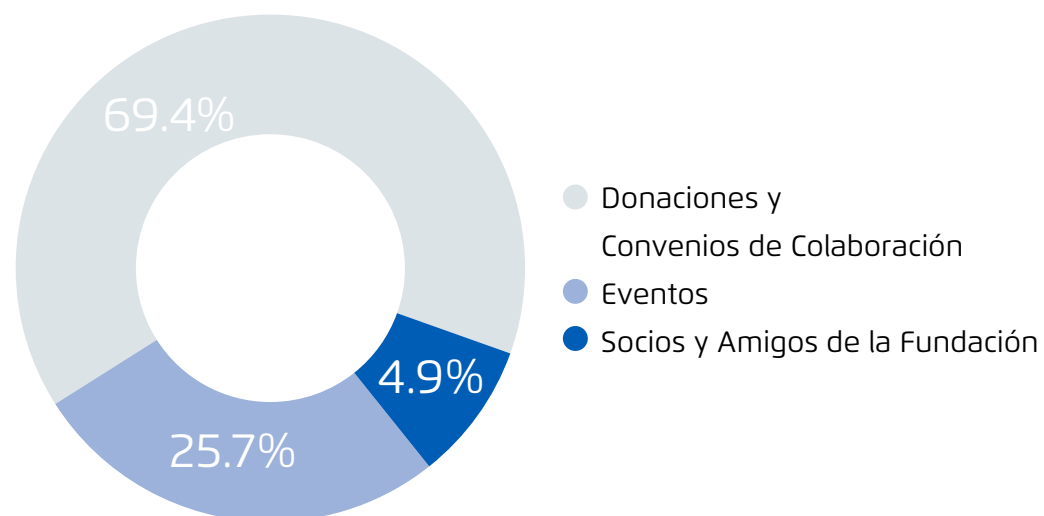
La fundación en los medios



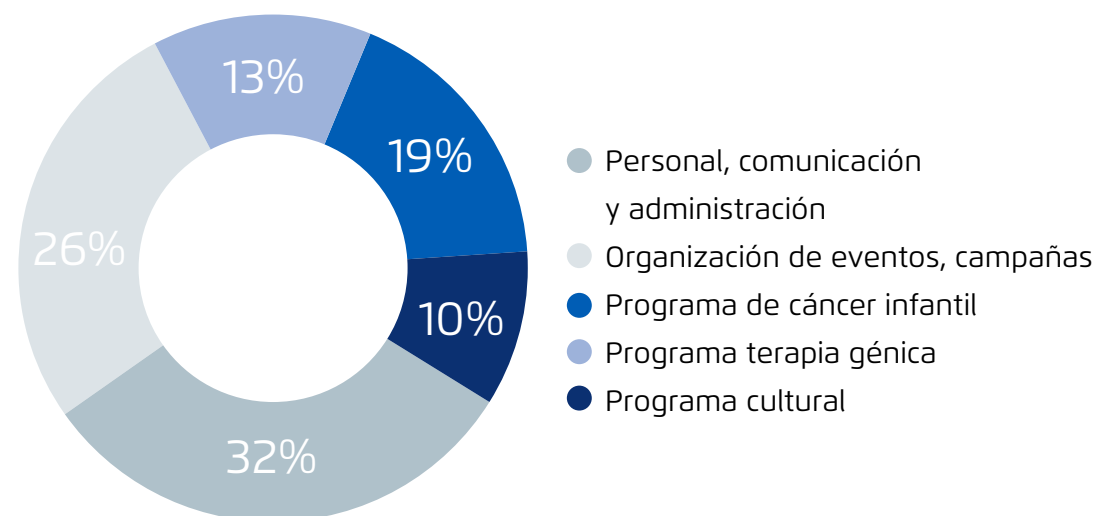
Transparencia

Las cuentas anuales de la Fundación Columbus correspondientes a 2019 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



** El estudio de la situación financiera de la Fundación Columbus realizado por los auditores y correspondiente a 2019 está a disposición de quien lo solicite.*



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

