



STICHTING NEMO

Stichting voor Neuromusculair en
Mitochondrieel Onderzoek



NeMO maakt zich groot voor onderzoek naar
zeldzame aandoeningen

JAARRAPPORT 2022

Inhoudsopgave

ALGEMENE INFORMATIE	2
Algemeen	2
Contactgegevens	2
BESTUURSVERSLAG	3
Activiteiten en financiële positie	3
Bestuur en toezicht	3
Toekomst	5
JAARREKENING	7
Winst- en verliesrekening	7
Balans	8
GRONDSLAGEN VOOR WAARDERING EN RESULTAATSBEPALING	9
Algemeen	9
Vorderingen en overlopende activa	9
Liquide middelen	9
Reserves en fondsen	9
Kortlopende schulden	9
OVERIGE GEGEVENS	10
Vaststelling en goedkeuring jaarrekening	10
Statutaire regeling resultaatsverdeling	10
Resultaatsbestemming	10
Gebeurtenissen na balansdatum	10
Controleverklaring	10

ALGEMENE INFORMATIE

Algemeen

Voor u ligt het jaarverslag van Stichting NeMO (Stichting voor Neuromusculair en Mitochondrieel Onderzoek) voor het boekjaar 2022. De Stichting opgericht met als doel onderzoek te doen naar, en therapieën en behandelingen te ontwikkelen voor, zeldzame ziektebeelden. In het bijzonder is de aandacht gevestigd op de weinig voorkomende neuromusculaire en mitochondriële aandoeningen LHON/ADOA, MNGIE, MELAS, POLG1, Leigh syndroom en CPEO, welke een grote impact hebben op levenskwaliteit. Waar mogelijk gebeurt dit in samenwerking met ziekenhuizen, patiëntengroepen en andere organisaties binnen het medische spectrum.

Onze Stichting gelooft in de kracht van kleinschalig en gericht onderzoek, omdat dit de basis kan vormen voor oplossingen voor complexere aandoeningen. Daarnaast verdienen ook deze zeldzame ziektebeelden de aandacht en toewijding binnen de medische sector die vaak gaan naar meer commercieel relevante ziektebeelden.

De activiteiten van de Stichting vinden in Nederland plaats en worden gefinancierd door middel van donaties van derden. Deze worden geworven via formele en informele kanalen bij individuele patiënten, patiëntengroepen, aanverwanten of derden.

Stichting NeMO is de vele particulieren, families, verenigingen, anonieme donateurs en anderen uiteraard zeer erkentelijk voor hun bijdragen.

Contactgegevens

Stichting voor Neuromusculair en Mitochondrieel Onderzoek
Molenlaan 253
3055 GE Rotterdam
+31 10 418 44 55

www.stichtingnemo.nl / info@stichtingnemo.nl

KVK: 56088094 / RSIN: 851970618

BESTUURSVERSLAG

Activiteiten en financiële positie

Gedurende 2022 werden donaties voor een totaal van EUR 56.341,00 ontvangen. De organisatiekosten bedroegen EUR 399. Dit betrof uitsluitend kosten voor het beheer van de website en bankkosten. De Stichting voert een anti-strijkstokbeleid. Dit houdt in dat de kosten van de organisatie zo laag mogelijk worden gehouden en dat deze gedekt dienen te worden met behulp van fondsen specifiek bestemd voor de organisatie. Dit lukt mede door de vrijwillige inzet van de bestuursleden, zie hieronder.

Bestuur en toezicht

De activiteiten van de Stichting worden onafhankelijk van andere entiteiten uitgevoerd door het bestuur van de Stichting. Dit bestuur werkt op vrijwillige basis en is gevormd op het moment van oprichting.

Het bestuur bestond in 2022 uit de volgende personen:

Bestuurslid	Functie	Werkzaam bij
Dhr. Lars Wagemans	Voorzitter	Zelfstandig werkend
Mw. Johanna Meijer - Wolfbauer	Secretaris	FrieslandCampina
Dhr. Reinier Verhoeven	Penningmeester	-
Dr. René de Coo	Medisch deskundige	Maastricht UMC+
Mw. Lieke van Wilpen	Communicatie expert	Zelfstandig werkend
Dr. Hidde Huidekoper	Medisch deskundige	Erasmus MC

Het toezicht op de activiteiten van de Stichting valt ook binnen het takenpakket van het bestuur. Om ook deze taak goed uit te kunnen voeren is gekozen voor een breed opgezet bestuur. Gedurende 2022 is het bestuur drie keer samengekomen. Het toezicht op de strategie en prestaties van de Stichting is gedurende het verslagjaar bij elke bestuursvergadering aan de orde gekomen en vormt daarmee een belangrijk aandachtspunt voor het bestuur. De bestuurstaken worden uiteraard onbezoldigd uitgevoerd.

Initiatieven en project update

De door NeMO gesteunde projecten zijn, zoals bekend, ondergebracht bij de groep van Prof. Dr. Bert Smeets. Hij en zijn team richten zich op het ontwikkelen van therapieën voor zeldzame mitochondriële en neuromusculaire ziekten. Het onderzoek vindt plaats in nauw contact met patiëntenverenigingen.

Door de steun van vele donateurs is het mogelijk geworden om de projecten in Maastricht te blijven ondersteunen. Hieronder volgt een korte opsomming van de eruit springende projecten. De publicaties, als resultaten van het onderzoek, laten zien welke stappen er mede dankzij de donaties zijn gezet. Deze zijn in de referentielijst opgenomen.

Voor **LHON** (Lebers erfelijke oogzenuwlijden) en **ADOA** (autosomaal dominante opticus atrofie) is er via stichting NeMO voorlichting gegeven tijdens de patiëntendagen van de LHON- en ADOA-vereniging. Er is daar aandacht gevraagd voor het initiatief van de onderzoeksgroepen in Newcastle upon Tyne (Engeland), East Melbourne (Australië) en Maastricht/ Oogziekenhuis Rotterdam om tot een gemeenschappelijke aanvraag voor subsidie te komen bij de Wellcome Trust in Engeland voor o.a. een natuurlijk beloopstudie in de drie verschillende landen. In 2022 is de aanvraag ingediend. We zijn tot de laatste ronde doorgedrongen en verwachten in de loop van 2023 de uitslag of de aanvraag gehonoreerd wordt.

Parallel aan eerder LHON-onderzoek wordt ook bij de mensen met **ADOA** door een OPA1-mutatie naar de invloed van toxische stoffen gekeken.

Voor **MNGIE** is nog geen vervolg op de genterapiestudies mogelijk gebleken. Vervolgstudies zijn uiterst kostbaar. Stichting NeMO gaat door met haar steun voor het onderzoek naar **MNGIE** om daarmee vervolgstudies eveneens richting therapie te stimuleren. De afdeling pathologie MUMC+ zoekt naar de oorzaak van de slecht functionerende motorcellen in de darm bij deze patiëntengroep. Een andere benadering om mogelijk verlichting van de klachten bij een deel van de MNGIE-patiënten te kunnen geven is het al opgestarte pilotonderzoek in samenwerking met de afdeling Toxicogenomics om met (al op de markt zijnde) geneesmiddelen de activiteit van het sterk verlaagde enzym op te krikken, een methode waarmee het ziekteproces mogelijk vertraagd of misschien zelfs gestopt kan worden.

De inclusie voor de mensen met **POLG1** hoopt men op de afdeling Macsbio, na een flinke vertraging eerst door COVID-19 en daarna door langdurige onderhoudswerkzaamheden aan de MRI-scanner, in 2023 af te kunnen sluiten. Bij **MELAS**- (mitochondriële hersen- en spierlijden en melkzuur acidose met herseninfarctachtige verschijnselen) en **CPEO**-patiënten (chronische progressieve buitenste oogspierverlamming, in ernstiger vorm Kearns-Sayre of Pearson syndroom genoemd) is aangetoond dat bij het merendeel van deze mensen er een mogelijkheid zou moeten zijn om met stamcellen van de persoon zelf zijn/haar spierklachten

te verminderen en daarmee mogelijk de inspanningsintolerantie en kracht te verbeteren.

In 2022 is de veiligheidsstudie (fase I-studie) afgerond. Begin 2023 verwachten de onderzoekers de instemming van de Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (CCMO) met hun bevindingen, namelijk dat het onderzoek voor mensen met o.a. **MELAS** veilig is. NeMO heeft al haar steun toegezegd bij de op te zetten fase IIa-studie waarbij naast veiligheid ook naar effectiviteit van de stamceltherapie wordt gekeken. Voor verdere details (www.generateyourmuscle.com).

Bij de m.3243A>G (o.a. mensen met MELAS) is met behulp van geavanceerd MRI- hersenonderzoek vastgelegd welke hersendelen bij dit ziektebeeld het meest kwetsbaar zijn. Enerzijds geeft dit inzicht op de effecten van iemands neuropsychologisch functioneren en anderzijds is dit van belang om bij een eventuele therapie het effect daarvan te kunnen beoordelen (ref. 1).

In aansluiting op het in 2021 afgesloten onderzoek naar twee veel gebruikte markerstofjes (biomarkers) voor mensen met een energiehuishoudingsaandoening en een spierlijden, is er een breder onderzoek gedaan naar stofjes in het bloed die als biomarker bij mitochondriële aandoeningen zouden kunnen dienen (ref. 2). Er is ook gekeken of deze stofjes het afnemen van een spierbiopt voor diagnostiek minder noodzakelijk maakt. De biomarkers zijn belangrijk als meetinstrumenten om het effect van een therapie te kunnen vastleggen.

Voor de groep van mensen met een tot nu toe nog **niet-gediagnosticeerde mitochondriële ziekte** blijft NeMO onderzoek en aandacht stimuleren. Een onderbelichte kant van een mitochondrieel syndroom is de betrokkenheid bij sommige mensen van de nieren. In een internationaal multicentrum onderzoek wordt aandacht voor dit aspect gevraagd (ref. 3).

Kruisbestuiving blijft eveneens onze aandacht houden. Het is een belangrijk en positief neveneffect van goed samenwerken op onderzoeksgebied. Dit is het afgelopen jaar weer intensief het geval geweest met de groep van mensen met de **MDC1A**-spierziekte en voor de Myotone dystrofie (**MD**). Het onderzoek loopt de komende jaren door.

Glaucoom en de rol van mitochondriën is een project dat in 2020 met de afdeling Oogheelkunde van het MUMC+ (dr. Theo Gorgels) werd opgezet. In 2022 is onderzoek verricht naar de relatie van mitochondriën en het ontstaan van zogenaamde normale druk glaucoom. Een publicatie hierover volgt in 2023. Er liggen hier vele dwarsverbanden met o.a. **LHON**, **ADOA** en mitochondriële biomarkers (ref. 2).

Afkortingen:

- ADOA – autosomaal dominante opticus neuropathie

- CPEO – chronisch progressieve externe ophthalmoplegie
- LHON – lebers hereditaire opticus neuropathie
- MDC1A – merosine negatieve congenitale spierdystrophie type 1A
- MELAS – mitochondriële encephalopathie met lactaat acidose en stroke-achtige episode
- MNGIE – mitochondriële neurogastro intestinale encephalopathie
- POLG1 – polymerase gamma 1 gen

Bronvermeldingen:

1. Haast RAM, De Coo IFM, Ivanov D, Khan AR, Jansen JFA, Smeets HJM, Uludağ K. Neurodegenerative and functional signatures of the cerebellar cortex in m.3243A>G patients. *Brain Commun.* 2022 Feb 3;4(1):fcac024.
2. Hubens WHG, Vallbona-Garcia A, de Coo IFM, van Tienen FHJ, Webers CAB, Smeets HJM, Gorgels TGMF. Blood biomarkers for assessment of mitochondrial dysfunction: An expert review. *Mitochondrion.* 2022 Jan;62:187-204.
3. Parasyri M, Brandström P, Uusimaa J, Ostergaard E, Hikmat O, Isohanni P, Naess K, de Coo IFM, Nascimento Osorio A, Nuutinen M, Lindberg C, Bindoff LA, Tulinius M, Darin N, Sofou K. Renal Phenotype in Mitochondrial Diseases: A Multicenter Study. *Kidney Dis (Basel).* 2022 Jan 24;8(2):148-159.

Toekomst

In 2023 blijft de Stichting zich verder richten op het (mede) ondersteunen van projecten die helpen om risicofactoren voor het krijgen van LHON/DOA of andere mitochondriële ziekten op te sporen. De stamceltherapie bij MELAS, CPEO en MDC1A blijft in focus. Kruisbestuiving ook naar de andere mitochondriële aandoeningen en spierziekten hopen wij weer door onze steun aan onderzoek te bevorderen. Het bestuur zal ook in 2023 zich inzetten om opnieuw grotere donaties te genereren.

Het bestuur,

L. Wagemans
 J.M. Meijer-Wolfbauer
 R.W. Verhoeven
 I.F.M. de Coo
 H.H. Huidekoper
 L. van Wilpen

JAARREKENING

Winst- en verliesrekening

	2022	2021
	€	€
Baten		
Interestbaten	5	6
Donaties	56.341	5.913
Andere baten	200	0
	<hr/>	<hr/>
	56.546	5.919
Lasten m.b.t. doelstellingen		
Onderzoek	0	0
Ontwikkeling therapie	-25.000	12.500
	<hr/>	<hr/>
	-25.000	-12.500
Overige bedrijfskosten		
Andere kosten	-399	-356
Saldo baten en lasten	<hr/>	<hr/>
	31.147	-6.937
Toevoeging/onttrekking aan:		
Bestemmingsreserve algemeen	-169 *	1.175
Bestemmingsreserve methodologie	0	0
Bestemmingsfonds LHON	0	-4.750
Bestemmingsfonds POLG	6.316	-3.362
Bestemmingsfonds MNGIE	0	0
Bestemmingsfonds DOA	0	0
Bestemmingsfonds Leigh	<hr/>	<hr/>
	25.000 **	0
	<hr/>	<hr/>
	31.147	-6.937

* Saldo van toevoeging € 230 en onttrekking € 399

** Saldo van toevoeging € 50.000 en onttrekking € 25.000

Balans per 31 december 2022

	2022	2021		2022	2021
	€	€		€	€
Vorderingen en overlopende activa			Eigen vermogen		
Overige vorderingen	0	0	Bestemmingsreserve algemeen	5.520	2.689
Overlopende activa	0	0	Bestemmingsreserve methodologie	5.000	5.000
	0	0	Bestemmingsfonds LHON	8.928	8.928
			Bestemmingsfonds POLG	7.612	1.296
			Bestemmingsfonds MNGIE	1.829	1.829
			Bestemmingsfonds DOA	3.823	3.823
			Bestemmingsfonds Leigh	25.000	0
				54.712	23.565
Liquide middelen					
Bank rekening courant	500	2.059	Schulden en overlopende passiva		
Bank spaarrekening	54.410	36.605	Crediteuren	198	15.099
	54.910	38.664		198	15.099
Totaal activa	54.910	38.664	Totaal passiva	54.910	38.664

GRONDSLAGEN VOOR WAARDERING EN RESULTAATSBEPALING

Algemeen

De jaarrekening is opgesteld conform de Nederlandse wetgeving en de Richtlijn 650 (aangepast 2011) voor 'Fondsenwervende Instellingen' van de Nederlandse Raad van Jaarverslaggeving.

De cijfers over 2021 zijn als vergelijkende cijfers opgenomen in het rapport. De algemeen gehanteerde waarderingsgrondslag voor de activa en passiva is de vervaardigings- of verkrijgingsprijs. Voor zover niet anders vermeld, worden de activa en passiva opgenomen tegen nominale waarde.

Vorderingen en overlopende activa

De vorderingen en overlopende activa worden bij eerste verwerking opgenomen tegen reële waarde en vervolgens gewaardeerd tegen de geamortiseerde kostprijs, welke beide gelijk zijn aan de nominale waarde, onder aftrek van noodzakelijk geachte voorzieningen voor mogelijke verliezen als gevolg van oninbaarheid. Deze voorzieningen worden bepaald op basis van individuele beoordeling van de vorderingen.

Liquide middelen

De liquide middelen zijn gewaardeerd tegen de nominale waarde. De liquide middelen staan, tenzij expliciet vermeld, ter vrije beschikking voor de Stichting.

Reserves en fondsen

Het vermogen is gevormd uit overschotten van baten en lasten.

De bestemmingsreserve algemeen dient ter dekking van de risico's op korte termijn en om zeker te stellen dat de Stichting ook in de toekomst aan haar verplichtingen kan voldoen.

De bestemmingsreserve en overige reserves bestaan uit dat deel van het vermogen ter besteding aan de doelstelling.

Het bestemmingsfonds is gevormd uit specifiek geormerkte donaties.

Kortlopende schulden

De kortlopende schulden worden gewaardeerd tegen de nominale waarde.

OVERIGE GEGEVENS

Vaststelling en goedkeuring jaarrekening

De jaarrekening is vastgesteld door het bestuur van de Stichting op de vergadering van 24 maart 2023.

Statutaire regeling resultaatsverdeling

In de statuten is geen regeling opgenomen voor de bestemming van het resultaat.

Resultaatsbestemming

Het resultaat wordt verdeeld zoals aangegeven in het bijgesloten overzicht van de baten en lasten.

Gebeurtenissen na balansdatum

Er zijn geen bijzondere gebeurtenissen na balansdatum.

Controleverklaring

Het jaarrapport van de Stichting is in 2022 niet onderworpen aan een onafhankelijke controle.