



STICHTING NEMO

Stichting voor Neuromusculair en
Mitochondrieel Onderzoek



NeMO maakt zich groot voor onderzoek naar
zeldzame aandoeningen

JAARRAPPORT 2019

Inhoudsopgave

ALGEMENE INFORMATIE	2
Algemeen	2
Contactgegevens	2
BESTUURSVERSLAG	3
Activiteiten en financiële positie	3
Bestuur en toezicht	3
Toekomst	6
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 2019. De Stichting is opgericht met als doel onderzoek te doen naar, en therapieën en behandelingen te ontwikkelen voor, zeldzame ziektebeelden. In het bijzonder is de aandacht hier gevestigd op de weinig voorkomende neuromusculaire en mitochondriële aandoeningen LHON, MNGIE en MELAS, welke een grote impact hebben op levenskwaliteit. Waar mogelijk gebeurt dit in samenwerking met ziekenhuizen, patiëntengroepen en andere organisaties binnen het medische spectrum.

De 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 en anonieme donateurs en anderen 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 2019 werden donaties voor een totaal van EUR 24.580,- ontvangen. De organisatiekosten bedroegen EUR 887,-. 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.

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 2019 uit de volgende personen:

Bestuurslid	Functie	Werkzaam bij
Dhr. L.C.M Wagemans	Voorzitter	PWC
Mevr. J.M. Meijer - Wolfbauer	Secretaris	FrieslandCampina
Dhr. R.W. Verhoeven	Penningmeester	-
Dhr. I.F.M. de Coo	Medisch deskundige	Universiteit Maastricht
Mevr. T. van Doeveren	Medisch deskundige	Erasmus MC
Mevr. L. van Wilpen	Communicatie expert	Horeca Development

Gedurende 2019 is het bestuur vier keer samengekomen en heeft er een functiewijziging plaatsgevonden. In het eerste kwartaal heeft mevrouw Tessa van Doeveren aangegeven om de functie van medisch adviseur te willen terugleggen. De Stichting is langere tijd bezig geweest om passende opvolging te vinden. Dit is begin 2020 gelukt en de functie zal door dr. Hidde Huidekoper (Erasmus MC) per maart 2020 worden overgenomen.

Het bestuur heeft haar taken gedurende 2019 onbezoldigd uitgevoerd.

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. Het toezicht op de strategie en prestaties van de Stichting is gedurende het verslagjaar bij elke bestuursvergadering aan de orde geweest en vormt daarmee een belangrijk aandachtspunt voor het bestuur.

Als bestuur zijn we daarom nog op zoek naar versterking door een algemeen

bestuurslid. Het functieprofiel vereist ervaring op het gebied van stakeholder management, maar ook kennis van de medische wereld. Dit zal één van de uitdagingen voor het eerste halfjaar van 2020 zijn.

Initiatieven en project update

In 2019 zijn er op meerdere door NeMO gesteunde initiatieven resultaten gemeld. Daarnaast zijn er enkele nieuwe onderzoeken binnen de aandachtsgebieden van de Stichting NeMO financieel gestimuleerd.

Zoals bekend is in 2018 een deel van de onderzoeksactiviteiten naar Maastricht verhuisd (zie ook www.mitochondrialmedicine.org). De doelstelling was en is met name om de onderzoekstrajecten door te laten lopen, specifiek aangaande de therapie en behandeling van LEBER (LHON), MNGIE en MELAS.

In 2018 en 2019 zijn de door NeMO gesteunde projecten ondergebracht bij de groep van Prof.Dr. Bert Smeets. Professor Smeets is hoogleraar genomdiagnostiek, in het bijzonder van het mitochondriële genoom aan de Universiteit van Maastricht. Al jaren werkt NeMO met zijn groep samen. Smeets is een in de gehele wereld erkend expert op het gebied van ziekten van het energiesysteem. 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 projecten die eruit springen. De publicaties, als resultaten van het onderzoek, laten zien welke stappen er mede dankzij de donaties zijn gemaakt. Deze zijn in de referentielijst opgenomen.

Voor mensen met Leber's erfelijke oogziekte (**LHON**) is door masterstudenten in het ErasmusMC (2016-2018) een eerste studie verricht naar visusverlies met betrekking tot versterkende of beschermende erfelijke factoren. Het onderzoek naar deze erfelijke factoren loopt nog steeds, maar heeft tot nu toe nog geen aanknopingspunten opgeleverd. In aansluiting op de genetische factoren is in 2018 en 2019 in Maastricht vooronderzoek gedaan naar mogelijke omgevingsfactoren die het risico op het ontwikkelen van slechthziendheid kunnen verhogen. Uit de eerste analyses zijn enkele mogelijk ziekmakende stoffen naar voren gekomen. In 2020 start een door NeMO gesponsorde (o.a. dankzij 80voorNeMO-gelden) masterstudent met een vervolgproject in nauwe samenwerking met dr. N. Bauer, oogarts van de afdeling Oogheelkunde van het MUMC+.

Parallel aan het LHON-onderzoek wordt ook bij de mensen met een Dominante Opticus Atrophie (**DOA**) door een OPA1-mutatie naar de invloed van deze stoffen gekeken.

Het **MNGIE**-traject (ref. 1,2) heeft veelbelovende resultaten en een uitzicht op het ontwikkelen van therapie opgeleverd. Er lopen gesprekken met o.a. de Maagdarm-afdeling in Maastricht om mogelijkheden te onderzoeken om dit project door te starten en naar de kliniek te brengen.

Bij **MELAS**- (mitochondriële hersen- en spierlijden en melkzuur acidose met herseninfarctachtige verschijnselen) en CPEO-patiënten (chronische progressieve buitenste oogspierverlamming) 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 en daarmee mogelijk de inspanningsintolerantie en kracht te verbeteren (ref. 3). Tevens is er toestemming van de CCMO (landelijke medisch ethische commissie) om bij 5 patiënten met MELAS een veiligheidsstudie (fase I) voor deze therapie uit te voeren. Meer informatie en een mogelijkheid om u voor deelname aan de veiligheids trial voor mensen met MELAS aan te melden kunt u vinden bij recente berichten (www.stichtingnemo.nl).

Bij de mensen met **POLG1** loopt de MRI- en neuropsychologische onderzoeksstudie met de patiënteninclusie heel langzaam door. We hopen de studie in 2020 af te ronden. De POLG1 klinische studie, in samenwerking met de Mitochondrial Clinical & Research Network (MCRN, het samenwerkingsverband met collega's uit Scandinavische landen die zorgen voor mensen met mitochondriële ziekten) over het natuurlijk beloop bij POLG1-patiënten is voor publicatie geaccepteerd en wordt begin 2020 gepubliceerd.

Er is ook een stap voorwaarts gezet voor de mensen met het syndroom van **Leigh**. Dankzij een grote en goede internationale samenwerking is het gelukt om voor een subgroep van de patiënten met Leigh, namelijk met een *MTFMT*-mutatie, een grote natuurlijkbeloopstudie te publiceren (ref. 4). Natuurlijkbeloopstudies zijn essentieel voor het verrichten van klinische studies.

Kruisbestuiving met het onderzoekswerk helpt om elkaar als onderzoekers te versterken, maar ook het onderzoek zo efficiënt mogelijk (ook over de verschillende ziektebeelden heen) te continueren. Dit heeft voor mensen met de **MDC1A**-spierziekte geleid tot het toepassen van ideeën afkomstig uit ons stamcelproject. Hetzelfde geldt voor Myotone dystrofie (**MD**). Onderzoek loopt de komende jaren.

Glaucoom en de rol van mitochondriën is een nieuw project voor 2020 met de afdeling Oogheelkunde van het MUMC+ (dr. Theo Gorgels). In de referenties staan nog enkele projecten vermeld waar NeMO als kruisbestuiving aan heeft bijgedragen: MCT8 (ref. 5), ATAXIE score (ref. 6), spierdystrofie (ref. 7), CPEO (ref. 8).

80voorNeMO

Een belangrijk initiatief in 2019 is 80voorNeMO geweest. . Circa 20 lopers hebben zich tijdens de Kennedymars op 6 en 7 juli 2019 in Someren voor Stichting NeMO ingezet en waren maandenlang met de fysieke en organisatorische voorbereiding bezig. Uiteindelijk heeft de actie ruim EUR 16.000,- voor Stichting NeMO opgebracht.

Afkortingen:

LHON - Lebers Hereditaire opticus Neuropathie

DOA - Dominante opticus Neuropathie

POLG1 - polymerase gamma 1 gen

MNGIE - mitochondriële neurogastro intestinale encephalopathie

MELAS - mitochondriële encephalopathie met lactaat acidose en stroke- achtige-episode

MDC1A - merosine negatieve congenitale spierdystrophie type 1a

Bronvermeldingen:

1. Yadak R, Boot MV, van Til NP, Cazals-Hatem D, Finkenstedt A, Bogaerts E, de Coo IF, Bugiani M: Transplantation, gene therapy and intestinal pathology in MNGIE patients and mice. *BMC Gastroenterol.* 2018 Oct 19;18(1):149.
2. Yadak R, Cabrera-Pérez R, Torres-Torronteras J, Bugiani M, Haeck JC, Huston MW, Bogaerts E, Goffart S, Jacobs EH, Stok M, Leonardelli L, Biasco L, Verdijk RM, Bernsen MR, Ruijter G, Martí R, Wagemaker G, van Til NP, de Coo IFM: Preclinical Efficacy and Safety Evaluation of Hematopoietic Stem Cell Gene Therapy in a Mouse Model of MNGIE. *Mol Ther Methods Clin Dev.* 2018 Jan 8;8:152-165.
3. van Tienen F, Zelissen R, Timmer E, van Gisbergen M, Lindsey P, Quattrocelli M, Sampaolesi M, Mulder-den Hartog E, de Coo I, Smeets H: Healthy, mtDNA-mutation free mesoangioblasts from mtDNA patients qualify for autologous therapy. *Stem Cell Res Ther.* 2019 Dec 21;10(1):405.
4. Hayhurst H, de Coo IFM, Piekutowska-Abramczuk D, Alston CL, Sharma S, Thompson K, Rius R, He L, Hopton S, Ploski R, Ciara E, Lake NJ, Compton AG, Delatycki MB, Verrips A, Bonnen PE, Jones SA, Morris AA, Shakespeare D, Christodoulou J, Wesol-Kucharska D, Rokicki D, Smeets HJM, Pronicka E, Thorburn DR, Gorman GS, McFarland R, Taylor RW, Ng YS: Leigh syndrome caused by mutations in MTFMT is associated with a better prognosis. *Ann Clin Transl Neurol.* 2019 Feb 17;6(3):515-524. doi: 10.1002/acn3.725. eCollection 2019 Mar. Erratum in: *Ann Clin Transl Neurol.* 2019 Apr 17;6(4):821.
5. Groeneweg S, Peeters RP, Moran C, Stoupa A, Auriol F, Tonduti D, Dica A, Paone L, Rozenkova K, Malikova J, van der Walt A, de Coo IFM, McGowan A, Lyons G, Aarsen FK, Barca D, van Beynum IM, van der Knoop MM, Jansen J, Manshande M, Lunsing RJ, Nowak S, den Uil CA, Zillikens MC, Visser FE, Vrijmoeth P, de Wit MCY, Wolf NI, Zandstra A, Ambegaonkar G, Singh Y, de Rijke YB, Medici M, Bertini ES, Depoorter S, Lebl J, Cappa M, De Meirleir L, Krude H, Craiu D, Zibordi F, Oliver Petit I, Polak M, Chatterjee K, Visser TJ, Visser WE: Effectiveness and safety of the tri-iodothyronine analogue Triac in children and adults with MCT8 deficiency: an international, single-arm, open-label, phase 2 trial. *Lancet Diabetes Endocrinol.* 2019 Sep;7(9):695-706.
6. Brandsma R, Verschuuren-Bemelmans CC, Amrom D, Barisic N, Baxter P, Bertini E, Blumkin L, Brankovic-Sreckovic V, Brouwer OF, Bürk K, Catsman-Berrevoets CE, Craiu D, de Coo IFM, Gburek J, Kennedy C, de Koning TJ, Kremer HPH, Kumar R, Macaya A, Micalizzi A, Mirabelli-Badenier M, Nemeth A, Nuovo S, Poll-The B, Lerman-Sagie T, Steinlin M, Synofzik M, Tijssen MAJ, Vasco G, Willemsen MAAP, Zanni G, Valente EM, Boltshauser E, Sival DA: A clinical diagnostic algorithm for early onset cerebellar ataxia. *Eur J Paediatr Neurol.* 2019 Sep;23(5):692-706.
7. Ten Dam L, Frankhuizen WS, Linszen WHJP, Straathof CS, Niks EH, Faber K, Fock A, Kuks JB, Brusse E, de Coo R, Voermans N, Verrips A, Hoogendijk JE, van der Pol L, Westra D, de Visser M, van der Kooij AJ, Ginjaar I: Autosomal recessive limb-girdle and Miyoshi muscular dystrophies in the Netherlands: The clinical and molecular spectrum of 244 patients. *Clin Genet.* 2019 Aug;96(2):126-133.
8. Hellebrekers DMEI, Blakely EL, Hendrickx ATM, Hardy SA, Hopton S, Falkous G, de Coo IFM, Smeets HJM, van der Beek NME, Taylor RW: A novel mitochondrial m.4414T>C MT-TM gene variant causing progressive external ophthalmoplegia and myopathy. *Neuromuscul Disord.* 2019 Sep;29(9):693-697.

Toekomst

Het komende jaar zal 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. Ook in 2020 zullen naast de kernprojecten initiatieven omtrent MELAS, Leigh, POLG1 en MDC1A doorlopen. Op kruisbestuiving in het onderzoek wordt gerekend. Focuspunten liggen bij projecten met betrekking tot Leber, MNGIE en MELAS. Vooralsnog is niet bekend wat de invloed van COVID-19 zal zijn op de onderzoeksmogelijkheden en welke beperkingen dit met zich meebrengt.

Zoals eerder vermeld wil het bestuur nog versterkt worden en zullen we ons strategisch plan voor de volgende 5 jaar verder opvolging geven. Het werven van grote donateurs en het vinden van een beschermvrouw/-heer maken onderdeel uit van de doelstelling voor 2020. De uitdaging van 2020 voor Stichting NeMO is – opnieuw – onafhankelijk middelen te blijven genereren om verder onderzoek naar zeldzame, maar niet minder ernstige, aandoeningen te kunnen initiëren.

Het bestuur kijkt uit naar 2020 waarin het onderzoeken van mogelijke projecten met andere organisaties, waaronder Spieren voor Spieren, Ride4Kids, Join4Energy, Tjallingh Roorda en VoorSara.nl ook een extra stimulans aan de projecten kunnen geven.

Namens het bestuur,

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

JAARREKENING

Winst- en verliesrekening

	2019	2018
	€	€
Baten		
Interestbaten	0	7
Donaties	24.580	10.383
Andere baten	0	1.659
	<hr/>	<hr/>
	24.580	12.094
Lasten m.b.t. doelstellingen		
Onderzoek	0	-2.513
Ontwikkeling therapie	-40.000	-25.000
	<hr/>	<hr/>
		-27.513
Overige bedrijfskosten		
Andere kosten	-887	-581
Saldo baten en lasten	<hr/>	<hr/>
	-16.307	-16.045
Toevoeging/onttrekking aan:		
Bestemmingsreserve algemeen	-2.698	
Bestemmingsreserve methodologie	0	
Bestemmingsfonds LHON	-12.254*	
Bestemmingsfonds POLG	-1.355**	
Bestemmingsfonds MNGIE	0	
Bestemmingsfonds DOA	0	
	<hr/>	
	-16.307	

* Saldo van toevoeging €17.746 en onttrekking €30.000

** Saldo van toevoeging €3.645 en onttrekking €5.000

Balans per 31 december 2019

	2019	2018		2019	2018
	€	€		€	€
Vorderingen en overlopende activa			Eigen vermogen		
Overige vorderingen	0	7	Bestemmingsreserve algemeen	1.191	3.889
Overlopende activa	0	0	Bestemmingsreserve methodologie	5.000	5.000
	0	7	Bestemmingsreserve LHON	18.328	30.582
			Bestemmingsreserve POLG	10.788	12.143
			Bestemmingsreserve MNGIE	1.829	1.829
			Bestemmingsreserve DOA	3.823	3.823
				40.959	57.266
Liquide middelen					
Bank rekening courant	867	3872	Schulden en overlopende passiva		
Bank spaarrekening	80.092	53.585	Crediteuren	40.000	198
	80.092	57.457		40.000	198
	80.959	57.464		80.959	57.464

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 2018 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.

Reserves en fondsen

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 2 april 2020.

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 2019 niet onderworpen aan een onafhankelijke controle.