



## **STICHTING NEMO**

Stichting voor Neuromusculair en  
Mitochondrieel Onderzoek



NeMO maakt zich groot voor onderzoek naar  
zeldzame aandoeningen

# **JAARRAPPORT 2020**

# Inhoudsopgave

<b>ALGEMENE INFORMATIE</b>	<b>2</b>
Algemeen	2
Contactgegevens	2
<b>BESTUURSVERSLAG</b>	<b>3</b>
Activiteiten en financiële positie	3
Bestuur en toezicht	3
Toekomst	6
<b>JAARREKENING</b>	<b>7</b>
Winst- en verliesrekening	7
Balans	8
<b>GRONDSLAGEN VOOR WAARDERING EN RESULTAATSBEPALING</b>	<b>9</b>
Algemeen	9
Vorderingen en overlopende activa	9
Liquide middelen	9
Reserves en fondsen	9
Kortlopende schulden	
<b>OVERIGE GEGEVENS</b>	<b>10</b>
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 2020. Mede door de COVID-19-pandemie een bijzonder jaar, uiteraard ook voor de Stichting.

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 gevestigd op de weinig voorkomende neuromusculaire en mitochondriële aandoeningen LHON/ADOA, MNGIE, MELAS, POLG1 en Leigh syndroom, 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, 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](http://www.stichtingnemo.nl) / [info@stichtingnemo.nl](mailto:info@stichtingnemo.nl)

KVK: 56088094 / RSIN: 851970618

## BESTUURSVERSLAG

### Activiteiten en financiële positie

Gedurende 2020 werden donaties voor een totaal van EUR 2.530,- ontvangen. De organisatiekosten bedroegen EUR 373,-. 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 2020 uit de volgende personen:

Bestuurslid	Functie	Werkzaam bij
Dhr. Lars Wagemans	Voorzitter	PWC
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

Gedurende 2020 is het bestuur vijf keer samengekomen. Daarnaast is in augustus 2020 een werkvisite aan de onderzoekers van het Maastricht UMC+ gebracht, waar de bestuursleden (op 1,5 m afstand) uitgebreid zijn geïnformeerd over de dagelijkse gang van zaken rond de lopende onderzoeken.

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 gekomen en vormt daarmee een belangrijk aandachtspunt voor het bestuur. De bestuurstaken worden uiteraard onbezoldigd uitgevoerd.

### Initiatieven en project update

In 2020 zijn er op meerdere, door NeMO gesteunde initiatieven, resultaten gemeld. Daarnaast zijn er enkele nieuwe onderzoeken binnen de aandachtsgebieden van

Stichting NeMO financieel gestimuleerd.

Zoals bekend is in 2018 een deel van de onderzoeksactiviteiten naar Maastricht verhuisd (zie ook [www.mitochondrialmedicine.org](http://www.mitochondrialmedicine.org)). De doelstelling was en is met name om de onderzoekstrajecten door te laten lopen. In 2020 zijn, ondanks grote vertragingen door de COVID-19-maatregelen, alle projecten ingebed in de Universiteit van Maastricht.

De door NeMO gesteunde projecten zijn 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 deze 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 eruit springende projecten. De publicaties, als resultaten van het onderzoek, laten zien welke stappen er mede dankzij de donaties zijn gemaakt. Deze zijn in de referentielijst opgenomen.

In aansluiting op het onderzoek naar de genetische factoren die van invloed zouden kunnen zijn op de ernst van de aandoening **LHON** en ook **ADOA** is van 2018 tot 2020 in Maastricht vooronderzoek gedaan naar mogelijke omgevingsfactoren die het risico op het ontwikkelen van slechtziendheid kunnen verhogen. Uit de eerste analyses zijn enkele mogelijk ziekmakende stoffen naar voren gekomen. In 2020 heeft een door NeMO gesponsorde (o.a. dankzij 80voorNeMO-gelden) masterstudent het eerste deel van het vervolgproject afgesloten. Helaas heeft het laboratoriumdeel van het onderzoek als gevolg van de COVID-19-beperkingen niet kunnen plaatsvinden. In samenspraak met de medecoördinator, dr. N. Bauer, oogarts van de afdeling Oogheelkunde, kan dit hopelijk de 2e helft van 2021 alsnog uitgevoerd worden. In parallel aan het LHON-onderzoek wordt ook bij de mensen met een Dominante Opticus Atrofie (**ADOA**) door een *OPA1*-mutatie naar de invloed van deze stoffen gekeken.

Stichting NeMO probeert met de resultaten van de veelbelovende laboratoriumonderzoeken met **MNGIE** de vervolgstudies richting therapie bij mensen te stimuleren. De afdeling pathologie is met aanvullend onderzoek naar slecht functionerende motorcellen in de darm bij deze patiëntengroep aan het kijken. Afhankelijk van het PA-onderzoek en in samenspraak met de Maagdarm-afdeling in Maastricht wordt naar mogelijkheden gezocht om dit project door te zetten en naar de kliniek te brengen.

Bij de mensen met **POLG1** loopt de MRI- en neuropsychologische onderzoeksstudie met de patiënteninclusie te langzaam. Het project wordt aangepast en overleg loopt om het onderzoek samen met de universiteit in Bergen, Noorwegen, meer vaart te kunnen geven.

De POLG1 klinische studie in samenwerking met het 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 gepubliceerd. Er wordt naast een beschrijving van het 'natuurlijke' beloop een nieuwe diagnostische classificatie voorgesteld waarbij sneller de consequenties van een sub classificatie voor patiënt en dokter duidelijk zijn (zie ref. 4).

Het MCRN-verband heeft ook een publicatie uitgebracht van ons onderzoek naar de effecten op mensen met POLG1 van geslacht, puberteit en zwangerschap (zie ref. 2).

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.

Tevens is er toestemming van de CCMO (Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek) om bij 5 patiënten met **MELAS een veiligheidsstudie (fase I)** voor deze therapie uit te voeren. Ondanks alle belemmeringen van het afgelopen jaar zijn de eerste mensen met MELAS geïnccludeerd. Door de Stichting en enkele andere patiëntenorganisaties zijn aanvullende onderzoeken gesubsidieerd die nodig waren om voortgang te boeken en daardoor ook een Europese subsidie voor dit project en voor een eerste vervolgonderzoek binnen te halen (projectnaam: GYM, *Generate Your Muscle: Treating muscle disease and muscle loss with healthy autologous muscle stem cells*).

Als een en ander meezit, hopen we eind 2021 de eerste resultaten van de Fase I stamceltrial naar buiten te kunnen brengen. Voor de mensen met CPEO gaan we dit jaar het vooronderzoek starten voor het opzetten van een stamcel-trial.

Voor de mensen met **CPEO**, Kearns-Sayre of Pearson syndroom is ons onderzoek (samen met de MCRN) gepubliceerd met als resultaat een vereenvoudigde diagnostiek met DNA uit urine (zie ref. 1).

Ten slotte is er voor mensen met een energiehuishoudingsaandoening en een myopathie een onderzoek gepubliceerd naar de waarde van markerstofjes (biomarkers) bij deze aandoeningen (zie ref. 3).

**Kruisbestuiving** met het onderzoekswerk is wat helpt om elkaar als onderzoekers te versterken en ook het onderzoek zelf zo efficiënt mogelijk (dat wil zeggen over de verschillende ziektebeelden heen) te laten voortgaan. Dit heeft voor mensen met de **MDC1A**-spierziekte geleid tot het toepassen van ideeën afkomstig uit ons

stamcelproject. Hetzelfde geldt voor Myotone dystrophie (**MD**). 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. Een promovendus is op dit project aangenomen. Er liggen hier vele dwarsverbanden met o.a. **LHON**, **ADOA** en mitochondriële biomarkers.

In de referentie staat nog een project vermeld waar NeMO als kruisbestuiving aan heeft bijgedragen: **MCT8** (ref. 5).

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. Varhaug KN, Nido GS, de Coo I, Isohanni P, Suomalainen A, Tzoulis C, Knappskog P, Bindoff LA. Using urine to diagnose large-scale mtDNA deletions in adult patients. *Ann Clin Transl Neurol.* 2020 Aug;7(8):1318-1326.
2. Hikmat O, Naess K, Engvall M, Klingenberg C, Rasmussen M, Tallaksen CME, Samsonsen C, Brodtkorb E, Ostergaard E, de Coo R, Pias-Peleiteiro L, Isohanni P, Uusimaa J, Darin N, Rahman S, Bindoff LA. The impact of gender, puberty, and pregnancy in patients with POLG disease. *Ann Clin Transl Neurol.* 2020 Oct;7(10):2019-2025.
3. Lehtonen JM, Auranen M, Darin N, Sofou K, Bindoff L, Hikmat O, Uusimaa J, Vieira P, Tulinius M, Lönnqvist T, de Coo IF, Suomalainen A, Isohanni P. Diagnostic value of serum biomarkers FGF21 and GDF15 compared to muscle sample in mitochondrial disease. *J Inherit Metab Dis.* 2020 Aug 28.
4. Hikmat O, Naess K, Engvall M, Klingenberg C, Rasmussen M, Tallaksen CM, Brodtkorb E, Ostergaard E, de Coo IFM, Pias-Peleiteiro L, Isohanni P, Uusimaa J, Darin N, Rahman S, Bindoff LA. Simplifying the clinical classification of polymerase gamma (POLG) disease based on age of onset; studies using a cohort of 155 cases. *J Inherit Metab Dis.* 2020 Jul;43(4):726-736.
5. Groeneweg S, van Geest FS, Abaci A, Alcantud A, Ambegaonkar GP, Armour CM, Bakhtiani P, Barca D, Bertini ES, van Beynum IM, Brunetti-Pierri N, Bugiani M, Cappa M, Cappuccio G, Castellotti B, Castiglioni C, Chatterjee K, de Coo IFM, Coutant R, Craiu D, Crock P, DeGoede C, Demir K, Dica A, Dimitri P, Dolcetta-Capuzzo A, Dremmen MHG, Dubey R, Enderli A, Fairchild J, Gallichan J, George B, Gevers EF, Hackenberg A, Halász Z, Heinrich B, Huynh T, Kłosowska A, van der Knaap MS, van der Knoop MM, Konrad D, Koolen DA, Krude H, Lawson-Yuen A, Lebl J, Linder-Lucht M, Lorea CF, Lourenço CM, Lunsing RJ, Lyons G, Malikova J, Mancilla EE, McGowan A, Mericq V, Lora FM, Moran C, Müller KE, Oliver-Petit I, Paone L, Paul PG, Polak M, Porta F, Poswar FO, Reinauer C, Rozenkova K, Menevse TS, Simm P, Simon A, Singh Y, Spada M, van der Spek J, Stals MAM, Stoupa A, Subramanian GM, Tonduti D, Turan S, den Uil CA, Vanderniet J, van der Walt A, Wémeau JL, Wierzba J, de Wit MY, Wolf NI, Wurm M, Zibordi F, Zung A, Zwaveling-Soonawala N, Visser WE. Disease characteristics of MCT8 deficiency: an international, retrospective, multicentre cohort study. *Lancet Diabetes Endocrinol.* 2020 Jul;8(7):594-605.

## **Toekomst**

Ondanks het COVID-19-jaar 2020 bleef de Stichting actief. 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. In 2021 zal stamceltherapie bij MELAS en MDC1A een kernproject worden. Op kruisbestuiving in het onderzoek wordt gerekend.

De uitdaging van 2021 voor Stichting NeMO is – opnieuw – onafhankelijk middelen te blijven genereren om verder onderzoek naar zeldzame, maar niet minder ernstige, aandoeningen te kunnen initiëren. Vooral grotere donaties die de onafhankelijkheid van de Stichting zouden versterken, zal het bestuur proberen te genereren.

Het bestuur kijkt uit naar 2021 waarin het de activiteiten van de Stichting nog meer in samenwerking met andere organisaties, waaronder Spieren voor Spieren, Ride4Kids, Join4Energy, Tjallingh Roorda en VoorSara.nl zal ontplooien.

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

	2020	2019
	€	€
<b>Baten</b>		
Interestbaten	7	0
Donaties	2.530	24.430
Andere baten	0	0
	<hr/>	<hr/>
	2.537	24.430
<b>Lasten m.b.t. doelstellingen</b>		
Onderzoek	0	0
Ontwikkeling therapie	-12.500	-40.000
	<hr/>	<hr/>
	-12.500	-40.000
<b>Overige bedrijfskosten</b>		
Andere kosten	-343	-887
<b>Saldo baten en lasten</b>	<hr/>	<hr/>
	-10.306	-16.457
<b>Toevoeging/onttrekking aan:</b>		
Bestemmingsreserve algemeen	474 *	-2.848
Bestemmingsreserve methodologie	0	0
Bestemmingsfonds LHON	-4.650 **	-12.254
Bestemmingsfonds POLG	-6.130 ***	-1.355
Bestemmingsfonds MNGIE	0	0
Bestemmingsfonds DOA	0	0
	<hr/>	<hr/>
	-10.306	-16.457

\* Saldo van toevoeging € 817 en onttrekking € 343

\*\* Saldo van toevoeging € 1.600 en onttrekking € 6.250

\*\*\* Saldo van toevoeging € 120 en onttrekking € 6.250

## Balans per 31 december 2020

	2020	2019		2020	2019
	€	€		€	€
<b>Vorderingen en overlopende activa</b>			<b>Eigen vermogen</b>		
Overige vorderingen	0	0	Bestemmingsreserve algemeen	1.514	1.041
Overlopende activa	0	0	Bestemmingsreserve methodologie	5.000	5.000
	0	0	Bestemmingsfonds LHON	13.678	18.328
			Bestemmingsfonds POLG	4.658	10.788
			Bestemmingsfonds MNGIE	1.829	1.829
			Bestemmingsfonds DOA	3.823	3.823
				30.502	40.809
<b>Liquide middelen</b>					
Bank rekening courant	903	717	<b>Schulden en overlopende passiva</b>		
Bank spaarrekening	57.099	80.092	Crediteuren	27.500	40.000
	58.002	80.809		27.500	40.000
<b>Totaal activa</b>	58.002	80.809	<b>Totaal passiva</b>	58.002	80.809

## **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 2019 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 11 februari 2021.

### **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 2020 niet onderworpen aan een onafhankelijke controle.