

MEMORIA **2015**



STOP**SANFILIPPO**
FUNDACIÓN

SUMARIO

Qué es Sanfilippo	03
Síntomas	03
Cómo se llega al diagnóstico	03
Problemas frecuentes	03
Cómo se hereda	03
Quiénes somos	04
Patronato	04
Otras organizaciones Sanfilippo en el mundo	04
Comité científico asesor	05
Investigación	06
Alternativas terapéuticas	06
Mapa de investigación	07
Programas financiados 2015	08
Becas investigación 2012 - 2015	09
Terapias paliativas	10
Terapias financiadas 2015	10
Informe económico financiero 2015	12
2015 en cartelera	14
PlasmaTech Biopharmaceuticals completará los fondos necesarios para el ensayo de una terapia génica	16
“Ilumina el Puente de Vizcaya, ilumina una sonrisa, pedalada a pedalada” Spinning solidario en la Ría de Bilbao.....	18

LAS FOTOS DE LOS NIÑOS QUE APARECEN EN ESTA MEMORIA HAN SIDO PUBLICADAS BAJO LA EXPRESA AUTORIZACIÓN DE SUS PADRES O TUTORES LEGALES

QUÉ ES SANFILIPPO

El Síndrome de Sanfilippo es una enfermedad de carácter genético, que ocurre cuando el padre y la madre tienen el mismo gen defectuoso. Esto provoca que nuestro cuerpo no fabrique una proteína esencial, sin la cual nuestro organismo no puede eliminar una sustancia (mucopolisacáridos), y como resultado de ello se produce una acumulación de la misma en las células que acaba provocando la muerte celular. Los niños nacen completamente normales y hasta que no pasan unos años no se muestran síntomas que hagan pensar en una enfermedad. A medida que la sustancia se acumula en las células, el deterioro físico y cognitivo va en aumento, y acaba desembocando en la muerte prematura durante la adolescencia.

En este momento no existe tratamiento alguno que detenga la enfermedad, aunque afortunadamente la investigación en animales ha mostrado excelentes resultados, por lo que es nuestra intención participar en un programa que evalúe la eficacia del producto en humanos, ensayo clínico. Dada la baja prevalencia de la enfermedad y la complejidad del tratamiento, terapia génica, la industria farmacéutica no muestra interés en este tipo de programas, al menos de momento, por lo que se hace imprescindible la colaboración de organizaciones como Stop Sanfilippo en la financiación de los mismos.

SÍNTOMAS

Los síntomas iniciales suelen aparecer entre los dos y los cuatro años, y en ocasiones se pueden confundir con un trastorno de déficit de atención (TDA) al tratarse de hiperactividad y dificultad en el aprendizaje. Si a estos síntomas le añadimos otros de carácter físico, como infecciones respiratorias y de oído frecuentes, pelo grueso y cejas pobladas, entonces puede tratarse de una Mucopolisacaridosis tipo III o Sanfilippo.

CÓMO SE LLEGA AL DIAGNÓSTICO

La enfermedad suele diagnosticarse entre los dos y seis años de edad. Una vez se sospecha de una posible Mucopolisacaridosis tipo III, el primer paso es realizar un análisis de orina (Test de Berry) en busca de altas concentraciones de Heparán Sulfato. Confirmado este punto será necesario realizar un análisis de fibroblastos para identificar cual de las cuatro enzimas es la deficiente, y por lo tanto determinar el subtipo, A, B, C ó D.

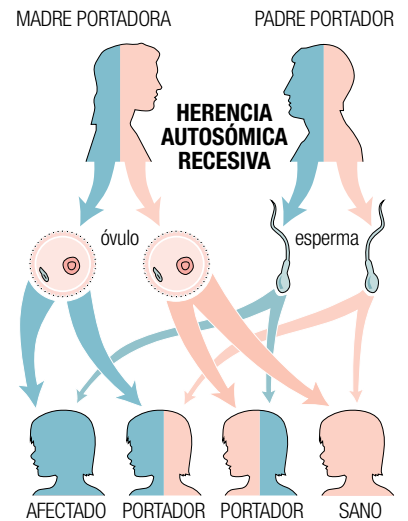
SUBTIPO	ENCIMA DEFICIENTE
Sanfilippo A	Heparán N-sulfatasa (SGSH)
Sanfilippo B	N-acetil- α -glucosaminidasa (NAGLU)
Sanfilippo C	Acetil CoA: α -glucosaminidotransferasa (HGSNAT)
Sanfilippo D	N-acetilglucosamina 6 sulfatasa (GNS)

Es muy importante conocer las mutaciones por dos razones:

- Los padres pueden beneficiarse de un diagnóstico prenatal en futuros embarazos. Puede realizarse un test por biopsia corial pasadas entre 12 y 15 semanas desde la última menstruación. También es posible realizar un embarazo mediante técnica de Diagnóstico Genético Pre-implantación (PGD), que implica el uso combinado de técnicas de reproducción asistida y de genética molecular.
- Podrían existir futuras terapias que dependan del tipo de mutación, como puede ser el caso de las Chaperonas.

PROBLEMAS FRECUENTES

- **Infecciones respiratorias, nasales y de oídos, adenoides y amígdalas.** Obstrucción de la vía aérea por hipertrofia de la lengua, respiración ruda...
- **Psicomotricidad:** Pueden tener dificultad para aprender a caminar o mantener el equilibrio, y las caídas suelen ser frecuentes. La acumulación de mucopolisacáridos en las articulaciones puede afectar la elasticidad de los tejidos y por lo tanto al movimiento de las extremidades. Apertura incompleta de los codos, torpeza en los dedos, rigidez en caderas y tobillos.
- **Hiperactividad y trastornos de conducta** son frecuentes, y probablemente son los aspectos más difíciles de manejar, provocando fatiga, ansiedad, y trastornos del sueño.
- **Diarreas frecuentes.**
- **Dificultad en el aprendizaje del lenguaje.**
- **Control del esfínter:** con frecuencia nunca llega a ser completo, y aún siendo adquirido, con el paso del tiempo puede perderse al igual que otras habilidades.



CÓMO SE HEREDA

El Síndrome de Sanfilippo se hereda como un rasgo autosómico recesivo, por tanto se expresa sólo en homocigóticos, los cuales deben haber heredado un alelo mutante de cada uno de los padres. Ambos padres del enfermo son generalmente portadores de la enfermedad (heterocigóticos); el riesgo de que sus hijos reciban el alelo recesivo de cada uno de ellos y por tanto resulten afectados es de 1:4 (25%); la probabilidad de que tengan hijos sanos para el Síndrome de Sanfilippo 1:4 (25%) e hijos portadores del Síndrome de Sanfilippo 1:2 (50%), afectando a ambos sexos por igual.

En cada nuevo embarazo existe un 25% de probabilidades de tener un hijo afecto. La ciencia nos permite eliminar este riesgo con técnicas de Diagnóstico Genético Pre-implantación, y también nos da la opción de realizar un test durante el embarazo, aunque ambas opciones tienen connotaciones éticas y morales que cada uno afronta de manera diferente.

A PARTIR DEL MOMENTO EN QUE EXISTA TRATAMIENTO LO MAS IMPORTANTE SERÁ DETECTAR LA ENFERMEDAD CUANTO ANTES, NO PODREMOS EVITAR LA ENFERMEDAD, PERO SI PODREMOS TRATARLA, Y ESTA ES LA DIRECCIÓN EN LA QUE TRABAJAREMOS.

OTRAS ORGANIZACIONES SANFILIPPO EN EL MUNDO



ESPAÑA, Barcelona / Belén Zafra
sanfilippobarcelona@gmail.com



USA, Ny / Kathleen Buckley
kbucley12866@gmail.com



USA, Tx / Roy Zeighami
contact@sf4k.org



SUIZA / Frederic Morel
info@fondationsanfilippo.ch



USA, Ny / Jill Wood
jw.mps3c@yahoo.com



USA, Ma / Stuart Siedman
contact@bensdream.org



USA, AI / Misty Luthcke



POLONIA / Arleta Feldman
maciek@lepszypoznan.pl



CANADÁ, Ontario / Elizabeth Linton
scrif@aliforelisa.org



CANADÁ, Toronto
info@stridesforsophie.ca



FRANCIA, París / Karen Aiach



NETHERLANDS

QUIÉNES SOMOS



<http://www.youtube.com/watch?v=2hSq-72W32M>

Ante la falta de soluciones que hemos encontrado al enfrentarnos al Síndrome de Sanfilippo, hemos decidido crear **STOP SANFILIPPO**, una Fundación de carácter privado dedicada al fomento de la investigación de esta enfermedad, y así poder encontrar una cura o tratamiento.

La **Fundación Stop Sanfilippo** cuenta con un consejo de gobierno o **Patronato**, con la misión de vigilar que se cumplan debidamente los fines de la fundación.

También hemos contactado con organizaciones establecidas en todo el mundo y trabajamos con ellos de forma coordinada para seleccionar los mejores proyectos con la ayuda de un **Comité Asesor Médico** especializado en enfermedades lisosomales.

PATRONATO

Emilio López Alvarez

Presidente

Cristina Sánchez Salas

Vicepresidenta

Ignacio Sánchez Moreno

Secretario

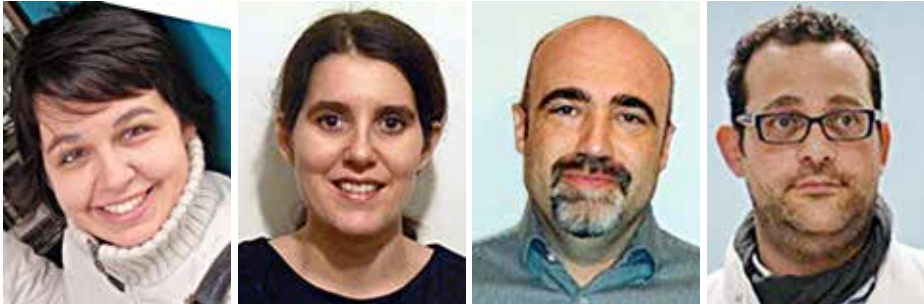
Naiara Leire García de Andoin Alonso

Vocal

Elvira Olaso Montero

Vocal

COMITÉ CIENTÍFICO ASESOR



Astrid Pañeda Rodríguez

Sermes CRO – Directora de Investigación Clínica

Astrid se licenció en Bioquímica en el año 1999 y recibió su graduación de doctorado en 2005, completando su formación en investigación clínica con la primera promoción del máster de I + D + i de la Fundación Esame en el año 2011.

Entre los años 2005 y 2010 participó en proyectos de investigación traslacional desde el punto de vista académico y empresarial, en el Centro de Investigación Médica Aplicada (CIMA) y la compañía AMT (recientemente UniQure). Posteriormente se unió al equipo de Digna Biotech durante más de cuatro años, como responsable de los programas de desarrollo clínico de terapias avanzadas.

María Pilar Pérez de Obanos

Licenciada en Bioquímica y Doctora por la Universidad de Navarra. Master en propiedad intelectual y patentes por la Fundación ESAME. Más de 7 años de experiencia en la industria farmacéutica y biotecnológica sobre enfermedades raras en compañías como Digna Biotech o Cinfa. Experiencia en el desarrollo de fármacos desde la fase preclínica a la clínica.

Maurizio Buggio

First degree at the “Universita Degli Studi” of Ferrara, Italy. Graduated at the “Universita Degli Studi” of Ferrara Mayor in Biomolecular and Cellular Biology. European Phd “Surgical Science and Technological Application”. Marie Curie Postdoctoral Research Fellow (EPOS-lasis, Cyprus) Nanomedicine lab, University of Manchester. Main Activity: gene silencing using SiRNA complexed onto carbon nanostructures.

Javier Dotor

Biohope S.L. – Director Científico

Licenciado en Ciencias Biológicas y Doctor en biología celular por la Universidad de Navarra en 2004. Cuenta con más de 10 años de experiencia en la industria biotecnológica en compañías como Digna Biotech, Natac Biotech y Azurebio.

Entre 2005 y 2014 participó en el desarrollo de productos y proyectos relacionados con estudios preclínicos y clínicos para el tratamiento de enfermedades huérfanas.

ALTERNATIVAS TERAPÉUTICAS

TERAPIA GÉNICA

Corrigiendo el defecto.

OPTIMIZACIÓN DEL SUSTRATO (SOT)

Si nuestro organismo no puede eliminar un determinado material, porque no transformarlo y convertirlo en algo que si podamos degradar.

REDUCCIÓN DE SUSTRATO (SRT)

Si no podemos eliminar el material, y este es tóxico, tratemos de inhibir su producción.

REEMPLAZO ENZIMÁTICO

Si nuestro organismo no es capaz de desarrollar de formar correcta las proteínas para eliminar el material, intentemos suministrarlas.

CHAPERONAS

Ayudando al plegamiento correcto de la proteína.

INVESTIGACIÓN

Algunas enfermedades se producen porque una o más proteínas no funcionan correctamente. Las proteínas son secuencias de aminoácidos, y son lo que usa el cuerpo humano a nivel químico para regularse y hacer sus funciones. Los aminoácidos son pequeñas moléculas compuestas principalmente por carbono, oxígeno, hidrógeno y nitrógeno, que se unen entre si mediante lo que se llama enlace peptídico. El ser humano y otras especies animales usan solo 20 tipos de aminoácidos. Son justamente las secuencias de ADN las que codifican la secuencia de aminoácidos que van a formar una determinada proteína. Cada 3 bases del ADN son leídas por las bases complementarias del ARN, y este es el encargado de sintetizar la cadena de aminoácidos que forman una determinada proteína.

De forma muy sencilla podríamos decir que al tener un gen mutado, la lectura que se realiza de la cadena de aminoácidos es incorrecta, de modo que no es posible generar una determinada proteína. En el caso de Sanfilippo, el material acumulado es Heparán Sulfato, Es importante entender el mecanismo anterior para poder comprender que alternativas terapéuticas podemos barajar. Teniendo en cuenta que la enfermedad se desarrolla por la carencia de una enzima y la posterior acumulación sustrato, podemos hablar de dos objetivos terapéuticos: ENZIMAS / SUSTRATO

En el caso del SUSTRATO hablaremos de posibles inhibidores u optimizadores, y en el caso de las ENZIMAS el conocido reemplazo enzimático, la terapia génica y las chaperonas.



MAPA DE INVESTIGACIÓN

INSTITUCIÓN	INVESTIGADOR PRINCIPAL	TERAPIA
ESPAÑA. Universidad de Barcelona. Departamento de Genética	Daniel Grinberg Lluisa Vilageliu	Grinberg y Vilageliu trabajan en diferentes aproximaciones terapéuticas enfocadas a Sanfilippo C, aunque algunas de ellas son comunes al resto de tipos de Sanfilippo
ESPAÑA. Universidad de Barcelona. Centro de Biología Animal y Terapia Génica	Fátima Bosch	Desarrollo de una Terapia Génica dirigida a corregir el gen defectuoso en el Síndrome de Sanfilippo A. El Vector Viral Adenoasociado AAV9 ha sido designado como medicamento huérfano por la FDA el 1 de junio de 2012, y por la EMEA el 21 de junio de 2012. No hay confirmación de fecha para el ensayo
ESPAÑA. Hospital Germans Trias I Pujol	Antoni Matilla	Determinar si la aplicación de una dieta cetogénica en niños afectados por Sanfilippo reduce el acumulo de GAG's en las células y por tanto el avance de la enfermedad
REINO UNIDO. Shire Human Genetics	Patrick Haslett	Desarrollo de una Terapia Intratecal dirigida a Sanfilippo A. Programa HGT 1410. Ensayo Clínico en Fase I/II finalizada. Prevista Fase IIb para confirmar eficacia en el primer trimestre de 2014
FRANCIA. Instituto Pasteur y Amsterdam Molecular Therapeutics	Jean-Michael Heard	Instituto Pasteur y el Amsterdam Molecular Therapeutics colaboran en el desarrollo de una Terapia Génica dirigida a Sanfilippo B. El ensayo comenzó en septiembre de 2013 con cuatro niños
FRANCIA. Lysogene	Olivier Danos	Lysogene lleva a ensayo clínico la primera terapia para Sanfilippo en el mundo a finales de 2011. La fase I/II ha finalizado a mediados de 2013. No hay noticias sobre el avance del programa
FRANCIA. Universidad Pierre et Marie Curie	Matthieu Sollogoub	Desarrollo y evaluación de chaperonas para el tratamiento de Sanfilippo B. Se espera que estas moléculas sean capaces de ayudar a la formación de la proteína en ciertas mutaciones, restaurando parcialmente la capacidad de degradar Heparán Sulfato
POLONIA. University of Gdansk Department of Molecular Biology	Grzegorz Wegrzyn	El Profesor Wegrzyn continua investigando el efecto inhibitor de otras isoflavonas, así como de algunos derivados sintéticos de las mismas
CANADÁ. Universidad de Montreal. Sainte-Justine Research Center	Alexey Pshezhetsky	Proyecto dirigido a identificar compuestos capaces de atravesar la barrera hematoencefálica y que actúen como chaperonas. Sanfilippo C. Recientemente le ha sido asignada una beca de 650.000\$ por el Instituto de Salud Canadiense
ESTADOS UNIDOS. Zacharon Pharmaceuticals	Brett Crawford	Zacharon tiene como objetivo terapéutico la optimización del sustrato (Heparán Sulfato) de modo que éste pueda ser transformado en otra molécula que pueda ser eliminada por el organismo. Válido para los tipos A, B y C
ESTADOS UNIDOS. Texas Children's Hospital	Marco Sardiello	El grupo en el que trabaja el Dr. Sardiello descubrió recientemente la existencia de un programa genético capaz de controlar la actividad de los lisosomas a través del Master Gene TFEB. Basándose en ello, el Dr. Sardiello investiga como modular este gen y con ello la capacidad de degradación de los lisosomas
ESTADOS UNIDOS. Nationwide Children's Hospital	Haiyan Fu Douglas M. McCarty	Terapia Génica dirigida a corregir el gen defectuoso en Sanfilippo A y B
ESTADOS UNIDOS. The Los Angeles Biomedical Research Institute at Harbor-UCLA	Patricia Dickson	Patricia Dickson trabaja en el desarrollo de la encima deficiente para Sanfilippo B, NAGLU. Uno de los problemas es hacer que esta encima atraviese las células. Este grupo ha desarrollado una encima etiquetada con IGF2 que atraviesa las células de forma eficiente. El siguiente paso es realizar test en modelos animales

INVESTIGACIÓN

PROGRAMAS FINANCIADOS 2015



ABEONA THERAPEUTICS

En 2013 nace una nueva compañía, Abeona Therapeutics, fruto de un acuerdo de colaboración entre el Nationwide Children's Hospital de Ohio y un grupo de Organizaciones de pacientes a nivel mundial, con el objetivo de realizar un ensayo clínico con terapia génica, una vez ha quedado demostrada su eficacia y seguridad en animales.

En este primer acuerdo, Stop Sanfilippo participa como accionista en este consorcio. Nuestro objetivo para 2015 era llegar a completar la financiación hasta los 3 millones de dólares. Cantidad estimada para realizar la Fase I/II de un ensayo clínico en España.

<http://www.nationwidechildrens.org/>
<http://abeonatherapeutics.com/>

APORTACIÓN: **1.240.665 USD**

A comienzos de 2015 la compañía Plasmatech realiza una oferta sobre Abeona Therapeutics que es aceptada por todos los accionistas. Esta nueva compañía cuenta con capital suficiente para desarrollar el producto y además la venta proporciona, a cada una de las Fundaciones, un número proporcional de acciones de la compañía resultante. Stop Sanfilippo recibe casi un millón de acciones. La nueva compañía mantendrá el nombre de Abeona y cotiza en el Nasdaq con el símbolo ABEO.

Sin duda esto nos ayudará a culminar este programa con éxito y además nos ofrece la posibilidad de explorar otras vías de investigación gracias a que el dinero invertido vuelve a la Organización.



Andrea Ballabio

Telethon Institute Genetics & Medicine. Napoles. Activación y modulación del gen master TFEB.
<http://www.tigem.it/en/research/researchers/andrea-ballabio>

APORTACIÓN: **10.000 USD**



Antonia Ribes

Hospital Clinic de Barcelona. Estudio de CoQ10 en pacientes afectados de la enfermedad de Sanfilippo. <http://cdb.hospitalclinic.org/laboratorios/bioquimica-genetica-molecular/errores-congenitos-metabolismo/>

APORTACIÓN: **10.000 €**



Daniel Grinberg y Lluisa Vilageliú

Universidad de Barcelona. Corrección de mutaciones sin sentido.

<http://www.wch.sa.gov.au/>

APORTACIÓN: **15.000 €**



Dr. Luis Aldámiz-Echevarría

Registro nacional de pacientes afectados por el Síndrome de Sanfilippo. Hospital Universitario Cruces - Instituto de Investigación Sanitaria BioCruces (Barakaldo, Vizcaya)

APORTACIÓN: **36.457 €**



Kim Hemsley y John Hopwood

Women's and Children's Hospital, Adelaida. Estudio detallado de los procesos implicados en la patología del Síndrome de Sanfilippo.

<http://www.wch.sa.gov.au/>

APORTACIÓN: **37.000 €**



Calogera Simonaro

Icahn School of Medicine. New York. <http://www.mountsinai.org/profiles/calogera-m-simonaro>

APORTACIÓN: **84.817 €**



Antoni Matilla

Tratamientos terapéuticos en un modelo de ratón de Sanfilippo. Hospital Germans Trias i Pujol. Barcelona.

<http://www.btnunit.org/>

APORTACIÓN: **110.053 €**

BECAS INVESTIGACIÓN 2012-2015

BECAS INVESTIGACION CONCEDIDAS	2012	2013	2014	2015	TOTAL
Andrea Ballabio Telethon Institute Genetics & Medicine. Napoles. Activación y modulación del gen master TFEB. http://www.tigem.it/en/research/researchers/andrea-ballabio	10.000 €				10.000 €
Antonia Ribes Hospital Clinic de Barcelona. Estudio de CoQ10 en pacientes afectados de la enfermedad de Sanfilippo. http://cdb.hospitalclinic.org/laboratorios/bioquimica-genetica-molecular/errorescongenitos-metabolismo/	10.000 €				10.000 €
Daniel Grinberg y Lluisa Vilageliú Universidad de Barcelona. Corrección de mutaciones sin sentido. http://www.wch.sa.gov.au/	15.000 €				15.000 €
Dr. Luis Aldámiz-Echevarría Registro nacional de pacientes afectados por el Síndrome de Sanfilippo. Hospital Universitario Cruces - Instituto de Investigación Sanitaria BioCruces (Barakaldo, Vizcaya)				36.457 €	36.457 €
Kim Hemsley y John Hopwood Women's and Children's Hospital, Adelaida. Estudio detallado de los procesos implicados en la patología del Síndrome de Sanfilippo. http://www.wch.sa.gov.au/	37.000 €				37.000 €
Calogera Simonaro Icahn School of Medicine. New York. http://www.mountsinai.org/profiles/calogera-m-simonaro				84.817 €	84.817 €
Antoni Matilla Tratamientos terapéuticos en un modelo de ratón de Sanfilippo. Hospital Germans Trias I Pujol. Barcelona. http://www.btnunit.org/		40.443 €	25.460 €	44.150 €	110.053 €
Abeona Therapeutics Terapia génica Sanifilippo A y B. abeonatherapeutics.com/		37.832 €	1.202.833 €		1.240.665 €
TOTAL ANUAL	72.000 €	78.275 €	1.228.293 €	165.424 €	1.378.568 €

TERAPIAS PALIATIVAS

TERAPIAS FINANCIADAS 2015



[1]

Fisioterapia es una disciplina de la Salud que ofrece una alternativa terapéutica no farmacológica, para paliar síntomas de múltiples dolencias, tanto agudas como crónicas, por medio del ejercicio terapéutico, calor, frío, luz, agua, masaje y electricidad. Tiene como objetivo facilitar el desarrollo y recuperación de la máxima funcionalidad y movilidad del individuo. [1]



[2]

Musicoterapia es el uso de la música y/o sus elementos (sonido, ritmo, melodía, armonía) en un proceso creado para facilitar, promover la comunicación, las relaciones, el aprendizaje, el movimiento, la expresión, la organización y otros objetivos terapéuticos, para satisfacer las necesidades físicas, emocionales, mentales, sociales y cognitivas. [2]



[3]

Equinoterapia o hipoterapia es una terapia integral empleada por profesionales de la salud física o mental para promover la rehabilitación de niños, adolescentes y adultos a nivel neuromuscular, psicológico, cognitivo y social por medio del caballo como herramienta terapéutica y coadyudante. [3]



[4]

Logopedia es la disciplina sanitaria que diagnostica, evalúa y rehabilita, los problemas, disfunciones, retrasos o trastornos que se presentan en la comunicación, el lenguaje, el habla, la voz y la deglución. Para ello, se trabaja desde el campo anatómico, psicológico y fisiológico. [4]



[5]

Osteopatía es una medicina alternativa desarrollada por Andrew Taylor Still a partir de un sistema de diagnóstico y tratamiento donde se pone una atención especial en la estructura y los problemas mecánicos del cuerpo. Se basa en la creencia de que huesos, músculos, articulaciones y tejido conectivo desempeñan un papel central en el mantenimiento de la salud. [5]

Estimulación cognitiva

engloba todas aquellas actividades dirigidas a estimular y mantener las capacidades cognitivas existentes. La atención, la memoria, el lenguaje, las funciones ejecutivas son, entre otros procesos mentales, susceptibles de ser potenciados mediante técnicas de estimulación cognitiva.

Hidroterapia es la utilización del agua como agente terapéutico, en cualquier forma, estado o temperatura ya que es la consecuencia del uso de agentes físicos como la temperatura y la presión. Se define como el arte y la ciencia de la prevención y del tratamiento de enfermedades y lesiones por medio del agua. [6]



En 2015 hemos financiado 860 sesiones de terapias paliativas por un importe de 27.333,50€:

TIPO DE TERAPIA	NÚMERO DE SESIONES
Fisioterapia	438
Musicoterapia	127
Logopedia	110
Hidroterapia	97
Hipoterapia	88
TOTAL	860

[6]

2015 INFORME ECONÓMICO FINANCIERO

INGRESOS (euros)	2015
Donaciones puntuales P. física	170.025,72 €
Donaciones puntuales P. jurídica	111.084,02 €
Donaciones por eventos y campañas	475.579,54 €
Donaciones periódicas	31.660,19 €
TOTAL INGRESOS	788.349,47 €

GASTOS (euros)	2015
CAPTACION DE FONDOS	110.218,44 €
Alimentos y bebidas	300,95 €
Gastos bancarios	2.060,67 €
Cuotas de otros organismos	575,00 €
Formacion	685,00 €
Gastos representacion	284,12 €
Marketing y publicidad	51.279,03 €
Mensajería y transporte	3.368,60 €
Merchandising	798,60 €
Otros servicios	22.970,60 €
Seguros	254,76 €
Servicios administrativos	201,50 €
Servicios de TI	313,13 €
Sueldos y salarios	26.354,10 €
Viajes y dietas	772,38 €
FINES PROPIOS	162.355,03 €
Fomento de la investigacion	135.021,53 €
Terapias Paliativas	27.333,50 €
FUNCIONAMIENTO	28.484,82 €
Comisiones Bancarias	91,10 €
Marketing y publicidad	445,20 €
Mensajería y transporte	3.670,83 €
Viajes y dietas	12,20 €
Cuotas de otros organismos	620,00 €
Servicios administrativos	8.276,00 €
Servicios de TI	2.445,80 €
Otros servicios	755,40 €
Gastos administrativos	5.132,33 €
Impuetos	5.923,51 €
Material informático y de oficina	1.112,45 €
TOTAL GASTOS	301.058,29 €

RESERVAS INVESTIGACIÓN	487.291,18 €
-------------------------------	---------------------

ASÍ GASTAMOS CADA

100€

OBTENIDOS

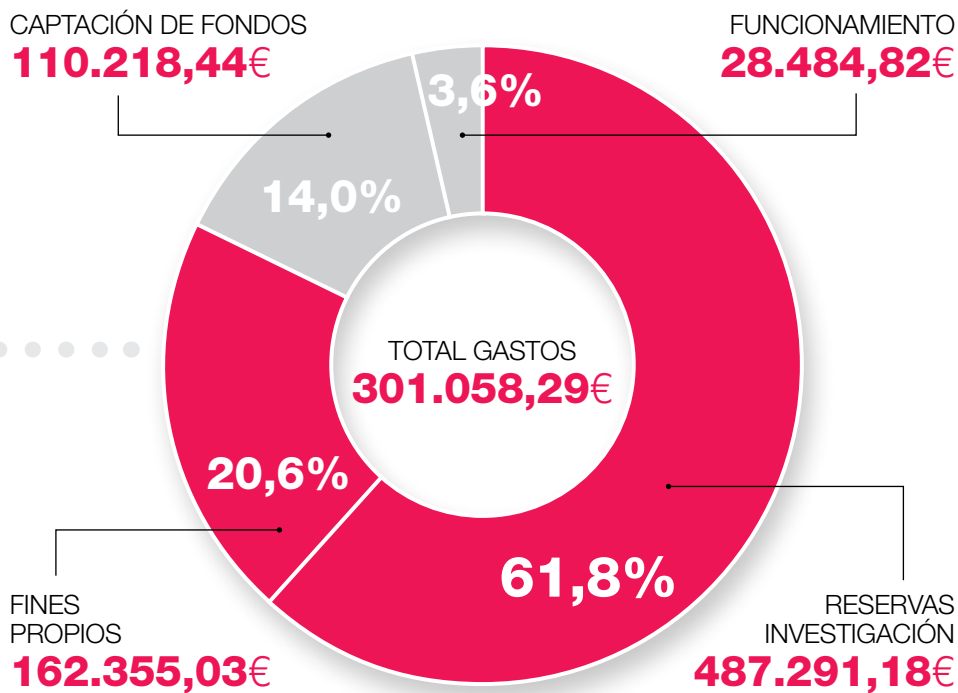
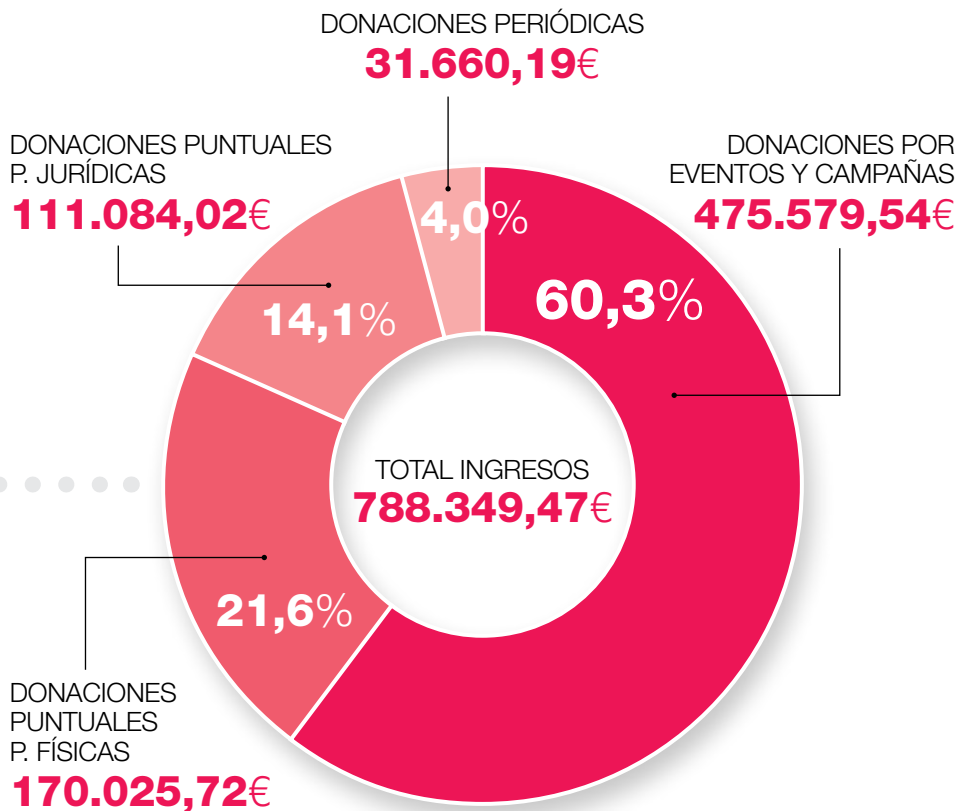
3,61€ Funcionamiento

13,98€ Captación

61,82€ Reservas investigación

20,59€
FINES PROPIOS

61,81€
RESERVAS INVESTIGACIÓN



POR CADA

100€

INVERTIDOS

OBTUVIMOS **715€**

2015

III CARRERA SOLIDARIA TO CORRO POR BORJA
A BENEFICIO 100% DE STOP SANFILIPPO

I VOLTA A PEU SOLIDAR-CA FALLA EL DIVENDRES
CORREMOS POR DANIELA

19 de SEPTIEMBRE MASSANASSA

18:30 Andarives (15 km)
19:00 Abadilla (16,3 km)

I CARRERA SOLIDARIA MONACHIL 2015
A BENEFICIO DE STOP SANFILIPPO

DOMINGO 22 DE NOVIEMBRE - 11:00H.

TRIAN y los zapatos de cristal

5 km CARRERA ADULTOS

16 DE MAYO 2015
19:30 h. LA PUEBLA DEL RIO SEVILLA

FERMAX

caixa popular, D-Piles, rocsa, etc.

Arte 8 prepara en EXCLUSIVA
un espectáculo lleno de ritmo para la STOP SANFILIPPO FUNDACIÓN

Anima zaitetz dantza ikuskizuna ikusterat!

Domingo, 29 de marzo / Martes 26, igandea
12:30 Teatro Campos Eliseos Antzokia

Entrada donativo Mesede sartera **10€**

6 EKANA JUNIO 20:00 AZKINA ZENTROA

SANFILIPPO COOKING NIGHT
Iluskoak dasteru Saborea Dusterones

*Badia egin dogun zuek erropita agintzen!!
Una noche preparadela que no la podéis perder*

Il Gala Coral
Homenaje a los grandes maestros Bizkaito abesbatetan homenez II. jaialdi korala

Teatro Arriaga
Arriaga 80ak
Domingo 29 Martxo
Martes 29ak, igandea

Locos por la Música
Donativo 2€ / 2 € ko okarpena Stop Sanfilippo

Radio Nervion
Nervion in una actividad nueva



ilumina el puente...
ilumina una sonrisa Piztu barre bat... Piztu zubia

Spinning y actividades para toda la familia

pedalada a pedalada

sábado, 18 julio
12:00h - 14:00h
12:00h - 14:00h

GOLDEN APPLE QUARTET

X TITAN DESERT GARMIN

Jornada de puertas abiertas Colegio Berrio-Otxou

Sábado 24 Enero de 11:00 a 13:30 h

VENTA Y FIRMA DE EJEMPLARES

YO FUÍ A ECB

REIKI MARATOIA

STOP SANFILIPPO

EN CARTELERA

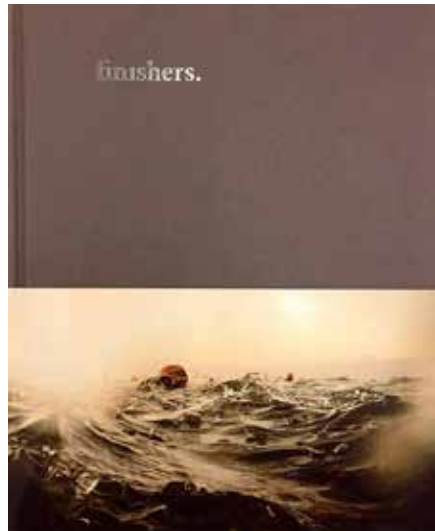


CIRCUITO SOLIDARIO
CEIP PADRE POVEDA

I & HELP SANFILIPPO KIDS

226

STOP SANFILIPPO



IV CARRERA POPULAR
SINDROME DE SANFILIPPO

100% BENEFICA

19 ABRIL 2015
9:00 h.

LAS TABLAS MADRID

12 años

MIC

ultimate



ner group

II GOERRI RALLYSPRINTA

10:00-12:30 Lickakoño plaza

14:00

15:00

10€

MILA EKINERU LAGUNTZAILE GUTIERRI

La inscripción obligatoria se distribuirá a Stop Sanfilippo. Asimismo, guanta Borja Sanfilippo ekoizpenaren laguntza.

STOP SANFILIPPO

NICURA TRANSPORTES Y LOGÍSTICA

GASOGAS OLABERRIA

NICURA TRANSPORTES Y LOGÍSTICA

orkli **Irizar** **AMPO** **Alonso**

Barandiaran **zorri** **MURRIOZ**

ZUMBA Thón Evento Solidario

Presentado por: BERTA BASTA

SÁBADO 14 MARZO 2015

de 12:00-14:00 hrs Polideportivo de Araia (Álava)

¡¡Ven a bailar por una buena causa!!

STOP SANFILIPPO FUNDACIÓN

Continuamos con la colaboración de nuestros deportistas y patrocinamos una parte de productos deportivos valorados en 100€.

Baitreko/Donatzaile: 4 € en Polideportivo

Tickets entregados en el Bar El Casino de Araia

Evento "Thón" en Bar El Casino y en www.stopsanfilippo.org

Forax internet y correo de promoción gratuita

También puedes colaborar en el 4º de cuenta

Fundación StopSanfilippo: 9549 1095 0028 809112298722

ZUMBA



El laboratorio americano impulsará el ensayo en su fase actual, así como las fases posteriores, con unas necesidades de inversión futuras de más de 20 millones de euros

PLASMATECH BIOPHAR COMPLETARÁ LOS FONDOS DEL ENSAYO DE UNA TERAPIA AFECTADOS POR EL SÍNDROME

La compañía estadounidense PlasmaTech Biopharmaceuticals acaba de anunciar la compra de la compañía farmacéutica Abeona Therapeutics, especializada exclusivamente en el desarrollo de nuevas terapias génicas para pacientes con enfermedades genéticas raras.

Esta impactante noticia empresarial va a tener **consecuencias muy directas e inmediatas en España** ya que Abeona llevaba investigando desde hace dos años el desarrollo de un ensayo que pruebe directamente en los enfermos del Síndrome Sanfilippo, una innovadora terapia génica que pueda posibilitar un tratamiento futuro para esta enfermedad mortal.

Se trata de una **terrible enfermedad rara, neurodegenerativa y hereditaria, que se compara con el Alzheimer**, con la diferencia de que los afectados son niños y niñas y cuyo pronóstico es la muerte durante la adolescencia, ya que en la actualidad no existe tratamiento alguno.

La Fundación Stop Sanfilippo -organización nacional sin ánimo de lucro constituida hace ahora más de tres años para conseguir una potencial cura de esta enfermedad- ha recurrido a aportaciones solidarias y al desarrollo a lo largo de toda España de multitud de actos solidarios para obtener fondos para ampliar este ensayo clínico a España, siendo esto posible gracias a todos los **actos organizados que han permitido en este tiempo recaudar alrededor de 1,8 millones de euros.**

Estos primeros ensayos clínicos para Sanfilippo A y B (con un presupuesto que supera con creces los tres millones de euros sólo en sus dos primeras fases de investigación) **es la única posibilidad que hay en la actualidad para acelerar el proceso de testar si este proyecto puede ser una curación para estos niños en un futuro próximo**, dado que debido a la extraordinaria rareza de la enfermedad, no había ningún inversor público o privado que quisiera invertir en este programa de investigación.

COMPROMISO TOTAL DE FINANCIACIÓN

Lo importante es que los compradores de Abeona (en la que participaba accionarialmente la Fundación Stop Sanfilippo, junto con otras ONG internacionales vinculadas al fomento de la investigación en enfermedades raras) confían "plenamente" en los datos recogidos en la fase preclínica del estudio y por ello **quieren apostar por el desarrollo de estos proyectos**, uno de los cinco programas de investigación que han sido apoyados directamente por la fundación en los últimos tres años.

Precisamente, los responsables del laboratorio farmacéutico comprador, PlasmaTech, **se han comprometido no sólo a completar la financiación restante del ensayo clínico en sus fases iniciales** (cuyo inicio está previsto para este mismo año, tanto con niños en Estados Unidos, como con pacientes españoles, en el Hospital de Cruces, en Bizkaia), sino lo que es más importante, **también las fases siguientes del mismo hasta su comercialización.**

RMACEUTICALS

DOS NECESARIOS PARA

APIA GÉNICA A LOS

NDROME SANFILIPPO

“Lo mejor de la operación –explica Emilio López, presidente de la Fundación Stop Sanfilippo- es que **PlasmaTech capta fondos de capital riesgo y tiene ‘cash’ para poder seguir adelante con el programa de investigación**, sin que sea necesario a partir de ahora que las fundaciones que estábamos en el capital de Abeona sigamos aportando más capital, y sobre todo, que el ensayo se realice en el menor tiempo posible”.

El máximo responsable de la fundación española resalta que el objetivo principal de Abeona y por lo tanto de Stop Sanfilippo “era el de realizar la fase I/II del **ensayo clínico en la que se demostrase seguridad y eficacia**”. A su juicio, realizada esta fase con buenos resultados sería más sencillo conseguir fondos de capital riesgo para hacer una fase III y, posteriormente, comercializar el medicamento.

FASE III: MÁS DE 20 MILLONES DE EUROS

“Por fortuna, –continúa Emilio López-, **el momento ha llegado mucho antes de lo esperado**”. “Aun siendo conscientes de que nuestro objetivo era muy ambicioso, conseguir realizar la Fase I/II de un ensayo clínico con terapia génica, sabíamos que para fases posteriores y sobre todo cara a la comercialización del producto, sería imprescindible la entrada de una compañía con amplios recursos”.

A su juicio, **“realizar una fase III y comercializar el producto es muy probable que requiera más de 20 millones de euros**, teniendo en cuenta que se necesitan licencias muy, muy costosas”. López insiste en que lo más importante, además de tratar a los niños en el ensayo de la terapia génica, “es que si el medicamento funciona, llegue al mercado para que sea accesible por todos los niños”.

Emilio López considera que “sin duda, ésta es una gran noticia para todos los afectados por el Síndrome de Sanfilippo”. A su juicio, la entrada de una compañía mayor, con más recursos, tanto en el aspecto financiero como en lo relativo al capital humano, **“posibilitará que el ensayo se realice en el menor tiempo posible**, e igualmente llegue al mercado cuanto antes en el caso de demostrarse seguridad y eficacia”.

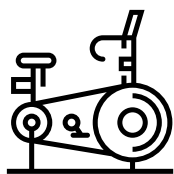
En su opinión, la razón de ser de Stop Sanfilippo “es la de conseguir una tratamiento eficaz para los niños afectados, y la única vía existente es la de fomentar la investigación”. **“Cuantas más vías tengamos abiertas, –explica López- más probabilidades tendrán nuestros hijos de disponer de un tratamiento”**. Por tanto es importante recalcar que **continuaremos recaudando fondos y destinándolos a otras alternativas terapéuticas**.

“Ahora más que nunca creemos que acertamos cuando tomamos la decisión de apoyar este programa, y no cabe duda de que el éxito se debe al apoyo que hemos recibido de miles de donantes, voluntarios y colaboradores”.

Una operación empresarial va a ser la solución definitiva a la carrera contrarreloj para obtener todos los fondos necesarios para el ensayo que de la opción de probar en humanos una terapia génica que se está investigando en Estados Unidos como un posible tratamiento para los afectados por el Síndrome Sanfilippo.

Esta enfermedad neurodegenerativa, conocida como ‘Alzheimer infantil’, condena a una muerte prematura a cerca de 70 niños y niñas españoles que lo padecen desde su nacimiento puesto que no hay ningún tratamiento disponible. El laboratorio farmacéutico norteamericano PlasmaTech completará la financiación del ensayo clínico en todas sus fases acelerando la comercialización del futuro medicamento.

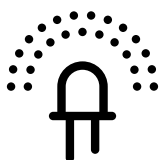
viernes, 20 de enero de 2017



200
BICICLETAS DE
SPINNING



2.000
PARTICIPANTES
SOLIDARIOS



5.500
METROS DE
LUCES 'LED'



17.157
EUROS DONADOS
PARA INVESTIGACIÓN

'ILUMINA EL PUENTE DE VIZCAYA, ILUMINA UNA SONRISA, PEDALADA A PEDALADA'



SPINNING SOLIDARIO EN LA RÍA DE BILBAO A FAVOR DE STOP SANFILIPPO

El 18 de julio, la **entidad deportiva vizcaína Erandioko Txirrindulari Elkarte**, con motivo de su 25 aniversario organizó un espectacular evento deportivo, lúdico, festivo y solidario a beneficio de nuestra fundación.

Un total de **200 bicicletas de spinning** dispuestas entre Getxo y Portugalete, junto al emblemático Puente de Vizcaya y que, gracias al pedaleo de todos los participantes, fueron capaces de generar la energía necesaria para iluminar el puente que une los dos márgenes de la ría.

Se realizaron turnos de 45 minutos, dirigidos por expertos monitores desde las 10.00 horas del mediodía hasta las 24.00 horas de la noche.

Deporte y solidaridad fueron de la mano. El objetivo era deslumbrar a los espectadores,

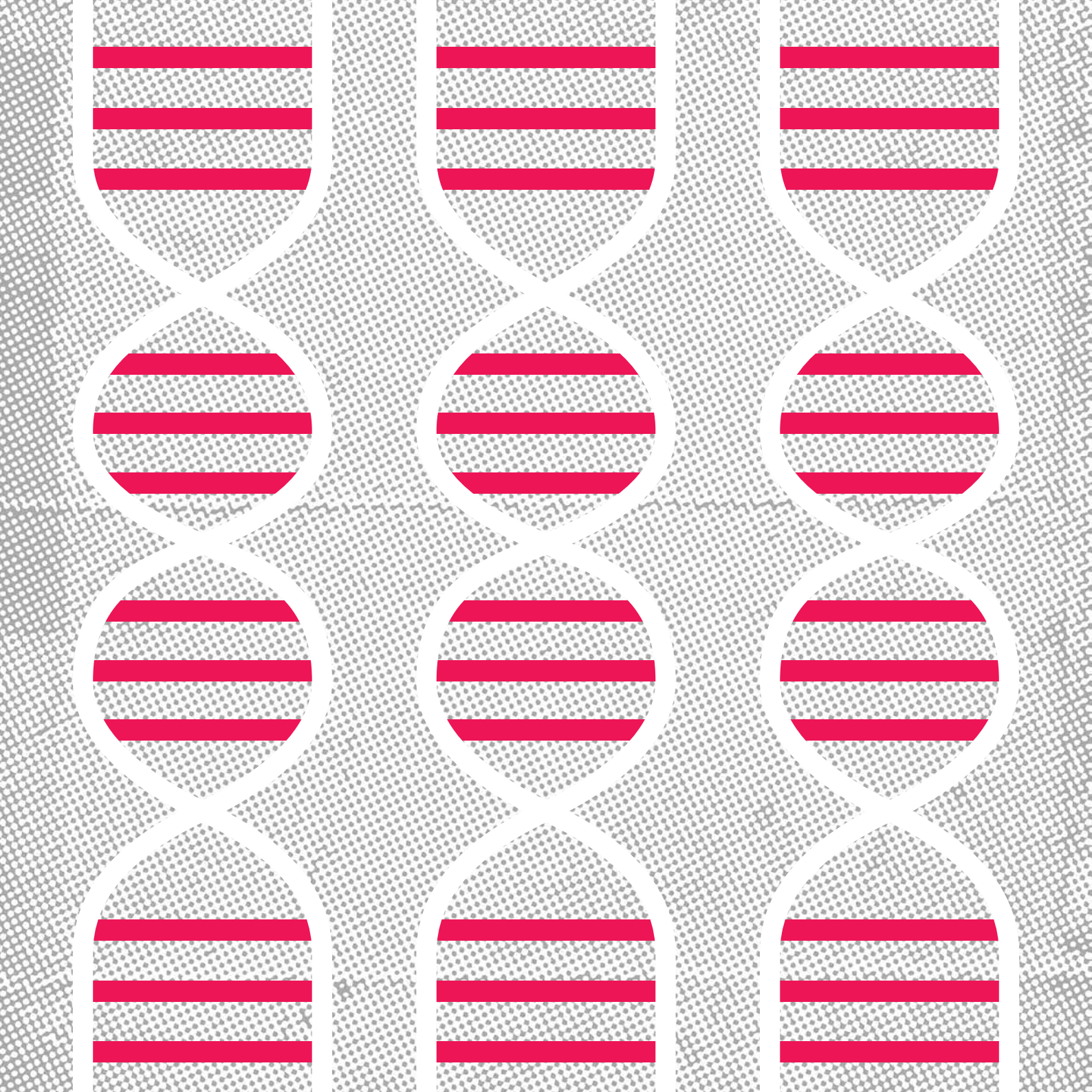
que tratarán de competir para saber qué margen aporta más energía, dando visibilidad a nuestra fundación.

Más de 5.500 metros de luces 'led' dispuestas en la estructura colgante y gracias a las pedaladas de más de 2.000 personas que participaron en el evento, permitió iluminar el puente.

El evento contó con el **patrocinio de "El Correo"** y con el **apoyo de los ayuntamientos de Getxo, Portugalete y Erandio**.

El símbolo de la ría, que además está declarada Patrimonio de la Humanidad por la Unesco, brilló más que nunca y el resultado no pudo ser más espectacular. Sana competición entre ambos márgenes de la ría para conseguir **una donación de 17.157€**





www.stopsanfilippo.org



STOP SANFILIPPO
FUNDACIÓN