



## CONTACTER LA FONDATION TO CONTACT THE FOUNDATION

### FONDATION SANFILIPPO SUISSE SANFILIPPO FOUNDATION SWITZERLAND

2, rue de Jargonnant  
1207 Genève  
Tél : 022 700 1822  
Site : [www.fondation-sanfilippo.ch](http://www.fondation-sanfilippo.ch)

### PERSONNES DE CONTACTS – CONTACT PERSONS

#### Frédéric Morel

Président-Fondateur - [President-Founder](#)

☎ +41 79 837 7809

✉ [frederic.morel@fondation-sanfilippo.ch](mailto:frederic.morel@fondation-sanfilippo.ch)

#### Anais Di Nardo

Membre du conseil de Fondation - [Board member](#)

☎ +41 79 648 4827

✉ [anais.dinardo@fondation-sanfilippo.ch](mailto:anais.dinardo@fondation-sanfilippo.ch)

#### Isabelle Costes

Directrice - [Director](#)

☎ +41 79 751 9300

✉ [isabelle.costes@fondation-sanfilippo.ch](mailto:isabelle.costes@fondation-sanfilippo.ch)



### FAIRE UN DON – TO MAKE A DONATION

Compte bancaire UBS - [UBS bank account](#)  
CH56 0024 0240 6121 5300 N

Compte postal - [Postal account](#)  
CCP-10-185368-3

## SOMMAIRE SUMMARY

|   |       |
|---|-------|
| Le mot du Président<br>The President's note                               | p. 4  |
| La Fondation Sanfilippo Suisse<br>The Sanfilippo Foundation Switzerland   | p. 6  |
| La maladie de Sanfilippo<br>The Sanfilippo disease                        | p. 8  |
| 10 ans d'engagement et de combat<br>10 years of engagement and commitment | p. 10 |
| La recherche scientifique<br>The scientific research                      | p. 13 |
| Les actions de la Fondation<br>The Foundation's actions                   | p. 20 |
| Le rapport financier<br>The financial report                              | p. 27 |
| Les remerciements<br>The acknowledgements                                 | p. 35 |

## LE MOT DU PRÉSIDENT

Le 26 Aout 2008, nous apprenions que notre fille Charlotte était atteinte de la maladie de Sanfilippo. Nous apprenions par la même occasion que cette maladie dégénérative était incurable et n'accordait qu'une durée de vie extrêmement limitée.

Comment trouver un traitement contre une maladie génétique rare caractérisée par la déficience d'une enzyme ayant comme conséquence de limiter la capacité d'un enfant à apprendre, parler, marcher et interagir avec son entourage au-delà de l'âge de 4 ans ? Vers 8 ans, la déficience de cette enzyme indispensable entraîne une accumulation de substrat que l'enfant ne parvient pas à éliminer. La progression des facultés intellectuelles va alors s'atténuer jusqu'à se stopper définitivement.

Comment admettre que son enfant va perdre totalement son autonomie et devenir à la merci de la moindre bactérie ?

Comment ne pas réagir quand on sait que son enfant a peu de chances de souffler ses 20 bougies ?

Nous ne pouvions nous résoudre à accepter l'inacceptable. Nous avons décidé de nous battre. C'est ainsi que nous avons créé la Fondation Sanfilippo Suisse ayant pour but de soutenir la recherche et tenter de trouver un traitement pour Charlotte, et plus largement pour tous les enfants victimes de cette terrible maladie.

Voilà 10 ans que nous luttons.

Grâce à votre précieux soutien, 8 programmes de recherche ont été financés dont un très prometteur actuellement au stade d'essai clinique. Ces phases d'essais sont le chemin obligatoire pour tester l'efficacité du traitement et pour s'assurer que les enfants le supportent. C'est aussi une étape indispensable avant l'éventuelle commercialisation permettant l'accès à tous du traitement tant attendu.

Ce traitement potentiel ne pourra néanmoins traiter que les plus jeunes enfants encore à un stade précoce de la maladie. Malheureusement, Charlotte, 15 ans aujourd'hui, a dépassé ce stade. Il reste cependant une lueur d'espoir pour les parents d'enfants plus jeunes, comme ceux de Liam dont la maman a rejoint le Conseil de Fondation cette année.

Nous ne réussissons peut-être pas à sauver Charlotte mais, grâce à vous, la recherche a beaucoup progressé et nous espérons que les enfants des générations futures pourront bénéficier des progrès accomplis. Le traitement est proche, c'est pour cela que nous avons, plus que jamais, encore besoin de vous et votre soutien.

Je tiens à remercier tous celles et ceux, donateurs, sponsors, partenaires, bénévoles et amis qui sont à nos côtés depuis la création de la Fondation. Vous nous donnez les moyens, le courage et la force de combattre la maladie.

Ensemble pour vaincre Sanfilippo !

Frédéric Morel



**Président et Fondateur  
de la Fondation Sanfilippo Suisse**

On the 28th of August 2008, we learned that our daughter Charlotte was suffering from the Sanfilippo disease. At the same time, we discovered that this disease was not curable and that it implied a very limited life expectancy for the child.

How could we then find a cure against a rare genetic disease characterized by the deficiency of an enzyme that limits the capacity of our child to learn, speak, walk and interact with her environment beyond 4 years old? When the child reaches 8 years, the deficiency of this essential enzyme causes an accumulation of substrate that the child cannot eliminate anymore. This diminishes the progress of any intellectual ability, until completely stopping at the age of 8.

How does accept the fact that our child will completely lose her autonomy and be at the mercy of any bacteria?

How could we not react knowing that our child would have little chance of ever blowing her 20 candles?

We could not accept the unacceptable. We decided to fight. We therefore created the Sanfilippo Foundation Switzerland whose goals are to raise funds to finance research and find a cure for Charlotte but also for all the children victims of this terrible disease.

We have been fighting for the past 10 years.

Thanks to your precious support, 8 research programs have been funded to date, including one very promising still at clinical trial stage. These trials are the mandatory path to determine whether the treatment works and how children react to it. It is also an essential step before going to market and providing all the children with a possible cure.

Unfortunately, this treatment will only be able to cure the evolution for the younger children, still at an early stage of the disease. Unfortunately, Charlotte, 15 years old today, is beyond this stage. There remains, however, a beautiful hope for the parents of younger children, such as Liam, whose mother joined the Board of the Fondation this year.

We may not be able to save Charlotte but, thanks to you, the research has progressed a lot and we hope that the children of future generations will be able to benefit from the progress made. Finding a treatment is very close now and we need your support more than ever.

I want to thank all of the donors, sponsors, partners, volunteers and friends who have been with us since the creation of the Foundation. You give us the means, the courage and the strength to fight the disease.

Together we will defeat Sanfilippo!

Frédéric Morel



**Founder and President  
Sanfilippo Foundation Switzerland**

# LA FONDATION SANFILIPPO SUISSE

## THE SANFILIPPO FOUNDATION SWITZERLAND

Constituée le 21 novembre 2008, la Fondation Sanfilippo Suisse est une fondation de droit privé, à but non lucratif, bénéficiant d'une exonération d'impôts et reconnue d'utilité publique. Elle est inscrite au Registre du commerce et placée sous la surveillance du Département fédéral de l'intérieur, à Berne.

### LES MISSIONS

- Favoriser, développer, financer et promouvoir toute action de recherche scientifique visant à apporter des solutions thérapeutiques efficaces aux enfants atteints de mucopolysaccharidose.
- Mener une campagne active de sensibilisation afin de faire connaître et reconnaître la problématique des maladies rares, plus particulièrement la maladie de Sanfilippo.

### LES VALEURS

- Expertise et engagement scientifique
- Confidentialité des données
- Conditions contractuelles des financements octroyés
- Acquisition des droits de brevets des travaux financés

Founded on November 21st 2018, the Sanfilippo Foundation Switzerland is a non non-profit, private law foundation benefiting from a tax exemption and recognized as being of public utility. It is registered in the Commercial Register and placed under the supervision of the Federal Department of the Interior, in Berne.

### THE MISSIONS

- To promote, develop, fund and support scientific research aimed at providing effective therapeutic solutions for children with mucopolysaccharidosis.
- To lead an active campaign to raise awareness and recognition with regards to the issue of rare diseases, and more specifically the Sanfilippo disease.

### THE VALUES

- Expertise and scientific commitment
- Data confidentiality
- Contractual conditions for all grants
- Acquisition of patent rights for financed works

# L'ORGANISATION – THE ORGANISATION

## MARRAINE ET PARRAINS | HONORARY PATRONS



Madame Micheline Calmy-Rey, Pr Stylianos E. Antonarakis, M. Julien Lyon

## CONSEIL DE FONDATION | FOUNDATION BOARD



Me Arnaud Cywie, Mme Corinne Féry-von Arx, Me Stéphanie La Roche, Me Emmanuel Leibenson, M. Frédéric Morel, Mme Anaïs di Nardo, Mme Natascha Siegrist

### COMITÉ D'ACTION ACTION COMMITTEE

Mme Enrica van Caloen  
Mme Christine Chavanon  
Mme Shaza Gahiga  
Mme Audrey Gorse  
Mme Isabelle Lavizzari  
Mme Arlette Marcos  
Mme Virginie Soulié  
Mme Benedetta Spinola

### BUREAU DE LA FONDATION FOUNDATION'S OFFICE

Mme Isabelle Costes  
Mme Marie Galtié

### COMITÉ SCIENTIFIQUE SCIENTIFIC COMMITTEE

Dre Danielle Bertola Reymond  
Dr Armand Bottani  
Dre Susan Hill  
Dr Nicolas Lantz

### ORGANE DE RÉVISION STATUTORY AUDITOR

Moore Stephens Refidar SA

### ORGANE DE SUPERVISION SUPERVISION OF THE SWISS CONFEDERATION

Département fédéral de l'intérieur  
Surveillance des Fondations

# LA MALADIE DE SANFILIPPO



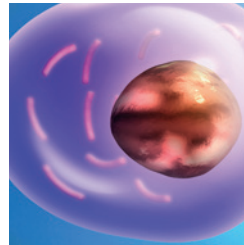
La maladie de Sanfilippo ou syndrome de Sanfilippo est une maladie génétique rare qui touche les enfants dès leur petite enfance.

La maladie de Sanfilippo porte le nom du Dr Sylvester Sanfilippo qui en a décrit les conditions en 1963. Il s'agit d'une mucopolysaccharidose de type III (MPS III).

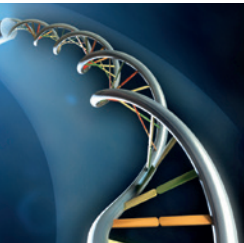
La maladie de Sanfilippo est subdivisée en 4 sous-types selon le déficit enzymatique impliqué :



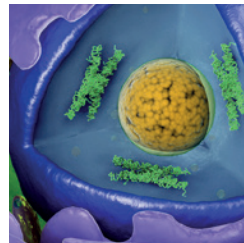
**MPS III sous-type A**  
déficit de l'héparane N-sulfatase  
ou N-sulfoglucosamine  
sulfohydrolase (SGSH)



**MPS III sous-type B**  
déficit de l'alpha-N-acétyl-  
glucosaminidase (NAGLU)



**MPS III sous-type C**  
déficit de l'alpha-  
glucosaminide  
N-acétyltransférase (HGSNAT)



**MPS III sous-type D**  
déficit de la N-acétyl-  
glucosamine-6-sulfatase  
(GNS)

Dans le cadre de la MPS III A, la déficience d'une des 4 protéines digestives (enzyme) conduit à l'accumulation du sulfate d'héparane dans des compartiments cellulaires appelés lysosomes. Le sulfate d'héparane est une molécule qui appartient à la famille des mucopolysaccharides qui sont d'une importance capitale pour le fonctionnement cellulaire normal.

Le sulfate d'héparane s'accumule principalement dans les cellules du cerveau. Cette accumulation se traduit par une atteinte très forte du système nerveux conduisant les enfants atteints à un décès prématuré survenant avant l'âge de 20 ans.

Le mode de transmission est autosomique récessif pour les 4 sous-types.



# THE SANFILIPPO DISEASE

Dr Sylvester Sanfilippo,  
pédiatre et chercheur  
pediatrician and researcher

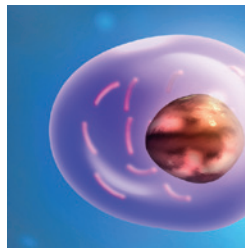
Sanfilippo's disease or Sanfilippo syndrome is a rare genetic disorder that affects children from their early childhood.

The Sanfilippo disease is named after Dr. Sylvester Sanfilippo who described its conditions in 1963. It is a mucopolysaccharidose type III (MPS III).

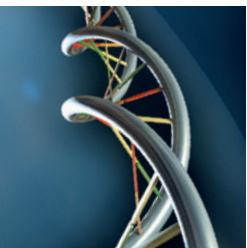
Sanfilippo's disease is subdivided into 4 subtypes according to the enzyme deficit involved:



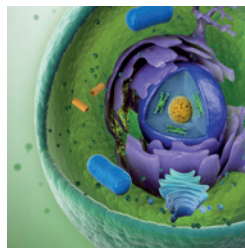
**MPS III subtype A**  
heparan N-sulfatase  
or N-sulfoglucosamine  
sulfohydrolase (SGSH)  
deficiency



**MPS III subtype B**  
alpha-N-acetyl-  
glucosaminidase deficiency  
(NAGLU)



**MPS III subtype C**  
alpha-glucosaminide  
N-acetyltransferase  
(HGSNAT) deficiency



**MPS III subtype D**  
deficiency of N-acetyl-  
glucosamine-6-sulfatase  
(GNS)

In the context of MPS III A, deficiency of one of the 4 digestive proteins (enzymes) leading to the accumulation of heparan sulfate in cell compartments called lysosomes. Heparan sulfate is a molecule that belongs to the family of mucopolysaccharides that are of paramount importance for normal cellular function.

Heparan sulfate accumulates mainly in brain cells. This accumulation results in a very strong attack of the nervous system leading the children affected to a premature death occurring before the age of 20 years.

The mode of transmission is autosomal recessive for the 4 subtypes.

# 10 ANS D'ENGAGEMENT ET DE COMBAT



## 2008-2017

Organisation de 8 événements caritatifs (7 galas brunchs et 1 concert).

Organization of 8 charity events (7 galas brunches and 1 concert)



## 2008-2018

Création de 11 campagnes de sensibilisation sur les Transports publics genevois (TPG) et dans les parkings Manor-Vésenaz et Nations.

Creation of 11 public awareness campaigns on Geneva Public Transport (TPG) and Manor-Vesenaz and Nations car parks.



## 2010

La Fondation est cofondatrice de ProRaris, l'Alliance des Maladies Rares en Suisse.  
The Foundation cofounded ProRaris, The Alliance for Rare Diseases in Switzerland.



## 2011

Organisation de la 1ère conférence internationale sur les mucopolysaccharidose (MPS) en Suisse.

Soutien à la réalisation d'un film documentaire intitulé « Les enfants de Sanfilippo ».

Organization of the 1st international conference on Mucopolysaccharidosis (MPS) in Switzerland.  
Support for the realisation of a documentary film entitled « The children of Sanfilippo ».



# 10 YEARS OF ENGAGEMENT AND COMMITMENT



## 2013

Publication du livre « Noé et Noa » afin de sensibiliser les enfants à la problématique de la différence et du handicap.  
 Publication of the book « Noé and Noa » in order to make children aware of the problem of difference and disability.



## 2014-2015

Présentation du livre « Noé et Noa » dans une centaine de classes de primaires dans le canton de Genève.  
 Presentation of the book « Noé and Noa » in a hundred primary classes in Geneva Canton.



## 2015

Organisation de la 2<sup>e</sup> conférence internationale sur « La maladie de Sanfilippo et les maladies apparentées de surcharge lysosomale. »  
 Organization of the 2<sup>nd</sup> international conference on « Sanfilippo disease and related lysosomal storage diseases ».



## 2017

Refonte du site Internet de la Fondation.  
 Redesign of the website.

# QUELQUES CHIFFRES CLÉS

## SOME KEY FIGURES



**+ 8 millions CHF**

investis dans la recherche  
invested in research



**8**

programmes de recherche soutenus  
research programs supported



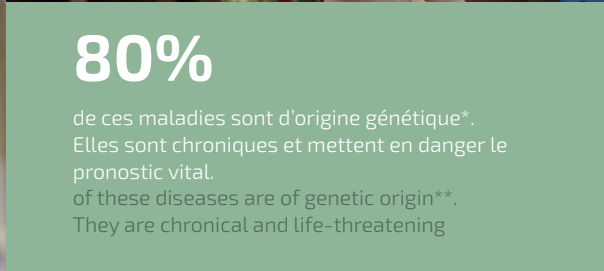
**+160'000 vues**

sur YouTube du film « Les enfants de Sanfilippo » financé par la Fondation Sanfilippo et la Loterie Romande.  
on YouTube of the movie « Children of Sanfilippo » financed by the Sanfilippo Foundation Switzerland and Loterie Romande.



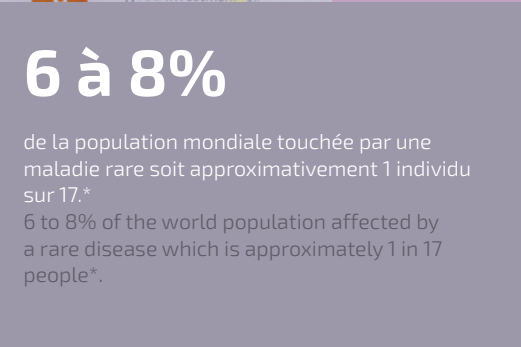
**6'000 à /to 8'000**

maladies rares répertoriées\*.  
rare diseases indexed\*.



**80%**

de ces maladies sont d'origine génétique\*.  
Elles sont chroniques et mettent en danger le pronostic vital.  
of these diseases are of genetic origin\*\*.  
They are chronic and life-threatening



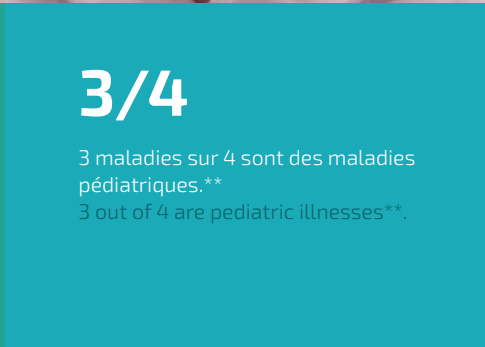
**6 à 8%**

de la population mondiale touchée par une maladie rare soit approximativement 1 individu sur 17.\*  
6 to 8% of the world population affected by a rare disease which is approximately 1 in 17 people\*.



**30 millions**

millions de personnes atteintes en Europe dont 580'000 en Suisse\* et 3M en France.\*\*  
30 million people in Europe affected including 500'000 in Switzerland\* and 3M in France\*\*.



**3/4**

3 maladies sur 4 sont des maladies pédiatriques.\*\*  
3 out of 4 are pediatric illnesses\*\*.

## **LA RECHERCHE SCIENTIFIQUE** **THE SCIENTIFIC RESEARCH**

Il n'existe à ce jour que des traitements symptomatiques pour la maladie de Sanfilippo, traitements dont l'efficacité varie en fonction du patient. Il est donc important de poursuivre, dans la durée, le soutien des programmes prometteurs.

To date, there are only symptomatic treatments for Sanfilippo's disease, treatments whose effectiveness varies according to the patient. It is therefore important to continue to support promising programs over time.

### **APPEL D'OFFRE**

LA FONDATION SANFILIPPO SUISSE REITERE SON APPEL D'OFFRE, POUR UN SOUTIEN DURABLE, A DES PROGRAMMES DE RECHERCHE PROMETTEURS AXES SUR UNE APPROCHE THERAPEUTIQUE POUR LA MALADIE DE SANFILIPPO (MPS III).

### **CALL FOR OFFER**

THE SANFILIPPO FOUNDATION SWITZERLAND REITERATES ITS CALL FOR SUPPORT FOR SUSTAINABLE SUPPORT TO PROMISING RESEARCH PROGRAMS BASED ON A THERAPEUTIC APPROACH TO SANFILIPPO'S DISEASE (MPS III).

## LA RECHERCHE SCIENTIFIQUE THE SCIENTIFIC RESEARCH

### LA THÉRAPIE CHAPERON DÉVELOPPÉE PAR DORPHAN S.A. THE CHAPERONE THERAPY DEVELOPED BY DORPHAN S.A.

Fondée en 2011 par la Fondation Sanfilippo Suisse et le docteur Stéphane Demotz, DORPHAN SA poursuit la recherche et le développement de candidats médicaments pour des maladies génétiques rares et orphelines.

Au cours de 2018, DORPHAN SA a concentré ses efforts sur trois aspects du développement du candidat clinique DO-10 pour le traitement de la gangliosidose GM1 et de la mucopolysaccharidose IVB :

- En collaboration avec le Prof. Tim Wood du Greenwood Genetic Center (Caroline du Sud, USA) et la Prof. Maria Fuller du Children's Hospital (Adélaïde, Australie), il a été établi que le traitement de cellules de patients avec DO-10 conduit à une diminution importante de l'accumulation pathologique de substrats de la beta-galactosidase, l'enzyme faisant défaut chez les patients.
- Avec le Prof. Katsumi Higaki de l'Université de Tottori et le Prof. Osamu Suzuki de l'Université d'Osaka (Ja-pon), DORPHAN SA a pu évaluer l'activité pharmacologique de DO-10. Un traitement par voie orale de deux semaines avec le composé a conduit à une augmentation significative de cette activité dans plusieurs organes, comme le foie et les reins.
- Afin de mettre en place l'évaluation clinique de DO-10 chez des enfants souffrant de gangliosidose GM1, un dossier de demande d'autorisation de phase clinique aux agences sanitaires, l'EMA en Europe et la FDA aux USA, a été préparé. Il a s'agit de réunir toutes les informations concernant les travaux effectués avec DO-10, en particulier de traduire du japonais les rapports précliniques et cliniques publiés par une compagnie pharmaceutique japonaise lors du développement de DO-10 pour son utilisation dans la maladie de Duchenne, entreprise qui n'avait pas abouti dû à l'absence d'activité thérapeutique du composé dans cette indication.

En parallèle, avec le support d'OrphanDev, une plateforme publique-privée de l'Université de Marseille, une demande de désignation orpheline pour DO-10 dans le traitement de la gangliosidose GM1 a été préparée et soumise à l'EMA. Cette démarche a pour but d'obtenir l'exclusivité de l'utilisation de DO-10 dans cette pathologie, ainsi que le support réglementaire de l'EMA lors des demandes d'autorisation des phases cliniques.

Dans leur ensemble, ces activités ont permis de préparer un dossier indiquant que le composé DO-10 a un potentiel thérapeutique chez des patients souffrant de gangliosidose GM1 et que les résultats obtenus jusqu'à présent autorisent, d'un point de vue réglementaire, de commencer une phase clinique chez des patients.



**CHF 4'795'417.-**  
Subvention totale depuis 2013  
Total grant since 2013

**Subvention 2018 | Grant 2018**  
CHF 900'000.-

**Founded in 2011 by the Sanfilippo Foundation Switzerland and Dr Stéphane Demotz, DORPHAN SA pursues the research and development of drug candidates for rare and orphan genetic diseases.**

During 2018, DORPHAN SA focused its efforts on three aspects of the development of the DO-10 clinical candidate for the treatment of Gangliosidose GM1 and mucopolysaccharidosis IVB:

- In collaboration with Prof. Tim Wood of the Greenwood Genetic Center (South Carolina, USA) and Prof. Maria Fuller of the Children's Hospital (Adelaïde, Australie), it has been established that the treatment of patient cells with DO-10 leads to a significant decrease in the pathological accumulation of beta-galactosidase, the enzyme that is lacking in patients.
- With Prof. Katsumi Higaki of Tottori University and Prof. Osamu Suzuki of Osaka University (Japan), DORPAHN S.A. was able to evaluate the pharmacological activity of DO-10. Two weeks of oral treatment with the compound led to a significant increase in this activity in several organs, such as the liver and kidneys.

- In order to implement the clinical evaluation of DO-10 in children with gangliosidosis GM1, a clinical phase application file for health agencies, the EMA in Europe and the FDA in the USA, has been prepared. The aim is to gather all the information concerning the work done with DO-10, in particular to translate from Japanese the preclinical and clinical reports published by a Japanese pharmaceutical company during the development of DO-10 for its use in the Duchenne disease, an unsuccessful business due to the lack of therapeutic activity of the compound in this indication.

In parallel, with the support of OrphanDev, a public-private platform of the University of Marseille, a request for orphan designation for DO-10 in the treatment of gangliosidosis GM1 was prepared and submitted to the EMA. This approach aims to obtain the exclusive use of DO-10 in this pathology, as well as the regulatory support of the EMA during authorization requests for clinical phases.

As a whole, these activities have led to the preparation of a dossier indicating that the DO-10 compound has therapeutic potential in patients with gangliosidosis GM1 and that the results obtained so far allow, from a regulatory point of view, to start a clinical phase in patients.

## LA RECHERCHE SCIENTIFIQUE THE SCIENTIFIC RESEARCH

### LA THÉRAPIE GÉNIQUE CONDUITE PAR ABEONA THERAPEUTICS INC. THE GENE THERAPY CONDUCTED BY ABEONA

**Abeona Therapeutics Inc. est une société biopharmaceutique de stade clinique axée notamment sur le développement de thérapies géniques pour le traitement de maladies génétiques rares menaçant le pronostic vital.**

En 2018, Abeona Therapeutics a poursuivi ses essais cliniques de thérapie génique pour les patients atteints de MPS III A et MPS III B aux Etats-Unis, en Europe et en Australie. Les MPS III A et MPS III B sont caractérisés par un trouble génétique dû à la dégradation d'une molécule de sucre appelé le sulfate d'héparane, ceci en raison d'un gène défectueux.

ABO-102 est une thérapie génique qui utilise un système basé sur le virus adénovirus (AAV) afin de délivrer la version correcte du gène défectueux et rééquilibrer ainsi le métabolisme du sulfate d'héparane.

Au cours de l'essai, les patients sont répartis en trois groupes pour recevoir une injection intraveineuse unique d'ABO-102 à faible dose, à dose moyenne ou à forte dose.

Les résultats préliminaires ont montré qu'ABO-102 peut induire une diminution du sulfate d'héparane dans les urines et dans le liquide céphalo-rachidien.

Abeona a signalé qu'ABO-102 stabilisait voire améliorait la fonction cognitive à 6 mois dans le groupe à dose moyenne et à un an dans le groupe à faible dose. Les chercheurs ont également relevé des signaux neurocognitifs encourageants chez les patients traités plus jeunes et moins affectés par la maladie qui ont reçu la plus forte dose.

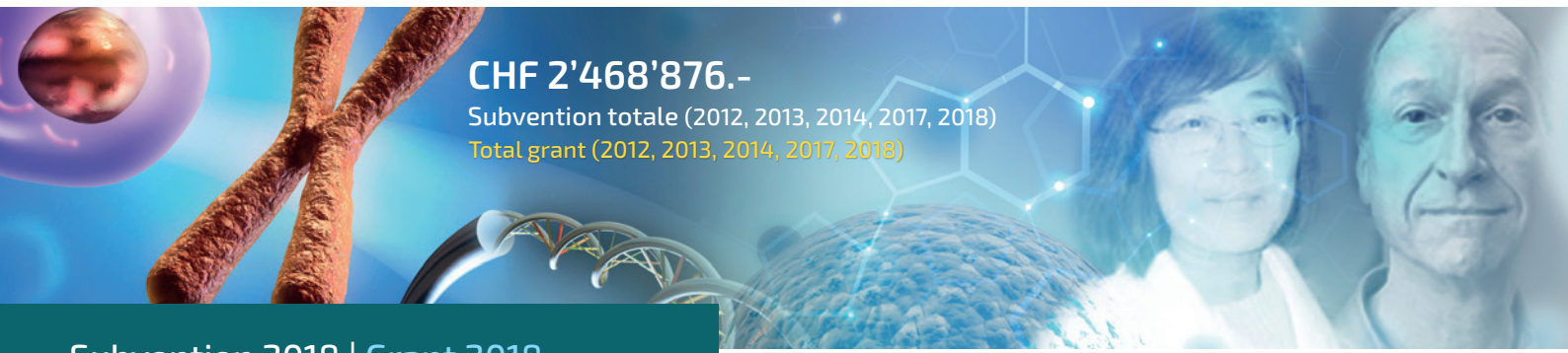
La société envisage à présent de modifier la conception initiale de l'essai pour y inclure des patients atteints de MPS III A à un stade précoce de la maladie.

Parallèlement à l'essai clinique décrit ci-dessus, Abeona a annoncé en septembre 2018 avoir reçu l'autorisation de procéder à un essai clinique de phase 1/2 en Espagne pour le produit de thérapie génique ABO-101 expérimentale pour les patients atteints de MPS III B.

L'étude clinique a, en effet, été approuvée par l'Agence Espagnole des Médicaments et des Produits de Santé (AEMPS) et se déroulera à l'Hôpital Universitaire de Saint Jacques de Compostelle, en Espagne. Abeona prévoit d'ajouter des sites cliniques dans trois pays européens parmi lesquelles la France, l'Allemagne et le Royaume-Uni.

Il est prévu que les participants à l'essai de phase 1/2 reçoivent une seule injection en intraveineuse d'ABO-101 et qu'ils soient suivis à différents moments pour évaluer l'efficacité du traitement.





**CHF 2'468'876.-**

Subvention totale (2012, 2013, 2014, 2017, 2018)

Total grant (2012, 2013, 2014, 2017, 2018)

**Subvention 2018 | Grant 2018**

**CHF 389'111.-**

**Abeona Therapeutics Inc. is a clinical-stage biopharmaceutical company focused on the development of gene therapies for the treatment of life-threatening rare genetic diseases.**

In 2018, Abeona Therapeutics continued clinical trials of gene therapy for MPS III A and MPS III B patients in the United States, Europe and Australia. MPS III A and MPS III B are characterized by a genetic disorder due to the degradation of a sugar molecule called heparan sulfate, due to a defective gene.

ABO-102 is a gene therapy that uses an adenovirus (AAV) -based system to deliver the correct version of the defective gene and rebalance the metabolism of heparan sulfate.

During the trial, patients are divided into three groups to receive a single intravenous injection of low-dose, medium- or high-dose ABO-102.

Preliminary results showed that ABO-102 can induce a decrease in heparan sulfate in urines and cerebrospinal fluid.

Abeona reported that ABO-102 stabilized or even improved cognitive function at 6 months in the mid-dose group and at 1 year in the low-dose group. The researchers also found encouraging neurocognitive signals in the younger and less affected patients who received the highest dose. The company is now considering modifying the initial design of the trial to include patients with MPS III A at an early stage of the disease.

In parallel with the clinical trial described above, Abeona announced in September 2018 that it has received approval to conduct a Phase 2 clinical trial in Spain for the ABO-101 experimental gene therapy product for MPS III B patients. .

The clinical study has, in fact, been approved by the Spanish Agency for Medicines and Health Products (AEMPS) and will take place at the University Hospital of Santiago de Compostela, Spain. Abeona plans to add clinical sites in three European countries, including France, Germany and the United Kingdom.

Phase 1/2 trial participants are expected to receive a single intravenous injection of ABO-101 and be followed at different times to evaluate the efficacy of the treatment.

## LA RECHERCHE SCIENTIFIQUE THE SCIENTIFIC RESEARCH

### LA RECHERCHE FONDAMENTALE MENEÉ PAR LE DRE ARIANE DE AGOSTINI AVEC LES HUG ET L'UNIGE - FUNDAMENTAL RESEARCH CONDUCTED BY DR. ARIANE DE AGOSTINI WITH UNIGE AND HUG

**Ce programme de recherche mené dans le laboratoire du Dre de Agostini a pour objectif d'évaluer si l'accumulation du sulfate d'héparane (HS) dans les cellules des patients atteint de mucopolysaccharidose de type III (MPS III ou syndrome de Sanfilippo) peut être réduite par un traitement par des analogues glycanes.**

L'effet de traitement par de tels glycanes est effectué *in vitro* sur la lignée de cellules F9, sélectionnée précédemment pour sa forte synthèse d'HS. L'hypothèse de travail est, que les glycanes vont empêcher l'HS d'entrer dans la voie de l'endosome profond et de la dégradation lysosomale et qu'il sera réacheminé vers la surface de la cellule. Là, l'HS peut être libéré dans l'espace intercellulaire pour être ensuite évacué dans la circulation lymphatique et dans le flux sanguin pour être enfin excrété dans l'urine.

Les HS des cellules F9 ont été marqués avec du soufre radioactif (<sup>35</sup>S-HS) par marquage métabolique et traités par des glycanes puis l'HS a été extrait des cellules et du milieu de culture et purifié par chromatographie, suivant sa taille et sa charge négative. L'HS purifié a été analysé par électrophorèse et par filtration sur gel. Les gels d'électrophorèse ont révélé que certains glycanes produisaient une augmentation des formes d'HS de grande taille dans le milieu de culture alors qu'il induisait une diminution des formes de petite taille dans les extraits cellulaires. L'utilisation de glycanes de petite taille a été également testée

car ils pourraient être plus faciles à utiliser pour un traitement systémique avec un effet sur le cerveau. Ces petits glycanes ont provoqué une augmentation des formes d'HS de petite taille. L'effet de ces petits glycanes devra être confirmé par des expériences supplémentaires. Ces résultats ont conduit à la sélection de deux glycanes de taille 5'000 à 10'000 Daltons pour les expériences suivantes.

Afin d'affiner ces résultats on utilisera des cellules fibroblastiques primaires dérivées de souris déficientes en sulfamidase, modèles de MPS III A qui nous ont été donnés dans le cadre d'une collaboration avec Kim Hemsley et John Hopwood, SAHMRI, Australie.

La caractérisation de ces cellules a montré une importante accumulation d'HS dans l'extrait cellulaire, en comparaison avec la lignée normale contrôle.

Une analyse en immunofluorescence avec le marqueur lysosomal Lamp-1 a montré que ces cellules ont une importante augmentation de la taille des lysosomes. Ces cellules constituent un modèle précieux pour la poursuite des expériences de la caractérisation des effets de glycanes sur le catabolisme des HS.



**CHF 388'890.-**

Subvention totale (2013, 2014, 2015, 2016,2018)

Total grant (2013, 2014, 2015, 2016,2018)

**Subvention 2018 | Grant 2018**

**CHF 150'354.-**

**This research program, conducted in Dr. de Agostini's laboratory, aims to assess whether the accumulation of heparan sulphate (HS) in cells of patients with mucopolysaccharidosis type III (MPS III or Sanfilippo syndrome) can to be reduced by treatment with glycan analogs.**

The effect of treatment with such glycans is carried out in vitro on the F9 cell line, previously selected for its strong synthesis of HS. The working hypothesis is that the glycans will prevent HS to enter the pathway of the deep endosome and of lysosomal degradation but is rerouted to the cell surface. There, the HS can be released into the intercellular space and then released into the lymphatic circulation and into the bloodstream and finally excreted in the urine. The HS of F9 cells were labeled with radioactive sulfur ( $^{35}\text{S}$ -HS) by metabolic labeling and treated with glycans, then HS was extracted from the cells and culture medium and purified by chromatography, depending on its size and its negative charge. The purified HS was analyzed by electrophoresis and gel filtration.

The electrophoresis gels revealed that some glycans produced an increase in large HS forms in the culture medium while inducing a decrease in small size forms in the cell extracts.

The use of small glycans has also been tested as they may be easier to use for systemic treatment with an effect on the brain. These small glycan

caused an increase in small HS shapes. The effect of these small glycan cans will have to be confirmed by additional experiments. These results led to the selection of two glycans of size 5,000 to 10,000 Daltons for the following experiments. In order to refine these results we will use primary fibroblastic cells derived from sulfonamide-deficient mice, models of MPS IIIa that were given to us in collaboration with Kim Hemsley and John Hopwood, SAHMRI, Australia. The characterization of these cells showed a significant accumulation of HS in the cell extract, compared with the normal control line.

Immunofluorescence analysis with the lysosomal marker Lamp-1 showed that these cells have a significant increase in lysosome size. These cells are a valuable model for the continuation of characterization experiments on the effects of glycans on HS catabolism. Subvention totale (2013, 2014, 2015, 2016,2018)

## LES ACTIONS DE LA FONDATION



4ème course solidaire « Race For Gift » à Genève le 27 mai 2018

# THE FOUNDATION'S ACTIONS



4th solidarity « Race for Gift » run event in Geneva, on May 27st 2018

# LES ACTIONS DE LA FONDATION

## LES ÉVÉNEMENTS DE COLLECTE

### LA COURSE SOLIDAIRE «RACE FOR GIFT» THE SOLIDARITY «RACE FOR GIFT» RUN



Pour la 4<sup>ème</sup> année consécutive, la Fondation a participé, aux côtés de 19 autres organisations, à la course solidaire « Race For Gift » qui s'est déroulée sur la Rotonde du Mont-Blanc à Genève le 27 mai 2018. Grâce à nos 35 coureurs et marcheurs, à leurs performances sportives et au généreux soutien de leur réseau, l'édition 2018 fut un immense succès tant au niveau du montant récolté que du nombre de trophées gagnés.

For the 4<sup>th</sup> consecutive year, the Foundation, together with 19 other organizations, took part in the solidarity « Race for Gift » run event, on the Rotonde du Mont-Blanc in Geneva, on May 27<sup>st</sup> 2018. Thanks to our 35 runners and walkers, their athletic performances and the generous support of their network, the 2018 edition was a huge success both in terms of the amount raised and the number of trophies won.



Montant récolté | Amount raised  
CHF 46'175.-



35 coureurs/marcheurs | runners/walkers



5 trophées | trophies

Trophées des plus importantes collectes de dons dans les catégories organisation, accompagnant et collecteur  
Trophies of the most important donations in the categories organization, accompanying and collector.  
Vainqueur coureur pour les 5km et 10km dans la catégorie masculine et féminine  
Winner of the 5km and 10km runner in the men's category and in the ladies' category.

### LE CROSS-FIT THE CROSS-FIT



Le soleil était au rendez-vous le week-end du 28-29 juillet pour le cross-fit organisé au stade des Cherpines, à Plan-Les-Ouates. De nombreux athlètes se sont affrontés lors de cette compétition annuelle organisée en faveur de la Fondation.

The sun was shining on the weekend of 28-29<sup>th</sup> July for the cross-fit held at the Cherpines stadium in Plan-Les-Ouates. Many athletes competed at this annual competition for the Foundation.



Montant récolté | Amount raised  
CHF 521.-

## THE FOUNDATION'S ACTIONS THE FUNDRAISING EVENTS

### LA VENTE DE PATISSERIES SALE OF PASTRIES



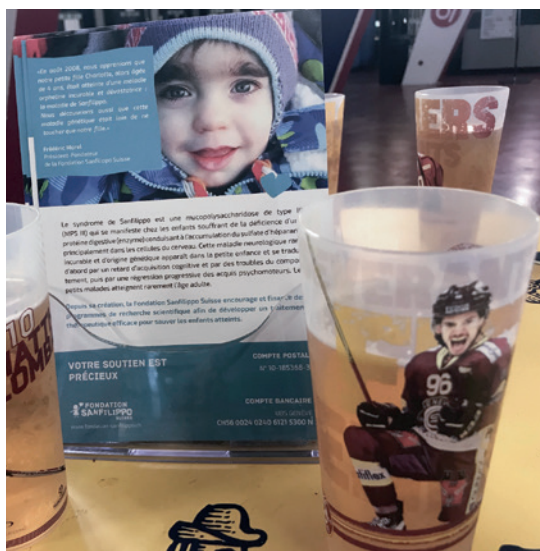
Le 6 octobre, un stand de vente de nourriture a été tenu devant le centre commercial de Meyrin offrant ainsi une pause gourmande aux clients mais aussi une belle occasion de soutenir la Fondation. Au menu, vente de gâteaux, de tartes sucrées et salées.

On October 6th, a food sales stand was held in front of the Meyrin shopping center, offering a gourmet break for customers as well as a great opportunity to support the Foundation. On the menu, sale of cakes, pies sweet and salty.



Montant récolté | Amount raised  
CHF 1'229.-

### LA MISE A L'HONNEUR AU GENEVE SERVETTE HOCKEY CLUB (GSHC) - HONORING BY THE GENEVA SERVETTE HOCKEY CLUB (GSHC)



La cause des enfants Sanfilippo a été mise à l'honneur lors du match GSHC contre HC Davos qui s'est déroulé le 19 octobre au stade des Vernets. Le petit Liam, accompagné de sa maman, a donné le coup d'envoi de ce match rassemblant plus de 6'000 personnes qui ont été sensibilisées à la problématique des maladies rares et plus particulièrement à la maladie de Sanfilippo.

The cause of the Sanfilippo children was highlighted during the GSHC match against HC Davos which took place on October 19th at the Vernets stadium. Little Liam, accompanied by his mother, kicked off the game, bringing together more than 6,000 people who were made aware of the issue of rare diseases and more particularly of Sanfilippo's disease.



Montant récolté | Amount raised  
CHF 1'857.-

## LES ACTIONS DE LA FONDATION

### LES ACTIONS SOLIDAIRES - THE SOLIDARITY ACTIONS

#### LA SUBVENTION POUR LA FONDATION CLAIR BOIS - THE CLAIR BOIS FOUNDATION GRANT



La Fondation a participé, pour un montant de CHF 8'000.- au financement de moules de cuisine permettant d'améliorer la qualité et la présentation des repas des enfants qui mangent de la nourriture mixée.

The Foundation has contributed CHF 8'000.- to the funding of kitchen molds to improve the quality and presentation of meals for children who eat mashed food.

#### LA SUBVENTION POUR LA FONDATION DES ENFANTS EXTRAORDINAIRES THE EXTRAORDINARY CHILDREN FOUNDATION GRANT



Une subvention de CHF 50'000.- a été versée à la Fondation pour les Enfants Extraordinaires dont la mission est de dispenser des aides pluridisciplinaires aux enfants présentant des troubles de développement.

A grant of CHF 50'000.- has been given to the Foundation for Extraordinary Children, whose mission is to provide multidisciplinary support to children with developmental disabilities.



## THE FOUNDATION'S ACTIONS LES ACTIONS DE VISIBILITÉ - THE VISIBILITY ACTIONS

**LA CAMPAGNES D’AFFICHAGE** sur les Transports Publics Genevois (TPG)  
**THE ADVERTISING CAMPAIGNS** on Geneva Public Transport (TPG)



Poursuivant sa mission de sensibilisation aux maladies rares à l'occasion de la Journée internationale des maladies rares célébrée le 28 février, la Fondation a reconduit, du 14 février au 13 mars, la campagne d'affichage sur les TPG.

Cette année, elle a été renforcée par la diffusion d'un diaporama de 20 secondes dans les bus et trams pendant 3 jours, du 26 au 28 février.

Continuing its mission to raise awareness of rare diseases on the occasion of the International Day of Rare Diseases celebrated February 28<sup>th</sup>, the Foundation has renewed, from February 14<sup>th</sup> to March 13<sup>th</sup>, the poster campaign on TPG.

This year, it was reinforced by the broadcast of a 20 second slide show on buses and trams for 3 days, from February 26 to 28.

## LES ACTIONS DE LA FONDATION - THE FOUNDATION'S ACTIONS

### LES ACTIONS DE VISIBILITÉ - THE VISIBILITY ACTIONS

#### LES CAMPAGNES D'AFFICHAGE

dans les parkings Manor-Vésenaz et Nations

#### THE ADVERTISING CAMPAIGNS

in Manor-Vésenaz and Nations Car Park



Ces emplacements publicitaires ont été utilisés 2 fois pour servir de support de communication et de visibilité à la Fondation :

- De février à octobre pour encourager les inscriptions et donations à la course solidaire Race For gift.
- D'octobre à fin janvier 2019 avec un visuel axé sur la réalité de la maladie de Sanfilippo.

These advertising sites have been used twice to serve as communication and visibility support for the Foundation:

- From February to October to encourage registrations and donations to the race for gift race.
- From October to the end of January 2019 with a visual focused on the reality of Sanfilippo's disease.

#### LA PAGE DANS LE PROGRAMME DU POLO CLUB DE VEYTAY (MIES)

#### THE PAGE IN THE VEYTAY POLO CLUB PROGRAM (MIES)



A l'occasion de son tournoi annuel qui s'est déroulé du 15 au 26 août, le Polo Club de Veytay a offert à la Fondation une belle visibilité dans le programme de cet événement en lui permettant d'avoir une pleine page d'information sur la Fondation et la maladie de Sanfilippo.

On the occasion of its annual tournament which took place from August 15<sup>th</sup> to 26, the Polo Club of Veytay offered the Foundation a great visibility in the program of this event by allowing it to have a full page of information on the Foundation and Sanfilippo disease.

**LE RAPPORT FINANCIER**  
**THE FINANCIAL REPORT**



# LE RAPPORT FINANCIER - THE FINANCIAL REPORT

**MOORE STEPHENS**

Rapport de l'organe de révision sur le contrôle restreint  
au Conseil de fondation  
de Fondation Sanfilippo Suisse  
Genève

MOORE STEPHENS REFIDAR SA  
Place Bel-Air 5  
Case postale 1347  
1260 Nyon 1

Tél : +41 (0)58 911 86 00  
Fax : +41 (0)58 911 86 99  
e-mail : [nyon@moorestephens.ch](mailto:nyon@moorestephens.ch)  
[www.moorestephens.ch](http://www.moorestephens.ch)

En notre qualité d'organe de révision, nous avons contrôlé les comptes annuels ci-joints de Fondation Sanfilippo Suisse, comprenant le bilan, le compte de profits et pertes et l'annexe pour l'exercice arrêté au 31 décembre 2018.

As statutory auditor, we have examined the accompanying financial statements of Foundation Sanfilippo Suisse, which comprise the balance sheet, statement of income and notes for the year ended 31 December 2018.

La responsabilité de l'établissement des comptes annuels incombe au conseil de fondation alors que notre mission consiste à contrôler ces comptes. Nous attestons que nous remplissons les exigences légales d'agrément et d'indépendance.

These financial statements are the responsibility of the foundation board. Our responsibility is to perform a limited statutory examination on these financial statements. We confirm that we meet the licensing and independence requirements as stipulated by Swiss law.

Notre contrôle a été effectué selon la Norme suisse relative au contrôle restreint. Cette norme requiert de planifier et de réaliser le contrôle de manière telle que des anomalies significatives dans les comptes annuels puissent être constatées. Un contrôle restreint englobe principalement des audits, des opérations de contrôle analytiques ainsi que des vérifications détaillées appropriées des documents disponibles dans l'entreprise contrôlée. En revanche, des vérifications des flux d'exploitation et du système de contrôle interne ainsi que des audits et d'autres opérations de contrôle destinées à détecter des fraudes ne font pas partie de ce contrôle.

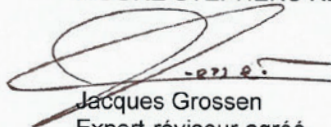
We conducted our examination in accordance with the Swiss Standard on the Limited Statutory Examination. This standard requires that we plan and perform a limited statutory examination to identify material misstatements in the financial statements. A limited statutory examination consists primarily of inquiries of company personnel and analytical procedures as well as detailed testing of company documents as considered necessary in the circumstances. However, the testing of operational processes and the internal control system, as well as inquiries and further testing procedures to detect fraud or other legal violations, are not within the scope of this examination.

Lors de notre contrôle, nous n'avons pas rencontré d'élément nous permettant de conclure que les comptes annuels ne sont pas conformes à la loi suisse et aux statuts de la fondation.

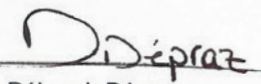
Based on our limited statutory examination, nothing has come to our attention that causes us to believe that the accompanying financial statements do not comply with Swiss law and the foundation's articles of incorporation.

Nyon, le 2 mai 2019

MOORE STEPHENS REFIDAR SA



Jacques Grossen  
Expert-réviseur agréé  
Réviseur responsable



Déborah Dépraz  
Expert-réviseur agréé

Annexe : Comptes annuels

Enclosure : Financial statements

 Membre d'EXPERTsuisse

An independent member firm of Moore Stephens International Limited - members in principal cities throughout the world

# LE RAPPORT FINANCIER - THE FINANCIAL REPORT

## BILAN AU 31 DECEMBRE 2018 - BALANCE SHEET AT 31<sup>ST</sup> DECEMBER 2018

|  | Notes | 31.12.2018<br>CHF | 31.12.2017<br>CHF |
|--|-------|-------------------|-------------------|
| <b>ACTIF - ASSETS</b>  |       |                   |                   |
| Liquidités - <i>Cash and cash equivalent</i>   |       | 3 858 343         | 3 863 274         |
| Titres cotés en bourse - <i>Listed securities</i>                                    | 3     | 0                 | 47 517            |
| <i>Trésorerie à court terme - Cash and cash equivalent</i>                           |       | 3 858 343         | 3 910 791         |
| <i>Autre créances à court terme - Other short-term receivables</i>                   |       | 9 219             | 9 219             |
| <b>Total actif circulant - Total currents assets</b>                                 |       | <b>3 867 562</b>  | <b>3 920 009</b>  |
| Dorphan SA   | 3     | 25 000            | 10 000            |
| <i>Participations - Investments in subsidiaries</i>                                  |       | 25 000            | 10 000            |
| Titres - <i>Shares</i> Minoryx Therapeutics S.L.                                     | 3     | 0                 | 19 051            |
| <i>Immobilisations financières - Financial assets</i>                                |       | 0                 | 19 051            |
| <b>Total actif immobilisé - Total non-current assets</b>                             |       | <b>25 000</b>     | <b>29 051</b>     |
| <b>TOTAL DE L'ACTIF - TOTAL ASSETS</b>   |       | <b>3 892 562</b>  | <b>3 949 060</b>  |
| <b>PASSIF - LIABILITIES</b>  |       |                   |                   |
| Fonds affectés présentation livre Noé et Noa - <i>Affected funds book Noé et Noa</i> | 4     | 4 800             | 4 800             |
| Fonds affectés Site Internet - <i>Affected funds Website</i>                         | 4     | 0                 | 3 120             |
| Fonds affectés pour les programmes de recherches - <i>Affected funds research</i>    | 4     | 586 000           | 1 625 000         |
| Passifs de régularisation - <i>Accrued liabilities</i>                               |       | 7 300             | 8 600             |
| <b>Capitaux étrangers à court terme - Total current liabilities</b>                  |       | <b>598 100</b>    | <b>1 641 520</b>  |
| Capital de dotation - <i>Capital</i>   |       | 100 000           | 100 000           |
| Résultat reporté - <i>Retained earnings</i>  |       | 2 207 540         | -30 866           |
| Résultat de l'exercice - <i>Result of the year</i>                                   |       | 986 922           | 2 238 406         |
| <b>Capitaux propres - Equity</b>   |       | <b>3 294 462</b>  | <b>2 307 540</b>  |
| <b>TOTAL DU PASSIF - TOTAL LIABILITIES</b>   |       | <b>3 892 562</b>  | <b>3 949 060</b>  |

# LE RAPPORT FINANCIER - THE FINANCIAL REPORT

**COMPTE DE PROFITS ET PERTES**  
**du 1<sup>er</sup> janvier au 31 décembre 2018**  
**INCOME STATEMENT**  
**from 1<sup>st</sup> January to 31<sup>st</sup> December 2018**

|   | Notes | 2018<br>CHF       | 2017<br>CHF       |
|---|-------|-------------------|-------------------|
| Dons libres - Donations free funds  |       | 47 419            | 118 070           |
| Subvention - Donations free funds (municipality)  |       | 0                 | 500               |
| Dons affectés à la conférence - Donations funds allocated to conference   |       | 0                 | 0                 |
| Dons provenant de la vente de bracelets (recherche) - Donations resulting from the sale of bracelets (research)       |       | 0                 | 0                 |
| Dons affectés à la recherche déduction des frais d'organisation<br>Donations funds allocated to research              |       | 1 211 766         | 94 991            |
| Contribution de la Loterie Romande affectée au site Internet<br>Donation Loterie Romande - funds allocated to website |       | 3 120             | 6 880             |
| Sponsoring et produits des entrées et de ventes aux enchères<br>Sponsoring and events income                          |       | 0                 | 0                 |
| Produits divers - Various income  |       | 0                 | 118 737           |
| <b>Donations et produits - Donations and incomes</b>  |       | <b>1 262 306</b>  | <b>339 178</b>    |
| <br>  |       |                   |                   |
| Programme Clair Bois - Program Clair Bois   |       | -8 000            | -20 000           |
| Programme Abeona Therapeutics Inc. - Program Abeona Therapeutics Inc.   |       | -389 111          | -1 478 578        |
| Programme Armagen - Program Armagen   |       | -37 289           | 0                 |
| Programme du Dr de Agostini - Program Dr. de Agostini   |       | -150 354          | 0                 |
| Programme Dorphan SA - Program Dorphan SA   |       | -900 000          | -1 450 000        |
| Programme Enfants Extraordinaires - Program Enfants Extraordinaires   |       | -50 000           | 0                 |
| Site Internet - Website   |       | -6 880            | -6 880            |
| Campagne de sensibilisation - Raising awareness   |       | -14 377           | -1 981            |
| <b>Total des programmes soutenus durant l'année</b><br><b>Total supported programs during the year</b>                |       | <b>-1 556 011</b> | <b>-2 957 439</b> |
| <br>  |       |                   |                   |
| Salaires et charges sociales - Salaries and social charges  |       | -108 927          | -96 234           |
| Loyer et frais de bureaux - Office rent and expenses  |       | -20 423           | -17 602           |
| Frais de communications - Communication expenses  |       | -1 015            | -1 374            |
| Honoraires légaux et de révision - Legal and audit fees   |       | -13 272           | -5 967            |
| Honoraires de graphiste - Graphism expenses   |       | -2 188            | -6 428            |
| Publicité et cotisation - Marketing expenses  |       | -7 656            | -317              |
| Autres charges - Other expenses   |       | -2 151            | -386              |
| Taxes et émoluments - Taxes and fees  |       | -1 000            | -531              |
| <b>Total charges d'exploitation - Total operating charges</b>   |       | <b>-156 631</b>   | <b>-128 839</b>   |
| <br>  |       |                   |                   |
| Intérêts bancaires - Bank interests   |       | 3 401             | 1 002             |
| Produits de la vente des titres - Result of sale of shares  |       | 1 382 687         | 5 031 836         |
| Frais bancaires - Bank fees   |       | -1 211            | -39 173           |
| Résultat de change - Exchange result  |       | 52 382            | -8 158            |
| <b>Produits et charges financières</b><br><b>Financial income and charges</b>   |       | <b>1 437 258</b>  | <b>4 985 506</b>  |
| <br>  |       |                   |                   |
| <b>RESULTAT NET DE L'EXERCICE</b><br><b>NET RESULT FOR THE YEAR</b>   |       | <b>986 922</b>    | <b>2 238 406</b>  |

# LE RAPPORT FINANCIER - THE FINANCIAL REPORT

## ANNEXE AUX COMPTES ANNUELS CLOS AU 31 DECEMBRE 2018 - NOTES TO THE FINANCIAL STATEMENTS CLOSED ON 31<sup>ST</sup> DECEMBER 2018

### 1) **Activité de la Fondation - Foundation's activity**

La fondation a été créée le 25 novembre 2008, date d'inscription au registre du commerce. - The Foundation has been created on 25th November 2008, date of registration in the Commercial Register.

L'activité principale de la Fondation, établie à Genève, est de favoriser, développer, financer et promouvoir toute action de recherche scientifique visant à apporter des solutions thérapeutiques efficaces aux enfants atteints de la Mucopolysaccharidose, en particulier de type III, et ce dans les meilleurs délais. - The main activity of the Foundation, stated in Geneva, is to encourage, develop, finance and promote all scientific research aimed to find efficient therapeutic solution for children having mucopolysaccharidosis, in particular type III, and this in the shortest delay.

Les membres du Conseil de Fondation sont les suivants : - Members of the Foundation's Board are:

Morel Frédéric, de Colombier (NE), à Collonge-Bellerive

La Roche Stéphanie, de Genève, à Cologny

Cywie Arnaud, de France, à Genève

Féry-von Arx Corinne, de Lancy, à Messery, F

Leibenson Emmanuel, de Cernier, à Genève

Siegrist-Fischer Natascha, de Rûmikon, à Begnins

### 2) **Principales méthodes comptables - Significant account principles**

Les principales méthodes comptables appliquées pour présenter certains postes des états financiers sont les suivantes : - The principle accounting method applied for the presentation of the financial statements are the following:

#### a) Spécialisation des exercices - Accruals principle

Les produits et les charges sont comptabilisés au fur et à mesure qu'ils sont acquis ou qu'elles sont engagées (et non lors de leur encaissement ou de leur paiement) et enregistrés dans les comptes de la période concernée. - The financial statements are prepared on the annual basis ; thus, income and expenses are accounted for when they are acquired or engaged (and not at the date of payment) and registered into the books of accounts accordingly.

#### b) Participation - Investment in subsidiaries

Les participations sont évaluées à leur coût d'acquisition et la nécessité de comptabiliser une dépréciation est contrôlée chaque année. - Investments in subsidiaries are evaluated at cost and a depreciation test is made on a yearly basis.

### 3) **Participations, immobilisations financières et titres cotés** **Investments, financial fixed assets and listed securities**

## LE RAPPORT FINANCIER - THE FINANCIAL REPORT

|  | 2018 | 2017   |     |        |
|--|------|--------|-----|--------|
|  | CHF  | CHF    |     |        |
| a) Dorphan S.A., ayant son siège à l'EPFL (Lausanne) |      |        |     |        |
| Dorphan S.A., headquarters in EPFL (Lausanne)        | 92%  | 25 000 | 90% | 10 000 |

La société a pour but l'identification, l'acquisition, le développement, la commercialisation et la vente de programmes de recherches pour les maladies rares et orphelines. - The aim of the company is the identification, acquisition, development, marketing and sale of research programs for rare and orphan diseases.

A la clôture 2018, le Conseil de Fondation estime prudent d'amortir la participation dans Dorphan S.A. jusqu'à concurrence des fonds propres de la société au 31.12.2017. Etant donné que, à ce jour, les recherches de Dorphan S.A. n'ont pas encore abouti, la société a uniquement des dépenses. - At the closing, the Board considers as prudent to depreciate the investment in Dorphan S.A. up to the net asset value of the company as at 31.12.2017. Given the fact that, as of today, the researches made by Dorphan S.A. have not produced results the company has only expenses.

|   |    |   |    |        |
|---|----|---|----|--------|
| b) Abeona Therapeutics LLC, ayant son siège à Cleveland (USA) |    |   |    |        |
| Abeona Therapeutics LLC, headquarters in Cleveland (USA)      | 0% | 0 | 0% | 47 516 |

La société a notamment pour but le développement et la commercialisation d'un programme de thérapie génique pour les MPS III A et B. - The company aims are particularly the development and the commercialization of a program of gene therapy for MPS III A and B.

La Fondation a vendu les 65'205 actions qu'elle détenait dans Abeona dans le courant de l'exercice. - During the exercise, the Foundation sold its 65,205 Abeona shares.

|   |    |   |      |        |
|---|----|---|------|--------|
| c) Minoryx Therapeutics S.L., ayant son siège à Barcelone (Espagne) |    |   |      |        |
| Minoryx Therapeutics S.L., headquarters in Barcelona (Spain)        | 0% | 0 | 0.8% | 19 051 |

La société a notamment pour but le développement et la commercialisation d'un programme de chaperons chimiques pour Morquio. - The company aims are the development and commercialization of a program of chemical chaperon for Morquio.

La Fondation a vendu l'ensemble des actions qu'elle détenait dans Minoryx dans le courant de l'exercice dans la mesure où le programme MPS développé par Minoryx a été cédé par un tiers à cette dernière. - The Foundation sold all the shares held in Minoryx during the exercise since Minoryx sold the MPS program the originally developed.



## LE RAPPORT FINANCIER - THE FINANCIAL REPORT

### 4) Variation du poste de réserve au passif du bilan - Movement of the reserve position in liabilities

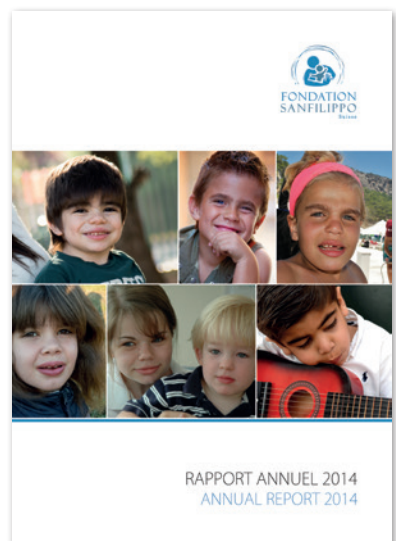
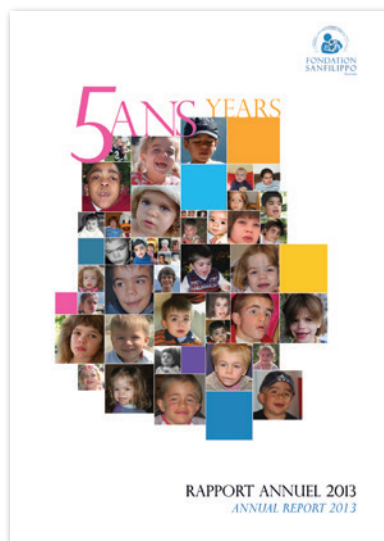
|  | 2018<br>CHF | 2017<br>CHF      |
|--|-------------|------------------|
| <u>Fonds Affectés (Livre Noé &amp; Noa) - Affected funds (Book Noe &amp; Noa)</u>                            |             |                  |
| Report solde réserve au 31 décembre<br>Reported reserve balance as at 31 <sup>st</sup> December              | 4800        | 4800             |
| Soutien au programme durant l'année<br>Support of the program during the year                                | 0           | 0                |
|  | 4800        | 4800             |
| <u>Fonds Affectés (Site Internet) - Affected funds (Website)</u>   |             |                  |
| Report solde réserve au 31 décembre<br>Reported reserve balance as at 31 <sup>st</sup> December              | 3120        | 0                |
| Dons affectés au site - Donation affected to the website<br>Utilisation durant l'année - Use during the year | 0<br>(3120) | 10000<br>(10000) |
|  | 0           | 3120             |
| <u>Fonds Affectés - programmes de recherches - Affected funds research</u>                                   |             |                  |
| Report solde réserve au 31 décembre - Reported reserve balance as at 31 <sup>st</sup> December               | 1625000     | 0                |
| Solde engagement Programme - Balance support program MPS III A Abeona  | (389000)    | 975000           |
| Solde engagement Programme<br>Balance support program GM1 - Dorphan  | (650000)    | 650000           |
|  | 586000      | 1625000          |

### 5) Nombre d'employés en équivalent temps plein - Average number of employees

|   | 2018 | 2017 |
|---|------|------|
| Le nombre d'employés en moyenne annuelle s'élève à :<br>The number of employees in annual average is: | 1    | 1    |

Les autres points de l'annexe selon Art. 959c CO ne s'appliquent pas.  
The other points of the appendix according to Art. 959c CO do not apply.

# ENSEMBLE POUR VAINCRE SANFILIPPO ! TOGETHER WE WILL DEFEAT SANFILIPPO!



## UN IMMENSE MERCI ! A HUGE THANK YOU!

La Fondation Sanfilippo Suisse remercie chaleureusement tous les donateurs, sponsors, partenaires, supporters, bénévoles, amis dont les contributions, l'engagement et la présence ont généreusement soutenu ses activités.

Nous exprimons notre profonde gratitude à tous ceux et celles, anonymes ou non, qui ont fait des dons tout au long de l'année 2018. Par souci de discrétion et de confidentialité, nous avons décidé de ne pas citer les donateurs privés.

The Sanfilippo Foundation Switzerland warmly thanks all donors, sponsors, partners, supporters, volunteers, friends whose contributions, commitment and presence have generously supported its activities.

We express our deep gratitude to all those, anonymous or not, who have made donations throughout the year 2018. For the sake of discretion and confidentiality, we decided not to mention private donors.

---

### ASSOCIATIONS ET FONDATIONS ASSOCIATION & FOUNDATIONS

ASSOCIATION ENFANCE MALADIE ORPHELINE  
FONDATION ALFRED ET EUGÉNIE BAUR  
FONDATION CHARLES ET MICHELLE INDUNI  
FONDATION DE BIENFAISANCE DU GROUPE PICTET  
FONDATION EDMOND ADOLPHE DE ROTHSCHILD  
FONDATION ODÉON  
FONDATION GÉNEVOISE DE BIENFAISANCE VALERIA ROSSI DI MONTELERA  
VAINCRE LES MALADIES LYSOSOMALES

### INSTITUTIONS PUBLIQUES PUBLIC INSTITUTIONS

VILLE DE GENÈVE

### ENTREPRISES COMPANIES

4LOO WEB DESIGN  
BANQUE CANTONALE DE GENEVE  
CAPITAL GROUP  
CHOCOLATS RHOR SA

ÉTUDE BOREL & BARBEY  
GENEVA FITNESS GAMES  
INSTITUT FLORIMONT  
JOLIS MÔMES  
LA COUR DES AUGUSTINS  
M CONCEPT  
MADEMOISELLE JEANNE  
MOORE STEPHENS ET REFIDAR SA  
M'ZO COIFFURE  
NANI'S CAKES  
NAT SERVICES  
PIERRE-ALAIN DUPRAZ ARCHITECTE  
POLO CLUB VEYTAY  
PORTS FRANCS ET ENTREPÔTS DE GENEVE SA  
REMARQ  
SEDELEC  
TPG  
VINIVORE SA

CE RAPPORT ANNUEL A ÉTÉ RÉALISÉ GRÂCE À LA GÉNÉROSITÉ DE MOORE STEPHENS REFIDAR SA.  
THIS ANNUAL REPORT HAS BEEN REALIZED THANKS TO THE GENEROSITY OF MOORE STEPHENS REFIDAR SA.

# MOORE STEPHENS

## REFIDAR SA

audit - comptabilité - fiscalité - family office

Société fiduciaire  
Genève | Lausanne | Nyon