

Jaarverslag Duchenne Parent Project 2015



Inleiding

De Stichting Duchenne Parent Project is een organisatie opgezet door ouders van kinderen met Duchenne Spierdystrofie, een progressieve en uiteindelijk fatale spierziekte.

De stichting werd opgericht in December 1994 en begon effectief acties te ontwikkelen in 1995. In 2015 werd gevierd dat het Duchenne Parent Project al 20 jaar zowel nationaal als internationaal actief is op het terrein van geneesmiddelenontwikkeling, verbeteren van zorg, educatie, belangenbehartiging en ontwikkelen van technologie voor Duchenne patiënten.



Inhoudsopgave

Inleiding	2
Inhoudsopgave	3
In het kort.....	4
Duchenne Spierdystrofie	4
Organisatie.....	4
Gegevens.....	5
Het jaar 2015 in het kort	6
Cijfers	8
Eigen vermogen.....	9
Gesponsorde onderzoeksprojecten in 2015	10
Toegezegde nieuwe onderzoeksprojecten in 2015	10
Lopende projecten in 2015.....	12
Wetenschappelijke bijeenkomsten	13
Meer weten?	14
Duchenne Spierdystrofie	14
Duchenne Parent Project.....	15
Selectie en sponsoring van onderzoek	15
Fondsenwerving.....	19

In het kort

Duchenne Spierdystrofie

Duchenne Spierdystrofie (Ziekte van Duchenne) is een tot op heden ongeneeslijke ziekte, waarbij door het gemis van een eiwit (dystrofine) spierweefsel wordt afgebroken. Hierdoor neemt de spierkracht van bijna alle spieren langzaam maar zeker af. De ziekte heeft een progressief karakter en de meeste patiënten overlijden als jong volwassenen.

Organisatie

De Stichting Duchenne Parent Project is opgezet door ouders van kinderen met de ziekte van Duchenne. Het bestuur wordt gevormd door deskundigen op verschillende terreinen, waaronder Duchenne ouders. De meeste taken worden door vrijwilligers verricht. Sinds 2015 heeft de stichting een betaalde 2 koppige directie. Voor specifieke taken of projecten worden derden ingehuurd.

Doelstelling:

Stimuleren onderzoek naar een behandeling voor Duchenne Spierdystrofie, die de ziekte kan genezen dan wel vertragen en het bespoedigen van de toepassing van deze behandeling.

Door:

- Fondsenwerving; eigen acties of acties van derden
- Sponsoring van zorgvuldig geselecteerd en veelbelovend onderzoek
- Stimuleren en faciliteren van versnelde uitwisseling van informatie
- Stimuleren van internationale samenwerking
- Overleg met regelgevers, nationaal en internationaal
- Starten van nieuwe initiatieven
- Vergroten naamsbekendheid van het ziektebeeld
- Belangen behartiging en vergroten van de inbreng van de kennis en ervaring van patiënten in het hele traject van geneesmiddel ontwikkeling

Nevendoelstellingen:

- Verbetering van de kwaliteit van leven voor de kinderen met Duchenne spierdystrofie
- Vergroten van de bekendheid van de ziekte bij het publiek
- Voorlichting aan ouders, artsen en paramedici
- Verbetering van de (para)medische zorg

Door:

- Organiseren van congressen en workshops
- Publiceren van handboeken, bulletins en nieuwsbrieven
- Website en besloten online-community voor ouders
- Duchenne Award voor uitzonderlijke verdiensten in het Duchenneveld
- Richtlijnontwikkeling
- Patiëntenregistraties
- Initiëren en sponsoren van ontwikkeling van hulpmiddelen voor Duchenne patiënten
- Projecten op het terrein van onderwijs en zelfstandigheid voor Duchenne patiënten

- Free publicity
- Houden van voordrachten

Gegevens

Naam: Duchenne Parent Project
Rechtsvorm: Stichting
De Stichting heeft een ANBI status
Kamer van Koophandel: 41214475
RSIN/fiscaal nummer: 806511229
IBAN: NL15 INGB 0000 8188 18
Gevestigd: Koninginnelaan 69, 3905 GG Veenendaal
Postadres: Landjuweel 16-8, 3905 PG Veenendaal
Telefoon: 020-6275062

Email: dpp@euronet.nl
Website: www.duchenne.nl
Twitter: @duchennepp
Facebook: <https://www.facebook.com/duchenneparentproject>

Bestuur: Mr. Adrienne Vrisekoop - Sterk, interim voorzitter
Mr. Ed Snitselaar, penningmeester
Dr. Ieke Ginjaar, onderzoek
Mark Steinhauer, evenementen
Mr. Bas ten Kate, jurist

Directie: Drs Elizabeth Vroom, directeur
Ir Mirjam Franken – Verbeek, project manager

Wetenschappelijke adviesraad:
Prof. Thomas Rando Stanford USA
Prof. Terrence Partridge, Washington, USA
Prof. Victor.Dubowitz, Londen, GB
Prof. N. Goemans, Leuven, BE
Prof A. Aartsma-Rus, Leiden, NL

Wetenschappelijk coördinator: Dr. Roos de Jonge

Het jaar 2015 in het kort

Een bijzonder jaar! In 2015 vierde de stichting haar 20jarig bestaan. Opgericht in december 1994, startten de echte activiteiten in 1995. Het congres werd extra feestelijk gevierd en er stonden internationale sprekers op het programma. Er werden voor deze bijzondere gelegenheid 2 Duchenne Awards 2015 uitgereikt. Ook in andere opzichten was het een bijzonder jaar, we wonnen 2 belangrijke prijzen. De NRC Charity Award, goed voor €75.000 aan advertentie ruimte in het NRC.



Daarnaast won Parent Project Productions de Strive Award voor het visualiseren van de standards of care. Deze prijs biedt de mogelijkheid om de zorgrichtlijnen voor iedereen, goede lezers of laag geletterden wereldwijd, toegankelijk te maken. Duchenne Heroes beleefde een 10^e editie met in totaal 331 deelnemers en weer een waanzinnige opbrengst. Aan de 9^{de} editie van de Duchenne triathlon deden 42 teams mee en voor de 19^e keer werd er om de Robin Matena Bokaal gestreden. Op veel plaatsen in Nederland organiseerden vrienden en familieleden van Duchenne patiënten acties om geld in te zamelen, zoals bijvoorbeeld door het Gymnasium Juvenaat Bergen op Zoom. Natuurlijk dit jaar ook weer dank aan de enthousiaste mensen die deelnamen aan marathons en andere runs en daarmee geld inzamelden voor Duchenne onderzoek. Een nieuwe landelijke actie waarbij rond de feestdagen kadootjes worden ingepakt door vrijwilligers werd gestart en was meteen al een succes.

De stichting kon toezeggingen doen voor 6 nieuwe, zorgvuldig geselecteerde meerjarige grote onderzoeksprojecten. Daarnaast werden er 2 kortlopende projecten gehonoreerd, waaronder een project om onderzoeksmethoden te standaardiseren, zogeheten 'standard operating procedures', waardoor onderzoeksresultaten van verschillende groepen met elkaar vergeleken kunnen worden.

Samen met het Amerikaanse Parent Project MD organiseerde de stichting een bijeenkomst in London voor onderzoekers en bedrijven die zich bezighouden met exoskeletons en armondersteuning voor Duchenne patiënten.

Nieuw is dat de stichting door toename van de werkzaamheden sinds 2015 een 1,5fte betaalde staf heeft. Twee bestuursleden verlieten daarom het bestuur en een interim voorzitter werd aangesteld. Ook de wetenschappelijke adviesraad werd uitgebreid met 2 leden.

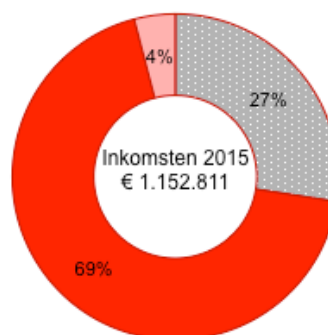
Duchenne Parent Project hanteert een uniek lage-kostenbeleid. Veel overhead, zoals ict, telefoons en kantoor is gesponsord. Het salaris van de staf ligt ruimschoots onder de richtlijnen van de Vereniging voor Fondsenwervende Instellingen (VFI). Hierdoor blijft zoveel mogelijk gedoneerd geld vrij voor de doelstellingen van de stichting.

De totale inkomsten in het jaar 2015 bedroegen € 1.152.811, bijna € 180.000 meer dan in 2014.

Cijfers

Totaal inkomsten in 2015: € 1.152.811

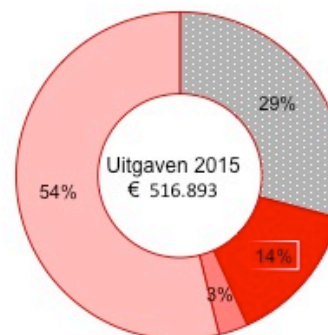
Donaties en fondsenwervende acties in 2015:	€	316.371
Duchenne Heroes (NL) en andere evenementen georganiseerd door derden:	€	789.612
Rentebaten/koersresultaten:	€	46.828



- Donaties en fondsenwervende acties in 2015
- Duchenne Heroes (NL) en andere evenementen georganiseerd door derden
- Rentebaten/koersresultaten

Totaal uitgaven in 2015: € 516.893

Kosten eigen fondsenwerving en gezamenlijke acties:	€	150.700
Beheer, administratiekosten en kantoorkosten:	€	72.821
Internationale samenwerking:	€	14.967
Besteed aan doelstelling (*):	€	278.405
(*) Besteed aan doelstelling:	€	278.405
Kosten begeleiden onderzoeksprojecten:	€	39.532
Mutatie toekenning kleine projecten:	€	66.415
Toekenning bestemmingsreserves:	€	769.700
Vrijval bestemmingsreserves:	- €	597.242



- Kosten eigen fondsenwerving en gezamenlijke acties
- Beheer, administratiekosten en kantoorkosten
- Internationale samenwerking
- Besteed aan doelstelling (*)

Eigen vermogen

Bestemmingsreserve per 31 december 2015	€ 1.600.552
Fonds voor wetenschappelijk onderzoek 31 december 2015	<u>€ 2.764.183</u>
Totaal	€ 4.364.735

De stichting doet alleen toezeggingen voor projecten waarvoor het geld beschikbaar is en neemt dus geen 'voorschot' op gelden die mogelijk nog binnenkomen gedurende de looptijd van het project. Betaling van de projecten vindt eens per 6 maanden plaats. Dat betekent dat de stichting steeds veel 'geoormerkt' geld gereserveerd heeft voor lopende projecten die meerdere jaren lopen of projecten die nog niet zijn gestart maar wel zijn toegezegd.

Duchenne Parent Project beheert haar gelden uiterst conservatief, uitsluitend op spaarrekeningen.

Een onafhankelijke accountant heeft een goedkeurende verklaring afgegeven op basis van controleopdracht.

Gesponsorde onderzoeksprojecten in 2015

De Stichting kent twee types sponsoring: Jaarlijks kunnen wetenschappers voor 1 april een aanvraag indienen voor een onderzoeksproject. Deze projecten worden internationaal gereviewd en beoordeeld door de wetenschappelijke adviesraad. Dit betreft meestal projecten met een looptijd van 2 jaar en een budget tussen de € 100.000 en € 200.000. Tevens bestaat mogelijkheid om gedurende het hele jaar projectaanvragen in te dienen met een budget van maximaal € 25.000. Dit kunnen ook aanvragen voor het organiseren van wetenschappelijke bijeenkomsten zijn.

Toegezegde nieuwe onderzoeksprojecten in 2015

In 2015 zijn 6 nieuwe onderzoeksprojecten voor financiële ondersteuning goedgekeurd door de wetenschappelijke adviesraad van het Duchenne Parent Project (Nederland).

1. Aartsma-Rus, LUMC, Een muismodel voor het testen van antisense oligonucleotides. Budget €218.000

Antisense oligonucleotides (AONs) zijn kleine stukjes gemodificeerd DNA die zijn ontwikkeld om door middel van exon skippen het dystrofine gen van Duchenne patiënten in staat te stellen een deels functioneel dystrofine eiwit te produceren. Inmiddels wordt deze techniek via klinische trials op patiënten getest. Voor het analyseren van de precieze werking van AONs in het lichaam en verwerking door het lichaam zijn diermodellen nuttig. Echter, een geschikt diermodel voor het testen mens specifieke AONs ontbreekt.

In het laboratorium is een muismodel ontwikkeld dat het menselijke dystrofine gen bevat. De onderzoekers willen bevestigen of dit muismodel inderdaad gebruikt kan worden om mens-specifieke AONs te testen. Zo ja dan kunnen deze muizen gebruikt worden in alle laboratoria waar met exon skipping gewerkt wordt.

2. Van Putten, LUMC, Studie naar de hersenen van muizen die geen dystrofine hebben. Budget € 226.000

In de hersenen komt dystrofine ook tot expressie. Het ontbreken van dystrofine in de hersenen kan ten grondslag liggen aan gedragsproblemen en leermoeilijkheden. Cognitieve problemen beperken maatschappelijke participatie, daarom is het ophelderen van de hersenen pathologie essentieel om optimale zorg te bieden. Net zoals DMD patiënten, hebben ook mdx muizen last van gedragsstoornissen en veranderde hersenen pathologie. Dit is echter nog nooit goed onderzocht in deze muizen. Dit project beoogt het karakteriseren van de hersenen pathologie in muizen waar dystrofine ontbreekt door het uitvoeren van gedragsstudies en anatomische en functionele MRI beeldvorming. Meer inzicht in hoe het in de muis is zal meer inzicht geven voor de mens.

3. Lorain, Institute Myologie Parijs, AAV effectiviteit verbeteren in DMD tijdens AAV-U7snRNA-gemedieerde exon skipping therapie. Budget € 80.000

Dit is een vervolg op een eerder gehonoreerd project. In deze studie gaat men technieken gebruiken om de AAV vector beter in de spieren te laten komen zodat er effectiever exon skipping kan plaatsvinden.

4. De Luca, Universiteit van Bari, Italië, Vooronderzoek om c-Src tyrosine kinase als geneesmiddel te kunnen gebruiken in DMD.

Budget € 140.000

Dit is een vervolg onderzoek om te kijken of c-Src tyrosine kinase (TK) invloed heeft op de dystrofine productie. TK speelt een rol bij ontsteking en het opruimen van dode cellen in de afwezigheid van dystrofine. In een muismodel zal getest worden wat de invloed van TK is op de spieren in combinatie met andere geneesmiddelen. Doel is om betere geneesmiddelen te ontwikkelen die spierafbraak tegen kunnen gaan

5. Campbell, Children's Health Research Institute, Canada, Longitudinale studie van de kwaliteit van leven en gezondheid-gerelateerde kwaliteit van leven bij kinderen met Duchenne spierdystrofie.

Budget € 53.000

Kwaliteit van leven is een belangrijk concept in complexe, chronische kinderziekten, zeker bij jongens met Duchenne. Ondanks het belang hiervan is er beperkte literatuur over dit onderwerp en ontbreekt in het bijzonder een longitudinale studie naar veranderingen in de tijd van kwaliteit van leven. Deze studie is een tweejarig longitudinaal project door het bijhouden van de kwaliteit van leven (QOL) en gezondheid gerelateerde kwaliteit van leven (HRQOL) door jongens met DMD vanuit hun eigen perspectief en dat van hun ouders. Het verloop van QOL en HRQOL over de twee jaar zal worden onderzocht om te bepalen of belangrijke veranderingen optreden met progressie van de ziekte. De stabiliteit van de kwaliteit van leven en de gezondheid gerelateerde kwaliteit van het leven zal worden vergeleken.

6. Lynch, Universiteit van Melbourne, Australië, Aandacht voor maag/darmklachten bij Duchenne jongens om kwaliteit van leven te verbeteren.

Budget € 123.000

Vroeger werd gedacht dat maag/darmklachten van Duchenne patiënten veroorzaakt werden door dat ze weinig bewegen en aangepaste voeding hadden. Echter in de wand van het maag/darmkanaal komt dystrofine ook tot expressie. In het MDX muismodel is aangetoond dat er inderdaad afwijkingen in maag/darmkanaal zijn. Dit betekent dus dat het waarschijnlijk niet komt door immobiliteit maar dat maag/darmproblemen op een andere manier behandeld moet worden. Deze onderzoeksgroep gaat dat uitzoeken.

Lopende projecten in 2015

- MRI van de hersenen en cognitie onderzoek in jongens met DMD, een 3-jarig vervolgonderzoek - Dr. H. Kan, LUMC
- Over-expressie van nNos als therapie voor DMD gerelateerde hartziekten - Dr. Lai, University of Missouri
- De rol van macrofagen in HDACi behandeling bij DMD - Dr. De Santa, CNR-National Research Council of Italy
- Karakterisering van humane FAPs en herprogrammering ter verbetering van therapeutische regeneratie van dystrofische spieren - Dr. Saccone, Fondazione Santa Lucia
- Niet-invasieve beeldvorming van DMD - Thomas A. Rando, Stanford University, USA
- AAV genoom onderhoud in dystrofe spieren tijdens AAV-U7snRNA-gemedieerde exon skipping therapie - Stéphanie LORAIN, Institut de Myologie, Parijs
- Verbetering van de 2'-O-methyl phosphorothioate geïnduceerde exon skipping voor DMD door middel van gemodificeerde chemie en/of een combinatie met toegevoegde componenten - Annemieke Aartsma-Rus, LUMC, Leiden
- Permanente reading frame correctie van het gemuteerde of DMD gen door middel van single-stranded DNA homologe recombinatie strategieën - George Dickson, Royal Holloway, Universiteit van London
- Fibrose onder controle proberen te krijgen voor de verbetering van spierherstel en celtherapie in DMD - Pura Muñoz-Cánoves, Universiteit Pompeu Fabra, Spanje
- Onderzoek naar tamoxifen en de rol van oestrogeen receptoren in een muismodel van DMD - Olivier M. DORCHIES, Universiteit van Geneve
- Het ophelderen van de rol en therapeutische werking van myostatin/TGF- β receptoren: Cripto en ALK1 in spiercel regeneratie en DMD pathologie - Dr. W.M.H. Hoogaars, LUMC
- Dystroglycan fosforilatie als therapie voor DMD - Dr. S. Winder, University of Sheffield, Engeland
- Herstel van sarcolemmal nNOS als aanvullende therapie voor DMD - Dr. J. Duncan, University of Missouri, USA
- Correctie van duplicaties in het dystrofine gen met behulp van zinc-finger nucleases - Dr. F. Conti, University College London, England
- Onderzoek naar de rol van blaasjesuitscheiding in de pathologie en behandeling van DMD in patiënten en een hondenmodel - Dr. S. Duguez, Institute Myologie, Frankrijk
- Het effect van verschillende soorten oefeningen bij muizen met weinig dystrofine - Dr. A. Aartsma-Rus LUMC, Netherlands
- Functie en regulatie van fibro-adipogenisch (bindweefsel-vet) voorlopercellen die zich in DMD spieren bevinden - Dr. C. Dechesne, Institute de Biologie de Valrose, Frankrijk

Meer informatie en gedetailleerde omschrijving van alle recente onderzoeksprojecten en de bijbehorende financiering vindt u op www.duchenne.nl.

Wetenschappelijke bijeenkomsten

Internationale samenwerking en versnelde uitwisseling van informatie zijn belangrijke doelen van het Duchenne Parent Project. In 2015 werden een meeting in Rome gesponsord evenals een serie bijeenkomsten om uitkomstmaten voor klinisch onderzoek bij niet-ambulante Duchenne patiënten te ontwikkelen. Samen met het Amerikaanse Parent Project MD organiseerde de stichting een bijeenkomst in London voor onderzoekers en bedrijven die zich bezighouden met exoskeletons en armondersteuning voor Duchenne patiënten.

Op nationaal niveau sponsorde de stichting bijeenkomsten met vertegenwoordigers van Nederlandse Universiteiten en spierziekteorganisaties en -fondsen om een Nederlands Duchenne Expertise Centrum op te zetten. Daarnaast nam het Duchenne Parent Project deel aan bijeenkomsten over Neonatale Screening en was betrokken bij een door de EU gesponsord project 'Asterix' wat zich richt op het ontwikkelen van efficiënte en effectieve onderzoeksmodellen om nieuwe geneesmiddelen voor zeldzame ziektes te onderzoeken.



Meer weten?

Duchenne Spierdystrofie

Wat is Duchenne Spierdystrofie?

Duchenne Spierdystrofie is een tot op heden ongeneeslijke ziekte, waarbij door het gemis van een eiwit (dystrofine) spierweefsel wordt afgebroken. Hierdoor neemt de spierkracht van bijna alle spieren langzaam maar zeker af. De ziekte heeft een progressief karakter en veel patiënten overlijden voor zij de volwassen leeftijd hebben bereikt. Doordat Duchenne spierdystrofie wordt veroorzaakt door een foutje op het X-chromosoom komt de ziekte voornamelijk voor bij jongens. Het eiwit dystrofine speelt ook een rol in het brein. Een deel van de patiëntjes heeft leer- en gedragsproblemen, deze problemen zijn echter niet progressief. Fout op hetzelfde gen kan ook Becker Spierdystrofie veroorzaken, een mildere vorm van Spierdystrofie. Meisjes en vrouwen kunnen draagster zijn. Bij hen kunnen de klachten sterk variëren, van geheel klachtenvrij in de meeste gevallen, tot in ernst wisselende klachten bij 'manifeste draagsters' en in een enkel geval vertonen meisjes hetzelfde ernstige progressieve beeld als jongens met Duchenne.

Hoeveel kinderen hebben deze spierziekte?

Op basis van het gegeven dat 1 op 3500 jongetjes die geboren wordt Duchenne spierdystrofie heeft, zijn er op de wereld naar schatting 250.000 jongens/mannen op de wereld met Duchenne Spierdystrofie. In Nederland hebben ongeveer 600 mensen de ziekte van Duchenne.

Hoe verloopt de ziekte?

Als kleuters zijn jongetjes met Duchenne spierdystrofie net als alle andere kinderen. Maar als ze acht jaar later de basisschool verlaten, kunnen ze meestal niet meer lopen en neemt ook de armfunctie steeds verder af. In de daaropvolgende jaren wordt het ademen moeilijker en neemt de kracht van de hartspier af. Een onomkeerbaar proces en een lot dat wereldwijd één op de 3.500 jongetjes treft. Dankzij beademing en hartmedicatie is de levensverwachting in de westerse wereld de laatste jaren toegenomen van 20 naar 30 jaar. Voor meer informatie www.duchenne.nl.

Hoe krijg je Duchenne?

Vrouwen kunnen draagsters zijn, dat betekent dat je wel een 'ziek' gen hebt, maar omdat je 2 X-chromosomen hebt, merk je daar zelf meestal niets van. De meeste vrouwen die draagster zijn weten dat zelf niet. Als een zoontje van een draagster dan het 'zieke' gen krijgt heeft hij de ziekte van Duchenne. Bij ruim een derde van de Duchenne kinderen is de moeder geen draagster en ontstaat de ziekte door een spontane mutatie.

Voor meer informatie over de ziekte en erfelijkheid van Duchenne zie www.duchenne.nl.

Duchenne Parent Project

Wat is het doel van de Stichting?

Stimuleren van onderzoek naar een behandeling voor Duchenne Spierdystrofie, die de ziekte kan genezen of vertragen en het bespoedigen van de toepassing van deze behandeling.

Nevendoelestellingen: Verbetering van de kwaliteit van leven voor de kinderen met Duchenne spierdystrofie

- Vergroten van de bekendheid van de ziekte bij het publiek
- Voorlichting aan ouders, artsen en paramedici
- Verbetering van de medische en paramedische zorg

Waarom zijn ouders cruciaal in de visie en aanpak van het Duchenne Parent Project?

De visie van de Stichting Duchenne Parent Project is dat ouders, als geen ander, een drive hebben om gelden optimaal te besteden. Immers, zij werken, naast de zorg voor hun kinderen, hard voor het inzamelen van iedere euro en zijn zich er meer dan wie dan ook van bewust dat het vinden van een behandeling of geneesmiddel voor de ziekte van Duchenne een race tegen de klok is. Door zorgvuldige besteding van de relatief beperkte gelden (seed money) kan onderzoek gefinancierd worden waarvan de resultaten, als deze positief zijn, mogelijkheden bieden om ook andere subsidies en investeringen binnen te halen.

Hoe ziet de organisatie eruit?

Het bestuur wordt gevormd door deskundigen op verschillende terreinen, waaronder Duchenne ouders. Het Duchenne Parent Project heeft een kleine bezoldigde staf (1,5 fte). De meeste taken worden door vrijwilligers verricht. Ook het bestuur is onbezoldigd. Alleen voor specifieke taken of projecten worden derden ingehuurd. Een call center (CallCare) sponsort het aannemen en doorgeven van berichten in natura. Hierdoor zijn de beheerskosten van de Stichting laag.

Met welke activiteiten worden de doelstellingen van het Parent Project gerealiseerd?

- Sponsoring veelbelovend onderzoek in Nederland en wereldwijd
- Investering in betere zorg en hulpmiddelen
- Belangenbehartiging van de Duchenne kinderen en hun ouders
- Stimuleren van versnelde uitwisseling van informatie
- Stimuleren van internationale samenwerking
- Fondsenwerving; eigen acties of acties van derden
- Investeren en faciliteren van communicatie tussen verschillende doelgroepen

Selectie en sponsoring van onderzoek

Welke onderzoeken sponsort Duchenne Parent Project?

Sinds de oprichting van het Duchenne Parent Project heeft de Stichting haar gelden besteed aan een onderzoek naar een genezing voor Duchenne Spierdystrofie. Met het accent op innovatief onderzoek.

Hoe komt de selectie van onderzoek tot stand?

Jaarlijks wordt een oproep gedaan om aanvragen voor nieuwe projecten in te sturen. Deze aanvragen komen van universiteiten uit binnen- en buitenland. Een enkele keer zendt een bedrijf een onderzoeksaanvraag in. Deze projecten worden door meerdere reviewers per project beoordeeld en vervolgens adviseert de Internationale Wetenschappelijke Adviesraad over de te honoreren projecten. Alleen de allerbeste projecten worden gehonoreerd. Voor deze projecten wordt een toezegging voor maximaal 2 jaar gedaan. Na deze 2 jaar kan een aanvraag voor een derde jaar worden ingediend. Gedurende die looptijd worden projecten nauwkeurig gevolgd en indien daartoe aanleiding is wordt de sponsoring beëindigd.

Maximaal resultaat?

Omdat van te voren niet met zekerheid te zeggen is welk type onderzoek uiteindelijk het meest succesvol zal zijn wordt bij de selectie van projecten ook het principe van 'meersparenbeleid' gehanteerd.

Sponsort het Duchenne Parent Project alleen meerjarige onderzoeksprojecten?

Nee, we sponsoren ook de zogenoemde 'kortlopende projecten' die gedurende het hele jaar kunnen worden aangevraagd. Het maximum bedrag voor deze projecten is 25.000 euro. Deze projecten worden door deskundigen binnen het bestuur of externe adviseurs bekeken en tijdens de eerstvolgende vergadering wordt beslist over toekenning. Een overzicht van deze onderzoeksprojecten staat beschreven op www.duchenne.nl.

Waarvoor zijn de bestedingen van het Duchenne Parent Project zo succesvol?

Vanaf het begin is er ontzettend zorgvuldig en deskundig gekeken naar projecten die gesponsord gingen werden en zijn strenge selecties gemaakt. Zo werd, i.t.t. tot de meeste Nederlandse fondsen, niet alleen Nederlands onderzoek gesponsord, maar uitsluitend het allerbeste onderzoek wereldwijd. Doordat de lat van de selectie zo hoog lag wilden toponderzoekers plaatsnemen in onze wetenschappelijke adviesraad en kwamen er aanvragen van de beste onderzoeksinstituten naar het Duchenne Parent Project. We realiseerden ons dat we nooit het hele traject van geneesmiddelen ontwikkeling, dat in de honderden miljoenen loopt, zouden kunnen betalen. Juist in het begin van geneesmiddelen ontwikkeling, als er alleen nog maar een idee is maar nog geen eerste resultaten, is het voor onderzoekers moeilijk om geld te krijgen. Onze visie is dat door juist daar te investeren de beste hefboom van ons geld kan worden gecreëerd. Dit wordt seed money genoemd. Als de eerste goede resultaten gepubliceerd zijn, raken ook andere subsidiegevers geïnteresseerd en uiteindelijk is in een latere fase samenwerking met een industrie (biotechnologische- of farmaceutische bedrijven) nodig op basis van deze resultaten.

Investering in hulpmiddelen en betere zorg

Waarom en hoe investeert Duchenne Parent Project in betere zorg voor Duchenne patiënten?

Sinds 1994 is de levensverwachting van Duchenne patiënten aanzienlijk toegenomen niet door nieuwe geneesmiddelen maar door gebruik van reeds bestaande geneesmiddelen en betere zorg, De nieuwe generatie Duchenne mannen die vanaf jonge leeftijd corticosteroiden hebben gebruikt, hebben waarschijnlijk een nog betere levensverwachting. Toch sterven er nog steeds Duchenne jongens

gedurende hun tienerjaren. Het is belangrijk dat alle jongens optimale zorg krijgen en gekeken wordt hoe we kunnen voorkomen dat ondanks de aanzienlijke toename in de gemiddelde levensverwachting sterfte op jonge leeftijd voorkomen kan worden.

Professor Hugo Heymans, Emma Kinderziekenhuis, zei ooit: "Als we in staat zijn om kinderen die vroeger jong overleden de volwassen leeftijd te laten bereiken hebben we ook een verantwoordelijkheid om dat leven een goed en zinvol leven te laten zijn." In dit kader passen niet alleen investeringen in goede medische zorg maar ook in technische innovatie en in onderzoek en begeleiding van leer- en gedragsproblemen.

Wat heeft het Duchenne Parent Project gedaan op dit terrein?

De Nederlandse stichting Duchenne Parent Project heeft in 1997 het initiatief ontwikkeld om de eerste 'European Guidelines for Optimal Care for Duchenne Muscular Dystrophy' te ontwikkelen en is sindsdien nauw betrokken bij het onderzoek over verbetering van zorg en het opstellen, publiceren en verspreiden van Internationale Zorgrichtlijnen voor Duchenne patiënten. Over onderwerpen waar nog te weinig over bekend is, wordt onderzoek en internationale uitwisseling van informatie gestimuleerd.

Het Duchenne Parent Project organiseert en financiert initiatieven waardoor jonge mensen worden gestimuleerd om ondanks hun beperkingen door de ziekte van Duchenne, toch een zo normaal mogelijk en zelfstandig leven leiden, een goede opleiding te volgen en een vak te leren. Ze doet dit door het uitgeven van handboeken, het produceren van beeldmateriaal en het organiseren van internationale bijeenkomsten op dit terrein. Zie ook op www.duchenne.nl de trailer van de documentaire 'The Power to Live'

Dr Jos Hendriksen (Klinisch Neuropsycholoog) en Debby Schrans (GZ psycholoog), beiden verbonden aan het centrum voor neurologische leer en ontwikkelingsstoornissen (CNL) Kempenhaeghe, ontwikkelden een documentaire, "Duchenne with a future, the power to live", die meer inzicht geeft in hoe jonge mannen met Duchenne omgaan met hun ziekte. Uit bijna 300 inzendingen van over de hele wereld, heeft de documentaire "Duchenne with a Future; The Power to Live", de Runner-Up Award gewonnen in de VS.

Dr Jos Hendriksen (Klinisch Neuropsycholoog): "We wisten dat deze jongens en mannen positief zijn ingesteld, maar ze hebben ons ook vaker verbaasd doen staan door hun optimistische houding en de manier waarop zij in het leven staan". De film is geregisseerd door Jelle de Jonge. En mede mogelijk gemaakt met financiële steun van Parent Project Muscular Dystrophy (VS) en Duchenne Parent Project Nederland.

Voor ouders en leerkrachten heeft het Duchenne Parent Project een handboek uitgegeven 'De psychologie van Duchenne' door dr Jos Hendriksen, Ruben Hendriksen en Elizabeth Vroom. Dit boek is inmiddels in veel andere talen uitgebracht, naast westerse talen ook in het Hebreeuws, Japans en Chinees.

Het Duchenne Parent Project heeft ook internationale meetings georganiseerd over transitie naar volwassen zorg voor Duchenne patiënten. Dit heeft geleid tot een publicatie in een wetenschappelijk tijdschrift.

Wat doet het Duchenne Parent Project op het terrein van hulpmiddelen?

Sinds 2007 is het Duchenne Parent Project, als initiatiefnemer en financier, nauw betrokken bij het ontwikkelen van een exoskeleton die de armfunctie van Duchenne patiënten kan ondersteunen of overnemen. Doel is om een orthese te ontwikkelen die iemand met Duchenne in staat stelt om zijn armen te blijven bewegen en die onder de kleding gedragen kan worden. De wens was duidelijk, het daadwerkelijk realiseren enorm complex. Inmiddels is dit project, Flexension, uitgegroeid tot een samenwerking tussen 4 universiteiten en meerdere bedrijven. Dankzij seedmoney van het Duchenne Parent Project konden grote subsidies van STW en EU binnengehaald worden en het project uitgebreid worden naar studies over arm- en handfunctie en ondersteuning van hoofd en romp.

Hoe informeert het Duchenne Parent Project ouders?

Via de website, nieuws bulletins en bijeenkomsten. Daarnaast wordt intensief gebruik gemaakt van Social Media. Zo bestaat er een Sinds 2012 bestaat er een besloten Facebookgroep 'Duchenne Parents Only' waar ouders elkaar kunnen vinden en hun ervaringen uit kunnen wisselen. Via deze besloten Facebook groep kunnen Duchenne ouders snel bereikt worden. Een groot aantal ouders en oudere patiënten maakt gebruik van dit platform dat een belangrijke rol speelt in informatievoorziening naar ouders en tussen ouders onderling.

Jaarlijks organiseert het Duchenne Parent Project een Duchenne congres. In dierenpark De Apenheul vond de jaarlijkse Duchennedag plaats met plenaire sessies, workshops en een separaat kinderprogramma. Vanwege het 20 jarig bestaan van de stichting werd deze dag dit jaar extra feestelijk gevierd en presenteerden internationale sprekers. Bovendien werd de Duchenne Award in 2015 aan 2 personen uitgereikt. Professor Dubowitz al 20 jaar voorzitter van onze wetenschappelijke adviesraad en Patricia Furlong de oprichtster van het Amerikaanse Parent Project Muscular Dystrophy en drijvende motor achter veel activiteiten ten bate van Duchenne patiënten ontvingen de Award 2015.

Wat doet het Duchenne Parent Project op het terrein van belangenbehartiging?

Daar waar nodig treedt het Duchenne Parent Project op als belangenbehartiger voor de kinderen en volwassenen met de ziekte van Duchenne, regelmatig in samenwerking met de Vereniging Spierziekten Nederland. Ook speelt de organisatie een rol in de discussie over innovatie en wetgeving, zoals bijvoorbeeld rond geneesmiddelenonderzoek en hielprik.

In samenwerking met andere partijen die zich bezighouden met geneesmiddelenontwikkeling voor kinderen, zoals de NVK, de VSOP en de VOKK, stuurde het Duchenne Parent project een brief naar de Tweede Kamer met een dringend en herhaald verzoek om de wetgeving in Nederland zodanig te wijzigen dat Nederlandse patiëntjes eerder toegang zouden hebben tot nieuwe ontwikkelingen.

Met wie werkt het Duchenne Parent Project samen?

Internationaal wordt samengewerkt met:

- United Parent Project Muscular Dystrophy, het wereldwijde netwerk van Duchenne Parent Projects, op het terrein van informatie uitwisseling, patient advocacy, fondsenwerving en zorg.
- TREATNMD, een internationaal netwerk op het terrein van neuromusculaire aandoeningen actief in het opzetten en verbeteren van de infrastructuur, o.a. door het ontwikkelen van 'tools', waardoor

nieuwe veelbelovende nieuwe behandelingsmethodes zo snel mogelijk getoetst en toegepast kunnen worden.

- Eurordis, het Europese netwerk voor zeldzame ziekten

Nationaal

- ALADIN, het Nederlandse netwerk van artsen, onderzoekers en patiëntenorganisaties op het terrein van de ziekte van Duchenne.
- Patiëntenorganisaties: Vereniging Spierziekten Nederland en de VSOP
- Overleg met andere spierziektefondsen zoals, Spieren voor Spieren, Prinses Beatrixfonds, ALS fonds en FSHD fonds

Fondsenwerving

Hoe komt Duchenne Parent Project aan geld?

Duchenne Parent Project organiseert zelf acties en ontvangt opbrengsten van door derden georganiseerde evenementen en acties. Daarnaast hebben we een aantal vaste donateurs en ontvangen we eenmalige giften. Het Duchenne Parent Project ontvangt geen subsidies.

Wie hielpen het Duchenne Parent Project in 2015?

Duchenne Parent Project kan niet zonder de Duchenne ouders, vrienden en familie, die zich hard maken voor het inzamelen van iedere euro, omdat zij zich er meer dan wie dan ook van bewust zijn dat het vinden van een behandeling of geneesmiddel voor de ziekte van Duchenne een race tegen de klok is. Ook in 2015 hebben ongelooflijk veel mensen zich ingezet om geld in te zamelen voor Duchenne Parent Project. De grootste bron van inkomsten is al jarenlang Duchenne Heroes, www.duchenneheroes.nl, een zevendaagse mountainbiketocht door de Benelux. In 2015 werd de tiende editie van dit succesvolle evenement verreden. De opbrengst van de Duchenne Triathlon in Apeldoorn, in 2015 voor de 9^e keer georganiseerd door vrienden van Duchenne was € 42.000.



Ook ontving de stichting veel giften van jubilarissen die in plaats van een cadeau een donatie voor het Duchenne Parent Project hadden gevraagd.

Daarnaast kent het Duchenne Parent Project veel loyale donateurs die al jarenlang doneren. Onze dank aan hen is groot!

Op veel plaatsen in Nederland organiseerden vrienden en familieleden van Duchenne patiënten acties om geld in te zamelen:

Assen duikt voor Duchenne:	€ 1600
Inpakactie voor Duchenne in Nuenen door familie Stavorinus december 2014:	€ 326
Benefietavond Doetinchem 11 februari:	€ 3700
Terugkerend evenement Baggeren voor Duchenne op 1 maart in Didam:	€ 1389
Midzomerrally Lions Harderwijk ontvangen in 2015.	€ 3400
Frank Smit Spinning Marathon: 2e editie.	€ 10.490
Sociale actie Gymnasium Juvenaat Bergen op Zoom	€ 15.520
Sponsorzwemmen zwembad de Wilgenring	€ 6650
Opbrengst verkoop boek Volendam als Hollandsymbool Jan en Andre Kes	€ 7250
Leerlingen en docenten van Scheepvaart en Transport College hebben marathon van Rotterdam voor Duchenne gelopen april 2015:	€ 3092
Groep 7 van het Mozaiek in Zwolle heeft hele jaar meters gemaakt voor Matt, elke week leerling	€ 7438,51
Robin Matena Bokaal (terugkerend evenement) 19e editie rolstoelhockeyspektakel in Papendrecht	€ 5400
Ron Neefjes halve marathon Dalfsen gelopen voor Duchenne,	€ 2060
Herinnering aan Jeroen Lefferts, Duchenne jongen, 26 jaar,	€ 531
Indoor Golf Twente haalt met open dag opbrengst	€ 575
Zumbathon 24 oktober Koudekerke; 3 uur gedanst	€ 1700
Anke Groeters en Wencke Koops, 2 Duchenne moeders, organiseren voor 4e keer collecte met 100 collectanten in Oost Gelre	€ 6700
Opbrengst Yoga en Pilates Marathon Hoorns in Balans	€ 1500
Stemmen 123inkt.nl.	€ 558
Inpakken voor Duchenne bij Hema Amersfoort en Amsterdam in december	€ 2500



Andere leuke initiatieven:

Duchenne oma die koeklapoppen maakt met wisselende outfits voor ieder seizoen. Nichtje van Duchenne jongen meegedaan met vriendin aan 'Beste vrienden quiz' en daarmee € 110 opgehaald.

Wie zijn de Duchenne Heroes?

De Heroes zijn de mannen en vrouwen die de extreme, 7-daagse mountainbike sponsortocht 'Duchenne Heroes' fietsen. Zij fietsten al sinds 2006 miljoenen euro's bij elkaar voor het Duchenne Parent Project.. Dankzij hun geweldige inspanningen, die van hun sponsors, maar ook dankzij alle vrijwilligers en energie van betrokken Duchenne families, konden we weer een groot aantal onderzoeken sponsoren. Naast de fysieke en financiële bijdrage zijn de Duchenne Heroes ook belangrijke ambassadeurs voor Duchenne. Dankzij hen krijgt het Duchenne Parent Project veel gratis publiciteit die bijdraagt aan de naamsbekendheid.



Hoe bekend is Duchenne?

Om fondsen te kunnen werven is het ook in 2015 belangrijk geweest om de naamsbekendheid te vergroten. Door het organiseren van evenementen, de daaruit voortvloeiende - en andere free publicity is de bekendheid van Duchenne Spierdystrofie en het Duchenne Parent Project vergroot. De naamsbekendheid van Duchenne Spierdystrofie in Nederland is inmiddels het hoogste in Europa, bleek uit het onderzoek 'Europees bewustzijn zeldzame ziektes' uitgevoerd door de Europese Commissie dat in 2011 gepubliceerd werd.

Op 7 september 2015 vond de tweede World Duchenne Awareness Day (www.worldduchenneawarenessday.org) plaats, waar Nederland wederom een actieve rol speelde. Voor de eerste keer werd tijdens deze dag door United Parent Projects MD ook een fundraiser georganiseerd, middels de virtuele 'verkoop' van digitale ballonnen.



Kan iedereen iets doen voor het Duchenne Parent Project?

Duchenne Parent Project blijft alle steun hard nodig hebben! Niet altijd alleen in financiering van onderzoeksprojecten, maar ook in aandacht en betrokkenheid.

Kom in actie voor Duchenne Parent Project!

Je kunt sporten, zoals rennen, fietsen, zwemmen, golfen. Of als je ander talent hebt, kun je ook diners of feesten organiseren, waarmee je sponsorgeld ophaalt.

Je kunt het zelf organiseren, maar je kunt ook deelnemen aan **onze Duchenne acties** zoals de Duchenne triathlon, **Duchenne (weekend)heroes**, inpakken voor Duchenne en Zandvoort run etc..

Op de website en op onze **Facebook pagina** verschijnen regelmatig nieuwe evenementen.

4 dingen die je nu als bedrijf of individu direct kunt doen om bij te dragen aan een positieve toekomst van de jongens met Duchenne Spierdystrofie:

1. Like ons

Deel onze missie via [Facebook](#), [Twitter](#) of [LinkedIn](#). Met jouw 'like', retweet of een gedeelde link bereiken we veel mensen die eerder misschien nog niet in aanraking gekomen zijn met het verhaal van de jongens met Duchenne.

2. Connect

[Schrijf je in voor onze nieuwsbrief](#) en blijf op de hoogte van onze activiteiten.

3. Sponsor

Een maandelijkse bijdrage aan Duchenne Parent Project of bijvoorbeeld een team van [Duchenne Heroes](#).

4. Word vrijwilliger.

We zijn altijd op zoek naar mensen die hun kennis, kunde en enthousiasme willen delen. Kom bier tappen voor de [Heroes](#), kook voor ze, of hou ze in conditie als fysiotherapeut. Kun jij goed organiseren? Of wil je met je team, collega's of burens iets doen? [Laat van je horen](#).

En ook nog:

5. Collecteer

Wij organiseren geen landelijke collecte, maar hebben wel een aantal collectebussen die continu het land door gaan. Haal jij ook graag geld op in jouw buurt, met je school of vereniging? [Vraag de bus dan bij ons aan](#).

6. Sponsoring in natura (voor bedrijven).

We kunnen heel veel hulp gebruiken in de vorm van diensten of producten. Denk aan de drankjes of vervoer voor de fietsers, de zaalruimtes voor ons jaarlijkse congres, stoelen voor het Duchenne Diner of audiovisuele ondersteuning bij een lokaal evenement. En als we het niet direct kunnen gebruiken, dan kunnen we jouw bijdrage zeker inzetten in een van de vele veilingen en verlotingen. [Bel](#) of [email](#) ons direct of [informeer](#) bij een van onze bestuursleden.