



Jaarverslag 2022



Historie

In november 1994 kwam Elizabeth Vroom, moeder van een toen 4 jarige zoontje met Duchenne, in contact met Amerikaanse Duchenne ouders. Op een bijeenkomst in Orlando werd afgesproken om vóór het jaar 2000 veertig miljoen dollar in te zamelen zodat er onderzoek naar een behandeling gestart kon worden. Op dat moment werd er nog geen onderzoek gedaan naar een genezing voor de ziekte van Duchenne, terwijl de genetische oorzaak van de ziekte al wel bekend was.

Vroom richtte bij terugkomst een stichting op om ook in Nederland geld in te zamelen waardoor belangrijk en baanbrekend onderzoek kon worden gefinancierd. De Nederlandse stichting Duchenne Parent Project zamelde vervolgens vier miljoen gulden in vóór de millenniumwisseling. In de jaren daarna is nog meer geld opgehaald en hebben wij veel bereikt, maar wij zijn er nog niet. Dit jaarverslag geeft een toelichting op alle initiatieven in het jaar 2022. «





Missie, visie en strategie

Missie

Onze missie is om het leven te verbeteren voor iedereen met de ziekte van Duchenne. Nu en in de toekomst. We hebben geen tijd te verliezen. Onderzoek naar alle aspecten van Duchenne Spierdystrofie is essentieel. Om geneesmiddelen te ontwikkelen die de afbraak van spieren kunnen stoppen of vertragen, om de zorg te verbeteren en om participatie te bevorderen. Wij maken ons sterk voor verbetering van zorg, educatie, belangenbehartiging en het ontwikkelen van technologie.

Visie

Onze visie is dat er alles aan gedaan moet worden om iedereen met Duchenne een zo goed en zo lang mogelijk leven te geven. Door middel van onderzoek, medicatie, hulpmiddelen en ondersteuning. Er is veel bereikt, maar het moet sneller, want we hebben geen tijd te verliezen. Om dit te bereiken is het nodig dat we onderzoek faciliteren, kennis over zorg verbeteren, naamsbekendheid van de ziekte en de organisatie vergroten

en de Duchenne families 'in hun kracht zetten'. Zo zijn we zelf in staat om verantwoordelijkheid te nemen en niet ontmoedigd te raken, maar aan een oplossing te werken en waar nodig het roer vast te houden en de koers uit te stippelen. Nauwe samenwerking met internationale onderzoeksinstituten en Key Opinion Leaders is daarbij essentieel.



Strategie

Duchenne Parent Project besloot haar doel te bereiken door alleen het allerbeste wetenschappelijke onderzoek te financieren. Dit betekende per definitie dat er internationaal gesponsord zou worden. Een internationale wetenschappelijke adviesraad met de meest gerenommeerde wetenschappers op dit terrein adviseert het bestuur. Projecten werden (en worden nog steeds) door meerdere onafhankelijke reviewers beoordeeld en volgens strenge voorwaarden geselecteerd en toegezegd. Vanaf de oprichting was het streven om een internationaal netwerk op te bouwen.

Missie, visie en strategie 2022

In 2022 zijn missie en visie ongewijzigd, maar de strategie is in de loop van de afgelopen decennia verbreed van met name een organisatie die onderzoek sponsort naar een organisatie die zich ook bezighoudt met educatie van families en (para)medici, support voor families, participatie van Duchenners in de maatschappij, belangenbehartiging en die een rol speelt in diverse Europese organisaties en commissies op het terrein van geneesmiddelenontwikkeling en zorg. Waar nodig om onze doelen te bereiken initieert en voert de organisatie ook innovatieve projecten uit. «

Weetje:

We helpen graag met informatie voor een spreekbeurt of werkstuk over Duchenne. Je kunt veel informatie zelf bekijken en downloaden. Zoals filmpjes, posters, boekjes, etc. Kijk snel op <https://duchenne.nl/spreekbeurt/>



“The main purpose of the research project is to explore whether alterations in the population of symbiotic (good) bacteria thriving in the gut can be considered a promising therapeutic target for preventing both locomotor and neurological complications in DMD”.

*Dr. Fabio Iannotti,
Italian National Research Council*



Inhoud



Historie	2
Missie, visie en strategie	4
Duchenne Spierdystrofie	12
» Oorzaak	
2022	16
» Activiteiten voor onze leden	
» Informatie verstrekken	
» Sponsoring wetenschappelijk onderzoek	
» Nieuwe Duchenne onderzoeken gefinancierd door DPP Nederland	
» FAIRification van het Duchenne Data Platform	
» Noodhulp	
» Zorg	
» Fondsenwerving	
» In onze gedachten	
Samenwerking	32
» Internationale samenwerking	
» World Duchenne Organization	
» Duchenne Data Foundation	
» Nationale samenwerking	
» Duchenne Centrum Nederland	
» Samenwerkende spierfondsen	
» Yumen Bionics en het exoskeleton onderzoek	
Gegevens van de organisatie	38



“We aim to describe the natural history of swallowing problems (dysphagia) in DMD across the lifespan. Our extensive clinical data collected by our expert speech-language therapists will provide valuable knowledge for daily care, prevention, treatment, and outcome measures for dysphagia in DMD.”

*Dr. Jan Groothuis,
Radboudumc*



Duchenne Spierdystrofie

Oorzaak

Duchenne Spierdystrofie wordt veroorzaakt, omdat het eiwit dystrofine niet kan worden gemaakt door een fout op het X-chromosoom. Dat eiwit is nodig voor de stevigheid van de spiercellen. Het resulteert in afbraak van spierweefsel, wat door vet en/of bindweefsel vervangen wordt. Hierdoor worden kinderen al op jonge leeftijd minder sterk, verliezen het vermogen om te lopen rond 12 jaar, krijgen in toenemende mate moeite om hun armen te bewegen. Ook de spieren die nodig zijn voor de ademhaling worden steeds zwakker en de hartfunctie neemt af, omdat het hart ook een spier is.

Dystrofie speelt ook een belangrijke rol in het brein, waardoor 30–40% leer- en gedragsproblemen heeft. Omdat deze fout op het X-chromosoom zit, zijn het vooral jongetjes, jongens en jonge mannen die Duchenne Spierdystrofie hebben. Wereldwijd is dat aantal 1 op de 5000 jongetjes. In totaal meer dan een kwart miljoen.



Dankzij verbeterde medische zorg is de levensverwachting het laatste decennium 10–15 jaar toegenomen

Toch zijn er ook meisjes en vrouwen die klachten hebben en geen of onvoldoende dystrofie aanmaken. Dankzij verbeterde medische zorg, zoals het gebruik van corticosteroïden, (preventieve) hartmedicatie en toepassing van ademhalingsondersteuning is de levensverwachting het laatste decennium 10–15 jaar toegenomen. Waar vroeger volwassenen met Duchenne een uitzondering waren, leven tegenwoordig veel volwassenen met Duchenne die ouder zijn dan 30 jaar en een deel van hen zelfs 40 jaar of ouder.

Op dit moment worden meerdere geneesmiddelen getest, die mogelijk een bijdrage kunnen leveren aan het verder vertragen van het ziektebeeld. Een aantal daarvan heeft een aanvraag voor markttoelating ingediend bij de Europese autoriteiten (European Medicines Agency). «

Weetje:

Presentaties en leuke sfeerfoto's van Duchenne congressen en festivals die het Duchenne Parent Project jaarlijks organiseert vind je hier terug:

<https://duchenne.nl/duchenne-congres/>



“We have obtained encouraging results by applying a completely new therapeutic approach to a preclinical DMD model. The present project will help us to accumulate data to support an application of this approach in DMD patients”.

*Prof. Guglielmo Sorci,
University of Perugia, Italië*



Activiteiten voor onze leden

Hoewel COVID-19, en met name aan het begin van het jaar, veel activiteiten nog steeds niet mogelijk maakten, konden we toch meerdere succesvolle evenementen organiseren. Zo vond van 7 tot 9 april het online Duchenne Festival plaats met dit jaar, naast de traditionele update over onderzoek en informatie over optimale zorg, veel aandacht voor sporten en Duchenne.

Ook minder bekende toegankelijke sporten kwamen aan bod, zoals rolstoelvoetbal, als eerste in Nederland georganiseerd door de PSV Foundation, daarnaast Boccia, waarmee een jongeman met Duchenne uit Tsjechië goud behaalde op de Paralympics, en tot slot leerden we uit Israël hoe je kunt golfsurfen.

Ook konden we veel families blij maken met 'Dreamnight at the Zoo' in Diergaarde Blijddorp, DierenPark Amersfoort en Burgers' Zoo op 10 juni.

Op zondagmiddag 17 juli organiseerden we voor families in Theehuis Rhijnauwen in Bunnik de Duchenne Familie Picknick en gaf Mariska Janssen daar een training in Martial Arts.

Informatie verstrekken

Duchenne Parent Project is de belangrijkste informatiebron over Duchenne in Nederland. Voor families, mannen en vrouwen met Duchenne, paramedici, artsen en andere belangstellenden is er, naast de informatie verstrekt tijdens bovenstaande bijeenkomsten, ook een website, zijn er nieuwsbrieven voor diverse groepen en wordt actuele informatie via social media gedeeld.

In 2022 werd gestart met de 'Research Update' nieuwsbrief voor de leden van Aladin (All against Duchenne in the Netherlands: artsen, onderzoekers en paramedici) met daarin een update van recent verschenen onderzoek en andere relevante activiteiten. Belangrijk onderdeel van deze nieuwsbrief zijn de #apaperaday samenvattingen van Prof. Annemieke Aartsma-Rus. Zie ook Twitter @oligogirl. Deze nieuwsbrief is een samenwerking met Duchenne Centrum Nederland.

Ook werden twee nieuwe besloten Facebookgroepen gestart: Een voor ouders van pas gediagnosticeerde kinderen en een voor ouders wiens kinderen zijn overleden 'Duchenne ouders voor altijd'.

Vanuit Nederland werd ook het **internationale Duchenne Care**

- 1 **Congres** georganiseerd met als thema de zorg voor volwassenen met Duchenne. Deelnemers waren artsen, paramedici en vertegenwoordigers van patiëntenorganisaties uit meer dan 40 landen.
- 2 Op 6 juli organiseerden we een **webinar over BIND**, een Europees project over 'Duchenne en het Brein' en werden families uitgenodigd om hieraan een bijdrage te leveren.

Rond 7 september, de World Duchenne Day, waren er meerdere

- 3 activiteiten rond het thema **Vrouwen en Duchenne**. Een belangrijk en tot op heden onderbelicht onderwerp. De World Duchenne Organization organiseerde op de dag zelf een **online informatief event**. Op de 28e minuut start een mooi interview met Lizanne Schreur die zich enorm voor dit onderwerp heeft ingezet.
- 4

- 1: duchenne.nl/wp-content/uploads/2022/05/WDO_Duchenne-Care-Conference_Agenda_preliminary.pdf
- 2: youtube.com/watch?v=u1QwS7kxbWg
- 3: duchenne.nl/algemeen/world-duchenne-awareness-day-2022/
- 4: youtube.com/live/rcoDXl10-Do?feature=share

Weetje:

Dankzij beademing en het gebruik van (hart)medicatie is de levensverwachting van kinderen met de ziekte van Duchenne de afgelopen jaren toegenomen. De helft van de patiënten met de ziekte wordt nu ouder dan 30 jaar.



Sponsoring wetenschappelijk onderzoek

In 2022 konden we sponsoring voor maar liefst 14 nieuwe onderzoeksprojecten toezeggen. De onderwerpen lopen uiteen van osteoporose en wervelfracturen in Duchenne, slikklachten en een nieuwe mogelijkheid om de ademhalingspijpen te beoordelen tot meer fundamenteel onderzoek.

Nieuwe Duchenne onderzoeken gefinancierd door Duchenne Parent Project Nederland



In oktober 2022 zijn de volgende zeven nieuwe onderzoeksprojecten voor financiële ondersteuning goedgekeurd door de wetenschappelijke adviesraad van het Duchenne Parent Project (Nederland):

- » Dr. Jarod Wong, University of Glasgow, Schotland.
'De monitoring en management van osteoporotische wervelfracturen bij Duchenne spierdystrofie: Een gemengd onderzoek om persoonsgerichte zorgstandaarden en klinische richtlijnen te ontwikkelen en updaten'.
- » Prof. Guglielmo Sorci, University of Perugia, Italië.
'Versnellen van het gebruik van micro-ingekapselde Sertoli-cellen voor het behandeling van DMD-patiënten'.
- » Dr. Jan Groothuis, Radboudumc.
'Natuurlijk beloop onderzoek van dysfagie (slikproblemen) bij Duchenne spierdystrofie'.
- » Dr. Jonne Doorduyn, Radboudumc.
'Geavanceerde echografie als nieuw instrument voor beoordeling van de structuur en functie van de ademhalingsspieren bij patiënten met Duchenne spierdystrofie'.
- » Dr. Pietro Spitali, Leids Universitair Medisch Centrum.
'Evaluatie van de creatine/creatinine-ratio en myostatine als monitoring-biomarkers voor DMD-patiënten'.
- » Dr. Manuel Gonçalves, Leids Universitair Medisch Centrum.
'Onderzoek van DNA-snijvrije systemen voor defecte DMD-complementatie mogelijk gemaakt door hoog capaciteit adenovector afgifte'.
- » Dr. Fabio Iannotti, Italian National Research Council.
'Studie van de darmflora-endocannabinoïde systeem crosstalk in gedrag en cognitieve stoornissen bij Duchenne spierdystrofie'.

Weetje:

De 17e editie van Duchenne Heroes wordt er een om nooit meer te vergeten! Van 10 t/m 16 september 2023 fietsen we in zeven dagen van Duitsland, via Luxemburg en België, naar Nederland over een afstand van 700 of 500 kilometer. Fiets deze off-road tocht per mountainbike of gravelbike. 7 dagen te lang? Kies dan voor de 3 dagen variant.



Daarnaast zijn in 2022 de volgende projecten toegekend

» Emanuele Berardi, KU Leuven.

'Macrophage-specific Glutamate dehydrogenase 1 (Glud1) as therapeutic target for the treatment of Duchenne muscular dystrophy'.

» Brigida Boccanegra, University of Bari "Aldo Moro".

'KB1 as a new player in metabolic and epigenetic dysregulation in dystrophic myofibers'.

» Claire Wood, Newcastle University.

'Sexual health and Fertility in DMD'.

» Mariska Janssen, Radboud University Medical Center.

'Evaluation of physical fatiguability in people with Duchenne Muscular Dystrophy using a dynamic arm support'.

» Cara Timpani, Victoria University.

'Unravelling the impact of the microbiota on skeletal muscle in Duchenne Muscular Dystrophy'.

» Menno van der Holst, Leids Universitair Medisch Centrum.

'Paramedische zorg en ondersteuning bij Duchenne Spierdystrofie. The State of the Art (Symposium)'.

» Remco Goossens, Leids Universitair Medisch Centrum.

'In Vivo validation of a combination therapy of antisense oligonucleotides and antioxidants for Duchenne muscular dystrophy'.

Voor een aantal al eerder toegezegde onderzoeksprojecten werd de einddatum opgeschoven in verband met vertraging door Covid.

Sinds 2016 sponsort Duchenne Parent Project een zogenoemd 'Validatie lab' binnen de afdeling Humane genetica van het LUMC waar testen en (her)testen van geneesmiddelen kan plaatsvinden. Veel vorderingen werden gemaakt met het door ons geïnitieerde en gesponsorde FAIR project, waarvoor in de internationale zeldzame ziekte veld veel belangstelling is.

Weetje:

Op zaterdag 2 september zijn wij weer te gast bij de triathlon Apeldoorn. Wij mogen ons dan van onze sportiefste kant laten zien in en rond het grootste openluchtbad van Nederland 'het Boschbad' in Apeldoorn. De 1/8 Duchenne-triathlon kan je alleen doen of met een team van 2 of 3 sporters die ieder een onderdeel op zich nemen: 500 meter zwemmen, 20 kilometer fietsen of 5 kilometer hardlopen.



“In our project, we will test new ultrasound techniques that can be used in the near future to foresee breathing problems at an early stage and to evaluate the effects of therapies on breathing”.

*Dr. Jonne Doorduyn,
Radboudumc*



FAIRification van het Duchenne Data Platform

FAIRification is het proces waarbij medische dossiers die in verschillende talen en formats zijn geschreven en in verschillende registers zijn opgeslagen, worden gecombineerd tot één computertaalformaat om te worden geautomatiseerd.



Dankzij de FAIR-protocollen en speciale algoritmen kunnen computers helpen de in DDP opgeslagen gegevens vindbaar, toegankelijk, interoperabel en herbruikbaar te maken voor zowel mensen als machines. Dit gebeurt automatisch, zonder gegevens te verplaatsen.

Findable

Professionals uit de gezondheidszorg kunnen zien welke gegevens in DDP aanwezig zijn en waar deze zijn te vinden.

Accessible

Zodra zorgprofessionals de gezochte gegevens hebben gevonden, weten zij of zij toestemming hebben deze te gebruiken.

Interoperable

Dossiers die in verschillende talen en formats zijn geschreven, kunnen worden gecombineerd (de dossiers van DDP worden aan andere gekoppeld om tot betere inzichten te komen).

Reusable

Betekent dat gegevens meer dan eens kunnen worden gebruikt: Voor onderzoek, maar ook door zorgverleners, regelgevers, families en patiënten.

DPP initieerde ook workshops en training voor andere organisaties. Zie de video FAIR Data for Duchenne [What Justus wants](#).

5

5: youtube.com/watch?v=MHZ377PsHZ4

Weetje:

Op welke wijze zet jij je talent in voor Duchenne Parent Project? Ben je sportief of organiseer je liever een diner? De mogelijkheden zijn legio. Start je eigen actie om sponsorgeld op te halen. Kijk voor tips en inspiratie van andere acties op <https://actie-voorduchenne.nl>



Terwijl we vorig jaar spraken over het bereiken van een FAIR-status, hebben we dit jaar via slimme algoritmen verbinding gemaakt met andere gevestigde registers en beantwoorden we automatisch enkele specifieke vragen die patiënten zouden willen weten. Dit is mogelijk omdat patiënten en/of hun verzorgers hebben ingestemd met het gebruik van hun gegevens.

Naast workshops over FAIR werden ook andere workshops gefinancierd, zoals over het effect van Duchenne en geneesmiddelen op de botdichtheid.

Voor de ontwikkeling van de exoskeletons voor de armfunctie, Yumen Bionics, was het een bijzonder jaar. **Vijf testpiloten werden**

6 **geselecteerd** die nu een jaar lang het exoskeleton testen.

Naast dit project dat we al vanaf het begin sponsoren, zijn we ook sponsor en partner in een TTW project (NWO-domein Toegepaste en Technische Wetenschappen) waar een volgende stap, een gemotoriseerde versie, wordt ontwikkeld.

7 Ook in het project **Nieuw Perspectief**, gesponsord door ZonMw en in samenwerking met meerdere partijen waaronder RadboudUMC, Emile thuiszorg, WeJane marktonderzoek en de stichting Vormmorgen, deden Duchenne families mee met het in kaart brengen waar en hoe hulp en verbetering nodig is om een goed volwassen leven met Duchenne te kunnen hebben. Nu de levensverwachting met de ziekte van Duchenne sterk is toegenomen zijn er steeds meer volwassenen die een zo zelfstandig mogelijk willen leiden en willen participeren in de maatschappij.

Noodhulp

Dankzij de ervaringen die onze stichting had opgedaan met een actie om na de ontploffing in Libanon zo snel mogelijk beademingsmachines en andere apparatuur naar Beiroet te sturen, waren we in staat om nu samen met de World Duchenne Organization snel in actie te komen voor Duchenne families in de Oekraïne en de families te ondersteunen die hun land verlaten hebben.

6: duchenne.nl/zorg-en-hulpmiddelen/jonge-pioniers-10-16-jaar-met-doorzettingsvermogen-voor-het-gebruik-van-het-eerste-yumen-bionics-exoskelet/

7: duchenne.nl/nieuws/nieuw-perspectief-op-volwassen-leven-met-duchenne/

Weetje:

Van de zorg-richtlijnen zijn 20 animaties gemaakt over diverse onderwerpen en voor verschillende leeftijdsfasen, zodat iedereen die met Duchenne te maken heeft, kan begrijpen welke zorg een Duchenne-patiënt nodig heeft en goed geïnformeerd is:

<https://duchenne.nl/duchenne-standards-of-care/>

Zorg

Via het Duchenne Centrum Nederland, waar het Duchenne Parent Project in participeert, zijn richtlijnen beschikbaar over diverse onderwerpen, maar is ook het afgelopen jaar gewerkt aan richtlijnen voor nieuwe onderwerpen, zoals perioperatieve zorg.

Ook worden richtlijnen voor zorg voor volwassenen opgesteld en hopen

- 8 we mede naar aanleiding van een **ENMC workshop** stappen te zetten in de richtlijnen voor vrouwen met Duchenne en draagsters (zie video's van
- 9 10 **drs. Saskia Houwen**, revalidatie RadboudUMC en **dr. Nicol Voermans**, neurologie RadboudUMC).

In 2022
konden we
sponsoring
voor maar liefst
14 nieuwe
onderzoeks-
projecten
toezeggen

Fondsenwerving

Zonder geld kunnen we geen grote stappen maken.

Daarom zijn we enorm dankbaar dat er veel succesvolle evenementen georganiseerd zijn, zowel door derden als door onszelf georganiseerd. In 2022 is in totaal 957.568 euro ingezameld door middel van sponsoring, donaties en acties.

De derde editie van DeDuchenne40 vond plaats op 25 juni. Na 2 jaar afwezigheid vanwege COVID-19 was de Duchenne Triathlon op 3 september weer terug. Als klapstuk de 16e editie van de Duchenne Heroes van 11 t/m 17 september met een finish in Vaals en een geweldige opbrengst van meer dan een miljoen: € 1.002.335,- (bruto).

Duchenne-Noord organiseerde weer een fantastisch gala in de Oosterpoort in Groningen met een opbrengst van maar liefst € 120.000,-. Een puzzelactie van de Service apotheken bracht € 19.000,- op en tijdens het Gala van de Dutch IT kregen we een prachtige cheque overhandigd van € 17.568,-.

Dit is maar een greep van alle acties die er georganiseerd zijn het afgelopen jaar, uiteenlopend van sportieve acties zoals sponsoropbrengst van een Duchenne tante die de Dam tot Damloop liep, als creatieve acties zoals een veiling van klompen en bierdopjes rijgen in Zijtaart.

Heel veel dank aan alle sponsoren en actievoerders!

Daarnaast zamelden we in samenwerking met Eeko ook in 2022 mobiele telefoons, tablets of cartridges in.

In onze gedachten

Last but not least staan we stil bij het overlijden van een groot aantal jongens, jongemannen en mannen met Duchenne in 2022 en willen we hun families en dierbaren veel sterkte wensen. «

8: enmc.org/download/7849

9: youtu.be/yVWNrpdXlXg

10: youtu.be/XzOyQL7t3Rk

Weetje:

Duchenne Spierdystrofie wordt veroorzaakt omdat het eiwit niet kan worden gemaakt door een fout op het X-chromosoom. Dat eiwit is nodig voor de stevigheid van de spiercellen. Omdat deze fout op het X-chromosoom zit, zijn het vooral (voor 99,9%) jongetjes die Duchenne Spierdystrofie hebben. Wereldwijd is dat aantal 1 op de 5000 jongetjes. In totaal meer dan een kwart miljoen.



“Our project aims to study if current monitoring and management strategy identifies vertebral fracture before the onset of back pain; and to gather the patients’ opinion on the use of osteoporosis therapy before fractures”.

*Dr. Jarod Wong,
University of Glasgow*

Samenwerking

Wij werken samen met artsen, wetenschappers en nationale en internationale organisaties op het gebied van spierziekten en zeldzame ziekten. Wij maken ons samen sterk voor het ontwikkelen van beleid en de ontwikkeling van geneesmiddelen, behandelingen en hulpmiddelen.

Internationale samenwerking

World Duchenne Organization

Duchenne Parent Project is lid van de wereldwijde organisatie **World**

- 11 **Duchenne Organization**. Deze internationale organisatie is in Nederland gevestigd en twee van de zes bestuursleden zijn Nederlander (Ed Snitselaar –penningmeester– en Elizabeth Vroom –voorzitter–).

Door World Duchenne Organization zijn we betrokken bij grote door de EU gesponsorde projecten. Eén van die projecten is BIND (Brain Involvement in Dystrophinopathies): een project over Duchenne en het brein, waar ook het LUMC en Kempenhaeghe bij betrokken zijn.

- 12 We zijn betrokken bij het wijdere Europese veld van zeldzame ziekten door onze vertegenwoordiging in **Eurordis**. Elizabeth Vroom is lid van de board of directors.
- 13 Binnen de **European Medicines Agency** vervult onze directeur Elizabeth Vroom verschillende functies, onder andere als lid van de Patient Consumer Working Party, patient expert bij wetenschappelijk
- 14 advies en lid van de **Adviesraad van Darwin EU**.

Duchenne Data Foundation

- 15** **Duchenne Data Foundation** (DDF) is een zusterorganisatie van de World Duchenne Organization. DDF verbindt data waarmee nieuw bewijs kan worden gegenereerd voor efficiënter en sneller onderzoek in therapieontwikkeling en zorg. Ook hierin heeft Nederland een sterke afvaardiging in het bestuur, te weten Arjen Bergsma (tevens bestuurslid Duchenne Parent Project) en Rob Schreur.



Nationale samenwerking

Duchenne Centrum Nederland

Binnen het Duchenne Centrum Nederland werken wij samen op het terrein van zorg (richtlijnen) en klinisch onderzoek met Kempenhaeghe, RadboudUMC en LUMC.

Samenwerkende spierfondsen

- 16** De vijf Nederlandse spierfondsen – **Spieren voor Spieren**,
17 18 **Prinses Beatrix spierfonds**, **Stichting ALS Nederland**, de **FSHD**
19 20 **Stichting** en **Duchenne Parent Project** – hebben zich verenigd in de ‘samenwerkende spierfondsen’. In dit samenwerkingsverband bundelen we de krachten in de strijd tegen spierziekten. Doel van de samenwerking is om kennis met elkaar te delen en zo nog sterker te staan in de strijd tegen spierziekten.

11: worldlduchenne.org

12: eurordis.org

13: ema.europa.eu/en

14: youtube.com/watch?v=bxYQUueDY0c

15: duchenndatafoundation.org

16: spierenvoorspielen.nl

17: spierfonds.nl

18: als.nl

19: fshd.nl

20: duchenne.nl

Weetje:

Hulpverleners weten vaak onvoldoende van Duchenne. Dit kan leiden tot gevaarlijke situaties. Vandaar dat veel patiënten met Duchenne Spierdystrofie een SOS-kaartje bij zich dragen. Deze is samen met Spierziekten Nederland ontwikkeld. Het is te downloaden via <https://duchenne.nl/sos-kaartje/>

De vijf Nederlandse
spierfondsen –
Spieren voor Spieren,
Prinses Beatrix
spierfonds, Stichting
ALS Nederland,
de FSHD Stichting
en Duchenne Parent
Project – hebben zich
verenigd in de
‘samenwerkende
spierfondsen’.

Yumen Bionics en het exoskelet onderzoek

In 2016 heeft Duchenne Parent Project Nederland **Yumen**

- 21 Bionics B.V.** opgericht om de veelbelovende concepten uit zowel gefinancierde onderzoeksprojecten als ervaringen uit de community af te ronden en te vercommercialiseren. In samenwerking met o.a. het RadboudUMC is een exoskelet ontwikkeld. Dit niet-gemotoriseerd exoskelet voor het bovenlichaam zit dicht tegen het lichaam aan en biedt steun die de zwaartekracht opheft in elke mogelijke natuurlijke positie van beide armen.

Dit betekent dat er geen energie wordt verspild aan het heffen van de armen, zodat de resterende spierkracht kan worden gebruikt voor het uitvoeren van waardevolle armbewegingen in het dagelijks leven. Zoals pianospelen, legobouwwerken, sporten en eten.

Patiënten worden door het exoskelet ook minder snel moe. De armen raken minder overbelast. Door het lichte gewicht kan het exoskelet met een handbewogen rolstoel worden gebruikt. Het voordeel hiervan is dat jongens die geen elektrische rolstoel hebben, ook gebruik kunnen maken van het exoskelet. «



Weetje:

Vroegtijdige herkenning van tekenen die duiden op Duchenne is het beste instrument dat we hebben op dit moment. Vroege opsporing geeft niet alleen ouders de mogelijkheid om een goede ouder te zijn, maar vroegere diagnose van DMD zal bovendien tijdige toegang tot genetische counseling, standards of care en klinische onderzoeken geven. Lees erover op onze website: <https://duchenne.nl/wat-is-duchenne-spierdystrofie/>



“The progress in our ability to alter specific DNA sequences in a precise manner, as a form of “genome editing”, is opening new and exciting perspectives for DMD therapies. The drive in our team is to contribute to these efforts”.

*Dr. Manuel Gonsalves,
Leids Universitair Medisch Centrum*

Gegevens organisatie

Directie en medewerkers

Directie: Elizabeth Vroom

Projectmanager: Mirjam Franken

Wetenschapscoördinator: Michelle Reneerkens

Communicatieadviseur fondsenwerving: Tinha Oehl

Bestuur

Voorzitter: Floor Knuistingh Neven

Penningmeester: Ed Snitselaar

Arjen Bergsma

Klaartje Spijkers

Martina Aalders

Tessa van der Valk

Wetenschappelijke adviesraad

Prof. Nathalie Goemans

Prof. Annemieke Aartsma-Rus

Prof. Thomas Rando

Prof. Terry Partridge

Ereleden

Prof. Gert-Jan van Ommen

Prof. Victor Dubowitz

Bankgegevens Duchenne Parent Project

Duchenne Parent Project
Landjuweel 34
3905 PG Veenendaal
ING 818.818 te Amsterdam
IBAN: NL15 INGB 0000 818 818
BIC: INGBNL2A
KvK: 41214475
RSIN: 806511229



Parent Project Productions

De Stichting Parent Project Productions geeft verschillende communicatie materialen uit voor Duchenne Parent Project en organiseert het jaarlijkse Duchenne congres.

IBAN: NL 65 ABNA 0607 6987 64
BIC: ABNANL2A
KvK-nummer 41216196
BTW: NL 8055.51.001.B.01

Partners van Duchenne Parent Project

Het team van CallCare neemt al jaren belangeloos de telefoon voor ons op.

ANBI-beschikking

Duchenne Parent Project is een Algemeen Nut Beogende Instelling. Meer informatie op: www.anbi.nl

Vervolg Gegevens organisatie

Beloningsbeleid

Bestuursleden ontvangen geen bezoldiging en/of vacatiegeld. Een redelijke vergoeding voor gemaakte onkosten wordt niet als bezoldiging aangemerkt. Onze bestuursleden bekleden hun bestuursfunctie vrijwillig en zetten zich naast hun bestuursfunctie ook regelmatig actief in voor de stichting.

Voor onze directie kennen wij een bezoldigingsbeleid dat bewust ruim onder het niveau blijft dat is vastgesteld in de “Code voor Goed Bestuur bij fondsenwervende goede doelenorganisaties, oftewel Code Wijffels”.

Financiële ratio's

Het streven van het bestuur is om de wervingskosten en kosten aan beheer en administratie zo laag mogelijk te houden. Het doel is om de wervingskosten als percentage van de geworven baten < 20% te houden. Het totaal aan bestedingen aan de doelstellingen wordt niet gekwantificeerd, omdat dit te veel afhankelijk is van het aanbod van kwalitatief goede aanvragen voor onderzoeksprojecten.

De organisatie hanteert conform vorige jaren de volgende verdeling van uitvoeringskosten van de eigen organisatie.

Kostensoort	Toerekening aan Beheer & Administratie
Personeel	25% Beheer en Administratie, 75% doelstelling
Automatisering	100%
Kantoorlasten	100%
Marketingkosten	Voor zover niet toerekenbaar aan doelstelling
Verzekeringen	Voor zover niet toerekenbaar aan doelstelling
Overige kosten	Voor zover niet toerekenbaar aan doelstelling

De gerealiseerde verhoudingen in het boekjaar zijn als volgt:

Besteed aan doelstellingen: € 474.209 (2021: € 1.034.207)

Wervingskosten: € 111.827 (2021: € 90.759)

Kosten beheer en administratie: € 87.300,- (2021: € 117.348)

Geworven baten: € 937.568,- (2021: € 1.419.570)

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 'geoomerkt' geld gereserveerd heeft voor lopende projecten die meerdere jaren lopen of projecten die nog niet zijn gestart maar wel zijn toegezegd.

Het streven van het bestuur is om een continuïteitsreserve van maximaal € 350.000,- aan te houden. Dit is gelijk aan de Richtlijn financieel beheer goede doelen van de VFI om de continuïteitsreserve te baseren op maximaal 1,5x de jaarlijkse kosten van de eigen organisatie (excl. bestedingen aan de doelstelling).





“While growing into the Duchenne field, I felt a sense of community around Duchenne in the Netherlands but also globally that motivates me to work towards improving the quality of life of individuals affected by DMD. The funded research project aims to assess whether we can accurately predict the results of performance tests and functional scales by using a few blood parameters”.

*Dr. Pietro Spitali,
Leids Universitair Medisch Centrum*



Colofon

Website:

www.duchenne.nl

Redactie:

Elizabeth Vroom, Mirjam Franken

Tekst:

Elizabeth Vroom

Ontwerp en vormgeving:

Hans. Concept & ontwerp – www.hansbulthuisontwerp.nl

DE
DUCHENNE
40



