



Jaarverslag 2023



Historie

In 1994 startte Elizabeth Vroom, moeder van een destijds 4-jarige zontje met Duchenne, na contact met Amerikaanse Duchenne ouders, een stichting op om ook in Nederland geld in te zamelen waardoor belangrijk en baanbrekend onderzoek kon worden gefinancierd. 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. De afgelopen decennia hebben tot veel voortgang voor mensen met Duchenne geleid.

Aan het einde van 2023 nam Elizabeth Vroom, oprichtster en directeur, afscheid, wat de aanleiding was voor een overgangsjaar voor Duchenne Parent Project. Tijdens dit jaar werd teruggeblikt op 30 jaar activiteiten en werd een nieuwe koers voor de toekomst uitgestippeld. Dit jaarverslag werpt een licht op alle initiatieven die in 2023 zijn ondernomen. «





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, zoals andere patiëntenorganisaties, internationale wetenschappers en artsen, is daarbij essentieel.



Strategie

Duchenne Parent Project bereikt haar doel door alleen het allerbeste wetenschappelijke onderzoek te financieren. Dit betekent per definitie dat er internationaal gesponsord wordt. Een internationale wetenschappelijke adviesraad met de meest gerenommeerde wetenschappers op dit terrein adviseert het bestuur. Projecten worden 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 2023

In 2023 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 en wereldwijde 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:

Wist je dat de meeste mensen met Duchenne inmiddels boven de 18 jaar zijn? De schatting is dat er inmiddels in Nederland zo'n 250 volwassenen met Duchenne zijn, tegenover 200 kinderen. Een mooi testament van de voortgang in de afgelopen 30 jaar.



Transitie

In 2023 beleefde Duchenne Parent Project (DPP) een belangrijk jaar van verandering. Na drie decennia onder leiding van Elizabeth Vroom, de oprichter en directeur vanaf het allereerste begin, stond DPP voor de overgang naar een nieuw leiderschap. In de eerste maanden van dat jaar trad Marjan ter Avest op als mededirecteur van DPP. Met haar brede ervaring in de belangenbehartiging voor cliënten en hun naasten, bracht ze waardevolle inzichten mee voor de verdere ontwikkeling en professionalisering van onze organisatie.

Na deze periode ging DPP op zoek naar een nieuwe directeur om Elizabeth Vroom definitief op te volgen. We zijn verheugd te kunnen melden dat Anneliene Jonker is aangesteld voor deze rol. In de laatste maanden van 2023 werkte Anneliene nauw samen met Elizabeth om kennis over te dragen, verantwoordelijkheden over te nemen en vertrouwd te raken met alle connecties en netwerken van DPP.

Gedurende deze transitieperiode werd DPP ook ondersteund door Stephanie Henderson, een expert op het gebied van transitie. Zij werkte samen met Anneliene Jonker, Elizabeth Vroom en het hele team en bestuur van DPP om de organisatie opnieuw vorm te geven en klaar te maken voor een nieuw tijdperk onder nieuw leiderschap.

Nu staan we aan het begin van een nieuw hoofdstuk. Terwijl we nieuwe uitdagingen en kansen verwelkomen, blijven we vasthouden aan de kernwaarden die DPP kenmerken. «

Weetje:

September 7 is de jaarlijkse World Duchenne Awareness Day. Op deze dag geven we wereldwijd aandacht aan Duchenne en Becker Spierdystrofie. Ieder jaar is er een speciaal thema dat extra aandacht verdient. Voor 2024 is dat 'Raise your voice for Duchenne'. Hiermee willen we gelijke kansen creëren voor iedereen in onze samenleving.

<https://www.worldduchenne.org>

Toekomstplannen 2024

Voor het jaar 2024 hebben we een reeks activiteiten en evenementen gepland om onze gemeenschap te ondersteunen en te versterken.

1 Hieronder een overzicht van de **belangrijkste activiteiten**:

1. **Webinar Agamree® (vamorolone)**: Op 11 maart 2024 organiseren we een informatieve webinar over Agamree® (vamorolone), een ontstekingsremmend medicijn voor Duchenne wat eind 2023 is goedgekeurd door de Europese Unie. Deze webinar biedt ouders en verzorgers de mogelijkheid om meer te leren over de vervolgstappen en het regulatoire proces.
2. **Bijeenkomst nieuwe ouders**: Op 17 maart 2024 verwelkomen we nieuwe ouders van kinderen met Duchenne voor een kennismakingsbijeenkomst. Dit evenement is bedoeld om ouders te ondersteunen, informatie te verstrekken en hen in contact te brengen met anderen in dezelfde situatie.
3. **De Duchenne 40**: Tijdens het weekend van 22 en 23 juni 2024 vindt de jaarlijkse Duchenne 40 plaats. Dit sportieve evenement brengt onze gemeenschap samen om fondsen te werven en bewustwording te vergroten door middel van o.a. 40 km fietsen of wandelen.

1: <https://duchenne.nl/algemeen/agenda-2024/>

4. **Duchenne Familie Picknick:** Op zondagmiddag 9 juni 2024 organiseren we een gezellige familiepicknick. Dit informele evenement biedt families de gelegenheid om elkaar te ontmoeten, ervaringen te delen en een leuke middag te beleven.
5. **Duchenne Surf Event:** Op 17 en 18 augustus 2024 vindt het Duchenne Surf Event plaats. Dit tweedaagse evenement biedt kinderen met Duchenne de kans om deel te nemen aan surflessen.
6. **Duchenne Awareness Day:** Op 7 september 2024 is het Duchenne Awareness Day. Deze dag staat in het teken van het vergroten van de bekendheid en het begrip van Duchenne, met verschillende activiteiten en campagnes.
7. **Duchenne Heroes 18e editie:** Een hoogtepunt van het jaar is de 18e editie van Duchenne Heroes, die plaatsvindt van 8 tot en met 14 september 2024. Deze uitdagende fietstocht is een belangrijke fundraiser en een evenement dat de kracht van onze gemeenschap benadrukt.
8. **Duchenne Triathlon in Apeldoorn:** Op zaterdag 14 september 2024 organiseren we de Duchenne Triathlon in Apeldoorn. Dit sportieve evenement moedigt deelnemers aan om in actie te komen en geld in te zamelen voor onderzoek naar Duchenne.
9. **Duchenne Congres:** Op zaterdag 23 november 2024 sluiten we het jaar af met het Duchenne Congres. Dit evenement brengt experts, onderzoekers, en families samen om de nieuwste ontwikkelingen en bevindingen rondom Duchenne te bespreken.

We kijken ernaar uit om deze activiteiten tot een groot succes te maken en daarmee de steun voor onze gemeenschap verder te versterken.

Weetje:

Het zorgvuldig selecteren van veelbelovend Duchenne onderzoek en het nauwkeurig volgen van de vorderingen en bestedingen zijn belangrijke voorwaarden om de door ons gesponsorde onderzoeks-trajecten succesvol te laten zijn.

Lees alles over de onderzoeken en projecten die wij steunen:

<https://duchenne.nl/geneesmiddelen-ontwikkelen>



Inhoud



Historie	2
Missie, visie en strategie	4
Transitie	7
Toekomstplannen 2024	8
Duchenne Spierdystrofie	12
» Oorzaak	
2023	14
» Activiteiten voor onze leden	
» Informatie verstrekken	
» Sponsoring wetenschappelijk onderzoek	
» Nieuwe Duchenne onderzoeken gefinancierd door DPP Nederland	
» Zorg	
» Fondsenwerving	
» In onze gedachten	
Samenwerking	28
» Internationale samenwerking	
» World Duchenne Organization	
» Duchenne Data Foundation	
» Nationale samenwerking	
» Duchenne Centrum Nederland	
» Samenwerkende spierfondsen	
» 15 jaar DPP en Kempenhaeghe	
Gegevens van de organisatie	32



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 wordt deel van volwassenen met Duchenne zelfs 40 jaar of ouder

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/>



2023

Activiteiten voor onze leden

We kijken terug op een jaar vol mooie activiteiten, en het is lastig een overzicht te maken, met het risico een aantal activiteiten te kort te doen. Hierbij toch een greep van de allermooiste activiteiten.

Bijeenkomst nieuwe ouders

Het jaar begon met op 19 maart een bijeenkomst voor alle nieuwe Duchenne ouders. Duchenne Parent Project organiseerde voor ouders wiens kind recent (gedurende de laatste jaren) de diagnose Duchenne gekregen had, een bijeenkomst om elkaar te ontmoeten en ervaringen uit te wisselen. Een mooie middag, waarin veel ouders aangaven zelfs volgend jaar graag nog een keer terug te willen komen.

Duchenne Congres: op safari in Burgers' Zoo

Op zaterdag 3 juni jl. kon het Duchenne Parent Project gelukkig weer een live Duchenne Congres organiseren in Koninklijke Burgers' Zoo & Safari Meeting Centre. Het was een zeer geslaagde dag. Dank aan iedereen die geholpen heeft om dit congres tot een succes te maken. Dankzij de vrijwilligers hebben de kinderen ook een geweldige dag gehad in de dierentuin en tijdens het gamen o.l.v. WePlay Esports.

Duchenne Award 2023

Dit jaar ontving mr. Ed Snitselaar tijdens het congres de Duchenne Award 2023 voor zijn rol als penningmeester in het bestuur van Duchenne Parent Project en de internationale stichtingen en zijn enorme betrokkenheid gedurende de laatste 24 jaar!

Dreamnight at the Zoo

We konden weer veel families blij maken met 'Dreamnight at the Zoo' in Diergaarde Blijdorp en DierenPark Amersfoort op vrijdagavond 2 juni en Burgers' Zoo op vrijdagavond 30 juni.



Weetje:

Wist je dat we denken dat er in Nederland meer dan 300 Duchenne draagsters zijn? Een deel van deze draagsters ervaren klachten, maar hoe we deze groep het beste ondersteunen moet in de komende jaren verder ontwikkeld worden.



Pilot Duchenne Surf Event

Op 27 augustus was er een pilot Duchenne surf event. Het bleek een groot succes! De jongens en hun ouders hebben genoten, en zo ook de vrijwilligers en surfinstructeurs. Het was zeker voor herhaling vatbaar! In 2024 komt er een vervolg.

World Duchenne Awareness Day

Rond 7 september, de World Duchenne Awareness Day, waren er meerdere activiteiten rond het thema 'barrières breken'. Iedereen met Duchenne komt barrières tegen, maar niet iedereen heeft dezelfde mogelijkheden om ze te overwinnen. Toegang tot goede zorg, toegang tot voldoende financiële middelen, toegang tot de maatschappij en in sommige landen zelfs toegang tot een dak boven je hoofd. Hoe deze barrières doorbroken konden worden was het thema van dit jaar.

Duchenne Festival Barrières Breken



Het online Duchenne Festival werd op 5 november georganiseerd met dit jaar als thema 'barrières breken'. In een live talkshow onder leiding van presentator Gerrit Heijkoop gingen de sidekicks Justus Kuijer en Frank van Ieperen samen met de gasten Stan van de Ven, Bram van Beeck, Viggo Severijns en Ralph Franken in op de barrières vrije tijd, werk, wonen, helpers en vrienden en mogelijke oplossingen.

Voor dit project hebben we subsidie ontvangen van FNO Klein Geluk.





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.

1. Vanuit Nederland werd ook het internationale Duchenne Care Congres georganiseerd met als thema 'Duchenne Care: 5 jaar na de geüpdate Standards of Care (Lancet)'
2. Op 7 november organiseerde WDO een internationaal webinar over genterapie bij Duchenne. Dit webinar gaf een uitgebreid overzicht van en inzicht in het genterapie-landschap voor DMD (Duchenne muscular dystrophy).
3. Dit jaar is Duchenne Parent Project een samenwerking gestart met Erika van de Bilt, onafhankelijk cliëntondersteuner. Het eerste webinar in deze samenwerking was op maandagavond 20 november over PGB en Zorgwetten. In dit webinar gaf zij adviezen en voorlichting om te voorkomen dat er vastgelopen wordt in de zoektocht naar passende zorg en ondersteuning.

Weetje:

Op zondag 9 juni organiseerden we weer voor al onze Duchenne families een gezellige picknick in Soesterberg.

Terwijl ouders, (jong)volwassenen met Duchenne en overige gezinsleden konden bijpraten, maakten de kinderen kennis met rolstoelvoetbal en een voetbalschieter en waren er daarnaast diverse spelletjes te doen en konden ze geschminkt worden.



Sponsoring wetenschappelijk onderzoek

In 2023 konden we sponsoring voor 5 nieuwe onderzoeksprojecten toezeggen. De onderwerpen lopen uiteen van psychosociale zorg voor jongens en mannen met Duchenne, een lab ter bevestiging van eerder behaalde resultaten en een pilot voor het Duchenne surf event.



Daarnaast heeft prof. Annemieke Aartsma-Rus LUMC een **2** **overzicht gemaakt** (bijgewerkt in augustus 2023) van alle ontwikkelingen van therapieën voor Duchenne.

Nieuwe Duchenne onderzoeken gefinancierd door Duchenne Parent Project Nederland

In 2023 zijn de volgende vijf nieuwe onderzoeksprojecten voor financiële ondersteuning goedgekeurd:

- » Prof. Lucy Bray, Edge Hill University.
'Proposal to extend qualitative research on vertebral fractures in DMD'. Gefinancierd door middelen van Duchenne Parent Project Belgium vzw.
- » Dimitrios Athanasiou, The World Duchenne Organization.
'Accelerate Duchenne'.
- » Dr. Jos Hendriksen.
'Psychologie van Duchenne 2.0: Diagnostiek en behandeling van aspecten van Leren en gedrag 2023–2027'.
- » Prof. Annemieke Aartsma-Rus, Leids Universitair Medisch Centrum.
'Verlenging van het validatie lab'.
- » Dr. Menno van der Holst, Leids Universitair Medisch Centrum.
'Pilot Duchenne Golf surf event'.

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://actievoorduchenne.nl>



EXone armondersteuner Yumen

Daarnaast loopt er een groot aantal projecten welke in eerdere jaren zijn gehonoreerd, waar nu resultaten van binnenkomen. Een bijzonder voorbeeld daarvan waren de exoskeletons voor de armfunctie, van Yumen Bionics. Duchenne Parent Project heeft het mogelijk gemaakt dat zij de afgelopen jaren een arm-exoskelet hebben ontwikkeld en na een pioniersproject met vijf stoere jongens zijn dit jaar de eerste armondersteuners uitgegeven. Daarnaast wordt er door andere ontwikkelaars ook nog steeds gewerkt aan een gemotoriseerde versie, als volgende

3 stap. Bekijk hier het [filmpje 'Super Yumens'](#).

Nieuw Perspectief op volwassen leven met Duchenne

In het onderzoeksproject Nieuw Perspectief op volwassen leven met Duchenne spierdystrofie waarvoor we subsidie gekregen hebben van ZonMw, werd onderzoek gedaan naar de barrières die het verschil maken tussen het 'willen' en het 'kunnen', maar ook het identificeren van succesfactoren om het gewenste leven te kunnen leiden. Dit is belangrijk omdat door nieuwe medische ontwikkelingen en verbeterde zorg het toekomstperspectief voor mensen met Duchenne steeds groter wordt. Niet alleen de levensverwachting, maar ook de mogelijkheden in het leven nemen steeds meer toe. Toch merken we voor de mannen die nu volwassen zijn het niet altijd vanzelfsprekend is om het leven dat ze wensen ook daadwerkelijk te leiden. De belangrijkste onderwerpen die genoemd werden in het kader van het leiden van een gewenst leven waren: vrije tijd, hulpmiddelen en sociale contacten.

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/>

AGAMREE® (vamorolone)

Het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) heeft een positief advies uitgebracht ten gunste van de goedkeuring van AGAMREE® (vamorolone) voor de behandeling van Duchenne (DMD) patiënten van 4 jaar en ouder. Het positieve advies van het CHMP, onderdeel van de European Medicines Agency (EMA), betekent erkenning van de klinische betekenis van AGAMREE® bij het aanpakken van deze ziekte. Op 18 december is vamorolone ook door de Europese Commissie (EC) goedgekeurd. De EMA-goedkeuring van AGAMREE® opent nu de deur naar het proces van vergoeding in Nederland. Op dit moment betekent dit dat AGAMREE® nog niet vergoed wordt in ons land. In het begin van 2024 wordt zowel een internationaal als een Nederlands webinar georganiseerd, gewijd aan AGAMREE® en het goedkeuringsproces van medicijnen.

Translarna®

Translarna®, een geneesmiddel wat in de EU voorwaardelijk is toegelaten sinds 2014 kreeg een negatief advies van de EMA en zal mogelijk van de markt gaan verdwijnen. Het bedrijf wat Translarna® op de markt brengt heeft een herbeoordeling aangevraagd waar we binnenkort meer over zullen horen. Het laatste woord is dus nog niet gezegd. Voor ouders wiens kinderen Translarna® krijgen hebben we op 27 november jl. een webinar met het CBG (de Nederlandse autoriteit) kunnen/mogen organiseren om meer uitleg over de procedure te krijgen waarbij ouders de kans kregen om vragen te stellen aan de voorzitter van dit instituut.

We zijn 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

Tamoxifen

Het onderzoek naar het effect van tamoxifen bij Duchenne werd sinds 2010 gesponsord door het Duchenne Parent Project. Een klinische studie heeft aangetoond dat tamoxifen de ziekteprogressie van Duchenne niet vertraagt wanneer het samen met corticosteroiden wordt gegeven. Met funding van patiëntenorganisaties is tamoxifen getest in de fase III TAMDMD klinische studie. Het Nederlandse deel van deze extensie trial bij jongens met Duchenne is gefinancierd door Duchenne Parent Project Nederland. In deze studie kregen Duchenne patiënten tussen de 6,5 en 12 jaar uit 7 verschillende landen ofwel tamoxifen en corticosteroiden ofwel alleen corticosteroiden. Hieruit bleek echter dat er geen serieuze verschillen waren tussen de motorische functies van jongens die alleen corticosteroiden kregen of de jongens die ook tamoxifen kregen.

Hoestmachine studie

Ook startte er dit jaar een onderzoek naar het effect van de hoestmachine studie in vergelijking tot air stacken. Al jaren wordt air stacken ingezet om de hoestkracht te verbeteren. Naast deze hoesttechniek wordt er steeds vaker een hoestmachine ingezet. Hiermee zou het makkelijker zijn om het slijm goed uit de longen te krijgen. Met dit onderzoek zal er wetenschappelijk bewijs verzameld worden over welke techniek het meest effectief is voor het voorkomen van luchtwegklachten. Dit onderzoek wordt mede mogelijk gemaakt door financiering van Duchenne Parent Project.

Dr Imelda de Groot Award 2023

De 'Dr Imelda de Groot Award' werd dit jaar uitgereikt aan Prof. Marcela Camara Machado en haar team voor haar werk voor de Neuromuscular Disease Outpatient Clinic of the Bahiana School of Medicine and Public Health, Salvador Bahia Brazil. De 'Dr Imelda de Groot Award' is een jaarlijkse onderscheiding bedoeld als stimulans om de zorg voor iedereen met Duchenne spierdystrofie (DMD) te verbeteren. De winnaar, gekozen door een jury onder leiding van Dr Imelda de Groot, ontvangt, naast de eer, € 10.000 te besteden aan dit type onderzoek.



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.

Zorg

PGB en Zorgwetten

Dit jaar is Duchenne Parent Project een samenwerking gestart met Erika van de Bilt, onafhankelijk cliëntondersteuner. Het eerste webinar in deze samenwerking was op maandagavond 20 november over **PGB en Zorgwetten**. In dit webinar gaf zij adviezen en voorlichting om te voorkomen dat er vastgelopen wordt in de zoektocht naar passende zorg en ondersteuning.

Richtlijn ontwikkeling

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

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 2023 is in totaal een geweldig bedrag ad € 1.160.117 ingezameld door middel van sponsoring, donaties en acties.

De Duchenne 40

De vierde editie van De Duchenne 40 vond plaats op 17 juni, samen met het fietsevenement The Longest Day. De ruim 200 deelnemers fietsten, wandelden of bewogen minstens 40 km vanuit huis of op de Loonse en Drunense Duinen en haalden € 33.792 sponsorgeld op. **Lees hier meer**.

Duchenne Triathlon

- 6 Ook de **Duchenne Triathlon** vond dit jaar weer plaats in Apeldoorn, waarin verschillende teams samen zwommen, fietsten en hardliepen. 48 deelnemers namen deel en dragen samen met € 26.008 bij aan ons doel.

Duchenne Heroes

- 7 Als klapstuk de **17e editie van de Duchenne Heroes** van 10 t/m 16 september met een finish van 270 fantastische helden op het dagstrand in Thorn en een geweldige sponsoropbrengst van € 981.340 (bruto).

Digitale collecte

- 8 Het jaar sloten we af met een digitale collecte met een ontroerend **filmpje 'Jij bent een lichtpuntje'** met onze held Gino. D.m.v. een Tikkie en Tik 'm door werd er tijdens deze volledig digitale collecte gecollecteerd. De opbrengst van deze collecte was € 4.485.

Dit is maar een greep van alle acties die er georganiseerd zijn het afgelopen jaar, zoals ook bijvoorbeeld de Duchenne Collecte Oost-Gelre 2023 die dit jaar voor het 12^e jaar plaats vond, school De Flevohof uit Huizen die een jaar lang met diverse acties zich inzette voor Duchenne Parent Project, het feest t.g.v. het 20-jarig huwelijksjubileum van Xenia en Marc-Jan Kroes waarbij ze als cadeau een donatie aan Duchenne Parent Project vroegen en ICAP Charity Day waarbij DPP het goede doel mocht zijn van het kantoor in Amsterdam. Grote, maar ook veel kleinere acties die het verschil kunnen maken!

Heel veel dank aan alle sponsors en actievoerders!

Daarnaast zamelden we in samenwerking met Eeko ook in 2023 mobiele telefoons, tablets en cartridges in. «

4: duchenne.us6.list-manage.com/track/click?u=2f697b99b4bf7d79d74ea7f20&id=ee53f47c-de&e=48e37bad49

5: mailchi.mp/duchenne.nl/de-duchenne-40-2023

6: duchenne.nl/algemeen/duchenne-triathlon-2023

7: duchenne.nl/algemeen/fantastische-17e-editie-duchenne-heroes

8: youtube.com/watch?v=dAtqSkvt1MM

In onze gedachten

Last but not least staan we stil bij het overlijden van een groot aantal jongens, jongemannen en mannen met Duchenne in 2023 en willen we hun families en dierbaren veel sterkte wensen.

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 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.

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.

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 advies en lid van de Adviesraad van Darwin EU.

Duchenne Data Foundation

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

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’. In dit samenwerkingsverband bundelen we de krachten in de strijd tegen spierziekten. Doel van de samenwerking is om kennis met elkaar te delen zo nog sterker te staan in de strijd tegen spierziekten.



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/>

Het Centrum voor Neurologische Leer- en Ontwikkelingsstoornissen van Kempenhaeghe is inmiddels het expertisecentrum en een internationaal gerespecteerd onderzoeksinstituut voor veel Duchenne-families



15 jaar Samenwerking DPP en Kempenhaeghe

Op 8 december stonden Duchenne Parent Project en Kempenhaeghe stil bij 15 jaar succesvolle samenwerking. Hoewel bij Duchenne spierdystrofie de aandacht in de medische wereld vooral uitgaat naar de motorische en lichamelijke achteruitgang en hoe dit proces te vertragen, zijn voor veel ouders juist de vaak voorkomende leer- en gedragsproblemen het grootste probleem in het dagelijkse leven. Al ver voor er in andere landen aandacht voor dit onderwerp was, werd het Centrum voor Neurologische Leer- en Ontwikkelingsstoornissen van Kempenhaeghe dankzij de inzet van klinische neuropsycholoog dr. Jos Hendriksen, het expertisecentrum op dit terrein en vonden niet alleen veel Duchenne families uit het hele land hun weg naar Kempenhaeghe, maar werd het ook al snel gezien als een internationaal gerespecteerd onderzoeksinstituut. «



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/>

Gegevens organisatie

Directie en medewerkers

Directie: Elizabeth Vroom

Wetenschappelijk directeur: Anneliene Jonker (vanaf november 2023)

Projectmanager: Mirjam Franken

Wetenschapscoördinator: Michelle Reneerkens

Communicatieadviseur fondsenwerving: Tinha Oehl
(vertrek november 2023)

Administratief medewerker: Inge Snitselaar

Bestuur

Voorzitter: Floor Knuistingh Neven

Penningmeester: Ed Snitselaar

Arjen Bergsma

Klaartje Spijkers

Martina Aalders

Tessa van der Valk (vertrek per 1 april 2023)

Wetenschappelijke adviesraad

Prof. Thomas Rando

Prof. Nathalie Goemans

Prof. Annemieke Aartsma-Rus

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

Bestuur

Voorzitter: Robert de Jong
Roos de Jonge
Mirjam Franken

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

Weetje:

Ook in 2024 organiseren we het Duchenne Heroes evenement. Van 8 t/m 14 september starten zo'n 300 deelnemers aan hun 3- of 7-daagse fietstocht over prachtige en spectaculaire mountainbike- en gravelpaden. Kijk op de website en doneer ook voor meer onderzoek: <https://www.duchenneheroes.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: € 648.713 (2022: € 474.209)

Wervingskosten: € 90.997 (2022: € 111.827)

Kosten beheer en administratie: € 143.040 (2022: € 87.300)

Geworven baten: € 1.160.117 (2022: € 937.568)

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 'geormerkt' 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).





Colofon

Website:

www.duchenne.nl

Redactie:

Anneliene Jonker en Mirjam Franken

Ontwerp en vormgeving:

Hans. Concept & ontwerp – www.hansbulthuisontwerp.nl





www.duchenne.nl