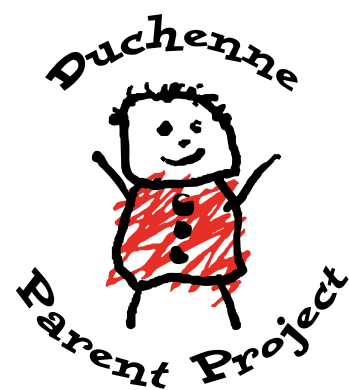




Jaarverslag 2024



Historie

In 1994 startte Elizabeth Vroom, moeder van een destijds 4-jarige zoontje 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.

2024 was het jaar waarin Duchenne Parent Project het 30-jarig bestaan vierde. Een bijzonder jaar, vol vertrouwde maar ook nieuwe activiteiten, maar ook een jaar waarin de nieuwe koers werd ingezet waarmee de organisatie zich voorbereidde op de toekomst. Dit jaarverslag werpt een licht op alle initiatieven die in 2024 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 reviews beoordeeld en volgens strenge voorwaarden geselecteerd en toegezegd. Vanaf de oprichting was het streven om een internationaal netwerk op te bouwen.



Weetje:

De structuur van het dystrofine – (of duchenne) gen werd al vastgesteld in 1986.

Het is het langste gen dat ooit beschreven is. Een gen heeft meestal zo'n 22 exonen, deeltjes van het gen met informatie voor het te maken eiwit. Het dystrofine gen heeft 79 exonen en kent daarom alleen al 4x zoveel verschillende variabelen.

Dat maakt het onderzoek naar de spierziekte ook zo verschrikkelijk ingewikkeld.

Missie, visie en strategie 2024

In 2024 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 richt op educatie van families en (para)medici, support voor families, participatie van mensen met Duchenne 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.

Het jaar 2024!

Het jaar 2024 was een bijzonder jaar voor Duchenne Parent Project: het jaar waarin 30 jaar Duchenne Parent Project werd gevierd. Een nieuwe koers werd uitgezet rondom vijf assen: “Op tijd een volwaardige diagnose,” “Ondersteunen gezin en gedrag,” “Toegang tot optimale kennis rondom zorg,” “Ontwikkeling therapie en zorg,” en “Duchenne en de samenleving.” Rondom deze thema’s werden nieuwe activiteiten gestart, terwijl ook werd voortgebouwd op bestaande succesfactoren.





Afscheid Elizabeth Vroom en Koninklijke Onderscheiding

2024 was ook het jaar waarin wij feestelijk afscheid namen van Elizabeth Vroom, oprichter en jarenlang directeur van Duchenne Parent Project.

Tijdens haar afscheidsfeest op 31 januari 2024 werd stilgestaan bij haar enorme bijdrage aan het verbeteren van onderzoek, zorg en belangenbehartiging voor mensen met Duchenne spierdystrofie. Deze mini-documentaire is gemaakt t.g.v. haar afscheidsfeest: https://youtu.be/wscOs8np_dE.

Als erkenning voor haar uitzonderlijke inzet is Elizabeth Vroom benoemd tot Officier in de Orde van Oranje-Nassau. De Koninklijke Onderscheiding werd haar uitgereikt door loco-burgemeester Alexander Scholtes van Amsterdam.

Elizabeth's impact reikt ver buiten Nederland: als mede-oprichter van de World Duchenne Organization en drijvende kracht achter internationale samenwerkingen heeft zij wereldwijd een blijvend verschil gemaakt.

Wij zijn haar diep dankbaar voor haar pionierswerk, haar visie en haar jarenlange betrokkenheid, en wensen haar alle goeds voor de toekomst. «

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 2025 is dat 'Informeel zorgverleners'.

Hiermee willen we gelijke kansen creëren voor iedereen in onze samenleving.
<https://www.worldduchenne.org>

Toekomstplannen 2025



Voor het jaar 2025 hebben we een reeks activiteiten en evenementen gepland (waarvan sommige al hebben plaatsgevonden) om onze gemeenschap te ondersteunen en te versterken. Hieronder een overzicht van de belangrijkste activiteiten:

1. **Webinar Gentherapie (28 januari 2025)**

We organiseerden een informatieve webinar over de huidige stand van zaken en nieuwe ontwikkelingen rondom gentherapie. Daarnaast werd er ook stilgestaan bij de praktische kanten van gentherapie. Deze webinar bood ouders en verzorgers maar ook mensen met Duchenne zelf de mogelijkheid om meer te leren over gentherapie, en welke verwachtingen zij kunnen hebben van de meest recente ontwikkelingen.

2. **Bijeenkomst nieuwe ouders (16 maart 2025)**

Op zondagmiddag 16 maart 2025 organiseerden we een bijeenkomst voor ouders van wie recent de diagnose Duchenne bij hun kind is gesteld. Tijdens deze middag in Soesterberg kregen ouders praktische informatie, konden ze vragen stellen aan ervaringsdeskundigen en ervaringen delen met andere ouders. De bijeenkomst werd als warm, laagdrempelig en waardevol ervaren.

1: <https://duchenne.nl/algemeen/agenda-2025/>

3. **SLOWtriathlon Ouderkerk aan de Amstel (24 mei 2025)**

Op zaterdag 24 mei 2025 vindt in Ouderkerk aan de Amstel de eerste editie van de SLOWTriatlon plaats ten bate van Duchenne Parent Project. Deelnemers voltooien op eigen tempo een 1/8^e of 1/4^e triatlon – zonder wedstrijddruk, met focus op sportplezier en saamhorigheid. Met deze laagdrempelige sportdag zamelen we geld in voor onderzoek en betere zorg voor mensen met Duchenne spierdystrofie



4. **Duchenne Surf Event (14 en 15 juni 2025)**

Tijdens het Duchenne Surf Event in Ouddorp krijgen kinderen met Duchenne de kans om onder professionele begeleiding te surfen. Dit bijzondere weekend vol sport, plezier en ontmoetingen is inmiddels een geliefde jaarlijkse traditie geworden dankzij een subsidie van FNO Klein Geluk.

5. **De Duchenne 40 (21 en 22 juni 2025)**

Tijdens De Duchenne 40 zetten deelnemers zich sportief in door 40 km te wandelen, fietsen of op een andere creatieve manier af te leggen op een locatie naar keuze. Met dit landelijke actieweekend halen zij geld op voor onderzoek en zorg voor mensen met Duchenne.

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>





6. **Duchenne Familie Picknick (29 juni 2025)**
Een informele, gezellige middag waar families ervaringen kunnen uitwisselen en ontspannen samenkomen.
7. **Duchenne Triathlon Apeldoorn (6 september 2025)**
Op zaterdag 6 september 2025 vindt de Duchenne Triathlon plaats in en rond het Boschbad in Apeldoorn. Teams van drie deelnemers (of minder) leggen samen een 1/8^e triatlon af in een sportieve en toegankelijke setting. De opbrengst van dit laagdrempelige evenement komt ten goede aan onderzoek en zorg voor mensen met Duchenne.
8. **Duchenne Awareness Day (7 september 2025)**
Jaarlijks op 7 september vindt World Duchenne Awareness Day plaats, een wereldwijde dag waarop aandacht wordt gevraagd voor Duchenne en Becker spierdystrofie. Elk jaar staat een ander thema centraal, met als doel meer bewustwording te creëren en wereldwijd aandacht te vragen voor de impact van de ziekte en het belang van goede zorg, inclusie en onderzoek.
9. **Duchenne Heroes 19e editie (7 t/m 13 september 2025)**
Een hoogtepunt van het jaar is de 19^e editie van Duchenne Heroes, die plaatsvindt van 7 tot en met 13 september 2025: een zware, maar onvergetelijke mountainbiketocht van zeven dagen door drie landen. Deze uitdagende fietstocht is onze belangrijkste fundraiser en een evenement dat de kracht van onze gemeenschap benadrukt.
10. **Duchenne Congres (1 november 2025)**
In november 2025 organiseren we opnieuw het Duchenne Congres: dé ontmoetingsplek voor families, zorgverleners, onderzoekers en andere betrokkenen. Tijdens dit jaarlijkse evenement worden de nieuwste inzichten in zorg, therapieën en kwaliteit van leven gedeeld, en is er volop ruimte voor ontmoeting, uitwisseling en inspiratie.

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 Duchenne Parent Project selecteert en sponsort onderzoeksprojecten die kunnen leiden tot een behandeling van Duchenne Spierdystrofie.

Het is onze missie om – middels onderzoek – behandelingen, medicijnen en producten te ontwikkelen waarmee de ziekte van Duchenne minder ernstige gevolgen heeft dan dat het nu heeft.

Door ervoor te zorgen dat spiercellen niet of in ieder geval langzamer afbreken, het hart in goede conditie blijft en verlies van spierkracht en functie gecompenseerd kan worden.



Inhoud



Historie	2
Missie, visie en strategie	4
Het jaar 2024!	6
Toekomstplannen 2025	8
Duchenne Spierdystrofie	14
» Oorzaak	
2024	16
» Activiteiten voor onze leden	
» Informatie verstrekken	
» Sponsoring wetenschappelijk onderzoek	
» Nieuwe Duchenne onderzoeken gefinancierd door Duchenne Parent Project	
» Zorg	
» Fondsenwerving	
» In onze gedachten	
Samenwerking	32
» Internationale samenwerking	
» World Duchenne Organization	
» Duchenne Data Foundation	
» Nationale samenwerking	
» Duchenne Centrum Nederland	
» Samenwerkende spierfondsen	
Gegevens van de organisatie	36



Duchenne Spierdystrofie

Oorzaak

Duchenne Spierdystrofie wordt veroorzaakt door een fout op het X-chromosoom, waardoor het eiwit dystrofine niet kan worden aangemaakt. Dat eiwit is nodig voor de stevigheid van de spiercellen. Het resulteert in afbraak van spierweefsel dat wordt vervangen door vet en/of bindweefsel. 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% van de jongens leer- en/of gedragsproblemen ervaart. Omdat deze fout op het X-chromosoom zit, zijn het vooral jongens en (jonge)mannen die Duchenne Spierdystrofie hebben. Wereldwijd is dat aantal 1 op de 5000 jongetjes. In totaal meer dan een kwart miljoen.



Toch zijn er ook meisjes en vrouwen die klachten hebben en geen of onvoldoende dystrofie aanmaken.

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

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). In 2024 werd één geneesmiddel voor Duchenne Spierdystrofie in behandeling genomen door het Zorginstituut Nederland (ZiN). Het vamorolone werd pas begin 2025 in behandeling genomen. «

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/>



2024

Activiteiten voor onze leden

We kijken terug op een jaar vol mooie activiteiten, en het is lastig een overzicht te maken, zonder het risico sommige activiteiten tekort te doen. Hierbij toch een greep uit de meest bijzondere momenten.

Webinar Agamree®

Het jaar begon met een webinar over Agamree® (vamorolone) op 11 maart 2024, een ontstekingsremmend medicijn voor Duchenne dat eind 2023 is goedgekeurd door de Europese Unie. Deze webinar bood ouders en verzorgers de mogelijkheid om meer te leren over de vervolgstappen en het proces rondom regelgeving.

Bijeenkomst voor nieuwe ouders

Op zondagmiddag 17 maart organiseerde Duchenne Parent Project opnieuw een bijeenkomst voor ouders van kinderen bij wie recent de diagnose Duchenne is gesteld (in de afgelopen jaren). Tijdens deze informele bijeenkomst konden ouders elkaar ontmoeten en ervaringen delen. Veel ouders gaven aan steun en herkenning te vinden in de verhalen van anderen, wat deze bijeenkomst extra waardevol maakte.

Duchenne Familiepicknick

Op zondagmiddag 9 juni vond de Duchenne Familiepicknick plaats in Soesterberg. Ouders, (jong)volwassenen met Duchenne en overige gezinsleden konden bijpraten, terwijl de kinderen genoten van activiteiten zoals rolstoelvoetbal. Het was een geslaagde en gezellige middag!

Weetje:

Het risico dat de kinderen van een draagster het beschadigde gen erven is 50%.

Dit betekent dat 50% van alle jongens waarvan de moeder gen-draagster de ziekte krijgen. Op hun beurt zullen 50% van de meisjes gen-draagster worden.

Dit risico blijft hetzelfde voor alle volgende kinderen van deze moeder en is niet lager in gezinnen waar al een kind de spier-ziekte heeft.

Er zijn dan ook families met twee of meer zonen met Duchenne Spierdystrofie.





Dreamnight at the Zoo

Ook dit jaar konden Duchenne-families genieten van de Dreamnight at the Zoo. In Burger's Zoo op vrijdagavond 31 mei 2024, DierenPark Amersfoort en Diergaarde Blijdorp (Rotterdam) op vrijdagavond 7 juni 2024 beleefden gezinnen een speciale avond vol dierenplezier.

Geslaagd surfweekend in Zeeland

Op 17 en 18 augustus vond de tweede editie van het Duchenne Surf Event plaats in Ouddorp. Jongens met Duchenne genoten van een geweldige tijd op het water, onder begeleiding van surfinstructeurs en vrijwilligers. Dankzij de organisatie van Menno van der Holst (LUMC en Duchenne Centrum Nederland), de surfschool Surfkaravaan, de vele vrijwilligers, Duchenne Parent Project en de subsidie van FNO Klein Geluk werd dit weekend een onvergetelijke ervaring. In 2025 krijgt dit evenement een vervolg.

World Duchenne Awareness Day



Op 7 september vond de 11e editie van de World Duchenne Awareness Day plaats. Wereldwijd werd aandacht gevraagd voor Duchenne- en Becker-spierdystrofie (DMD/BMD). Het thema van dit jaar, 'Raise Your Voice for Duchenne', richtte zich op het versterken van stemmen die opkomen voor de rechten, inclusie en het welzijn van mensen met Duchenne.

Op verschillende plekken in Nederland kleurden iconische locaties rood om aandacht te vragen voor Duchenne spierdystrofie: Hotel de Wereld in Wageningen, de Hofpleinvijver en het Wereldmuseum Rotterdam werden prachtig aangelicht. Daarnaast deelden we een reeks video's waarin mensen vertelden wat toegankelijkheid voor hen betekent – krachtige verhalen die laten zien hoe belangrijk een inclusieve samenleving is voor iedereen.





Duchenne Congres: 30 jaar Duchenne Parent Project!

Het Duchenne Congres in CORPUS, Oegstgeest, op 23 november was een speciaal jubileumcongres ter ere van 30 jaar Duchenne Parent Project. In de ochtend werd stilgestaan bij 30 jaar Duchenne Parent Project en de recent toegekende projecten. Daarna volgden presentaties van experts over uiteenlopende onderwerpen, waaronder de nieuwste ontwikkelingen in therapie-onderzoek, de impact op draagsters, psychologische aspecten zoals emotie en leren, fysiotherapie, richtlijnen rond ademhaling en relaties en intimiteit bij Duchenne. In de middag, na een bezoek van Sinterklaas, konden de deelnemers kiezen uit verschillende workshops, zoals stoere uitjes, breinonderzoek, en woningaanpassingen.

Duchenne Award 2024

Tijdens het Duchenne Congres 2024 ontving Justus Kuijer de Duchenne Award. Al ruim twintig jaar zet hij zich met hart en ziel in voor de Duchenne community – als vrijwilliger, familielid en actieve deelnemer. Zijn betrokkenheid en positieve energie zijn van grote waarde.

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 doelgroepen 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 (gedeeld via haar @oligogirl.bsky.social account. Deze nieuwsbrief is een samenwerking met Duchenne Centrum Nederland.

Weetje:

Voor Duchenne onderzoek is veel geld nodig. De meeste onderzoeksprojecten worden aangevraagd voor de duur van twee jaar en kosten maximaal € 100.000.

Eigenlijk vallen die kosten van onderzoek mee wanneer je het per uur uitrekent. Gemiddeld kost onderzoek namelijk € 50 per uur. Dat bedrag is onder te verdelen in salaris van de onderzoeker, materialen en apparatuur etc.

Zamel je € 50 in, dan kan een onderzoeker een uur aan de slag!



Sponsoring wetenschappelijk onderzoek

In 2024 konden we sponsoring voor zeven nieuwe onderzoeksprojecten toezeggen voor de onderzoekscall “The Future of Duchenne,” een call speciaal voor jonge onderzoekers vanuit de hele wereld. Deze projecten richten zich op verschillende onderwerpen, waaronder zorg voor draagsters, spieren-op-een-chip, preventie van botbreuken, advanced care planning, ontwikkeling van nieuwe biomarkers, remmen van fibrose en stimuleren van spieractiviteit.

Daarnaast heeft prof. Annemieke Aartsma-Rus LUMC een overzicht gemaakt (bijgewerkt in december 2024) van alle ontwikkelingen van therapieën voor Duchenne.

Nieuwe Duchenne onderzoeken gefinancierd door Duchenne Parent Project

In 2024 zijn de volgende zeven nieuwe onderzoeksprojecten voor financiële ondersteuning goedgekeurd:

- » James March, Royal Holloway, University of London
Combinatie van CRISPRa-gemedieerde remming van fibrose met U7snRNA- gemedieerde exon-skipping voor dystrofine-redding voor gentherapie voor Duchenne- spierdystrofie
- » Justin Hardee, University of Florida
Focus naar op inspanning reagerende routes om dystrofische pathologie te belemmeren en de huidige farmacotherapieën bij DMD te verbeteren
- » Rosanne Govaarts, LUMC
De impact van chronisch corticosteroïdgebruik op hersenontwikkeling in Duchenne spierdystrofie



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>



» Merelijne Verschoof, LUMC

Het GIRLPOWER project: Inzicht in vrouwelijke dystrofino-pathie patiënten met biomarker profielen om zo de herkenning en behandeling te verbeteren

» Remko Goossens, LUMC

Gebruik van nieuwe spier-op-een-chip-modellen voor karakterisering van dystrofine afhankelijke signaalverstoringen bij Duchenne spierdystrofie

» Jurianne Fahner, UMC Utrecht

Naar de toekomst kijken: doelen stellen en beslissingen maken in Duchenne spierdystrofie met advance care planning

» Shima Abdelrahman, University of Glasgow

Preventie van botbreuken bij jonge mensen met Duchenne Spierdystrofie

Daarnaast hebben we enkele kleinere projecten gefinancierd. Dit zijn onder andere:

» Twee vervolgprojecten binnen het BIND programma, die we samen met andere Duchenne-organisaties co-financieren.

» Projecten gericht op FAIR-data (vindbare, toegankelijke, interoperabele en herbruikbare gegevens).

EXone armondersteuner Yumen

In 2024 zette Yumen opnieuw mooie stappen met de EXone armondersteuner. Een aantal early birds heeft de EXone aange-meten gekregen, met succes: de eerste vergoeding door een zorgverzekeraar is inmiddels een feit! Ook in Duitsland en België is een traject gestart om vergoeding te realiseren.

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.

Wervingskit voor helpers

In 2024 is het project Nieuw Perspectief afgerond. Dit project richtte zich op het ondersteunen van een zelfstandig volwassen leven voor mensen met Duchenne. Zelfstandig activiteiten ondernemen, zoals naar school, de bioscoop of vrienden gaan, kan uitdagend zijn. Helpers kunnen hierbij ondersteunen en zorgen dat jongeren minder afhankelijk worden van hun ouders. Om ouders en jongeren te helpen bij het vinden van geschikte helpers, hebben we een speciale wervingskit ontwikkeld. Deze kit kan zelfstandig door jongeren worden ingevuld, maar ook samen met een ouder.

Duchenne Barrière Breker

Als vervolg op het Nieuw Perspectief-project is het Duchenne Barrière Breker-project inmiddels een half jaar onderweg. Samen met ervaringsdeskundigen hebben we het concept van de Duchenne Barrière Breker (DBB), een life coach voor mensen met Duchenne, verder uitgewerkt. In samenwerking met experts hebben we vastgesteld welke kennis en vaardigheden een DBB nodig heeft om veilig en effectief te werken.

Op dit moment wordt een opleiding ontwikkeld om DBB's goed voor te bereiden. Daarnaast zijn er vacatures geopend voor iedereen met Duchenne om de DBB uit te testen en voor toekomstige DBB's. Begin 2025 starten de eerste pilots.

Dr. Imelda de Groot Award 2024



Op 1 december 2024 zijn de winnaars van de Dr. Imelda de Groot Award bekendgemaakt. Deze prijs van € 10.000 ondersteunt innovatieve projecten die de zorg voor mensen met Duchenne spierdystrofie verbeteren.

De winnaars van dit jaar zijn:

- » **Louise Blok (LUMC)**: Onderzoek naar risicofactoren voor scoliose bij Duchenne-patiënten.
- » **Graciela Mendez (Enlace, Mexico)**: Ontwikkeling van een geïntegreerd zorgmodel voor patiënten met Duchenne en Becker.

Ontwikkelingen op het gebied van medicijnen in 2024

In 2024 zijn er belangrijke ontwikkelingen geweest op het gebied van medicijnen voor Duchenne-spierdystrofie.

Helaas kreeg Translarna® (ataluren), ontwikkeld voor patiënten met een nonsense-mutatie in het dystrofine-gen, opnieuw een negatief advies voor verlenging van de voorwaardelijke goedkeuring. Na een herbeoordeling begin 2024 concludeerde de EMA (Europees Geneesmiddelenbureau) dat het middel geen bewezen gunstig effect heeft. Een aanvullende beoordeling later dit jaar heeft dezelfde conclusie opgeleverd en het oordeel ligt nu opnieuw bij de Europese Commissie ter ratificering.

Naast dit teleurstellende nieuws zijn er ook positieve ontwikkelingen. Zo wordt Agamree® (vamorolone), een ontstekingsremmer met mogelijk minder bijwerkingen dan traditionele corticosteroïden, momenteel beoordeeld door Zorginstituut Nederland (ZIN). Ook Deflazacort, een andere corticosteroïde, ligt ter beoordeling bij ZIN.

Verder wacht Givinostat, een HDAC-remmer die ontstekingen en littekenvorming in de spieren probeert te beperken, op beoordeling door de EMA, nadat de FDA (de Amerikaanse geneesmiddelenautoriteit) dit middel heeft goedgekeurd in maart 2024.

Daarnaast heeft de FDA in de VS Elevidys® (SRP-9001), een gentherapie voor Duchenne-patiënten vanaf 4 jaar, goedgekeurd in juni 2024. Deze therapie ligt nu ook ter beoordeling bij de EMA.



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

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 cardiovasculaire zorg.

Daarnaast werden er als vervolg van de ENMC-workshop over draagsters stappen gezet in de richtlijnen voor vrouwen met Duchenne en draagsters met een grote internationale enquête.

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 2024 is in totaal een geweldig bedrag ad € 1.168.050 ingezameld door middel van sponsoring, donaties en acties.

De Duchenne 40

Elke Duchenner minimaal 40 jaar! Met dit doel zetten talloze mensen zich in tijdens de zesde editie van de Duchenne 40. In dit actieweekend organiseerden deelnemers uiteenlopende activiteiten zoals 40 km fietsen, 400 meter zwemmen en 40 km beatsaberen. Ook sloten velen zich aan bij bestaande evenementen zoals The Longest Day Udenhout, een initiatief van Duchenne Heroes team 4Nick en de Wandeltocht voor Duchenne, een initiatief van Duchenne Heroes team MMKH.

Weetje:

Corticosteroïden zorgen er voor dat kinderen met Duchenne langer kunnen blijven lopen, hun armen beter kunnen blijven gebruiken en veel minder vaak een vergroeiing van de wervelkolom ontwikkelen (scoliose).

Maar wanneer beginnen we met corticosteroïden? Het is belangrijk dit bijtijds met de behandelend arts te bespreken.

Duchenne Triathlon

In Apeldoorn vond de Duchenne Triathlon plaats, waarbij 14 teams samen een 1/8 triathlon aflegden: zwemmen, fietsen en hardlopen in en rond het Boschbad. De sfeer was fantastisch dankzij de inzet van de Rotary Apeldoorn, die de catering verzorgde. Het evenement bracht € 18.102,31 op.

Duchenne Heroes

Duchenne Heroes 2024 was onvergetelijk. 285 deelnemers fietsten een week (of drie dagen) lang door zware omstandigheden met regen, modder en kou. De afsluiting, onder een stralende zon op het dagstrand in Thorn, was prachtig. Onder luid gejuich van vrienden, familie en Duchenne-families werd de eindstand bekendgemaakt: een ongelooflijke € 1.130.071 (bruto).



Super Sunday – Vrienden van Driene

De Vrienden van Driene organiseerden een speciale golfdag, Super Sunday, voor Duchenne Parent Project. Naast sponsoring per balletje en hole, vond er een veiling plaats met unieke stukken. Aan het einde van de dag werd een indrukwekkend bedrag van € 31.675 overhandigd.



Duchenne Gala Groningen

De 15e editie van het Duchenne Gala Groningen in De Oosterpoort op 23 november 2024 was een groot succes. Het evenement, georganiseerd door Stichting Duchenne Gala Noord, leverde een recordopbrengst van € 136.650 op. De daadwerkelijke overboeking van het bedrag vindt plaats in 2025 en zal dan ook als opbrengst worden opgenomen in de jaarrekening van dat jaar. De symbolische cheque werd in ontvangst genomen door Anneliene Jonker en Elizabeth Vroom, respectievelijk huidig en voormalig directeur en oprichter van Duchenne Parent Project. Met deze editie is de totale opbrengst van het gala boven de € 1 miljoen uitgekomen!

Andere acties en initiatieven

Dit is slechts een greep uit de vele acties van het afgelopen jaar: van de Holland Venetië-fietstocht en deelname aan marathons tot creatieve inzamelingsacties rond verjaardagen, huwelijksfeesten of ter nagedachtenis aan een dierbare. We zijn iedereen die zich heeft ingezet enorm dankbaar.

Ook in 2024 werkten we samen met Eeko om oude mobiele telefoons, tablets en cartridges in te zamelen. «

In onze gedachten

Last but not least staan we stil bij het overlijden van een groot aantal jongens, jongemannen en mannen met Duchenne in 2024. Wij wensen hun families en dierbaren alle kracht en sterkte toe.

Samenwerking



Duchenne Parent Project werkt samen met artsen, wetenschappers en (inter)nationale organisaties op het gebied van spierziekten en zeldzame ziekten. Gezamenlijk zetten wij ons in voor het ontwikkelen van beleid, geneesmiddelen, behandelingen en hulpmiddelen die het leven van mensen met Duchenne verbeteren.

Internationale samenwerking

World Duchenne Organization

Duchenne Parent Project is lid van de wereldwijde organisatie World Duchenne Organization (WDO). Deze internationale koepelorganisatie is in Nederland gevestigd en twee van de zes bestuursleden zijn Nederlander (Ed Snitselaar –penningmeester–, tevens penningmeester Duchenne Parent Project en Elizabeth Vroom –voorzitter–).

Op 16 februari woonde het Duchenne Parent Project de jaarlijkse WDO-ledenvergadering bij. Wereldwijde organisaties bespraken ontwikkelingen in het veld en presenteerden initiatieven.

Duchenne Parent Project lichtte de samenwerking rond EXone, de armondersteuner van Yumen, toe.

Onze directeur Anneliene Jonker neemt onder andere deel in de commissie van de wetenschappelijke directeuren, waarin wereldwijd wordt samengewerkt aan financiering van onderzoek.

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 (bestuurslid tot maart 2024).



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/>



Nationale samenwerking

Duchenne Centrum Nederland

Binnen Duchenne Centrum Nederland werken wij samen op het terrein van zorg (richtlijnontwikkeling) 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’. Binnen dit samenwerkingsverband bundelen we onze 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.

Lidmaatschap leder(in)

In 2024 zijn we lid geworden van leder(in), het netwerk voor mensen met een beperking of chronische ziekte. Via dit lidmaatschap versterken we onze stem in landelijke dossiers over inclusie, toegankelijkheid en participatie. We vinden het belangrijk om vanuit het perspectief van mensen met Duchenne bij te dragen aan een samenleving waarin iedereen kan meedoen. «



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 actie te ondernemen. Vroegere diagnose van DMD zal bovendien tijdige toegang tot genetische counseling, standards of care en klinische onderzoeken geven. Mogelijk wordt dit in de toekomst nog belangrijker met nieuwe therapieën.

Lees erover op onze website:
<https://duchenne.nl/wat-is-duchenne-spierdystrofie/>

Gegevens organisatie

Directie en medewerkers

Algemeen en Wetenschappelijk directeur: Anneliene Jonker

Manager Familie & Bureau: Mirjam Franken

Wetenschapscoördinator: Michelle Reneerkens (t/m september 2024)

Manager Fondsenwerving: Robert de Jong

Manager Communicatie: Suzie-Ann Bakker

Administratief medewerker: Inge Snitselaar

Bestuur

Voorzitter: Floor Knuistingh Neven

Penningmeester: Ed Snitselaar

Arjen Bergsma

Klaartje Spijkers

Martina Aalders

Wetenschappelijke adviesraad

Prof. Thomas Rando

Prof. Terry Partridge

Prof. Annemieke Aartsma-Rus

Prof. Liesbeth de Waele

Prof. Ros Quinlivan

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

Al jaren kunnen we rekenen op trouwe partners. Het team van **CallCare** staat al jarenlang belangeloos voor ons klaar door de telefoon op te nemen en zo een eerste vriendelijk en professioneel aanspreekpunt te zijn voor iedereen die contact met ons opneemt. Ook **Brinkhof advocaten** en **Nysingh Advocaten** ondersteunen ons al jarenlang met waardevol juridisch advies op pro bono basis. Hun expertise en betrokkenheid zijn van grote betekenis voor onze organisatie.

Weetje:

Ook in 2025 organiseren we het Duchenne Heroes evenement. En dit jaar met een geheel vernieuwde route!

Van 7 t/m 13 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

ANBI-beschikking

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

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: € 917.111 (2023: € 648.713)

Wervingskosten: € 96.820 (2023: € 90.997)

Kosten beheer en administratie: € 159.448 (2023: € 143.040)

Geworven baten: € 1.168.050 (2023: € 1.160.117)

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