

Beleidsplan 2019

Document bij oprichting



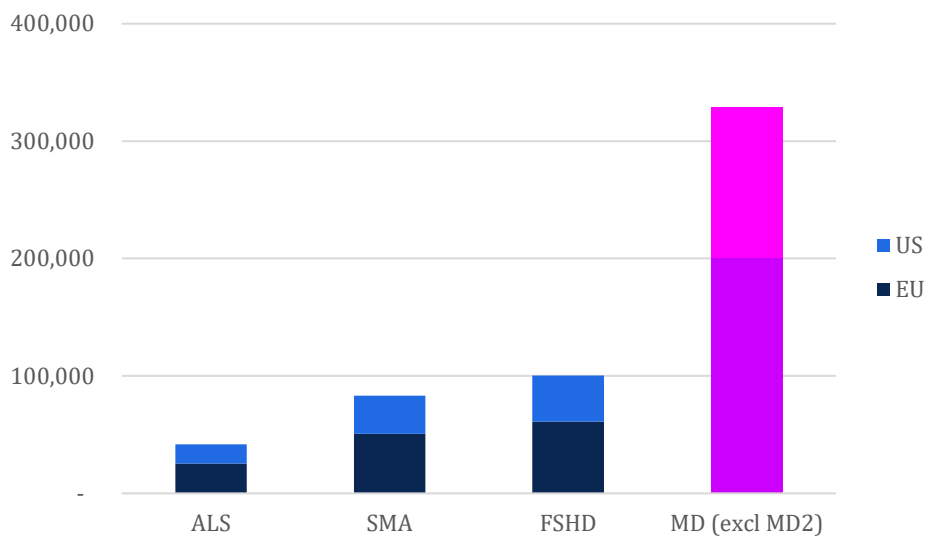
INHOUDSOPGAVE

1. INTRODUCTIE BIJ OPRICHTING	3
2. DOELSTELLING EN STRATEGIE	10
3. FONDSENWERVING & VERMOGENSBEHEER	11
4. BESTUUR EN ORGANISATIE	12
APPENDIX: ACHTERGROND BIJ MD.....	14
CONTACTGEGEVENS	16

1. INTRODUCTIE BIJ OPRICHTING

MD (“Myotone Dystrofie”) is de grootste dodelijke spierziekte. In Nederland hebben ca 7.000 mensen de genetische aandoening die de ziekte veroorzaakt, in de Europese Unie ca. 200.000 mensen. De ziekte is 1-op-1 erfelijk: als één van de ouders MD heeft, heeft hun kind 50% kans het ook te hebben.

Aantal patiënten met aandoening

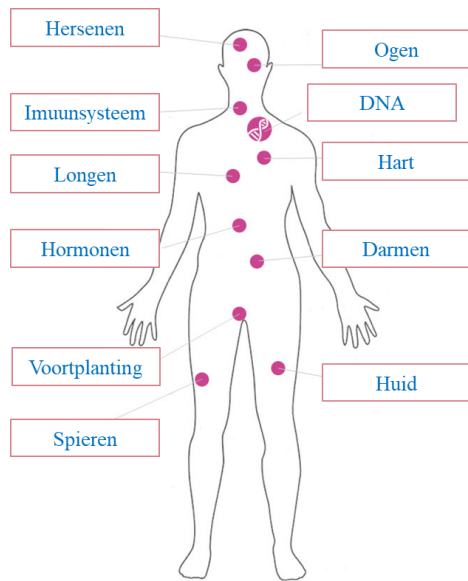


Bron: ALS Nederland, PBS, FSH Society, Johnson et al

Onvoorspelbaar, maar “*elke dag een beetje minder*”, zo omschrijft een patiënt het verloop van zijn ziekte, waarbij uiteindelijk ook de meest vitale spieren verzwakken: MD-patiënten zijn hart- en longpatiënten. Omdat de problemen veroorzaakt worden door een genetische fout, zijn er veel meer problemen: MD-patiënten zijn vaak ook maag-darm-lever-patiënt, krijgen vaak vroegtijdig staar en soms gedragsproblemen. De levensloop en levensverwachting is onzeker, maar hangt in grote mate af van wanneer de eerste symptomen zichtbaar worden: hoe eerder het begint, hoe slechter het kan worden.

Er zijn twee varianten van MD: MD1 en MD2. MD1 is dezelfde genetische aandoening als MD2 maar in een ander gen. Verschijnselen zijn voor een groot deel vergelijkbaar, maar over het algemeen iets minder ernstig voor MD2. Cijfers over kwaliteit van leven en spier- en gewrichtspijn zoals ervaren door patiënten zijn echter vergelijkbaar voor de twee varianten. Anders dan bij MD1 is er geen consensus over hoe vaak de ziekte voorkomt.

Symptomen MD1



Versijning klachten	Symptomen	Levensverwachting
Middelbare leeftijd >40 jaar	Staar, overmatige slaperigheid, myotone	Normaal
Pubertijd of volwassen 10 - 40 jaar	+ Hartritme stoornissen, aantasting spieren, darmstoornissen, insuline resistentie, cognitive beperkingen, testosteron problemen	Verkort
Baby of Kind 0 - 10 jaar	+ Hartproblemen, longfunctieproblemen, ernstige gedrachtsproblemen, gelaatsafwijkingen, slikproblemen	Kindersterfte (bij babies) / verkort (bij kinderen)

Bron: naar Yum, Wang, Kalsotra (2017), afbeelding van Myotonic Dystrophy Foundation

Kenmerkend dramatisch aan deze ziekte is dat in veel gevallen de symptomen eerder en ernstiger optreden bij de volgende generatie. Dat betekent dat wanneer iemand de diagnose MD krijgt, de ziekte veelal heel wijdverbreid in een familie aanwezig blijkt te zijn. MD is een groot familiedrama.



De meerderheid van het oprichtingsbestuur van de Stichting MD (Nederland) had tot niet heel lang geleden nog nooit van MD gehoord. En daarin staan we niet alleen: zowel onder het algemene publiek, maar ook onder zorgverleners is MD slecht bekend. Door deze onbekendheid worden belangrijke symptomen soms gemist als indicatie voor MD. Zo kan staar op jonge leeftijd een eerste symptoom/uiting zijn van MD, maar dan moet de oogarts wel alert zijn op MD.

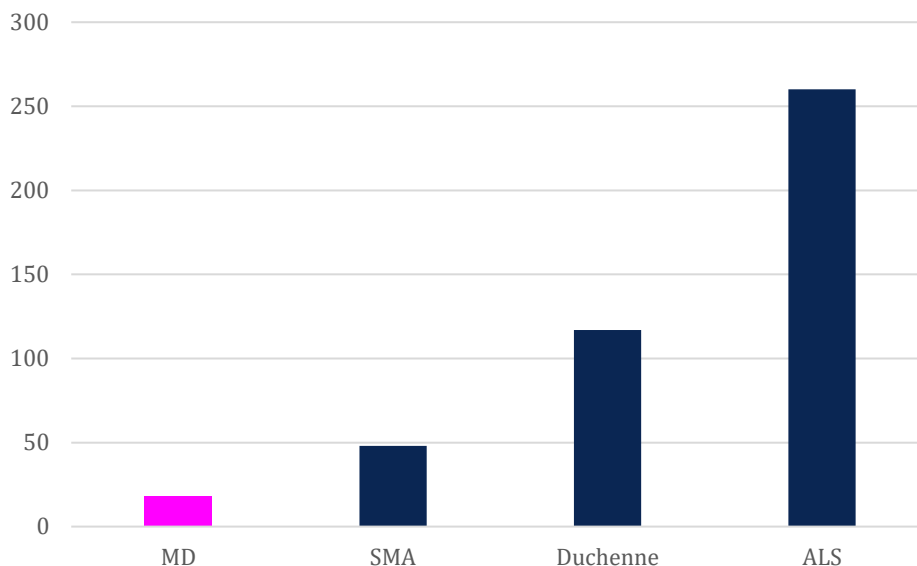
Zulke vroegdiagnostiek is bij MD van groot belang, zowel voor betere zorg (bijvoorbeeld: regelmatige toetsing bij een cardioloog) maar ook ter voorkoming van doorgifte van MD naar een volgende generatie. Een studie voor MD2 constateerde dat door initiële misdiagnoses, het stellen van de juiste diagnose, MD, 14 jaar vertraagd werd ([Hilbert et al., J Neurol, 2013](#)).

De beperkte bekendheid van MD heeft ook impact op de fondsenwerving: ook die is zeer beperkt. Er is een fanatieke groep actievoerders met even indrukwekkende als ontroerende acties. Zij halen veelal donaties uit hun directe omgeving en dat is lastig om vol te houden op de lange termijn. Om tot therapie-ontwikkeling te komen is een structurele opbrengst uit fondsenwerving noodzakelijk.

Het tot nu toe beperkte succes van fondsenwerving voor MD staat gelukkig in sterk contrast met de belofte die fundamenteel medisch onderzoek hebben opgeleverd op het gebied van gentherapie. Deze algemene medische doorbraken vereisen veel specifiek onderzoek om te kunnen worden toegepast. Beperkte financiële mogelijkheden voor MD betekent dat dit onderzoek te weinig gebeurt: de pijn van therapieontwikkeling is veel beperkter dan bij vergelijkbare of meer bekende aandoeningen.

Voor productie van medicatie start het proces met het *ontwikkelen* van medicijnen gevolgd door een lang traject van *testen*. De lopende onderzoeken naar MD zitten gemiddeld in een veel vroegere fase van ontwikkeling van het medicijn dan bij vergelijkbare ziekten. MD heeft dus meer onderzoek nodig en medicijnen moeten daarnaast verder in de pijn worden gebracht om binnen afzienbare tijd concrete resultaten te realiseren voor patiënten.

Therapieën in ontwikkeling per ziektebeeld



Bron: Globaldata.com (april 2019): aantal lopende onderzoek vanaf "discovery" fase tot en met "aanvraag toelating" (boven)

Wetenschappelijk onderzoek is één element van wat nodig is om tot therapieontwikkeling te komen, maar uiteindelijk zijn het de commerciële bedrijven die medicijnen ontwikkelen (en de financiering daarvan organiseren).

Het goede nieuws is dat een aantal Amerikaanse initiatieven aanzienlijke investeringen hebben ontvangen van vooraanstaande investeerders. Deze investeringen zijn een duidelijk blijk van vertrouwen in het ontwikkelingsprogramma van het betreffende bedrijf. Meer in het algemeen is het ook een indicatie van de potentie van medicijnontwikkeling voor MD.

Recente investering voor MD(-gerelateerde) therapie ontwikkeling

Company		Funding USD m	Latest round	Stage of development				Investors
				Pre-clinical	Stage 1	Stage 2	Stage 3	
		50	2019					Atlas Ventures, Forbion ao
		55	2018					Sam, Kleiner Perkins ao
		235	2019					TPG ao
		25	2015					Woodford
		65	2019					Eli Lilly, CureDuchenne, Takeda, Alethea
		NA	2019					<i>listed</i>
		NA	2019					<i>To be listed</i>
		50	2019					Not applicable
		175	2019					<i>Listed</i>
		40	2019					CureDuchene, The ColumnGroup
		135	2018					Foresite, GV, ThirdRock, Sanofi VC, Fidel

Geïnspireerd door de *Myotonic Dystrophy Foundation* en *CureDuchenne* uit de Verenigde Staten en het ALS Fonds in Nederland, willen wij ondernemerschap ondersteunen en onderzoeken of er ruimte is om met name innovatieve bedrijven in een vroege fase te helpen met het verkrijgen van de benodigde investeringsfondsen.

Onze missie

Stichting MD (Nederland) is gericht op het bijdragen aan (1) het vinden van de oorzaak van en oplossingen voor MD en (2) het dragelijker maken van het leven van MD-patiënten.

We doen dit op basis van drie verbonden pijlers:**1. Structureel meer geld voor onderzoek**

- Focus op werven van lange-termijn donateurs die jaarlijks een substantiële bijdrage leveren. Donaties zijn efficiënt voor geldgever (belastingvoordeel) en voorkomt overvragen van steeds dezelfde groep
- Zekerheid van langere termijn geldstroom betekent ook dat we een stabiele factor zijn als financier van therapie-ontwikkeling

2. Bekendheid van MD via evenement

- Gericht op het realiseren van inkomsten van buiten de bestaande groep
- Neveneffect: bijeenkomst voor bestaande donateurs en MD-patiënten
Platform voor aanvullende activiteiten: bijvoorbeeld webshop voor sportkleding

3. Ondernemerschap en samenwerking

- Van wetenschap naar therapie ontwikkeling
- Internationaal samenwerken: binnen Europa en de Myotonic Dystrophy Foundation
- Aantrekken van investeerders voor vroege fase van therapieontwikkeling

We willen aanvullend zijn op bestaande activiteiten. Dat betekent dat we ons niet richten op het verzorgen van patiënt-informatie, zoals de Vereniging Spierziekten Nederland dat al verzorgt. Gelden zullen worden besteed door co-financiering van projecten van partners. Onze partners dienen ten minste de wetenschappelijke toetsing van projecten te kunnen verzorgen.

Bij oprichting hebben we met het Prinses Beatrix Spierfonds (PBS) de intentie uitgesproken om samen te werken in partnerschap. PBS is een vooraanstaand fonds dat over een zeer ervaren wetenschappelijke adviesraad beschikt en de wetenschappelijke relevantie zal toetsen van projecten die we ondersteunen. Daarnaast zullen wij onze activiteiten met hen afstemmen. Op termijn zullen we meer partnerschapovereenkomsten sluiten als dat in het belang is van het zo spoedig mogelijk bereiken van onze missie.



Selectiecriteria nieuwe projecten

- Project sluit aan bij onze missie
- Positief advies door wetenschappelijke adviesraad
- Onderbouwing over wat de bijdrage van het onderzoek is in het stappenplan tot therapieontwikkeling



2. DOELSTELLING EN STRATEGIE

Statutaire doelstelling

“Bijdragen aan en het vinden van de oorzaak van en oplossingen voor Myotone Dystrofie (“MD”), alsmede het dragelijker maken van het leven van MD-patiënten, meer in het bijzonder het steunen van onderzoek naar de oorzaak, preventie en behandeling van MD alsmede het verbeteren van de kwaliteit van de zorg voor, en kwaliteit van het leven van, MD-patiënten.”

Doelstelling 2019

		Wie (extern)	Wie (MDNL)
Wat	1. Onderzoeksgeld		
Waarom	Versnellen van therapie ontwikkeling en verbetering kwaliteit van leven		
2019	- Website met donatie module - Benaderstrategie voor potentiële donateurs (zie begroting) - Aanvraag ANBI status		
Wat	2. Evenement: Bekendheid MD		
Waarom	Betere zorg (eerdere diagnose) en ondersteuning fondswerving		
2019	- Benaderen van evenementen die MD zouden kunnen omarmen		
Wat	3. Ondernemerschap & samenwerking		
Waarom	Versnellen van onderzoek naar therapie		
2019	- Strategie tot oprichting MD Investment Fund - Inventarisatie kansrijke initiatieven (in Nederland?)		
Wat	4. Opbouw van stichting		
Waarom	Anders lukt 1-3 niet		
2019	- Introductiebrief voor aanvraag giften (financiering opbouw organisatie) - Samenwerking PBS, VSN, MDF, Wyck Foundation (UK) - Uitbreiding van bestuurders en team van vrijwilligers - Strategie ten aanzien van medewerkers - Strategie ten aanzien van "lokale evenementen"		

NADER IN TE VULLEN

Internationale samenwerking

MD komt overal ter wereld voor. In de wetenschap wordt uitgebreid samengewerkt. Wij denken dat ook de fondswervingskant en de besteding van beschikbare gelden kan profiteren van internationale samenwerking. We willen dit in 2019 verder uitwerken en gaan daartoe naar een aantal internationale bijeenkomsten, waaronder IDMC-12 in Gotenburg in juni 2019 en de MDF Conference in de VS in september 2019.

3. FONDSENWERVING & VERMOGENSBEHEER

Inkomsten

Donaties

MD is de grootste dodelijke spierziekte. Die verschrikkelijke achtergrond betekent ook dat relatief veel mensen gemotiveerd moeten kunnen worden om te doneren aan de bestrijding ervan. Wij verwachten dan ook dat donaties een belangrijke bron van inkomsten kunnen zijn. Langere termijn donaties zijn efficiënt voor de gever vanwege belastingvoordelen. Vanuit de stichting is het een stabiele bron van inkomsten. De stichting MD (Nederland) doet bij oprichting een aanvraag om erkend te worden als ANBI-instelling bij de Nederlandse Belastingdienst.

Evenement

Primaire doelstelling van evenementen is bredere bekendheid van MD. Het is echter bij uitstek ook een belangrijke mogelijkheid voor het werven van aanzienlijke additionele inkomsten.

Eenmalige giften

Stichting MD (Nederland) is gericht op langere termijn ondersteuning van de financiering van de projecten die voldoen aan onze selectiecriteria. Eenmalige bijdragen zullen actief gezocht worden ter versterking van de organisatie, zoals de opzet van de website en de eerste promotionele activiteiten rondom evenementen en uiteraard ook nadien een welkom onderdeel blijven van onze fondsenwervingsstrategie.

Uitgaven

De uitgaven van de Stichting MD (Nederland) komen toe aan de projecten die we ondersteunen. Doelstelling is om 75% van de inkomsten in te zetten voor therapie ontwikkeling en 25% voor ondersteuning van patiënten. We hebben bij oprichting geen personeelskosten en het bestuur is onbezoldigd.

Beleggingen

In principe besteden we geld, indien er goedgekeurde projecten voorhanden zijn, zo snel mogelijk aan het bereiken van onze missie. We leggen in bepaalde gevallen reserves aan, omdat een zorgvuldige besteding tijd vraagt of dat verplichtingen voor een reeks van jaren wordt aangegaan. Deze gelden worden op een spaarrekening gezet.

Rapportage & transparantie

Stichting MD (Nederland) zal voor het eerst rapporteren over 2019 in overeenstemming met de in Nederland geldende Richtlijn voor de jaarverslaggeving 650 'Fondsenwervende organisaties'. We zullen nog dit jaar de CBF erkenning aanvragen en het aspirant-lidmaatschap van Goede Doelen Nederland.

4. BESTUUR EN ORGANISATIE

4.1 Organisatie

Stichting MD (Nederland) heeft als ambitie om een brede organisatie te creëren van betrokken pro bono professionals en enthousiaste vrijwilligers die zich willen inzetten voor het bereiken van onze missie. De organisatie heeft momenteel geen (betaalde) medewerkers.

4.2 Bestuur

De stichting is opgericht met een drie-persoonsbestuur. Het is de ambitie van het bestuur om een bredere organisatie op te bouwen, inclusief een bestuur van ten minste 5 personen. Bestuurders worden benoemd voor een termijn van vijf jaar en kunnen tweemaal herbenoemd worden. Het bestuur is onbezoldigd.

Jorg van Gent (Voorzitter)

Jorg werkt sinds 2015 voor ABN AMRO als investeerder in bedrijven die na financiële problemen een doorstart maken. Daarvoor werkte hij 10 jaar bij de afdeling voor fusie en overname advies van dezelfde bank.

Naast zijn werk was hij van 2012 tot begin 2018 bestuurder van Vitalis, een van oorsprong Haagse maatjesorganisatie voor kinderen met een moeilijke (sociale) achtergrond. Hier was hij specifiek verantwoordelijk voor het regionale groeiprogramma van de organisatie. Sinds 2017 is hij als oprichter betrokken bij QNQ, een projectontwikkelaar in duurzame energie (aardwarmte).

In 2017 werd bij zes mensen in zijn directe familie MD geconstateerd, onder wie bij zijn dochter en vriendin.

Dennis Heeger (Secretaris)

Dennis is algemeen directeur van Diamond Generating Europe B.V. (DGE), een 100% dochteronderneming van het Japanse conglomeraat Mitsubishi Corporation, dat zich richt op het ontwikkelen en financieren van grootschalige duurzame energieprojecten in Nederland en elders in Europa. Voordat hij bij DGE begon in 2014, heeft Dennis ruim 8 jaar als advocaat gewerkt bij het internationale advocatenkantoor Allen & Overy in Amsterdam en Londen. Dennis heeft een Master titel Nederlands recht van de Universiteit van Amsterdam en een MBA van IE Business School in Madrid.

Daarnaast is Dennis vanaf 2011 betrokken bij het mentorproject *Giving Back*, als onderdeel waarvan hij gedurende enkele jaren mentor is geweest van een student.

Jeroen Vis (Penningmeester)

Jeroen werkt sinds 2017 als cardioloog in het Haaglanden Medisch Centrum. In 2016 heeft hij zijn opleiding cardiologie voltooid in het Amsterdam UMC, locatie AMC. In 2012 heeft hij in het kader van zijn promotieonderzoek bijgedragen aan een succesvolle landelijke patiëntregistratie en DNA-bank voor volwassenen met aangeboren hartaandoeningen.

APPENDIX: ACHTERGROND BIJ MD

WAT IS MYOTONE DYSTROFIE

Grootste Dodelijke Spierziekte

Myotonia: spieren kunnen niet ontspannen

Dystrofie: geleidelijke afbraak van spierweefsel

Kenmerken

- 1-op-1 erfelijk
- Verergerd met tijd én generatie
- Méér dan spieren (incl. hart, long). Ook: maag en darm, staar, neurologische problemen

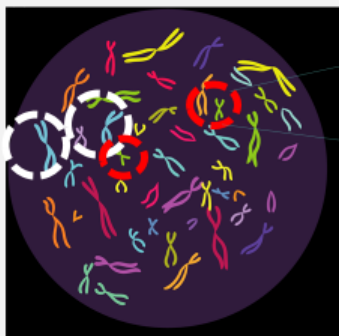
Genetische oorzaak

MD1: abnormale verlenging van chromosoom 19

MD2: abnormale verlenging van chromosoom 3

GENETICA 1-2-3: HOE ZIT HET OOK AL WEER?

1 DNA: chromosomen + genen

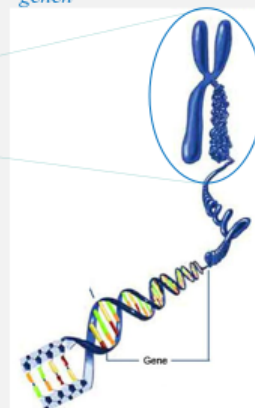


Mens heeft 23 paar chromosomen

MD1: in chromosoom 19

MD2: in chromosoom 3

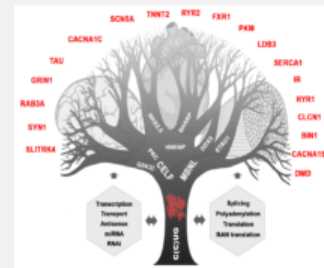
2 Eén chromosoom bevat veel genen



Chromosoom 19 bevat 65 genen,
Chromosoom 3 bevat ~80 genen

Eén van die genen wordt bij MD
abnormaal lang

3 Een gen maakt (via RNA) de boodschappers van het lichaam: allerlei eiwitten

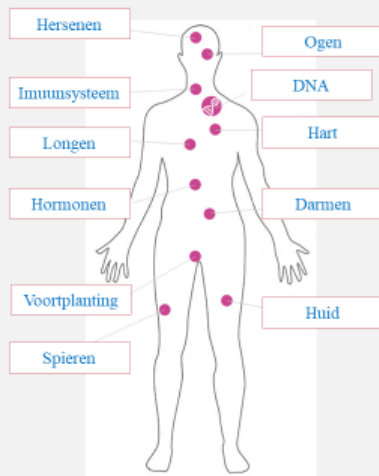


Gen fout zorgt dus uiteindelijk voor verkeerde / te weinig eiwitten

MD heeft invloed op verschillende eiwitten. Patiënten hebben dus veel verschillende klachten

ZIEKTE MET GROTE IMPACT

Voortijdig overleiden en langdurige zorglast



Bron: myotonic.org

Eerste klachten	Levensverwachting
Middelbare leeftijd	➤ Normaal
Pubertijd / volwassen	➤ Verkort
Baby of kind	➤ Kraamsterfte of verkort

CONTACTGEGEVENS

Stichting MD (Nederland)

Sandtmannlaan 19
1412 GB Naarden

www.md.nl

stichting@md.nl

[@MDNederland](#)

Bankrekening
Kamer van Koophandel
RSIN
Accountant

NL63 ABNA 0 525 003 002
74235532
859819851
Van den Broek Accountants

