

Beleidsplan MD Europe

2024 - 2028

Online

The logo consists of the letters 'MD' in a bold, white, sans-serif font. To the right of the letters is a series of overlapping, semi-transparent rectangular outlines that create a sense of motion or depth, resembling a 3D effect or a stack of frames.



1

Meer naamsbekendheid

2

Meer geld voor onderzoek

3

**Versnellen van
medicijnontwikkeling**

Bekendheid en proactief bijdragen aan een oplossing

Waarom Stichting MD

Over MD

MD ("Myotone Dystrofie") is een veelvoorkomende progressieve en erfelijke ziekte. Door die erfelijkheid treft de ziekte per definitie hele families: als een van de ouders de ziekte heeft krijgt gemiddeld 50% van kinderen MD. De ziekte wordt ook nog eens in een steeds een ernstigere variant doorgegeven, waardoor binnen een familie juist de kinderen de zwaarst problemen hebben.

MD komt zowel bij mannen als vrouwen voor. De ziekte geeft een breed spectrum aan klachten: hartproblemen, cognitieve beperkingen, staar, diarree en spierverslapping. Mensen overleiden aan de gevolgen van MD: hartfalen, stikken en een zeer broze afweer door een combinatie van alle problemen.

Rol van Stichting MD

Stichting MD is in 2019 opgericht uit verbazing dat een zo veel voorkomende ernstige ziekte zo onbekend is. Gemiddeld duurt het 10 jaar vanaf de eerste symptomen tot de juiste diagnose wordt gesteld. Al die tijd krijgen mensen met MD niet de juiste medische ondersteuning en kan de ziekte onbewust worden doorgegeven aan de volgende generatie. MD is dan ook niet alleen onbekend onder het algemene publiek, maar ook onder artsen. Stichting MD zorgt voor zichtbaarheid door het vertellen van de persoonlijke impact van MD naar zowel het brede publiek als professionals.

Stichting MD is ook opgericht omdat we actief willen bijdragen aan het vinden aan een oplossing. Omdat duidelijk is door welk gen probleem MD wordt veroorzaakt, wordt er door veel bedrijven en universiteiten gericht gewerkt aan het vinden van een eerste generatie medicatie. Stichting MD speelt daar een initiërende en ondersteunende rol: we zijn actief bij het versneld in kaart brengen van de problemen van MD, het versnellen van bestaande initiatieven. We hebben een eerste internationaal project geïnitieerd dat direct gekoppeld aan versnelde beschikbaarheid van medicatie.

Stichting MD wil hoopgevende ontwikkelingen gebruiken om mensen met MD, hun familie en vrienden te motiveren actief betrokken te zijn bij deze positieve ontwikkelingen. Stichting MD is aanvullend aan patientverenigingen in haar proactiviteit en met haar focus op MD. Geïnspireerd door onder meer Myotonic Dystrophy Foundation in de Verenigde Staten zoeken we daarbij naar gelijkgestemde partners in Europa omdat een dergelijke organisatie in vele landen ontbreekt.

Doelstelling 2024 - 2028

Mobilisatie van getroffen mensen: meer evenementen en mediacampagnes

Stichting MD wordt gedragen door vrijwilligers bestaande uit families en vrienden van mensen met MD. Dat zal zo blijven. We richten ons op het organiseren van bijeenkomsten en reclame- en mediacampagnes. Met ons actieplatform bieden we mensen met MD en hun naasten mogelijkheden te geven om zelf bij te dragen aan onze missie. We initiëren ook zelf evenement om meer aandacht te geven en een bredere groep mensen betrokken te krijgen. Naast onze Duizend Euro Donateurs willen we ook Supporters, mensen die zich eveneens langdurig bij ons aansluiten voor een kleiner bedrag.

Een stichting die jaarlijks internationale projecten kan initiëren

Stichting MD dient haar fondswervingsactiviteiten gaan professionaliseren om onze missie ook op dat vlak breder onder de aandacht te brengen. Daarmee creëren we de slagkracht die past bij de missie en urgentie.

Stichting MD wil families in Europa verbinden waardoor de met meer slagkracht onderzoek te ondersteunen en projecten te versnellen. Meer bekendheid heeft zowel een nationale component (zoals het organiseren van bijeenkomsten) als een internationale (zoals het zichtbaar maken welke wetenschappelijke doorbraken er zijn en welke clinical trials er al in de ontwikkelingspijplijn zitten).

Verdere opschaling en professionalisering

Stichting MD heeft een groot aantal initiatieven die verder uitgebouwd zullen worden. Dat betekent dat deze initiatieven uit de fase van familie en vrienden moeten groeien en dat vergt in veel gevallen investeringen: georganiseerde bussen naar SED Happening, betaalde werving rondom de midzomerloop en meer professionele content om onze missie uit te dragen naar een breder publiek.

Er is structurele aandacht nodig voor MD, gegeven de ernst en omvang van de ziekte alsook de vele positieve ontwikkelingen. Daartoe hebben we een sterkere financiële basis nodig om onze slagkracht te vergroten. In aanvulling op onze huidige vrijwillige professionals, zullen we daarom ook medewerkers aannemen zodat er full time aandacht komt voor onze missie, met name op het gebied van fondswerving, bekendheid en evenementen.

Voor structurele aandacht

INHOUDSOPGAVE

1

Wat is MD?

2

Stichting MD

3

Wat we willen bereiken

4

Meerjarenbegroting

A

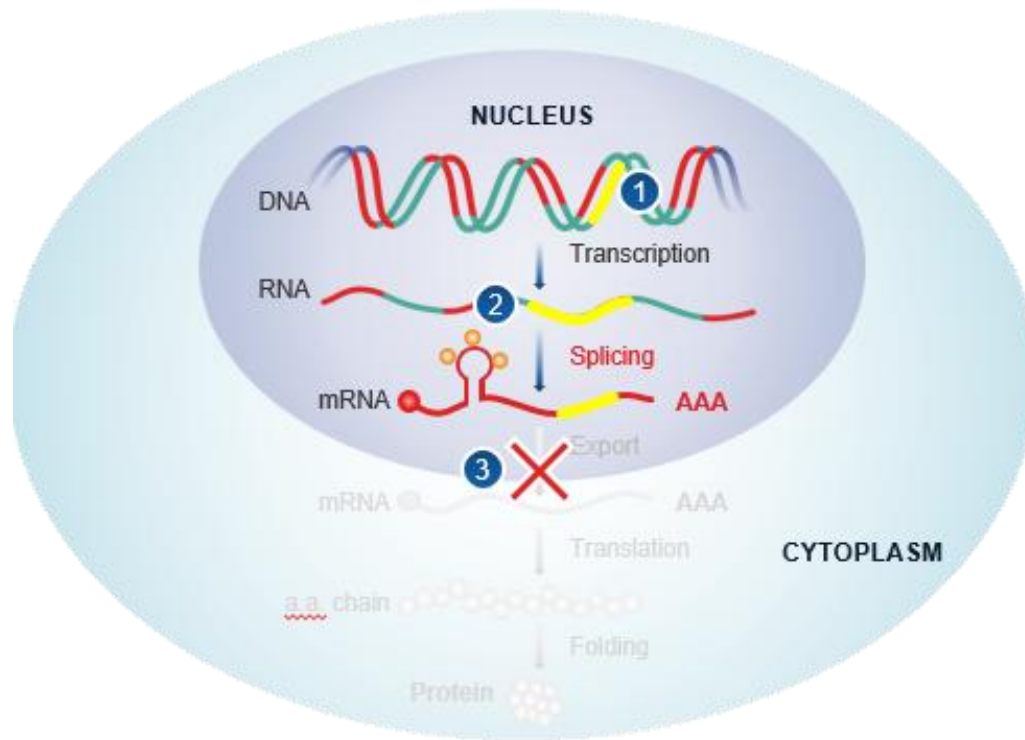
Appendix

1

MD

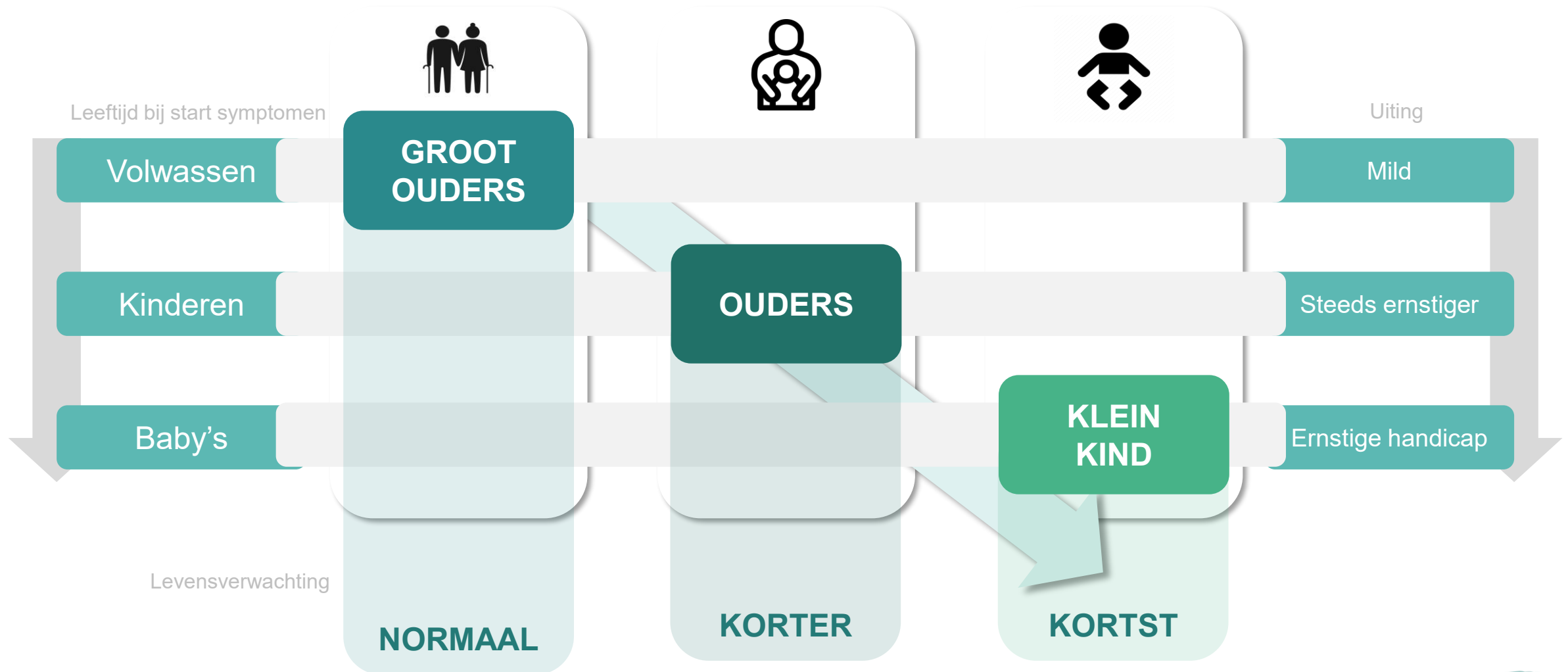
De meest voorkomende dodelijke spierziekte

De technische uitleg



- 1 MD wordt veroorzaakt door de verlenging van het **DMPK-gen**
- 2 Hierdoor ontstaat er een 'haarspeld' bij de splicing **waardoor eiwitten blijven plakken**
- 3 Het ontbreken van die eiwitten zorgt **voor het ontstaan van de verschillende symptomen van MD**

Het ziektebeeld wordt heviger met iedere generatie



WAT DOET MD?

De ziekte tast **zowel organen als spieren** aan en manifesteert zich anders bij iedere patiënt



Cognitieve functies

- Overmatige vermoeidheid
- Intellectuele beperkingen
- Concentratieproblemen



Zicht

- Staar
- Hangende of volledig gesloten oogleden



Spieren

- Zwakte en pijn door verkramping
- Hartproblemen



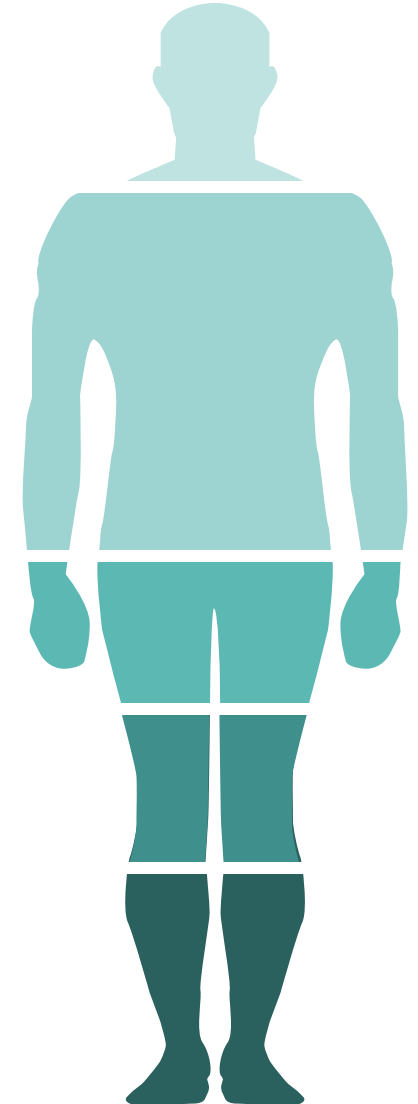
Hormoonstelsel

- Verlaagd schildklierhormoon
- Diabetes



Ademhalingssysteem

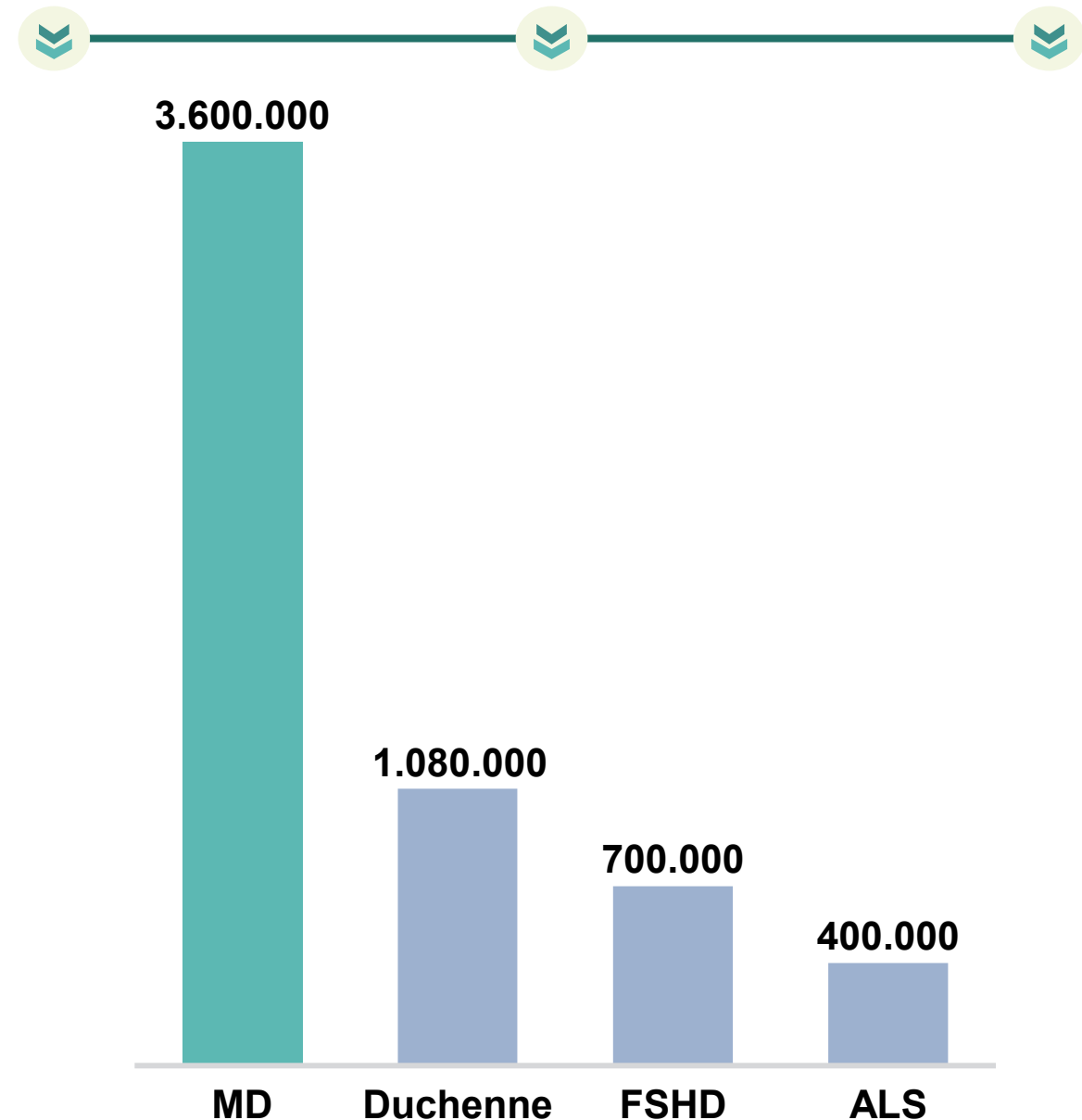
- Slaap apneu
- Verhoogd risico longontsteking
- Moeite met ademhaling



Geen medicijn of behandeling
voor een veel voorkomende
ziekte...

... maar wel potentie
oplossingen in zicht

Wereldwijd aantal patiënten van meest
voorkomende spierziekten



Medicatie is in ontwikkeling

MD Drug Development Pipeline Top 20 - May 2024

PRE- CLINICAL	PHASE 1	PHASE 2	PHASE 3	DRUG TARGET/ MECHANISM	Type
				Glycogen synthase kinase 3 beta (GSK3β)	Small Molecule
				Sodium Channels	Small Molecule
				DMPK	Antibody Conjugated Oligonucleotide
				Histamine-3 receptor (H3R)	Small Molecule
				DMPK	Antibody Fragment Conjugated Antisense Oligonucleotide
				MBNL and DMPK via miR-23b	Antisense microRNA Oligonucleotide
				DMPK	Peptide Conjugated Oligonucleotide
				DMPK	Peptide Conjugated Antisense Oligonucleotide
				r(CUG) of DMPK	Investigational RNA interference (RNAi) Therapeutic
				r(CUG) of DMPK	Small Molecule
				--	Stem Cell-Secreted Proteins
				r(CUG) of DMPK	Small Molecule
				DMPK	miRNA Technology in Adeno-Associated Virus
				DMPK	Adeno-Associated Viral Antisense
				--	--
				r(CUG) of DMPK	Artificial Site Specific RNA Endonucleases (ASREs)
				r(CUG) of DMPK	Gene Targeting Chimera Small Molecule
				DMPK	Biomolecular Condensates
				--	--

Source: www.myotonic.org/

Verschillende type medicatie zijn in verschillende stadia van ontwikkeling. De verwachting is dat een eerste medicijn in de komende vijf jaar wordt goed gekeurd.

MD is een van de meest variabele ziekte waardoor het onwaarschijnlijk is dat één medicijn de oplossing zal zijn voor iedereen.

De betrokkenheid van Stichting MD is dan ook niet gericht op de ontwikkeling van een enkel medicijn, maar op de structurele doorontwikkeling van diverse medicatie.

2

Stichting MD



Missie



Meer bekendheid en actief bijdragen aan oplossing

Ontwikkeling sinds oprichting

2019

Oprichting

- Opgericht na diagnose in de directe familie van de eerste voorzitter
- Het bestuur is samengesteld uit medische en niet-medische professionals

2019-2023

Start

- Start verbeteren van bekendheid: commercials, website, actie pagina, eigen docu en diverse interviews met persoonlijke verhalen van MD
- Initiëren eerste onderzoeksproject
- Verbreding van Nederland naar België

2024-2029

Structurele organisatie

- Funding van eerste eigen studie
- Oprichten professionele organisatie voor fondsenwerving en dagelijkse uitvoering
- Netwerk in meerdere landen

Wat is bereikt: onze eerste stappen

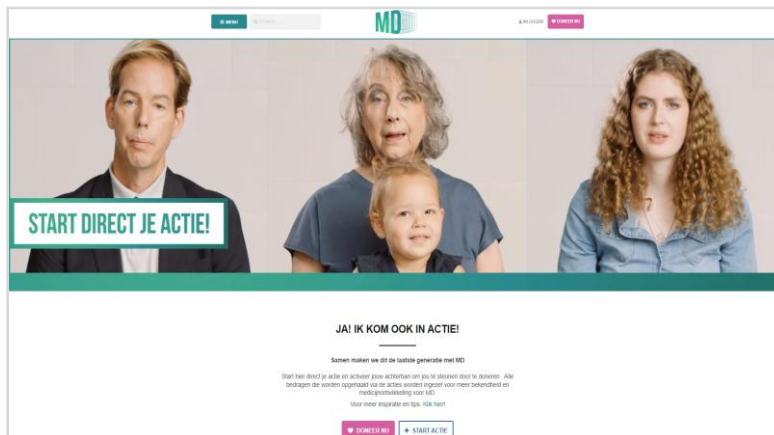
Zichtbaar maken & mobiliseren

- Platform waar bedrijven en individuen eigen acties kunnen starten zoals een marathon rennen
- Reeds 33k opgehaald in 5 maanden

- Organisatie van evenementen zoals:
- Komen eten in België (25k opgehaald in 2023)
- MD festival in België
- De MD zomerloop in NL (2024)

Internationale verbreding en gezamenlijke projecten

- Stichting omgezet in MD Europe na uitbreiding met België en initiële contacten in o.a. Italië & Spanje
- Partnerships met bedrijven en universiteiten zoals [XYZ]



Aanvullende rol van Stichting MD

01

Mobiliseer vrienden en familie

- Medische techniek maakt ontwikkeling van medicatie realistisch
 - Iedereen kan bijdragen aan oplossing
- Impact van ziekte zichtbaar maken ter mobilisatie

Niet: lotgenotencontact (zoals veelal patientverenigingen)



02

Specialiseer in MD met internationaal perspectief

- Veel voorkomende ziekte heeft geen eigen fondswervernde stichting in Europa (vs. ALS, Duchenne, SMA etc)
- MD veld is complex, internationaal en dus erg gebaad bij specialisatie

Generieke fondswervende organisaties zijn onze partners (geen concurrenten)



03

Actieve inzet om medicijnontwikkeling te versnellen

- Actief in de gehele keten van wetenschappelijk onderzoek tot klinische fase
- Bekendheid is belangrijk vanwege enorme misdiagnose

Niet enkel wetenschappelijk onderzoek, want er zijn meer obstakels tot het beschikbaar zijn van medicatie



De verbindende initiërende MD organisatie in EU

Nationaal

- Veelal een algemene spierziekte ziekte stichting
- Patientvereniging gericht op lotgenotencontact en delen van informatie over bestaande zorgmogelijkheden
- CureDM UK is een vrijwilligersorganisatie gericht op kinderen

Prinses Beatrix
Spierfonds

SPIERZIEKTEN
VLAANDEREN

SPIERZIEKTEN
NEDERLAND

AFMTELETHON
INNOVATIE EN TOEGANG

Spieren
voor Spieren

Cure DM CIC
Funding Research & Supporting Families & Patients Worldwide

- Stichting MD is gespecialiseerd in MD
- Stichting MD is initiërend, met een focus op bekendheid en vinden van een oplossing

Europa

- EuroDyMa is een overkoepelende MD patiëntenvereniging, met als focus communicatie tussen patiënten, onderzoekers en farma

EURO-DYMA
Myotonic Dystrophies

- Stichting MD is initiërend, met een focus op bekendheid en vinden van een oplossing

Wereldwijd

- Myotonic Dystrophy Foundation (MDF) is een Amerikaanse stichting gespecialiseerd in MD met zowel een patientvereniging ("Care") als een onderdeel gericht op vinden van een oplossing ("Cure")
- MDF heeft een professionele staf met een netwerk van vrijwilligers

Myotonic
Dystrophy
FOUNDATION

- Stichting MD brengt initiërende families Europeanen bij elkaar

Huidige organisatie bestaat uit vrijwilligers

Bestuur

Marketing en fondsenwervende teams

Communicatie Team

Doel: Neerzetten en uitvoeren van lange termijn Com strategie door mensen met **ervaring** bij grote (internationale) bedrijven



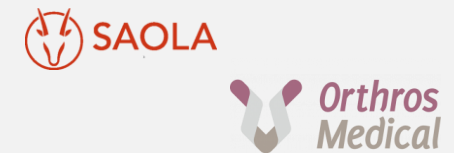
Vrijwilligers & Events Team

Doel: Mobiliseren en faciliteren van supporters van de stichting door organisatie van evenementen en grootschalige uitrol van ideeën.

Professional focus

Venture Team

Doel: Actief versnellen van onderzoek door organisatie en financiering van onderzoeken door mensen met **ervaring** in biotechnologie



Patiënt ambassadeurs



Bianca Huisman



Remco Roovers

Niet patient ambassadeurs (BN'ers etc.)



Voorbeeld van impact die we vandaag al maken

HET PROBLEEM

Medicijnen voor kinderen kunnen niet worden goedgekeurd omdat er onvoldoende data over kinderen is over het verloop van de ziekte

Onze impact

Na overleg tussen ons Venture team en onderzoekers van Radboud werd duidelijk dat het gebrek aan data over kinderen snel een belangrijk obstakel gaat zijn bij goedkeuring van medicatie. Bovendien zal het beschikbaar zijn van dergelijke kennis ook bij het verbeteren van de zorg van kinderen met MD, het patientcohort met de grootste potentiële gezondheidswinst.

Stichting MD heeft een project geïnitieerd tussen verschillende farma en onderzoeksgroepen. Het onderzoek zal worden geleid vanuit Stanford University, MaastrichtUMC en Radboudumc.

Met EUR 500k project kan dit project gestart worden en wordt een veelvoud van bijdrage door farma getriggered. Die opstartfase gaat over de ontwikkeling van protocol incl. voorbereidende studies, het testen van potentiële end points en het opzetten data management.

€450k

€160k opgehaald

€450k



Amalia kinderziekenhuis
Radboudumc



Maastricht UMC+



UNIVERSITÉ DE
SHERBROOKE

Partners



sanofi



Bronnen voor financiering



1. Langetermijn donateurs

- Verlenging bestaande donateurs (300-2000 per jaar)
- Nieuwe vorm: “Lidmaatschap” of “Supporters” van EUR [25-100 per jaar]
- Nalatenschappen (op termijn)



2. Acties (Kentaa-platform)

- Uitrol naar België
-



3. Evenementen

- MD-SED Happening
- Midzomerloop
- Informatiebijeenkomsten (“Amsterdam” bijeenkomst)
- Participatie bestaande evenementen



4. Major donors

- Gestructureerde benadering van vermogensfondsen
- Loterijen



5. Sponsoring

- Pharma partners
-

3

Wat willen we bereiken?

En wat is daar voor nodig?

Structurele aandacht voor onze missie

Doelstelling

1

Meer naamsbekendheid

2

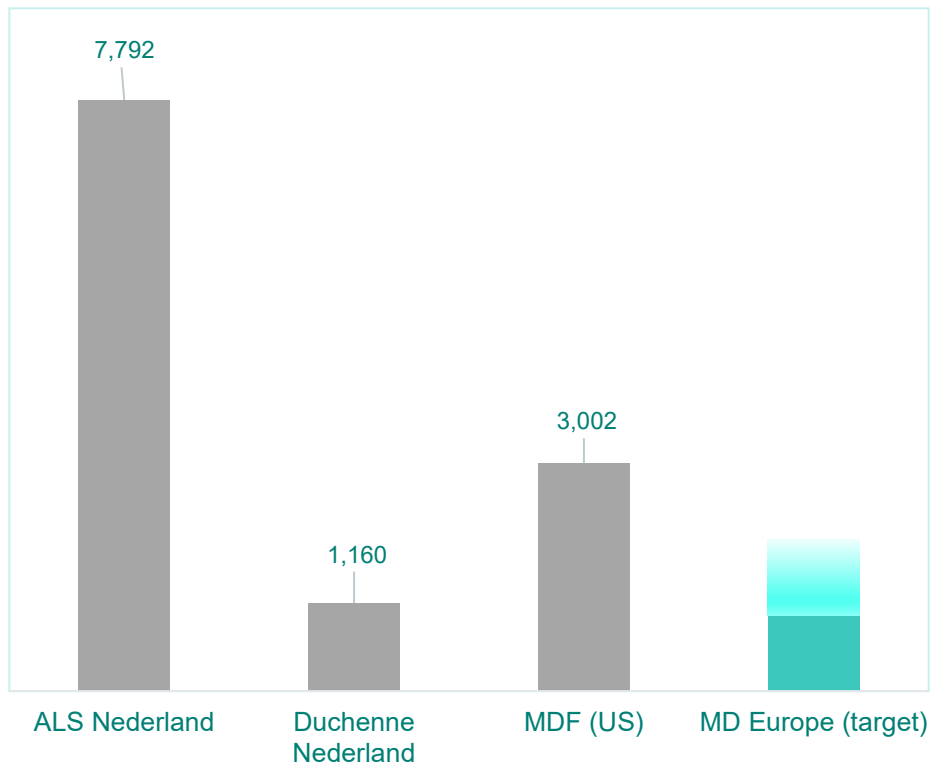
Meer geld voor onderzoek

3

Versnellen van
medicijnontwikkeling

Budget meer in lijn met vergelijkbare ziektes

- Voor MD is er geen stichting met een relevant budget in Europa. Het is dus veel lastiger om onderzoeksprojecten op te starten of om structureel aandacht te vragen
- Stichtingen met een significante impact werken allemaal in een mix van betrokken vrijwilligers en betaalde medewerkers



Jaarlijks budget in EUR '000

ALS Nederland is het grootste spierziektefonds in Nederland met 14 medewerkers (11.5 FTE). De meerderheid van haar medewerkers is gericht op fondswerving en het initiëren van evenementen gericht op bekendheid en fondswerving. Met het geld worden campagnes georganiseerd, patiënten begeleid en een veel nieuwe onderzoeksprogrammas gestart.



Duchenne Nederland heeft 3.4 FTE in dienst en is gericht op het ondersteunen van de gezinnen van getroffen jongens en het stimuleren van wetenschappelijk onderzoek naar een oplossing. Duchenne is een aan MD gerelateerde erfelijke ziekte die uitsluitend bij jongens voorkomt (prevalentie 1 op 3.500 jongens).



Myotonic Dystrophy Foundation (MDF US) is de Amerikaanse MD stichting. Ze organiseren patientbijeenkomsten, een jaarlijkscongres over MD en ondersteunen wetenschappelijk. MDF heeft 11 medewerkers in dienst (excl. interns).



Indicatief
€1m
budget

1

Grotere naamsbekendheid

€ 200k

Voor publieke én medische campagnes

2

Meer geld voor onderzoek

€ 250k

Voor het financieren van wetenschappelijk onderzoek

€ 150k

Voor professionalisering en uitbouw van de stichting

3

Versnellen van medicijnontwikkeling

€ 400k

Projecten zoals ANIQ om medicijnontwikkeling bij kinderen te versnellen



Meerjaren begroting

Concept meerjaren begroting

Beleidsplan 2024 - 2028

In eur	2024	2025	2026	2027	2028
FTE (average)	0.3	1.7	3.0	4.0	5.0
Gem FTE Salaris (bruto + lasten)	100,000	100,000	90,000	90,000	90,000
Salarissen (all in)	30,000	170,000	270,000	360,000	450,000
1. Bekendheid / Communicatie	10,000	60,000	80,000	100,000	150,000
2. en 3. Projecten	100,000	50,000	200,000	250,000	340,000
Overige kosten	10,000	60,000	60,000	60,000	60,000
(A) Uitgave	140,000	280,000	550,000	770,000	1,000,000
LT Donateurs (bestaand)	25,470	25,470	35,470	45,470	55,470
Nieuwe LT Donateurs (incl churn)	-	10,000	10,000	10,000	10,000
LT donateurs	25,470	35,470	45,470	55,470	65,470
Acties (Kentaa)	25,000	25,000	25,000	40,000	60,000
Evenementen (netto na kosten)	28,000	40,000	60,000	100,000	150,000
Major donors	25,000	100,000	150,000	250,000	350,000
Sponsoring	5,000	10,000	10,000	10,000	10,000
Overige	-	-	-	-	-
(B) Inkomsten	158,940	345,940	485,940	760,940	1,050,940
(A) Uitgave - (B) Inkomsten	18,940	65,940	(64,060)	(9,060)	50,940
Ratio's					
Vaste lasten	40,000	230,000	330,000	420,000	510,000
Vaste inkomsten	25,470	35,470	45,470	55,470	65,470
Vaste inkomsten - Vaste lasten	(14,530)	(194,530)	(284,530)	(364,530)	(444,530)
Go get als % van begroting	0%	0%	0%	0%	0%
FTE als % van begroting	19%	49%	56%	47%	43%
Inkomsten/FTE	529,800	203,494	161,980	190,235	210,188
Inkomsten volgend jaar / FTE	1,153,133	285,847	253,647	262,735	na

Commentaar

Duchenne en ALS Nederland: gemiddeld ca 80.000/FTE
Voor groot deel te alloceren aan doelstelling (Bekendheid en

Personeel plus overige kosten
LT donateurs >> Lange termijn Major donor?

ALS: 12%, Duchenne 30%

Totaal: ALS 677k, Duchenne 341k. Excl initiatieve door verbonden
stichtingen ALS 426k, Duchenne 144k

Notes bij meerjarenbegroting

1. Dit budget is het budget voor MD Europe inclusief haar lokale activiteiten in Nederland, aangezien daar geen separate entiteit is. Uitgangspunt is dat de andere landen hun lokale activiteiten zoals omschreven op pagina [20] lokaal funden, zoals Steinert Everybody Different vzw dit doet in België.
2. Veel van de geplande inkomsten zijn eenmalig van aard terwijl we wel lange termijn verplichtingen aangaan, met name met betaalde medewerkers. Voor de groeifase zoeken we Majordonors die de groei voor een aantal jaren zouden willen ondersteunen om onzekerheid over funding van de organisatie te verkleinen.