



BELEIDSPLAN

Stichting Genetische Hartspierziekte PLN

Periode 2021

Stichting Genetische Hartspierziekte PLN
Postbus 66
1775 ZH MIDDENMEER
RSIN/fiscaal nummer: 8518 79 950

1. Inleiding

In dit beleidsplan legt de Stichting Genetische Hartspierziekte PLN (hierna: “**de Stichting**”) haar beleidsvoornemens voor het jaar 2021 neer. Het door de Stichting in deze periode te voeren beleid is veelal afhankelijk van de wetenschappelijke en medische ontwikkelingen op het gebied van hartspierziekten en het aan haar ter beschikking staande budget. Indien deze factoren wijzigen, zal de Stichting daarop dienen te anticiperen en haar beleid dienen aan te passen. Het beleid is hiermee feitelijk dynamisch.

Bij het uitzetten van het door de Stichting te voeren beleid concentreert de Stichting zich op haar statutaire doelstelling. De Stichting heeft ten doel:

- a. Het financieren van onderzoek ter behandeling en genezing van de ziekte van de hartspier (Cardiomyopathie), hartritmestoornissen, harttransplantatie en donorschap;
- b. Het informeren en het vinden van personen met een PLN mutatie;
- c. Het verrichten van alle verdere handelingen, die met het voorstaande in de ruimste zin verband houden of daartoe bevorderlijk kunnen zijn.

2. Organisatie

De Stichting is opgericht op 9 augustus 2012 door mensen die zelf geraakt zijn en/of wiens familie zwaar geraakt is door de negatieve gevolgen van de PLN-mutatie. In het begin is vooral in medisch wetenschappelijk onderzoek in Nederland geïnvesteerd, geïnitieerd en financieel gesteund om tot meer inzicht in deze ziekte te komen. In de begin jaren is wereldwijd geïnventariseerd waar kennis en ervaring op het gebied van de PLN-mutatie is en vooral waar kennis en ervaring is om tot behandeling van deze dodelijke ziekte te komen. Aan de hand van deze inventarisatie heeft de Stichting een trans-Atlantisch samenwerkingsproject geïnitieerd waarna op basis van de eerste resultaten uit dit project ook een aanvraag bij Fondation Leducq is ingediend en verkregen. Hiermee is het onderzoek verder versneld en verbreed. De nadruk ligt nu vooral op het versterken van dit project en het financieren van pionierend onderzoek om zo snel mogelijk tot een veilige en betaalbare behandelmethodete kunnen komen.

De Stichting werkt op dit moment nog steeds alleen met vrijwilligers en is volledig afhankelijk van hun motivatie en inzet. De bestuurders werken geheel belangeloos voor de Stichting en ontvangen geen beloning noch een onkostenvergoeding voor hun diensten. Het is mogelijk dat er incidenteel een vrijwilligersvergoeding uitgekeerd wordt. In dat geval staat Stichting PLN 100% garant dat deze vergoeding betaald wordt door een sponsor die de kosten van de Stichting voor zijn of haar rekening neemt.

3. Werkzaamheden/Activiteiten

De activiteiten van de Stichting zijn gericht op onderzoek naar diagnostiek, behandeling en genezing van ziekten van de hartspier, waarbij de Stichting zich voornamelijk focust op deze ziekten die veroorzaakt worden door een mutatie in het PLN (phospholamban). In dit kader financiert zij wetenschappelijk onderzoek naar ziekten van de hartspier die hartfalen veroorzaken (Cardiomyopathie), hartritmestoornissen, harttransplantaties en donorschap.

Daarnaast informeren wij en zoeken wij personen met een PLN-mutatie om ze tijdig te kunnen informeren over de ziekte en mogelijke gevolgen daarvan.

Het onderzoek dat de Stichting steunt behelst in ieder geval het volgende:

- Primair steunt de Stichting onderzoek dat (mogelijk) leidt naar genezing van de genetische hartspierziekte PLN.
- Secundair steunt de Stichting onderzoek naar de behandeling van de symptomen van de genetische hartspierziekte PLN. Hierbij gaat het om onderzoek op het gebied van hartfalen, hartritmestoornissen, ICD's, steunharten, harttransplantatie en donorschap.

De Stichting zal deze steun voornamelijk verlenen door het financieren en ondersteunen van diverse onderzoeken van de (samenwerkende) academische ziekenhuizen, zowel nationaal als internationaal. Ten behoeve van wetenschappelijk onderzoek stimuleert de Stichting haar achterban naast het doneren van financiële middelen tot het doneren van onder andere weefsel en bloed.

In heel bijzondere situaties kan de Stichting steun verlenen aan particulieren die lijden aan of mogelijk erfelijk belast zijn met de genetische hartspierziekte PLN. Zij kunnen op aanvraag financiële steun verkrijgen. Per aanvraag zal door het bestuur beoordeeld worden of deze gehonoreerd kan worden. In dit kader passen bijvoorbeeld vergoedingen van kosten van diagnostiek en behandeling welke buiten de vergoedingen van de ziektekostenverzekeraar vallen. De Stichting is voornemens alleen die kosten die direct gerelateerd zijn aan de aandoening voor vergoeding in aanmerking te laten komen.

Wij spannen ons in om mensen te informeren die als drager gediagnostiseerd worden en ook om de ziekte in het algemeen bekend te maken. Met dat laatste beogen we mensen die drager zijn zich in hun familiehistorie te verdiepen en als daar niet verklaarde sterfgevallen op relatief jonge leeftijd bij zitten zich te laten onderzoeken. Als mensen dan gediagnostiseerd worden met PLN kunnen er tijdig voorzorgsmaatregelen genomen worden. Dit doen we ook door stamboomonderzoek te steunen. In 2021 zullen we nog meer aandacht hier aan geven omdat de groep van dragers veel groter blijkt te zijn dan gedacht. Op dit moment zijn er ongeveer

1.500 dragers bekend maar onderzoek bij de bloedbank in Amsterdam en het lifelines onderzoek van het UMC Groningen blijkt dat ongeveer 1 op 1.500 van de bevolking van Noord Nederland drager is. Op basis hiervan schatten we dat het aantal dragers in Nederland mogelijk rond 15.000 ligt wat het 10 voudige is van het aantal bekende dragers.

In 2016 heeft de Stichting het initiatief genomen om tot een breed internationaal onderzoeksproject te komen met als doel tot een doorbraak te komen die deze vreselijke ziekte behandelbaar maakt.

Per 1 januari 2017 is het trans-Atlantisch samenwerkingsproject gestart, waarbij een samenwerking tot stand is gekomen tussen drie academisch medische centra in Nederland (Amsterdam UMC, UMC Groningen en UMC Utrecht) met drie academisch medische centra in Amerika (Mount Sinai Icahn School of Medicine New York, Stanford University School of Medicine en University of Cincinnati College of Medicine), waarbij de top van de top op het gebied van kennis en ervaring met de PLN-mutatie en de meest technologisch innovatieve instituten bij elkaar zijn gebracht. Als Stichting garanderen wij een totale bijdrage van €2.500.000. Deze bijdrage brengen wij op uit eigen gelederen en diverse sponsor initiatieven. Dit bedrag zal beschikbaar komen door een jaarlijkse bijdrage van €500.000,- voor de volle looptijd van dit project.

Medio 2018 is door Fondation Leducq zes miljoen USD toegekend voor een geheel op PLN gericht internationaal onderzoeksplan, het CURE-PLaN. Dit project is 1 januari 2019 officieel van start gegaan. Het bestaat uit een door onze Stichting bij elkaar gebracht trans-Atlantisch team met onderzoekers uit UMC Groningen, Amsterdam UMC, UMC Utrecht, New York Mount Sinai Icahn School of Medicine, University of Cincinnati en Stanford University. Dit team wordt verder versterkt met onderzoekers uit het Verenigd Koninkrijk, Griekenland en Duitsland. Door dit project zijn dubbelingen ontstaan met ons bestaande project. Samen met het Netherlands Heart Institute zijn deze dubbelingen uit het project gehaald. Nu zijn de initiatieven en de steun van de Stichting vooral gericht op het versterken van het CURE-PLaN project.

Wij focussen ons op drie onderzoeksrichtingen:

1. Correctie van de specifieke PLN mutatie in het DNA
2. RNA interventie | Gene silencing
3. Medicamenteuze eiwit therapie

Naast deze drie oplossingsrichtingen investeren wij in een testplatform, in basaal onderzoek en in het financieren van pionierend onderzoek. Het verkrijgen van fondsen voor pionierend onderzoek gaat moeizaam. Door onze financiering kan het onderzoek starten waarna bij het behalen van positieve resultaten middelen uit andere fondsen verkregen kunnen worden. Ook proberen we door middel van “Crazy Idea” sessies nieuwe ideeën te vinden in de snel veranderende wetenschappelijke wereld.

In 2020 is een Crazy Idea gehonoreerd. In eerste instantie financieren wij €50.000 en afhankelijk van de resultaten wordt later nogmaals €50.000 gefinancierd.

Er is een geheel nieuw werkproces ontstaan door de vervolgstappen die genomen moeten worden om een behandeling naar de mens te brengen. Ons hoofddoel is om een zo goed mogelijke, veilige en betaalbare behandelmethode voor dragers/patiënten beschikbaar te maken. De behandelmethoden die op de markt komen voor weesziekten zijn bijna altijd (extreem) duur. Om hier invloed op te houden anticipeert de Stichting al op de vervolgstappen en gaat de Stichting hier een grotere rol in spelen dan een aantal jaren geleden voorzien was. Dit brengt extra uitdagingen en kosten met zich mee.

Ook stimuleren en financieren wij jonge getalenteerde studenten en postdocs bij het uitzenden naar verschillende laboratoria/ onderzoekscentra (wereldwijd) om ons onderzoek daar te versnellen. Zij nemen de opgedane kennis ook weer mee terug naar Nederland. I.v.m. Covid-19 staat dit programma reeds geruime tijd min of meer op hold.

Met de werkzaamheden van de Stichting wordt het algemeen belang gediend. De Stichting is in 2013 aangemerkt als algemeen nut beogende instelling (ANBI) in de zin van de Wet inkomstenbelasting 2001. Instellingen voor goede doelen die deze status bezitten hoeven geen schenkbelasting te betalen over giften. Daarnaast zijn ontvangers die zich inzetten voor het doel van de Stichting evenmin schenkbelasting verschuldigd over de door hen van de Stichting ontvangen gelden. Verder is het mogelijk voor donateurs om hun donaties fiscaal gefaciliteerd te laten plaatsvinden. Het beleid van de Stichting is erop gericht deze status te continueren.

4. Werving van gelden

Financieel steunt de Stichting volledig op giften, ontvangen van particulieren en het bedrijfsleven die de Stichting en haar doelstellingen ondersteunen. De werving van fondsen gebeurt op een kleinschalige directe manier door middel van het aanspreken van persoonlijke c.q. zakelijke contacten.

In 2018 grepen wij het initiatief aan van cardiologen vanuit het UMCU om – ten gunste van de Stichting PLN - een fietstocht te rijden in Noorwegen om onze naamsbekendheid en fondsenwerving naar een hoger niveau te tillen, de PLN Monstertocht. Dat het echt een Monstertocht is blijkt wel uit het feit dat de afstand 543 km is met 3.7 verticale km, die binnen 24 uur gefietst moet worden. Heel bijzonder hierin is dat cardiologen die ons behandelen en arts-onderzoekers die onderzoek voor ons doen deze tocht fietsten om gelden in te zamelen. In 2019 hebben wij deze wederom georganiseerd en dit leverde ruim 300.000 euro op. In 2020 is de tocht als gevolg van de COVID-19 pandemie geannuleerd. De Stichting heeft in plaats van de Monstertocht een fietstocht in Nederland georganiseerd, de 11stedentocht. Deze sponsoractiviteit heeft ruim €103.000,-- opgebracht. In 2021 zijn wij, behoudens de situatie omtrent COVID-19, voornemens om beide tochten te ondersteunen.

Ook is een fundraising Gala in de Van Nelle Fabriek in Rotterdam ten behoeve van PLN in 2020 geannuleerd als gevolg van Covid-19. Dit gala wordt op een later te bepalen moment alsnog gehouden.

Er is in 2020 een “dochter” Stichting in de VS opgericht, de PLN Heart Foundation. Vanuit de Stichting kunnen we het onderzoek in de VS directer ondersteunen. Ook kan deze “dochter” Stichting een rol spelen bij het aantrekken van fondsen voor onze onderzoek partners in de VS.

Het Netherlands Heart Institute is projectmanager van ons project en we werken tot genoeg intensief met elkaar samen.

Wij blijven tevens doorgaan met het verstrekken van nieuwsbrieven aan vrienden van de Stichting, familie en een brede kring van bekenden en het benaderen van bedrijven, waardoor de Stichting haar naamsbekendheid wil vergroten en de benodigde financiën voor het nastreven van haar doelstelling te verwerven.

Naast donaties van vaste donateurs en het organiseren of meewerken aan mogelijk meerdere evenementen hoopt de Stichting in de toekomst meer structurele en/of incidentele donaties te ontvangen.

In 2021 organiseert de Stichting wederom in het 4^e kwartaal de inmiddels jaarlijkse PLN-informatiedag om informatie te verstrekken aan PLN-patiënten en hun naasten, aandacht voor de genetische afwijking PLN te vragen en tevens extra fondsen te werven. Dit zal een fysieke of digitale bijeenkomst zijn, afhankelijk van de ontwikkelingen omtrent COVID-19 waarbij het ook tot de mogelijkheden hoort om het naar het begin van 2022 door te schuiven.

Daarnaast blijft de Stichting onderzoeken in hoeverre het mogelijk is om aanspraak te maken op eventuele subsidies ter ondersteuning van haar werkzaamheden. De verkrijging van donaties en eventuele subsidies bepaalt in hoeverre de Stichting haar doelstelling feitelijk kan nastreven.

Tevens is de Stichting in 2020 actief geworden in het, veelal tesamen met onderzoekspartners, indienen van subsidie aanvragen voor specifieke medische onderzoeken waarvoor subsidiemogelijkheden beschikbaar zijn. Deze mogelijkheden zullen de komende jaren intensiever worden benut, zowel op landelijk als internationaal niveau.

5. Beheer van gelden

De Stichting beoogt niet het maken van winst. Het jaarlijks geworven vermogen wordt veelal zo direct mogelijk besteed aan gerichte doelen met zo min mogelijk vertraging.

Voor langlopende onderzoeken kan het echter nodig zijn een financiële buffer te vormen en meer vermogen aan te houden om een continue geldstroom op gang te houden. Voor zover de Stichting haar vermogen niet direct aanwendt ter nastreving van haar doelstelling, maar aanhoudt voor toekomstig onderzoek, zal zij dit vermogen beleggen in defensieve fondsen.

Bij het groeien van de Stichting en het uitbreiden van de werkzaamheden is het inherent dat er kosten ontstaan. Deze kosten worden jaarlijks volledig en separaat geschonken, waardoor er gegarandeerd wordt dat alle binnenkomende giften voor 100% terechtkomen bij de onderzoeksdoelstellingen van Stichting PLN.

Alle opbrengsten en kosten worden in beginsel verantwoord in de periode waarop zij betrekking hebben. Alle opbrengsten (schenkingen) worden als opbrengst verantwoord in het boekjaar waarin zij door de Stichting worden ontvangen.

Als rentebaten worden verantwoord de aan het verslagjaar toe te rekenen ontvangen c.q. te betalen renten uit hoofde van uitstaande banksaldi.

6. Besteding van gelden

Het vermogen van de Stichting wordt gevormd door giften, legaten, hetgeen door erfstelling verkregen wordt alsmede door andere baten. In 2021 zal de Stichting haar vermogen onder andere aanwenden ter financiering van het onderzoek zoals ook eerder al omschreven in de paragraaf “werkzaamheden”.

In de afgelopen jaren is er een buffer opgebouwd. In 2021 blijven wij monitoren hoeveel vermogen er aangehouden moet worden voor lang lopende projecten.

Middenmeer, februari 2021