



BELEIDSPLAN

Stichting Genetische Hartspierziekte PLN

Periode 2019

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 2019 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. De afgelopen 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 vreselijke ziekte te komen. Aan de hand van deze inventarisatie houdt de Stichting zich nu vooral bezig met het initiëren en ondersteunen van wereldwijd onderzoek.

De Stichting werkt op dit moment nog steeds alleen met vrijwilligers en is volledig afhankelijk van hun motivatie en inzet. De bestuurders/vrijwilligers werken geheel belangeloos voor de Stichting en ontvangen geen beloning noch een onkostenvergoeding voor hun diensten.

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 phospholamban-genmutatie (PLN). In dit kader financiert zij wetenschappelijk

onderzoek naar ziekten van de hartspier die hartfalen veroorzaken (Cardiomyopathie), hartritme stoornissen, 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. Het gaat hierbij om DNA-onderzoek, onderzoek op celniveau en andere mogelijke behandelingen.
- 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, hartritme stoornissen, 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 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 2016 heeft de Stichting het initiatief genomen om tot een 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 Hospital New York, Stanford University School of Medicine San Diego 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. Dit bedrag zal beschikbaar komen door een jaarlijkse bijdrage van €500.000,-- voor de volle looptijd van dit project.

Ons trans-Atlantisch project is dynamisch. Initieel werd gefocust op drie oplossingsrichtingen:

- Gentherapie
- Medicamenteuze therapie
- Stamceltherapie

Naast deze drie hoofdlijnen proberen we door middel van “Crazy Idea” sessies nieuwe oplossingsrichtingen te vinden in de snel veranderende wetenschappelijke wereld. Voor 2019 is een Europese en een Amerikaanse sessie gepland.

Stamceltherapie gaf niet de beoogde resultaten, waardoor besloten is met dit traject te stoppen en verder te gaan met gentherapie en medicamenteuze therapie naast een aantal mogelijkheden die uit eerdere “Crazy Idea” sessies naar voren zijn gekomen.

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 Hospital, University of Cincinnati en Stanford University. Dit team wordt verder versterkt met onderzoekers uit Griekenland en Duitsland. Door dit project zijn dubbelingen ontstaan met ons bestaande project. Samen met het Netherlands Heart Institute zijn 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.

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 goede van Stichting PLN - een fietstocht te rijden in Noorwegen aan om onze naamsbekendheid en fondsenwerving naar een hoger niveau te tillen, de Monstertocht. Wij organiseren in 2019 wederom de Monstertocht, ten behoeve van fondsenwerving en naamsbekendheid. De Monstertocht leverde in 2018 ruim 530.000 euro op. Dit jaar hopen wij op vergelijkbare resultaten. In 2018 zijn de eerste stappen gezet in een voorzichtige samenwerking met de Hartstichting. In het kader daarvan heeft de Hartstichting toegezegd de opbrengst van de Monstertocht met 25% te verhogen, wat in de 530.000 euro opgenomen is. De door de Hartstichting toegezegde gelden waren op 31 december 2018 nog niet ontvangen.

Het Netherlands Heart Institute is projectmanager van ons project en in 2018 hebben wij intensief samengewerkt.

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.

De Stichting zal ook via haar eigen website (www.hartspierziektepln.nl), social media kanalen (LinkedIn, Facebook, Twitter en Instagram) en www.monstertocht.nl (ten behoeve van de fietstocht) proberen fondsenwerving te versterken en aan te moedigen.

In 2019 organiseert de Stichting wederom in het 4^e kwartaal een 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.

Daarnaast zal de Stichting verder gaan 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.

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.

Alle kosten zijn tot op heden jaarlijks separaat geschonken waardoor er tot op heden gegarandeerd kan worden dat alle binnenkomende giften voor 100% terecht komen bij de onderzoeken die gesteund worden.

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 vorderen renten uit hoofde van uitstaand 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 2019 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 2019 blijven wij monitoren hoeveel vermogen er aangehouden moet worden voor lang lopende projecten.

Middenmeer, januari 2019