

## Beleidsplan 2020-2024



## Inhoudsopgave

Missie.....	3
Wat willen we bereiken?.....	4
Hoe bereiken we dit? .....	7
Medicijnontwikkeling .....	7
a. Concrete programma's m.b.t. medicijnontwikkeling.....	7
b. Vullen van de pijplijn medicijnontwikkeling.....	9
c. Onderzoekstalent ontwikkelen en behouden .....	9
Patiëntondersteuning.....	10
a. Belangenbehartiging door Spierziekten Nederland .....	10
Voorlichting geven.....	11
a. Impact spierziekten .....	11
b. Inhoudelijke naamsbekendheid van het Spierfonds verhogen .....	11
Wie maken het mogelijk?.....	12
De supporter centraal .....	12
a. Werving van nieuwe supporters .....	12
b. Behoud van huidige supporters .....	12
Samenwerking.....	13
a. Trial readiness realiseren en trials naar Nederland halen.....	13
b. Samen sterk!.....	13
c. Onderzoek bevorderen .....	13



# ONZE MISSIE

## SPIERZIEKTEN DE WERELD UIT!

### Missie

De spieren in het menselijk lichaam sturen alles aan. Van een glimlach tot een wandeling. Van drinken tot plassen. Van lachen tot ademen. Een spierziekte tast dus met de spieren het hele leven van een persoon aan. Het Prinses Beatrix Spierfonds zet zich in voor mensen met een spierziekte in Nederland.

Er zijn ruim zeshonderd spierziekten met uiteenlopende symptomen, zoals spierzwakte, spierverslaving, pijn en tintelingen. Ze hebben één ding gemeen: de spierkracht neemt af. Het is afhankelijk van de ziekte of dit één of meerdere spieren betreft. Ook de mate waarin de spieren zijn aangetast en het moment waarop de ziekte zich openbaart, verschillen. Wel zijn bijna alle spierziekten progressief, de symptomen verergeren. Mensen met een spierziekte zijn vaak ongeneeslijk ziek, invalide en kunnen binnen enkele jaren overlijden.

Er zijn in Nederland ruim 200.000 mensen met een spierziekte. Voor de meeste spierziekten is geen behandeling of genezing mogelijk. Van een deel is zelfs nog geen oorzaak bekend.

Het is onze missie om spierziekten de wereld uit te krijgen!



## Wat willen we bereiken?

In het meerjarenbeleid 2020-2024 werken we aan drie hoofddoelen waarmee we het leven van mensen met een spierziekte nu en in de toekomst willen verbeteren. Dit zijn ze:

- **Meer genezing**

We willen spierziekten genezen. Totdat het zover is, willen we ze stopzetten of vertragen met een medicijn. En we weten dat het kan. Voor enkele spierziekten is er al een medicijn gevonden.

- **Beter leven met een spierziekte**

Het vinden van een medicijn is een lange weg. In de tussentijd willen we dat mensen met een spierziekte een volwaardig leven kunnen leiden. Daarom maken we ons sterk voor goede zorg, goede voorlichting en belangenbehartiging.

- **Meer bewustwording impact spierziekte**

Als je iemand bent of kent met een spierziekte, dan zie en voel je wat een impact dat heeft op de patiënt en op de mensen daar omheen. Maar verreweg de meeste mensen hebben simpelweg geen idee. Als het brede publiek meer weet over spierziekten, creëert dat meer begrip. Ook bewustwording is dus een belangrijke doelstelling van het Spierfonds.



# ONZE MISSIE

## SPIERZIEKTEN DE WERELD UIT!



### WAT WILLEN WE BEREIKEN?

NU

NABIJE TOEKOMST



**Meer  
bewustwording  
impact  
spierziekten**



**Beter leven  
met een  
spierziekte**



**Meer  
genezing**



### HOE BEREIKEN WE DIT?



**Medicijnontwikkeling**



**Patiëntondersteuning**



**Voorlichting**



### WIE MAKEN HET MOGELIJK?



**Donateurs**



**Actievoerders**



**Collectanten**



**Maatschappelijke partners**



## Hoe bereiken we dit?

Om onze doelen te bereiken, bewandelen we verschillende wegen. We kiezen drie routes:

### 1. Medicijnontwikkeling

De ontwikkelingen op het gebied van wetenschappelijk onderzoek naar spierziekten gaan snel, en voor verschillende spierziekten is de kans op levensreddende medicijnen groter dan ooit tevoren. Het is een tijd waarin nieuwe kansen en perspectieven ontstaan voor mensen met een spierziekte. Met ons Programma Gentherapie willen we de strijd tegen spierziekten een ongeëvenaarde impuls geven. Daarnaast blijven we investeren in de ontwikkeling van nieuwe medicijnen en het verbeteren van bestaande behandelingen.

### 2. Patiëntondersteuning

Naast wetenschappelijk onderzoek investeert het Spierfonds ook in directe ondersteuning van de patiënt. We vinden het belangrijk dat spierziektepatiënten grip hebben op hun eigen leven, kunnen meedoen in de samenleving en dat de zorg van goede kwaliteit is.

### 3. Voorlichting geven

We willen aan zoveel mogelijk mensen duidelijk maken wat een spierziekte is en wat voor impact dat op je leven heeft. En daarnaast natuurlijk ook wat het Spierfonds eraan doet om spierziekten de wereld uit te krijgen.

## Wie maken het mogelijk?

Om wetenschappelijk onderzoek, patiëntondersteuning en voorlichting mogelijk te maken is geld nodig, veel geld. Dat geld wordt bijeengebracht door onze supporters:

### 1. Donateurs

Van je vrienden moet je het hebben. Gelukkig hebben we een flink aantal mensen die het Spierfonds een warm hart toedragen. Zij leveren een belangrijke bijdrage in de vorm van donaties, subsidies, schenkingen en nalatenschappen.

### 2. Actievoerders

Veel mensen die zelf een spierziekte hebben, of iemand kennen met een spierziekte, willen graag iets doen om te helpen. We geven hen de inspiratie en informatie die ze nodig hebben om hun eigen actie op te zetten, of om aan te haken bij een bestaand evenement ten behoeve van het Spierfonds.

### 3. Collectanten

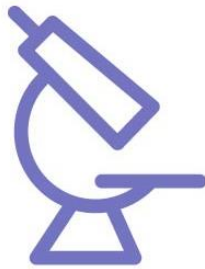
Ieder jaar opnieuw, in de tweede week van september, gaan vrijwilligers langs de deuren om geld op te halen voor het Spierfonds. We zijn trots op iedereen die met de collectebus rondgaat of een collecte organiseert.

### 4. Maatschappelijke partners

Samen bereik je meer. Met maatschappelijke partners werken we nauw samen om elkaar te versterken. We hechten veel waarde aan de jarenlange samenwerking met Holland Dance Festival en loterijen.



## Hoe bereiken we dit?



### Medicijnontwikkeling

Uit onderzoek blijkt dat 83% van de spierziektepatiënten het meeste belang hechten aan 'het genezen of voorkomen van spierziekten'. En dat is dan ook het doel van het Prinses Beatrix Spierfonds. Wij willen spierziekten genezen. Daarom zetten we vol in op de ontwikkeling van nieuwe medicijnen en het verbeteren van bestaande behandelingen. Op dit gebied is er in het afgelopen decennium veel gebeurd. Tien jaar geleden was er nauwelijks uitzicht op nieuwe behandelingen. Tegenwoordig bevinden we ons in een tijdperk waarin er voor verschillende spierziekten medicijnen in ontwikkeling zijn. Dat betekent dat ook wij onze focus moeten verleggen. Waar we ons in het verleden voornamelijk richtten op onderzoek naar het begrijpen van spierziekten en het vinden van nieuwe aanknopingspunten, kunnen we nu ook investeren in de volgende stappen van medicijnontwikkeling, zodat de medicijnen die ontwikkeld worden ook daadwerkelijk bij de patiënt terechtkomen.

We zetten daarom voor de komende beleidsperiode in op twee sporen: we continueren het huidige programma met betrekking tot het vullen van de pijplijn (exploratief onderzoek) op een iets lager niveau. Daarnaast zetten we vol in op concrete programma's die kansrijk zijn in de vervolgstappen van medicijnontwikkeling.

Omdat wetenschappelijk onderzoek de basis is van de programma's en daarvoor goede mensen nodig zijn en blijven, investeren we ook in de ontwikkeling en het behoud van onderzoekstalent.

#### a. Concrete programma's m.b.t. medicijnontwikkeling

We bevinden ons in een hoopgevende tijd, waarin nieuwe kansen en perspectieven ontstaan voor mensen met een spierziekte. Om op de ontwikkelingen in te springen, hebben we drie concrete programma's geformuleerd: genterapie, trial readiness en de ontwikkeling van de 3D-spier.

#### Genterapie tegen spierziekten

Met genterapie is de hoop die we hebben op een medicijn een heel stuk concreter geworden! Wij vinden het onze taak en zien het als een uitdaging om die extra stap te doen om genterapie naar de patiënt te krijgen. Daarom hebben we in 2019 het Programma Genterapie gelanceerd. Ons ambitieuze doel met dit programma is om genterapieën te ontwikkelen tegen spierziekten en deze binnen 5 jaar in klinische trials te kunnen testen.

#### *Wat is het resultaat:*

- *Binnen 5 jaar starten met klinische trials in Nederland voor drie verschillende spierziekten.*



### Trial readiness: snelle toegang tot een potentieel medicijn

Wereldwijd is er in de afgelopen decennia geïnvesteerd in onderzoek naar spierziekten en dit betaalt zich nu uit. Voor het eerst hebben we uitzicht op klinische trials! Dit is één van de laatste fases als het gaat om medicijnontwikkeling. We weten uit ervaring dat Europese trials met name plaatsvinden in de grote landen. Wij willen de trials ook naar Nederland halen. Zodat Nederlandse spierziektepatiënten hieraan kunnen meedoen en zo eerder kunnen profiteren van een potentieel medicijn. Dat kan wel 5 tot 8 jaar winst opleveren. Bovendien bouwen we met het uitvoeren van de trials belangrijke kennis op met betrekking tot de behandeling van de spierziekte die nodig is als het middel daadwerkelijk op de markt komt. Om succesvolle klinische trials te kunnen uitvoeren is het belangrijk om goede patiëntenregistraties, goede meetinstrumenten en een goede infrastructuur te hebben. Hier investeert het Spierfonds in. Zodat de Nederlandse expertisecentra klaar zijn en, sterker nog, aantrekkelijk zijn voor het uitvoeren van internationale trials.

#### *Wat is het resultaat:*

- *Vier spierziektencentra in Nederland zijn trial ready.*
- *Nederland staat in de top 5 van meest aantrekkelijke triallanden in Europa m.b.t. spierziekten.*

### De ontwikkeling en implementatie van de 3D-spier

Met steun van het Spierfonds wordt momenteel de 3D-spier ontwikkeld; een kleine levende, menselijke modelspier, die een specifieke spierziekte heeft of juist gezond is. De 3D-spier is gekoppeld aan een chip die op ieder moment de spierkracht kan meten. We kunnen hiermee veel beter in beeld brengen hoe een spierziekte zich ontwikkelt. Daarnaast kan de werking van een mogelijke behandeling direct op menselijk weefsel worden getest. En ook wanneer medicijnen eenmaal beschikbaar zijn, levert de 3D-spier winst op. Van huidcellen van een patiënt kan een persoonlijke 3D-spier worden gemaakt. Hiermee kunnen verschillende mogelijke behandelingen van tevoren worden getest. Zo wordt voorkomen dat een vaak lang en duur behandeltraject wordt gevolgd dat voor deze persoon onvoldoende effectief is. De komende jaren zullen wij verder investeren in de ontwikkeling van de 3D-spier via een partnership met Health-Holland. Met als uiteindelijke doel het opzetten van een 3D-spierfaciliteit, waarmee iedereen gebruik kan maken van deze nieuwe technologie.

#### *Wat is het resultaat:*

- *De 3D-spier kan door alle Nederlandse onderzoekers gebruikt worden om nieuwe medicijnen te testen.*





## b. Vullen van de pijplijn medicijnontwikkeling

Ons belangrijkste wapen in de strijd tegen spierziekten is wetenschappelijk onderzoek. Wij investeren in onderzoek dat bijdraagt aan de ontwikkeling van medicijnen die spierziekten genezen of, totdat het zover is, vertragen of stoppen. Het is van belang om de pijplijn te blijven vullen met nieuwe kandidaatmedicijnen, want de slagingskans van een kandidaat is klein. Bovendien zijn er nog genoeg spierziekten waarvoor helemaal geen medicijnen in de pijplijn zitten.

Voor die spierziekten is het van belang om onderzoek te financieren waarmee we de spierziekte beter kunnen herkennen en meten, kunnen begrijpen en kunnen behandelen. Zo kunnen we nieuwe aanknopingspunten vinden, en nieuwe kandidaatmedicijnen ontwikkelen. Dit vormt het fundament van het spierziektenonderzoek en - misschien nog wel belangrijker - van de zorg voor mensen met een spierziekte in Nederland. Onze brede ondersteuning aan de Nederlandse spierziektenonderzoekers zorgt ervoor dat Nederland zes expertisecentra voor spierziekten telt.

*Wat is het resultaat:*

- *De pijplijn wordt gevuld en kandidaatmedicijnen worden ontwikkeld .*
- *Onderzoekers krijgen inzicht in de benodigde stappen m.b.t. medicijnontwikkeling en passen deze kennis toe.*

## c. Onderzoekstalent ontwikkelen en behouden

Nederland heeft uitstekende spierziektenonderzoekers. Dit zorgt ervoor dat het Nederlandse onderzoek van hoogstaande kwaliteit is. We draaien mee in de internationale top. En dat willen we ook in te toekomst zo houden. Daarom investeren wij in de ontwikkeling van een nieuwe generatie onderzoekstalenten; onderzoekers met een breed perspectief, die in een tijdperk van big data, snelle technologische ontwikkelingen en de komst van nieuwe medicijnen alle kansen weten te benutten. Met ons tweejaarlijkse symposium Muscles2Meet krijgen alle promovendi die in Nederland onderzoek doen naar spierziekten de kans elkaar en het Nederlandse spierziektenveld beter te leren kennen, en om vaardigheden te leren die zullen helpen in de volgende fase van hun carrière. Daarnaast gaan we een leiderschapsprogramma ontwikkelen waarmee we gepromoveerde talentvolle onderzoekers gaan voorbereiden op de volgende stap in hun carrière.

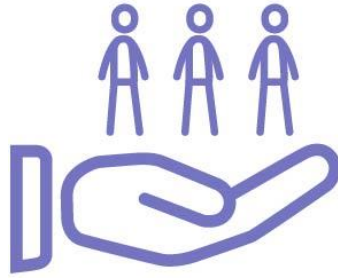
*Wat gaan we doen?*

- *Tweejaarlijks symposium Muscles2Meet.*
- *Leiderschapsprogramma ontwikkelen en uitvoeren.*

*Wat is het resultaat?*

- *Jonge onderzoekers zijn verbonden aan het spierziektenveld.*
- *Talenten worden opgeleid tot toekomstig leider.*





## Patiëntondersteuning

Naast wetenschappelijk onderzoek investeren we ook in directe ondersteuning van de patiënt. We vinden het belangrijk dat spierziektepatiënten grip hebben op hun eigen leven, kunnen meedoen in de samenleving en dat de zorg van goede kwaliteit is.

### a. Belangenbehartiging door Spierziekten Nederland

De patiëntenorganisatie Spierziekten Nederland komt op voor mensen met een spierziekte en zorgt voor belangenbehartiging, optimale zorg, informatie voor patiënten en hun naasten en voor lotgenotencontact. Het Prinses Beatrix Spierfonds ondersteunt Spierziekten Nederland met een structurele subsidie, zodat de vereniging deze belangrijke taken uit kan voeren. Daarnaast werken we intensief samen op het gebied van medicijnontwikkeling. Dit laatste omvat met name de laatste stadia van medicijnontwikkeling waaronder trial readiness en beschikbaarheid, betaalbaarheid en vergoeding van nieuwe medicijnen.

*Wat gaan we samen doen?*

- *Gezamenlijk plan van aanpak realiseren om trial readiness te bevorderen.*
- *Samenwerken op het gebied van beschikbaarheid, betaalbaarheid en vergoeding van medicijnen.*





## Voorlichting geven

Uit onderzoek is gebleken dat mensen het meeste vertrouwen hebben in het nieuws dat ze via radio, televisie en kranten tot zich krijgen. We verwachten dat dat in de komende jaren niet veel zal veranderen. Facebook en Instagram hebben een vertrouwensprobleem: 56% ziet social media niet als geloofwaardige bron. Het Prinses Beatrix Spierfonds zal mede hierdoor de komende jaren blijven investeren in zichtbaarheid via de traditionele media (radio, tv en print). Mede ook omdat deze media de voorkeur hebben van onze primaire doelgroep, 50+’ers. Desalniettemin blijft online communicatie een belangrijk onderdeel van onze communicatiestrategie. Door het enorme aanbod aan informatie op de diverse social media-platformen zal het lastiger worden om met inhoud op te vallen. Om die reden is het belangrijk om onderscheidende en creatieve content te bieden. Video en storytelling spelen hierbij een grote rol, waar ook het Spierfonds online maximaal in zal investeren. Als we content bieden, dan moet deze relevant zijn en optellen bij onze algemene communicatie boodschap.

### a. Impact spierziekten

Het Spierfonds wil aan zoveel mogelijk mensen duidelijk maken wat een spierziekte is en wat voor impact dat op je leven heeft. Voor wie nog nooit in aanraking is gekomen met een spierziekte, is het moeilijk voor te stellen hoe heftig het kan zijn en dat ‘spierziekten spelen met je leven’. Daar willen wij verandering in brengen. Als mensen bekender zijn met het bestaan en de impact van spierziekten, zullen ze meer begrip hebben voor de mensen die er dagelijks mee te maken hebben. De continue boodschap die we hiervoor gebruiken is ‘spierziekten spelen met je leven’. In verschillende vormen en uitingen zal dit thema terugkomen en zo bijdragen aan de bewustwording rondom de impact van spierziekten.

### b. Inhoudelijke naamsbekendheid van het Spierfonds verhogen

We willen het algemene publiek niet alleen duidelijk maken wat de impact van een spierziekte is maar we willen ook dat mensen weten wat wij doen als Spierfonds. Wetenschappelijk onderzoek is ons belangrijkste middel in de strijd tegen spierziekten. In de komende beleidsperiode gaan we deze boodschap laden met inhoud om zo onze inhoudelijke naamsbekendheid te verhogen. Hierbij speelt ons ‘Programma Getherapie’ een belangrijke rol.



## Wie maken het mogelijk?



### De supporter centraal

Om wetenschappelijk onderzoek, patiëntondersteuning en voorlichting mogelijk te maken is geld nodig, veel geld. Dat geld wordt bijeengebracht door onze supporters. Onze supporters zijn onderverdeeld in vier groepen; donateurs, actievoerders, collectanten en maatschappelijke partners. Allen zetten ze zich op hun eigen manier in voor het Spierfonds.

#### a. Werving van nieuwe supporters

Het Prinses Beatrix Spierfonds investeert ieder jaar opnieuw veel energie in de werving van nieuwe collectanten, donateurs en actievoerders. Momenteel bedienen wij de verschillende supportergroepen vanuit een verticaal perspectief (donateurs, actievoerders, collectanten). De komende jaren zullen wij een horizontaal perspectief toepassen waarbij wij een natuurlijke kruisbestuiving willen bewerkstelligen.

#### b. Behoud van huidige supporters

Wij willen zo goed mogelijk beantwoorden aan de wensen en verwachtingen van onze supporters. Zo zorgen we ervoor dat ze goed gemotiveerd zijn om zich jarenlang in te blijven zetten voor het fonds. Ze zullen ons hierdoor langer, vaker en met een nog grotere bijdrage in tijd of geld steunen. Daarom investeren we niet alleen in de werving van nieuwe supporters, maar juist ook in een verdere verbreding en verdieping van onze relatie met hen. Mensen die de moeite nemen om hun tijd en geld te investeren in de bestrijding van spierziekten verdienen ons respect en onze waardering. We moeten ze koesteren. Onze huidige retentie is goed. Het is van belang om dit vast te houden en verder te optimaliseren. Dit alles komt samen in de supporter journey. Deze gaan we in de komende beleidsperiode verder ontwikkelen en toepassen.





## Samenwerking

In alles wat we doen is samenwerking essentieel. Het is een van onze kernwaarden. We kunnen het immers niet alleen. Naast de samenwerking met onze maatschappelijke partners, bundelen we ook de krachten met andere partijen in het spierziektenveld om te werken aan een aantal gezamenlijke doelen. We zijn ervan overtuigd dat we door samenwerking efficiënter en sneller onze missie ‘spierziekten de wereld uit!’ bereiken. In de beleidsperiode 2020-2024 blijven we een prominente rol spelen om samen met alle betrokken partijen doelstellingen te formuleren op weg naar genezing van spierziekten.

### a. Trial readiness realiseren en trials naar Nederland halen

Een belangrijk onderwerp waar we in de komende beleidsperiode actief op gaan inspelen is trial readiness van de Nederlandse centra. Door het creëren van de juiste randvoorwaarden kunnen we klinische trials naar Nederland halen en spierziektepatiënten vroegtijdig laten meeprofiteren van een mogelijk nieuw medicijn. Samen met Spierziekten Nederland, het Spierziekten Centrum Nederland en de spierfondsen gaan we de benodigde activiteiten benoemen en de rollen verdelen om in de nabije toekomst daadwerkelijk meer trials naar Nederland te kunnen halen. Het kan voor patiënten jaren winst opleveren.

### b. Samen sterk!

Het Prinses Beatrix Spierfonds is een van de vijf fondsen in Nederland die zich inzetten voor mensen met een spierziekte. Met al deze fondsen werken we al jaren samen. En waar mogelijk trekken we samen op, onder andere bij de financiering van onderzoek. Sinds eind 2017 komen de vijf fondsen, Spieren voor Spieren, de FSHD Stichting, Duchenne Parent Project, Stichting ALS Nederland en het Prinses Beatrix Spierfonds op structurele basis vier keer per jaar bij elkaar voor onder andere kennisuitwisseling en afstemming van activiteiten. En inmiddels profileren we ons onder één noemer, de ‘gezamenlijke spierfondsen’. In het eerste jaar van de nieuwe beleidsperiode kijken we op welke onderwerpen we gaan samenwerken om deze vervolgens gezamenlijk op te pakken.

### c. Onderzoek bevorderen

Naast relevantie voor de patiënt is hoge kwaliteit voor het Spierfonds een belangrijke voorwaarde voor de financiering van wetenschappelijk onderzoek. Om de beste onderzoeken te selecteren hebben we een transparante beoordelingsprocedure ingericht met onder andere een database met buitenlandse experts, een Wetenschappelijke Adviesraad en een Gebruikerscommissie met daarin patiëntvertegenwoordiging. Daarnaast stemmen we met de Samenwerkende Gezondheidsfondsen (SGF) richtlijnen en kaders af voor de financiering van onderzoek. We vinden het belangrijk om onze kennis en ervaring te delen en stellen daarom onze procedures en infrastructuur beschikbaar binnen de ‘gezamenlijke spierfondsen’ aan andere spierfondsen die zelf niet de beschikking hierover hebben. Op dit gebied hebben we een actieve samenwerking met Spieren voor Spieren en de FSHD Stichting, die we in de komende beleidsperiode zullen intensiveren.

