

Beleidsplan 2018

(december 2017)

Stichting Beat Batten!

Stichting Beat Batten! is op 28 december 2007 notarieel opgericht. Zij is sinds 2014 gevestigd te Beuningen. De stichting is ingeschreven in het Stichtingenregister van de Kamer van Koophandel Midden-Nederland onder nummer 30234066. RSIN/Fiscaal nummer ANBI is 818841084.

De doelstelling en het verkrijgen van de middelen:

- De stichting heeft ten doel het stimuleren van het onderzoek naar een behandeling voor de ziekte van Batten (Neuronal Ceroid Lipofuscinosis) die deze ziekte kan genezen danwel vertragen en het bespoedigen van de toepassing van deze behandeling en al hetgeen in de ruimste zin daarmee verband houdt, daartoe behoort en/of daartoe bevorderlijk kan zijn.
- De stichting beperkt haar ondersteuning tot organisaties en instellingen die zijn gerangschikt in de zin van artikel 6:33 van de Wet op de Inkomstenbelasting of daarvoor in de plaats komende wetgeving, alsmede buitenlandse instellingen die met binnenlandse instellingen zijn gelijkgesteld.
- De stichting tracht dit doel te bereiken onder meer door met geldelijke middelen bij te dragen aan internationale kennisoverdracht en scholingsactiviteiten verband houdende met de hiervoor genoemde ziekte.
- De stichting heeft geen winstoogmerk.

Vermogen

Het vermogen van de stichting wordt gevormd door subsidies, giften, legaten, hetgeen door erfstelling verkregen wordt, fondsen uit evenementen, alsmede andere baten.

Bestuur

Het bestuur bestaat uit de volgende personen:

Voorzitter: De heer R. (Ronald) H.A Jansen

Financiële Zaken: De heer R. (René) Nierkens

Commerciële Zaken: De heer T. (Ton) Hendrix

Algemene zaken: Hugo Swelsen, Jeroen Diks, Ton Foks

Bedrijfsbureau

Projectmanager: Mevrouw P. (Pleuni) Timmermans

De ziekte

Juvenile Neuronale Ceroid Lipofuscinosis (JNCL, ook bekend als Batten Disease/ziekte van Batten/Batten-Spielmeyer-Vogt) is een autosomaal recessief erfelijke neurodegeneratieve ziekte beginnend tijdens de kindertijd. Door een defect in het CLN3 gen op chromosoom 16 wordt een enzym niet aangemaakt dat er normaal gesproken voor zorgt dat door de cel geproduceerde afvalstoffen worden afgebroken en afgevoerd. Onder andere doordat deze afvalstoffen zich opstapelen als autofluorescerend materiaal in het lysosoom in de cel wordt een adequate celfunctie verhinderd waardoor de cel uiteindelijk afsterft. Met name hersenweefsel wordt hierdoor getroffen. In Nederland wordt ca. 1,5 op de 100.000 levendgeborenen per jaar getroffen door deze verwoestende ziekte.

Typisch voor het ziekteverloop is :

- de progressieve achteruitgang van het gezichtsvermogen tussen het 5^e en 8^e jaar, leidend tot blindheid
- gevolgd door epilepsie,
- cognitieve achteruitgang (dementie),
- toenemende problemen in de motoriek met uiteindelijk rolstoelgebondenheid,
- toenemend verlies van spraak en taal, dus van het vermogen tot communiceren,
- een vroegtijdige dood gemiddeld tussen het 15^e en 25^e levensjaar.

Werkzaamheden van de stichting

Het bestuur vergadert tenminste drie maal per jaar en werkt nauw samen met zowel diverse stichtingen als medici.

- Er is een vrijwillige samenwerking met de Duitse NCL stichting, met farmacoloog Herman van der Putten in het bijzonder voor het beoordelen van diverse bestaande en nieuwe internationale onderzoeken, nieuwe aanvragen ter financiering van wetenschappelijk onderzoek en de beoordeling van de voortgang van deze onderzoeken.
- Het bestuur richt zich met name op de verwerving van fondsen, de organisatie van een landelijke netwerk van vrijwilligers en ambassadeurs en het vergroten van de naamsbekendheid.

Naast het bestuur is er sinds medio 2015 een medewerker in dienst bij Beat Batten. Er is een kantoor geopend in Nijmegen (Hogelandseweg 60) en samen met vrijwilligers wordt vanuit daar alles gecoördineerd. Aanvragen komen centraal binnen, er is meer structuur aangebracht in de processen en op deze manier is er wederom een stap gezet in de professionalisering.

Doel voor 2017 is om deze structuur nog verder te ontwikkelen.

Wetenschappelijk onderzoek

Sinds de oprichting heeft Stichting Beat Batten! financieel substantieel kunnen bijdragen aan de onderstaande onderzoeken:

- **Prof. David A. Pearce, University of Rochester, USA:**
 - *Immunosuppression by Mycophenolate Mofetil alters disease severity in Juvenile Batten disease mice.*

Vanwege de auto-immunitieve component in JNCL is onderzocht of een middel dat de immuniteit onderdrukt de ziekte kan vertragen. Na onderzoek blijkt dit bij muizen inderdaad het geval.

Inmiddels is er een opvolgende clinical trial gestart in Rochester door prof. Jonathan Mink (niet door Beat Batten! gefinancierd)

- *The possibility of read through therapy in nonsense mutations causing juvenile CLN3 disease: in cell cultures and in mice with genetically the same nonsense mutation*

Bestudeerd wordt of read-through gen-therapie bij stop- of nonsense mutaties die JNCL veroorzaken een positief effect heeft op het aanmaken van het CLN3 eiwit, op basis van ervaringen met andere ziekten veroorzaakt door dergelijke mutaties.

- **Dr. Mika O. Ruonala, Goethe University of Frankfurt am Main, Germany:**
 - *A therapeutic approach of juvenile CLN3 disease based on small molecule drug application.*

In dit project is bestudeerd of bestaande medicijnen (ontwikkeld voor andere doeleinden) positieve invloed kunnen hebben op het verloop van de ziekte. Dit leverde met een medicijn dusdanige positieve resultaten in muismodellen op, dat er nu een patiëntenzorgonderzoek loopt bij het UMC Utrecht in nauwe samenwerking met Bartiméus. Wij zijn zeer verheugd dat de financiële steun die Beat Batten! aan deze onderzoeken heeft gegeven aan bovenstaande resultaten heeft kunnen bijdragen!

- *Nano-particle mediated gene therapy for JNCL.*

In dit onderzoeksproject naar genterapie voor JNCL wordt getracht om nanopartikels die de bloed-hersenbarrière kunnen passeren te voorzien van een lading (het gezonde gen) om dat op de juiste plaats te brengen in de hersenen. Dit project is niet alleen van betekenis voor JNCL, maar kan ook voor andere neurodegeneratieve stofwisselingsziekten van belang zijn. Dit project is gestart in maart 2012, en heeft een looptijd van 3 jaar. Dit onderzoek wordt gefinancierd uit de opbrengst van een door het Zeldzame Ziekten Fonds georganiseerde klassieke autorally op 9 oktober 2011 ten bate van Stichting Beat Batten!.

Het rapport van het eerste onderzoeksjaar is recentelijk opgeleverd en laat hoopvolle resultaten zien. Echter, door onenigheid tussen de onderzoeker en de leiding is er tot op heden nog geen publicatie geweest van de resultaten, Beat Batten heeft wel toegang tot deze resultaten.

- **Recent onderzoek geïnitieerd door Stichting Beat Batten!**

In 2014 is er een start gemaakt met een nieuw traject via Khondrion, het bedrijf van professor Dr. Jan Smeitink. Smeitink is reeds jaren bezig met onderzoek naar energiestofwisselingsziekten. Hij heeft een werkzame stof ontwikkeld waarvan hij het vermoeden heeft dat dit ook werkzaam kan zijn voor NCL3. In 2014 is er bij 4 patiëntjes huid afgenomen om cellen op te kweken. Met deze gekweekte cellen zijn de eerste tests gedaan. Smeitink is positief over deze eerste test.

Stichting Beat Batten! heeft in 2015 Herman van der Putten uitgenodigd om mee te kijken naar deze resultaten en dat heeft geleid tot vervolg onderzoek. De eerste test kreeg een vervolg in het lab van Dr. Susan Cotman in Boston. Zij heeft gekeken naar de precieze werking van de compound van Jan Smeitink vanuit haar ervaring met cellen van Batten patiënten. Haar eerste bevindingen zijn eveneens positief.

Hieronder een korte samenvatting van de resultaten:

NCL3 patiënten hebben een verlaagde ATP productie (mede door een lagere ROS productie), die normaliter door mitochondriën worden geproduceerd. Dat werkt minder goed bij NCL3 patiënten. Er zijn aanwijzingen dat de compound van Smeitink ook bij NCL3 werkt. De dosering die gebruikt is bij de eerste testen roept, naast de positieve bevindingen, ook een aantal vragen op. Een voorbeeld hiervan is bijvoorbeeld het effect op lysosomen, de structuur ervan, waarvan de uitwerkingen niet geheel duidelijk zijn. Dit wordt getest op gezonde cellen, en het effect zou bij gezonde cellen niet zichtbaar moeten zijn.

De echte benefits en eind conclusies zijn nog niet bekend. Dit omdat we wel weten dat er een mitochondrieel probleem is bij NCL3 patiënten, maar er nog geen uitkomst is of deze effecten ook zorgen voor de uitval van functies bij patiënten.

Dr. Susan Cotman gaat nu de test met een lagere dosering starten. Als dat positief uitpakt zullen er nog veel vragen zijn aan Khondrion; hoe werkt de compound in het lichaam? Bereikt het de hersenen? Heeft het gevolgen voor het hart omdat dat bij NCL3 ook een probleem is?

De resultaten zijn tot dusver niet onverdeeld positief. Er is daarom langer door getest met diverse doseringen. Het eindresultaat hiervan was niet voldoende doorslaggevend om verder onderzoek te doen.

- **Samenwerking Wilhelmina Kinderziekenhuis Utrecht en Stichting Beat Batten!**

In 2016 is er een start gemaakt met een samenwerking tussen het WKZ en Beat Batten. De stichting is partner geworden van het bio marker onderzoek onder leiding van Dr. Peter van Hasselt en Willemijn Kupers. De (AIO) werkzaamheden van Willemijn worden gefinancierd door de stichting voor een periode van 3 jaar. In december 2016 werd de samenwerking ondertekend door voorzitter Ronald Jansen en Dr. Peter van Hasselt. Het bio marker onderzoek moet inzicht gaan geven op welke variabele Batten patiënten kunnen worden onderzocht om objectief vast te stellen hoe het ziekteverloop is. Bij hopelijk toekomstige medicatie is het essentieel om op een dergelijke bio marker eenduidig het effect te kunnen vaststellen, ongeacht leeftijd of het stadium van de ziekte.

Ten behoeve van de huidige activiteiten en toekomstige, waarschijnlijk meer omvangrijke projecten probeert de stichting ondertussen d.m.v. diverse activiteiten gelden te werven, zodat bij een uitgebreider onderzoek in Nederland, na de studie van Susan, er ook direct financiële middelen inzetbaar zijn. Deze middelen kwamen tot eind 2016 met name voort uit:

- Giften (al dan niet periodiek)
- Evenementen zoals sponsorlopen, bedrijfsuitjes met opbrengst voor stichting
- Benefietconcerten
- Legaten
- Gesponsorde media campagnes
- Verkoop van gesponsorde artikelen

Daarnaast heeft Beat Batten o.a. middelen ontvangen afkomstig uit:

- donaties en stortingen nav sport evenementen en sponsorlopen
- Benefiet concerten
- Periodieke en eenmalige giften

De inkomsten laten de afgelopen jaren een wisselend beeld zien. De voornaamste reden is enerzijds de relatief beperkte slagkracht van de organisatie, anderzijds door verbeteringen door te voeren in het te voeren marketing en communicatiebeleid. Hierover straks meer.

Koerswijziging 2018 en verder

Net als voorgaande jaren heeft Beat Batten als doel voor 2018, en daarna, het verder professionaliseren van de organisatie. Ook heeft men de wens om minder zelf te organiseren en initiatieven in den lande meer te gaan stimuleren en te faciliteren. In de afgelopen jaren is er hard gewerkt aan:

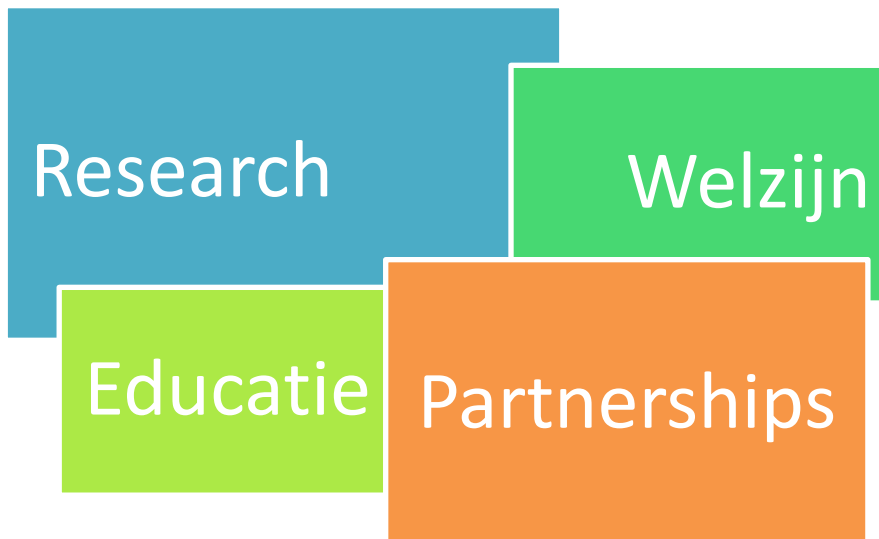
Organisatie ontwikkeling:

1. Landelijk netwerk van vrijwilligers/regio ambassadeurs voor lokale acties
2. Verder focus op enkele grotere sponsorevents
3. Eigen medische adviesraad
4. Verder professionalisering in organisatie
5. En nieuw in 2017: een meer conceptueel marketing en communicatieplan
6. Meer groei uit fondsenwerving

Aanleiding van de koerswijziging:

Er is zoals gezegd veel bereikt op bovenstaande punten maar het heeft niet geleid tot een substantiele en structurele groei in inkomsten. Uiteraard zijn daar veel oorzaken voor te benoemen. Maar duidelijk is dat vanaf het bestaan van de stichting de scope lag bij het onderzoek. Wat ons betreft blijft dat ook zo, maar het vermoeden bestaat door dat zo smal te houden het andere stakeholders minder goed weet te enthousiasmeren.

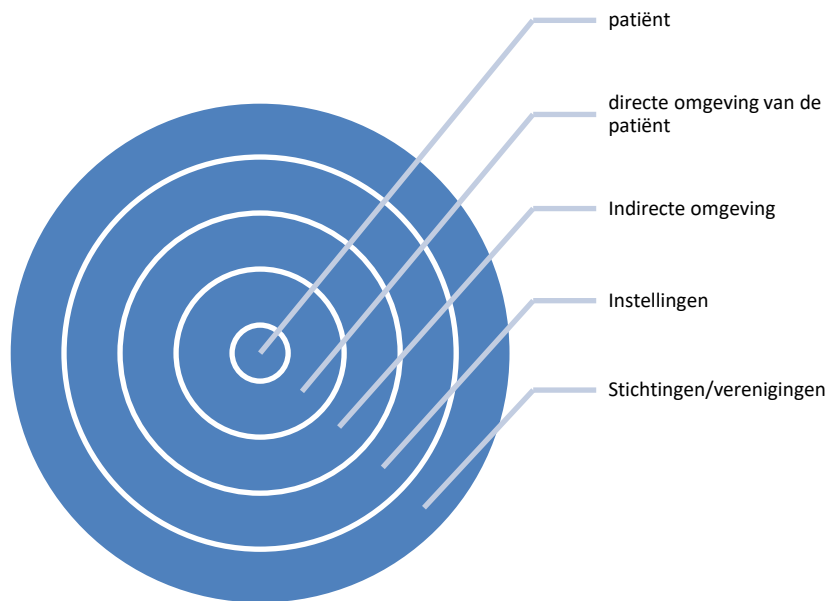
Schematisch ontstaan de volgende focusgebieden die we in 2018 en verder willen gaan ontwikkelen:



Primair doel van de stichting blijft het stimuleren en initiëren van onderzoek naar Batten. De nieuwe focusgebieden daarbij zijn welzijn, educatie en partnerships. De vlakken overlappen niet toevallig. We zien er op termijn een kruisbestuiving door ontstaan. De stichting krijgt daarmee meerdere functies zoals connector of intermediair maar plukt daar hopelijk ook de vruchten van. Immers, de

partnerships kunnen leiden tot nieuwe vormen van research. Educatie ondersteuning kan leiden tot acties voor nieuwe inkomstenstromen. Het welzijn van patiënten leidt mogelijk tot meer betrokkenheid van de omgeving rond de patiënt. En via partnerships met andere organisaties kunnen we bijdragen aan het welzijn van patiënten. Verderop beschrijven we de focusgebieden uitgebreider.

Eerst willen we inzoomen op de verschillende stakeholders. Oftewel, de groepen die we willen bereiken, betrekken en beraken. Dat geeft het volgende schematisch overzicht:



Patiënt

Ons primaire doel, onderzoek naar een oplossing voor patiëntjes die lijden aan Batten. We willen de patiëntjes bekender maken. Het geeft de ziekte letterlijk een beeld voor het grote publiek, die, omdat het om een zeldzame ziekte gaat, vaak geen idee heeft wat de ziekte betekent.

Directe omgeving

De directe omgeving van de patiënt komt vanaf de diagnose vaak in een rollercoaster van emoties terecht. Vaak omdat de diagnose gepaard gaat met de mededeling dat het een ongeneeslijke ziekte is. Het maakt veel los bij de ouders en de andere familie. We merken echter dat veel ouders, andere familie en vrienden/kennissen onvoldoende van het bestaan van Beat Batten weten. Daar willen we verandering in brengen om samen meer draagvlak te creëren.

Indirecte omgeving

Onder de indirecte omgeving verstaan we bijvoorbeeld de vriendjes en vriendinnetjes van een Batten patiëntje, hun ouders, mensen uit de straat, werk, school. Want elk Batten patiëntje zal over het algemeen binnen het reguliere onderwijs starten en zal ook nog wellicht actief sport hebben beoefend. Deze omgeving heeft moeten meemaken dat het kind langzaam achteruit ging.

Instellingen (stichtingen/verenigingen)

Er zijn verschillende instellingen betrokken bij het kind ten tijde van diagnose en daarna. Enkele voorbeelden zijn het reguliere onderwijs, daarna meer specifiek onderwijs via Koninklijke Visio of Bartimeus. Verder kunnen verschillende zorginstanties zoals ziekenhuizen betrokken zijn. Verder zijn er diverse stichtingen actief met betrekking tot stofwisselingsziekten zoals VKS, Metakids, Stofwisselkracht en realiseert Brand New Day activiteiten voor patiëntjes.

Wat willen we bereiken?

Het doel van dit vernieuwde beleid is een bredere betrokkenheid ontwikkelen via en met de verschillende doelgroepen. Het betekent ook dat we een meer gerichte communicatie zullen moeten ontwikkelen die inspeelt op de verschillende focusgebieden. Het onderdeel partnerships zal daar een belangrijke rol in spelen; we zijn een relatief kleine stichting en zullen dit met andere partijen moeten realiseren. De eerste gesprekken worden gevoerd en geven een positief beeld voor de samenwerkingen.

Wanneer willen we dit bereiken?

De eerste helft van 2018 willen gebruiken om een meer concrete invulling te geven aan deze 4 nieuwe focusgebieden en wat we daarbinnen willen gaan doen. Dezelfde periode wordt er gewerkt aan het communicatieplan en zal de organisatie van de stichting versterkt worden met office management en fondsenwerving.

Dit beleidsplan is dan ook een ongoing proces en zal uiterlijk medio 2018 een update krijgen.

Ronald Jansen

Voorzitter St. Beat Batten!

December 2017