Concept voorstel besteding donatiegelden lustrum editie Tour du ALS 2016

Stichting Tour du ALS genereert financiële bijdragen voor het benodigde wetenschappelijke onderzoek naar de oorzaak en bestrijding van de ziekte ALS alsook het creëren van een betere levenskwaliteit en zorg voor de huidige ALS patiënten en hun omgeving. Dit door het organiseren van een sportief evenement op de flanken van de Mont Ventoux in verschillende disciplines als fietsen, hardlopen en wandelen. Iedere deelnemer zet zich persoonlijk in en werft minimaal €1.500 aan donaties.

Editie 5e editie heeft in totaal €774.000 opgebracht.

In overeenstemming met Stichting ALS Nederland gaan de volgende projecten gesteund worden:

Projecten gericht op wetenschappelijk onderzoek naar oorzaak en oplossing van ALS

1. **Project TryMe**

   Project TryMe versnelt de zoektocht naar behandelingen voor ALS.

   ALS-patiënten hebben geen tijd te verliezen. Veel patiënten willen meedoen aan onderzoek naar nieuwe geneesmiddelen. Op dit moment kunnen maar 2% van de ALS-patiënten in Nederland deelnemen aan een trial, omdat het budget beperkt is. Met Project TryMe wil het ALS Centrum het voor 25% van de ALS-patiënten mogelijk maken om deel te nemen aan een trial. In project TryMe wordt verder gewerkt met de ALS-genen die zijn ontdekt in Project MinE. Een mutatie (afwijking) op een ALS-gen geeft een verhoogd risico op ALS.

   Voor verschillende ALS-genen wordt bekeken wat er door de afwijking in het gen misgaat. De onderzoekers herprogrammeren cellen uit het bloed van ALS-patiënten tot stamcellen en laten deze uitgroeien tot zenuwcellen. Daarna wordt bekeken wat er mis gaat in de zenuwcellen. Vervolgens wordt gezocht naar de experimentele behandelingen die hierop kunnen ingrijpen.

   Tegelijkertijd maken we (ALS Centrum) het onderzoek naar experimentele behandelingen efficiënter. We delen ALS-patiënten op in groepen op basis van hun ALS-gen. Zo kunnen we veel preciezer zien welke behandeling voor welke patiënten werkt. Ook houden patiënten hun klachten bij in een eHealth dagboek en dragen ze wearables, kleine apparaatjes die beweging, hartslag of ademhaling meten. Met deze eHealth dagboekjes en wearables kan

veel meer data worden verzameld over het ziekteverloop. Zo ontdekken de onderzoekers sneller welke behandelingen de ALS afremmen.

De eerste fase van project TryMe duurt 2 jaar en daarmee is een totaal bedrag gemoeid van € 450.810,-. De aanvraag is in de Raad van Toezicht vergadering van 8 november 2016 goedgekeurd.

Voorstel besteding TDA 2016 is: € 75.000,- (doordat ACS, Lenteloop en de regio Westland dit waarschijnlijk ook ondersteunen is het met dit bedrag volledig gefund)

2. ALS investment fund (internationaal)

Het ALS Investment Fund is een social impact fonds dat zich op bedrijven richt die therapieën tegen ALS ontwikkelen. Het idee van dit VC fonds is gestart door drie ALS patiënten en wordt ondersteund door Life Science Partners, een van de top-5 Europese VC fondsen in deze sector. Het doel is om in de komende 5 jaar rond 30 miljoen in 7-10 biotech-bedrijven te investeren. ALS is helaas een ingewikkelde en nog een ongeneeslijke ziekte, waarbij patiënten gemiddeld binnen 3-5 jaar overlijden. Ook al wordt deze ziekte als een zeldzame ziekte gedefinieerd, is de kans op ALS helaas bijna net zo groot dan voor MS.

Naast een noodzaak voor een oplossing is er ook een kans om waardevolle bedrijven te ontwikkelen. Door het succesvol werk van universiteiten en stichtingen is de output van research verviervoudigd de afgelopen 10 jaar. Het fonds biedt investeerders een spreiding over meerdere portfolio-bedrijven aan, met de verwachting dat een nieuwe generatie medicijnen er aan komt en de bedrijven daarachter zullen worden overgenomen door multinationals. De potentiële waarde van zulke bedrijven is groot, zoals bijvoorbeeld de recente exit van Prosensa BV aan Biomarin heeft aangetoond (€ 640 miljoen / medicijn tegen Duchenne Disease). Zoals dit voorbeeld aantoont bestaat voor zeldzame ziektes dus ook een interessant verdienmodel. Dit komt mede doordat de ontwikkeling van deze medicijnen steun krijgt van overheden, bijvoorbeeld via marktexclusiviteit voor een aantal jaar, snellere studies, prijsafspraken en subsidies. ALS heeft ook een extra "upside" doordat deze indicatie voor farmaceutische bedrijven in veel gevallen een startpunt is voor andere grote neuro-degeneratieve ziektes zoals Alzheimer en Parkinson's.

Ons fonds hanteert een deal-by-deal structuur dat via een aparte BV per investering investeert (zogenaamde Special Purpose Vehikels / SPV's). Investeerders kunnen kiezen om met één of meerdere opeenvolgende investeringen mee te doen. We maken dan individuele afspraken hierover, zoals over het aantal investeringen, maximale hoogte van investering per bedrijf en de investeringsperiode. We zoeken investeerders die minimaal € 100.000 per investering kunnen doen.

Hierbij een link naar onze website: http://www.alsinvestmentfund.com

In de Raad van Toezicht vergadering van 18 april 2016 is besloten om 5 miljoen voor 5 jaar toe te kennen aan het fonds. Hiervan is 1 miljoen onvoorwaardelijk voor de periode 1-7-2016 tot 30-6-2017.

Voorstel besteding TDA 2016 is: € 250.000,-

3. Project TOTALS – op weg naar een therapie voor ALS

Er zijn verschillende ALS-genen bekend. Een verandering (mutatie) in deze genen veroorzaakt de familiaire vorm van ALS. Een aantal van deze gen veranderingen zijn ook gevonden bij patiënten bij wie ALS niet in de familie voorkomt. Het is grotendeels onbekend wat de ALS-genen doen in de motorische zenuwcellen en waarom motorische zenuwcellen afsterven als er een mutatie in zo'n gen is. Onderzoekers van het ALS Centrum in het UMC Utrecht kweken stamcellen uit de huidcellen van ALS-patiënten. Deze stamcellen laten zij in het laboratorium uitgroeien tot motorische zenuwcellen. Dit stelt de onderzoekers in staat na te gaan wat er mis gaat in de motorische zenuwcel. En op die zenuwcellen proberen de onderzoekers vervolgens nieuwe behandelingen uit. De zenuwcellen die uit stamcellen zijn ontwikkeld bieden dus een model om mogelijke nieuwe therapieën te testen.

Looptijd	5 jaar (2015 - 2019)
Begroting	€ 2.499.963,-

Voorstel besteding TDA 2016 is: € 256.250,-

Totaal bedrag aan onderzoek naar de oorzaak en de oplossing € 581.250 (75% van de totale opbrengst van 2015)

Projecten gericht op de kwaliteit van zorg en leven van een ALS patiënt en zijn of haar omgeving

4. Project Kennisplatform fase 3 (fase 2 is in 2015 afgerond)

Het doel van dit project is om de kwaliteit van zorg voor alle mensen met ALS, PSMA en PLS te verbeteren door optimaal kennis te delen met alle mensen betrokken bij ALS, zoals zorgverleners, patiënten, familieleden en WMO-ambtenaren. Het ALS Centrum werkt daarbij optimaal samen met Stichting ALS Nederland, ALS Patients Connected en Spierziekten Nederland. Kennis delen is een voorwaarde voor het verbeteren van de kwaliteit van zorg en kwaliteit van leven. Alle betrokkenen, zoals zorgverleners, ambtenaren en verzekeraars, moeten immers de juiste informatie over ALS vinden. En mensen met ALS, hun naasten (en hun behandelaars) hebben betrouwbare informatie nodig over ALS, zorg en hulpmiddelen, om hun eigen keuzes en afwegingen te kunnen maken.

Het ALS Centrum Nederland werkt al geruime tijd met steun van Stichting ALS Nederland (ALS Kennisplatform fase 2 welke vorig jaar is afgerond) aan betere informatievoorziening en het delen van kennis over ALS. Het ALS Centrum heeft haar website verbeterd en uitgebreid. Met meer dan 15.000 web bezoeken per maand is deze website een belangrijke bron van informatie geworden voor mensen met ALS, PSMA, PLS en hun naasten, zorgverleners, verzekeraars, ambtenaren en alle andere betrokkenen. Voor de consultatiefunctie

beantwoordt het ALS Centrum per email, via de website en per telefoon veel vragen van mensen met ALS, hun naasten, hun zorgverleners of van anderen. In totaal beantwoordt het multidisciplinaire team van het ALS Centrum meer dan 250 e-mails per maand en meerdere telefoontjes per dag. Dit zijn allerhande vragen over ALS, zorg of behandeling.
De informatievoorziening via www.als-centrum.nl, de digitale nieuwsbrief en de consultatiefunctie die zijn opgezet in het ALS Kennisplatform fase 2 worden gecontinueerd in fase 3. Daarnaast ontwikkelt het ALS Centrum binnen het huidige project meer nascholing over ALS in de vorm van trainingen en e-cursussen en organiseren we een jaarlijkse ALS congres en diverse symposia voor alle zorgverleners.

Tenslotte wordt het ALS Zorgnetwerk, het netwerk van ALS behandelteams bij revalidatieafdelingen en voor thuiszorgteams, uitgebouwd en aan lidmaatschap van dit netwerk kwaliteitseisen gesteld. Een voorwaarde voor deelname aan dit zorgnetwerk is intensief overleg tussen het ALS behandelteam en het thuiszorgteam van de patiënt. Binnen het ALS Zorgnetwerk wisselen de ALS behandelteams best practices uit op het beveiligde online forum voor professionals en tijdens congressen en symposia.

Het ALS Zorgnetwerk bestaat uit meer dan 40 ALS behandelteams en een groeiend aantal in ALS geschoolde thuiszorgteams. Deze ALS behandelteams maken deel uit van een revalidatieafdeling van een UMC (Universitair Medisch Centrum) of een revalidatiecentrum. Binnen het ALS Zorgnetwerk werkt het ALS Centrum in toenemende mate met deze ALS behandelteams en thuiszorgteams samen en wordt kennis gedeeld. Het is onze overtuiging dat intensieve samenwerking tussen zorgverleners de enige manier is om de kwaliteit van zorg te verhogen voor alle mensen met ALS, PSMA en PLS.

Hoofddoelen
Het delen van kennis over ALS, PSMA en PLS met patiënten en naasten, mantelzorgers, indicatiestellers, leveranciers en alle zorgverleners betrokken bij zorg, waaronder de ALS behandelteams, thuiszorgteams en huisarts.

– Website, nieuwsbrief & social media: Via www.als-centrum.nl, de digitale nieuwsbrief en social media berichten over de resultaten van wetenschappelijk onderzoek, hulpmiddelen, zorg, behandeling en kwaliteit van leven.

– Consultatiefunctie: Bereikbaar zijn voor alle patiënten, familieleden, zorgverleners en anderen om vragen te beantwoorden

– Nascholing: Door middel van scholingen, e-cursussen, congressen en symposia voor alle zorgverleners van ALS-, PSMA- en PLS-patiënten, zoals thuiszorgmedewerkers en behandelaars worden zorgverleners op de hoogte gehouden van de laatste ontwikkelingen.

– ALS Zorgnetwerk: Door dit netwerk van alle zorgverleners betrokken bij de zorg voor mensen met ALS, PSMA en PLS te versterken kunnen zorgverleners kennis, ervaring en best practices uitwisselen.

In de Raad van Toezicht vergadering van 15 februari 2016 is dit voorstel goedgekeurd voor een totaal bedrag van € 496.491,- over een periode van 3 jaar.

Voorstel besteding TDA 2016 is : € 100.000,-

5. **Innovatie van ALS-zorg met e-health: keuze app, teleconsult, zelfmetingen en online behandelingen**

Het doel van dit project is, om samen met patiënten en mantelzorgers in Nederland, een nieuw zorgconcept te ontwikkelen dat gebruik maakt van de nieuwste zorgtechnologie. Dit project zal worden uitgevoerd vanuit het ALS centrum dat goede ALS zorg voor heel Nederland ambieert.
Centraal in dit nieuwe zorgconcept staat het monitoren van symptomen met e-health omdat dit belangrijk is voor het bieden van de juiste informatie en zorg op de juiste tijd. Met dit nieuwe zorgconcept willen we de invloed van de patiënt en mantelzorger op het zorgproces verhogen. Deze aanvraag ontwikkelt zowel een ALS app/ webplatform en zet de eerste stappen in het innoveren van de ALS zorg in Nederland.

Huidige zorg
Er is geen effectieve behandeling voor ALS beschikbaar. Terwijl we hard verder zoeken naar een behandeling, is het geven van de beste zorg en begeleiding het belangrijkste wat we nu voor patiënten kunnen doen. Multidisciplinaire behandeling via een ALS-behandelteam bevordert de kwaliteit van leven aantoonbaar (Berg et al 2005). Om de kwaliteit van leven van patiënten en mantelzorgers zo goed mogelijk te laten zijn is monitoring van het ziekteverloop cruciaal. Door deze monitoring kan de ergotherapeut tijdig voorzien welke hulpmiddelen nodig zullen zijn. En door de longfunctie en gewicht goed in de gaten te houden kan de revalidatiearts tijdig met de patiënt en mantelzorger bespreken of de patiënt beademing en een voedingssonde wil. Beademing en een voedingssonde kunnen de levensduur van de patiënt verlengen. Om het ziekteproces te monitoren wordt de patiënt nu standaard om de drie maanden gezien door een revalidatiearts . Dit vraagt veel inspanning van de patiënt en mantelzorger. Zij moeten naar de revalidatie instelling komen en zich veelal schikken naar de tijdsplanning van de instelling, waardoor ze vaak terug moeten komen. Patiënten geven aan dit een te grote belasting te vinden en zien er vanaf. Omdat het beloop progressief is en per patiënt verschilt, zorgt deze werkwijze er voor dat informatie, advies en behandeling te vroeg óf te laat wordt gegeven. M.b.v. een ALS app/ webplatform zal de ALS zorg in Nederland zal dit verbetert kunnen worden.

Inzet van e-health
E-health biedt kansen om de monitoring van het ziekteproces bij ALS te verbeteren, tijd en plaats hiervan meer door de patiënt te laten bepalen en de zorg te geven op het moment dat het nodig is. Met behulp van e-health kan de patiënt zelf symptomen rapporteren bijvoorbeeld door regelmatig informatie over het gewicht en een vragenlijst over het ziekteverloop digitaal in te vullen. Ook kunnen handige wearables die stappen tellen en slimme sensors die slaapgedrag kunnen meten etc. gebruikt worden om symptomen te signaleren (zie figuur in de appendix).

Toekomstig ALS zorgconcept
De ALS app / webplatform geeft de revalidatiearts cruciale informatie om het ziekteproces te monitoren en biedt mogelijkheden om de zorg anders vorm te geven zodanig de juiste behandeling op het juiste moment in te zetten. De focus ligt daarbij op het verbeteren van de monitoring van het ziektebeloop door de patiënt/mantelzorger zelf, zij kunnen deze monitoring thuis doen op een tijd die hun uitkomt. Met behulp van de ALS app/ webplatform is monitoring intensiever maar ook gemakkelijker en kan informatie en zorg op maat worden geleverd. Er wordt actie ondernomen wanneer dat echt nodig is. Met andere woorden voor de patiënt en mantelzorger betekent dit dat zij informatie gedoseerd op het juiste moment krijgen en afhankelijk van hun symptomen het ALS behandelteam kunnen bezoeken op het moment dat dit ook echt nodig is. Voor de zorg betekent dit dat

behandelaars (o.a. ergotherapeuten, fysiotherapeuten, logopedisten, psychologen en maatschappelijk werkers) effectiever wordt ingezet.

Het op deze manier integreren van e-health in de zorg vraagt veranderingen van de organisatie van de zorg en ander gedrag van behandelaars. In dit project wordt daarom expliciet aandacht besteed aan hoe het gebruik van e-health in de ALS behandelteams kan worden geïntegreerd. Het nieuwe ALS zorgconcept zal worden getest in 3 ALS behandelteams en waar nodig worden aangepast voordat dit nieuwe zorgconcept wordt uitgerold in het ALS zorgnetwerk in Nederland. Met patiënten/ mantelzorgers en ALS behandelteams zal het nieuwe zorgconcept worden geëvalueerd.

Het project is in de Raad van Toezicht vergadering van 1 november 2016 goedgekeurd. Het totale project heeft een duur van 2 jaar het totale budget is € 198.785,-

Voorstel besteding TDA 2016 is: € 50.000,-

6. **Stichting ALS op de weg**

Alsopdeweg is een organisatie die zich inzet voor de mensen die recentelijk het meest dramatische nieuws gehoord hebben dat ze de ziekte ALS hebben. Op dat moment stort je wereld in en aan de andere kant moet je jezelf weer heel snel bij elkaar rapen want zoveel tijd heb je niet meer.
De steun die dan zo noodzakelijk is kost tijd. Er zijn wachttijden voor elementaire hulpmiddelen die de kwaliteit van het leven van een ALS patiënt*substantieel kunnen verhogen en sommige hulpmiddelen worden niet vergoed door de zorgverzekering of gemeente.
Dit zorgt voor vertraging en dat is tijd die een ALS patiënt helaas niet heeft. Met onze stichting zetten we ons in om die wachttijd te overbruggen of die middelen te financieren die niet vergoed worden. We zijn een no-nonsense en slagvaardige stichting die zich wil onderscheiden in het snel en zonder teveel rompslomp helpen van ALS patiënten. Omdat elke minuut die je met je dierbaren kan meemaken telt en je daar het maximale uit moet kunnen halen. De positieve feedback en dankbaarheid van de ALS patiënten en hun omgeving die wij hebben kunnen helpen bevestigen dat we op de juiste manier bezig zijn

Voorstel besteding TDA 2016 is: € 20.000,-

6. **Wereld ALS dag**

Voorstel besteding TDA 2016 is: € 8.750,-

Totaal bedrag aan zorg en kwaliteit van het leven € 178.750 (23% van de totale opbrengst van 2015)

Totaal ondersteunde projecten: **€ 759.000**
In totaal verworven donaties: **€ 774.000**

In 2017 wordt nader bekeken waar de overige €15.000 aan donatiegelden voor ondersteuning gebruikt gaat worden.

Namens stichting Tour du ALS

Dhr. Gert-Jan Pijl

9-2-2017

Namens de stichting ALS Nederland

Dhr. Gorrit-Jan Blonk

9-2-2017

Mw. Irmgard Pijl

9-2-2017