

PARENT PROJECT

Nezisková organizace rodičů dětí se svalovou
dystrofií Duchenne/Becker (DMD/BMD)

Výroční zpráva 2017

PARENT PROJECT, z. s.

Rudé armády 59, 431 44 Droužkovice

Vážení přátelé, kamarádi, rodiče, sponzoři a partneři.

Právě jste otevřeli výroční zprávu spolku PARENT PROJECT (dále jen PP) za rok 2017. Podruhé k Vám promlouvám v úvodním slovu. Již víc než rok dává PP směr nový výkonný výbor, staví dům na základech, které se stavěly 16 let. Staví dům s jasnou vizí k dosažení cíle Výzkum – Léčba – Naděje.

Poslední rok byl ve znamení změn, máme prvního zaměstnance, tvoří se nám tým odborníků, který je rodinám k dispozici, zajišťuje podporu v oblasti psychoterapie, fyzioterapie, ergoterapie, poradenství v domácí péči. Tým je úzce napojen na centrum ve FNM. Pomalými kroky se posouváme k naší profesionalizaci, což je nezbytné, pokud chceme být funkční patientskou organizací, která skutečně mění situaci dětí a dospělých se svalovou dystrofií. Snažíme se získávat nové partnery. Máme svou zástupkyni v Pacientské radě MZ ČR, což přináší velmi mnoho práce, ale můžeme ovlivnit mnoho věcí. Započali jsme konkrétní kroky ke vzniku Center vysoce specializované péče.

Financování výzkumu není v našich silách, ale to nic nemění na naší snaze dostat do ČR maximální počet klinických studií. Aktivně spolupracujeme se zahraničním odbornými pracovišti i patientskými organizacemi. Karolína Češková nás skvěle reprezentovala na konferenci PPMD, kde byla hostem Pat Furlong, ale i během stáže v nervosvalovém centru Yale New Heaven Hospital, kde navázala cenné kontakty.

Důležitou aktivitou tohoto roku byla příprava na 4. mezinárodní odbornou konferenci: péče o pacienty s DMD/BMD, která se bude konat v roce 2018. Konference bude na naše podmínky unikátní, neboť bude převládat počet zahraničních přednášejících a promluví zástupci čtyř farmaceutických firem. Je jasné, že naše intenzivní práce na zahraničním poli přináší své výsledky.

Pořádáme pobytové akce pro rodiny, a v této oblasti se také posouváme, snažíme se rodinám nabídnout benefity ve formě programu pro děti i dospělé, zajištění asistenčních služeb, jelikož odpočinek je pro všechny nedostatkovým „zbožím“.

Naše aktivity bychom nemohli rozšiřovat, kdyby nebylo nadšenců, kteří se přidali k našemu boji a vzali boj s DMD/BMD za svůj. PP si vybudoval poměrně stabilní pozici, je organizací uznávanou mezi odbornou veřejností, už nejsme neznámou veličinou, ale musíme se snažit ještě víc, abychom byli více vidět i mezi veřejností, abychom získali stabilní partnery. Učíme se za pochodu, děláme chyby, ale pro PP pracujeme s nadšením a láskou.

Naše děti, dospívající i dospělí žijící se svalovou dystrofií si naši práci zaslouží, jsou to bojovníci, kteří nám dávají sílu, jsou našimi učiteli v trpělivosti, odhodlání a umění radovat se ze života. Nikdy se nevzdáme naděje.

Děkuji Vám všem, že nám pomáháte, fandíte nám, podporujete nás na cestě s jediným cílem **Výzkum – Léčba – Naděje**.

Jitka Reineltová, předsedkyně PARENT PROJECT, z. s.

Poslání organizace

PARENT PROJECT, z. s. je patientská organizace založená rodiči, jejichž děti se narodily se svalovou dystrofií Duchenne/Becker. Organizace byla založena v roce 1994 v USA, v ČR působí oficiálně od roku 2001.

Nejdůležitější body, kterými se v současné době zabýváme:

- zajištěním kvality života osob žijících s DMD/BMD,
- zlepšením lékařské a sociální péče, zajištění multidisciplinární péče,
- získáváme, zpracováváme a předáváme informace rodičům i odborné veřejnosti o výzkumu DMD/BMD a péči,
- jsme v kontaktu s výzkumnými centry v Evropě i v USA a snažíme se o realizaci klinických studií v ČR a zapojení pacientů do těchto studií,
- podporujeme výzkum svalových dystrofií DMD/BMD,
- šíříme povědomí o životě se svalovým onemocněním, pořádáme odborné lékařské konference a pobytové vzdělávací akce pro rodiny, svépomocná setkání,
- jsme členy UPPMD, ČAVO, NRZP, spolupracujeme s AIFP a Treat-NMD.

Získáváme finanční prostředky za účelem zajištění našich cílů:

VÝZKUM – LÉČBA – NADĚJE

Organizační struktura

Činnost spolku je založena na dobrovolné práci rodičů. Přestože má náš spolek statut patientské organizace, není provoz ze strany státu nijak podporována.

Nejvyšším orgánem spolku je členská schůze.

V čele spolku stojí pětičlenný výkonný výbor, za který jednají předsedkyně a místopředseda. PP je založen na dobrovolné práci, avšak nutná je postupná profesionalizace spolku. Prvním krokem bylo zřízení pozice koordinátora, který je zatím jediným zaměstnancem spolku. Dále máme externí spolupracovníky: psychoterapeutku, fyzioterapeutku, ergoterapeutku, poradkyni domácí péče a odborné poradkyně.

Profil organizace

Název spolku: **PARENT PROJECT, z.s.**
Právní forma: **zapsaný spolek**
Datum vzniku: **27. srpna 2001**
Datum zápisu: **1. ledna 2014**
Spisová značka: **L 10316 vedená u Krajského soudu v Ústí nad Labem**
IČO: **26540401**

Sídlo spolku: **Rudé armády 59, 431 44 Droužkovice**
Kontakt: **Předsedkyně +420 602 167 243**
Místopředseda +420 776 001 206

E-mail: **parentproject@parentproject.cz**
Webové stránky: **www.parentproject.cz**

Transparentní účet (Raiffeisenbank, a.s.) **č.ú.1338146001/5500**
Transparentní sbírkový účet (Fio Banka, a.s.) **č.ú.8012345678/2010**
Provozní účet spolku: **č.ú.0194971330/0300**

Vedení spolku (výkonný výbor) zvolen 9. členskou schůzí dne 12. listopadu 2016

Předsedkyně spolku:	Ing. Jitka Reineltová
Místopředsedy spolku:	Ing. René Břečťan
Výkonný výbor:	Ing. Bc. Patrik Kunčar Ing. Tomáš Gürtler MUDr. Hana Némethová Ing. Jitka Reineltová Ing. René Břečťan
Čestný předseda:	Jozef Suchý

Výsledky hospodaření za rok 2017

Účet	Počáteční stav	Má dát	Dal	Konečný stav	T	Název účtu
221100	261 850,56	2 158 961,77	1 160 899,63	1 259 912,70	A	Era účet pro neziskovky 194971330
221200	476 978,24	1 044 647,00	698 085,34	823 539,90	A	Raiffeinsen Bank 1338146001
221300	1 012 704,62	82,79	.	1 012 787,41	A	Raiffeinsen Bank TV 2010032801
221400	48 402,56	6 969,50	41 423,00	13 949,06	A	Fio banka 8012345678
221500	180,00	.	.	180,00	A	Fio banka 210078893
221	1 800 115,98	3 210 661,06	1 900 407,97	3 110 369,07	2	Bankovní účty
2*	1 800 115,98	3 210 661,06	1 900 407,97	3 110 369,07		Třída 2 – finanční účty
311	0,00	20 000,00	20 000,00	0,00	A	Odběratelé
314300	0,00	15 000,00	9 936,00	5 064,00	A	Poskytnuté provozní zálohy
314	0,00	15 000,00	9 936,00	5 064,00	A	Poskytnuté provozní zálohy
321	-396,00	819 105,86	821 008,86	-2 299,00	P	Dodavatelé
331	-1 1710,00	599 113,00	606790,00	-19 387,00	P	Ostatní závazky
336101	-4 410,00	66 956,00	70465,00	-7 919,00	P	Zúčtování instit. sociál. zabezp.
336102	-1 890,00	28 696,00	30200,00	-3 394,00	P	Zúčtování instit. zdr. poj.
336	-6 300,00	95 652,00	100665,00	-11 313,00	P	Zúčtování instit. sociál. zabezp. a zdr. poj.
342100	-750,00	16 440,00	15060,00	630,00	A	Zálohová daň

Účet	Počáteční stav	Má dát	Dal	Konečný stav	T	Název účtu
342200	0,00	43 740,00	43 740,00	0,00	A	Srážková daň
342	-750,00	60 180,00	58 800,00	630,00	P	Ostatní přímé daně
3*	-19 156,00	1 609 050,86	1 617 199,86	-27 305,00		Třída 3 – zúčtovací vztahy
931	2 559 19,93	255 919,93	.	0,00	P	Hospodářský výsledek ve schval. řízení
932	-1 525 040,05	.	255 919,93	-1 780 959,98	P	Nerozd. zisk, neuhrad. ztráta min. let
9*						Třída 9 – vl. jmění, fondy, hosp. výsl., rez., dl. úv.....
**	0,00	5 075 631,85	3 773 527,76	1 302 104,09		Rozvahové účty celkem

Náklady

501100	0.00	23 500,00	-	-23 500,00	N	Režijní materiál
501200	0.00	37 846,00	-	- 37 846,00	N	Zdravotní pomůcky
501201	0,00	25 022,00	-	- 25 022,00	N	Didaktické pomůcky
501300	0.00	61 124,94	-	-61 124,94	N	Drobný hmotný majetek
201400	0.00	26 073,99	-	-26 073,99	N	Dárkové předměty pro děti PP
501500	0.00	89 128,40	-	-89 128,40	N	Propagační předměty PP
500	0.00	262 695,00	-	-262 695,00	N	Spotřeba materiálu
512100	0.00	106 579,00	-	-106 579,00	N	Cestovné
512200	0.00	64 569,00	-	-64 569,00	N	Cestovné zahraniční
512	0.00	171 148,00	-	-171 148,00	N	Cestovné
513100	0.00	23 574,10	-	- 23 574,10	N	Pohoštění na akci PP
513300	0.00	10 000,00	-	- 10 000,00	N	Dary pro sponzory
513	0.00	33 574,10	-	-33 574,10	N	Náklady na reprezentaci
518100	0.00	831,00	-	- 831,00	N	Poštovné
518101	0.00	4 652,36	-	- 4 652,36	N	Tel. poplatky + popl. internet
518103	0.00	36 2887,56	-	-36 2887,56	N	Služby (propagace, poradna, tisk. mat)

Náklady

518104	0.00	48 318,00	-	- 48 318,00	N	Sužby (překlady)
518107	0.00	6 689,86	-	- 6 689,86	N	Poplatky (semináře, kurzy)
518109	0.00	218 527,00	-	-218 527,00	N	Pobytové akce PP
518112	0,00	5 383,00	-	- 5 383,00	N	Pojištění spolku
518	0,00	647 288,78	-	-647 288,78	N	Ostatní služby
521001	0,00	242 090,00	-	-242 090,00	N	Hrubé mzdy
522002	0,00	364 700,00	-	-364 700,00	N	Hrubé mzdy DPP
521	0,00	606 790,00	-	-606 790,00	N	Mzdové náklady
524101	0,00	20 130,00	-	-20 130,00	N	Zákonné zdravotní pojištění
524102	0,00	55 925,00	-	-55 925,00	N	Zákonné sociální pojištění

Kniha analytické evidence - součty

Období 01.01.2017 až 31.12.2017

Účet	Počáteční stav	Má dáti	Dal	Konečný stav	T	Název účtu
524	0,00	76 055,00	.	-76 055,00	N	Zákonné sociální pojištění
527100	0,00	968,00	.	-968,00	N	Zákonné pojištění zaměstnanci
527	0,00	968,00	.	-968,00	N	Zákonné sociální náklady
546100	0,00	107 247,00	.	107 247,00	N	Dary vydané
546	0,00	107 247,00	.	-107 247,00	N	Dary
549100	0,00	2 790,76	.	-2 790,76	N	Bankovní poplatky
546	0,00	2 790,76	.	-2 790,76	N	Jiné ostatní náklady
5 *	0,00	1 908 556,97	.	-1 908 556,97		Třída 5 – náklady

602100	0,00	.	20 000,00	20 000,00	V	Tržby z reklamy
602	0,00	.	20 000,00	20 000,00	V	Tržby z prodeje služeb
604100	0,00	.	10 035,00	10 035,00	V	Tržby z prodeje předmětů PP
604	0,00	.	10 035,00	10 035,00	V	Tržby za prodané zboží
644100	0,00	.	130,56	130,56	V	Úroky - § 18/a/2
644	0,00	.	130,56	130,56	V	Úroky
649200	0,00	.	162 000,00	162 000,00	V	Dotace na mzdy úřad práce
649	0,00	.	162 000,00	162 000,00	V	Jiné ostatní výnosy

6821006	0,00	.	2 481 784,50	2 481 784,50	V	Přijaté dary (není před. daně)
682101	0,00	.	446 526,00	446 526,00	V	Přijaté dary (není před. daně DO)
682102	0,00	.	59 650,00	59 650,00	V	Přijaté dary (není před. daně GO)
682200	0,00	.	2 035,00	2 035,00	V	Přijaté dary FIO DMS (není před. daně)
682	0,00	.	2 989 995,50	2 989 995,50	V	Přijaté příspěvky
684100	0,00	.	28 500,00	28 500,00	V	Členské příspěvky (osvobozené od daně)
546	0,00	.	28 500,00	28 500,00	V	Přijaté členské příspěvky
6 *	0,00	.	3 210 661,06	3 210 661,06		Třída 6 – výnosy
**	0,00		1 908 556,97	3 210 661,06	1 302 104,09	Výsledkové účty celkem

Ohlédnutí za rokem 2017



Péče o pacienty:

Nejvíce pacientů je soustředěno do FN v Motole a FN v Brně, kde je zajištěna nejlepší péče, včetně dostupných klinických studií. O dospělé pacienty se skvěle starají ve VFN v Praze.

Pacienti mají k dispozici „*kašlacího asistenta*“, sice dosud není stanovena jednotná úhrada, ale zdravotní pojišťovny uznaly jeho efekt pro pacienty. Na tzv. § 16 mají pacienti k dispozici Translarnu a Calcort.

Pracujeme na vyřešení problematiky sociálně-zdravotního pomezí, které je pro naše rodiny zásadní.

Náš tým odborníků již vyřešil řadu problémů přímo v místě bydliště pacientů, ale i ve škole či mateřské škole.

Čeká nás ještě velmi mnoho práce, ale situace se stále zlepšuje.

REaDy – registr svalových dystrofií:

Registr českých a slovenských pacientů s DMD/BMD vznikl ve spolupráci Institutu biostatistiky a analýz Masarykovy univerzity v Brně, spolku PARENT PROJECT a Fakultní nemocnice v Brně. Na tento registr navázal REaDy Registry of Muscular Dystrophy, který si klade za cíl evidovat co největší počet pacientů s geneticky vrozenými vadami (DMD/BMD, SMA, DM a FSHD) a díky kompletním genetickým vyšetřením pomoci ve vývoji léčby a péči o nemocné.

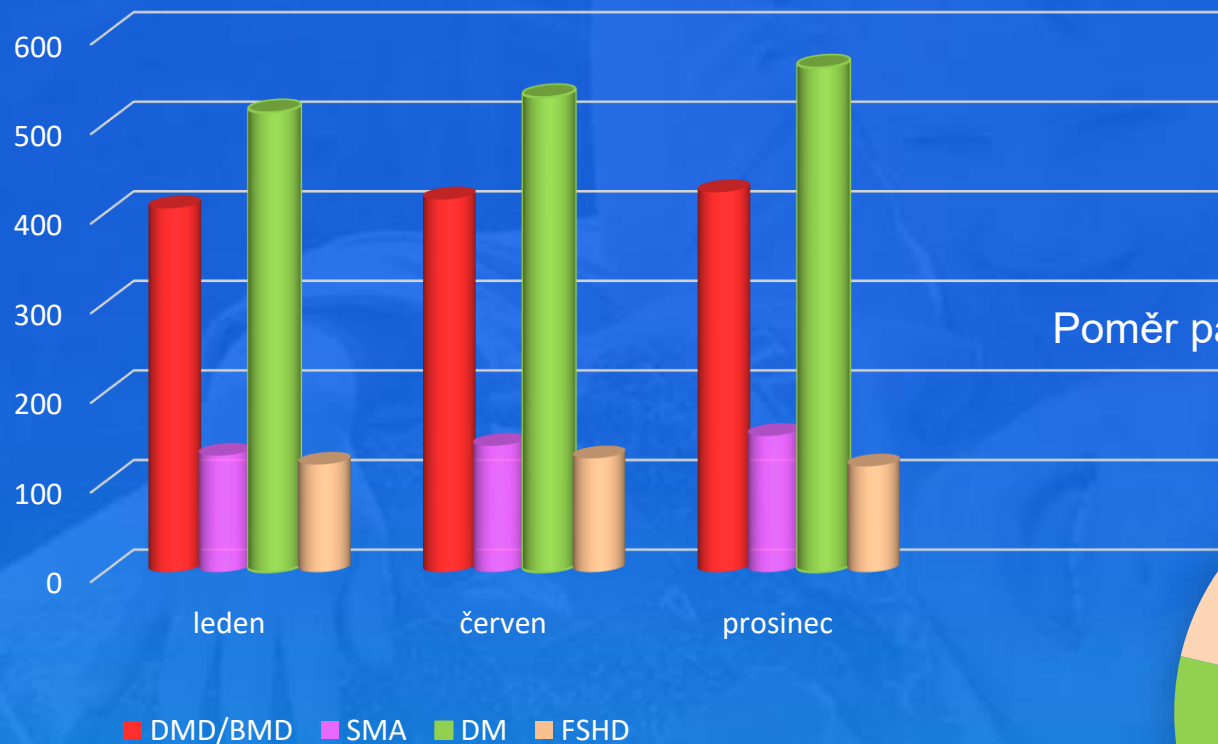
V roce 2017 jsme obdrželi grant na podporu registru svalových dystrofií, který byl využit na vzdělávání lékařů a zlepšení validity dat. O podporu registru REaDY jsme požádali v rámci grantového řízení MZ i v roce 2018.

Cílem registru je:

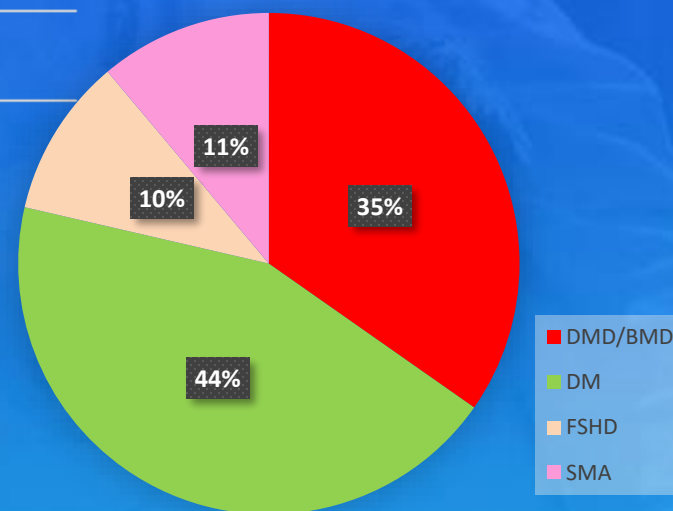
- vedení databáze českých a slovenských pacientů s DMD/BMD, SMA, DM a FSHD,
- zařazení pacientů do mezinárodních studií,
- urychlení výběru pacientů v případě vývoje nového léčiva,
- podpora výzkumu svalových dystrofií,
- informační servis o výsledcích nejnovějších výsledcích léčby.

REaDy – registr svalových dystrofií:

Počet pacientů v průběhu roku 2017



Poměr pacientů vzhledem k diagnóze



Centra vysoce specializované péče pro nervosvalová onemocnění a standardy péče o pacienty s DMD/BMD

V roce 2016 se podařilo zapojit spolupracující pracoviště do **Evropské referenční sítě (ERN)**. V roce 2017 jsme bojovali za nastavení systému fungování centra. Získávali jsme potřebné informace, které nám pomohou při jednání o podporu nervosvalových center. Termín vyhlášení center by měl být konec roku 2018.

Přední světoví odborníci na DMD/BMD společnými silami vytvořili standardy péče o pacienty s DMD/BMD. Standardy jsou k dispozici. Nyní se zajišťuje jejich překlad a následné schválení PPMD.

Podílíme se na financování zahraničních stáží lékařů a dalších odborníků, které jim umožní získat mnoho užitečných a cenných poznatků a zkušeností.

Motivujeme rodiče, aby se orientovali v péči o své děti a o možnostech péče aktivně hovořili s lékaři.

Zahraniční spolupráce:

Prostřednictvím spolupracujících lékařů z České republiky jsme v neustálém kontaktu s odborníky ze zahraničních výzkumných center.

Naši zástupci z řad členů organizace, ale i lékařů se společně účastní odborných seminářů zaměřených na výzkum DMD, péči o pacienty a další problematiky pacientů.

Úzce spolupracujeme s UPPMD (United Parent Projects Muscular Dystrophy) a TREAT-NMD (Neuromuscular Network), jejichž jsme členy.

Pravidelně komunikujeme s italskou organizací ONLUS PARENT PROJECT a podílíme se na mezinárodních průzkumech, ke kterým mají přístup pouze patientské organizace.



Naše zástupkyně MUDr. Karolína Češková a Ing. Jitka Reineltová se ve dnech 17.02. až 19.02.2017 zúčastnily mezinárodní konference **Parent Project ONLUS** v Římě. Během těchto dnů proběhlo také **setkání UPPMD**.

Nejdůležitější na všech konferencích a setkání UPPMD je seznámení se s konkrétními zástupci firem a organizací a navázání nových kontaktů. Jako malá země a organizace musíme být vidět a slyšet a k tomu jsou tyto konference ideální. Čím více kontaktů, tím více studií pro ČR, projektů, mezinárodní spolupráce a inspirace pro naše aktivity.

Toto setkání přineslo již uvedené pozvání na PPMD Konferenci do Chicaga, včetně uhrazení všech nákladů. Zástupce Rady UPPMD Parent Project CZ tolik zaujala svou prezentací a dlouhodobou prací, že se rozhodli nám poskytnout možnost přednášet na americké konferenci o situaci v ČR a o našich aktivitách.

**Parent Project
Muscular
Dystrophy**

JOIN THE FIGHT.
END DUCHENNE.



Pobyt MUDr. Karolíny Češkové v Yale New Haven Hospital

Karolína strávila měsíc v americké nemocnici New Haven. Tato nemocnice patří mezi 17 nervosvalových center v USA, které mají statut „centra péče o pacienty se svalovou dystrofií Duchenne“. Cílem tohoto pobytu bylo získat informace a zkušenosti v péči o pacienty s DMD v plně funkčním nervosvalovém centru. Bojujeme za vznik nervosvalového centra se statutem PPMD, abychom mohli do ČR dostat klinické studie.

Setkání patientských organizací v Athénách 8.-10.12.2017

Společné setkání zástupců evropských patientských organizací uspořádala organizace UPPMD. Zúčastnila se ho naše zástupkyně MUDr. Karolína Češková. Náplní víkendového setkání bylo zdokonalit schopnosti zástupců z jednotlivých zemí bojovat za zájmy své patientské organizace a pacientů s DMD.



Spolupráce v ČR:

Již několik let se naši zástupci vzdělávají v rámci projektu Akademie patientských organizací (APO), pořádaného AIFP (Asociací inovativního farmaceutického průmyslu).

Vzhledem k dobré spolupráci jsme měli možnost vystoupit v AIFP na tiskové konferenci v rámci Dne vzácných onemocnění. Se svým příběhem vystoupil Martin Krček, který následně dělal rozhovor pro internetový deník Novinky.cz. Článek vyšel 27.02.2017

Díky spoluprací s APO jsme se mohli zúčastnit **setkání patientských organizací v se zástupci Evropského parlamentu** v Bruselu ve dnech 06. a 07.06.2017. Získali jsme cenné informace, nasbírali nové podněty a inspiraci.

V roce 2017 pokračovala spolupráce mezi naší organizací a SÚKL (Státní ústav pro kontrolu léčiv). V roce 2015 bylo mezi námi uzavřeno memorandum o spolupráci.

Spolupracujeme s ministerstvem zdravotnictví, kdy se účastníme jednání patientské rady a následných setkávání v rámci projektu „*Fórum*“. Členkou patientské rady MZ je naše předsedkyně Ing. Jitka Reineltová.

Účastníme se také patientských rad na MZ a VZP.

Jako členská organizace „České asociace pro vzácná onemocnění“ jsme se dne 15.10.2017 zúčastnili konference a vzájemného setkání členů.



Informace z výzkumu

Eteplirsen (Exondys 51) – lék vhodný pro pacienty, kteří mají potvrzenou mutaci přístupnou exon skippingu 51.

V Evropě začátkem roku 2017 CHMP schválilo žádost o registraci, konečné rozhodnutí se předpokládalo na konec roku 2017, nakonec však bude toto rozhodnutí do 1.poloviny 2018.

Exon skipping 53 a 45 od společnosti Sarepta - studie Essence fáze III – V Evropě se plánuje dokončení zápisu do konce roku 2017.

Golodirsen – Sarepta - Pro pacienty s DMD vhodné na exon skipping 53. = Studie 4053-101 další studií – fáze ½, sloučeniny SRP- 4053 pro exon skipping 53, první výsledky překonaly očekávání - 11ti násobná exprese dystrofinu oproti trojnásobné indukci u léčiva Exondys 51.



Exon skipping 53 – NS Pharma - klinická fáze 2, USA 2.fáze, Japonsko 1/2 fáze (nábor 12/2016 a 7/2016), klinická studie S-065/NCNP-01-201, chodící pacienti 4.-10.rok stabilně na GC. Posouzení bezpečnosti, snášenlivosti, farmakokinetiky a farmakodynamiky.

Září 2016 Japonsko – první objevený antisens oligonukleotid v Japonsku, kterému bylo od FDA uděleno zrychlené schvalování), označení Orphan Drug (sirotčí lék), lék pro vzácná dětská onemocnění.

Ezutromid od společnosti Summit - utrofin – ve svalu plodu a přirozeně při reparaci u poškozeného svalu v menším množství, tzn. i u pacientů s DMD. Cílem upregulace utrofinu je navýšit jeho množství tak, aby byl sval funkční.

Předběžně zpráva ze studie v prvním čtvrtletí 2018 – výsledky biopsií po 24 týdnech cca 20 pacientů. MR a funkční testy – 3.čtvrtletí 2018 (celkem 48 týdnů).

Říjen 2016 Sarepta oznámila výhradní smlouvu o spolupráci se Summit na výzkumu a sdílení licencí nutných pro legalizaci modulátoru utrofinu pro léčbu DMD v Evropě.

VBP15 – Vamorolone, ReveraGen BioPharma - jedná se o steroid, který vykazuje méně nežádoucích účinků (na rozdíl od prednisonu či deflazacortu) a to při zachování své efektivní složky. Nyní 2a fáze klinické studie u chlapců bez GC, 4-7let, rozdělení na skupiny dle dávek Vamorolonu. Fáze 2b v plánu i v ČR – nejdříve počátkem roku 2018, nyní se čeká na výsledky 2a fáze, ze které bude stanovena dávka léku.

Emflaza, Marathon Pharmaceuticals - Protizánětlivý, imunosupresivní prostředek, zpomaluje ztrátu svalové síly a funkce, zachovává srdeční a respirační funkce, snižuje výskyt skoliózy. Mírnější nežádoucí vedlejší účinky na rozdíl od klasických kortikosteroidů. Hlavní n.ú.- rozvoj asymptomatického šedého zákalu.

Březen 2017 - PTC Therapeutics oznamuje dohodu o koupi léčiva Emflaza TM pro léčbu DMD v USA, duben – dokončuje akvizici Emflazy.

Květen 2017 – PTC zajišťuje přístup (EmflazaCares) = případoví manažeři pro získání Emflazy bez obtíží.

Zjištěno, že deflazacort oddaluje ztrátu schopnosti chůze o 3,8 let oproti prednisonu/prednisolonu. Pacienti na deflazacortu byli schopni chodit v průměru o 31,6 metrů více v testu 6-ti minutové chůze než pacienti na prednisonu/prednisolonu.

Raxone = idebenone - Přípravek od společnosti Santhera Pharmaceuticals, benzochinon s krátkým řetězcem a kofaktor enzymu NAD (P) H: chinon oxidoreduktáza (NQO1), působí jako antioxidant, inhibuje peroxidaci lipidů a stimuluje tvorbu energie na mitochondriální úrovni.

Září 2017 - negativní stanovisko od Výboru pro humánní léčivé přípravky (CHMP) Evropské lékové agentury (EMA) k rozšíření použití Raxony u DMD pacientů. Santhera plánuje odvolání a bude žádat přezkoumání od CHMP. Všechny klinické studie by měly pokračovat dle plánu, protože bezpečnostní profil zůstává nezměněn, rozhodnutí přezkoumání CHMP bude v prvním čtvrtletí 2018. Září – zařazení prvních pacientů s DMD do systému EAMS.

Translarna - První kauzálně schválený lék, registrován postupem tzv. podmíněného schválení. Účinná látka Ataluren, společnost PTC Therapeutics, Inc. Tato léčba je určena pro pacienty s bodovou mutací typu nonsense pro DMD (nmDMD), cca 12% chlapců s DMD.

Březen 2017 – prodlouženo podmíněčné schválení Translarny.

CAP-1002 – Capricor - Výzkum buněk derivovaných z kardiosféry právě probíhá. Společnost Capricor Therapeutics. Zápis pacientů dokončen – studie HOPE I/II – podzim 2016. Zlepšení u některých parametrů srdeční funkce a funkce horních končetin.

Červenec 2017 – společnost Capricor přijímá od FDA označení Rare pediatric Disease (vzácné dětské onemocnění) pro pacienty s DMD (Orphan Drug již dříve).

Givinostat = antifibrotikum = proti ztvrdnutí. Jde o inhibitor histon deacetylázy HDAC, v orální Italfarmaco zkoumá jeho účinky u dětí s DMD. Probíhá studie fáze 2 v Itálii. Soubor – 27 dětí od 10-14 let, jen 2 ztratily schopnost chůze.

BMS-986089 [Inhibice myostatinu] je lidský **protein** adnektin zaměřený proti myostatinu. Je určen pro Duchennovu svalovou dystrofii. Snižuje hladinu myostatinu, který zpomaluje růst svalové hmoty.

Domagrozumab (PF-06252616) blokování aktivity myostatinu – monoklonální protilátka. Společnost Pfizer, 2.fáze klinické studie.

BMS-986089 [Inhibice myostatinu] je lidský protein adnektin zaměřený proti myostatinu. Je určen pro Duchennovu svalovou dystrofii. Snižuje hladinu myostatinu, který zpomaluje růst svalové hmoty.

Domagrozumab (PF-06252616) blokování aktivity myostatinu – monoklonální protilátka. Společnost Pfizer, 2.fáze klinické studie.

Mikrodystrofin – genový transfer, genová léčba, firma Genethon, studie na modelch DMD psů.

CRISPR-Cas9 – genové nůžky, úprava (editace) genů, preklinický výzkum – potenciál léčit až 80% dětí s DMD.

Výzkumníci na utažském Southwestern Medical Center v laboratoři úspěšně opravili Duchennovu svalovou dystrofii v lidských buňkách a u myší pomocí nového enzymu CRISPR-Cpf1. Cpf1 je mnohem menší než enzym Cas9 – jednodušší dostat ho do buněk svalů, snazší opravení genu (duben 2017).

Rok 2017 v PP

Činnost našeho spolku by se neobešla bez partnerů, přátel, lidí, kteří mají srdce na správném místě a není jim lhostejný osud našich dětí. Všem patří velký dík.

Mnoho partnerů se stalo našimi přáteli, jsou s námi na jedné lodi, podporují nás finančně, ale i lidsky, chápou naše krédo „žít a nejenom přežít“ a proto pořádají pro kluky různé akce. Kluci zažijí zákulisí automobilových i motocyklových závodů, „běhají“ půlmaratony i maratony, jezdí spanilé jízdy, hrají Bocciu.

Též naši aktivní členové organizují akce na naši podporu a zážitky kluků. Díky rodině Pešků mohou prožít hasičské závody, které se každoročně konají v Rohovládové Bělé a náš spolek získává každoročně nemalou podporu. Rodina Bačkovských věnuje část výtěžku z plesu, který se pořádá na podporu jejich syna Jakuba, na činnost našeho spolku. Díky rodině Turků jsme již mnohokrát prožili den plný adrenalinu v těsné blízkosti motocyklových závodů, ale obdrželi jsme nemalou finanční podporu. Všem patří velký dík.

Fundraising je důležitou, i když velmi náročnou součástí činnosti organizace. Finanční prostředky získáváme od stálých podporovatelů, ale i od náhodných dárců. V roce 2017 jsme opět využívali dotačních programů vyhlášených Úřadem vlády, MZČR, ale i nadacemi.

Propagační akce

Dne 06.06.2017 jsme zahájili další kolo výstavy Žijeme s Vámi, tentokrát v Akademickém klubu 1. LF, ve Faustovo domě v Praze. Výstavou jsme chtěli upozornit na nutnost vzniku center vysoce specializované péče, která budou pečovat o pacienty dětské i dospělé.

Bylo to velice milé setkání, kde se sešli zástupci odborné veřejnosti, ale i neziskových organizací, se kterými úzce spolupracujeme.



Dny Prahy 11

Ve dnech 15. a 16. 9. 2017 jsme se mohli prezentovat 'na Dnech Prahy 11.

NGO Market

Dne 12.04.2017 jsme se poprvé zúčastnili veletrhu neziskových organizací NGO Market.

Velikonoční trhy na Staroměstském náměstí

Dne 02.04.2017 jsme mohli být součástí Velikonočních trhů na Staroměstském náměstí. Účast nám umožnila Nadace rozvoje občanské společnosti v rámci projektu Pomozte dětem.



Světový den Duchenne

Světový den Duchenne připadá vždy na 07.09. My jsme se v roce 2017 zapojili do celosvětové kampaně natočením videa. Dostali jsme otázky, na které měli odpovědět děti se svými rodiči, dospívající či mladí muži s DMD. Téma kampaně byly „sny“.

Kampaň pořádal italský PARENT PROJECT ONLUS.

Video můžete shlédnout [ZDE](#).

PARENT PROJECT v médiích a jinde

Nemocným s Duchennovou chorobou pomáhá nový lék. Pro Martina ale vhodný není

Sedmadvacetiletý Martin se narodil jako zdravý chlapec, který v dětství miloval fotbal. V pozdějším věku ho ale postihlo vzácné onemocnění, kdy mu postupně odumíralo svalstvo, až skončil na vozíku. Přestože jsou prognózy Duchennovy svalové dystrofie fatální, mladý muž se snaží svůj život užívat naplno. Nový lék mu už nepomůže...

Novinky.cz 27. února 2017

[Článek ZDE](#)

Reportáž na ČT o nutnosti vzniku specializovaných center

Na setkání rodin za námi přijela Česká televize a paní náměstkyně ministra zdravotnictví Lenka Teska Arnoštová. Cílem reportáže je upozornit na absenci specializovaných center, kde by probíhala multidisciplinární péče.

Ceskatelevize.cz 26. srpna 2017

[Reportáž ZDE](#)

PARENT PROJECT v médiích a jinde

Je stejný jako jeho vrstevníci, jen je na vozíku, říká Adamův tatínek

Jaké je to starat se o dítě s Duchennovou svalovou dystrofií? Co všechno péče o něj obnáší? Co takto nemocné děti a jejich rodiče trápí? A z čeho mají naopak největší radost? Všechny tyto otázky jsou námětem četných diskusí na společném setkání rodičů dětí se zmíněným onemocněním, které se v tomto týdnu koná v Dětském středisku Březejc.

Deník.cz 24. srpna 2017

[Článek ZDE](#)

Pobytové akce pro rodiny

Pobyty pro rodiny s malými dětmi

Ve dnech 17.-19.03.2017 a 20.-22.12.2017 proběhly psycho-rehabilitační pobyty pro rodiny s malými dětmi se svalovou dystrofií.

Během těchto víkendů byl pro rodiče připraven odborný program ve formě přednášek a možnost individuálních konzultací s psychologkou, ergoterapeutkou, fyzioterapeutkou a poradkyní domácí péče. Každé dítě mělo asistenta.

Pro děti byl připraven zábavný program. V Březnu děti vyráběly jarní výzdobu pro maminky, soutěžily o zajímavé ceny, mazlily se s králíčky, teta Štěpánka je přeměnila v pohádkové bytosti či zvířátka a pomocník Kuba jim vykouzil z balónků meče a zvířátka.

V říjnu se děti bavily s Pepou a Pipi, skvělými klauny. Odpoledne děti prožily báječné odpoledne v rámci Dobrovolnického dne firmy Sanofi-Zentiva, ozdobily si vlastní draky, tvořily výrobky s podzimní tematikou, zastřílely si z kuše a shazovaly plechovky. Všichni společně jsme si opekli buřtíky.

Březen 2017



Říjen 2017



Ozdravný pobyt pro kluky a maminky

Od soboty 8.7. do soboty 15.7.2017 jsme si užívali na "dámské jízdě" ve Střelských Hošticích.

Byli jsme zde poprvé a areál nás velmi mile překvapil. Malí i velcí měli dost prostoru na blbnutí jak venku, tak i uvnitř. Areál se nachází v krásném prostředí. Z jedné strany jsou lesy a z druhé strany řeka Otava, ve které jsme se v teplém počasí koupali.

Navštívili jsme zříceniny hradu Helfenburk a vodní zámek Blatná, kde mají oboru s daňky. Dále jsme navštívili město Písek a krokodýlí ZOO v Protivíně, kde jsme měli možnost vyfotit se s krokodýli.

Klukům dělali společnost asistenti a to po celou dobu pobytu. Hlavně pro maminky to byla velká pomoc, aby si aspoň na chvíli odpočinuly.



Pobyt tatínků s kluky

Ve dnech 12.-19.08.2017 se uskutečnil pobyt tatínků s kluky v Alenině Lhotě. Letošní jízdy se zúčastnilo 6 kluků s doprovodem. Navštívili bývalou poštovnu ze Sněžky, nyní umístěnou pod Javorovou skálou, Jistebnici, Borotín a další vesnice v okolí. Navštívili také vojenské muzeum, husitský tábor a Zvíkov. Nesmělo chybět tradiční návštěva slaného a teplého bazénu Sole-felsen-bad.



Celorepublikové setkání rodin

Ve dnech od 19. do 27. srpna 2017 se konalo tradiční setkání rodin. Setkání se konalo v Březejci a účastnilo se ho 16 rodin.

Největším překvapením pro nás bylo setkání s dravci. Mohli jsme si pohladit sovu a další dravce. Dokonce jsme se mohli vyfotit i s orlem.

Velmi zajímavá také byla přednáška o hadech a oblovkách. Hady i oblovky jsme si také mohli pohladit.

Po celou dobu pobytu měli děti i dospívající k dispozici asistenty. Takže rodiče si v klidu mohli užívat lekce jógy. Děti si užili hypoterapii. Mohli jsme si vyzdobit nádobí z keramiky. Viděli jsme ukázkou bojového umění. Pro děti bylo připraveno malování na obličej. Největší adrenalin jsme zažili při návštěvě Muzea průmyslových železnic při jízdě na regionální úzkokolejné trati. Dále nás přijel navštívit kouzelník

Na pobytu byla k dispozici fyzioterapeutka Mgr. Anna Jánská. Rodiče měli možnost konzultace a možnost masáže.

Dále byla přítomna RNDr. Jitka Žurmanová, Ph.D. specialistka na bioenergetiku a svalovou fyziologii.

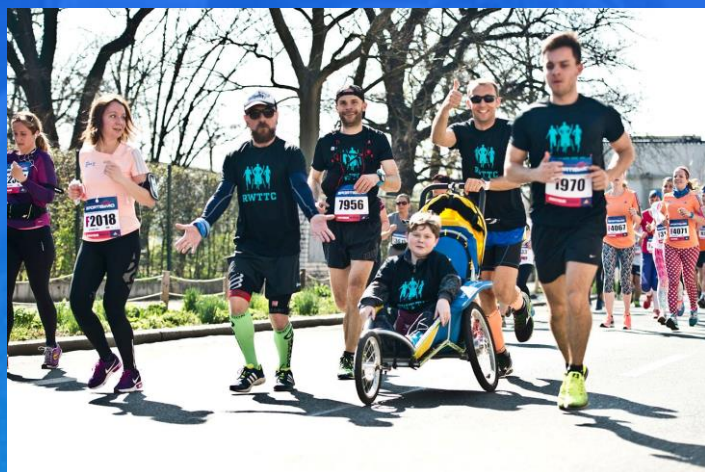




Akce všeho druhu

Sportisimo 1/2 Maratonu

Dne 1. 4. 2017 se konal tradiční Sportisimo ½ maraton v Praze, kterého se pravidelně účastníme. Počasí nám přálo, zázemí, občerstvení i zábava – vše bylo perfektní a akce se velmi vydařila. Velké poděkování patří opět RW TTC se kterými akci organizujeme. V letošním roce se na trať vydalo opět devět kluků a také devět rodičů a sourozenců. S našimi kluky běželo 34 kamarádů z RW TTC a celkem pak 120 běžců s vozíky.



Celý ½ maraton ale také běžela skupina nadšenců - kamarádů našeho člena a v kostýmech Oompa-Loompů. To byl obdivuhodný výkon a jsme jim velmi vděční, protože tímto během vybrali a věnovali naší organizaci 200 000 Kč. Velmi si jejich podpory vážíme.



5. ročník turnaje v iBoccie

V období od 20.05 do 21.05.2017 byl realizován 5. ročník turnaje v integrované Boccie v Nové Pace, kterého se zúčastnilo 13 rodin.

Mimo kluků „parentíků“ a jejich rodin se již tradičně účastnili kamarádi z MDA RIDE.



300 zataček Gustava Havla

Dne 22.05.2017 se osm dětí spolu se svými rodinami zúčastnilo motocyklových závodů 300 zataček Gustava Havla v Hořicích.



Den s koňmi

Dne 10.06.2017 jsme pořádali Den s koňmi. Během tohoto dne měly rodiny možnost si vyzkoušet hippoterapii. Děti měly možnost vyzkoušet si péči o koně. Během oběda rodiče vedli podnětné diskuze.



9. MDA RIDE

V pořadí již devátý ročník dobročinné akce MDA RIDE na podporu lidí se svalovou dystrofií proběhl v sobotu 17. června opět na Václavském náměstí v Praze.

Díky všem úžasným a skvělým lidem se vybralo rekordních 1 157 600 Kč.

MDA RIDE není jen název charitativní akce, ale je to především společenství drsných motorkářů, kteří však mají srdce na správném místě. Toto společenství podporuje lidi se svalovou dystrofií.

MDA RIDE podporuje nejen nás, ale také Českou asociaci muskulárních dystrofií. Každý rok se dělíme rovným dílem, vzhledem k tomu, že byl rok 2017 rekordní, připadlo **578 800 Kč** pro každou organizaci. Výtěžek byl v našem případě využit na 5. turnaj v iBoccie, pobyt pro maminky s dětmi, informační kampaň ke světovému dni DMD, celorepublikový sraz, provoz webových stránek a každoroční rekondiční pobyt rodin s malými dětmi. Zbylých **335 704 Kč** bylo rozděleno mezi **33** jednotlivých rodin na potřebné přístroje a vybavení.





Soutěž v požárním sportu

Každý rok pořádají dobrovolní hasiči z Rohovládové Bělé hasičskou soutěž v požárním sportu "O pohár starosty obce Rohovládová Bělá", který je věnovaný podpoře organizace PARENT PROJECT, z.s.

Za to, že je z této skvělé akce podporována naše organizace vděčíme rodině Peškových - Ivě, Pepovi, Adamovi a Terce.

Akce se konala 16. 7. 2017 a vybralo se úžasných 78.750,-



Poděkování

Činnost spolku Parent Project, z.s. by nebyla možná bez podpory, pomoci a spolupráce s řadou firem, organizací a jednotlivců.

Vaší pomoci si opravdu velmi vážíme.

Bez Vás bychom nebyli schopni splnit naše poslání a dosahovat našich cílů.

Děkujeme, že jste naší součástí.



Děkujeme, že jste vstoupili do života našich dětí



PARENT PROJECT, z. s.

Výzkum - léčba - naděje