

Parent Project

Občanské sdružení rodičů dětí se svalovou dystrofií Duchenne/Becker (DMD/BMD)

Výroční zpráva 2010

Parent Project, o.s., Větrná 262, 550 01 Broumov

Parent Project – úvodní slovo

Vážení přátelé, kamarádi, rodiče, sponzoři, partneři a všichni lidé dobré vůle. Právě jste otevřeli výroční zprávu občanského sdružení PARENT PROJECT (dále jen PP) za rok 2010.

Rok 2010 byl pro naše sdružení zlomový a to z několika důvodů. Po 9 letech ukončila činnost zakladatelka sdružení a jeho dlouholetá a vlastně jediná předsedkyně Ing. Pavlína Holubcová. Začala nová spolupráce se sdružením MDA RIDE a rovněž byla zahájeny komunikace se sdruženími podobné orientace a to AMD ČR sdružující dystrofiky a Kolpingovou společností Smečno sdružující rodiče dětí s SMA.

Jak bylo řečeno v úvodu po 9 letech ukončila jeho dlouholetá předsedkyně Ing. Pavlína Holubcová, která spolu s bývalým manželem založila toto sdružení a odvedla v něm nesmírné množství práce. Chtěl bych jí tímto za veškerou její práci, kterou pro naše sdružení vykonala i přes péči o svého syna s DMD Martina, na kterou zůstala sama se svým starším synem Davidem, strašně moc poděkovat a popřát jí hodně štěstí. Pavlíně děkujeme.

Zbytek vedení PP zůstal v původním složení s přijetím jednoho nového člena a tak práce výkonného výboru pokračovala v rozběhnutých projektech a rovněž začala příprava nových projektů jako např. příprava školení rodičů v roce 2011.

V roce 2010 se rozeběhla spolupráce s občanským sdružením MDA RIDE úplně v jiných dimenzích než v roce 2009. Nadšenci s MDA dokázali zorganizovat na Smíchovské pláži perfektní akci, na které se jim podařilo získat neskutečné peníze, které rozdělili mezi nás a společnost AMD (o akci dál ve zprávě). Touto akcí nejenom že získali pro nás dost peněz, ale rovněž se postarali o nezapomenutelné zážitky pro naše děti a v neposlední řadě se široká veřejnost dozvěděla o zákeřné nemoci, která postihla naše děti. o lidech a dětech postižených svalovou dystrofií.

Parent Project – úvodní slovo

Tímto ale naše spolupráce neskončila. Jezdí za námi na naše akce podporují nás a fandí nám. My jim taky a doufáme, že jim nadšení dlouho vydrží. Největší dík patří Josefovi Kadeřábkovi „Kád'ovi“, jeho manželce Hance a Daniele.

Rovněž začala užší spolupráce se sdruženími podobného zaměření a to s AMD ČR a Kolpingovou společností Smečno. Začali jsme si předávat důležité informace se zahraničních kongresů, domlouvat překlady zahraničních materiálů, rozšíření databáze pacientů apod. Pokračovala spolupráce s FN Brno (hlavně s Doc. MUDr. Petrem Vondráčkem a prim. MUDr. Renatou Gailliovou) a FN Motol (hlavně MUDr. Janou Haberlovou a Doc. MUDr. Taťanou Maříkovou) a to hlavně v oborech neurologie a genetika. Bohužel se zatím nedaří podchytit větší škálu odborností.

Pokračovala i komunikace s GSK ohledně přípravy klinických testů, které byli bohužel s finančních důvodů o cca 1 rok posunuty. Doufáme, že konečně rok 2011 bude v tomto směru klíčový.

Jedna zajímavá informace na konec: naše webové stránky jsou pravidelně archivovány Národní knihovnou ČR pro svou kulturní, vzdělávací, vědeckou, výzkumnou nebo jinou informační hodnotu za účelem dokumentace autentického vzorku českého webu. Jsou součástí kolekce českých webových stránek, které NK ČR hodlá dlouhodobě uchovávat a zpřístupňovat pro budoucí generace. Jejich záznam je součástí České národní bibliografie a katalogu NK ČR. Toto je velká pocta za neskutečnou práci Pavla Trojana a rovněž tak za odborné informace od Mirka Stuchlíka.

Na úplný závěr bych chtěl vyslovit svoje tajné přání, aby se více rodičů malých dětí začalo zapojovat do činnosti PP, aby veškerá činnost nebyla stále na těch samých rodičích.

Jozef Suchý, Předseda OS

Parent Project - profil organizace

Název sdružení	: PARENT PROJECT, o.s.
Právní forma	: Občanské sdružení. Stanovy registrovalo Ministerstvo vnitra dne 27.8.2001 pod číslem jednacím VS/1-1/47 844/O1-R
IČO	: 265 40 401
Sídlo sdružení	: Větrná 262, 550 01 Broumov
Telefon	: 776 001 206 – Jozef Suchý (předseda) 776 001 207 – Pavel Trojan (místopředseda)
E-mail	: parentproject@parentproject.cz
Webové stránky	: http://www.parentproject.cz
Konto výzkumu	: č.ú.: 1338146001/5500
Provozní účet	: č.ú.: 0194971330/0300
Předseda sdružení	: Jozef Suchý, Husova 245, Hrob
Místopředseda sdružení	: Pavel Trojan, Větrná 262, Broumov
Výkonný výbor	: Ing. Miroslav Stuchlík, Velkopavlovická 11, Brno Pavel Trojan, Větrná 262, Broumov Ilona Krčková, V Bažantnici 2651, Kladno Ing. René Břečťan, Nová cesta 1108, Dobřichovice Jozef Suchý, Husova 245, Hrob

Parent Project – poslání organizace

Parent Project (Projekt rodičů) je nezisková 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.

V současné době se práce PP dá shrnout do několika nejdůležitějších bodů ...

- Získáváme finanční prostředky pro výzkum a budoucí léčbu Duchenne/Becker (DMD/BMD) v České republice
- Zlepšujeme standardy péče a kvalitu života pacientů s DMD/BMD
- Získáváme, zpracováváme a předáváme informace rodičům i odborné veřejnosti o výzkumu DMD/BMD a o základní i specializované péči
- Jsme v kontaktu s výzkumnými centry v Evropě i USA a hledáme možnosti zapojení pacientů do klinických studií v zahraničních centrech
- Organizujeme charitativní akce s cílem informovat o DMD/BMD
- Databáze pacientů s DMD/BMD a potenciálních přenašeček

Parent Project - organizační struktura

Činnost sdružení je založena na dobrovolné práci rodičů. Přestože má naše sdružení statut patientské organizace, není provoz ze strany státu nijak podporován. To je také hlavní důvod, proč organizace nemá stálé zaměstnance. Pro sdružení pracuje především výkonný výbor, jehož složení je pětičlenné. V čele sdružení stojí předseda a místopředseda. Nejvyšším orgánem sdružení je členská schůze.



Parent Project - výsledky hospodaření rok 2010

pokladna k 31.12.2010 Kč 1 115,--

Stav bankovních účtů k 31.12.2010

Postkonto 194971330/0300	Kč	137 859,41
Raiffeisen Bank 1338146001/5500	Kč	620 440,31
Raiffeisen Bank – termínovaný vklad - 2010032801	Kč	1 004 279,89

Hospodářský výsledek k 31.12.2010 Kč 387 202,--

Příjmy rok 2010

Reklama - služby	Kč	43 000,--
Peněžní dary	Kč	587 450,--
Příspěvky	Kč	11 200,--
Úroky z účtů	Kč	4 666,--

Příjmy celkem Kč 646 316,--

Výdaje rok 2010

Bankovní poplatky	Kč	2 345,--
Dary vydané	Kč	10 000,--
Drobný majetek (nafukovací vany, invalidní vozíky)	Kč	48 510,--
Náklady na zajišťování akcí reprezentace, pohoštění apod.	Kč	157 359,--
Režijní náklady nedaňové	Kč	20 000,--
Režijní náklady daňové	Kč	19 760,--
Poštovné	Kč	1 140,--

Výdaje celkem Kč 259 114,--

Získávání finančních prostředků pro výzkum a budoucí léčbu Duchenne/Becker (DMD/BMD) v České republice

- Hlavní naší aktivitou v současné době je podpora „Projektu databáze pacientů DMD/BMD“, která je pro nás předpokladem účasti našich pacientů v klinických testech a budoucí léčby. Klinické hodnocení realizované v České republice je důkazem správnosti naší volby.
- Další neméně důležitá aktivita směřuje k zavedení a uplatňování standardů komplexní péče. S tím souvisí potřeba na vytvoření dvou až třech specializovaných center pro tuto komplexní péči o pacienty se svalovými dystrofiemi v ČR.
- Za účelem finanční podpory těchto aktivit bylo založeno „Konto výzkumu“, ze kterého bychom chtěli hradit i případné provozní náklady na účast našich pacientů v klinických testech a především náklady na léčbu.

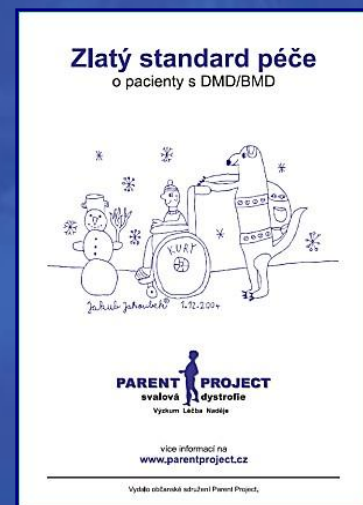
Zlepšujeme standardy péče a kvalitu života pacientů s DMD/BMD

- Díky spolupráci s nejrůznějšími nadacemi a díky úspěšným projektům našeho sdružení se nám podařilo zakoupit několik přístrojů a pomůcek, které výrazně zkvalitní nejen diagnostiku nemoci, ale též kvalitu života pacientů s DMD/BMD.
- Podílíme se na financování zahraničních stáží a pracovních cest lékařů, které jim umožňují získat celou řadu nových poznatků a zkušeností. Současně přispějí k navazování další spolupráce s kolegy, kteří se zabývají problematikou nervosvalových onemocnění v zahraničí.
- Pro naše pacienty se podařilo z nadačních příspěvků zakoupit rehabilitační přístroje, relaxační podložky, notebooky pro děti s poruchami učení, příspěvek na bezbariérové úpravy a osobní asistenci.
- Každoročně pořádáme několik setkání rodičů a dětí s programem, pořádáme rekondační pobyty pro pacienty s DMD/BMD.



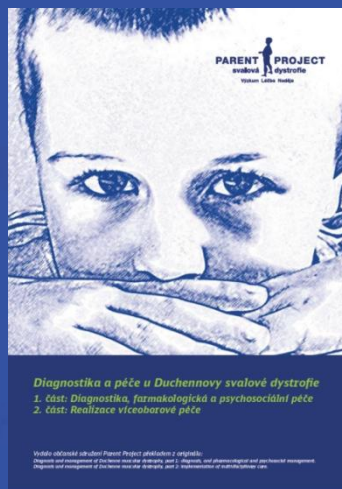
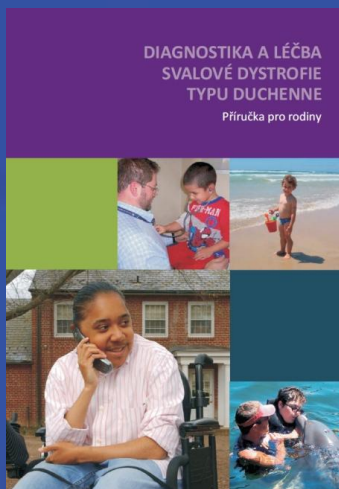
Získáváme, zpracováváme a předáváme informace rodičům i odborné veřejnosti o výzkumu DMD/BMD a o základní i specializované péči

- Ve spolupráci s neurologem doc. MUDr. Petrem Vondráčkem, Ph.D. jsme v roce 2007 vydali publikaci „Zlatý standard péče o pacienty s DMD/BMD“, kde je kompletně popsána DMD/BMD, dále péče o pacienty, rehabilitace i názory lékařů a pacientů. Většina informací v knize je stále platná, ale celý náklad knihy je již v současnosti zcela rozebrán.
- Ve spolupráci doc. MUDr. Petrem Vondráčkem, Ph.D. zajišťujeme internetovou on-line poradnu pro veřejnost. Tato poradna je zaměřena hlavně na odborné lékařské rady od doporučeného užívání doplňků stravy až po rady od specializovaných lékařů v oboru neurologie a ortopedie.



Získáváme, zpracováváme a předáváme informace rodičům i odborné veřejnosti o výzkumu DMD/BMD a o základní i specializované péči

V roce 2011 připravujeme podklady vydání nových odborných publikací a informační brožury pro rodiče. Všechny tyto materiály vzniknou ve spolupráci se zahraničním vydavatelem. Veškeré tyto materiály připravujeme s ohledem na specifika českého prostředí.



• Diagnostika a léčba svalové dystrofie typu Duchenne - Příručka pro rodiny

• Diagnostika a péče u Duchennovy svalové dystrofie

• Akutní a urgentní péče o pacienty s Duchenneovou svalovou dystrofií

Získáváme, zpracováváme a předáváme informace rodičům i odborné veřejnosti o výzkumu DMD/BMD a o základní i specializované péči

Snažíme se získávat všechny informace dostupné ve světě a to prostřednictvím internetu a různých publikací a v maximální možné míře se snažíme získané informace přeložit. Na našich stránkách jsou k nalezení snad všechny aktuální informace o probíhajících výzkumech, jejich průběžné výsledky, postupy a jejich pravděpodobný vývoj.

The screenshot shows the website for Parent Project, which is dedicated to Duchenne/Becker Muscular Dystrophy (DMD/BMD). The page features a navigation menu on the left with categories like 'Novinky', 'O nás', 'Co je DMD/BMD', 'Péče o pacienty', 'Výzkum', 'Projekt databáze', 'Odborné články', 'Pomáháte nám', 'Tisková prohlášení', 'Výroční zprávy', 'Řádky, napísat', 'Užitečné odkazy', and 'Bazar'. The main content area includes a header with the organization's name and logo, followed by a brief description of the project. A prominent section titled 'Databáze pacientů s DMD/BMD' provides contact information for the database. Below this, there are several news items and announcements, including a call for financial support for a research project and information about a seminar. The page also features a search bar and a footer with the organization's logo and contact details.

Jsme v kontaktu s výzkumnými centry v Evropě i USA a hledáme možnosti zapojení pacientů do klinických studií v zahraničních centrech

- Jsme v neustálém v kontaktu s odborníky ze zahraničních výzkumných center. Naši zástupci z řad členů PP i lékařů se společně účastní odborných seminářů zaměřených na výzkum DMD nebo problematiku databází pacientů.
- Jsme členy evropského projektu TREAT-NMD. Dne 11. 3. 2008 bylo občanské sdružení PP po téměř roční komunikaci zařazeno do tohoto projektu.



Organizujeme charitativní akce s cílem informovat o DMD/BMD

- Parent Project organizuje několik pravidelných charitativních akcí po celé republice. Na všech akcích se snažíme seznámit veřejnost s našimi aktivitami, ale především s problematikou DMD/BMD.
- Dlouhodobě spolupracuje s nejlepším českým lyžařem posledních let Lukášem Bauerem. V roce 2009 jsme navázali spolupráci s českým silničním profesionálním cyklistou Romanem Kreuzigerem.



Organizujeme charitativní akce s cílem informovat o DMD/BMD

- Koncerty vážné hudby v kostele sv. Mikuláše na Staroměstském náměstí v Praze
- Benefiční akce a utkání ve Vrchlabí a Hostinném



- Hasičská soutěž v Rohovládově Bělé



Organizujeme charitativní akce s cílem informovat o DMD/BMD

- Letošní střelecký turnaj Parent Project Cup v Žihli u Plzně byl již sedmým ročníkem této velmi úspěšné akce.



- Několik relací o Parent Projectu a pacientech s DMD/BMD vysílala Česká televize, televize Nova a Markíza. Cílem těchto akcí je poukázat na DMD/BMD a informovat veřejnost o této nemoci.

Parent Project – nejdůležitější aktivity a projekty

Naše nejdůležitější projekty v současné době ...

„Databáze pacientů s DMD/BMD a potenciálních přenašeček“

The Central Database of Czech and Slovak DMD/BMD Muscular Dystrophy Patients



The National DMD/BMD Registry

<http://dystrofie.registry.cz>

<http://dystrophy.registry.cz>

„Databáze pacientů s DMD/BMD a potenciálních přenašeček“

Ve spolupráci s Masarykovou univerzitou v Brně jsme vytvořili „Databázi pacientů s DMD/BMD a potenciálních přenašeček“ pro české a slovenské pacienty. Projekt do kterého se zapojila i slovenská organizace OMD

Tento projekt je v současnosti jedním z hlavních témat naší činnosti, a to z pohledu spolupráce s odbornými lékaři z důvodu rozšiřování a pravidelné aktualizaci databáze českých a slovenských pacientů. Záměrem je vytvoření přístupů pro lékaře z řad neurologů a genetiků, kteří přicházejí do kontaktů s pacienty s DMD/BMD.

V současné době existuje jenom několik center, které mají přístup do databáze a pro některé pacienty je komplikované obracet se pouze na tato centra. Z důvodů možného zapojení se do budoucího výzkumu je důležité, aby DB obsahovala aktuální informace a tudíž, aby pacienti při návštěvě svého odborného lékaře měli možnost pravidelné aktualizace svého zdravotního stavu pro případ jeho vytipování pro klinickou studii.

„Databáze pacientů s DMD/BMD a potenciálních přenašeček“

Cílem databáze je:

- **efektivní integrace pacientů do mezinárodních klinických studií**
- **pro případ nalezení účinné léčebné metody, urychlit výběr a indikaci vhodných pacientů**
- **zjistit počet českých a slovenských pacientů a shromáždit všechny potřebné informace o nich**



„Databáze pacientů s DMD/BMD a potenciálních přenašeček“

Registr českých a slovenských pacientů s DMD/BMD je výsledkem spolupráce mezi Institutem biostatistiky a analýz, Masarykovy univerzity v Brně (technická realizace, analýzy dat), občanského sdružení Parent Project v České republice (zahájení projektu, finanční podpora) a Fakultní nemocnice v Brně (vědecký poradce). Do projektu se zapojila i slovenská organizace OMD.



Komplexní péče o pacienty se svalovými dystrofiemi

Ve spolupráci s lékaři FN Brno a FN Motol jsme zahájili aktivity na vytvoření center pro zajištění komplexní péče o pacienty se svalovými dystrofiemi.

V současné době neexistují standardy ani jasné postupy v péči o pacienty se svalovou dystrofií DMD/BMD. Vzhledem k malému počtu pacientů (cca. 400 až 500 v ČR), kteří jsou navíc roztroušeni po celé ČR, nemají lékaři dostatek pacientů na to, aby si vytvořili přehled o progresi této nemoci a postupy, jak o tyto pacienty v jednotlivých vývojových stupních pečovat. Z tohoto důvodu je naše snaha sjednotit pacienty ve dvou až třech specializovaných centrech v ČR. Vzhledem k působnosti sdružení Parent Project a kontaktů na rodiče tím dosáhneme postupně přeměrování většiny stávajících a téměř všech nových pacientů do těchto center. Lékaři specialisti v těchto centrech budou pečovat o větší počet pacientů s DMD/BMD a časem získají neocenitelné zkušenosti v péči o tyto pacienty.

Komplexní péče o pacienty se svalovými dystrofiemi

Ve spolupráci s lékaři, odborníky a specialisty chceme standardy komplexní péče pomoci zavést do praxe i v České republice. Na tomto spolupracujeme s evropským projektem Treat-NMD, který již základy standardů pro Západní Evropu vydal. Tyto standardy předkládáme do češtiny a dáme je k dispozici specialistům i u nás.

V návaznosti na tyto materiály chceme ve spolupráci s renomovanými lékařskými centry, Masarykovou universitou a odborníky z Treat-NMD seznámit a proškolit vybrané odborníky na tyto standardy. Komplexní a kvalitní péče je podmíněna mezioborovou spoluprací mezi řadou lékařů.

Ke zlepšení oboustranné informovanosti by mělo pomoci i pravidelné setkávání se a dlouhodobá spolupráce rodičů s odborníky. Na rok 2011 připravujeme celostátní konferenci pro rodiče. Konference se účastní odborníci všech zdravotních specializací.

Informace z výzkumu v roce 2010

Rok 2010 přinesl několik zklamání ale i několik dobrých zpráv. Špatnou zprávou je špatný výsledek klinického testu léku na bodové mutace Ataluren/ PTC124 odložení začátku III. kola klinického testu antisense oligonukleotidů v ČR a zastavení klinického testování ACE-031. Dobrou zprávou je začátek klinických testů několika dalších léků.

Ataluren/ PTC124 je genetický lék na bodové mutace, který měl být schopen obnovit tvorbu dystrofinu a zastavit progresi DMD. Klinický test ukázal, že Ataluren je schopen při vhodném dávkování obnovit tvorbu dystrofinu – ale v množství naprosto nedostatečném pro zastavení progresu. Paradoxně nízká dávka léku měla vyšší účinnost než vysoká a dokázala prokazatelně zpomalit postup nemoci. Firma Genzyme plánuje zopakovat klinický test s cílem najít nejúčinnější režim dávkování.

ACE-031 je protein, který podporuje růst svalstva. Klinický test ACE-031 byl zastaven kvůli nežádoucím vedlejším účinkům. Způsoboval krvácení z nosu a dásní a měl nepříznivý vliv na krevní oběh. Tyto vedlejší účinky neohrozily pacienty na životě ale přesto byl test zastaven. Výrobce firma Acceleron nyní analyzuje výsledky a hledá jak tyto vedlejší účinky omezit.

Začátkem roku 2010 došlo k dohodě o spolupráci mezi firmou Prosensa a GlaxoSmithKline (GSK) na komercializaci antisense oligonukleotidů (AONů) – genetických léků pracujících na principu exon skipping.

Informace z výzkumu v roce 2010

Organizaci klinického testu AONu na exon 51 převzalo GSK a odložilo termín zahájení na rok 2011. Klinický test bude probíhat i v ČR a to v Praze v Motole a v Brně v Dětské fakultní nemocnici.

Během roku 2010 bylo oznámeno, že se začnou klinicky testovat další potenciální léky: IGF-1, EGCg, Revatio. IGF-1 (Insulin-like growth factor 1) je protein, který podporuje růst a regeneraci svalů. Předpokládá se, že zvýšené množství IGF-1 umožní lepší regeneraci svalů u pacientů s DMD a zpomalení progresu. Lék by také mohl pomoci obnovit svalstvo u pacientů u kterých došlo k obnově tvorby dystrofinu pomocí genetických léků jako jsou Ataluren nebo PTC124. EGCg (epigalokatechin galát) je látka vyskytující se v zeleném čaji. V minulosti už byl prokázán pozitivní vliv extraktu ze zeleného čaje na dystrofické svalstvo. Cílem klinického testu je prokázat bezpečnost a klinický přínos EGCg na svalstvo pacientů. Revatio (Sildenafil) je lék používaný na léčbu hypertenze. Test má ověřit jestli tento lék dokáže předcházet nebo alespoň oddálit nástup kardiomyopatie u pacientů s DMD.

Přes veškerý pokrok ve výzkumu a vývoji léků proti DMD ke kterému došlo v roce 2010 stále neexistuje účinná léčba a pacienti dál marně čekají na lék, který by jim zachránil život nebo alespoň zpomalil progresi nemoci. A vzhledem k složitosti, časové a finanční náročnosti klinických testů nejde předpokládat, že by lék na DMD byl k dispozici v nejbližších letech.

Poděkování sponzorům a dárcům

Činnost občanského sdružení Parent Project by nebyla možná bez podpory, pomoci a spolupráce s řadou firem, organizací a jednotlivců. Velmi si vážíme toho, že věnujete svou pozornost a prostředky právě našemu občanskému sdružení. Díky Vaší podpoře můžeme nadále plnit své poslání. Děkujeme všem firmám, organizacím a soukromým dárcům, kteří nás podporují.



... a mnoho dalších.

Parent Project, o.s. svalová dystrofie DMD/BMD

Naší snahou je zajistit pro děti s DMD/BMD komplexní péči ve specializovaných centrech, zabezpečit jim kompletní vyšetření a veškerou dostupnou lékařskou péči, aby se jejich život v maximálním možném čase prodloužil a zkvalitnil. Tím tyto děti dostanou šanci dožít se léku, který jak všichni pevně doufáme, jednou bude k dispozici.



Výzkum – léčba

Naděje

