

Parent Project

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

Výroční zpráva 2011

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 2011.

Rok 2011 přinesl historicky první klinické testy v České republice společností. Rovněž se posunula péče o pacienty. Povedlo se zorganizovat konferenci pro rodiče zaměřenou na péči o pacienty s DMD/BMD. Bylo přeloženo a vydáno několik publikací, jak pro odborníky tak pro rodiče, se zaměřením na zkvalitnění péče o děti s DMD/BMD. I přes nelichotivý stav státní ekonomiky, nadále fungovala spolupráce PP s partnery - MDA RIDE, RWTTTC a dlouholetými sponzory. Do práce v PP se začalo zapojovat více rodičů a bylo uspořádáno nejvíce akcí v historii PP po celé republice s účelem získávání finančních prostředků a informování široké veřejnosti o nemoci.

V roce 2011 byly konečně splněny všechny podmínky pro zahájení klinické studie a firma GSK (GlaxoSmithKline) ve spolupráci s FN Brno a FN Motol spustila historicky první, dlouho očekávanou klinickou studii na území České republiky se zaměřením na DMD/BMD. Jedná se o klinickém testování nového genetického léku zacíleného na delece v sousedství exonu 51 (více v části výzkum). Zatím bylo do studie zapojeno 8 pacientů. Bohužel nastavení podmínek pro účast ve studii bylo tak přísné, že spousta dětí, které předběžně vyhovovali zařazení do klinických testů neprošla sítím těchto podmínek. Firma GSK ovšem dál připravuje možnosti zapojení širšího množství pacientů a s rozšířením i o další delece.

V červnu byla uspořádána konference v Mikulově zaměřená na rodiče dětí s DMD/BMD. Tato konference měla rodičům zajistit množství informací pro zlepšení péče o děti. Ukázat rodičům, jakou péči můžou sami poskytnout svým dětem a jakou péči mají vyžadovat od odborníků. Podařilo se zajistit přednášky předních odborníků v oblasti neurologie, ortopedie, kardiologie, genetiky, rehabilitace, psychologie a dalších. Zástupci Masarykovy univerzity IBA seznámili rodiče s prací v registru pacientů. Tato konference přinesla rodičům spoustu nových informací, díky kterým můžou více tlačit na specialisty za účelem zajištění maximální péče o jejich děti. Na této konferenci byly rodičům rovněž předány přeložené zahraniční publikace vydané Evropskou společností TREAT-NMD.

Ve FN Brno a FN Motol začala lépe fungovat komplexní péče o pacienty. I když je ještě k dokonalosti daleko, je to první výrazný posun vpřed.

Rovněž registr pacientů, který pro nás zpravuje MU IBA doznal změn. Byl překonfigurován do nového prostředí a byli v něm provedené zásadní změny tak, aby byl lépe začlenitelný do celoevropské databáze.

V roce 2011, jak bylo zmíněno na začátku, proběhlo velké množství akcí. Kromě již tradičních Střeleckého turnaje v Žihli (8. ročník), závodů hasičů v Rohovládové Bělé (5. ročník), MDA RIDE v Praze (3.ročník), koncert Consortium Pragense Orchestra konaný v Chrámu Svatého Mikuláše na Staroměstském náměstí (cca 6 rok) byla zahájena spolupráce s dalšími motorkáři Divočáci Třemešná, kteří uspořádali ve prospěch PP dvě akce a motocyklovým teamem - Montáže Brož Racing Team (závodů silničních motocyklů), kteří v rámci závodů v Hořicích provedli finanční sbírku.

Dále to byly: charitativní ples v Budišově nad Budišovkou, benefiční koncert umělecké školy v Třemošné, rybářské závody ve sportovní přívlači na Pískovně v Roudnici (u Hradce Králové) a další. Asi největší zážitek měli děti z účasti HERVIS 1/2 Maratonu Praha, a to díky projektu Running With Those That Can't (RWTTTC).

Tuto iniciativu založili studenti 3. lékařské fakulty UK. Většinou z nás běžel mráz po zádech, když jsme byli s dětmi na startu a za tónu Vltavy od B. Smetany s dalšími téměř 10 000 závodníky se závod zahajoval. Dále to byl již tradiční týdenní pobyt maminek s dětmi, následně opět excelentní pánská jízda (otcové s dětmi), společná akce na Orlíku, kde nás již tradičně navštívili kamarádi s MDA RIDE v čele s Kádou a Hankou. Byla to v roce 2011 neuvěřitelná porce akcí, která by ovšem nemohla být uspořádána bez aktivních rodičů, kterým bych tímto chtěl moc poděkovat za spolupráci.

Závěrem bych chtěl konstatovat, že rok 2011 byl velkým posunem vpřed a novou motivací, ale i závazkem pro práci v následujících letech.

Josef Suchý, předseda o.s.
PARENT PROJECT



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 2011

pokladna k 31.12.2011 Kč 1 115,--

Stav bankovních účtů k 31.12.2011

Postkonto 194971330/0300	Kč	148 935,17
Raiffeisen Bank 1338146001/5500	Kč	349 624,47
Raiffeisen Bank – termínovaný vklad - 2010032801	Kč	1 007 299,39

Hospodářský výsledek k 31.12.2011 Kč - 256 721,--

Příjmy rok 2011

Reklama - služby	Kč	85 600,--
Peněžní dary	Kč	531 035,--
Příspěvky	Kč	14 200,--
Úroky z účtů	Kč	3 094,--

Příjmy celkem Kč 633 929,--

Výdaje rok 2011

Bankovní poplatky	Kč	3 792,--
Dary vydané	Kč	106 000,--
Drobný majetek (inv. vozík)	Kč	32 782,--
Náklady na cestovné	Kč	16 214,--
Náklady na zajišťování akcí, reprezentace, pohoštění apod.	Kč	558 577,--
Režijní náklady nedaňové	Kč	125 535,--
Režijní náklady daňové	Kč	46 052,--
Poštovné	Kč	1 698,--

Výdaje celkem Kč 890 650,--

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

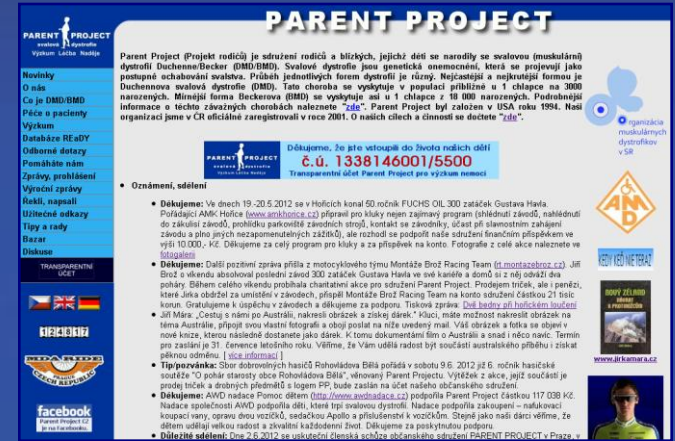
- Díky spolupráci s nejrůznějšími nadacemi a díky úspěšným projektům našeho sdružení se nám podařilo zakoupit několik přístrojů a pomůcek, které výrazně zkvalitní nejen diagnostiku nemoci, ale též kvalitu života pacientů s DMD/BMD.
- Podílíme se na financování zahraničních stáží a pracovních cest lékařů, 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, příspěť na bezbariérové úpravy a osobní asistenci.
- Každoročně pořádáme několik setkání rodičů a dětí s programem, pořádáme rekondiční 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

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.

Ve spolupráci s MUDr. Janou Haberlovou, 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.



PARENT PROJECT

Parent Project (Projekt rodičů) je sdružení rodičů a blízkých, jejichž děti se narodily se svalovou (muskulární) dystrofií Duchennea-Becker (DMD/BMD). Svalové dystrofie jsou genetická onemocnění, která se projevují jako postoupně zhoršující se svalová slabost. Příčinou jedné z těchto dystrofií je závažná a nejčastější forma je Duchennova svalová dystrofie (DMD). Tato choroba se vyskytuje v populaci přibližně na 1 chlapce na 3000 narazících. Menšího projevu Duchennova (BMD) se vyskytuje na 1 chlapce z 10 000 narazících. Podrobnější informace o těchto závažných chorobách naleznete "Zde". Parent Project byl založen v USA roku 1994. Našimi organizací jsme v ČR oficiálně zaregistrovali v roce 2001. O našich cílech a činnostech se dočtete "Zde".

Děkujeme, že jste velkou část života věnovali naší činnosti.
Č.Ú. 1338146001/5500
Transparentní účet Parent Project pro výzkum nemoci

- Oznámení, sdělení**
 - Děkujeme:** Ve dnech 19.-20.5.2012 se v Hotelcích konal 50 ročník FUCHS OIL 300 zátek Gustava Hlavá. Pořadající ANK- Hořovice (www.ankhojovice.cz) připravili pro kluky nejen zajímavý program (společná závody, nahlédnutí do zákulisí závodů, prohlídka parkoviště závodních strojů), kontakt se závodníky, účast při slavnostním zahájení závodu a plno jiných nezapomenutelných zážitků), ale rozhodli se podpořit naše sdružení finančním příspěvkem ve výši 10 000,- Kč. Děkujeme za celý program pro kluky a za příspěvek na konto: Fotografie z celé akce naleznete ve fotogalerii.
 - Děkujeme:** Další pozitivní zpráva přišla z motocyklového týmu Montáže Brož Racing Team (www.montazebroz.cz). Jiří Brož z víkendového absolvoval poslední závod 300 zátek Gustava Hlavá ve své kasetě a domů si z něj odjel 218 bodů. Slibem celého víkendu probíhal charitativní akce pro sdružení Parent Project. Prodávem triček, ale i peněz, které Jiříka obdržel za umístění v závodech, připsal Montáže Brož Racing Team na konto sdružení částkou 218 Kč.
 - Děkujeme:** Oskotujeme k úspěšnému závodu a děkujeme za podporu. Tisková zpráva: <http://www.rodice.cz/rodice/160408>
 - Jiří Měra:** „Cestou z němej po Austrálii, navlékl obříšek a získal diálek.“ Kluci, máte možnost naklepat obříšek na téma Austrálie, připsat svoji vlastní fotografii a oboj poslat na náš uvestiny mail. Váš obříšek a fotka se objeví v nové knize, kterou následně dostanete jako dárek. K tomu dokumentární film o Austrálii a soubor národních. Termín pro zaslání je 31. července letošního roku. Věříme, že Vám udělá radost být součástí australského příběhu i získat pěknou odměnu. www.rodice.cz
 - Tip pro rodiče:** Sbor dobrovolných pořádkářů Rohnovského Běhá pořádá v sobotu 9.6. 2012 při 6. ročník hudební soutěže "O pohár starosty obce Rohnovského Běhá", věnovanou Parent Projectu. Vítězek z akce, jejíž součástí je spousta kuchař a dalších předmětů s logem PP, bude zapsán na účet našeho občanského sdružení.
 - Děkujeme:** AWD nadace Pomoc dětem (www.awdnadace.cz) podporila Parent Project částkou 117 038 Kč. Nadace společnosti AWD podporila děti, které trpí svalovou dystrofií. Nadace připravila zakoupení - nákladovou skupku vany, opravy dvou vozíčků, sadu kuchařku Apolla a příslušenství k vozíčkov. Šeňej jako naši dárci věříme, že dětem udělá velkou radost a zlepší jejich život. Děkujeme za poskytnutou podporu.
 - Děkujeme sdělení:** Dne 2.6.2012 se uskutečnil členská schůzka občanského sdružení PARENT PROJECT v Praze.



PARENT PROJECT

Odborná poradna serveru Parent Project na téma svalových dystrofií DMD/BMD u dětských pacientů

Na dotazy odpovídá MUDr. Jana Haberlová, klinická odborná poradkyně z ÚI IKP, FN Motol a doc. MUDr. Petr Vaněk, klin. PhD., klinická odborná poradkyně, FN Olomouc.

Některé dotazy týkající se jiných nemocí je možné, Respondepte prosíme toto je možné.

[Všechny novinky jsou zobrazeny na začátku diskuse]

První dotaz: 20.05.12 16:49:30 - ÚTD svalová dystrofie - ukeřel porušením 916

Odpovědi na dotazy dotazy: Jak často budete na diskuzi? Jak se stát členem Parent Project? Co je Parent Project? Jak požádat o členství? Co znamená zdravotní ÚI, AII? AII? AII?

- Alena - Dobry den,**
Pani doktoro jsem rada ze vas navstovujeme za systam, ale rada bych ze zapata kdyz u mne svalová dystrofie ted 4 rok, a bere thaly přikládá mi po každém jasnou hrudku dalek vypraven bych měla udělat atřeba toho vdrda více,ale je možné ze z mého hlediska jara udělat více? Je komplikovanejší jsem si zvedla jsem vim ze v gna bila odložena svalová kila, a prostej to žila, ovcevi mohlé Gargol, děkuji me.
- Edu - Dobry den, sdělovan se ze vás vyvinul nový dotazník.** Je moc hezké, že existují tyto stránky pro malé pacienty,ale co je věc? Můžete mi poradit, ale kate se obává z řady věcí mohlé být 45 kg? Mě 5' s některými věcmi si nemu rady, už máme zřídlené a hromadit ovce,ale dle mého věku stále častěji vypráví panáče, hraniční až s "němohoucí"prone nesevce na věděni,že na nebo mlávní..Děkuji za jakoukoliv radu.
- Neta - Dobry den pane doktoru,**oběta bych se zeptat na doplňky stravy PROSTABION, jaký na to máte názor. Čerá jsem na internetu, že to dětem pomáhá, ale kate se obává z řady věcí mohlé být 45 kg? Mě 5' s některými věcmi si nemu rady, už máme zřídlené a hromadit ovce,ale dle mého věku stále častěji vypráví panáče, hraniční až s "němohoucí"prone nesevce na věděni,že na nebo mlávní..Děkuji za jakoukoliv radu.

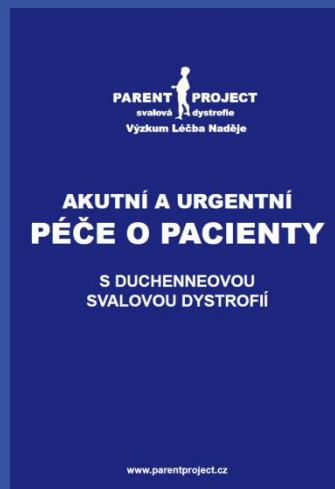
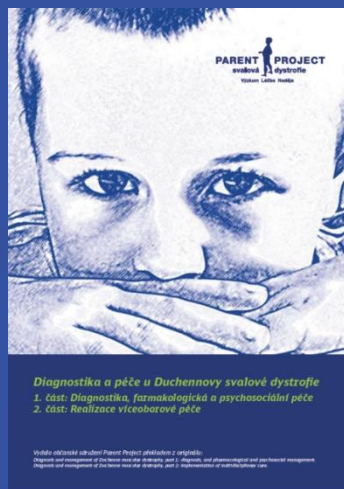
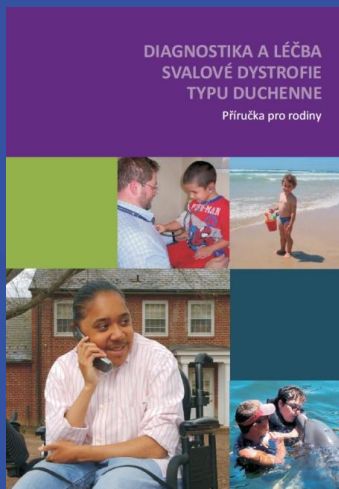
Lele | Omlouvám se za zbrnkou diagnózu, samozřejmě je to forma BMD. —=

členka kvestně | Dobry den problym jsem začla mít s chůzí a slábnutí v ruce 2011, v lednu 2012 my našly myseřku...beru 20 denně TIGRITOL, léčeni me přerýva ale slábnutí v rukách dlejší, chůze a hraniční máje opraveno, už jsem tohle začala a nemu na vře

Neta | Dobry den pane doktoru,oběta bych se zeptat na doplňky stravy PROSTABION, jaký na to máte názor. Čerá jsem na internetu, že to dětem pomáhá, ale kate se obává z řady věcí mohlé být 45 kg? Mě 5' s některými věcmi si nemu rady, už máme zřídlené a hromadit ovce,ale dle mého věku stále častěji vypráví panáče, hraniční až s "němohoucí"prone nesevce na věděni,že na nebo mlávní..Děkuji za jakoukoliv radu.

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

V roce 2011 se našemu sdružení podařilo vydat dvě nové odborné publikace a informační brožuru pro rodiče. Všechny tyto materiály vznikly překladem a úpravou zahraničních materiálů.



•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

Za pomoc při jejich přípravě děkujeme MUDr. Janě Haberlové PhD. a MUDr. Lence Mrázové. Materiály byly vydány za podpory Občanského sdružení MDA RIDE, pomáhajícího lidem se svalovou dystrofií.

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.
- Od 11. 3. 2008 jsme členy evropského projektu TREAT-NMD.



Odborná konference: PÉČE O PACIENTY S DMD/BMD

Občanské sdružení PARENT PROJECT
ve spolupráci s
Fakultní nemocnicí Brno,
Fakultní nemocnicí v Motole
a
Institutem biostatistiky a analýz Masarykovy univerzity
pořádá

I. Celostátní konferenci

PÉČE O PACIENTY S DMD/BMD
4. června 2011, Mikulov



4.6.2011 občanské sdružení PARENT PROJECT zorganizovalo historicky první odbornou konferenci pro rodiče zaměřenou na péči o pacienty s DMD/BMD. Hlavním úkolem konference bylo zlepšit domácí a odbornou péči o pacienty a vysvětlení práce s nově aktualizovaným registrem českých a slovenských pacientů a přenašeček rodičům. Odbornou garanci zaštitila Masarykova univerzita - Institut biostatistiky a analýz, FN Motol a FN Brno.

Odbornými garanty se stali Ing. Petr Brabec - Institut biostatistiky a analýz MU Brno, doc. MUDr. Hana Ošlejšková, Ph.D. - Klinika dětské neurologie FN Brno, as. MUDr. Josef Kraus, CSc. - Klinika dětské neurologie 2. LF UK, FN Motol, MUDr. Renata Gaillyová, Ph.D. - Oddělení lékařské genetiky, FN Brno a MUDr. Stanislav Vohánka, CSc. - MBA Neurologická klinika LF MU a FN Brno.

Konference se konala v malebném městečku Mikulov v nově zrekonstruovaném bezbariérovém hotelu Galant. Konference se zúčastnili zástupci dalších sdružení SMA, AMD a slovenského sdružení OMD. První přednáškový blok byl věnován představení OS PARENT PROJECT. Dále neurologii, genetice, dýchacím problémům - neinvazivní a invazivní ventilační podpoře u pacientů s DMD a vývoji ve výzkumu.

Odborná konference: PÉČE O PACIENTY S DMD/BMD

Druhý blok byl věnovaný ortopedii, včetně instruktážního videa pro rehabilitaci, které zajistila a komentovala fyzioterapeutka z Jánských Lázní. Tato část byla věnovaná rovněž sezení ve vozíku (MUDr. Lia Vašíčková) a operativnímu řešení skoliosy páteře, kterou přednášel primář docent Martin Repko z FN Brno.

Ve třetím bloku zazněly přednášky věnované kardiologickým problémům a přednášky zaměřené na psychologii jak dítěte, tak rodičů. Velkým zážitkem pak bylo emotivní vystoupení Mgr. Gabriely Svičkové, Phd. - externí psycholožky OMD SR.

Poslední část konference byla věnovaná registru, práci s ním a aktuálnímu stavu klinických testů, které provádí farmaceutická společnost GSK v ČR.

Všem zúčastněným byly předány následující materiály: Návod pro práci s registrem pacientů, Diagnostika a léčba svalové dystrofie typu Duchenne - Příručka pro rodiny, Akutní a urgentní péče o pacienty s Duchenneovou svalovou dystrofií)



Odborná konference: PÉČE O PACIENTY S DMD/BMD

Celá konference měla velkou odezvu jak mezi odborníky, tak mezi rodiči. Akce se zúčastnilo 21 odborníků různých lékařských oborů a 62 rodičů.

Během konference byl rovněž připravený program pro děti – prohlídka zámku Mikulov, tradičních moravských řemesel apod.

Celá konference byla zakončena večerním společenským posezením.



Přednáškový blok I

9.00 - 9.10	Zahájení konference, představení o.s. Parent Project <i>Jozef Suchý, Pavel Trojan - Parent Project</i>
9.15 - 9.30	Standardy péče o pacienty s DMD <i>MUDr. Jana Haberlová, Ph.D. - FN Motol</i>
9.35 - 9.50	Výzkum a nové metody léčby <i>doc. MUDr. Petr Vondráček, Ph.D. - FN Brno</i>
9.55 - 10.10	Genetická diagnostika <i>MUDr. Renáta Gaillyová, Ph.D. - FN Brno</i>
10.15 - 10.35	Význam neinvazivní ventilační podpory u nervosvalových onemocnění <i>Prof. MUDr. Soňa Nevšímalová, DrSc., MUDr. David Kemlink, Ph.D., MUDr. Iva Přihodová, Ph.D. - Neurologická klinika 1.LF a VFN Praha</i>

Přednáškový blok II

11.20 - 11.40	Rehabilitace pacientů s DMD/BMD <i>MUDr. Vasil Janko + Jitka Lerchová - DL Vesna, Jánské Lázně</i>
11.45 - 12.00	Možnosti ortopedické protetiky u pacientů s DMD/BMD <i>MUDr. Petr Krawczyk - Proteor Ostrava</i>
12.00 - 12.15	Specifika sezení ve vozíku u klientů se svalovou dystrofií <i>MUDr. Lia Vašíčková - FN Brno</i>
12.20 - 12.35	Operační řešení deformit páteře u pacientů se svalovou dystrofií <i>doc. MUDr. Martin Repko, Ph.D. - FN Brno</i>

Přednáškový blok III

14.00 - 14.15	Kardiologická péče o děti s DMD/BMD <i>MUDr. Kristina Rücklová, Ph.D. - FN Motol</i>
14.20 - 14.35	Život rodiny s dítětem s DMD/BMD <i>Mgr. Gabriela Svičeková, Phd. - externí psycholog OMD SR</i>
14.40 - 14.55	Specifické problémy v chování dětí s DMD a jejich zvládnutí <i>Mgr. Záčková Jitka, FN Motol, Praha</i>

Přednáškový blok IV

15.45 - 16.00	Klinické testy v České republice <i>Zástupce GlaxoSmithKline, Česká republika</i>
16.00 - 16.30	Registr pacientů REaDY (Registry of muscular DYSTrophy) a práce s tímto Registrem <i>Mgr. Lenka Pavlovská, Mgr. Karel Hejduk - IBA MU</i>

Organizujeme a účastníme se akcí s cílem informovat o DMD/BMD a získat prostředky na “ boj “ s touto zákeřnou nemocí

Dne 4.2. uspořádali rodiče Jakuba Bačkovského a jejich přátelé již III. charitativní ples pro Jakuba v kulturním domě v Budišově nad Budišovkou. V letošním roce se vybrané finanční prostředky použili jak pro Jakuba, tak pro naše občanské sdružení Parent Project. Na účet výzkumu této nemoci putovala z Budišova nad Budišovkou částka 7.000,- Kč.



Muzikanti dohráli a pokladnička pro Honzu byla plná. Třináctiletý Jan Vaněk trpí ochabováním svalů. Na vozík, na léky a cestu do lázní mu díky nedělnímu koncertu umělecké školy přispěly stovky lidí z Třemošné. Na účet výzkumu této nemoci putovala z Třemošné částka 15.000,- Kč.



Organizujeme a účastníme se akcí s cílem informovat o DMD/BMD a získat prostředky na “ boj “ s touto zákeřnou nemocí

Celkem 9 vozíčkářů se účastnilo letošního HERVIS 1/2 Maratonu Praha, a to díky projektu Running With Those That Can't (RWTTTC). Tuto iniciativu založili studenti 3.lékařské fakulty UK již v loňském roce. Letos spojili tento charitativní projekt s rodičovskou organizací Parent Project, která sdružuje rodiče dětí postižených svalovou dystrofií DMD/BMD. Celkem bylo na startu téměř 100 studentů, rodičů postižených dětí, lékařů a duchovních. Účast v závodě umožňují speciální zakoupené vozíky které jsou využitelné pro denní sportování a aktivity rodiny (běh, in-line, tažení za kolem). Je to jedna z cest jak pomoci rodinám k integraci jejich dětí do běžného života, i když je známo, že zdravotní postižení je pro tyto děti trvalé. Vozíky byly po závodě předány rodinám sdruženým v rámci rodičovské organizaci Parent Project. Na projektu se též podíleli organizátoři lékařského projektu Fofrem Na Maraton a PIM.



Organizujeme a účastníme se akcí s cílem informovat o DMD/BMD a získat prostředky na “ boj “ s touto zákeřnou nemocí

K podpoře o.s. Parent Project se připojil motocyklový team - Montáže Brož Racing Team (závody silničních motocyklů). V roce 2011 reprezentují tento tým jezdci: účastníci Mistrovství České republiky Supersport a Mistrovství Evropy Superstock 600 - Jiří Brož, Jiří Klejch a Michal Chalupa. Jiří Brož je mistrem ČR v kategorii Supersport v roce 2006 a 2009, Jiří Klejch je mistrem ČR z roku 2009 v třídě 125 a Michal Chalupa je vicemistrem třídy Superstock 600 z roku 2010. Montáže Brož racing team a partneři týmu podporují sdružení Parent Project. Díky příspěvku partnerů na týmová trika, příjmů z prodeje těchto trik a výtěžku z odměn za umístění jezdců v závodech přibylo Parent Projectu 18.131 Kč.



Organizujeme a účastníme se akcí s cílem informovat o DMD/BMD a získat prostředky na “ boj “ s touto zákeřnou nemocí



21. května uskutečnila vyjížďka motorkářské partičky Divočáci Třemošná z Třemošné u Plzně. Vyjížďka 86 motorek byla pojata jako charitativní, kdy se vybíralo na výzkum léčby Svalové Dystrofie Duchene/Becker. Během akce se vybrala suma 8 604,- Kč.



21. května organizoval SDH Rohovládova Bělá již 5. ročník hasičské soutěže v požárním sportu o "Pohár starosty obce". Vítězek akce je vždy věnován našemu sdružení. Letos byla na účet Parent Projectu zaslána částka 44.000 Kč. Za celých 5 roků to byla částka nejvyšší. Bylo jí dosaženo nejen prodejem triček a různých předmětů s logem PP, různě vysokými finančními příspěvky přítomných hasičů a diváků do kasičky, ale zejména velkou finanční podporou našich sponzorů.



Organizujeme a účastníme se akcí s cílem informovat o DMD/BMD a získat prostředky na “ boj “ s touto zákeřnou nemocí

Dne 11. 6. proběhl 8.ročník střeleckého turnaje PARENT PROJECT CUP. Tato již tradiční červnová akce letos proběhla i přes nepříznivou předpověď počasí opět na střelnici u obce Hluboká u Žihle. Předpověď byla hrůzostrašná a doufali jsme, že aspoň dopoledne se bude dát střílet. Nakonec počasí bylo perfektní a celý program 8. ročníku proběhl bez jediné závady. Výtěžek akce je 319 tis. Kč při nákladech cca 74 tis. Kč, což je v době ekonomické krize opět slušný výsledek. Za to děkujeme všem firmám a lidem v jejich vedení, že nás nepřestávají finančně podporovat i v této nelehké době. Jedná se o firmy MPOWER ENGINEERING, a.s., FIRECLAY s.r.o., STEMCON a.s., SIKA CZ s.r.o., TERMS CZ s.r.o., PENTO s.r.o., , INTREL a.s., INELSEV s.r.o., VWS MEMSEP s.r.o., BIS Czech s.r.o., TENZA a.s., DORA GASTRO a.s., STAVBY KÜHN s.r.o., BETVAR a.s., TYCO Armatury, Bytové družstvo Rozvoj, pan Jan Králík, pan Josef Raiskup a Ing. Zbyněk Karpíšek. Zvláštní poděkování opět patří majitelům DŘEVAŘSKÉ A LESNICKÉ SPOLEČNOSTI s.r.o. pánům Ctiradovi a Milanovi Juhovi za to, že nám umožnili znovu využít jejich nádhernou střelnici.



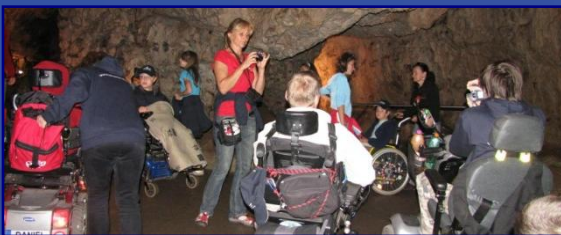
Organizujeme a účastníme se akcí s cílem informovat o DMD/BMD a získat prostředky na “ boj “ s touto zákeřnou nemocí

III. MDA RIDE je za námi.... Sobota 25.6. se nesla ve znamení pomoci lidem postiženým svalovou dystrofií. V parku Portheimka se poslední červnovou sobotu konal již 3 ročník benefiční akce s názvem MDA RIDE. Jde o společnost lidí, kteří se rozhodli dlouhodobě pomáhat lidem s nervosvalovým postižením známým jako svalová dystrofie. Jako každý rok nemohla chybět benefiční jízda Prahou, které se zúčastnilo více než 200 motorek značky Harley Davidson. Pro návštěvníky byl připraven bohatý doprovodný program, jako například výstava mustangů nebo dražba unikátní košile podepsané od samotného Willieho G. Davidsona. Tato akce, ale především celoroční úsilí lidí kolem MDA RIDE přineslo neuvěřitelných 502 000,- a tím i zlomení 1 000 000,- za tři první ročníky MDA RIDE. Tato částka je rozdělována mezi nemocné jednotlivce a organizace sdružující pacienty s DMD/BMD.



Organizujeme a účastníme se akcí s cílem informovat o DMD/BMD a získat prostředky na “ boj “ s touto zákeřnou nemocí

V období od 23.7. - 30.7. proběhl letní ozdravný pobyt mamin a kluků v rekreačním středisku – Zámeček Hodonín. Pobytu se zúčastnilo osm mamin a jedenáct dětí. Ubytovaní jsme byli v bezbariérovém objektu s okolním bezbariérovým areálem. V okolí Hodonína jsme navštívili westernové městečko – Šiklův mlýn, město se zámekem – Boskovice, Sloupsko-šošůvské jeskyně, které jsou součástí Moravského krasu a strašidelný zámek, s muzeem veteránů v Dolní Rožince. Společný pobyt si užili jak kluci, tak maminy. Určitě se všichni těšíme na příští rok. Na akci výraznou měrou přispělo MDA Ride.



Organizujeme a účastníme se akcí s cílem informovat o DMD/BMD a získat prostředky na “ boj “ s touto zákeřnou nemocí

Každoroční setkání rodičů se uskutečnilo ve dnech 1.-4.9. na Orlíku. Rodiny z celé republiky se sjely do RZ Loužek na setkání a posezení s přáteli, pro rozptýlení, chvílku odpočinku, ale i k výměně zkušeností s péčí o děti, jejich výchovou, komunikaci s nejrůznějšími úřady a institucemi.



Organizujeme a účastníme se akcí s cílem informovat o DMD/BMD a získat prostředky na “ boj “ s touto zákeřnou nemocí

Dne 10. 9. 2011 se uskutečnila 4. vyjížďka DIVOČÁKŮ TŘEMOŠNÁ - JÍZDA PRO PARENT PROJECT. Akce byla pořádána s podporou charitativní sbírky na výzkum svalové dystrofie. Díky reklamě v rádiu a na facebooku se tentokrát zúčastnilo 96 motorek. Opět se vybíralo do stylového prasátka a zároveň se prodávala trička s logem Divočáků a Parent Projectu, výtěžek z prodeje triček rozšířil sbírku. Zároveň nás navštívila televize ZAK a vytvořila reportáž, kterou večer odvysílala TV Prima. Na náš účet putovalo 7.200,- Kč



14. a 15.10. se konaly na Pískovně v Roudnici (u Hradce Králové) rybářské závody ve sportovní přívlači. Součástí byla tombola, jejíž výtěžek byl věnován Občanskému sdružení Parent Project. Na účet sdružení PP bylo odesláno krásných 5.640 Kč. Největší dík patří pořadateli panu Adamu Tocháčkovi a samozřejmě všem, kteří se tomboly zúčastnili.

Organizujeme a účastníme se akcí s cílem informovat o DMD/BMD a získat prostředky na “ boj “ s touto zákeřnou nemocí

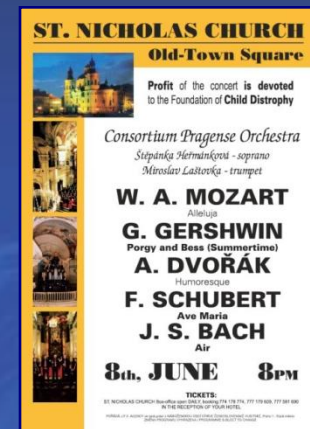
Od středy 21.9. do neděle 25.9. se v Lesáku v Chlumu u Třeboně konala “jubilejní“, druhá pánská (společná akce tatíků a jejich synků). Osvědčené věci se nemají měnit, a tak i scénář zůstal podobný jako vloni.



Organizujeme a účastníme se akcí s cílem informovat o DMD/BMD a získat prostředky na “ boj “ s touto zákeřnou nemocí

Koncert Consortium Pragense Orchestra konaný 8. června v Chrámu Svatého Mikuláše (St. Nicholas Church) na Staroměstském náměstí byl pořádán jako charitativní akce. Zisk z koncertu byl věnován dětem se svalovou dystrofií. Akci pořádala: J.P.V. AGENCY ve spolupráci s NÁBOŽENSKOU OBCÍ CÍRKVE ČESKOSLOVENSKÉ HUSITSKÉ, Praha 1 - Staré město. Účinkují: Štěpánka Heřmánková - soprano, Miroslav Laštovka - trumpet. Porteo Art Company, poslalo na účet 7 760,- Kč.

Díky spolupráci Parent Projectu a RW TTC v roce 2011 bylo zakoupeno a rodinám předáno 5 vozíků BENE CYKL. Dále bylo předáno Parent Projectu 35.000,- Kč na edukační podporu rodičů.



Organizujeme a účastníme se akcí s cílem informovat o DMD/BMD a získat prostředky na “ boj “ s touto zákeřnou nemocí

Parent Project se zúčastnil 41. výroční konference EAMDA, která proběhla 8.9. - 11.9.2011 v Praze. V prostorách hotelu Clarion, proběhla 41. výroční konference EAMDA (Evropská aliance organizací, zabývající se problematikou nervosvalových onemocnění). První den se uskutečnilo se mnoho odborných přednášek na témata: Vyhledávání Pompeho nemoci v dospělé populaci ČR, Národní registr nemocných s myotonickými poruchami, Exon skipping – molekulárně genetická metoda léčby DMD, Genetická diagnostika u DMD, Současná kardiologická péče u osob s nervosvalovým onemocněním, Dysfagie (polykání) a výživa, Standardy péče o osoby se svalovou dystrofií, Neinvazivní a invazivní ventilační podpora u pacientů s DMD, Nervosvalová centra v Německu, Jak prosadit hlas osob s nervosvalovým onemocněním v rámci mezinárodního společenství NMD. Jakou roli hrají občanská sdružení a charitativní organizace? Druhý den byl spíše věnován jednotlivým organizacím a životu lidí postižených svalovou dystrofií. Celá konference měla vysokou úroveň, což mnozí účastníci ocenili. Také se zde dozvěděli mnoho užitečných informací, jak z oblasti výzkumu, zdravotních problémů i sociální péče. Druhý den po skončení konference byla pro zahraniční účastníky připravena prohlídka Prahy zakončená slavnostní večeří.



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 přesměrování 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 2011

Nejvýznamnější událostí v roce 2011 je pro nás první zapojení České republiky do mezinárodního procesu vývoje a ověřování nových léků pro DMD/BMD. Fakultní nemocnice v Motole a brněnská Dětská fakultní nemocnice se podílejí na klinickém testování PRO051/GSK2402968, nového genetického léku na principu „exon skipping“ zacíleného na delece v sousedství exonu 51. V současnosti se klinického testu účastní celkem 8 pacientů, 4 v Praze a 4 v Brně. Vzhledem k velmi přísným výběrovým kritériím je celosvětově nedostatek vhodných pacientů, proto GSK prodloužila dobu náboru pacientů o 1 rok. Klinický test má skončit v prvním pololetí roku 2013, v druhé polovině 2013 a v roce 2014 má proběhnout zpracování a vyhodnocení dat. Pokud vše půjde dobře, lék bude dostatečně účinný bez vážnějších vedlejších negativních účinků mohl by být na trhu v roce 2015. Předpokládá se, že tento lék by měl pomoci asi 50 pacientům v ČR.

Firma Prosensa spustila klinický test podobného léku zacíleného na exon 44 a dokončuje předklinické testy léků na exony 45, 52, 53 a 55. Pokud klinické testy zaměřené na exony 51 a 44 dopadnou dobře měly by následující léky projít urychlenou ověřovací procedurou, aby byly co nejdříve k dispozici pacientům.

Informace z výzkumu v roce 2011

Firma Genzyme obnovila klinický test léku na bodové mutace Ataluren/ PTC124 s cílem najít nejvhodnější dávkování. MUDr Vondráček z Dětské fakultní nemocnice v Brně byl touto firmou požádán o vytypování vhodných pacientů podle údajů v registru REaDY. Pokud se Genzyme rozhodne zapojit do klinického testu ČR měl by nábor vhodných pacientů začít na podzim 2012.

Ve Francii probíhá klinický test perindoprilu u pacientů s DMD. Jde o ACE inhibitor, lék používaný na snížení krevního tlaku. Několik předchozích studií ukázalo kardioprotektivní účinky a předpokládá se i pozitivní efekt na kosterní svalstvo. Cílem této studie je ověřit to na statisticky významném počtu pacientů.

Již delší dobu se ví o pozitivním vlivu kombinace protizánětlivých léků a NO donorů na dystrofické svalstvo. V Itálii už před lety proběhl pilotní test a I. kolo klinického testu ibuprofenu a ISDN, další kola klinických testů se ale zatím nepodařilo zrealizovat. Proto v Itálii provedli alespoň dlouhodobou studii se zaměřením na potenciální negativní vedlejší účinky na pacientech s různými typy svalových dystrofií.

Informace z výzkumu v roce 2011

Studie prokázala, že dlouhodobé užívání těchto léků nemá negativní účinky na zdraví pacientů, pozitivní vliv byl vzhledem k různým typům dystrofií a malému počtu pacientů statisticky neprůkazný. Jak ibuprofen tak ISDN jsou v ČR běžně dostupné a levné léky.

Ve světě probíhají klinické testy dalších potenciálních léků jako jsou například: tadalafil, sildenafil, IGF-1, carvedilol, ramipril, CRD007, epigallokatechin-gallát, idebenone.

Řada těchto léků je už delší dobu používána pro jiné diagnózy, některé jsou levné a lehce dostupné. Proto je potřeba klinické testy sledovat a jakmile budou zveřejněny výsledky je možno je začít používat. Na rozdíl od nově vyvíjených genetických léků nelze od nich očekávat zastavení progresu nemoci, „pouze“ zpomalení, delší životnost pacientů a větší šanci na dožití se účinné léčby. I to by byl obrovský pokrok vzhledem k dnešnímu stavu, kdy jsou pacientům k dispozici pouze kortikosteroidy s mnoha nežádoucími vedlejšími účinky takže jejich použití je u některých pacientů nemožné.

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

