

PARENT PROJECT

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

Výroční zpráva 2015

PARENT PROJECT, z. s., Větrná 262, 550 01 Broumov

PARENT PROJECT – úvodní slovo

Vážení přátelé, kamarádi, rodiče, sponzoři a partneři.

Právě jste otevřeli výroční zprávu spolku PARENT PROJECT (dále jen PP) za rok 2015.

Uvědomuji si, jak čas letí, nedávno jsme naši činnost shrnuli do výroční zprávy za rok 2014 a již máme další rok za námi. Pro DMD/BMD komunitu je doba změn, cítíme všichni, že lék je na dosah a my musíme být připraveni. Část pacientů se již první naděje dočkala, a mají k dispozici „Translarnu“. Věřím, že se dočkají i ostatní. Úzce spolupracujeme s lékaři, se zahraničními organizacemi, farmaceutickými firmami a snažíme se do ČR dostat klinické studie. Důležitým faktorem je vznik vysoce specializovaných nervosvalových center, ve kterých dostanou dětští i dospělí pacienti kvalitní péči.

V roce 2015 jsme opět uspořádali mnoho akcí, pro rodiny, ale i akcí, které upozorňují na problematiku života s DMD. Navázali jsme spolupráci s politiky, ministerskými úředníky, VZP. Účastníme se setkání, workshopů, patientských rad, kulatých stolů a vzděláváme se v Akademii patientských organizací.

PARENT PROJECT – úvodní slovo

Byl jsem v PP od jeho vzniku, když se ohlédnu zpátky, vidím spousty odvedené práce, mnoho příběhů, rodin, přátel, se kterými nás spojil společný nepřítel, a to nemoc našich dětí. Ukázali jsme, že i s takto závažným onemocněním se dát žít naplněný život. PP je zavedenou organizací a dobrou značkou, která již 14 let prokazuje svou nezastupitelnou roli v boji za práva našich dětí. Naši chlapi vyrostli a mají jiné potřeby, než které měli při založení spolku, a péče se stává náročnější a my si vážíme času, který s našimi dětmi strávíme. Uvědomuji si, že časy se mění a je třeba předat štafetu dál, ale je komu? Jsou rodiče ochotni pracovat i pro jiné děti, tak jak jsme to dělali my? To se uvidí v roce 2016, ve kterém oslavíme 15 let od vzniku naší organizace.

Děkuji Vám všem, že stojíte při našich dětech, že nám pomáháte, fandíte a jste spolu s námi na cestě za našimi cíli, a to léčbou – výzkumem – nadějí.

A tak vzhůru do dalšího roku 2016 ...

Jozef Suchý, předseda
PARENT PROJECT, z. s.



PARENT PROJECT – poslání organizace

Parent Project 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
- Podpora funkčního registru pacientů s DMD/BMD a potenciálních přenašečů

PARENT PROJECT – organizační struktura

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



PARENT PROJECT - profil organizace

Název spolku: **PARENT PROJECT**
Právní forma: **spolek**
Datum vzniku: **27. srpna 2001 (zapsáno u MV pod číslem jednacím VS/1-1/47 844/O1-R)**
Datum zápisu: **1. ledna 2014**
Spisová značka: **L 4396 vedená u Krajského soudu v Hradci Králové**
IČO: **265 40 401**

Sídlo spolku: **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: **www.parentproject.cz**

Transparetní účet (Raiffeisenbank, a.s.) : **č.ú. 1338146001/5500 - Konto výzkumu**
Transparetní sbírkový účet (Fio banka, a.s.) : **č.ú. 8012345678/2010 - Sbírkové konto (DMS)**
Provozní účet spolku : **č.ú. 0194971330/0300**

PARENT PROJECT - profil organizace

Vedení spolku (výkonný výbor) zvolený 7. členskou schůzí PP dne 23.11.2013

Předseda spolku: Suchý Jozef, Husova 245, Hrob

Místopředseda spolku: Trojan Pavel, Větrná 262, Broumov

Výkonný výbor:
Ing. Břečťan René, Nová cesta 1108, Dobřichovice
Krčková Ilona, V Bažantnici 2651, Kladno
Ing. Reineltová Jitka, Rudé armády 59, Droužkovice
Suchý Jozef, Husova 245, Hrob
Trojan Pavel , Větrná 262, Broumov

PARENT PROJECT

výsledky hospodaření za rok 2015

Účet	Počáteční stav	Má dát	Dal	Konečný stav	T	Název účtu
211100	1 915.00	.	1 915.00	-	A	Pokladna
211	1 915.00	.	1 915.00	-	A	Pokladna
221100	444 868.77	241 851.23	362 135.50	324 584.50	A	Era účet pro neziskovky 194971330
221200	622 253.56	267 650.35	711 892.52	178 011.39	A	Raiffeisen Bank 1338146001
221300	1 012 538.81	82.79	.	1 012 621.60	A	Raiffeisen Bank TV 2010032801
221400	3 033.06	8 935.50	-	11 968.56	A	Fio banka 8012345678
221	2 082 694.20	518 519.87	1 074 028.02	1 527 186.05	A	Bankovní účty
2 *	2 084 609.20	518 519.87	1 075 943.02	1 527 186.05		Třída 2 - Finanční účty
311	0.00	30 000.00	30 000.00	0.00	A	Odběratelé
321	0.00	762 299.60	762 299.60	0.00	P	Dodavatelé
325	0.00	.	2 146.00	- 2 146.00	P	Ostatní závazky
331	0.00	57 550.00	57 550.00	0.00	P	Zaměstnanci
3 *	0.00	849 849.60	851 995.60	- 2 146.00		Třída 3 - Zúčtovací vztahy
931	-98 692.34	98 692.34	.	0.00	P	Hospodářský výsledek ve schval. Řízení
932	-1 985 916.86	.	98 692.34	-2 084 609.20	P	Nerozd. zisk, neuhraz. ztráta min. let
9 *	-2 084 609.20	98 692.34	98 692.34	-2 084 609.20		Třída 9 - Vl.jmění,fondy,hosp.výsl.,rez.,dl.úv....

**	- 0.00	1 467 061.81	2 026 630.96	- 559 569.15		Rozvahové účty celkem

PARENT PROJECT

výsledky hospodaření za rok 2015

Náklady

Účet	Počáteční stav	Má dát	Dal	Konečný stav	T	Název účtu

501100	0.00	14 840.00	.	-14 840.00	N	režijní materiál
501200	0.00	541 328.00	.	-541 328.00	N	zdravotní pomůcky
501400	0.00	16 997.00	.	-16 997.00	N	dárkové předměty pro děti PP
501500	0.00	28 196.00	.	-28 196.00	N	propagační předměty PP
501	0.00	601 361.00	.	-601 361.00	N	Spotřeba materiálu
512100	0.00	36 840.00	.	-36 840.00	N	Cestovné
512200	0.00	22 306.00	.	- 22 306.00	N	Cestovné zahraniční
512	0.00	59 146.00	.	-59 146.00	N	Cestovné
513100	0.00	9 733.00	.	-9 733.00	N	Pohoštění na akci PP
513	0.00	9 733.00	.	-9 733.00	N	Náklady na reprezentaci
518100	0.00	3 410.00	.	-3 410.00	N	Poštovné
518101	0.00	14 812.92	.	-14 812.92	N	Tel.poplatky+popl.internet
518103	0.00	149 488.00	.	- 149 488.00	N	služby/propagace,poradna,tisk mat./
518104	0.00	77 371.10	.	-77 371.10	N	služby/překlady/
518107	0.00	1 282.00	.	-1 282.00	N	Bankovní poplatky
518109	0.00	89 525.00	.	-89 525.00	N	Pobytové akce PP
518	0.00	335 889.02	.	- 335 889.02	N	Ostatní služby
521001	0.00	57 550.00	.	-57 550.00	N	Mzdové náklady
521	0.00	57 550.00	.	-57 550.00	N	Mzdové náklady
546100	0.00	14 410.00	.	-14 410.00	N	Dary
546	0.00	14 410.00	.	-14 410.00	N	Dary

5 *	0.00	1 078 089.02	.	-1 078 089.02		Třída 5 - Náklady

PARENT PROJECT

výsledky hospodaření za rok 2015

Výnosy

Účet	Počáteční stav	Má dáti	Dal	Konečný stav	T	Název účtu
602100	0.00	.	30 000.00	30 000.00	V	Tržby z reklamy
602	0.00	.	30 000.00	30 000.00	V	Tržby z prodeje služeb
604100	0.00	.	13 715.00	13 715.00	V	Tržby z prodeje předmětů PP
604	0.00	.	13 715.00	13 715.00	V	Tržby za prodané zboží
644100	0.00	.	164.37	164.37	V	Úroky - § 18/a/2
644	0.00	.	164.37	164.37	V	Úroky
682100	0.00	.	268 705.00	268 705.00	V	Přijaté dary /není před.daně § 18/a/1/
682101	0.00	.	180 000.00	180 000.00	V	Přijaté dary /není před.daně § 18/a/1/DO
682200	0.00	.	8 935.50	8 935.50	V	Přijaté dary FIO DMS /§ 18/a/1
682	0.00	.	457 640.50	457 640.50	V	Přijaté příspěvky
684100	0.00	.	17 000.00	17 000.00	V	Členské příspěvky-osv.od daně § 19/1/a
684	0.00	.	17 000.00	17 000.00	V	Přijaté členské příspěvky

6 *	0.00	.	518 519.87	518 519.87		Třída 6 - Výnosy

**	0.00	1 078 089.02	518 519.87	-559 569.15		Výsledkové účty celkem

Rok 2015 v PARENT PROJECTu



Rok 2015 v PARENT PROJECTu

Jak už bylo zmíněno rok 2015 byl dalším krokem na cestě k léku, jak již bylo uvedeno poprvé v historii byla v roce 2014 v EU podmíněně schválena léčba přípravkem „*Translarna*“ a v roce 2015 se dostala k prvním chodícím pacientům. Doba od schválení do podání prvnímu pacientovi byla neúměrně dlouhá, ale nakonec to dobře dopadlo. Ve světě probíhá řada nadějných klinických studií. Více v části výzkum.

V roce 2015 se podařilo výrazně zlepšit komplexní péči, a to díky MUDr. Janě Haberlové, Ph.D., která se věnuje dětským pacientům ve FN v Motole a dokázala pro péči získat i další odborníky, pneumoložku MUDr. Terezu Doušovou, kardioložku MUDr. Veroniku Starou, endokrinologa MUDr. Ondřeje Součka. Výborná spolupráce je s klinikou rehabilitace, kde probíhá testování dětí před započítím léčby kortikosteroidy a poté v průběhu podávání, které je u našich dětí celoživotní a i v ČR se včasné nasazování kortikosteroidů stává standardem, což se odráží na dobrém stavu našich malých dětí. Bohužel vytížení všech lékařů je veliké a doufejme, že stále budou péči o naše pacienty zvládat.

Rok 2015 v PARENT PROJECTu

Co se nám zatím bohužel nepodařilo zajistit stejně kvalitní péči o dospělé pacienty ve FN v Motole, ale naštěstí se v roce 2015 podařilo navázat úspěšnou spoluprací s lékaři z VFN v Praze MUDr. Ivou Příhodovou, Ph.D., MUDr. Davidem Kemlinkem, kteří ke spolupráci získávají další odborníky, a kvalitní péče o dospělé muže je zajištěna zde.

Dalším úspěchem je, že se pro kluky důležitá pomůcka „Cough Assist“ zařadí do číselníku úhrad z veřejného zdravotního pojištění. Je nutné dodat, že je za tím mnoho práce, kterou odvedl Ing. René Břečťan. Důležitou podporou tohoto úspěchu byla naše vlastní menší klinická studie, které se účastní pět našich kluků, kteří s „kašlacím asistentem“ pravidelně rehabilitují, a bylo prokázáno, že skutečně pomáhá a kluci se zlepšují nebo alespoň nezhoršují. Velký dík patří Mgr. Kateřině Neumannové, Ph.D., která je garantem studie a u kluků pravidelně měří respirační funkce.



REaDY – registr svalových dystrofií

Naše organizace byla u vzniku „Registru svalových dystrofií REaDY (REgistry of muscular DYstrophy)“, který je pro nás předpokladem účasti našich pacientů v klinických testech budoucí léčby. Klinické hodnocení realizované v České republice je důkazem správnosti naší volby. Registr je plně funkční, jediné co se zcela nedaří, je dosáhnout plné validity dat. Tento problém by mohlo vyřešit centralizace všech pacientů na dvě specializovaná pracoviště. I v roce 2015 jsme byli s pracovníky registru v kontaktu a jsme připraveni v případě potřeby poskytnout registru podporu.

V roce 2004 započala realizace projektu MDB – mezinárodního DMD/BMD registru, na který v květnu 2011 navázal REaDY – registr svalových dystrofií. Záštitu nad registrem převzala Sekce neuromuskulárních chorob České neurologické společnosti v čele s předsedou sekce MUDr. Stanislavem Voháňkou, CSC., MBA.



<http://ready.registry.cz>

REaDY – registr svalových dystrofií

Vznik registru českých a slovenských pacientů s DMD/BMD byl výsledkem spolupráce mezi Institutem biostatistiky a analýz, Masarykovy univerzity v Brně (technická realizace, analýzy dat), spolku Parent Project v České republice (zahájení projektu, finanční podpora) a Fakultní nemocnice v Brně (vědecký poradce). Do projektu se následně zapojili další FN a lékaři z různých nemocnic České i Slovenské republiky. Na tento projekt navázal projekt REaDY – REgistry of muscular DYstrophy. Registr si klade za cíl evidovat co nejvíce pacientů trpících vrozenými genetickými vadami (DMD/BMD, SMA, DM a FSHD) a díky kompletním genetickým vyšetřením pomoci ve vývoji léčby a péče o nemocné.

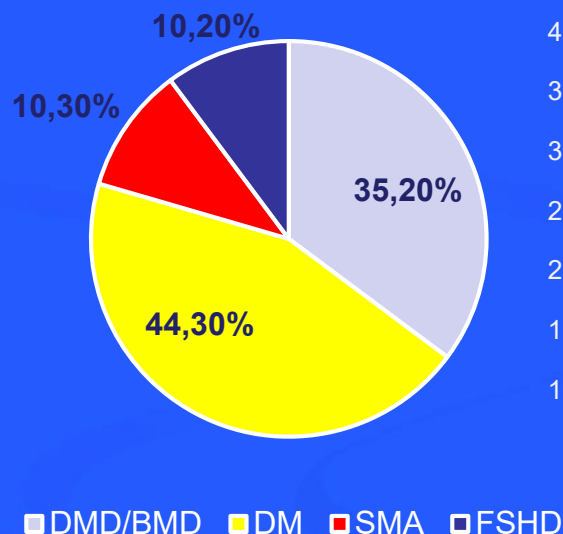
Cílem registru je :

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

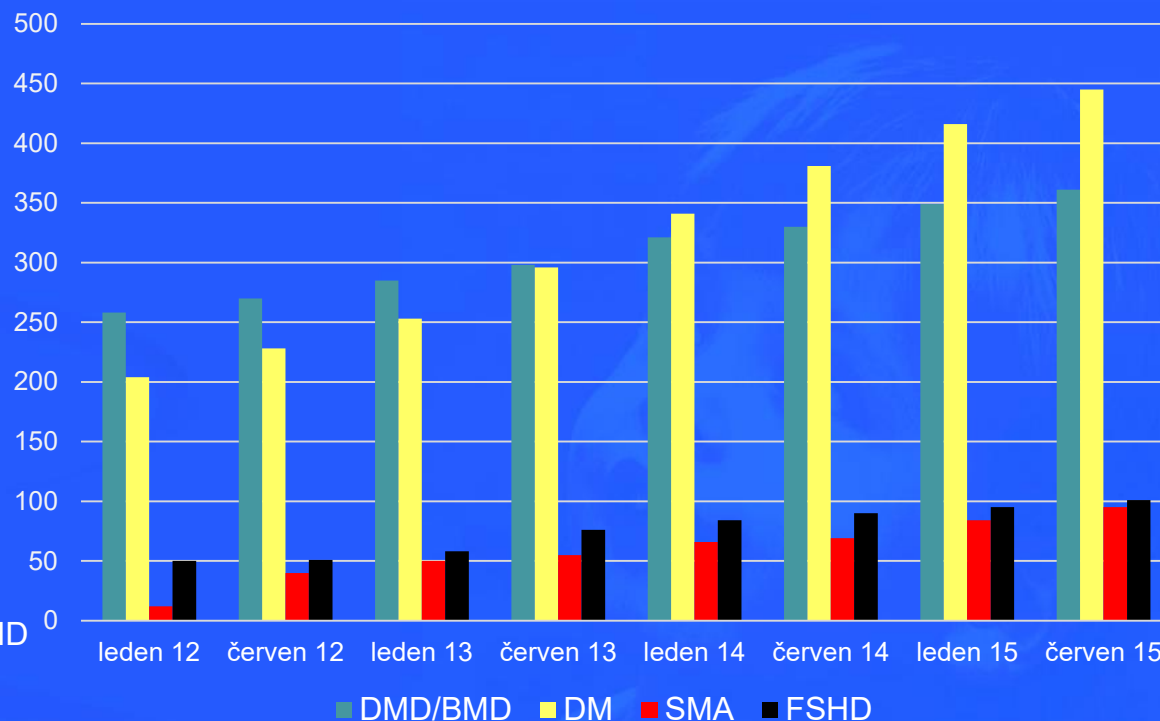
REaDY – registr svalových dystrofií

Počet pacientů v registru postupně narůstal. U DMD/BMD narůstá po celou dobu mírně, u ostatních diagnóz je nárůst zpočátku strmý, poslední roky spíše mírný.

Počet pacientů dle diagnózy



Počet pacientů v daném období



Standardy komplexní péče a specializovaná centra pro pacienty se svalovými dystrofiemi v ČR

Abychom pomohli aplikovat evropské standardy péče do péče v ČR, překládáme a vydáváme ve spolupráci s renomovanými lékařskými centry, Masarykovou univerzitou a odborníky z Treat-NMD odborné materiály a poskytujeme je nejenom lékařům. Komplexní a kvalitní péče je podmíněna mezioborovou spoluprací lékařů napříč mnoha obory.

Ke zlepšení oboustranné informovanosti přispívá i pravidelné setkávání a dlouhodobá spolupráce rodičů s odborníky.

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.

Standardy komplexní péče a specializovaná centra pro pacienty se svalovými dystrofiemi v ČR

Se zaváděním a uplatňováním standardů komplexní péče souvisí potřeba vytvoření minimálně dvou specializovaných center pro tuto komplexní péči o pacienty se svalovými dystrofiemi v ČR pro děti a aspoň jednoho centra pro dospělé pacienty.

Naším cílem, na kterém spolupracujeme se zahraničními organizacemi, aby byly celosvětově nastaveny stejné standardy péče, kdy garantem jejich uplatňování budou odborná specializovaná nervosvalová centra, která budou zapojena do ERN.

Vzhledem k působnosti spolku Parent Project a kontaktů na rodiče tím dosáhneme postupně přesměrování většiny stávajících a téměř všech nových pacientů do těchto center. Lékaři specialisté v těchto centrech budou pečovat o větší počet pacientů s DMD/BMD a časem získají neocenitelné zkušenosti v péči o tyto pacienty.

Rok 2015 v PARENT PROJECTu

Mnoho lidí s dobrým srdcem se stalo našimi partnery, kteří nás podporují velkou měrou finančně, ale také pochopili naše životní krédo „Žít nejenom přežít“ a proto pořádají pro kluky rozmanité akce, jež nadchnou nás všechny. Díky nim zažijeme motocyklové i automobilové závody ze zákulisí, běháme půlmaratony, jezdíme spanilou jízdu v nádherných autech, fandíme hasičskému sportu. Děkujeme MDA RIDE, Královéhradeckému kraji, panu hejtmanovi a senátorovi Bc. Lubomíru Francovi, společnosti Montáže Brož s jednatelem Jiřím Brožem, firmě SIKA CZ, které nás díky Vladimírovi Maškovi a Zdeňkovi Bílkovi podporují již 10 let, RWWTC v čele s Petrem Olivou, firmě Betvar, AMK Hořice, mnoha dalším lidem a společnostem, kterým patří náš veliký dík.

Těž naši aktivní členové, organizují skvělé akce na podporu našeho spolku. V Rohovládově Bělé se uskutečnil již 9. ročník hasičských závodů, které mají benefiční nádech a díky rodině Peškových získá každoročně náš spolek nemalou finanční částku. Rodina Bačkovských v Budišově nad Budišovkou uspořádala již 7. ples pro Jakuba, z jehož výtěžku každým rokem podpoří i náš spolek. Díky rodině Turkových zažijeme zákulisí závodů motocyklů v Hořicích, ale získáme i nemalou finanční podporu.

Rok 2015 v PARENT PROJECTu

Závěrem je třeba vyzdvihnout práci členů výkonného výboru, neboť všichni členové výkonného výboru pracují ve svém osobním volnu, po nocích, o svých dovolených a zároveň jsou též rodiči dětí a mladých mužů s DMD.

Je to mnoho odvedené práce, která na první pohled není vidět, ale bez které by PARENT PROJECT nebyla tak úspěšnou organizací, jakou je. Účastní se důležitých akcí, jednání, seminářů, workshopů a čas, který by mohli věnovat svým rodinám, věnují nám všem. A to vše vykonávají bez nároku na jakoukoli odměnu. Chci jim touto cestou všem poděkovat a popřát jim mnoho síly a odhodlání do další práce.

Na úplný konec bych chtěl opět vyslovit svoje dlouholeté přání, jak jsem již naznačil v úvodním slově, aby se začalo zapojovat více nových rodičů s malými dětmi, vše co uděláte pro PP, uděláte pro své syny.

Jozef Suchý, předseda PP

Činnost a aktivity v roce 2015

Akce k šíření povědomí o nemoci

Výstava „Žijeme s vámi“ byla k vidění od 5. října 2015 v prostoru Nové radnice Magistrátu HMP. Oproti roku 2014 byla rozšířena o fotografie našeho partnera MDA RIDE a nesla se v duchu hesla „žít a nejenom přežít“. Výstava se konala pod záštitou radních Radka Lacka a Libora Hadravy. Vernisáž proběhla ve velmi milé a komorní atmosféře za přítomnosti vzácných hostů, profesora Jiřího Zemana, přednosty kliniky dětského a dorostového lékařství VFN v Praze, dalších zástupců tohoto pracoviště odbornic z oboru neurologie Lýdie Koumarové a Ivy Příhodové, Miroslava Ouzkého, který je fandou projektu MDA RIDE a dalších.



Akce k šíření povědomí o nemoci

Následně se dne 26. října 2015 se konala vernisáž další ze série výstav „Žijeme s vámi“. Tentokrát v Atriu Poslanecké sněmovny Parlamentu ČR, a to pod záštitou místopředsedů Výborů pro zdravotnictví MUDr. Davida Kasala a MUDr. Jaroslava Krákory. Výstava proběhla za velké účasti pozvaných hostů. Velice jsme ocenili přítomnost vzácných hostů, a to náměstkyně ministerstva zdravotnictví JUDr. Lenky Tesky Arnoštové, Ph.D. a náměstka prof. MUDr. Josefa Vymazala, DrSc. Účastnili se další členové Výboru pro zdravotnictví, poslanci, lékaři, odborníci, významní zástupci institucí, ale též naši kluci a jejich rodiny.



Akce k šíření povědomí o nemoci

Diagnostika - Svalová dystrofie typu Duchenne (DMD). Více jak 2 000 dětských a dorostových praktických lékařů dostalo začátkem prosince 2015 do svých ordinací informační leták popisující první projevy a fáze Duchennovy svalové dystrofie (DMD). Stalo se tak ve spolupráci s SPLDD ČR a OSPDL ČLS J.E.P., kdy jsme tento leták mohli zaslat spolu se zavedeným časopisem VOX Pediatrie. Věříme, že tímto projektem se nám podaří zvýšit povědomí o nemoci DMD u lékařů prvního kontaktu a hlavně dát návod jak při prvních signálech této nemoci postupovat. Děkujeme MUDr. Janě Haberlové z FN Motol za odbornou spolupráci a garanci textů, Ministerstvu zdravotnictví ČR za finanční podporu projektu.



Klinické fáze Duchennovy svalové dystrofie

DMD je nemoc, která se čase mění. V prvních letech života DMD neprobíhá výrazně obtížně, poruší je však velmi progresivní a vyžaduje komplexní péči řady specialistů. Růžijícímu následují klíčové fáze nemoci.

První 2 roky života

PRVNÍ SYMPTOMY (FAZE I)
Jednou z prvních věcí, na kterou rodiče zpozorují, je zpoždění v motorické vývoji. Zpoždění může být v chůzi, v ovládnutí věcí, v ovládnutí těla. Zpoždění může být v chůzi, v ovládnutí věcí, v ovládnutí těla. Zpoždění může být v chůzi, v ovládnutí věcí, v ovládnutí těla.

3. až 6. rok života

DRUHÁ SYMPTOMATICKÁ FÁZE
V tomto období se začíná objevovat svalová dystrofie. Prvními příznaky jsou zpoždění v chůzi, zpoždění v ovládnutí věcí, zpoždění v ovládnutí těla. Zpoždění může být v chůzi, v ovládnutí věcí, v ovládnutí těla.

7. až 12. rok života

DRUHÁ SYMPTOMATICKÁ FÁZE
V tomto období se začíná objevovat svalová dystrofie. Prvními příznaky jsou zpoždění v chůzi, zpoždění v ovládnutí věcí, zpoždění v ovládnutí těla. Zpoždění může být v chůzi, v ovládnutí věcí, v ovládnutí těla.

Věk od ztráty schopnosti samostatné chůze až do dospělosti

DRUHÁ SYMPTOMATICKÁ FÁZE
V tomto období se začíná objevovat svalová dystrofie. Prvními příznaky jsou zpoždění v chůzi, zpoždění v ovládnutí věcí, zpoždění v ovládnutí těla. Zpoždění může být v chůzi, v ovládnutí věcí, v ovládnutí těla.

Dospělost

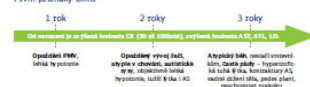
DRUHÁ SYMPTOMATICKÁ FÁZE
V tomto období se začíná objevovat svalová dystrofie. Prvními příznaky jsou zpoždění v chůzi, zpoždění v ovládnutí věcí, zpoždění v ovládnutí těla. Zpoždění může být v chůzi, v ovládnutí věcí, v ovládnutí těla.

Diagnostika DMD

Proces diagnostiky DMD má být poměrně rychlý. Je třeba vnímat signály, které se blíží nebo podléhají nedávné poruše vlivu a vývoji typické. Tak lze rozpoznat první příznaky DMD, kdy dochází k poruše svalové funkce. Zjištění zvýšené hodnoty svalového proteinu kreatininy (CK) a vysoké hodnoty AST a ALT v krevním séru signalizují nutnost dalšího postupu a dalšího neurologického vyšetření následuje genetická vyšetření a u dětí nebo vyšetření diagnostiky DMD.



První příznaky DMD



Diagnostika

Diagnostika je založena na klinické anamnéze a fyzikálním vyšetření. Prvními příznaky jsou zpoždění v chůzi, zpoždění v ovládnutí věcí, zpoždění v ovládnutí těla. Zpoždění může být v chůzi, v ovládnutí věcí, v ovládnutí těla.

Léčba je multidisciplinární

Léčba je multidisciplinární a zahrnuje fyzikální terapii, fyzioterapii, masáže, cvičení, a další. Léčba je multidisciplinární a zahrnuje fyzikální terapii, fyzioterapii, masáže, cvičení, a další.

Základní informace o Duchennově svalové dystrofii

Duchennova svalová dystrofie (DMD) je vzácná dědičná onemocnění svalstva. V České republice je tato onemocnění velmi vzácná. V České republice je tato onemocnění velmi vzácná.

Příčina nemoci DMD je mutace v genu pro strukturu proteinu dystrofínu. Dystrofín je protein, který pomáhá svalům udržet jejich strukturu a funkci. Dystrofín je protein, který pomáhá svalům udržet jejich strukturu a funkci.

Gen pro dystrofín je lokalizován na krátkém rameni X chromozomu (Xp21.2). Dědičnost je tedy v první řadě dědičná. Dědičnost je tedy v první řadě dědičná.

Způsobení pádu je častým příznakem nemoci. Způsobení pádu je častým příznakem nemoci. Způsobení pádu je častým příznakem nemoci.

Závěrem: Duchennova svalová dystrofie je závažné onemocnění, které vyžaduje multidisciplinární přístup k léčbě. Závěrem: Duchennova svalová dystrofie je závažné onemocnění, které vyžaduje multidisciplinární přístup k léčbě.

Kontakty na autory: MUDr. Jana Haberlová, MUDr. Jan Štěpánek, MUDr. Jan Štěpánek. Kontakty na autory: MUDr. Jana Haberlová, MUDr. Jan Štěpánek, MUDr. Jan Štěpánek.

Zlepšování kvality života pacientů s DMD

Díky spolupráci s nadacemi, partnery a díky úspěšným projektům našeho spolku se nám daří průběžně nakupovat pomůcky, které zkvalitňují kvalitu života pacientů s DMD/BMD.

V roce 2015 jsme z nasbíraných prostředků nakoupili 5 kusů pomůcky Cough Assist „kašlacích asistentů“ na realizaci klinické studie a 10 kusů oxymetrů.

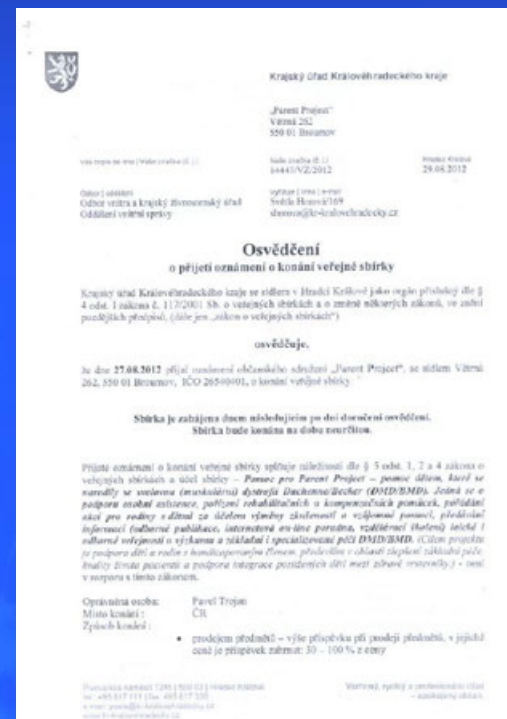


Získávání finančních prostředků

V roce 2015 pokračovala veřejná sbírka, kterou nám v roce 2012 povolil Krajský úřad Královéhradeckého kraje. Veřejná sbírka je na dobu neurčitou a koná se na celém území ČR. Je prováděna prodejem předmětů, shromažďováním příspěvků na sbírkovém účtu a dárcovskými textovými zprávami prostřednictvím telekomunikačního koncového zařízení. Pro tento účel byl u Fio banky, a.s. zřízen nový transparentní účet s číslem: 8012345678/2010.

V roce 2015 jsme poprvé získaly finanční podporu ze strany státu, a to formou grantů z Úřadu vlády ČR na podporu činnosti, vedení on-line poradny, úhradu překladů a grantu z MZ ČR na kampaň informování lékařů první linie o nemoci.

Granty jsme zpracovali i na rok 2016, a to opět na úřad vlády na stejný účel jako v roce 2015 a dva granty na MZ ČR, jeden na zpracování videí s rehabilitací a na nové webové stránky. S granty je dost práce, ale pomáhá nám to rozšiřovat naši činnost.



Získávání finančních prostředků

V roce 2015 jsme pokračovali v „Projektu DMS - Pomoc dětem se svalovou dystrofií DMD / BMD“. Od 1. 10. 2012 lze přispívat na naše aktivity prostřednictvím DMS - Dárcovské SMS. Příjem z DMS slouží k podpoře osobní asistence, pořízení rehabilitačních a kompenzačních pomůcek, pořádání akcí pro rodiny za účelem výměny zkušeností a vzájemné pomoci, předávání informací laické i odborné veřejnosti. DMS sbírka je od roku 2014 povolena na dobu neurčitou,

Pokud chcete přispět Parent Projectu, odešlete SMS ve tvaru: DMS SVAL na číslo 87 777, pro roční podporu je nutno odeslat SMS ve tvaru: DMS ROK SVAL na telefonní číslo 87 777. Cena DMS je 30 Kč, Parent Project obdrží 28,50 Kč. Službu DMS zajišťuje: Fórum dárců – www.darcovskasms.cz



Získávání finančních prostředků



Cena odeslané SMS ve tvaru DMS SVAL na číslo 87 777 je 30,- Kč. PARENT PROJECT obdrží 28,50 Kč. Děkujeme.
Více na: www.darcovskasms.cz a www.parentproject.cz

Informovanost rodin, lékařů a veřejnosti

Získáváme informace o nemoci, o novinkách v nastavení standardů péče, o výzkumu, a to prostřednictvím internetu, různých publikací, které zprostředkováváme v českém jazyce.

Na webových stránkách spolku zhruba v měsíčním intervalu přinášíme aktuální informace o výzkumu.

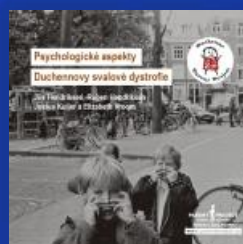
Ve spolupráci s MUDr. Janou Haberlovou, Ph.D. zajišťujeme internetovou on-line poradnu pro veřejnost. Tato poradna je zaměřena na odborné lékařské rady od doporučeného užívání doplňků stravy až po rady od specializovaných lékařů v oboru neurologie a ortopedie.

V diskuzích, otevřené a soukromé, si rodiče vyměňují zkušenosti ohledně péče, pomůcek, akcí a předávají si zkušenosti.



Informovanost rodin, lékařů a veřejnosti

V roce 2015 jsme pokračovali v distribuci odborných publikací, které vydal náš spolek. Všechny tyto materiály vznikly překladem a úpravou zahraničních materiálů. Za pomoc při jejich přípravě děkujeme MUDr. Lence Mrázové, MUDr. Janě Haberlové PhD., MUDr. Veronice Staré a překladateli Karlu Novotnému. Překlad a vydání realizováno za podpory Nadace ČEZ, Královéhradeckého kraje, MDA Ride, Racing Teamu MB a RWTTT. Publikace jsou zveřejňovány v knihovně umístěné na webových stránkách.



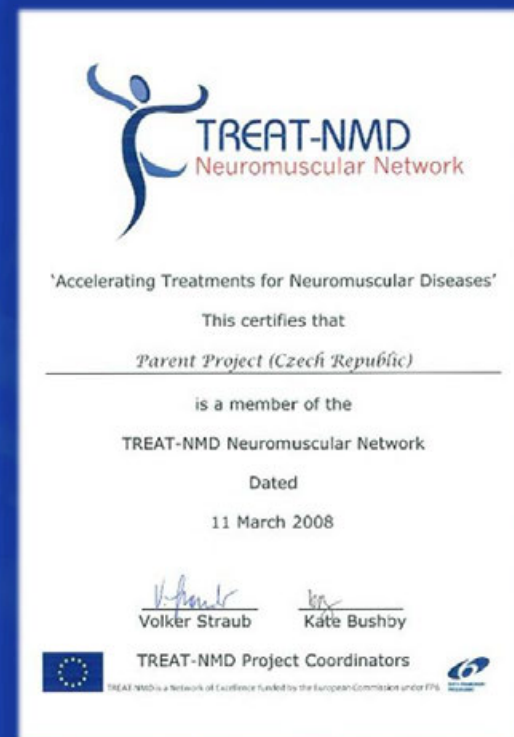
- Na vzdělání záleží - Průvodce o Duchennově svalové dystrofii pro rodiče, učitele a učitele tělesné výchovy
- Srdceční management operací u pacientů se svalovou dystrofií Duchenne/Becker
- Maligní hypertermie bezpečná a nebezpečná anestetika
- Nouzová informační karta pro rodiče chlapců s DMD
- Psychologické aspekty DMD
- ... a další

Zahraniční spolupráce

Prostřednictvím spolupracujících lékařů z České republiky 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. Úzce spolupracujeme s TREAT-NMD Neuromuscular Network a UPPMD (United Parent Projects Muscular Dystrophy) a jsme jejich členy.



United Parent Projects
Muscular Dystrophy



Zahraniční spolupráce

Účastníme se zahraničních konferencí. V roce 2015 se naši zástupci zúčastnili dvou konferencí, podpořili jsme účast na zahraniční konferenci a stáži, a to:

- 20. února 2015 – setkání UPPMD v Římě, na které navázala 21. - 22. února 2015 - 13. Konference Parent Project Italy v Římě, které se zúčastnily Ing. Jitka Reineltová a Karolína Češková, studentka medicíny. Naše zástupkyně získaly důležité kontakty a ukázaly, že máme co nabídnout.
- Podpořili jsme účast MUDr. Lenky Mrázové na Neuromuskulárním kongresu v Bratislavě ve dnech 16. - 17. dubna 2015.
- 20. dubna - 20. května 2015 jsme podpořili stáž fyzioterapeutky Mgr. Anny Jánské v nervosvalovém centru v Newcastle upon Tyne v Anglii. Mgr. Jánská získala spousty profesních zkušeností, které využije v práci s našimi chlapci.
- 6. - 7. listopadu 2015 se v Londýně konala 13. mezinárodní konference Action Duchenne, které se zúčastnili Ing. René Břečťan a MUDr. Jana Haberlová. Konference byla mimo jiné věnována péči o dospělé muže s DMD.



Spolupráce v ČR

Naši zástupci se třetím rokem vzdělávají v Akademii patientských organizací pořádané AIFP (Asociací inovativního farmaceutického průmyslu).



V únoru 2015 bylo uzavřeno mezi naší organizací a SÚKL (Státní ústav pro kontrolu léčiv) memorandum o spolupráci.



Účastníme se patientských rad pořádaných MZ ČR pod záštitou náměstkyně MZ JUDr. Lenky Tesky Arnoštové, Ph.D. a VZP.



MINISTERSTVO ZDRAVOTNICTVÍ
ČESKÉ REPUBLIKY



VŠEOBECNÁ
ZDRAVOTNÍ POJIŠŤOVNA
ČESKÉ REPUBLIKY

Spolupráce v ČR

PP se zapojil do projektu vzdělávání studentů 4. ročníku medicíny 2. LF UK při jejich praktických cvičeních a blokové výuky ve FN Motol. Seminářů se za PP zúčastnili Ivana Pešková se synem Adamem a Ing. René Břečťan. Prezentovali jsme činnost naší organizace a hlavně průběh nemoci DMD. Adam trpělivě odpovídal na všechny dotazy studentů a mluvil o svém životě. Věříme, že osobní setkávání a rozbor nemoci DMD v diskusi pomůže studentům v jejich budoucím profesním životě lékaře. Další semináře budou následovat.



Informace z výzkumu

Již řadu let slyšíme v komunitě DMD, že lék je na dosah, a zatím téměř nic, přesto je nutné konstatovat, že atmosféra ve společenství se mění, je výrazně pozitivnější než v minulosti, a můžeme skutečně říct, že potenciální léčba je nadosah. Musíme si však uvědomit, že pravděpodobně nebude pouze jeden lék, ale pro léčbu bude třeba kombinace léků.

Nejblíže k pacientům je:

TRANSLARNA (PTC Therapeutics) – pro pacienty s bodovou mutací, fáze 3 prokázala klinický přínos pro pacienty, a dosud je dostupná pro pacienty ve 13 zemích, pro chodící pacienty v ČR je již k dispozici na základě individuálního schválení .

IDEBENON (Raxone/Catena) – zlepšuje respirační funkce, Santhera. Idebenon již získal pro léčbu pacientů s DMD označení léčivo pro léčbu vzácných onemocnění a má v Evropě platný patent do roku 2026, v USA do roku 2027.

DRISAPERSEN (antisense oligonukleotid) – BioMarin Pharmaceutical Inc. oznámila předložení žádosti o registraci pro trh (MAA) u evropské agentury pro léčivé přípravky (EMA), pro pacienty, kteří mohou mít užitek z přeskočení exonu 51. FDA udělila Drisapersenu status „léčba pro vzácné pediatrické onemocnění“.

Informace z výzkumu

VECTOR terapie je forma elektro-stimulace vychází z akupunktury, reflexologie, fyziologie, buněčné fyziologie a anatomie určené ke stimulaci nervů, aby podpořila funkci neuropeptidů, které jsou nezbytné pro optimální fungování těla. Tyto neuropeptidy jsou životně důležité pro zvyšování oběhu na kůži, kostí, nervů, svalů, a pro snížení oxidačního stresu. V USA byla dokončena klinická studie, která prokázala klinický přínos pro pacienty.

Klinické studie na pacientech:

SMT C1100 (Summit Therapeutics plc) – látka, která dokáže stimulovat tvorbu utrofínu, jež může částečně nahradit chybějící dystrofin. Jedná se tedy o možnou léčbu pro všechny pacienty s DMD. studie s upraveným dietním režimem fáze 1b splnila primární cíl, fáze 2 bude probíhat v průběhu roku 2016 v UK a v USA.

TADALAFIL (společnost Eli Lilly) – dokončen nábor do 3 fáze klinické studie. Top-line výsledky se očekávají v první polovině roku 2016.

ETERLIPSEN (Sarepta Therapeutics) – 25.08.2015: FDA registrovala žádost o registraci nového léčiva ve stádiu výzkumu (NDA) Eteplirsenu k potenciální léčbě DMD u pacientů přístupných skippingu exonu 51.

FOR DMD Prednizon, deflazakort – studie porovná tři způsoby podávání kortikosteroidů chlapcům s DMD a určí, který z nich je nejefektivnější a nejvíce napomáhá ke zvýšení svalové síly a přináší nejméně vedlejších účinků spojených s léčbou.

Informace z výzkumu

NPC-14 (Arbekacin sulfát) – bezpečnost, snášenlivost a účinnost u pacientů s DMD, 2 fáze klinické studie.

NAPROXCINOD (Orphan Drug pro léčbu DMD, v Evropě i USA) – protizánětlivé léčivo (inhibuje cyklooxygenázu a dodává oxid dusnatý).

L-CITRULLIN a METFORMIN (Universität Basel) – cílem studií je prokázat zlepšení funkce svalů a oddálení progresu onemocnění.

CAT – 1004 (Catabasis) – snižuje poškození a podporuje regeneraci a přestavbu svalů, fáze I / II, obdržela od FDA status „léčba pro vzácné pediatrické onemocnění“.

CAP-1002 – léčba kardiomyopatie fáze I / II

PF-06252616 (Pfizer) – je experimentální monoklonální protilátka proti myostatinu, proteinu, který je zapojený do růstu svalu.

TXA127 (Tarix Orphan) – redukuje poškození kosterního svalstva a fibrózu, a tím zlepšuje svalovou sílu. Fáze 2 studie má začít na počátku roku 2016.

ISOFEN (isosorbide dinitrate + ibuprofen) – bylo prokázáno, že kombinace těchto látek může zpomalit progresi onemocnění. Studie je pozastavena.

Informace z výzkumu

KMENOVÉ BUŇKY* v léčbě DMD (*Oficiální název: Role mononukleární buněčné terapie pomocí autologní kostní dřeně u DMD) – institut Neurogen Brain and Spine Institute v Indii. Účelem otevřené studie fáze 1 je ověřit účinky a bezpečnost léčby kmenovými buňkami u pacientů s DMD. Ve studii je zahrnuta jedna skupina pacientů s léčbou.

EXON SKIPPING (přeskočení exonu) probíhá v různých fázích vývoje pro exony 44, 45, 51, 52, **53, 55**.

Mnoho klinických studií je v preklinické fázi (nebyla zahájena studie s lidskými pacienty) jsou nadějí, ale není možné se na ně upínat, neboť není zřejmé, jaké budou výsledky klinických studií, a v jakém časovém horizontu budou dostupné pacientům, patří sem např.:

Peptid NBD – využití blokátorů NF-kb, čteno „en ef kapa bé“; omezení zánětu, podpora regenerace u pacientů s DMD.

RTC13, Sloučenina Read-Through: vývoj léčiva, které koriguje tzv. nonsense mutaci (bodovou mutaci).

Rycal ARM210 – zlepšení síly a funkce svalů u pacientů s DMD. Klinické studie s pacienty se plánují.

Spironolactone (spironolakton; diuretikum) – aldosteronový antagonismus (ruší účinek aldosteronu), cílem léčby je zlepšení svalové síly a funkce u pacientů s DMD.

Informace z výzkumu

Tamoxifen (selektivní modulátor estrogenových receptorů) – cílem léčby je zlepšení síly svalů u pacientů s DMD a BMD. Tamoxifen je generický název již uznaného léčiva Nolvadexu, které se používá k léčbě hormonálně dependentních nádorů prsu.

VBP15 (Delta-9,11) - analogové léčivo ke glukokortikoidům. Zahájení klinické fáze je plánováno ve FN v Motole na podzim roku 2017.

AO - Antisense oligonukleotidy (University of Bern) – zamezení ztrátě svalové síly.

PF-06252616 (Anti-Myostatin).



Akce v roce 2015

Akce 2015

Dne 28. února se koná Den vzácných onemocnění. V tento den s mottem „*Sami vzácní, spolu silní*“, si na celém světě připomínáme osudy lidí, kteří žijí se vzácným onemocněním. Mnohé problémy, se kterými se potýkají, jsou totiž všem společné – o jejich nemocích se málo ví, určení diagnózy bývá obtížné a často se roky táhne, možnosti léčby jsou mnohdy velmi omezené. Nepřímým důsledkem vzácného výskytu onemocnění je také izolace pacientů, do které je dostává nepochopení okolí. Parent Project se k této akci každoročně připojuje.

Více na: <http://www.vzacna-onemocneni.cz/>
a www.raredseaseday.com

Parent Project ČR se připojuje k akci "7 září - Den Duchennovy svalové dystrofie". Činí tak společně s dalšími patientskými organizace po celém světě, cílem akce je zvýšení povědomí o této vzácné nemoci s cílem zlepšit budoucnost všech dětí s touto nemocí.

Více informací na: www.worldduchenneawarenessday.org



Akce, které pomáhají – Ples JB

Již po sedmé se 23. ledna 2015 v budišovském Kulturním domě uskutečnil charitativní ples pro Jakuba Bačkovského. Získané finanční prostředky budou využity ve prospěch Jakuba, též bojujícího s DMD. Část výtěžku ve výši 10 000,- byl věnován spolku PP. Poděkování patří rodině Bačkovských.



Akce, které pomáhají – ½ maraton

Poslední březnová sobota patřila sportu, speciálně běhu na Sportissimo ½ maratonu v Praze. Díky RW TTC (Running With Those That Can't), Petru Olivovi a jejich příznivcům, mohli kluci již po páté prožít jedinečný zážitek a ve vozících Benecykl si „zaběhnout“ své závody. I přes nepřízeň počasí, byla opět skvělá atmosféra.



Akce, které pomáhají – ½ maraton



Akce, které pomáhají – 300 ZGH

Dne 17.05.2015 byli kluci opět účastníky již 53. ročníku závodu 300 zatáček Gustava Havla v Hořicích. Již poněkolkáté se podařilo pořadajícímu AMK Hořice a závodnímu týmu Montáže Brož Racing Team zajistit pro kluky zajímavý program, protože být v zákulisí motocyklových závodů je nevšedním zážitkem. Děkujeme rodině Turkových, kteří tuto akci pro naše kluky zajišťují.



Akce, které pomáhají – MDA RIDE

MDA RIDE - 20. června 2015 se konal již 7. ročník jízdy na podporu lidí trpících svalovou dystrofií. MDA RIDE nás každoročně podpoří nemalou částkou, za což jí patří neskutečný dík. Kád'a aneb Josef Kadeřábek, duchovní otec této skvělé akce, spolu se svou ženou Hankou a dalšími příznivci MDA RIDE, nejsou jenom naši podporovatelé, ale i kamarádi, navštěvují nás na našich akcích, a vždy přivezou dobrou náladu.



Akce, které pomáhají – MDA RIDE



Akce, které pomáhají

Rohovládova Bělá - soutěž v požárním sportu

Další velice úspěšnou akcí je soutěž v požárním sportu a klasickém požárním útoku mužů a žen „O pohár starosty obce Rohovládova Bělá“, již devátý ročník přinesl PP nádherných 72 000,-. Velký dík patří rodině Peškových.



Akce, které pomáhají

Rohovládova Bělá - soutěž v požárním sportu



Akce pro kluky a jejich rodiny - Boccia

Po třetí jsme se 23.05.2015 sešli v Nové Pace, abychom zabojovali v rámci turnaje v integrované Boccie. Na turnaji nás opět navštívili kamarádi z MDA RIDE, aby s námi vytvořili soutěžní týmy. Atmosféra byla bojovná, ale všechny boje se odehrály v duchu fair play. Kluky čekalo překvapení, a to vzácná návštěva Jakuba Petružálka s vítězným pohárem, který získali litvínovští hokejisté v extralize.



Akce pro kluky a jejich rodiny - Boccia



Akce pro kluky a jejich rodiny - autocross

Po soutěžení v Boccie jsme se vydali dne 24.05.2015 na autocross, který se konal též v Nové Pace a byli jsme hosty jezdce Jiřího Štětiny, který nás propaguje i mezi autocrossovými závodníky, a to je cenné. Kluci byli nadšení, i když cesta ke trati byla docela krkolomná.



Akce pro kluky a jejich rodiny - autocross



Akce pro kluky a jejich rodiny - Buková

Ozdravný pobyt pro maminky s kluky se každý rok uskuteční díky podpoře MDA RIDE. V roce 2015 se uskutečnil v týdnu od 27.06 do 06.07. v Bukové. Objekt byl velmi pěkný s bazénem a v klidném prostředí. Kluci mohli na krátké procházky i sami. Počasí bylo nádherné a všichni si pobyt užili.



Akce pro kluky a jejich rodiny - Buková



Akce pro kluky a jejich rodiny - Buková



Akce pro kluky a jejich rodiny

Ozdravný pobyt, tentokrát pro tatínky s kluky se každý rok uskuteční díky výtěžku hasičských závodů v Rohovládově Bělé. V srpnu 2015 chlapci vyrazili s tatínky dvakrát v létě na týden do Velkých Pavlovic a na podzim na prodloužený víkend do Chlumu u Třeboně. Chlum je tradiční pobytové místo pro „pánské jízdy“. Všichni byli spokojení, protože s tatínky, je větší svoboda.



Akce pro kluky a jejich rodiny – Velké Pavlovice



Akce pro kluky a jejich rodiny – Chlum u Třeboně



Akce pro kluky a jejich rodiny

Každoroční víkend pro rodiny s dětmi se v roce 2015 uskutečnil v Meziříčku, Morava byla vybrána, aby to moravská část měla blíž, ale opět převládaly rodiny z Čech. Letošní setkání bylo v armádním duchu a návštěvou nás opět poctili motorkáři z MDA RIDE. Všichni jsme si to užili.



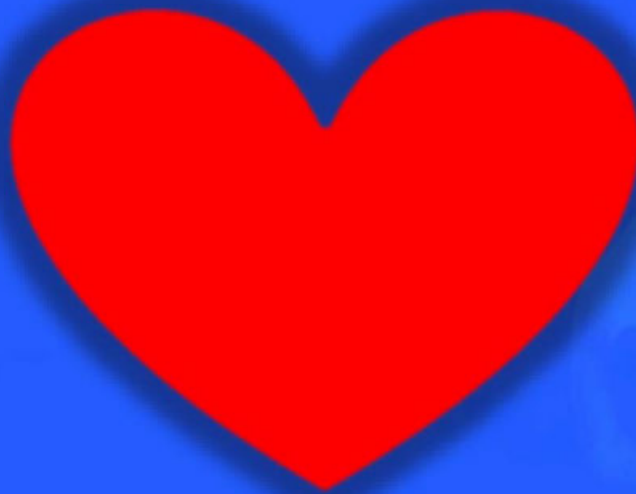
Akce pro kluky a jejich rodiny - Meziříčko



Akce pro kluky a jejich rodiny - Meziříčko



Naši dárci, sponzoři a podporovatelé



Poděkováním sponzorům a dárcům

Činnost spolku Parent Project by nebyla možná bez podpory, pomoci a spolupráce s řadou firem, organizací a jednotlivců. Vaší pomoci si nesmírně vážíme, pomáháte nám plnit naše poslání, bez Vás bychom to nedokázali.

Děkujeme, že stojíte při našich dětech.



Úřad vlády České republiky



Poděkování sponzorům a dárcům



Hasičům Rohovládova Bělá, Pavlu Bačkovskému, Daně Jáchimové, Lence Lupínkové, Lence Kroupové, Heleně Burešové, Šárce Maňákové, Jitce Reineltové, Šárce Plzákové, Aleně Pospíšilové, Dušanu Šedkovi, Martinu Boumovi, Darye Prakupovich, Blance Hanzlíkové ...

... a mnoha dalším.



PARENT PROJECT, z.s

svalová dystrofie DMD/BMD

Naší snahou je zajistit pro děti i dospělé s DMD/BMD komplexní péči v vysoce odborných nervosvalových centrech. Zajistit včasné nasazení symptomatické péče, a tím zpomalit progresi onemocnění. Pomalejší progresi zajistí pozdější ztrátu schopnosti chůze, oddálení kardiologického či respiračního selhání, prodloužení průměrné délky života u pacientů. Chceme pro naše děti a mladé muže odpovídající kvalitu života, kterou si zaslouží. Chlapci a muži s DMD jsou hrdinové všedního dne, kteří nás učí trpělivosti, odolnosti a vytrvalosti. Dejme jim šanci, kterou si zaslouží, šanci dočkat se léku a my věříme, že se dočkají.

Výzkum – léčba - naděje