

# BELEIDSPLAN FSHD Stichting 2020 – 2022

## STRATEGIE

### **1. Kernprincipes en uitgangspunten van de FSHD stichting**

- De FSHD Stichting is een fondsen verstrekkende organisatie in de ruimste zin van het woord. Hierbij hoort ook het lobbyen bij andere organisaties om meer aandacht aan FSHD onderzoek te schenken.
- De FSHD Stichting is geen patiënten belangen organisatie. Deze rol wordt uitermate kundig door de VSN uitgevoerd. De Stichting werkt wel nauw samen met de VSN.
- Waar mogelijk wordt samengewerkt met de andere fondsen verstrekkende organisaties, zoals het PBS en Spieren voor Spieren, en buitenlandse zusterorganisaties.
- De Stichting financiert alleen kwalitatief hoogwaardige projecten. Zo nodig worden de projectvoorstellen beoordeeld door de Wetenschappelijke Advies Raad (WAR) van het PBS.
- De Stichting heeft geen winstoogmerk: De kosten worden zo laag mogelijk gehouden, zodat het grootste deel van de donaties besteed kan worden aan de doelstelling. Bestuursleden ontvangen geen bezoldiging. Bij uitzondering worden reis- en verblijfkosten vergoed.
- Bestemming Liquidatiesaldo. Indien het bestuur besluit tot ontbinding, dan zal een batig liquidatiesaldo aan een andere spierstichting worden geschonken. Welke spierstichting dit wordt zal door het bestuur worden besloten.
- Ontvangen donaties, dienen zo snel mogelijk aan kwalitatief goed onderzoek worden uitgegeven. (Geen vermogensopbouw.)
- Organisatiekosten van evenementen zo veel mogelijk door sponsors laten dekken.
- Waar mogelijk een rendement realiseren over de projecten waar de Stichting in heeft geïnvesteerd. Bijvoorbeeld het recht op een exclusieve licentie over de in het project verworven IP, of een equity investering in een start-up.

### **2. Kernwaarden van de FSHD Stichting**

- Hoge mate van betrokkenheid bij FSHD.
- Gepassioneerd, ondernemend en optimistisch/positief
- Transparantie in al onze activiteiten.
- In de uitvoering zijn we simpel, snel en pragmatisch.
- Maximaal benutten van synergie mogelijkheden. (1 + 1 = 3). Waar mogelijk werken wij samen. (Nationaal & internationaal, binnen en buiten de FSHD Community)

### **3. Missie van de FSHD Stichting**

- FSHD de wereld uit!

### **4. Visie**

- Wij maken de ontwikkeling van een therapie voor FSHD mogelijk.

## **5. Doelstellingen 2020-2022**

- Statutaire doelstelling: Fondsenwerving ten behoeve van onderzoek naar een oplossing, behandeling en verbetering van de kwaliteit van leven voor mensen met FSHD.
- In de komende periode van vijf jaar 1 miljoen euro besteden aan het financieren van onderzoeksprojecten, die wezenlijk bijdragen aan de ontwikkeling van een therapie (eerste causale therapie beschikbaar in 2022. Een genezing in 2030).
- Het verhogen van de spontane en geholpen bekendheid van FSHD in de FSHD geïnteresseerde community (familieleden, betrokkenen, artsen en onderzoekers).
- Met gerichte fondsenwervende activiteiten bovengenoemde middelen verkrijgen. (150.000 - 200.000 euro per jaar)

## **BELEID**

### **Werkzaamheden**

De werkzaamheden bestaan uit:

- Fondsenwerving
- Financiering van FSHD onderzoek projecten
- Stimuleren van (Inter-)nationale samenwerkingen
- Informatie verstrekking aan de patiëntengroep over de stand van zaken van het onderzoek.

## **ONDERZOEK STRATEGIE**

### **1. Strategische overwegingen**

- Sinds 2011 is het genetisch mechanisme van FSHD bekend. Het merendeel van het genetisch onderzoek is nu, direct of indirect, gericht op het onderdrukken van de eiwit productie van het kwade gen DUX4.
- Daarnaast zal de patiënten gemeenschap voorbereid moeten worden op het deelnemen aan clinical trials en een goed functionerende registratie maakt hier deel van uit.
- Klinieken zullen moeten worden voorbereid op het uitvoeren van de trials.
- Hierbij zal de effectiviteit van de therapie zodanig gemeten moeten kunnen worden (vaststellen van eenduidige uitkomstmaten), dat de European Medicine Authority (EMA) en de Food Drug Administration (FDA) de noodzakelijke goedkeuringen kunnen verlenen, en dat de zorgverzekeraars overgaan tot vergoeding.

### **2. Onderzoeksprioriteiten**

- Het stoppen van de desastreuze activiteiten van DUX4. Dit kunnen epigenetische, anti-sense, CrisprCas, of small molecule richtingen zijn.

- Het uitbouwen van de bestaande patiëntenregistratie.
- Natuurlijk beloop studies, incl young onset patiënten.
- Het ontwikkelen en valideren van uitkomstmaten en biomarkers.
- Het ontwikkelen van Exo-skelet (wearable robot) achtige oplossingen, om de kwaliteit van leven van de patiënten te verbeteren.

### **3. Uitvoering van het onderzoek**

- Het bestuur van de Stichting zal een actieve rol spelen in ontvangen van kwalitatief goede projectvoorstellen, die aansluiten bij de prioriteiten. Bijvoorbeeld door het uitschrijven van zgn. Calls.
- Projectaanvragen zijn welkom uit alle landen, van alle onderzoekscentra, en ook van biotech start-ups. Zij zullen worden beoordeeld op:
  - Aansluiten bij de prioriteiten
  - Kwaliteit
  - Originaliteit
  - Innovatief
  - Haalbaarheid
  - Kosten
  - Tijdsbeslag
- Op initiatief van de FSHD Stichting is het biotech bedrijf “Facio Unlimited” opgericht. De Stichting is inmiddels ook aandeelhouder van dit bedrijf geworden. Eerder financierden wij al een project van het bedrijf QVQ in Utrecht.

## **WERVING VAN GELDEN**

### **1. Fondsenwerving strategie**

- Financiële middelen zullen worden geworven uit:
  - Schenkingen vanuit de “betrokkenen” (FSHD-erg, hun familie, vrienden en zakenrelaties.
  - Sportactiviteiten en/of evenementen (waaronder de SingelSwim en een Spinning marathon)
  - Cultuur activiteiten en/of evenementen (bijvoorbeeld Camaretten, verdere samenwerking met Ronald Snijders)
  - Nalatenschappen
  - Boekverkoop
- CBF-keur en ANBI-verklaring zijn belangrijke hulpmiddelen om de betrouwbaarheid van de Stichting te communiceren.
- Waar mogelijk en zinvol zullen wij samenwerken met PBS, Spieren voor Spieren en andere gerelateerde fondsen.
- Samen met de het, door ons opgerichte internationale samenwerkingsverband “de FSHD Champions”, wordt op 20 juni jaarlijks de World FSHD dag georganiseerd.
- Het thema van de fondsenwervende activiteiten is “Geef FSHD een gezicht”. Het gebrek aan expressie in het gezicht is een belangrijk onderscheidend element van FSHD.

- Via de website [www.fshd.nl](http://www.fshd.nl) en de nieuwsbrief communiceren wij over het verloop van het onderzoek met onze achterban.

## **2. Communicatie strategie**

- De Stichting streeft ernaar om tenminste 1 ambassadeur van de Stichting actief te laten zijn in het promoten van de Stichting en haar activiteiten.
- Met de ambassadeur wordt een of meerdere evenementen vormgegeven, die aansluiten bij zijn/haar kern activiteiten. Bijvoorbeeld een cabaret voorstelling i.s.m. Ronald Snijders.
- De ambassadeur stelt zijn/haar netwerk ter beschikking van de Stichting.
- Via de nieuwsbrief en de FSHD website houden we de achterban op de hoogte van de ontwikkelingen.

## **BEHEER**

### **Financiën en vermogen:**

- De jaarrekening staat (zodra beschikbaar) op de website, met daarin de balans en het overzicht van baten en lasten. De instelling bouwt geen vermogen op, anders dan een bestemmingsreserve. Al het beschikbare geld wordt direct aan de doelstelling uitgegeven. Het beschikbare geld staat op een spaarrekening. Vermogensbeheer is daarom niet van toepassing.
- In de jaarrekening is ook opgenomen de verhouding van de wervingskosten en de beheerskosten ten opzichte van de bestedingen.
- Bestuursleden krijgen geen beloning.
- De instelling heeft geen administratieve organisatie, een gedeelte van de administratie is uitbesteed aan Masman Bosman.

## **BESTUUR**

### **Het bestuur van de "FSHD Stichting" bestaat uit:**

Kees van der Graaf	: Voorzitter (ad interim – totdat de nieuwe voorzitter gevonden is)
Sophie van der Graaf	: Secretaris
Chiel Steen	: Penningmeester
George Padberg	: Onderzoek
Vacature	: Commissaris Culturele Fondsenwervende Activiteiten
Vacature	: Commissaris Sportieve Fondsenwervende Activiteiten
Anke Lanser	: Adviseur van de Stichting