



## **Stichting PedNet Haemophilia Research**

**Beleidsplan 2017-2020**

## Inhoud

1. Inleiding
2. De Stichting PedNet Haemophilia Research
3. Doelstellingen
4. Strategie
  - 4.1 Missie
  - 4.2 Statutaire doelstellingen
  - 4.3 Winstoogmerk
  - 4.4 Bestemming liquiditeitssaldo
  - 4.5 Werkzaamheden
5. Onderzoeksprojecten
6. Beloning bestuurders
7. Beleid rond fondsenwerving
8. Transparantie
9. Beheer vermogen
10. Besteding vermogen

### 1. Inleiding

De Stichting PedNet Haemophilia Research heeft als doel de ondersteuning van wetenschappelijk onderzoek bij kinderen met hemofilie. Hemofilie is een zeldzame erfelijke aandoening van de bloedstolling, die zonder behandeling leidt tot levensbedreigende bloedingen in spieren en gewrichten. Voor het verzamelen van voldoende onderzoeksgegevens voor verbetering van de behandeling van hemofilie is internationale samenwerking tussen hemofiliebehandelcentra nodig. De Stichting PedNet Haemophilia Research faciliteert en stimuleert internationaal onderzoek. Het bestuur van de Stichting PedNet Haemophilia Research vertegenwoordigt de stichting en voert volgens de leidraad van dit beleidsplan de besluitvorming namens de stichting.

Dit beleidsplan is samengesteld volgens de richtlijnen van de ANBI-status.

## 2. De Stichting PedNet Haemophilia Research

De Stichting PedNet Haemophilia Research coördineert een onafhankelijk internationaal netwerk van medische centra die gespecialiseerd zijn in de diagnostiek en behandeling van hemofilie en die participeren in de PedNet Studie Groep. Hemofilie is een erfelijke aandoening van de bloedstolling die voorkomt bij 1 op de 5000 jongens. De PedNet Studie Groep is in 2003 begonnen met de verzameling van klinische data van alle kinderen met hemofilie die in de participerende centra werden gediagnosticeerd: de PedNet Registry.

### 2.1. Achtergrond

Bij kinderen met hemofilie ontstaan bloedingen in spieren en gewrichten door onvoldoende werking van de bloedstolling. Dit kan alleen worden voorkomen door rond de leeftijd van 2 jaar te starten met 3 keer per week intraveneuze toediening van stollingsproducten. Deze eiwitten zijn gewonnen uit bloed of geproduceerd met recombinanttechnieken. Kinderen met hemofilie hebben echter een grote kans op het optreden van antistoffen (“remmers”) tegen deze stollingsproducten. Als nieuwe producten worden geregistreerd, zijn er aanvullende gegevens nodig om in de praktijk vast te stellen hoe ze zich verhouden wat betreft veiligheid en effectiviteit ten opzichte van andere stollingsproducten. Voor producten die gebruikt worden voor zeldzame aandoeningen is er op het moment van registratie immers vaak beperkte informatie over veiligheid en effectiviteit. Het is dan ook essentieel dat er aanvullende “real life”-data verzameld worden in ziekteregisters (*disease registries*), zoals PedNet.

### 2.2. Stichtingsgegevens

Naam	Stichting PedNet Haemophilia Research / PedNet Haemophilia Research Foundation
KVK-nummer	67501451
Adres:	Mollerusstraat 1, 3743 BW Baarn
Telefoon:	085-0299993
E-mail:	info@pednet.eu

### 3. Doelstellingen

De doelstellingen van de Stichting zijn:

- Het bevorderen van wetenschappelijk onderzoek op het gebied van hemofilie;
- Het bevorderen van internationale samenwerking tussen centra gespecialiseerd in de behandeling van kinderen met hemofilie;
- Het onderzoeken van de veiligheid en effectiviteit van nieuwe stollingsproducten en het delen van geanonimiseerde gegevens met nationale en internationale autoriteiten belast met de veiligheid van geneesmiddelen\*;
- Het werven van fondsen om het centra mogelijk te maken gedetailleerde gegevens te verzamelen en te analyseren.

\*In Europa heeft de *European Medicine Agency* (EMA) een belangrijke coördinerende taak voor de toelating van nieuwe geneesmiddelen op de Europese markt. PedNet onderhoudt nauwe contacten met EMA.

### 4. Strategie

#### 4.1 Missie

Het faciliteren van onafhankelijk wetenschappelijk onderzoek ter verbetering van de behandeling en de lange termijnuitkomsten van hemofilie bij kinderen. Hemofilie is een zeldzame aandoening waarbij de toegepaste behandeling grote verbetering van de kwaliteit van leven geeft voor de kinderen en hun families als ze van jongs af aan toegang hebben tot de juiste behandeling.

#### 4.2 Statutaire doelstelling

De stichting heeft tot doel klinische richtlijnen te ontwikkelen die de zorg voor kinderen met hemofilie verbeteren, op basis van zorgvuldig geanalyseerde data van grote groepen patiënten.

#### 4.3 Winstoogmerk

De stichting heeft geen winstoogmerk. Dit staat ook vermeldt in artikel 2 lid 3 van de oprichtingsstatuten van de stichting. De opbrengsten van de stichting komen geheel ten goede aan de statutaire doelstelling.

#### 4.4. Bestemming liquiditeitssaldo

In artikel 15 lid 6 van de oprichtingsstatuten van de stichting wordt gesteld dat een eventueel batig liquiditeitssaldo van de ontbonden stichting zal worden besteed aan een overeenkomstig goeddoelstichting die kwalificeert als algemeen nut beogende instelling in de zin van de Nederlands belastingwetgeving.

#### 4.5. Werkzaamheden

De stichting is verantwoordelijk voor de verzameling van alle klinische gegevens van de kinderen met hemofilie die gediagnosticeerd zijn en worden in de participerende centra, geboren vanaf 1-1-2000 (PedNet Registry). De stichting ondersteunt de centra financieel en anderszins bij het correct en volledig verzamelen van alle vooral gedefinieerde gegevens betreffende de behandeling en de aandoening van deze kinderen, nodig voor het verkrijgen van inzicht in de veiligheid en effectiviteit van de noodzakelijke behandeling.

## 5. Actuele projecten

De Wetenschappelijke Adviesraad van de Stichting beoordeelt jaarlijks de onderzoeksvoorstellen en stelt het onderzoeksprogramma vast. Een aantal projecten worden hieronder geïntroduceerd.

### 5.1. *Onderzoek naar de veiligheid en effectiviteit van stollingsproducten*

Kinderen met hemofilie worden vanaf jonge leeftijd behandeld met stollingsproducten om bloedingen te voorkomen. Tijdens de eerste 50 toedieningen daarvan ontstaan bij 25-30% van de kinderen antistoffen tegen het toegediende stollingsproduct. Hierdoor is effectieve behandeling niet langer mogelijk. Veel factoren zijn van invloed op het ontstaan van antistoffen. Het meeste voorgaande onderzoek heeft zich gericht op verschillen tussen producten, maar tot nu toe lijken alle producten ongeveer even vaak antistoffen op te wekken. In ons onderzoek worden de patiëntengegevens met succes gecombineerd en gekoppeld aan de verschillende producten. Het belang van deze benadering en van de gegevens die door ons worden verzameld wordt internationaal erkend; deze werkwijze is opgenomen in de richtlijnen van de EMA.

### 5.2. *Onderzoek naar de behandeling van kinderen die antistoffen (“remmers”) hebben ontwikkeld*

Kinderen met hemofilie en tegen het stollingsproduct gerichte antistoffen (remmers) kunnen worden behandeld met zogenaamde immuuntolerantie-inductie (ITI). Deze behandeling gaat gepaard met zeer frequente toediening van stollingsproducten en is niet altijd succesvol. PedNet verzamelt alle gegevens van kinderen die behandeld zijn met ITI en hoopt zo beter inzicht te krijgen in resultaten en bijwerkingen. Deze gegevens moeten leiden tot betere richtlijnen voor de behandeling van remmers en tot de implementatie ervan in de toekomst.

### 5.3. *Onderzoek naar bloedingen in de neonatale periode*

PedNet verzamelt gedetailleerde gegevens van kinderen met hemofilie tijdens de bevalling en geboorte. Dit moet inzicht geven in de wijze waarop bloedingen van pasgeborenen met hemofilie het beste kunnen worden voorkomen en in welke wijze van bevallen het veiligst is.

### 5.4. *Onderzoek naar de lange termijn uitkomsten*

De kinderen die door de participerende centra zijn opgenomen in de PedNet Registry worden vervolgd vanaf de geboorte tot ze volwassen zijn. De frequente toediening van stollingsproducten is een zeer intensieve en kostbare behandeling en vraagt veel van het kind en zijn familie. Het is belangrijk om aan te tonen dat we inderdaad in staat zijn om bloedingen ook op de lange termijn effectief te voorkomen en te komen tot een goede kwaliteit van leven en een normale levensduur.

Door alle klinische gegevens te verzamelen, zoals details van behandeling, complicaties en bloedingen vanaf het moment van diagnose, kunnen we onderzoeken welke factoren van invloed zijn op het resultaat en of de huidige behandeling in staat is om gewrichtsschade geheel te voorkomen.

## 6. Beloningsbeleid van bestuurders

Het bestuur van de Stichting PedNet Haemophilia Research is belast met het besturen van de Stichting en stelt hiervoor een jaarplan op. De bestuurders ontvangen geen beloning voor het werk dat ze uitvoeren voor de Stichting. Bij oprichting van de Stichting in december 2016 werden de volgende bestuurders aangesteld:

Functie: <i>voorzitter</i>	Prof. Rolf Ljung Malmö, Zweden
Bevoegdheid:	Gezamenlijk met andere bestuursleden
Functie: <i>vicevoorzitter</i>	Dr. Karin Kurnik, München, Duitsland
Bevoegdheid:	Gezamenlijk met andere bestuursleden
Functie : <i>secretaris</i>	Prof. Gili Kenet, Tel Hashomer, Israël
Bevoegdheid:	Gezamenlijk met andere bestuursleden
Functie: <i>penningmeester</i>	Dr. Niels Clausen, Århus, Denemarken
Bevoegdheid:	Gezamenlijk met andere bestuursleden

## 7. Beleid rond fondsenwerving

De Stichting PedNet Haemophilia Research ontvangt fondsen van diverse farmaceutische industrieën op het gebied van stollingsproducten. De Stichting levert daarvoor gegevens over de bijwerkingen van de betreffende producten. Daarnaast tracht de Stichting structurele financiering te verkrijgen van overheden, Europese fondsen en andere financiële bronnen voor klinisch wetenschappelijk onderzoek.

## 8. Transparantie

De ouders van de deelnemende kinderen met hemofilie ontvangen nieuwsbrieven over de onderzoeken die verricht worden met de verzamelde gegevens. Driemaal per jaar wordt een nieuwsbrief gemaakt voor de participerende centra.

- De Stichting zal jaarlijks een financieel jaarverslag maken, dat na goedkeuring tijdens de jaarvergadering van de Stichting wordt geplaatst op de website, [www.pednet.eu](http://www.pednet.eu).
- De Wetenschappelijke Adviesraad en het bestuur van de Stichting hebben een researchprogramma vastgesteld voor de periode 2017-2020.

## 9. Beheer vermogen

De Stichting PedNet Haemophilia Research zal niet meer vermogen aanhouden dan wat nodig is voor onderhoud van de data base, haar projecten en de ondersteuning van de centra waar zij mee samenwerkt. De Stichting hanteert een bestedingscriterium ter voorkoming van niet-redelijke vermogensvorming.

## 10. Besteding vermogen

Het bestedingsbeleid ligt binnen de context en activiteiten van de Stichting:

- Beheer database
- Onderzoeksprojecten en aanstelling van promovendi ten behoeve van dergelijke projecten
- Personeelskosten voor beheer en datamanagement
- Huisvestingskosten
- Organiseren van bijeenkomsten met deelnemers en datamanagers
- Samenwerking met ander belanghebbenden, zoals patiëntenverenigingen, wetenschappelijke verenigingen en autoriteiten op het gebied van veilige geneesmiddelen op internationaal niveau (EMA, FDA).