



## **PedNet Haemophilia Research Stichting**

**Beleidsplan 2021-2023**

## Inhoud

1. Inleiding
2. De PedNet Haemophilia Research Stichting
  - 2.1 *Achtergrond*
  - 2.2 *Stichtingsgegevens*
3. Doelstellingen
4. Strategie
  - 4.1 *Missie*
  - 4.2 *Winstoogmerk*
  - 4.3 *Bestemming liquiditeitssaldo*
  - 4.4 *Werkzaamheden*
5. Actuele onderzoeksvelden
  - 5.1 *Onderzoek naar de veiligheid en effectiviteit van stollingsproducten*
  - 5.2 *Onderzoek naar de behandeling van kinderen die antistoffen (“remmers”) hebben ontwikkeld*
  - 5.3 *Immunogeniciteit*
  - 5.4 *Profylactische behandeling*
6. Beloningsbeleid van bestuurders
7. Beleid rond fondsenwerving
8. Transparantie
9. Beheer vermogen
10. Besteding vermogen

### 1. Inleiding

De PedNet Haemophilia Research Stichting heeft als doel de ondersteuning van wetenschappelijk onderzoek bij kinderen met hemofilie en aanverwante aandoeningen. Hemofilie is een zeldzame erfelijke aandoening van de bloedstolling, die zonder behandeling kan leiden tot levensbedreigende bloedingen. Voor het verzamelen van voldoende onderzoeksgegevens voor verbetering van de behandeling van hemofilie is internationale samenwerking tussen hemofiliebehandelcentra nodig. De PedNet Haemophilia Research Stichting faciliteert en stimuleert internationaal onderzoek. Het bestuur van de PedNet Haemophilia Research Stichting 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 PedNet Haemophilia Research Stichting

De PedNet Haemophilia Research Stichting 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; bij meisjes is hemofilie nog zeldzamer. Het PedNet Register is in 2003 begonnen met de verzameling van klinische data van kinderen met hemofilie die in de participerende centra werden gediagnosticeerd: de PedNet Registry.

### 2.1. Achtergrond

Bij kinderen met hemofilie kunnen bloedingen ontstaan door onvoldoende werking van de bloedstolling. Dit kan 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	PedNet Haemophilia Research Stichting/ 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 en aanverwante aandoeningen;
- het bevorderen van internationale samenwerking tussen centra gespecialiseerd in de behandeling van kinderen met hemofilie;
- het verkrijgen van inzicht in alle factoren die van invloed zijn op het beloop van de ziekte waaronder de behandeling met stollingsproducten en het effect van deze behandelingen;
- het publiceren en presenteren van de uitkomsten van wetenschappelijk onderzoek;
- het onderzoeken van de veiligheid en effectiviteit van stollingsproducten\*; en
- voorts al hetgeen in de ruimste zin met één en ander verband houdt, daartoe behoort en/of daartoe bevorderlijk kan zijn.

### 4. Strategie

#### 4.1 *Missie*

Het verbeteren van de huidige en toekomstige zorg voor kinderen met hemofilie door het verzamelen van hoogwaardige gegevens van een groot cohort van niet-geselecteerde voorheen onbehandelde kinderen met hemofilie A en B, waardoor eerstelijns onderzoeksprojecten mogelijk worden over de ontwikkeling van remmers, veiligheid, werkzaamheid van vervangende en niet-vervangende therapieën en langetermijnresultaten.

#### 4.2 *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.

#### 4.3 *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 overeenkomstig het doel van de stichting ten behoeve van één of meer instellingen met rechtspersoonlijkheid die een vergelijkbaar doel beogen en zijn aangemerkt als een algemeen nut beogende instelling (ANBI).

#### 4.4. Werkzaamheden

- Het coördineren van een onafhankelijk internationaal netwerk van centra die gespecialiseerd zijn in hemofilie en participeren in de PedNet Studiegroep;
- het beheren van een database met klinische gegevens van kinderen met hemofilie, geboren vanaf één januari tweeduizend, die onder behandeling zijn bij een deelnemend centrum (PedNet register);
- het ter beschikking stellen van de gegevens in het PedNet register aan deelnemende centra voor het uitvoeren van wetenschappelijk onderzoek volgens een door de stichting goedgekeurd onderzoeksvoorstel;
- zoeken naar samenwerking met regulerende instanties en farmaceutische bedrijven op het gebied van veiligheid en effectiviteit van geneesmiddelen voor post-marketing studies;

### 5. Actuele onderzoeksvelden

De Wetenschappelijke Adviesraad van de Stichting beoordeelt jaarlijks de onderzoeksvorstellen en stelt het onderzoeksprogramma vast. De onderzoeksvelden zijn opgedeeld in 4 thema's, vanuit deze thema's worden de onderzoeksprojecten verder onderverdeeld. Alle leden van de PedNet groep zijn betrokken bij ten minste één onderzoeksproject.

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

De veiligheid en werkzaamheid van verschillende nieuwe-generatie stollingsproducten zijn tot nu toe onderzocht in een klein aantal studies met een gelimiteerd aantal patiënten in de fase voor licentie. Voor patiënten die nog niet eerder behandeld zijn (zogenaamde PUPs), eisen de regelgevende agentschappen slechts een klein aantal klinische studies met een gelimiteerd aantal patiënten. Aangezien vele factoren van invloed zijn op het ontwikkelen van inhibitors, hebben deze studies onvoldoende power om risicofactoren goed te bepalen of om goed te kijken naar de vergelijking tussen producten voor de veiligheid en effectiviteit.

De PedNet data zijn gebaseerd op prospectieve cohorten en worden gebruikt door farmaceutische bedrijven voor de verzameling van aanvullende farmacovigilantie data. De kwaliteit en hoeveelheid data verzameld door de PedNet Haemophilia Research Stichting worden erkend door de Pharmacovigilance Risk Assessment Committee (PRAC), een commissie van de EMA die verantwoordelijk is voor het beoordelen en monitoren van de veiligheid van humane medicijnen.

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

Het PedNet register bevat gegevens van een groot aantal kinderen die antistoffen ('remmers') hebben ontwikkeld. Deze patiënten worden prospectief gevolgd en gedetailleerde informatie over de gegeven behandeling wordt verzameld. PedNet stimuleert

studies naar het bloeding fenotype, effectiviteit van verschillende immuun tolerantie inductie (ITI) behandelingen en naar verschillende profylactische of behandelopties.

### 5.3. Immunogeniciteit

De belangrijkste bijwerking van hemofilie behandeling is het ontwikkelen van een neutraliserende allo-antilichamen (remmers) tegen Factor VIII of IX. Remmers ontwikkelen zich in 25-40% van de kinderen met ernstige hemofilie A voornamelijk gedurende de eerste 50 toedieningen. De oorzaak hiervan kunnen endogene (genetisch) of exogene (behandel gerelateerde) factoren zijn. Verschillende onderzoeken zijn hierover al gepubliceerd vanuit de PedNet groep. Echter, meer kennis door middel van onderzoek kan resulteren in alternatieve behandelregimes om de kans op een remmer te verkleinen.

### 5.4. Profylactische behandeling

Alhoewel een profylactische behandeling de standaardbehandeling is voor de ernstige hemofiliepatiënten, is de vraag wat de optimale profylactische behandeling is nog steeds onder discussie. Grote samenwerkende internationale studies zijn nodig om klinische onderzoeksvragen te beantwoorden wat betreft de geschiedenis, complicaties inclusief remmer ontwikkeling, en lange-termijn behoud van de gewrichtsgezondheid. De PedNet centra hebben primaire profylaxe op grote schaal gebruikt en de lange termijn opvolging van deze kinderen kan zeer waarschijnlijk nieuwe informatie opleveren over de verschillende profylactische regimes, de efficiëntie van verschillende factor vervangende concentraten en niet-factor behandel mogelijkheden.

## 6. Beloningsbeleid van bestuurders

Het bestuur van de PedNet Haemophilia Research Stichting is belast met het besturen van de Stichting. 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

De actuele leden van het bestuur kunnen terug gevonden worden op de website, [www.pednet.eu](http://www.pednet.eu).

## 7. Beleid rond fondsenwerving

De PedNet Haemophilia Research Stichting 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. Tevens worden er nieuwsbrieven 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 2021-2023.

## 9. Beheer vermogen

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

*\*Ten tijde van het schrijven van dit beleidsplan zijn niet alle coronamaatregelen in de wereld opgeheven en is er ook nog geen zicht op wanneer dit zal gebeuren. Door deze maatregelen voorziet de Stichting meer vermogen op te bouwen dan oorspronkelijk bedoeld. Congressen kunnen niet georganiseerd worden en er wordt aanzienlijk minder gereisd. Indien er een stabiele situatie ontstaat waarin alle coronamaatregelen geen hinder meer vormen, zal de Stichting in een opvolgend beleidsplan uitzetten hoe het eventuele extra opgebouwde vermogen besteed zal worden conform het bestedingsbeleid.*

## 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).