

Parent Project

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

Výroční zpráva 2014

Parent Project, spolek, Větrná 262, 550 01 Broumov

Parent Project – úvodní slovo

Vážení přátelé, kamarádi, rodiče, sponzoři a partneři.

Právě jste otevřeli výroční zprávu dnes již spolku (dříve občanského spolku) PARENT PROJECT (dále jen PP) za rok 2014.

Rok 2014 je významným milníkem pro všechny rodiny dětí s DMD/BMD. Poprvé v historii byla podmíněně schválena pro EU léčba přípravkem Ataluren (obchodní název Translarna). Jedná se o přípravek, který je schopen jako první a zatím jediný opravdu zlepšovat stav dětí s DMD (podle výsledku klinických studií). Sice je určen pro pacienty s „nonsense mutací“, což je cca 15% pacientů a bohužel zatím ve většině států, v kterých bylo jeho užívání již dořešeno a schváleno, je pouze pro chodící pacienty splňující určitá kritéria. I přesto je to velký pokrok a naděje pro všechny rodiny a hlavně pro všechny pacienty s DMD, že hlavní cíl vzniku a působení celosvětového hnutí zvaného PARENT PROJECT bude naplněn.

A co je podstatné, finišují další nadějně klinické studie zejména s látkami Eteplirsén a Drisapersén - více v části výzkum.

Parent Project – úvodní slovo

Tyto zprávy jsou velmi pozitivní. Pokud se nám ještě podaří ve spolupráci s odborníky zkvalitnit a standardizovat péči o pacienty s DMD/BMD, bude to velká šance pro většinu těchto pacientů, že se dožijí léku na tuto zákeřnou nemoc.

A tak vzhůru do nadějného roku 2015 ...

Jozef Suchý, předseda z.s.
PARENT PROJECT



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
- Podpora funkčního registru pacientů s DMD/BMD a potenciálních přenašeček

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

Transparentní účet (Raiffeisenbank, a.s.) : č.ú. 1338146001/5500 - „Konto výzkumu“
Transparentní 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 z.s Parent Project 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. Reinelťová Jitka, Rudé armády 59, Droužkovice
Suchý Jozef, Husova 245, Hrob
Trojan Pavel , Větrná 262, Broumov

Parent Project - výsledky hospodaření rok 2014

Účet	Počáteční stav	Má dáti	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	552 667.04	176 522.36	284 320.63	444 868.77	A	Era účet pro neziskovky 194971330
221200	368 412.24	312 728.69	58 887.37	622 253.56	A	Raiffeisen Bank 1338146001
221300	1 012 456.02	82.79	.	1 012 538.81	A	Raiffeisen Bank TV 2010032801
221400	50 466.56	17 463.50	64 897.00	3 033.06	A	Fio banka 8012345678
221	1 984 001.86	506 797.34	408 105.00	2 082 694.20	A	Bankovní účty
261	0.00	3 000.00	3 000.00	0.00	A	Peníze na cestě
2 *	1 985 916.86	509 797.34	411 105.00	2 084 609.20		Třída 2 - Finanční účty
311	0.00	30 000.00	30 000.00	0.00	A	Odběratelé
321	0.00	224 542.99	224 542.99	0.00	P	Dodavatelé
325	0.00	72 783.74	72 783.74	0.00	P	Ostatní závazky
3 *	0.00	327326.73	327326.73	0.00		Třída 3 - Zúčtovací vztahy
931	-136 128.13	136 128.13	.	0.00	P	Hospodářský výsledek ve schval. Řízení
932	-1 849 788.73	.	136 128.13	-1 985 916.86	P	Nerozd. zisk, neuhráz. ztráta min. let
9 *	-1 985 916.86	136 128.13	136 128.13	-1 985 916.86		Třída 9 - V. jmění, fondy, hosp. výsl., rez., dl. úv....
**	0.00	973 252.20	874 559.86	98 692.34		Rozvahové účty celkem

Parent Project - výsledky hospodaření rok 2014

Náklady

Účet	Počáteční stav	Má dátí	Dal	Konečný stav	T	Název účtu
501100	0.00	4 659.16	.	-4 659.16	N	režijní materiál
501101	0.00	2 624.00	.	-2 624.00	N	režijní materiál v rámci akcí PP
501200	0.00	67 697.00	.	-67 697.00	N	zdravotní pomůcky
501400	0.00	11 446.00	.	-11 446.00	N	dárkové předměty pro děti PP
501500	0.00	25 365.90	.	-25 365.90	N	propagační předměty PP
501	0.00	111 792.06	.	-111 792.06	N	Spotřeba materiálu
512100	0.00	10 750.00	.	-10 750.00	N	Cestovné
512	0.00	10 750.00	.	-10 750.00	N	Cestovné
518100	0.00	1 898.58	.	-1 898.58	N	Poštovné
518101	0.00	10 391.00	.	-10 391.00	N	Tel.poplatky+popl.internet
518102	0.00	17 503.99	.	-17 503.99	N	služby/školení,parkovné apod./
518103	0.00	66 698.70	.	-66 698.70	N	služby/propagace,poradna,tisk mat./
518104	0.00	51 371.30	.	-51 371.30	N	služby/překlady/
518107	0.00	1 132.37	.	-1 132.37	N	Bankovní poplatky
518109	0.00	123 567.00	.	-123 567.00	N	Pobytové akce PP
518	0.00	272 562.94	.	-272 562.94	N	Ostatní služby
521001	0.00	10 000.00	.	-10 000.00	N	Mzdové náklady
521	0.00	10 000.00	.	-10 000.00	N	Mzdové náklady
<hr/>						
5 *	0.00	405 105.00	.	-405 105.00		Třída 5 - Náklady

Parent Project - výsledky hospodaření rok 2014

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	.	20 880.00	20 880.00	V	Tržby z prodeje předmětů PP
604	0.00	.	20 880.00	20 880.00	V	Tržby za prodané zboží
644100	0.00	.	166.84	166.84	V	Úroky - § 18/a/2
644	0.00	.	166.84	166.84	V	Úroky
682100	0.00	.	373 787.00	373 787.00	V	Přijaté dary /není před.daně § 18/a/1/
682101	0.00	.	50 000.00	50 000.00	V	Přijaté dary /není před.daně § 18/a/1/DO
682200	0.00	.	14 463.50	14 463.50	V	Přijaté dary FIO DMS /§ 18/a/1
682	0.00	.	438 250.50	438 250.50	V	Přijaté příspěvky
684100	0.00	.	14 500.00	14 500.00	V	Členské příspěvky-osv.od daně § 19/1/a
684	0.00	.	14 500.00	14 500.00	V	Přijaté členské příspěvky

6 *	0.00	.	503 797.34	503 797.34		Třída 6 - Výnosy

**	0.00	405 105.00	503 797.34	98 692.34		Výsledkové účty celkem

Rok 2014 v Parent Projectu

Rok 2014 v Parent Projectu

Jak už bylo zmíněno rok 2014 je významným milníkem pro všechny rodiny děti s DMD/BMD, protože poprvé v historii byla podmíněně schválena pro EU léčba přípravkem Ataluren (obchodní název Translarna). Kromě Atalurenu probíhalo spousta dalších zajímavých klinických testů s nadějnými výsledky. Více v části výzkum.

Na poslední členské schůzi bylo dohodnuto, že český PARENT PROJECT podpoří italskou rodičovskou organizace Italský Parent Project Onlus, která se rozhodla zahájit klinický test na Ibuprofen a izosorbid dinitrát (ISDN). Bohužel tato podpora se zatím nepodařila zrealizovat. Z důvodů na Italské straně se testy nerozeběhly tak jak si všichni představovali. I když byla oběma stranami odsouhlasena smlouva o spolupráci, naším Parent Projectem byl potvrzen zájem finanční participace, nemohla být ke dnešnímu dni smlouva podepsána, neboť italské straně se zatím nepodařilo zabezpečit celkové financování výzkumu a tedy spuštění klinického testování.

Naopak v roce 2014 se podařilo zlepšit komplexní péči a to díky návratu MUDr. Haberlové z New Castlu. Její nové zkušenosti z roční stáže v Anglii posouvají komplexní péči ve FN Motol na vyšší úroveň. Rovněž začala v Motole velmi dobře spolupráce s pneumoložkou MUDr. Doušovou. Plicní je pro nás velmi citlivý a důležitý lékařský obor a pořád se nedařilo najít odborníka, který by měl zájem věnovat se pacientům s DMD/BMD. Nyní to vypadá, že jsme ho konečně našli.

Rok 2014 v Parent Projectu

Na konci roku 2014 se nám podařilo zorganizovat výstavu v Senátu ČR pod názvem „Žijeme s Vámi“ pod záštitou senátorky MUDr. Aleny Dernerové a senátora Bc. Patrika Kunčara a za podpory klubu KDU-ČSL a nezávislých. Výstava informovala o životě pacientů trpících Duchenneovou svalovou dystrofií. Prostřednictvím 11 příběhů ukazovala progres onemocnění, ale i to, že se s takto závažným onemocněním dá žít, a ne jenom přežít. Akci podpořili svojí přítomností senátoři, poslanci, lékaři, zástupci ministerstva zdravotnictví, PTC Therapeutics, SUKL a řady dalších institucí a organizací.

Z akcí, které v roce 2014 proběhly nelze opomenout akci, která se koná již 6 let. Akci, kterou organizují lidi, kteří nás podporují a pomáhají nám, ale zároveň jsou našimi kamarády. Ano, mluvíme o MDA RIDE. A kdo měl obavy po neskutečně skvělém pátém ročníku, že už nemůže být lépe, ten se krutě mýlil. Káďa, Hanka, Jirka a další to opět dokázali. Opět připravili skvělou akci z vynikajícím finančním výsledkem, kterého půlka putovala rodinám s DMD/BMD a našemu spolku. Klobouk dolů.

Ovšem i další naši partneři si zaslouží obdiv. Senátor a hejtman Královéhradeckého kraje Bc. Lubomír Franc, který nás podporuje pravidelně a ze svého příjmu posílá naší organizaci nezanedbatelné finanční dary. Také od Královéhradeckého kraje jsme získali významnou finanční podporu.

Rok 2014 v Parent Projectu

Partneři, kteří nás podporují každoročně nemalými částkami a zároveň pro nás organizují akce různého charakteru od motorek, běhu až po divadlo. Jsou to společnosti Montáže Brož s jednatelem Jiřím Brožem, SIKÁ CZ, kteří nás díky Vladimírovi Maškovi a Zdeňkovi Bílkovi podporují již 9 let, RWWTC v čele s Petrem Olivou, firma Betvar, AMK Hořice a mnoho dalších společností, kteří si zaslouží naše poděkování.

Opět se konali skvělé akce organizované našimi členy: 8. ročník hasičské akce v Rohovládově Bělé, kterou pořádají Peškovi, 6. ples v Budišově nad Budišovkou pořádaný rodinou Bačkovských, závody motorek v Hořicích odkud každý rok dostáváme finanční podporu díky Turkovým.



Rok 2014 v Parent Projectu

Na závěr bych chtěl vyzdvihnout práci výkonného výboru a jejich členů: Pavla Trojana, Jitky Reineltové, Ilony Krčkové a René Břečťana. Bez nich by naše organizace nefungovala. Spousta práce, kterou tyto lidi vykonávají ve svém osobním volnu, většinou po nocích. Spousta práce, která není na venek téměř vidět, ale bez které by úspěšná organizace jakou PARENT PROJECT je, nemohla existovat. Účastní se důležitých akcí, jednání, seminářů, workshopů a na to plýtvají svoje volno nebo dovolenou, kterou mohli věnovat svým rodinám a dětem, které mají rovněž DMD. 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, aby se začalo zapojovat více nových rodičů s malými dětmi.



Činnost a aktivity v roce 2014

Podpora Registru svalových dystrofií REaDY (REgistry of muscular DYstrophy)

Nadále podporujeme funkční „Registr 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.

Projekt REaDY (REgistr svalových Dystrofií) se zabývá sběrem dat o léčbě a vývoji čtyř druhů svalových onemocnění: Duchennova/Beckerova svalová dystrofie (DMD/BMD), spinální muskulární atrofie (SMA), myotonická dystrofie (DM) a facioskapulohumerální svalová dystrofie (FSHD). Od května 2011 tak navazuje na projekt MDB – mezinárodní DMD/BMD registr, který byl založen v roce 2004. Nad registrem převzala záštitu Sekce neuromuskulárních chorob České neurologické společnosti v čele s předsedou sekce MUDr. Stanislavem Vohánkou, CSC., MBA.



<http://ready.registry.cz>

Podpora Registru svalových dystrofií REaDY (REgistry of muscular DYstrophy)

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.

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.

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 v specializovaných centrech v ČR. 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.

Ve spolupráci s lékaři, odborníky a specialisty chceme tyto 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 jsme přeložili do češtiny a dali k dispozici specialistům i u nás.

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

V návaznosti na tyto materiály se snažíme ve spolupráci s renomovanými lékařskými centry, Masarykovou univerzitou 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 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.

Za účelem finanční podpory těchto aktivit bylo již v počátcích našeho působení založeno „Konto výzkumu“, ze kterého bychom chtěli hradit i případné provozní náklady na účast našich pacientů v klinických testech a především náklady na léčbu. V současné době jsou z konta hrazena účast lékařů a našich zástupců na zahraničních konferencích a překlady zahraničních materiálů.

Zlepšování kvality života pacientů s DMD/BMD

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

V roce 2014 jsme ze sbírky „Pomoc pro Parent Project - Pomoc dětem se svalovou dystrofií DMD/BMD“ nakoupili 7 antidekubitních podložek Roho do vozíků - zamezující vzniku proleženin a napomáhají při jejich léčbě, 4 fusaky pro vozíčkáře FreeDirection a 1 pláštěnku pro vozíčkáře FreeDirection. V průběhu roku nakupujeme nové brýle pro ležící pacienty.



Získávání, zpracovávání a předávání informací 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, různých publikací, které se v maximální možné míře snažíme 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
Novinky
O nás
Co je DMD/BMD
Péče a pacienty
Výzkum
Databáze RĚADY
Pomáháte nám
Zprávy, prohlášení
Výroční zprávy
Řeší, napali
Užitečné odkazy
Typy a rady
Bazar
Diskuze

PARENT PROJECT
Děkujeme, že jste velkou část života věnovali naší č.ú. 1338146001/5500
Transparentní účet Parent Project pro výzkum onemocnění

- Oznámení, sdělení**
 - Děkujeme:** Ve dnech 19.-20.5.2012 se v Holíčích konal 50. ročník FUCHS OIL 300 zátek Gustava Hafia. Pořadající ANK-Holice (www.ankholice.cz) připravili pro kluky nejen zajímavý program (společně závod, nahlédnutí do zákulisí závodu, prohlídka parkoviště závodních strojů, kontakt se závodníky, účast při slavnostním zahájení závodu a plno jiných nezapomenutelných zážitků), ale rozhodli se podpořit našu sdružení finančními příspěvky 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 a vítězství absolutní posádky závod 300 zátek Gustava Hafia ve své kategorie a domů si z něj odvezl dva poháry. Sběhem celého víkendu probíhala charitativní akce pro sdružení Parent Project. Prodávě tržek, ale i penězů, které Jiříka obdržel za umístění v závodech, připsal Montáže Brož Racing Team na konto sdružení částkou 21 tisíc korun. Očekáváme k úspěchu v závodech a děkujeme za podporu. Titulová zpráva: [Děti jedou na hraděch bojuje](#)
 - Jiří Měra „Čestný a náme po Austrálii, naklesl obrázek a získal diálek.“ Kluci, máte možnost naklesat obrázek na tíma Austrálie, připsat svou vlastní fotografii a oboj poslat na niž uvedeny mail. Váš obrázek a fotka se objeví v nové knize, kterou následně dostanete jako dárek. K tomu dokumentární film o Austrálii a soubor ráčků navíc. Termín pro zaslání je 31. července letošního roku. Vířte, že Vám udělá radost být součástí australského příběhu i získat pěknou odměnu! [Více informací](#)
 - Tip pro rodiče:** Sbor dobrovolných hasičů Rohovládova Bělá pořádá v sobotu 9.6. 2012 je 6. ročník hasičské soutěže "O pohár starosty obce Rohovládova Bělá", věnovanou Parent Projectu. Výhratek z akce, jejíž součástí je prodej tržek a dalších předmětů s logem PP, bude zasílán na účet našeho občanského sdružení.
 - Děkujeme:** AWD nadace Pomoc dětem (www.awdnadace.cz) podpořila Parent Project částkou 117 038 Kč. Nadace společnosti AWD podpořila děti, které trpí svalovou dystrofií. Nadace podporila zakoupení - nákupní skupaci vany, opravy dvou vozíků, sedačků Apollo a příslušenství k vozíčkům. Šeňel jako náš dar věřme, že dětem udělá velkou radost a zlepší jejich každodenní život. Děkujeme za poskytnutou podporu
 - Děkujeme sdělení:** Dne 2.6.2012 se uskutečnil členská schůzka občanského sdružení PARENT PROJECT v Praze

PARENT PROJECT
Novinky
O nás
Co je DMD/BMD
Péče a pacienty
Výzkum
Databáze RĚADY
Pomáháte nám
Zprávy, prohlášení
Výroční zprávy
Řeší, napali
Užitečné odkazy
Typy a rady
Bazar
Diskuze

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 LF UK, FN Motol a doc. MUDr. Petr Šimek, Ph.D., klinická odborná poradkyně, FN Brno.
Některé dotazy týkající se jiných nemocí je možné, resp. neproblemticky poslat toto po poradě.

[Váš e-mail nikdy nedáme] | Návrat na začátek diskuse |

První odpověď: 20.05.12 16:49:26 - 5770 svalová dystrofie - ukeřka pro děti s DMD

Odpověď na další dotazy: Jak často bychom se měli vyzkoušet? Jak se má dělat Parent Project? Co je Parent Project? Jak se podpořit? Co znamená transparentní účet, AWF a AWF?

- Alena | Dobry den,**
Pani doktoro jsem rada ze vas navstevujeme za system, ale rada bych ze zprava kdyz v moji malou dycetru tak 4 rok, a bere thaly piliocil mi po hodině jano kromě dale vypraven bych měla udělat atřeba toho vědět více, neboť já myslím že v mého školka jano učitelka vna že kontroly vyšetření jme se zveřejní jmeno vna že v gna bna občanské sdružení křte, a poradit dá žna, a tva jna prve z žna, ovšem možná špatně, děkuji vna
- Lada | Dobry den,** embolizaci se že vás vyvolal svým dotazem. Je moc hezké, že existují tyto stránky pro malá pacienty, ale co je věc? Můžete mi poradit, ale kade se obrátit a řada vám navstevujeme, jaké by bylo možné? S některými věcmi si nemohu rady, už máme zřídlené a rovněž vyšetřené, ale dote jsem třeba jako stále častěji výpadky paměti, hraniční až s "mehleou" - prvně navstevuje na věření, že na nebo mlávním, děkuji za jakoukoliv radu, vna
- Lada | Omlouvám se za zhrubou diagnózu, samozřejmě je to forma BMD. vna**

Blanka Konečná | Dobry den problémy jsem začla mít s chůzí a slábnutí v nohách v říjnu 2011, v lednu 2012 my navštívil myslím, že to dětem pomáhá, ale kade se obrátit a řada vám navstevujeme, jaké by bylo možné? S některými věcmi si nemohu rady, už máme zřídlené a rovněž vyšetřené, ale dote jsem třeba jako stále častěji výpadky paměti, hraniční až s "mehleou" - prvně navstevuje na věření, že na nebo mlávním, děkuji za jakoukoliv radu, vna

Verka | Dobry den pane doktore, chtěla bych se zeptat na doplňky stravy PROSTABION, jaký na má míté názor. Čerla jsem na internetu, že to dětem pomáhá, ale kade se obrátit a řada vám navstevujeme, jaké by bylo možné? S některými věcmi si nemohu rady, už máme zřídlené a rovněž vyšetřené, ale dote jsem třeba jako stále častěji výpadky paměti, hraniční až s "mehleou" - prvně navstevuje na věření, že na nebo mlávním, děkuji za jakoukoliv radu, vna

Jana Haberlová, M.D., Ph.D. | Dobry den, děkuji za vaše dotazy. Prostanbin je doplňková strava určená dětem. Ono těch tablet neustále vidíte vna kade by odborníci poskytl přílohu

Získávání, zpracovávání a předávání informací rodičům i odborné veřejnosti o výzkumu DMD/BMD a o základní i specializované péči

V roce 2014 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 RWTTTC.



- 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 anestezika
- Nouzová informační karta pro rodiče chlapců s Duchennovou svalovou dystrofií
- Psychologické aspekty Duchennovy svalové dystrofie



Kontakt s výzkumnými centry v Evropě i USA a hledání možností zapojení pacientů do klinických studií v zahraničních centrech

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.



Akce v roce 2014

Akce v roce 2014

Dne 28. února se koná Den vzácných onemocnění. V tento den 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: www.denvzacnychonemocneni.cz a www.rareseaseday.com

Parent Project v České republice se připojuje k akci "7 září - Den Duchenneovy svalové dystrofie (DMD)". Činí tak společně s dalšími rodičovskými organizace po celém světě, které se snaží zvýšit povědomí o této vzácné nemoci s cílem zlepšit budoucnost všech dětí s touto nemocí.



Více na: www.worldduchenneawarenessday.org

Akce v roce 2014

V lednu 2014 se v budišovském Kulturním domě uskutečnil již šestý charitativní ples pro Jakuba Bačkovského a sdružení Parent Project. Přítomným zástupcům Parent Projectu byl na této akci předán darovací šek v hodnotě 8.000,- Kč na výzkum a budoucí léčbu svalové dystrofie.

V březnu 2014 se několik našich rodin dostavilo do Divadla Bez Zábradlí na představení Blbec k večeři. Do divadla jsme byli pozvaní společností SIKA CZ a.s., která nás již 9 rokem finančně podporuje. Ještě před zahájením divadelního představení nám ředitel společnosti SIKA CZ pan Zdeněk Bílek předal šek na 30.000,- Kč. Kromě toho vyzval zaměstnance, aby se přidali a rovněž přispěli finančním darem našemu sdružení. Po skončení divadla a otevření kasičky jsme napočítali částku 20.000,- Kč. Zaměstnanci společnosti před a během představení vybrali takto neuvěřitelnou částku. Velké poděkování za tuto skvělou akci a dlouhodobou finanční podporu patří panu řediteli společnosti SIKA CZ a.s. Ing. Zdeňku Bílkovi, MBA, panu panu Ladislavovi Maškovi s kterým naše spolupráce před devíti roky začala a hlavně díky němu pořád pokračuje a všem zaměstnancům společnosti SIKA CZ a.s., kterým není lhostejný osud jiných.

V květnu 2014 se v Hořicích konal 52. ročník závodu 300 zatáček Gustava Havla a naši kluci byli opět u toho. Již poněkoličkáte se podařilo pořadajícím AMK Hořice a závodnímu týmu Montáže Brož Racing Team zajistit pro kluky zajímavý program. Tato akce je pojata jako akce na podporu našeho sdružení a tak nám AKM Hořice předalo šek v hodnotě 10.000,- a týmu Montáže Brož Racing Team se podařilo vybrat částku 32.500,- Kč.

28. června uspořádal SDH ve Vlčetíně tradiční dětský den - Cesta pohádkovým lesem. Pohádkové bytosti si připravily nejrůznější úkoly, které děti musely plnit. Počasí akci velmi přálo, a tak ji navštívilo 99 dětí s rodiči a prarodiči. Výtěžek z dětského dne se hasiči rozhodli věnovat na podporu léčby svalové dystrofie. Na účet Parent Projectu připsali 3.000,- Kč.

Akce v roce 2014

I v roce 2014 se v chrámu sv. Mikuláše uskutečnil koncert na podporu Parent Projectu. Výtěžek z prodeje vstupenek 17.000,- Kč nám zaslala Náboženská obec Církve československé husitské. Tyto koncerty v chrámu dlouhodobě zajišťuje společnost Porteo Art Company.

V červenci 2014 se v Rohovládově Bělé konal 8. ročník soutěže v požárním sportu a klasickém požárním útoku mužů a žen "O pohár starosty obce Rohovládova Bělá". Tato soutěž je nejen o sportovním klání, ale i o charitě. Na letošní akci se podařilo na konto Parent Projectu získat, zatím nejvyšší částku, 69.000,- Kč. Stalo se tak díky vstřícnosti sponzorů, dárců, účastníků a návštěvníků akce, ale i práci samotných pořadatelů akce.

V listopadu 2014 se 6 kluků Parentřáků zúčastnilo hokejové zápasu mezi Litvínovem a Spartou. Kluci zažili pravou hokejovou bitku a mohli se setkat reprezentačním trenérem a bývalým hokejovým útočníkem Vladimírem Růžičkou. Druhý den se naši kluci zúčastnili hokejového tréninku litvínovských hráčů. Na konci tréninku, se otevřela vrátka a kluci vjeli na ledovou plochu. Po focení s hráči, začali soutěže. Všichni kluci si to užili a nakonec jsme s ledu odešli až poté co už všem začala být zima. Musíme smeknout před litvínovskými hokejisty, kteří se ochotně celou dobu věnovali klukům a „blblí“ s nimi až do konce. Velkou zásluhu měli na celé akci manažer litvínovského hokeje Robert Kysela, Jiří Šlégr a předseda dozorcí rady Ing. Lenka Kroupová. Moc děkujeme za skvělé zážitky a těšíme se na další akci.

V roce 2014 nám společnost VEBA, textilní závody a.s. vyrobila a darovala 200 ks ručníků s fototiskem. Dar společnosti pro náš spolek činil 19.965,- Kč.

Charitativní ples pro Jakuba Bačkovského a sdružení Parent Project - leden 2014



Návštěva Divadla Bez Zábradlí – březen 2014



2 ročník turnaje Parent Project v boccie v Nové Pace květen 2014



Parent Project na 300 ZGH Hořice 2014 - květen 2014



montáže
Brož



Červnová akce pro kluky – VI. MDA RIDE v Praze



Červnová akce pro kluky – VI. MDA RIDE v Praze



8. ročník soutěže O pohár starosty obce v Rohovládově Bělé – červenec 2014



Dámská jízda - Hodonín u Kunštátu - červenec 2014 (společná akce mamin a jejich synků)



Dámská jízda - Hodonín u Kunštátu - červenec 2014 (společná akce mamin a jejich synků)



Setkání rodin Parent Projectu na Orlíku v rekreačním středisku Loužek - září 2014



Setkání rodin Parent Projectu na Orlíku v rekreačním středisku Loužek - září 2014



Slovenská „Pánská jízda“ do Vysokých Tater v srpnu 2014 (společná akce tatíků a jejich synků)



Slovenská „Pánská jízda“ do Vysokých Tater v srpnu 2014 (společná akce tatíků a jejich synků)



Parent'áci na hokeji v Litvínově - listopad 2014



SPORTISIMO ½ Maraton Praha, 2014



SPORTISIMO ½ Maraton Praha, 2014

Parent Project je již tradičním účastníkem půlmaratonu v Praze a partnerem RW TTC. V letošním roce se běžecký závod konal pod názvem „**SPORTISIMO ½ Maraton Praha 2014**“. Ve spolupráci se studentskou organizací RW TTC se letos na start postavilo rekordních **20 vozíků**, z toho **10 našich kluků**. Celkem běželo s vozíky 120 běžců, 14 našich členů.

Letošní ročník byl pro nás jeden z neúspěšnějších v historii. Podařilo se nám zajistit pro týmy velmi příjemné zázemí, stranou od hlavního proudu účastníků, přesto v centru dění. Zázemí fungovalo skvěle i při velkém množství lidí a počasí nám přálo. Jediným problémem se ukázaly být prasklé pneumatiky během závodu, ale díky odhodlání běžců, vše dobře dopadlo.



Birell Grand Prix Praha, 2014

Dne 6. 9. 2014 se konal další z běhů RWTTTC v letošním roce. Jeho účastníci běželi též na podporu Světového dne Duchenneovi svalové dystrofie (7. 9. 2014). Za Parent Project startoval Martin Bednář se synem Michaelem. Velké poděkování patří firmě Veolia, která Parent Projectu věnovala 15 000 Kč.



Výstava „Žijeme s vámi“ v Senátu PČR

Vernisáž výstavy „**Žijeme s vámi**“ věnovaná chlapcům s Duchenneovou svalovou dystrofií proběhla za velkého zájmu senátorů a hostů dne **19. 11. 2014** v prostorách Senátu PČR.

Výstava, se konala pod záštitou senátorky MUDr. Aleny Dernerové a senátora Bc. Patrika Kunčara (našeho člena PP) za podpory klubu KDU-ČSL a nezávislých. Výstavy se zúčastnili naši spolupracující lékaři, kolegové, partneři, ale též významní hosté - první náměstek ministra zdravotnictví Prof. MUDr. Josef Vymazal, DrSc., místopředsedkyně Senátu Miluše Horská, zástupkyně ředitele SUKL Mgr. Irena Storová, Marketing Director EMEA Region PTC Therapeutic Mark Forshaw (Ataluren – Translarna) a řada dalších hostů.

Cílem výstavy bylo přispět k zvýšení zájmu o naše problémy v boji s touto nemocí, podpořit rychlé nastartování centrové komplexní péče, zkvalitnit celkovou péči o naše pacienty a podpořit a urychlit připravovaný proces schvalování cenové úhrady nového léku Translarna pro naše pacienty na náš trh.



Výstava „Žijeme s vámi“ v Senátu PČR

Výstava sestávala z celkem 12 panelů, zachycující život našich chlapců v současné době, ale díky rozdílnému věku, popisující různé stádium naší DMD nemoci. Od nejmladšího Matýska (4 roky) až po Michala (34 let). Výstava zaznamenala potřebný ohlas mezi Senátory, účastníky akce i v tisku.



Informace z výzkumu v roce 2014

Informace z výzkumu v roce 2014

Cílem komunity DMD je snaha o sjednocení a zrychlení regulačních procesů klinických studií v Evropě a USA.

Drisapersen - exon skipping, přeskočení exonu 51

Leden –Prosensa získala od GSK všechna práva na drisapersen.

Březen – výsledky studie ukazují po 48 týdnech stabilizace a zvýšení svalové síly.

Eteplirsen - exon skipping, přeskočení exonu 51

Leden – Sarepta Therapeutics Inc. oznámila výsledky studie fáze IIb. Výsledky po více než dvou letech vykazují i nadále stabilizaci schopnosti chůze u pacientů léčených eteplirsenem, hodnocených testem chůze na 6 minut (6MWT) a v průběhu léčby nebyly zaznamenány žádné závažné nežádoucí účinky, které jsou významné s ohledem, na potřebu celoživotní léčby u tohoto onemocnění a lék byl dobře snášen.

Únor – byla prokázána stabilizace plicních funkcí a schopnosti chůze.

Duben – FDA vyslovila souhlas s podáním návrhu na schválení eterlipsenu.

Říjen – Sarepta Therapeutics Inc. jedná s FDA a vypořádává se s jejími požadavky.

Ataluren (obchodní název Translarna) - určen pro pacienty s „nonsense mutací“, což je cca 15% pacientů

Květen – EMA schválila podmíněně schválení na trh EU. Začalo jednání o schválení úhrady jednotlivými státy.

Informace z výzkumu v roce 2014

Follistatin - protein, který dokáže stimulovat růst svalů a zlepšit svalovou sílu.

Květen – nábor do 1. fáze klinického hodnocení.

Idebenone (obch. název Catena®/Raxone®) - silný antioxidant, syntetický analog koenzymu Q 10.

Květen – výsledky III. fáze klinického hodnocení prokázala pozitivní vliv na respirační funkce pacientů s DMD.

SMCT – 1100 - uprugulaceutrofinu, je vhodná pro všechny pacienty bez ohledu na mutaci genu

Květen – I. fáze klinického hodnocení potvrdilo bezpečnost a snášenlivost této sloučeniny.

Červenec – výsledky IB fáze klinické studie ukázaly statisticky významný pokles enzymů, které souvisí se zánětlivým procesem ve svalech.

TVN-102 (Biglycan) - uprugulaceutrofinu, je vhodná pro všechny pacienty bez ohledu na mutaci genu. První klinické studie mají začít v létě až podzimu roku 2015.

HT-100 - může přispět k podpoře zdravé regenerace svalů, snížit zánět a výsledné poškození svalů, a snížit zjizvenou tkáň, která se tvoří ve svalech chlapců s DMD, je kandidátem na získání statusu Orphan lék v EU a USA, klinická studie je určena i pro nechodící pacienty.

Informace z výzkumu v roce 2014

CAT-1004 - nová molekula s linkerem vytvářejícím nové molekuly z DHA (omega-3 mastné kyseliny) a salicylátu, který je podobný aspirinu. V této podobě mají DHA a salicyláty silné protizánětlivé účinky a uvažuje se o jejich využití v rámci podobné cesty, jaká přináší dobré účinky také u prednizonu a deflazakortu, avšak bez aktivace problematictějších steroidních aspektů. Není omezena mutací genu, je určena pro všechny pacienty s DMD.

PF-06252616 - bílkovina myostatin je produkována svalovou tkání a funguje jako pijistka proti „přerůstání“ svalů. Obejít tuto pojistku má sloučenina PF-06252616 firmy Pfizer, Inc, do klinické studie byl zařazen první pacient s DMD. Nyní se připravuje fáze 2 pro cca 105 pacientů.

AT-300 - látka vznikla chemickou syntézou v laboratoři z proteinu obsaženého v pavoučím jedu. Lék je navržen tak, aby zpomalil úbytek svalové hmoty, a zabraňuje influxu vápníku nyní je testován na myším modelu.

ISOFEN 3 - kombinované léčivo sestávající z Ibuprofenu (nesteroidního protizánětlivého prostředku; NSAID) a isosorbiddinitrátu (látka uvolňující oxid dusnatý), cílem studie je prokázat, zda léčba podporuje obnovu svalstva i myogenezi, redukuje zánět a posiluje funkci svalů, tak jak bylo prokázáno u myší. PP je připraven se finančně podílet na klinické studii.

Informace z výzkumu v roce 2014

Řada potenciálních látek pro léčbu DMD je v preklinické fáze, bohužel cesta ke klinickým studiím a případné léčbě je pro pacienty s DMD neúměrně dlouhá. Jednou z nadějí je také léčba kmenovými buňkami, ale i zde je k cíli dlouhá cesta, zapojení pacientů s DMD bude možné nejdříve za tři roky.

Vecttor - elektrostimulační přístroj, který aktivuje neuropeptidy, jež vyživují svalové buňky. V současné době probíhá klinické studie na pacientech s DMD a dosud nepovolila FDA zveřejnění výsledků.



Naši dárci, sponzoři a podporovatelé

Poděkování sponzorům a dárcům

MDA RIDE (www.mdaride.cz) je společnost lidí, kteří se rozhodli dlouhodobě pomáhat lidem s nervosvalovým postižením, známým jako svalová dystrofie. Cílem všech aktivit je benefiční jízda motorkářů s lidmi postiženými touto nemocí a především snaha získat maximální množství prostředků pro asociaci, která tyto nemocné sdružuje. Motorkáři z MDA RIDE má pomáhají v průběhu celého roku, nejen finančně, ale i pořádáním akcí pro naše rodiny a dále společnou účastí na akcích pořádaných naším spolkem.

KRÁLOVÉHRADECKÝ KRAJ (www.kr-kralovehradecky.cz). Královéhradecký kraj leží v severovýchodní části Čech. Hranici kraje tvoří z více než jedné třetiny státní hranice s Polskem v délce asi 208 km. Se sousedními Libereckým a Pardubickým krajem tvoří oblast Severovýchod, která patří mezi tři největší oblasti v republice jak rozlohou, tak počtem obyvatel. Rada Královéhradeckého kraje schválila v prosinci 2014 dar našemu spolku ve výši 50.000,- Kč. Dar bude použit na činnost spolku v roce 2015 (náklady na akce informační a charitativní).

NADACE VODAFONE ČESKÁ REPUBLIKA (www.nadacevodafone.cz) je nezávislá, státem registrovaná nezisková organizace, jejímž zřizovatelem je společnost Vodafone Czech Republic, a.s.. Před Vánoci 2013 se ve Vodafone peklo pro neziskovky a v rámci Vánoční charitativní aukce zaměstnanci dražili předměty z reklam, dorty apod. Mezi 3 podpořenými organizacemi, byla organizace Epi rodina. Ta se s ohledem na ukončení své činnosti výtěžku vzdala v náš prospěch. Celkově výtěžek pro Parent Project představuje 25 028 Kč (9 668,-,Kč z pečení x 2 (Nadace zdvojila) + 5 692,- Kč jako výtěžek z aukce).



Poděkování sponzorům a dárcům

Činnost občanského spolku 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 spolku. Díky Vaší podpoře můžeme nadále plnit své poslání. Děkujeme všem firmám, organizacím a soukromým dárcům, kteří nás podporují.



Hasiči Rohovládova Bělá, Hasiči Vlčetín, Bačkovský Pavel, Jáchymová Dana, Kroupová Lenka, Burešová Helena, Maňáková Šárka, Reineltová Jitka, Plzáková Šárka, Malinová Jitka, Petr Zouhar, Prokopius Radek, Pospíšilová Alena, Raiskupová Anna, Pavel Hroch, Bízek Vlastimil, Drábek Jaroslav, Urbanová Alena ...

... a mnoho dalších.

Poděkování sponzorům a dárcům



Parent Project, z.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

