

## **Bestuursverslag 2023**

Stichting Voor Sara heeft in 2023 enkele grote stappen gemaakt in de professionalisering van de stichting. Bovendien hebben we financieel een goed jaar achter de rug. In dit zevende jaar van Stichting Voor Sara haalden we € 223.000,- op voor onderzoek naar zeldzame spierziekten. We hebben € 283.000,- uitgegeven. Op een bezoldigde voorzitter na, werkten alle bestuursleden volledig belangeloos voor de stichting en ons doel: een behandeling voor kinderen met de zeldzame spierziekte MDC1A. Om te professionaliseren hebben we ervoor gekozen de aanstelling van de voorzitter uit te breiden naar een fulltime dienstverband. Dat heeft direct zijn meerwaarde bewezen, dankzij een groei in inkomsten, acties en bekendheid.

### **405. Doelstelling/missie en visie**

Onze doelstelling (het bevorderen van onderzoek naar de oorzaken en behandelingen van spierziekten in het algemeen en van MDC1A in het bijzonder, en voorts al hetgeen in de ruimste zin met één en ander verband houdt, daartoe behoort en/of daartoe bevorderlijk kan zijn) hebben we met succes nagestreefd. We zijn op meerdere momenten in de media geweest en er zijn weer flink wat acties gevoerd. Met name in de tweede helft van het jaar plukten we daar de vruchten van.

Op internationaal vlak hebben we veel vooruitgang geboekt dankzij een succesvolle internationale conferentie die in maart 2023 in Barcelona plaats vond. Een belangrijke uitkomst van deze conferentie is de start van een Lama2 consortium. De samenwerking tussen de internationale experts is verstevigd dankzij maandelijkse meetings en een gezamenlijke online omgeving om lezingen en onderzoeken te presenteren. We zien dat de wetenschappers elkaar steeds nadrukkelijker opzoeken om samen te werken aan een oplossing voor deze zeldzame spierziekte. Met enige trots kunnen we concluderen dat dit het directe gevolg is van de inzet van Stichting Voor Sara om de experts via conferenties samen te brengen.

Het natuurlijk beloop onderzoek aan het Radboudumc is dankzij een samenwerking met het Prinses Beatrix Spierfonds en Cure CMD weer vervolgd en zal de komende jaren doorlopen. Dit is erg belangrijk in de continuering van onze doelstellingen. Het onderzoek naar een behandeling aan de Maastricht University heeft enige vertraging opgelopen door de coronacrisis, maar is in 2023 weer goed doorgelopen. Eind 2023 heeft de stichting besloten een derde onderzoek te financieren. Dit onderzoek is bedoeld om geschikte biomarkers te vinden voor deze spierziekte. Biomarkers zijn meetbare indicatoren om deze spierziekte (en de voor- of achteruitgang) beter te kunnen duiden. Dat kan weer helpen om de toekomstige therapie te perfectioneren.

### **Media**

Stichting Voor Sara is in 2023 wederom op meerdere momenten in de media gekomen. Er was onder meer aandacht voor de meet&greet met Rico Verhoeven, de motortocht en de Drechtstadloop. Daarnaast hebben we zelf ook een documentaire uitgebracht die via YouTube en social media veel mensen heeft bereikt. Het mooie van deze docu is dat het de kijker heel sterk meeneemt in het verhaal van de stichting en helder maakt wat de impact van deze spierziekte is op de patiënten en hun families. Bovendien leren de kijkers twee lotgenoten kennen, wat één van de speerpunten van de stichting helder naar voren brengt: stichting Voor Sara is opgericht voor Sara, maar strijdt inmiddels voor alle lotgenoten.

### **410 Communicatie met belanghebbenden**

Stichting Voor Sara heeft twee groepen belanghebbenden. Enerzijds de lotgenoten en hun families en anderzijds de donateurs. We onderhouden een optimale relatie dankzij onze (social) media kanalen en de nieuwsbrief. Om de nieuwsbrief een structureler karakter te geven, werken we tegenwoordig samen met een communicatiebureau dat tegen een gereduceerd tarief maandelijks een interview schrijft met een lotgenoot/onderzoeker en de nieuwsbrief maakt. Op die manier verzekeren we ons van nieuwe content en goed contact met de belanghebbenden. Omdat we steeds internationaler werken, zijn we ook gestart met een internationale nieuwsbrief, onder onze Lama2 Europe samenwerking. Daarnaast is er voor de lotgenoten nog een (besloten) Facebookpagina waarop we nieuws en belangrijke informatie kunnen delen. Omdat we dit jaar weer een lotgenotendag hebben georganiseerd en er weer diverse acties waren

(waaronder de druk bezochte benefietdag op VV Wieldrecht) was er veel en goed contact met beide groepen belanghebbenden. Dit jaar bezochten voor het eerst ook meerdere Duitse families onze lotgenotendag. Zij spraken allemaal de waardering uit voor het feit dat er in Nederland zo een goede mogelijkheid is om lotgenoten te ontmoeten.

### **Fondsenwervingsmethode**

Stichting Voor Sara haalt met name geld op door acties te organiseren of dankzij acties van vrijwilligers. Er zijn veel acties georganiseerd in 2023. We werkten daarbij samen met sportscholen en particulieren. We zien dat het aantal maandelijkse donateurs (heel langzaam) afneemt. Vanwege de inflatie hebben in 2023 meer donateurs opgezegd dan in voorgaande jaren, maar gelukkig bleef het merendeel ons steunen. Ook zijn er meerdere mooie eenmalige donaties gedaan.

Eén van onze doelstellingen voor 2023 was de focus op grote subsidieverstrekkingen en samenwerkingen nog verder uit te breiden. Dit is belangrijk om efficiënter grotere bedragen binnen te halen. In 2023 hebben we onder meer samengewerkt met Lama2 France, ImpulsaT en CureCMD om een onderzoek naar biomarkers te financieren. De bijdragen van andere stichtingen worden direct aan de begunstigen betaald en komen dus niet voor in de financiële verslaglegging van de stichting. Toch is het wel een verdienste van de stichting dat door zulke samenwerkingen meer onderzoeken kunnen plaatsvinden. In 2023 hebben we bovendien voor het eerst een nalatenschap ontvangen. Hierdoor kwam er in één klap een substantieel bedrag binnen. Zoals genoemd mocht de stichting zelf ook veel donaties ontvangen in 2023, wat tot een uitstekend totaalbedrag van 223.000,- euro aan donaties heeft geleid.

Goed om tot slot te noemen dat Stichting voor Sara een ANBI is en aan de daartoe gestelde voorwaarden voldoet.

### **Ambassadeur**

Rico Verhoeven zet zich nog steeds in als ambassadeur en helpt mee met onze strijd. Dankzij onze ambassadeur hebben we veel bekendheid genoten en konden acties een veel groter publiek bereiken. Op social media zien we dat alle activiteiten met Rico zeer veel populariteit genieten en bovendien vaak direct voor nieuwe donaties zorgen. Met name aan het eind van 2023 hebben we actief met Rico samengewerkt, wat heeft geleid tot twee indrukwekkende video's. Ook heeft Rico lotgenoten ontvangen in zijn sportschool voor een meet&greet. Dat maakte grote indruk op veel lotgenoten. Voor de stichting was het bovendien een ideaal media-moment en hebben we direct gebruik gemaakt van de situatie om mooie foto's te maken van Rico en de lotgenoten.

### **406 Risico's en onzekerheden**

De grootste onzekerheid was net als in 2022 de energiecrisis en inflatie, waardoor het risico bestond dat de 200 vaste donateurs zouden opzeggen en er minder incidentele donaties binnen zouden komen. Hoewel er nog iets meer opzeggingen binnen kwamen dan het vorige jaar, bleef dit uiteindelijk nog redelijk beperkt. We hebben in 2021 vooral ingezet op het uitbreiden van de maandelijkse donateurs, iets waar we in 2022 en 2023 niet verder op ingezet hebben vanwege de stijgende kosten voor levensonderhoud. We hebben wel afgesproken dat dit een belangrijk aandachtspunt voor 2024 wordt.

### **Doelrealisatie**

In 2023 hebben we belangrijke stappen gezet om onze doelstellingen te realiseren. Zo zijn we nauw betrokken geweest bij de samenwerking tussen de internationale universiteiten voor het GYM project, waar het onderzoek naar een behandeling voor Lama2-MD onderdeel van is. De Universiteit van Maastricht is hierbij leidend, maar Stichting Voor Sara faciliteert en financiert het werk waar mogelijk. In het licht van het meerjarenplan zijn er mooie stappen gemaakt om tot een oplossing te komen voor de doelgroep. Het onderzoek naar het natuurlijk beloop van deze spierziekte aan het Radboudumc in Nijmegen kreeg een belangrijk vervolg en we hebben met de start van het onderzoek naar biomarkers een belangrijke stap gezet naar klinische trials. De conferentie in Barcelona was ook voor de realisatie van onze doelen erg belangrijk. Patiëntenorganisaties en patiëntenvertegenwoordigers uit 9 landen namen deel aan de workshop. De natuurlijk beloopstudies uit Nederland en zes andere landen werden gepresenteerd. Het belang van het ontwikkelen van gestandaardiseerde LAMA2-MD-registers werd erkend. Er werd een

klinische werkgroep voor LAMA2-MD gevormd en de ontwikkeling van de LAMA2-MD-therapie liet substantiële vooruitgang zien. De meest tastbare uitkomst is een maandelijkse online onderzoeksbijeenkomsten voor artsen, onderzoekers en patiëntenorganisaties.

Daarnaast hebben we dankzij de lotgenotendag veel lotgenoten (zelfs internationaal) kunnen informeren over zorg en informatie over de onderzoeken. Hiermee hebben we de beoogde verbetering voor de doelgroep weten te realiseren.

### **Lotgenoten**

Stichting Voor Sara heeft meerdere lotgenoten van Sara met elkaar in contact gebracht. Ouders en kinderen die nooit of zelden een lotgenootje hadden ontmoet, kunnen op deze manier steun vinden bij elkaar. Bovendien kunnen zij elkaar helpen en tips geven over medische zaken. Vele lotgenoten hebben aangegeven hier veel baat bij te hebben. Ook dit jaar hebben zich weer enkele nieuwe patiënten gemeld, die aangeven graag gebruik te willen maken van de betrouwbare informatie over de spierziekte en de onderzoeken die onze stichting verzameld. De lotgenotendag was volgens veel van deze lotgenoten een hoogtepunt. In 2023 is de poule van lotgenoten met name op internationaal vlak enorm uitgebreid. We hebben contacten met lotgenoten uit diverse Europese landen, alsmede uit de rest van de wereld.

### **Onderzoeken**

Het onderzoek in Maastricht loopt weer goed door. Het Interreg programma, een belangrijke financier van dit onderzoek, is dit jaar afgerond. Alle partijen hebben tot ons genoeg aangegeven de samenwerking desondanks door te willen zetten. Het is wel belangrijk om zo snel mogelijk nieuwe financiers te vinden om het onderzoek ook financieel gezien te borgen voor de toekomst.

Het onderzoek in Nijmegen is de tweede fase ingegaan. Het eerste deel heeft tot zeer concrete verbeteringen voor patiënten en de zorg geleid. We zijn ervan overtuigd dat ook de vervolgonderzoeken belangrijk zijn voor de zorg en de weg naar klinische trials openen.

### **Meerjarenbeleid**

Voor het meest actuele meerjarenplan verwijs ik naar: <https://voorsara.nl/wp-content/uploads/2023/09/meerjarenplan-kort-def-opgemaakt.docx.pdf>

Belangrijk om hieraan toe te voegen: we willen dit meerjarenplan in 2024 finetunen en verder uitwerken. Daarover meer onder het kopje 'toekomstplannen'.

### **Toekomstplannen**

In 2024 willen we ons met name richten op het verder professionaliseren van de stichting. We hebben nog wat achterstallig administratief werk te doen en willen meer overzicht krijgen in de prioriteiten van ons werk. Daarvoor ben ik als voorzitter een opleiding 'fondsenwerving' begonnen. Dat geeft goede handvatten om de strategie verder uit te werken en uit te voeren. We hebben onze ambitie duidelijker geformuleerd: we willen in 2030 een behandeling voor Lama2-MD. We benadrukken dat dit een ambitie is en geen belofte. We realiseren ons namelijk dat het wetenschappelijke werk nooit exact te plannen is en de weg naar een behandeling grillig. Door deze ambitie toch zo duidelijk uit te spreken, verplichten wij onszelf wel om hier alles aan te doen. Onderdeel van die ambitie is ook het vergroten van de inkomsten. Het eerste deel van 2024 willen we gebruiken om daar een helder plan voor te schrijven en waar mogelijk al te beginnen met de uitvoering daarvan.

Het blijft verder belangrijk om het Europese netwerk tussen artsen, onderzoekers en patiënten uit te blijven breiden. Een volgende conferentie voorbereiden (voor 2025) is daarvoor heel belangrijk. Komend jaar zullen we gebruiken om de voorbereiding daarop al te starten. Daarnaast willen we de opzet van een register weer oppakken. Daarnaast hopen we dankzij een verdere uitwerking van het strategisch plan een versnelling van het onderzoek in Maastricht te kunnen bewerkstelligen door de specifieke aandacht voor Lama2-MD/MDC1A in dit grotere onderzoek te vergroten.

Komend jaar staat bovendien in het teken om de zorg te verbeteren. Artsen hebben onvoldoende betrouwbare informatie om hun patiënten goed te kunnen behandelen. Ons doel is de experts van over de hele wereld samen te brengen en tot overeenstemming te komen over de belangrijkste aspecten van deze spierziekte. Een zogeheten 'clinical care guideline' (een soort gids met betrouwbare, wetenschappelijke adviezen) zou weer een gigantische stap zijn voor zowel artsen als patiënten.

#### Financieel en Begroting

2023 was financieel een goed jaar voor Stichting Voor Sara, met in totaal 223.000 euro aan inkomsten via donaties, ten opzichte van een begroot bedrag van 105.000 euro. De uitgaven lagen met 283.000 euro wel hoger dan de begrote 104.500 euro. Dit is voornamelijk veroorzaakt door eerder toegezegde bijdrages aan wetenschappelijk onderzoek welke in 2023 daadwerkelijk betaald zijn (180.000).

#### **409 Governance**

Stichting Voor Sara bestaat uit een bestuur, bestaande uit Bram Verbrugge (voorzitter), Ilse van Driel (secretaris) en Koen Huisman (penningmeester). In principe probeert Stichting Voor Sara al het werk dankzij vrijwilligers te laten gebeuren. Alleen de voorzitter krijgt betaald voor zijn werk voor de stichting om de continuïteit van de stichting te waarborgen. De overige bestuurders doen dit onbezoldigd. In 2021 is de raad van toezicht actief begonnen om de toezicht op de organisatie te waarborgen. Ook zijn er enkele medische adviseurs aan de stichting verbonden om inhoudelijke kennis te kunnen raadplegen.

Als voorzitter ben ik erg trots op ons bestuur en alle vrijwilligers en donateurs die aan dit succes hebben bijgedragen. Ik ben dankbaar voor het vertrouwen van de Raad van Toezicht voor de fulltime aanstelling, in mijn ogen een belangrijke stap in de verdere professionaliseringslag van Stichting Voor Sara. We zijn nog altijd ontzettend blij met Rico Verhoeven als ambassadeur en kijken met vertrouwen naar 2024. Komend jaar verwachten we nieuwe stappen te kunnen maken op weg naar een behandeling voor alle patiënten met Lama2MD/MDC1A. Voor alle acties, mediamomenten en ander nieuws verwijs ik naar onze website [www.voorsara.nl](http://www.voorsara.nl) en onze social media kanalen. Daar is het hele jaar alles gepubliceerd.

Dordrecht, 18 juni 2024

Bram Verbrugge  
Voorzitter Stichting voor Sara