



Stichting ALS Nederland



Jaarverslag 2010

29 september 2011

Inhoudsopgave

Inhoudsopgave.....	1
Voorwoord.....	2
Hoofdstuk 1: Over de Stichting.....	3
Hoofdstuk 2: Doelstellingen en kernresultaten	4
Hoofdstuk 3: Onderzoek en behandeling – ALS Centrum.....	6
Hoofdstuk 4: Voorlichting en communicatie	8
Hoofdstuk 5: Fondsenwerving.....	12
Hoofdstuk 6: Organisatie & Bestuur.....	15
Hoofdstuk 7: Financiën.....	19
Hoofdstuk 8: Controleverklaring	21
Hoofdstuk 9: Begroting 2011.....	23
Hoofdstuk 10: Jaarplan 2011	25
Annex 1 – Verantwoordingsverklaring CBF.....	30
Annex 2 – ALS Centrum Nederland Verslag 2010.....	34

Voorwoord

Focus en samenwerking



In 2010 hebben 300 mensen de diagnose Amyotrofische Laterale Sclerose (hierna: ALS) gekregen. Wat begon met een klapvoet of moeilijk praten, heeft nu een naam. Het perspectief is bijna even genadeloos als de ziekte: gemiddeld overlijdt een patiënt 3 jaar na het stellen van de diagnose. We hebben in 2010 daarom ook weer afscheid moeten nemen van dierbaren. In dit kalenderjaar zijn 281 mensen overleden aan ALS, waaronder ons bijzondere bestuurslid Theodoor Doyer.

Afscheid nemen lijkt centraal te staan in deze ziekte. Afscheid nemen van functies. Afscheid nemen van steeds kleine stukjes van het leven. En toch zien wij als Stichting ALS Nederland (hierna: de Stichting) vrijwel dagelijks mensen opstaan om nieuwe dingen op te pakken. Om acties te organiseren. Om het gevecht aan te gaan voor iedereen die in de toekomst getroffen wordt door ALS. Zodat we ooit die doorbraak kunnen faciliteren waarmee ALS voorgoed van de kaart geveegd wordt.

Tot die tijd moeten we balanceren tussen het investeren in oplossingen voor ALS voor de toekomst, en het dragelijker maken van het leven voor patiënten nu. Ook daarin vonden wij het afgelopen jaar een belangrijke partner in Prof Dr Leonard H. van den Berg en ALS Centrum Nederland (hierna: het ALS Centrum). Dit bijzondere centrum, waar de laatste inzichten worden verzameld en kennis en expertise worden gebundeld, is mogelijk dankzij een unieke samenwerking van de Stichting en drie Academische ziekenhuizen (het AMC, het UMC St Radboud en het UMC Utrecht). Hier wordt dagelijks het bewijs geleverd dat focus en samenwerking de resultaten versnellen.

In 2010 kwam de Stichting voor het eerst totaal op eigen benen, na jarenlang onder de vleugels stichtingsbureau MvB Profit for Non Profit gezeteld te hebben. Zelfstandig, maar niet geïsoleerd. De vele vrijwilligers die zich inzetten voor de Stichting bewijzen dat. Allemaal mensen die, vaak in groepsverband, evenementen organiseren, tochten ondernemen en stukken schrijven om de Stichting te ondersteunen. Hun wil ik hier heel graag dank zeggen voor alle bijzondere bijdragen.

De mensen om de Stichting heen demonstreren dagelijks hoe de strijd tegen de ziekte kracht kan geven. Dat groei mogelijk is. Het behoud van focus is daarvoor een randvoorwaarde. 2010 stond in het teken van de verzelfstandiging. De toekomst staat in het teken van focus en samenwerking: ALS op de Kaart – ALS van de Kaart. We kunnen het, als we ons samen sterk maken in de strijd tegen deze genadeloze ziekte.



Marguerite Soeteman-Reijnen
Voorzitter Bestuur

Hoofdstuk 1: Over de Stichting

1.1 Wat is ALS?

Amyotrofische laterale sclerose (ALS) is één van de meest ernstige en invaliderende aandoeningen van het zenuwstelsel. Door ALS sterven de motorische zenuwcellen in het ruggenmerg en het onderste deel van de hersenen af. Hierdoor komen de signalen vanuit de hersenen niet meer aan bij de spieren. ALS leidt tot progressieve zwakte van spieren in armen, benen, gelaat en romp. Zwakte van de ademhalingsspieren is vaak de oorzaak van overlijden. Hoe snel dat gaat verschilt van persoon tot persoon, maar de gemiddelde levensverwachting van een ALS-patiënt is slechts drie jaar.

Jaarlijks overlijden 125.000 mensen wereldwijd aan ALS. De ziekte komt in de hele wereld met dezelfde frequentie voor - Nederland telt op dit moment ongeveer 1.350 patiënten. Ieder jaar krijgen 450 Nederlanders de diagnose ALS. Het aantal mensen dat jaarlijks in Nederland overlijdt aan ALS is bijna gelijk aan het aantal verkeersdoden, is evenveel als bij MS en wel vier maal het aantal HIV/AIDS doden. En toch is ALS nog steeds zeer onbekend.

1.2 De Stichting

De Stichting is in 2005 opgericht uit een fusie van drie stichtingen:

- Stichting ALS Onderzoeksfonds: opgericht in de jaren tachtig door mevrouw Constance Harvey om naast de VSN specifieke aandacht te besteden aan de ziekte. Haar initiatief vertakte zich in de loop van de jaren negentig in twee stichtingen, waarvan er één zich specifiek richtte op fondsenwerving voor wetenschappelijk onderzoek; Stichting ALS Onderzoeksfonds. De andere richtte zich speciaal op patiëntenondersteuning: Stichting Valscherm.
- Stichting Valscherm: opgericht door Vincent Straatman (zelf ALS patiënt) met maar één doelstelling: "ALS op de kaart, ALS van de kaart". Jaarlijks organiseerde de stichting activiteiten voor patiënten. En dat blijven we doen, alleen nu onder de vlag van de gezamenlijke Stichting.
- Stichting ALS Centrum Nederland: opgericht in december 2001 door Herman de Jong met als belangrijkste doelstelling de oprichting van een kenniscentrum. Dat is het ALS Centrum geworden (waarover elders meer). Het ALS Centrum neemt nog steeds een prominente plaats in ten opzichte van de Stichting.

Sinds 2009 heeft de Stichting het keurmerk van het Centraal Bureau Fondsenwerving (hierna: het CBF).

Hoofdstuk 2: Doelstellingen en kernresultaten

2.1 Onze missie

De Stichting wil op de eerste plaats ALS de wereld uit helpen: “ALS op de kaart, ALS van de kaart”. Daarvoor is veel wetenschappelijk onderzoek nodig. Maar er is nog een lange weg te gaan. Daarom heeft de Stichting daarnaast als doel de kwaliteit van zorg in Nederland te waarborgen, en op te komen voor de belangen van mensen met ALS. Kortom, de missie van de Stichting is: het stimuleren van wetenschappelijk onderzoek naar de oorzaken en behandeling van ALS en het creëren van een betere kwaliteit van leven van ALS-patiënten en hun omgeving.

2.2 Strategische doelen

Uit bovenstaande missie vloeien de volgende strategische doelen voort:

- Het bevorderen van onderzoek naar oorzaken van en mogelijkheden ter voorkoming, genezing en behandeling van de ziekte ALS.
- Het bieden van een platform voor patiënten, familie en omgeving.
- Het verbeteren van de kwaliteit van leven van ALS-patiënten.



2.3 Kerndoelen

Om bovenstaande strategische doelen te kunnen realiseren, werken we met de in het jaarplan 2010 vastgelegde kerndoelen:

- Het in stand houden van het ALS Centrum en het opzetten van een Europees Trial Centre waar meer onderzoek, in Europees verband, verricht kan worden. In het ALS Centrum bundelen het Academisch Medisch Centrum Amsterdam (hierna: het AMC), het Universitair Medisch Centrum St Radboud Nijmegen (hierna: het UMC St Radboud) en het Universitair Medisch Centrum Utrecht (hierna: het UMC Utrecht en gezamenlijk met het AMC en het UMC St Radboud: de drie Academische ziekenhuizen) op unieke wijze de krachten onder leiding van Prof Dr Leonard H. van den Berg. Het ALS Centrum heeft de volgende taken: een snellere diagnosticering, betere begeleiding van patiënten, zorgvernieuwing, revalidatie en behandeling van patiënten, revalidatie en behandeling van patiënten en het verrichten van onderzoek naar oorzaak en genezing van ALS.
- Fondsenwerving: het vergroten van het aantal donateurs (van 5.000 naar 50.000) en het werven van fondsen voor de uitvoering van de activiteiten van de Stichting en de financiering van het ALS Centrum voor de komende 5 jaar (tot en met 2012). Doelstelling hierbij is om de inkomsten uit fondsenwerving te verveelvuldigen ten opzichte van 2005-2007, en de inkomstenstroom te stabiliseren.
- Het geven van bekendheid aan de ziekte ALS en de Stichting, teneinde meer steun en begrip voor de patiënten en hun naasten te creëren. Het bestuur van de Stichting (hierna: het Bestuur) wil in het eerste jaar minimaal 1 communicatiecampagne ontwikkelen en uitvoeren.
- Het zorgdragen voor emotionele belangenbehartiging, het verstrekken van informatie en het bieden van een communicatieplatform aan patiënten, naasten en nabestaanden. De Stichting heeft een loketfunctie voor iedereen die iets over ALS wil weten, hulp nodig heeft of iets voor ALS wil doen.

2.4 Realisatie van strategische doelen

2010 was, met de overgang naar een eigen vaste organisatie, een turbulent jaar. Het verslag van het ALS Centrum (zie annex 2 bij dit jaarverslag) geeft een duidelijke vooruitgang weer op elk van de strategische doelen.



Hoofdstuk 3: Onderzoek en behandeling – ALS Centrum

3.1 De Stichting en het ALS Centrum

ALS is een ‘weesziekte’ - zo zeldzaam dat de ontwikkeling van een geneesmiddel voor de farmaceutische industrie niet rendabel is. Door bundeling van kennis en expertise, ondersteund door het feit dat inmiddels 90% van de patiënten op enig moment in hun ziekte wordt gezien op het ALS Centrum, is het niet alleen de plaats voor zorg op maat, maar ook voor onderzoek naar de oorzaak en behandeling van ALS. Behoud van het ALS Centrum is dus een belangrijke pijler om de doelstellingen van de Stichting te verwezenlijken.

Op basis van een samenwerkingsovereenkomst d.d. mei 2008 hebben de Stichting en de drie Academische ziekenhuizen zich voor de eerste jaren gecommitteerd om een jaarlijkse financiële bijdrage te leveren aan de financiering en instandhouding van het ALS Centrum.



3.2 Resultaten ALS Centrum

Dankzij de steun van Stichting is snellere diagnose mogelijk en worden nu verschillende onderzoeken naar de oorzaak, de zorg en de behandeling van ALS uitgevoerd. Voor een uitgebreid verslag van activiteiten en resultaten van het ALS Centrum wordt verwezen naar het jaarverslag van het ALS Centrum (zie annex 2 bij dit jaarverslag).

De Stichting is de stabiele drijvende kracht achter het ALS Centrum. Het past daarom om de belangrijkste resultaten behaald in 2010 dankzij de Stichting, ook in dit jaarverslag te melden:

3.2.1 Onderzoek naar de oorzaak en behandeling van ALS

Onderzoeken in 2010 richtten zich op de genetische en omgevingsrisicofactoren, neurofysiologie en fenotypering van ziekten die lijken op ALS of na verloop over kunnen gaan in ALS. Een bijzonder succes werd behaald in 2010 betreffende internationale samenwerking. Met 14 collega-onderzoekers uit diverse Europese landen werd een EU subsidie verkregen van bijna 9 miljoen euro voor de komende 5 jaar. Dit ALS project, aangevraagd en gecoördineerd vanuit het UMC Utrecht, is een mooie kans de komende jaren internationale samenwerking en uitwisseling van onderzoeksgegevens te bevorderen. Tevens is op initiatief van de Stichting en het ALS Centrum de European Network for the Cure of ALS (ENCALS) opgericht, een samenwerkingsverband van Europese ALS centra en onderzoeksinstituten met als doel door middel van optimale samenwerking de oorzaak en behandeling van ALS te ontdekken.

In totaal liepen er in 2010 bij/via het ALS Centrum 24 verschillende onderzoeken. Door steun aan de instandhouding van het ALS Centrum maakt de Stichting de infrastructuur daarvan mogelijk. Daarnaast heeft de Stichting een belangrijke financiële bijdrage geleverd aan zes van deze onderzoeken, te weten:

- PAN = prospectief ALS onderzoek Nederland
- De ontwikkeling van nieuwe therapeutische mogelijkheden bij ALS
- De meerwaarde van intensieve zorg-coaching in de behandeling en begeleiding van patiënten met ALS

- Speekselvloed bij ALS
- Ontwikkelen nieuwe klinimetrisch verantwoorde vragenlijst om gedragsveranderingen bij ALS-patiënten te kunnen vaststellen.
- Beademing bij ALS patiënten: kan verwijzing beter?

3.2.2 Zorg(coördinatie)

Gespecialiseerde zorg op maat bieden is één van de kerntaken van het ALS Centrum. Het aantal patiënten dat wordt gezien in het ALS Centrum neemt elk jaar toe: het is een indicatie dat de neurologen het ALS Centrum (er)kennen. In totaal zijn er in 2010 580 patiënten gezien (ten opzichte van 230 in 2003). Dat zijn ruim elf nieuwe patiënten per week.

75% van de patiënten is binnen één week na aanmelding opgeroepen, 95% binnen twee weken. In tevredenheidsonderzoek wordt hierover zeer positief geoordeeld. Minstens zo belangrijk: meer dan 95% kreeg binnen één week de juiste diagnose.

Dankzij de goede afstemming tussen de drie Academische ziekenhuizen wordt er ten aanzien van de diagnostiek en behandeling van patiënten vrijwel identiek gewerkt. Daarnaast wordt gewerkt aan (verbetering van) behandelrichtlijnen, met name voor de paramedici: een verbeterslag die in de loop van 2011 wordt afgerond.

Het ALS Centrum is een belangrijk knooppunt in de eenduidige informatievoorziening en scholing. De website vervult hierin een belangrijke rol, met gemiddeld 2.000 bezoekers en 20–40 vragen per maand. Naast algemene informatievoorziening, is eind 2009 ook gestart met digitale zorg via het web. De eerste resultaten daarvan, in het UMC Utrecht, zijn positief. In 2011 zal in het AMC worden gestart met digitale zorg en e-consulten.



Hoofdstuk 4: Voorlichting en communicatie

4.1 Het belang van bekendheid

De kleine patiëntenbasis door het snelle verloop van ALS bemoeilijkt niet alleen onderzoek naar de oorzaak en behandeling van de ziekte, maar verkleint ook de zichtbaarheid. Het vergroten van de bekendheid met de ziekte, dient een aantal doelen:

- Het vergroten van steun en begrip voor patiënten en diens naasten.
- Het beter behartigen van belangen door het inzicht (en het begrip van urgentie) van ambtenaren en zorghulpverleners te vergroten.
- Het vergroten van het draagvlak bij overheden en farmaceuten om onderzoek te stimuleren.
- Het ondersteunen van fondsenwerving door de Stichting.

De bijdrage van communicatie aan de doelstelling van de Stichting is groot, al varieert de breedte en diepgang van de inspanningen sterk per doelgroep.

4.2 Informatie voor patiënten, naasten en nabestaanden

Het is van belang dat mensen die met ALS in contact komen goede en betrouwbare informatie kunnen inwinnen over ALS. In principe wordt deze informatie aangereikt door het ALS Centrum en de Vereniging Spierziekten Nederland (hierna: VSN), die de rol van patiëntenorganisatie vervult voor mensen met ALS. De Stichting heeft een loketfunctie voor iedereen die iets over ALS wil weten, hulp nodig heeft of iets voor ALS wil doen.

Naast feitelijke informatievervalsing, heeft de Stichting ook een rol in de emotionele belangenbehartiging. Het ALS Dank magazine van de Stichting speelt daarin een grote rol, naast de jaarlijkse patiëntendag. Een overzicht van de verschillende middelen en activiteiten op dit gebied treft u in de navolgende paragrafen.

4.2.1 Website

De Stichting heeft een loketfunctie voor iedereen die iets over ALS wil weten, hulp nodig heeft of iets voor ALS wil doen. Het internet vervult hierin een belangrijke functie. Met ondersteuning van Jonnie Franssen is in 2007 een website gebouwd die ondersteund wordt door eenvoudig content management systeem. Het geeft de Stichting de flexibiliteit om snel op de actualiteit in te spelen.

De website wordt vaak bezocht. In 2010 werden geteld:

- 75.050 bezoekers, waarvan 52.782 unieke bezoekers.
- 362.077 page visits.

Op de website is veel informatie te vinden. Echter, de veelheid aan berichten en de grote diversiteit aan doelgroepen zorgt ervoor dat de site minder toegankelijk is dan gewenst. In 2011 zal opnieuw naar de website gekeken worden, om die meer te integreren in het totale communicatielandschap en beter aan te laten sluiten bij de doelgroepen en beoogde functies van de website.

Search Engine Advertising wordt ingezet om de functie van de website als loket te versterken. Het moet geïnteresseerden versneld naar de website leiden.

4.2.2 ALS Dank



ALS Dank is het magazine voor iedereen die zich met de Stichting verbonden voelt. De distributie is dus niet gelimiteerd tot donateurs. ALS Dank wordt 3 maal per jaar uitgebracht met een gemiddelde oplage van 9.000 exemplaren.

De redactie bestond in 2010 uit de directeur en de office manager van de Stichting en Mieke Lamers, freelance journaliste. Medio 2010 is gekozen voor een andere opzet en andere styling. Met de komst van Stella de Regt (eindredacteur), Rens Groenendijk (freelance journalist), Conny van der Meijden (ALS patiënt en eindredacteur van VSN) en Ineke Zaal (PR & Event manager) ontstond er een professionele redactie. Wat eerst een nieuwsbrief was in 'bulletin'-opmaak, werd in 2010 gerestyled. Vanaf 2011 ligt er voor geïnteresseerden een magazine: ALS Dank nieuwe stijl.

4.2.3 Wereld ALS dag 2010

Jaarlijks vindt op 21 juni Wereld ALS dag plaats. Op deze dag wordt internationaal stilgestaan bij de ziekte ALS en de patiënten. In veel landen worden er activiteiten en evenementen georganiseerd.

2010 markeerde een lustrum: op zondag 20 juni werd voor de tiende keer een speciale dag voor mensen met ALS en hun naasten georganiseerd. Dit speciale jaar is er voor gekozen om met alle bezoekers van Wereld ALS dag een dag te varen op het schip van het Rode Kruis de MPS J. Henry Dunant. In totaal 300 mensen hebben intens genoten. Een bezoeker schreef naar aanleiding van die bijzondere dag:

"Ik kan en wil het niet nalaten, om de Stichting ALS met alle organisatoren, vrijwilligers, crew Henri Dunant, zang-duo en alle mensen, die op welke manier dan ook betrokken zijn geweest bij deze dag, VETTE complimenten maken voor dit geweldige evenement! Menig traantje is weggepinkt door mensen, die even pijn en leed vergaten en omringd door familie en vrienden, die van hen houden, konden ontspannen en genieten! Wij hebben van zeer dichtbij de betrokkenheid gemerkt, gevoeld en gekregen !!!"

Het geeft de relevantie van dergelijke bijeenkomsten aan, naast de lotgenoten contactdagen die door VSN worden georganiseerd. Ontmoetingen, on- en off-line, zullen binnen de Stichting dan ook een belangrijke plaats houden.



4.3 Bredere bekendheid

Wat is ALS? Wat betekent de ziekte voor de mensen die ermee geconfronteerd worden? Het is van belang dat mensen goed geïnformeerd worden over ALS. De Stichting heeft hierin een centrale rol – die nadrukkelijker benoemd moet worden, aangezien met veel kleinere initiatieven buiten de Stichting om het risico van versnippering ontstaat.

4.3.1 ALS-merk

ALS moet herkenbaar op de kaart worden gezet – zo eenduidig mogelijk. Tot 2010 was het beeldmerk van de Stichting een woordlogo ondersteund door het beeld van een vogel. Dat logo was echter niet passend en niet meer echt van deze tijd. Op advies van Publicis heeft de Stichting het logo veranderd, waarbij de kracht van de adelaar werd omgebogen door een verbeelding van de ziekte zelf. Het nieuwe logo geeft aan dat door de ziekte ALS (in het beeld worden de letters steeds dunner) de patiënt voortdurend geconfronteerd wordt met lichamelijke uitval en je steeds verder verzwakt.

4.3.2 Public Relations & Voorlichting

Free publicity is één van de belangrijkste pijlers voor het vergroten van de bekendheid van ALS. De Stichting zoekt de publiciteit met activiteiten en evenementen, maar benadert ook proactief redacties voor achtergrondartikelen. In 2010 was de ziekte veel in beeld bij verschillende tijdschriften, op radio en op televisie.

4.3.3 Publiekscampagne

Met de doelstelling om ALS breder bekendheid te geven, is in 2010 in samenwerking met Publicis en Issuemakers een start gemaakt met de opzet van een nieuwe campagne, die in 2011 live zal gaan.

4.4 Activatie

Informatie is een belangrijke eerste stap in het vergroten van de slagkracht van de Stichting. Uiteindelijk echter, wil de Stichting zoveel mogelijk mensen ook werkelijk in beweging krijgen en een bijdrage laten leveren in de strijd tegen ALS. Met activatie-activiteiten willen we mensen aanzetten tot donatie in de vorm van:

- Geld – donaties als persoon of bedrijf.
- Middelen – donaties van gratis goederen.
- Tijd – vrijwilligers, acties derden.
- Netwerk – het betrekken van de sociale context.

4.4.1 Actiesite

Een groot deel van de donaties die bij de Stichting binnenkomen, zijn het resultaat van lokale acties, georganiseerd door vrienden, collega's en familie van bekenden. Deze zogenaamde 'Acties derden' worden ondersteund door een actiesite die de Stichting als losse module inkoop: www.alsvrienden.nl. De organisatoren van evenementen kunnen er hun persoonlijke verhaal op kwijt en kunnen hun netwerk actief wijzen op hun specifieke actie. Op de gebruiksvriendelijkheid en technische performance van de actiesite is nog wat af te dingen, maar de resultaten zijn over het vorige jaar nog steeds aanzienlijk: in 2010 zijn er 22 acties opgezet in www.alsvrienden.nl, die samen EUR 73.580,- hebben opgehaald voor de Stichting.



4.4.2 Sociale media

In 2010 is de aanwezigheid van de Stichting op de sociale media enorm toegenomen. Inmiddels is de Stichting overal terug te vinden: op LinkedIn, Facebook, Twitter en dankzij Roy Venhuis ook op Hyves. Net als de actiesite levert dat de Stichting de mogelijkheid om op een laagdrempelige manier in contact te blijven met donateurs en geïnteresseerden.



Hoofdstuk 5: Fondsenwerving

Het werven van fondsen is een randvoorwaarde voor de uitvoering van de activiteiten van de Stichting. Daarbij wordt onderscheid gemaakt tussen legaten, particuliere schenkingen, eigen acties (TRAP & gala), acties derden en fondsen.

5.1 Resultaten

De doelstelling om resultaten van 2005-2007 te verdubbelen werd reeds in 2009 gehaald. Gezien alle veranderingen in de organisatie van de Stichting werd de doelstelling geformuleerd om de resultaten vast te houden op het niveau van 2009 – met een totale inkomsten van EUR 1.450.693.

In 2010 werden inkomsten gegenereerd ter waarde van EUR 1.961.760,- afkomstig uit de volgende bronnen:

- Nalatenschappen: 17,97%.
- Donaties: 32,86%.
- Specifieke bijdrage onderzoek: 5,10%.
- Eigen acties: TRAP 9,98%.
- Verkoop goederen: 0,15%.
- Acties derden:
 - Benefietlunch 11,57%.
 - Gala 22,37%.

5.2 Legaten

In Nederland krijgen steeds meer goede doelen geld uit nalatenschappen. Over de mogelijkheden en voordelen van nalaten aan een stichting wordt steeds meer gecommuniceerd. Voor de Stichting was de opbrengst uit nalatenschappen in 2010 EUR 352.515.

5.3 Particuliere donaties

Het merendeel van de particuliere donaties komt uit de directe patiëntenkring. In totaal is er in 2010 EUR 644.683 opgehaald aan particuliere donaties. Over het jaar 2010 bestond het donateursbestand uit 450 vaste donateurs.

5.3.1 Het gala

Het gala is een particulier initiatief waarvan de Stichting de beneficiënt is. De organisatie van het gala 2010 was net als in de twee voorgaande jaren in handen van vrienden van en rond Weert-Jan Weerts, zijnde Renee Sajet en een team van medevrijwilligers. Het thema van het gala was Grande Finale. Het gala vond plaats op 11 september 2010 in Grand Hotel Huis ter Duin in Noordwijk. Het was wederom een meer dan bijzondere avond. Artiesten, waaronder X-factor winnaar Jaap van Reesema en girl band "Too hot to handle" traden op. Ook vaste presentator Ivo Niehe was er weer bij, ditmaal bijgestaan door Robbert ten Brink. De 350 gasten genoten van een heerlijk diner, prachtige muziek en een dansfeest. Ook de veiling leverde veel geld op. Mooie prijzen, variërend van kunst tot reizen, werden beschikbaar gesteld.

De opbrengst van dit 2010 gala was EUR 438.850. In totaal is er tijdens de drie gala's ruim een miljoen euro netto opgehaald. Die opbrengst is bestemd voor twee onderzoeken die in het jaarverslag van het ALS Centrum (zie annex 2 bij dit jaarverslag) genoemd worden: "Nederlands Centrum voor ALS Geneesmiddel Ontwikkeling" en "algemeen wetenschappelijk onderzoek".

5.4 Bedrijfsdonaties

Het bedrijfskanaal is tot op heden weinig ontgonnen. Veel bedrijfsdonaties zijn (oud-)werkgeversdonaties. Door kruisbestuiving met het particuliere bestand zouden, in het kader van maatschappelijke verantwoordelijkheid, meer bedrijfsdonaties mogelijk moeten zijn.

De Stichting is NIBC bijzonder erkentelijk voor de bijdrage in natura in de vorm van een benchmarking studie in 2010.

5.5 Service clubs & verenigingen

Steeds meer mensen slaan de handen ineen in de strijd tegen ALS. Ook Service Clubs als de Rotary & Lions zetten zich in toenemende mate voor in voor de Stichting.

5.5.1 Vereniging het Verschil

Bijzondere vermelding hierbij verdient de Vereniging Het Verschil (VHV). Tijdens een feestelijke bijeenkomst in juni 2010 in Beachclub Culpepper heeft VHV in aanwezigheid van de VHV leden een cheque overhandigd aan de penningmeester van de Stichting Weert-Jan Weerts. De cheque was voor een bedrag van EUR 155.682, dat VHV in 2008 en 2009 voor de Stichting heeft opgehaald. Het bedrag zal worden besteed aan wetenschappelijk onderzoek.

5.6 Eigen acties: TRAP ALS de Wereld Uit

De Stichting organiseerde in 2010 ook weer een serie evenementen onder de overkoepelende titel TRAP ALS.

In 2010 is voor de vijfde keer op rij het evenement 'TRAP ALS de Wereld uit' georganiseerd. Jaarlijks worden vrijwilligers geworven om teams samen te stellen die op zoveel mogelijk plaatsen in Nederland een fietstocht organiseren. Naast het werven van deelnemers (fietsers) heeft het evenement zich ook in een andere richting gemanifesteerd. Zo worden er inmiddels naast fietstochten ook andere fondsenwervende activiteiten georganiseerd. Er wordt gewandeld, gespind en er worden loterijen en veilingen gehouden.

Ongeacht de gekozen activiteit krijgt ieder team de boodschap mee om zoveel mogelijk geld in te zamelen voor de Stichting. In 2010 waren er 14 teams actief. Gezamenlijk haalden zij EUR 195.861 op.



5.7 Fondsen

De Stichting werkt voor de uitvoering van haar doelstellingen samen met andere stichtingen, zoals VSN. Hoewel incidenteel, wordt ook geld voor zorg en onderzoek ontvangen vanuit deze fondsen.

5.7.1 Particuliere stichtingen

Van particuliere stichtingen heeft de Stichting in 2010 EUR 138.740 ontvangen.

5.7.2 VriendenLoterij

De Stichting is beneficiënt van de Vrienden Loterij. Slechts een beperkt aantal mensen speelt mee voor de Stichting, gemiddeld 22 loten per trekking. De resultaten waren derhalve beperkt tot EUR 512,-. Ten dele komt dit door de onbekendheid van ALS (weinig 'spontane' deelnemers), ten dele ook door het feit dat wie iets wil doen in de strijd tegen ALS, dit actiever oppakt dan door participatie aan een loterij. De verwachting is dat deze vorm van fondsenwerving relevant is voor 3^e en 4^e graads-relaties, op wie tot op heden weinig marketingactiviteiten gericht zijn geweest.

5.8 Donor relationship management

Het adressenbestand van de Stichting groeide in 2010 van 6.000 naar 6.428 mensen, variërend van patiënten, nabestaanden, geïnteresseerden, vrijwilligers en financieel donateurs. Wie geregistreerd staat in de database van de Stichting krijgt gratis informatie toegestuurd – daar staat geen (financiële of andere) verplichting tegenover. Iedere 'vriend van ALS' krijgt het tijdschrift van de Stichting: ALS Dank.

Binnen de Stichting werd niet of nauwelijks gesegmenteerd. Een goed customer relationship management (hierna: CRM) systeem is noodzakelijk om de verschillende groepen beter te kunnen bedienen. De Stichting werkte met een CRM systeem waarvan de leverancier eind 2009 failliet is gegaan. Dit pakket voldeed qua functionaliteit niet meer aan de huidige eisen en wensen. Ondersteuning op de software bleef nog min of meer mogelijk, maar het toekomstbeeld van het pakket is onzeker.

Om die reden is in 2010 gestart met een inventarisatie van wensen en eisen, in de zoektocht naar een passende oplossing voor de toekomst. In 2011 zal de Stichting een nieuw systeem implementeren om zodoende de mogelijkheden van een toegespitste donor relationship management-strategie beter te kunnen benutten.



Hoofdstuk 6: Organisatie & Bestuur

De Stichting was in 2009 gevestigd te Apeldoorn, maar heeft sinds 2010 haar kantoor aan de Zekeringstraat 42, 1014 BT te Amsterdam en staat ingeschreven bij de Kamer van Koophandel te Amsterdam onder nummer 34219945. De Stichting is bij de belastingdienst geregistreerd als Algemeen Nut Beogende Instelling (ANBI) en beschikt over het keurmerk van het CBF.

6.1 Structuur

Het Bestuur is belast met het besturen van de Stichting. Het Bestuur bepaalt het beleid, stelt de financiële richtlijnen vast en heeft de eindverantwoordelijkheid van de dagelijkse leiding.

Het Bestuur wordt ter uitvoering van haar taak bijgestaan door het bureau van de Stichting (hierna: het Bureau). Vanaf het begin in 2005 heeft de Stichting gebruik gemaakt van een extern bureau, MvB profit for non profit, onder leiding van Monique van Bijsterveld. Sinds 2010 heeft de Stichting zelf medewerkers in dienst en vervult het Bureau, ondersteund door vrijwilligers, een centrale rol in de uitvoering van de activiteiten.

6.2 Bestuur

Het Bestuur bestaat uit een door het Bestuur vast te stellen aantal van ten minste vijf natuurlijke personen. Het Bestuur kiest uit zijn midden een voorzitter, een secretaris en een penningmeester. De functies van secretaris en penningmeester kunnen niet door één persoon worden vervuld. De voorzitter, secretaris en penningmeester vormen gezamenlijk het dagelijks bestuur. De bestuursleden worden benoemd en geschorst door het Bestuur.

Ingeval van één of meer vacatures in het Bestuur behoudt het Bestuur zijn bevoegdheden. Bij het ontstaan van één (of meer) vacature(s) in het Bestuur, zullen de overblijvende bestuursleden met algemene stemmen (of zal het enige overblijvende bestuurslid) binnen twee maanden na het ontstaan van de vacature(s) daarin voorzien, door de benoeming van een (of meer) opvolger(s), tenzij het Bestuur besluit de vacature(s) niet te vervullen en het aantal bestuursleden dienovereenkomstig te verminderen, zulks met inachtneming van het hierboven genoemde aantal van ten minste vijf natuurlijke personen.

De leden van het Bestuur worden benoemd voor een periode van ten hoogste 4 jaar. Zij treden periodiek af volgens een door het Bestuur op te maken rooster van aftreden. Bestuursleden kunnen na hun aftreden tweemaal worden herbenoemd voor een periode van ten hoogste 4 jaar.

6.2.1 Bestuurswisselingen 2010

In 2010 is de Stichting geconfronteerd met grote wisselingen.

Verdrietig werd in november afscheid genomen van bestuurslid Theodoor Doyer: een markante nuchtere persoonlijkheid die zijn bekendheid verwierf op hockeyclub Bloemendaal en later in het Nederlands Hockey Elftal. Theo leed ook aan de ziekte ALS. Op ingetogen wijze streed hij om ALS een halt toe te roepen.

Jim Jansen verliet eind 2010 het Bestuur om zijn carrière voort te zetten in de VS. Jim heeft op unieke en toonaangevende wijze de internationale samenwerking meer vorm gegeven. Samen met Prof. Dr. Leonard H. van den Berg is hij één van de grondleggers geweest van ENCALS (de Europese samenwerking van ALS centra) en heeft hij de contacten met de Amerikaanse ALS organisatie aangehaald.

Na maar liefst 10 jaar bestuurlijk vereenzelvigd te zijn met ALS, gaf Bert Bunnik eind 2010 zijn rol als bestuursvoorzitter over aan Marguerite Soeteman-Reijnen. Het commitment van Bert Bunnik is exceptioneel geweest. De Stichting is dan ook verheugd dat Bert zijn betrokkenheid voort wil zetten vanuit de Raad van advies.

Ten gevolge van bovenstaande ontwikkelingen en gezien de ambitieuze doelstellingen is het bestaande Bestuur uitgebreid met Rhoderick van der Wyck, Arnout Bloys van Treslong, Kees Westermann en Bouke Marsman. Het Bestuur werd door deze aanvullingen versterkt met de disciplines operations, marketing, juridische zaken en consultancy. Weert-Jan, in 2010 geëerd met de ALS strijder, heeft binnen het Bestuur een andere rol ingenomen en heeft medio december zijn penningmeesterschap overgedragen aan Rhoderick van der Wyck.

Per 31 december 2010 is de bestuurssamenstelling derhalve als volgt:

Mr Marguerite Soeteman-Reijnen Voorzitter sinds december 2010, Bestuurslid sinds 2009

- Vakgebied: Financiële Dienstverlening
- Functie: Group Managing Director, Aon Risk Solutions
- Nevenfuncties: Lid Vereniging Het Verschil, Lid RvC Madurodam B.V. (sinds juni 2011)

AnneMarie Calon, Secretaris sinds 2008, Bestuurslid sinds 2005

- Vakgebied: Zakelijke dienstverlening.
- Functie: partner Work on Progress te Utrecht, Training –en Coaching bureau voor duurzame gedragsverandering
- Nevenfuncties: Voorzitter Stichting Cultural Creatives Nederland.

Drs Rhoderick van der Wyck, Penningmeester sinds januari 2011, Bestuurslid sinds 2010

- Vakgebied: Finance & Operations
- Functie: Director of Global Contract Operations, British Telecom
- Nevenfuncties: Bestuurslid Schoolvereniging Wolters

Mr Weert-Jan Weerts, Bestuurslid sinds 2007, Penningmeester tot dec 2010

- Vakgebied: financiën en vermogensbeheer
- Functie: Director Currency Management, Global Markets, Fortis Bank Nederland NV (tot 1/2008)
- Nevenfuncties: geen

Drs Arnout Bloys van Treslong, Bestuurslid sinds 2010

- Vakgebied: Marketing
- Functie: Directeur Marketing Private Banking, ING
- Nevenfuncties: geen

Mr Kees Westermann, Bestuurslid sinds 2010

- Vakgebied: Bank- en effectenrecht
- Functie: Advocaat, Linklaters LLP
- Nevenfuncties: geen

Drs Bouke Marsman, Bestuurslid sinds 2010

- Vakgebied: IT
- Functie: Chief Financial Officer, Spotzer
- Nevenfuncties: Lid van het bestuur van de IESE business school alumni vereniging Nederland

6.2.2 Vergoedingen

De bestuursleden ontvangen voor hun bijdrage aan de Stichting geen bezoldiging, middellijk noch onmiddellijk. Onder bezoldiging wordt niet verstaan een redelijke vergoeding voor de ten behoeve van de Stichting gemaakte kosten en voor door hen voor de Stichting verrichte uitvoerende werkzaamheden, alsmede niet bovenmatige vacatiegelden. Alle aan de bestuursleden betaalde vergoedingen worden als zodanig in de jaarrekening opgenomen en toegelicht.

6.2.3 Verantwoordingsverklaring CBF

Op basis van het Reglement CBF-Keur van mei 2010 (hierna: het CBF Reglement) dient het Bestuur een verantwoordingsverklaring af te leggen. De verantwoordingsverklaring voor 2010 is door elk bestuurslid dat ultimo 2010 in functie was ondertekend en integraal als annex 1 bij dit jaarverslag opgenomen.

6.2.4 Bestuursverslag

In 2010 kwam het Bestuur zes keer bij elkaar. Hoofdpunten van overleg :

- Corporate governance.
- Financiën.
- Huisvesting, verhuizing & bureau-infrastructuur.
- Communicatie & Fondsenwerving.
- Vrijwilligersbeleid.
- Het ALS Centrum en wetenschappelijk onderzoek.

6.3 Bureau

Het Bestuur wordt ter uitvoering van haar taak bijgestaan door het Bureau. 2010 markeert het overgangsjaar waarin de uitvoerende taken door de Stichting in eigen hand zijn genomen, na tien jaar ondergebracht te zijn geweest bij een extern bureau, MvB profit for non profit.

Het in eigen hand nemen van administratie en organisatie, met de overgang van Apeldoorn naar Amsterdam, is niet in alle opzichten even soepel verlopen. Verschillende zelfstandigen hebben ondersteuning verleend totdat een vaste organisatie de stabiliteit kon herstellen. Ineke Lo Cascio kwam 1 maart 2010 in dienst als directeur. Vanaf 23 augustus 2010 was met het aantreden van Frederik Tamboer als Office Manager werkelijk sprake van een vaste bezetting.

In 2010 werkten daarmee, behalve Ineke Lo Cascio de volgende (parttime) medewerkers in dienst van het Bureau aan de volgende Stichting-gerelateerde zaken:

- Frederik Tamboer – Office Management
- Ineke Zaal – PR en evenementen

6.4 Vrijwilligers

In 2010 kon de Stichting weer rekenen op tal van vrijwilligers. Zo steunen evenementen zoals Trap ALS de wereld uit, Wereld ALS Dag en het benefietgala volledig op vrijwilligers. Ook alle fondsenwervende activiteiten in het land werden georganiseerd door vrijwilligers. In totaal hebben circa 100 mensen zich ingezet voor de Stichting.

6.5 Raad van advies

De Stichting hecht veel waarde aan haar Raad van advies, die bestaat uit vooraanstaande personen uit de politiek, de sport, de entertainment en het bedrijfsleven die met hun inzet en betrokkenheid de bekendheid, uitstraling en slagvaardigheid van de Stichting kunnen vergroten. Per ultimo 2010 bestond de Raad van advies uit:

- Eric F Niehe (Voorzitter).
- Bernard Wientjes.
- Chris Zegers.
- Karen Verstraete.
- Erica Terpstra.
- Xander de Buissonje.
- Bert Bunnik.

6.6 Nieuwe organisatiestructuur

Eind 2010 heeft het Bestuur besloten te streven naar een nieuwe organisatiestructuur, bestaande uit:

- Een Bestuur bestaand uit minimaal één persoon. Het bestuur is belast met besturen en uitvoeren.
- Een Raad van toezicht bestaand uit minimaal vijf personen met uiteenlopende functies en aandachtsgebieden. De Raad is de opvolger van wat in 2010 het Bestuur was en wordt belast met het houden van toezicht op het Bestuur.
- Een Comité van aanbeveling (in 2010 nog geheten Raad van advies).
- Een Wetenschappelijke raad (op termijn).

Hoofdstuk 7: Financiën

7.1 Balans per 31 december 2010

	31 december 2010		31 december 2009	
	€	€	€	€
ACTIVA				
Materiele vaste activa		12.590		5634
Vorraden		548		2.685
Vorderingen en overlopende activa		198.464		63.294
Beleggingen		1.369.707		715.274
Liquide middelen		1.822.801		1.315.903
		<u>3.404.110</u>		<u>2.102.789</u>
PASSIVA				
Eigen vermogen				
Reserves				
- Continuïteitsreserve	300.000		225.000	
- Bestemmingsreserve ALS Centrum	360.000		240.000	
- Bestemmingsreserve wetenschappelijk onderzoek	<u>1.423.301</u>		<u>622.454</u>	
		2.083.301		1.087.454
Fondsen				
- Bestemmingsfonds G.C.F. Franke	100.000		-	
- Bestemmingsfonds Centrum voor ALS geneesmiddelontwikkeling	403.466		503.466	
- Bestemmingsfonds Van Meer Stichting	21.526		51.891	
- Bestemmingsfonds De Vin	196.677		-	
- Bestemmingsfonds Vereniging Het Verschil	<u>155.682</u>		<u>70.000</u>	
		877.351		625.357
Kortlopende schulden				
Crediteuren	36.750		11.074	
Loonbelasting en sociale lasten	4.500		-	
Overige schulden en overlopende passiva	<u>402.208</u>		<u>378.904</u>	
		<u>443.458</u>		<u>389.978</u>
		<u>3.404.110</u>		<u>2.102.789</u>

7.2 Staat van baten en lasten over 2010

	Werkelijk 2010		Begroot 2010		Werkelijk 2009	
	€	€	€	€	€	€
Baten:						
- Baten uit eigen fondsenwerving		1.961.760		1.115.000		1.450.693
- Baten uit gezamenlijke acties						
- Baten uit acties van derden						
- Subsidies van overheden						
- Baten uit beleggingen		117.047		15.000		103.540
- Overige Baten						
Som der baten		2.078.808		1.130.000		1.554.234
Lasten:						
Besteed aan doelstellingen						
- Voorlichting en bewustmaking	168.770		227.000		249.455	
- Onderzoek ALS Centrum	437.692		375.000		350.000	
		606.462		602.000		599.455
Werving baten						
- Fondsenwerving	48.823		59.000		55.347	
- Kosten eigen fondsenwerving	149.820		105.000		125.363	
- Kosten gezamenlijke acties	-		-		-	
- Kosten acties van derden	-		-		-	
- Kosten verkrijging subsidies van overheden	-		-		-	
- Kosten van beleggingen	-		-		1.009	
		198.643		164.000		181.720
Beheer en administratie						
- Kosten beheer en administratie		25.862		46.000		28.216
Som der lasten		830.967		812.000		809.391
Resultaat		1.247.841		318.000		744.843
(Kosten fondsenwerving in % van de baten)		10,1%		14,7%		12,5%
(Totaal besteding aan doelstelling in % van het totaal van de baten)		29,2%		53,3%		38,6%
Resultaatbestemming						
Toevoeging/onttrekking aan:						
- Continuïteitsreserve	75.000		10.000		75.000	
- Bestemmingsreserve ALS Centrum	120.000		75.000		120.000	
- Bestemmingsfonds Centrum voor ALS geneesmiddelontwikkeling	100.000-		200.000		266.912	
- Bestemmingsfonds Van Meer Stichting	30.365-		-		51.891	
- Bestemmingsfonds Vereniging Het Verschil	85.682		-		70.000	
- Bestemmingsfonds De Vin	196.677		-		-	
- Bestemmingsfonds G.C.F. Franke	100.000		-		-	
- Bestemmingsreserve wetenschappelijk onderzoek		800.847		33.000		161.040
		1.247.841		318.000		744.843

Hoofdstuk 8: Controleverklaring

CONTROLEVERKLARING VAN DE ONAFHANKELIJKE ACCOUNTANT

Aan het bestuur van
Stichting ALS Nederland
Zekeringstraat 42
1014 BT AMSTERDAM

Bijgesloten samengevatte jaarrekening, bestaande uit de samengevatte balans per 31 december 2010 en de samengevatte staat van baten en lasten over 2010 met bijbehorende toelichtingen, zijn ontleend aan de gecontroleerde jaarrekening van Stichting ALS Nederland per 31 december 2010. Wij hebben een goedkeurend oordeel verstrekt bij die jaarrekening in onze controleverklaring van 26 september 2011. Desbetreffende jaarrekening en deze samenvatting daarvan, bevatten geen weergave van gebeurtenissen die hebben plaatsgevonden sinds de datum van onze controleverklaring van 26 september 2011.

De samengevatte jaarrekening bevat niet alle toelichtingen die zijn vereist op basis van de Richtlijn voor de jaarverslaggeving 650 “Fondsenwervende instellingen”. Het kennisnemen van de samengevatte jaarrekening kan derhalve niet in de plaats treden van het kennisnemen van de gecontroleerde jaarrekening van Stichting ALS Nederland.

VERANTWOORDELIJKHEID VAN HET BESTUUR

Het bestuur is verantwoordelijk voor het opstellen van een samenvatting van de gecontroleerde jaarrekening in overeenstemming met de grondslagen zoals beschreven in de toelichting van de gecontroleerde jaarrekening.

VERANTWOORDELIJKHEID VAN DE ACCOUNTANT

Onze verantwoordelijkheid is het geven van een oordeel over de samengevatte jaarrekening, op basis van onze werkzaamheden, uitgevoerd in overeenstemming met Nederlands Recht, waaronder de Nederlandse Standaard 810, “Opdrachten om te rapporteren betreffende samengevatte financiële overzichten”.

OORDEEL

Naar ons oordeel is de samengevatte jaarrekening in alle van materieel belang zijnde aspecten consistent met de gecontroleerde jaarrekening van Stichting ALS Nederland per 31 december 2010 in overeenstemming met de grondslagen zoals beschreven in de toelichting van de gecontroleerde jaarrekening.

Apeldoorn, 29 september 2011

MAZARS PAARDEKOOPEL HOFFMAN N.V.

w.g.

drs. M.R.M.M. Verheijen RA

Hoofdstuk 9: Begroting 2011

Omschrijving			in €
Baten eigen fondsenwerving	Begroot 2011	Gerealiseerd 2010	Begroot 2010
Collecte	0	0	0
Donaties en giften	800.000	644.683	600.000
Nalatenschappen	0	352.515	0
Verkoop goederen	5.000	2.926	15.000
Evenement Trap ALS de Wereld uit	200.000	195.861	200.000
Benefiet Gala	0	438.850	300.000
Bijdrage voor onderzoek	0	100.000	0
Overige (o.a. benefietlunch de Vin)	0	226.926	0
Baten uit beleggingen	15.000	117.047	15.000
Som der baten	1.020.000	2.078.808	1.130.000
Lasten			
Instandhouding ALS Centrum	150.000	250.000	210.000
Nederlands Centrum voor ALS Geneesmiddel Ontwikkeling	100.000	100.000	50.000
Overige onderzoeksprojecten	100.000	87.692	15.000
Europees ALS Consortium	100.000	0	100.000
Aankopen en verwervingen	20.000	20.617	10.000
Evenement Trap ALS de Wereld uit + WAD	45.000	21.892	45.000
Benefiet Gala	0	77.062	50.000
Benefietlunch de Vin	0	30.249	0
Publiciteit en communicatie	100.000	55.736	105.000
Personeelskosten algemeen	200.000	104.897	130.000
Huisvesting	15.000	13.019	15.000
Kantoor en algemene kosten	65.000	62.765	69.000
Afschrijving en rente	10.000	7.038	13.000
Som der lasten	905.000	830.967	812.000

Omschrijving			in €
	Begroot 2011	Gerealiseerd 2010	Begroot 2010
Toevoeging continuïteitsreserve	10.000	75.000	10.000
Bestemmingsreserve ALS Centrum (jaar 4 en 5)	90.000	120.000	75.000
Bestemmingsreserve Nederlands Centrum voor ALS Geneesmiddel Ontwikkeling	-100.000	-100.000	200.000
Bestemmingsfonds Van Meer Stichting	0	-30.365	0
Bestemmingsfonds Vereniging het Verschil	0	85.682	0
Bestemmingsfonds de Vin	0	196.677	0
Bestemmingsfonds G.C.F. Franke	0	100.000	0
Bestemmingsfonds Wetenschappelijk Onderzoek (niet zijnde het ALS Centrum)	115.000	800.847	33.000
Totaal Reserveringen	115.000	1.247.841	318.000

Amsterdam, 27 september 2011



 Marguerite Soeteman-Reijnen
 Voorzitter



 Rhoderick van der Wyck
 Penningmeester

Hoofdstuk 10: Jaarplan 2011

De Stichting zal zich in 2011 blijven inzetten om **ALS** te stoppen: **ALS** op de kaart, **ALS** van de kaart.

Het bestaan van een genadeloze ziekte als ALS in deze eeuw is onacceptabel. De Stichting is ervan overtuigd dat met focus en samenwerking er betere oplossingen kunnen komen voor patiënten nu en in de toekomst.

De Stichting wil bijdragen aan het vinden van oorzaak en oplossingen voor ALS in de toekomst (1) en het dragelijker maken van het leven van patiënten nu (2).

Balancerend tussen heden en toekomst, tussen voorkomen en verzachten, onderscheidt de Stichting **vier aandachtsgebieden** die de Stichting steunt om invulling geven aan haar missie:

- Onderzoek naar de oorzaak van ALS.
- Onderzoek naar de behandeling van ALS.
- Verbeteren van de kwaliteit van zorg.
- Verbeteren van de kwaliteit van leven.

Kerdoelen 2011 - 2015

De ontwikkeling van de Stichting wordt voorzien langs vier centrale lijnen, de kerndoelen:

- Focus op ALS: Het zo effectief mogelijk inzetten van het beschikbare geld voor ALS onderzoek & behandeling.
- Fondsen: het (helpen) werven van fondsen.
- Patiëntenbelang: het steunen van patiënten, naasten en nabestaanden.
- Organisatie: het optimaliseren van mensen en middelen.

Kerdoel 1: Focus op ALS

Het zo effectief mogelijk inzetten van het beschikbare geld voor ALS-onderzoek & -behandeling

Door bundeling van kennis en expertise, ondersteund door het feit dat inmiddels 90% van de patiënten op enig moment in hun ziekte wordt gezien op het ALS Centrum, is het ALS Centrum niet alleen de plaats voor zorg op maat, maar ook voor onderzoek naar de oorzaak en behandeling van ALS. Behoud van het ALS Centrum is dus een belangrijke pijler om de doelstellingen van de Stichting te verwezenlijken.

De primaire focus van de steun van de Stichting aan het ALS Centrum ligt op het creëren van de randvoorwaarden voor succes boven de subsidiëring van specifieke activiteiten, aangezien voor de financiering van zaken als onderzoek ook andere fondsen benaderd kunnen worden. Op basis van een samenwerkingsovereenkomst d.d. mei 2008 hebben de Stichting en de drie Academische ziekenhuizen zich voor de eerste jaren gecommitteerd om een jaarlijkse financiële bijdrage te leveren aan de financiering en instandhouding van het ALS Centrum.

De bijdrage van de Stichting zal volgens de prognoses verder moeten toenemen om de organisatie intact en de successen continu te houden:

- Steun van Raden van Bestuur van de drie Academische ziekenhuizen naar de toekomst is nog niet verankerd. Dat betekent dat, voor instandhouding van het ALS Centrum, er sterker naar de Stichting wordt gekeken.

- Belangrijke subsidieverstrekkers als VSB Fonds trekken zich terug uit gezondheidsbevordering, waarbij een subsidietekort na 2013 dreigt.

De Stichting zet zich in voor ondersteuning van het ALS Centrum als belangrijke basis voor optimale diagnose, zorg en wetenschappelijk onderzoek. Hoewel in de visie van de Stichting het ALS Centrum een belangrijke rol speelt, is continuering van deze ondersteuning geen voldongen feit. Slechts met voldoende maatschappelijk draagvlak, zowel politiek als vanuit de wetenschap, en met (financiële) steun van zorgverzekeraars, is het exploiteren van een kwalitatief ALS Centrum mogelijk.

Niet alle geldstromen kunnen door de Stichting worden aangesproken. Onderzoeksgelden en overheidssubsidies worden veelal aan wetenschappers toebedeeld en niet aan koepelorganisaties. Anderzijds geldt dat de Stichting financiële stromen kan ontsluiten waar het ALS Centrum zelf geen toegang toe heeft. Het zorgvuldig uitbalanceren van de rollen van alle betrokken partijen om gezamenlijk zoveel mogelijk geld op te halen voor onderzoek en zorg, is één van de belangrijkste verbeterpunten voor 2011: wie doet wat – wie benadert wie – wat kan worden aangeboden aan mensen die doelgericht (onderzoek- of behandelingsspecifiek) willen doneren. In dat kader ligt het in de bedoeling van de Stichting om in 2011 de mogelijkheid te onderzoeken voor de installatie van een Wetenschappelijke raad.

Een patiënt komt gedurende zijn of haar ziekte gemiddeld met zeer veel verschillende instanties in aanraking, van huisarts tot ergotherapeut en logopedist. Elk contactpunt vraagt aandacht. Voor optimale zorg moeten al deze partijen helder geïnformeerd worden over de ziekte en laatste inzichten op het gebied. Vanuit de Stichting zijn er kansen om op koepelniveau de informatievoorziening en samenwerking te bevorderen.

Kerdoel 2: Fondsenwerving

Het vergroten van de geldstroom voor ALS door het (helpen) werven van fondsen

De structuur voor de fondsenwervingsactiviteiten van de Stichting was vooral netwerkgedreven en heeft in het verleden weinig vastomlijnde vormen gekend. Dat geeft de ruimte voor een frisse en vernieuwende aanpak. De mogelijkheden om te groeien op het gebied van fondsenwerving zijn talrijk en veelzijdig. Om de slagkracht van de fondsenwervingsactiviteiten te vergroten en uiteindelijk te maximaliseren, zullen actiepunten en randvoorwaarden in andere onderdelen van de organisatie moeten worden verwezenlijkt. De belangrijkste zijn:

- Verbeterde communicatie en samenwerking binnen de 'ALS-pool'.
- Verbeterde website en ALS Dank (een groter beroep op de portemonnee).
- CRM-bestand.
- Toegenomen naamsbekendheid door free publicity, campagne, sociale media, ketensamenwerking.

Invoering van een nieuw CRM-systeem zal in 2011 zorgen voor het maximaal inzichtelijk maken van de huidige stand van zaken met betrekking tot het donateursbestand van de Stichting. Het is zaak om de verschillende typen donateurs helder te definiëren, om vervolgens donateurs naar type te kunnen categoriseren en per donateurstype strategieën te ontwikkelen en uit te rollen. Allereerst moet echter de basis goed verankerd worden.

Juist met een patiëntgebonden fondsenwervingsbeleid voor een ziekte met een dermate progressief verloop, is een sterke acquisitiemotor van het grootste belang.

In het verleden werd iedereen wiens naam en adres bij de Stichting bekend was, als donateur aangemerkt. Of het nu gaat om donaties in geld, tijd, middelen of netwerk, juist bij een ziekte als ALS zullen niet alle relaties (direct) doneren omdat de informatiebehoefte voorop staat. Hoewel de entreelast best iets hoger mag, is het punt van activatie het punt van officiële commitment en het startpunt van een echte donateursrelatie.

Activatie is altijd een tweede stap. Een respons om iets (meer) te doen waarbij de Stichting of een representant daarvan aanstichter is. Voor verschillende doelgroepen omvat activatie andere activiteiten. Uiteraard kunnen

verschillende donateurs verschillende rollen hebben, net zoals de patiënt verschillende leefwerelden heeft. Door die rollen met elkaar te verbinden, is sterke groei vanuit de huidige database mogelijk.

Voor 2011 staan in ieder geval de volgende activiteiten gepland vanuit de Stichting:

- Wereld ALS-Dag.
- TRAP evenementen.
- Major donor bijeenkomst.

Kerdoel 3: Patiëntenbelang

Het steunen van patiënten, naasten en nabestaanden

Zolang er geen remedie is voor ALS, zet de Stichting zich in voor patiënten die lijden aan ALS of aan de gerelateerde ziektes primaire laterale sclerose (PLS) en progressieve spinale spieratrofie (PSMA). De Stichting is geen patiëntenvereniging, heeft geen leden en ontvangt geen subsidie voor belangenbehartiging. Informatievoorziening, lotgenotencontact en hulpmiddelenondersteuning: al deze zaken zijn formeel ondergebracht bij VSN. Toch is er behoefte aan toegespitste zorg en aandacht, zoals deze voorheen was belegd binnen Stichting Valscherm, één van de drie stichtingen waaruit de Stichting is voortgekomen. Jaarlijks organiseerde Stichting Valscherm activiteiten voor patiënten. Dat is de Stichting blijven doen met de jaarlijks terugkerende patiënten- en nabestaandendag: Wereld ALS Dag. De Stichting wil echter meer kunnen zijn voor de achterban.

Onder het predicaat 'Kwaliteit van Leven' werd in het verleden vooral de steun aan het ALS Centrum verstaan. Door bundeling van kennis en expertise heeft het ALS Centrum een belangrijke taak in de verbetering en coördinatie van toegespitste zorg. De Stichting ambieert voor 2011 een bredere betrokkenheid bij patiëntenwelzijn. Goede zorg is een randvoorwaarde voor zowel ALS-patiënten als hun naasten om eruit te kunnen halen wat er nog in zit. Wat kwaliteit van leven is, verschilt per persoon.

Hoewel middelenondersteuning en psychosociale zorg deel uit maken van het zorgpakket voor ALS-patiënten, bestaat er zowel bij patiënten als bij naasten, mantelzorgers en nabestaanden behoefte aan contact met lotgenoten. Deze behoefte varieert van uitwisseling van functionele informatie (waar vind ik) tot het delen van angsten en emoties. Lotgenotencontact maakt daarmee een belangrijk deel uit van de kwaliteit van leven.

De Stichting is geen belangenvereniging. VSN neemt, met een speciale sectie voor ALS-patiënten, deze taak op zich. VSN werkt als belangenbehartiger nauw samen met specialisten, therapeuten en maatschappelijk werkers om knelpunten in de verzorging en ondersteuning van ALS-patiënten te verbeteren. Ook biedt VSN met fora en ontmoetingsdagen online en offline lotgenotencontact.

Juist omdat veel donaties komen uit de gebundelde kracht van patiënten, naasten en nabestaanden, is het informeren, activeren en verbinden van lotgenoten een belangrijke pijler voor het succes van de Stichting.

Hulpmiddelenondersteuning

Een ALS-patiënt ontvangt gedurende zijn ziekte evenveel zorg en hulpmiddelen als een MS-patiënt in 30 jaar. Het geeft weer hoe kostbaar de behandeling en hoe intensief de coördinatie daaromheen is. De afstemming van zorg verloopt via neuroloog, revalidatieteam en huisarts. Voor de coördinatie van alle ondersteunende middelen is de patiënt echter aangewezen op een veelheid van instanties, waarbij de belangrijkste zijn het UWV, zorgverzekeraar, WMO desk (per gemeente anders ingericht). De administratieve molens vormen een belangrijk en belastend onderdeel van het leven van en met iemand met ALS. Om die reden speelt het onderdeel 'hulpmiddelenondersteuning' zich af op het grensvlak van Kwaliteit van Zorg en Kwaliteit van Leven.

De Stichting heeft geen directe rol in de verstrekking van hulpmiddelen. Stichting ALS op de Weg is opgericht als katalysator voor de aanschaf van hulpmiddelen, omdat die door de snelheid van de ziekte vaak sneller nodig zijn dan de administratieve molens kunnen draaien. Die intentie deelt de Stichting. Waar Stichting ALS op de Weg echter kiest voor fysieke hulpmiddelenondersteuning, met name in de categorie 'persoonlijke'

hulpmiddelen, wil de Stichting zich richten op het procesmatige verlichting die voor alle ALS- patiënten relevant is. Kennisbundeling is noodzakelijk voor een gemakkelijkere procesgang, op het gebied van:

- Productefficiëntie: snellere distributie/hergebruik middelen.
- Proces: workflow management systeem (stappenplannen en voorbeelden).
- Procedure: standaardisatie processen/snelrecht procedures.

Naamsbekendheid ALS

De kleine patiëntenbasis door het snelle verloop van ALS bemoeilijkt niet alleen onderzoek naar de oorzaak en behandeling van de ziekte, maar verkleint ook de zichtbaarheid. Het vergroten van de bekendheid met de ziekte, dient een aantal doelen:

- Het vergroten van steun en begrip voor patiënten en hun naasten.
- Het beter behartigen van belangen door het inzicht (en het begrip van urgentie) van ambtenaren en zorg hulpverleners te vergroten.
- Het vergroten van het draagvlak bij overheden en farmaceuten om onderzoek te stimuleren.
- Het ondersteunen van fondsenwerving door de Stichting.

In de informatievoorziening zijn de website en de brochures de belangrijkste middelen van de Stichting. Deze beperken zich echter tot die groep voor wie reeds bekend is met ALS.

In toenemende mate spelen de sociale media ook een rol in het versterken van de 'marktaanwezigheid' van ALS. Steeds meer (jongere) patiënten houden blogs bij, twitteren en zijn actief op Facebook en LinkedIn. Ook de Stichting zal zich in toenemende mate profileren via de sociale netwerken.

Met de doelstelling om ALS breder bekendheid te geven, is in 2010 een start gemaakt met de opzet van een nieuwe campagne, in samenwerking met Publicis en Issuemarkers. Deze campagne gaat vanaf 2011 live en zal steeds gekoppeld worden aan één of meerdere patiënten.

Kerdoel 4: Optimalisatie van mensen en middelen

Verbetering van efficiëntie en effectiviteit van de interne organisatie

De Stichting is primair een fondsenwervende instelling, om van daaruit de doelstellingen op het gebied van ALS-onderzoek, -zorg en -kwaliteit van leven te verwezenlijken. Een optimale organisatie ligt daaraan ten grondslag: enerzijds om de resultaten te optimaliseren, anderzijds om de kosten tot een minimum te beperken.

Tot 2010 heeft de Stichting geressorteed onder de vleugels van een extern bureau, MvB profit for non profit, onder leiding van Monique van Bijsterveld. In maart 2010 is de Stichting begonnen met het opzetten van een eigen kantoororganisatie, die in augustus 2010 rond was. De komende jaren moet het Bureau verder professionaliseren, rollen en verantwoordelijkheden beter beleggen en ook het vrijwilligerskanaal beter benutten. Daarnaast moet continu de balans gezocht worden tussen kostenbasis en groeiambitie, waarin 2011 een overgangsjaar zal zijn.

Interne organisatie

Door de grote hoeveelheid Acties derden en het ontbreken van één eenduidig loket voor alle ALS-gerelateerde vragen, worden de activiteiten van de Stichting voor een groot gedeelte gedreven door externe vragen. De inrichting van de organisatie moet daaraan tegemoet komen. Met oog op een zo laag mogelijk kostenniveau enerzijds en een zo groot mogelijke professionaliteit en slagkracht anderzijds, is het streven om toe te groeien naar een Bureau met een kleine vaste kern met Office manager en Directeur als ruggengraat. Daarnaast moet

het Bureau structureel bemenst worden op de belangrijke functies: PR & Events (optimaliseren bekendheid) en Marketing & Fundraising (optimaliseren donaties).

Kennisuitwisseling en samenwerking met andere ALS-organisaties

ALS komt overal in de wereld voor. Samenwerking met andere ALS-organisaties, ook in het buitenland, ligt daarom voor de hand. Waar wetenschappers de handen ineen slaan en ook op het niveau van EU grensoverschrijdend onderzoek wordt gesteund, blijft de coöperatie tussen fondswervende instanties in verschillende landen wat achter. Er is incidenteel contact geweest met de ALS Liga (België) en dankzij oud-bestuurslid Jim Jansen is er ook contact met de ALS Foundation in de VS. Het is zaak om de verschillende initiatieven, die veelal dezelfde doelstellingen hebben op het gebied van onderzoek en kwaliteit van leven, meer met elkaar te verbinden en de vruchten te plukken van 'panklare' communicatie en concepten.



Annex 1 – Verantwoordingsverklaring CBF

Ingevolge het CBF Reglement dient het Bestuur een verantwoordingsverklaring af te leggen. De verantwoordingsverklaring voor 2010 is door elk bestuurslid dat ultimo 2010 in functie was ondertekend en hieronder integraal opgenomen.

Het Bestuur onderschrijft de volgende drie principes zoals die in de hieronder genoemde leden van het CBF Reglement zijn opgenomen:

- *“Lid 1.A.a. Binnen de instelling dient de functie 'toezichhouden' (vaststellen of goedkeuren van plannen, en het kritisch volgen van de organisatie en haar resultaten) duidelijk te zijn gescheiden van het 'besturen' dan wel van de 'uitvoering'.*
- *Lid 4.a. De instelling dient continu te werken aan een optimale besteding van middelen, zodat effectief en doelmatig gewerkt wordt aan het realiseren van de doelstelling.*
- *Lid 5.2.a. De instelling streeft naar optimale relaties met belanghebbenden, met gerichte aandacht voor de informatieverschaffing en de inname en verwerking van wensen, vragen en klachten.”*

Hieronder wordt, waar mogelijk langs de lijnen van het CBF Reglement, gerapporteerd over de stand van zaken bij de Stichting bij de naleving en implementatie van bovengenoemde principes in 2010.

Het principe ‘Toezicht houden en besturen’

Het Bestuur

Het Bestuur bestaat uit een door het Bestuur vast te stellen aantal van ten minste vijf natuurlijke personen. Het Bestuur kiest uit zijn midden een voorzitter, een secretaris en een penningmeester. De functies van secretaris en penningmeester kunnen niet door één persoon worden vervuld. De voorzitter, secretaris en penningmeester vormen gezamenlijk het dagelijks bestuur.

Het Bestuur is belast met het besturen van de Stichting. Het Bestuur bepaalt het beleid, stelt de financiële richtlijnen vast en heeft de eindverantwoordelijkheid van de dagelijkse leiding.

Het dagelijks bestuur is belast met de dagelijkse gang van zaken, met de voorbereiding en uitvoering van de besluiten van het Bestuur en kan door het Bestuur met, met name genoemde, taken worden belast.

Het Bestuur is bevoegd te besluiten tot het aangaan van:

- overeenkomsten tot verkrijging, vervreemding en bezwaring van registergoederen; en
- overeenkomsten waarbij de Stichting zich als borg of hoofdelijk medeschuldenaar verbindt, zich voor een derde sterk maakt of zich tot zekerheidstelling voor een schuld van een ander verbindt, mits het desbetreffende besluit wordt genomen met algemene stemmen van alle in functie zijnde bestuursleden.

Het Bestuur vergadert ten minste tweemaal per jaar. In 2010 was dat zes maal. Naast deze vergaderingen is er regelmatig overleg tussen de voorzitter, het dagelijks bestuur en het Bureau.

Optimale samenstelling Bestuur

De bestuursleden worden benoemd en geschorst door het Bestuur.

De leden van het Bestuur worden benoemd voor een periode van ten hoogste 4 jaar. Zij treden periodiek af volgens een door het Bestuur op te maken rooster van aftreden. Bestuursleden kunnen na hun aftreden tweemaal worden herbenoemd voor een periode van ten hoogste 4 jaar.

Ingeval van één of meer vacatures in het Bestuur behoudt het Bestuur zijn bevoegdheden. Bij het ontstaan van één (of meer) vacature(s) in het Bestuur, zullen de overblijvende bestuursleden met algemene stemmen (of zal het enige overblijvende bestuurslid) binnen twee maanden na het ontstaan van de vacature(s) daarin voorzien, door de benoeming van een (of meer) opvolger(s), tenzij het Bestuur besluit de vacature(s) niet te vervullen en het aantal bestuursleden dienovereenkomstig te verminderen, zulks met inachtneming van het hierboven genoemde aantal van ten minste vijf natuurlijke personen.

Het Bureau

Het Bestuur wordt ter uitvoering van haar taak bijgestaan door het Bureau. Het Bureau wordt geleid door de directeur. Toezicht op het Bureau werd verricht door het dagelijks bestuur.

2010 markeert het overgangsjaar waarin de uitvoerende taken door de Stichting in eigen hand zijn genomen, na tien jaar ondergebracht te zijn geweest bij een extern bureau. Het in eigen hand nemen van administratie en organisatie, met de overgang van Apeldoorn naar Amsterdam, is niet in alle opzichten even soepel verlopen. Verschillende zelfstandigen hebben ondersteuning verleend totdat een vaste organisatie de stabiliteit kon herstellen. Ineke Lo Cascio kwam 1 maart 2010 in dienst als directeur. Vanaf 23 augustus 2010 was met het aantreden van Frederik Tamboer als Office Manager werkelijk sprake van een vaste bezetting.

Evaluatie functioneren Bestuur en Bureau

In 2010 werd het functioneren van het Bestuur en het Bureau op basis van de volgende principes geëvalueerd:

- Regelmatige functioneringsgesprekken met het Bureau.
- De voorzitter spreekt bestuursleden aan op meervoudige afwezigheid of disfunctioneren.
- Bij geschillen of problemen zoekt de voorzitter naar mogelijke oplossingen in overleg met de betrokkenen.

Nieuwe organisatie- en evaluatiestructuur

Eind 2010 heeft het Bestuur besloten te streven naar een nieuwe organisatiestructuur, bestaande uit:

Een Bestuur bestaand uit minimaal één persoon. Het bestuur is belast met besturen en uitvoeren.

Een Raad van toezicht bestaand uit minimaal vijf personen met uiteenlopende functies en aandachtsgebieden. De Raad is de opvolger van wat in 2010 het Bestuur was en wordt belast met het houden van toezicht op het Bestuur.

Een Comité van aanbeveling (in 2010 nog geheten Raad van advies).

Een Wetenschappelijke raad (op termijn).

Mede door de vele bestuurswisselingen is 2010 een bijzonder jaar geweest, met vertrekkende en komende bestuursleden. Daardoor heeft de evaluatie van het functioneren van het Bestuur noodgedwongen een ad hoc-karakter gehad. Het streven is om als onderdeel van de nieuwe organisatiestructuur een gestructureerde jaarlijkse evaluatieprocedure in het leven te roepen.

De komende jaren moet het Bureau verder professionaliseren, rollen en verantwoordelijkheden beter beleggen en ook het vrijwilligerskanaal beter benutten. Daarnaast moet continu de balans gezocht worden tussen kostenbasis en groeiambitie, waarin 2011 een overgangsjaar zal zijn.

Het principe 'Optimale besteding van middelen'

Benoemen van richtinggevende doelstellingen

Door het vaststellen van het meerjarenbeleidplan en financiële meerjarenraming en de daaruit voortvloeiende jaarplannen en begrotingen geeft het Bestuur richting aan de doelstellingen van de Stichting. De strategische doelstellingen geven hierbij aan wat de Stichting op de langere termijn wil bereiken. De kerndoelstellingen zijn de doelstellingen waarnaar de Stichting haar activiteitenplan inricht en evaluatie vaststelt.

Monitoring en evaluatie van de uitvoering van interne processen

Het monitoren en evalueren van de uitvoering van activiteiten vindt plaats door tussentijdse rapportages op algemeen vlak en per project. Deze worden door het Bestuur gezien en verbeterpunten/ aanbevelingen worden behandeld en meegenomen in de plannen voor nieuwe projecten en/of processen.

Fondsenwerving en bestedingen

De fondsen die de Stichting werft worden zoveel als mogelijk besteed aan de doelstellingen van de Stichting. Het Bestuur heeft vastgesteld dat het percentage kosten fondsenwerving in principe niet hoger mag zijn dan 20%. Dat is 5% lager dan het door het CBF opgelegde percentage.

Wetenschappelijk onderzoek

Door bundeling van kennis en expertise, ondersteund door het feit dat inmiddels 90% van de patiënten op enig moment in hun ziekte wordt gezien op het ALS Centrum, is het ALS Centrum niet alleen de plaats voor zorg op maat, maar ook voor onderzoek naar de oorzaak en behandeling van ALS. Behoud van het ALS Centrum is dus een belangrijke pijler om de doelstellingen van de Stichting te verwezenlijken. De Stichting zet zich in voor ondersteuning van het ALS Centrum als belangrijke basis voor optimale diagnose, zorg en wetenschappelijk onderzoek. Het ligt in de bedoeling om in 2011 de mogelijkheid te onderzoeken voor de installatie van een Wetenschappelijke raad.

Marketing

In de informatievoorziening zijn de website en de brochures de belangrijkste middelen van de Stichting. Deze beperken zich echter tot die groep voor wie reeds bekend is met ALS. In toenemende mate spelen de sociale media ook een rol in het versterken van de 'marktaanzichtbaarheid' van ALS. Steeds meer (jongere) patiënten houden blogs bij, twitteren en zijn actief op Facebook en LinkedIn. Ook de Stichting zal zich in toenemende mate profileren via de sociale netwerken. Met de doelstelling om ALS breder bekendheid te geven, is in 2010 een start gemaakt met de opzet van een nieuwe campagne. Deze campagne gaat vanaf 2011 live.

Het principe 'Optimale relaties met belanghebbenden'

Het steunen van patiënten, naasten en nabestaanden

Zolang er geen remedie is voor ALS, zet de Stichting zich in voor patiënten die lijden aan ALS of aan de gerelateerde ziektes PLS en PSMA. De Stichting is geen patiëntenvereniging, heeft geen leden en ontvangt geen subsidie voor belangenbehartiging. Informatievoorziening, lotgenotencontact en hulpmiddelenondersteuning: al deze zaken zijn formeel ondergebracht bij VSN. Toch is er behoefte aan toegespitste zorg en aandacht, zoals deze voorheen was belegd binnen Stichting Valscherm, één van de drie stichtingen waaruit de Stichting is voortgekomen. Jaarlijks organiseerde Stichting Valscherm activiteiten voor patiënten. Dat is de Stichting blijven doen met de jaarlijks terugkerende patiënten- en nabestaandendag: Wereld ALS Dag. De Stichting wil echter meer kunnen zijn voor de achterban. De Stichting ambieert voor 2011 een bredere betrokkenheid bij patiëntenwelzijn.

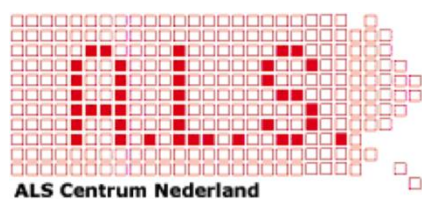
Onder het predicaat 'Kwaliteit van Leven' werd in het verleden vooral de steun aan het ALS Centrum verstaan. Door bundeling van kennis en expertise heeft het ALS Centrum een belangrijke taak in de verbetering en coördinatie van toegespitste zorg. De Stichting ambieert voor 2011 een bredere betrokkenheid bij patiëntenwelzijn. Goede zorg is een randvoorwaarde voor zowel ALS-patiënten als hun naasten om eruit te kunnen halen wat er nog in zit. Wat kwaliteit van leven is, verschilt per persoon.

Juist omdat veel donaties komen uit de gebundelde kracht van patiënten, naasten en nabestaanden, is het informeren, activeren en verbinden van lotgenoten een belangrijke pijler voor het succes van de Stichting.

Hulpmiddelenondersteuning

De Stichting heeft geen directe rol in de verstrekking van (persoonlijke) hulpmiddelen, maar wil met het oog op de aanschaf van hulpmiddelen, die door de snelheid van de ziekte vaak sneller nodig zijn dan de administratieve molens kunnen draaien, zich richten op het procesmatige verlichting die voor alle ALS-patiënten relevant is. Kennisbundeling is noodzakelijk voor een gemakkelijkere procesgang.

Annex 2 – ALS Centrum Nederland Verslag 2010



Prof Dr Leonard H. van den Berg
Coördinator ALS Centrum Nederland

A. Voortgang 2010

In het Businessplan 2007-2012 zijn de volgende primaire doelstellingen van het ALS Centrum Nederland geformuleerd:

1. Hoogwaardige (digitale) zorg op maat voor alle mensen met ALS in Nederland.
2. Implementatie van nieuwe technologie op het gebied van informatie en communicatie.
3. Het tot stand komen van een ALS onderzoeksgroep behorend tot de top 3 van de wereld.

1. Hoogwaardige (digitale) zorg op maat voor alle mensen met ALS in Nederland

ALS poliklinieken

Ook in 2010 zijn de poliklinieken voor het stellen van de diagnose ALS en aanverwante ziekten goed bezocht. Het aantal nieuwe patiënten is vanaf de start van het ALS Centrum Nederland in 2003 toegenomen van 230 in 2003 tot 580 in 2010 (ruim 11 nieuwe patiënten per week). De meeste patiënten (>95%) worden doorverwezen door een neuroloog uit andere ziekenhuizen. De toename van het aantal patiënten is een directe indicatie voor de herkenbaarheid en kwaliteit van onze ALS poliklinieken door neurologen in Nederland. Een schatting is dat ruim 85% van de patiënten met ALS/PSMA/PLS in Nederland gezien wordt op één van de gespecialiseerde ALS poliklinieken van het ALS Centrum Nederland.

Het aanvullende onderzoek wordt op dezelfde dag verricht. 60% van de patiënten wordt binnen 1 week opgeroepen, 95% binnen 2 weken. Er wordt ten aanzien van de diagnostiek en behandeling van patiënten protocollair en op vrijwel dezelfde wijze gewerkt in de drie Academische ziekenhuizen. Patiënten worden gezien door ervaren hulpverleners met ALS expertise. Een tevredenheidsonderzoek over het diagnostisch proces laat zien dat patiënten zeer tevreden zijn met de snelle diagnostiek uitgevoerd op dezelfde dag.

Optimale afstemming van zorg

Het principe van de ALS polikliniek is dat er optimaal wordt samengewerkt tussen de verschillende hulpverleners betrokken bij de zorg van mensen met ALS. Hierbij staat een goede samenwerking tussen de poliklinieken van de afdelingen neurologie en revalidatiegeneeskunde centraal. Goede communicatie met de zorgverleners van de diverse disciplines betrokken bij zorg en begeleiding zowel binnen als buiten de drie Academische ziekenhuizen wordt voor een belangrijk deel onderhouden door de gespecialiseerde ALS verpleegkundigen. Er wordt nauw contact onderhouden tussen de 3 ALS verpleegkundigen in de drie Academische ziekenhuizen. In het UMC Utrecht wordt deze functie ingevuld door een ALS verpleegkundig specialist met een masteropleiding (nurse practitioner).

Informatievoorziening en scholing

Het doel van het ALS Centrum Nederland is om hoogwaardige zorg te bereiken voor heel Nederland. Om dit tot stand te brengen zijn wij actief in het ontwikkelen van richtlijnen, voorlichting en nascholing voor diverse disciplines betrokken bij ALS zorg. Een steeds belangrijker medium hiervoor is internet. In 2008 is de website van het ALS Centrum Nederland geheel vernieuwd en bestaat er de mogelijkheid aan de hulpverleners en medewerkers van het ALS Centrum Nederland vragen te stellen. Hier werd in 2010 veelvuldig gebruik van gemaakt door patiënten, familieleden, geïnteresseerden en diverse hulpverleners in het land (gemiddeld 2000 bezoekers per maand, 20-40 vragen per maand). Ook werd elke week een nieuwsitem rondom ALS zorg/wetenschappelijk onderzoek op de site geplaatst.

Op vrijdag 8 oktober 2010 organiseerde het ALS Centrum Nederland voor de derde keer een ALS symposium, ditmaal getiteld 'AL(le)S uit de Kast'. In het programma van het symposium stonden de nieuwste ontwikkelingen en inzichten t.a.v. de begeleiding en behandeling van mensen met ALS centraal met als belangrijkste thema de palliatieve zorg. Het programma bestond naast een plenair deel uit een interactief deel waarbij het mogelijk was om vooraf vragen in te sturen voor panel van experts en konden de deelnemers tijdens het symposium hun mening kenbaar maken met behulp van stemkastjes. Hier werd ruimschoots

gebruik van gemaakt. De belangstelling voor het symposium was enorm met maar liefst 282 deelnemers met verschillende achtergrond, variërend van thuiszorgmedewerker of logopedist tot revalidatie-arts of neuroloog. Er stonden ook 2 buitenlandse sprekers op het programma, David Oliver uit de UK, een internationaal gerenommeerde expert op het gebied van palliatieve zorg bij ALS, en Manu Keirse uit België, een internationaal gerenommeerde expert op het gebied van ethische aspecten van zorg. De beoordeling van de kwaliteit van het symposium was gemiddeld een 8.

In 2010 zijn alle medewerkers van het ALS Centrum Nederland actief betrokken geweest bij activiteiten rondom scholing van diverse disciplines betrokken bij ALS zorg. Zo werd onder andere bij nascholing van neurologen (Boerhaave cursus, Biemond nascholing voor neurogen) voordrachten gehouden over het stellen van de diagnose en palliatieve zorg, maar werd ook op diverse locaties in het land bijscholing gegeven over ALS aan thuiszorginstanties. Voor ergotherapeuten van de 40 ALS teams in Nederland werd een 3-maandelijkse nieuwsbrief gestart met informatie en updates over o.a. de verstrekking van hulpmiddelen en aanpassingen in de thuissituatie van mensen met ALS. Ook is het ALS Centrum Nederland actief in scholing van medisch studenten, neurologen in opleiding, huisartsen, en verpleegkundigen.

Zorgcoach project

Ten aanzien van de verbetering van zorg en begeleiding werd in 2008 een grootschalig landelijk onderzoek gestart naar de meerwaarde van het zogenaamde ALS-zorgcoach. Deze zorgcoach heeft als taak problemen rondom zorg, zoals de verstrekking van hulpmiddelen en aanpassingen in huis, in een vroeg stadium te signaleren en in overleg met de reguliere zorgverleners/instanties op te lossen. De opzet van de studie is zo dat de helft van de patiënten een zorgcoach toegewezen krijgen. Met uitgebreide vragenlijsten worden allerlei zaken, waaronder kwaliteit van leven en zorg, gemeten en vergeleken tussen patiënten met en zonder zorgcoach. Dit onderzoek wordt uitgevoerd met medewerking van een groot aantal revalidatiecentra in Nederland. De inclusie van het aantal patiënten verliep voorspoedig, alle 132 beoogde patiënten zijn geïncludeerd. In 2010 zijn alle mensen met ALS verder vervolgd. In de tweede helft van 2011 worden alle data geanalyseerd en zullen de eerste resultaten bekend zijn. Bewust zal dit onderzoek zo min mogelijk bekend gemaakt worden in website/nieuwsbrieven om de resultaten niet te beïnvloeden. Afhankelijk van de resultaten zal onderzocht worden waar structurele maatregelen noodzakelijk zijn.

Ontwikkeling van zorgrichtlijnen

Een belangrijk doel van het ALS Centrum Nederland is het verbeteren van de zorg en begeleiding voor mensen met ALS. De zorg aan mensen met ALS in Nederland wordt verleend door medici en paramedici. Voor een aantal paramedische beroepsgroepen, ergotherapie en logopedie, bestaan richtlijnen voor de behandeling van mensen met ALS maar deze zijn verouderd en niet onderbouwd met de meest recente literatuur. Voor de fysiotherapeutische behandeling bestaat geen landelijke richtlijn. Binnen het ALS Centrum Nederland zijn door fysiotherapeuten per revalidatiecentrum op klinische ervaring gebaseerde protocollen ontwikkeld. De zorg van de fysiotherapeuten van het ALS Centrum Nederland is dat de kennis over ALS bij perifere fysiotherapeut niet toereikend is. Uit een rapport van het ALS Centrum Nederland bleek dat patiënten die in een ver gevorderd stadium van de ziekte zijn, van mening zijn dat de kennis van de 1^e lijns fysiotherapeut over de behandeling van ALS onvoldoende is. Ter verbetering van de kwaliteit van de paramedische zorg van mensen met ALS is het essentieel dat er op landelijk niveau evidence based richtlijnen worden geschreven en geïmplementeerd.

Door te werken met behandelrichtlijnen wordt de kwaliteit van de behandeling vergroot en uitkomsten van zorg verbeterd door het: (1) Verkrijgen van eenduidigheid binnen, en afstemming tussen de paramedische behandelingen van patiënten met ALS/PSMA; (2) Vergroten van kennis over ALS/PSMA binnen de paramedische beroepsgroepen; (3) Verbeteren van de doelmatigheid van de paramedische zorg voor patiënten met ALS/PSMA; (4) Bevorderen van multidisciplinaire samenwerking.

De methoden die gebruikt worden om de richtlijn te ontwikkelen zijn ontleend aan de EBRO methodiek van het CBO voor richtlijnontwikkeling. De richtlijnen worden geschreven conform de huidige nationale en internationale standaarden.

De uitvoerders zullen op basis van een systematisch literatuuronderzoek een eerste conceptringlijn schrijven. Waar geen bewijs voorhanden is zal een aanbeveling gemaakt worden op basis van (gepubliceerde) 'expert opinions' en de kennis/ervaring van de uitvoerder. Er worden verschillende focusgroepen samengesteld bestaande uit paramedici (fysiotherapie, ergotherapie, logopedie) die werkzaam zijn binnen de ALS Revalidatie Advies Centra Nederland, en ALS patiënten en hun partners. De rol van de focusgroepen is om de inhoud van de richtlijnen te bewaken. Hun taak is om fouten of onvolkomenheden te traceren, aanvullingen of nieuwe inzichten te verschaffen, en suggesties te doen voor onvoorziene praktische implementatieproblemen. Hiervoor worden de leden van de focusgroep op twee momenten geraadpleegd middels een commentaarronde.

Vervolgens zullen alle experts wordt gevraagd de concept teksten van de richtlijnen te beoordelen op relevantie, volledigheid en bruikbaarheid vanuit het perspectief van de groep die ze vertegenwoordigen. Reacties worden door de uitvoerders verwerkt in de definitieve richtlijnen. De definitieve richtlijnen zullen ter autorisatie worden voorgelegd aan de beroepsverenigingen en ter informatie verspreid onder de beroepsgroepen ergotherapie, logopedie en fysiotherapie. Ter bevordering van de implementatie wordt een studiedag georganiseerd voor paramedici die patiënten met ALS behandelen. Bij aanvang van het richtlijnenproject zal een implementatieplan worden opgesteld dat wordt voorgelegd aan de begeleidingscommissie en de stuurgroep. Het gehele proces is gestart in september 2010 en zal naar verwachting het derde kwartaal van 2011 worden afgerond.

Meetbare resultaten (geformuleerd in businessplan):

- *Wachttijd voor patiënten maximaal 1 week*

Dit is in 2010 gerealiseerd voor 75% van de patiënten en dit betreft alle patiënten met spoedindicatie. 95% van de patiënten wordt gezien binnen 2 weken.

- *Alle patiënten worden gezien op dagbehandeling voor stellen van diagnose*

Dit is gerealiseerd in 2010.

- *>95% juiste diagnose binnen 1 week*

Dit is gerealiseerd in 2010.

- *Diagnostisch delay terugbrengen naar 330 dagen*

De mediane diagnostic delay was in 2009 270 dagen. Dit is onveranderd in 2010.

- *Bereikbaarheid > 95% van de patiënten met ALS in Nederland voor informatievoorziening en wetenschappelijk onderzoek*

Dit is gerealiseerd voor 2009. Meer dan 95% van de patiënten in Nederland worden bereikt middels de ALS poliklinieken van de drie Academische ziekenhuizen en via de geheel vernieuwde website. Er is een landelijke ALS database en biobank (PAN = Prospectief ALS onderzoek Nederland) waaraan ongeveer 95% van de patiënten in Nederland deelnemen.

- *80% van de ALS patiënten in Nederland worden gezien op de poliklinieken van het ALS Centrum Nederland*

Dit is gerealiseerd in 2010.

- *20% afname van face to face vervolgconsulten in ziekenhuis*

Dit zal in een latere fase gerealiseerd worden nadat de effecten van de e-consulten bekend zijn (verwachting 2011-2012).

- *Ontwikkeling en implementeren van persoonlijke internetsite (zie onder)*

Dit is gerealiseerd voor het UMC St Radboud en het UMC Utrecht in 2010.

- *Tevredenheid en wensen van patiënten zal continu gemeten worden via ontwikkelde vragenlijsten en spiegelbijeenkomsten*

In 2010 is middels vragenlijsten de tevredenheid en wensen van patiënten opnieuw gemeten.

- *Het ontwerpen en ontwikkelen digitale zorg op maat via een persoonlijk website/patiëntenportaal*

Dit is gerealiseerd voor het UMC St Radboud en het UMC Utrecht in 2010 en zal gerealiseerd worden voor het AMC in 2011.

- *Het vaststellen van de doelmatigheid van digitale zorg bij ALS ten aanzien van kosten, kwaliteit van leven, tevredenheid van patiënten en hulpverleners, en de beschikbaarheid van hulpmiddelen en voorzieningen*

Dit zal geëvalueerd worden voor het UMC St Radboud en het UMC Utrecht in 2011.

2. Implementatie van nieuwe technologie op het gebied van informatie en communicatie

ALS portaal/digitale poli

Eind 2009 is in het UMC St Radboud en het UMC Utrecht gestart met digitale zorg op maat via een persoonlijk website/patiëntenportaal. In 2010 is dit verder ontwikkeld. Het blijkt dat wij hier in zekere mate afhankelijk zijn van de verschillende mogelijkheden en initiatieven in het UMC St Radboud en het UMC Utrecht. In het UMC Utrecht is het ALS portaal gestart met e-consult functie (gekoppeld aan het elektronisch patiëntendossier), overzicht afspraken, voorbereiding/informatie polikliniek bezoek + wetenschappelijk onderzoek. In 2010 hebben meer dan 250 patiënten van het ALS spreekuur hiervan gebruik gemaakt. Ongeveer 80% van de patiënten schrijft zich in voor het portaal.

Met name oudere patiënten maken er geen gebruik van, hoewel de kinderen van patiënten het vaak overnemen. Veel patiënten reageren enthousiast op deze mogelijkheid van communicatie waarop ze 24 uur per dag terecht kunnen. Per week worden 3-5 hulpvragen gesteld via het portaal. Vragen en antwoorden via het e-consult worden opgeslagen in het EPD volgens alle privacy voorschriften.

In het UMC St Radboud is in 2010 formeel gestart met de digitale ALS polikliniek. Via de digitale poli kunnen ALS-patiënten snel en eenvoudig hun medisch dossier inzien, inclusief alle brieven, foto's, EMGs en labuitslagen. Daarnaast kunnen patiënten ook chatten en deelnemen aan forumdiscussies in een zogenaamde digitale ALS community. Op die manier kunnen zij, binnen de beschermde omgeving van het ALS Centrum Nederland, ervaringen uitwisselen met andere patiënten. Bovendien biedt de digitale poli op termijn de mogelijkheid tot e-consulting: het rechtstreeks via de website raadplegen van de behandelend neuroloog of nurse practitioner. Het is de bedoeling dat ook hier deze e-consulten in de toekomst automatisch worden opgeslagen in het EPD van de ALS patiënt.

In het AMC zal in 2011 gestart worden met projecten rondom digitale zorg en e-consulten.

Duurzaam en verantwoord ondernemen

Het ALS Centrum Nederland doet er alles aan om onnodige belasting van het milieu te voorkomen. Het efficiënt organiseren van aanvullende diagnostiek op de dagbehandeling, het digitaal dicteren en streven naar een papierloze organisatie, het introduceren van een digitale polikliniek waardoor soms een reis naar het ziekenhuis kan worden voorkomen, en de introductie van 'videoconferentie' zijn hiervan slechts enkele voorbeelden.

Meetbare resultaten:

- *Het actief ontwikkelen van een digitale ALS community*

De ontwikkeling van de interactieve website is in 2008 gerealiseerd. In 2010 is communicatie via dit medium uitgebreid met e-consulten succesvol geïmplementeerd in het UMC Utrecht.

- *De informatieve website zal wekelijks ge-update worden*

Dit is gerealiseerd in 2010.

- *Patiënten worden, indien gewenst, geïnformeerd via hun persoonlijk portaal*

Dit is gerealiseerd voor het UMC St Radboud en het UMC Utrecht in 2010 en zal gerealiseerd worden voor het AMC in 2011.

- *Nieuwe ontwikkelingen zullen direct bekend gemaakt worden*

Dit is gerealiseerd in 2010. Voor het patiëntenportaal is dit gerealiseerd voor het UMC St Radboud en het UMC Utrecht in 2010 en wordt hopelijk gerealiseerd voor het AMC in 2012.

- *Nieuwe behandel protocollen zullen verder ontwikkeld en aangepast worden, en direct beschikbaar zijn via de site*

Dit is gerealiseerd in 2010 (zie ook website). Dit zal de komende jaren verder uitgewerkt worden (zie boven voor richtlijnen fysiotherapie, logopedie, ergotherapie).

- *Hulpverleners in het gehele land kunnen informatie opvragen bij hulpverleners van het ALS Centrum Nederland*

Dit is gerealiseerd in 2010.

- *Hulpverleners van het ALS Centrum Nederland zullen actief bijdragen aan en organiseren van nascholingen, patiëntendagen, symposia en congressen*

Dit is gerealiseerd in 2010.

3. Het tot stand komen van een ALS onderzoeksgroep behorend tot de top 3 van de wereld

Een groot aantal onderzoeksprojecten lopen en zijn opgezet (zie onder). Successen zijn behaald op het gebied van de genetische en omgevingsrisicofactoren, neurofysiologie en fenotypering van ziekten die lijken op ALS of na verloop over kunnen gaan in ALS. In 2010 zijn op dit een groot aantal artikelen gepubliceerd in toonaangevende internationale medische tijdschriften (zie bijlage) en hebben 5 ALS onderzoekers met succes hun proefschrift verdedigd (zie onder).

Een bijzonder succes werd behaald in 2010 betreffende internationale samenwerking. Met 14 collega onderzoekers uit diverse Europese landen werd een EU subsidie verkregen van bijna 9 miljoen euro voor de komende 5 jaar. Het project werd als 1 van de 4 projecten gehonoreerd uit een totaal aantal inzendingen van 98 op allerlei gebieden binnen de gezondheidszorg. Het ALS project, aangevraagd en gecoördineerd vanuit het UMC Utrecht, is een mooie kans de komende jaren internationale samenwerking en uitwisseling van onderzoeksgegevens te bevorderen. Tevens is op initiatief van Stichting ALS Nederland en het ALS Centrum Nederland de European Network for the Cure of ALS (ENCALS) opgericht, een samenwerkingsverband van Europese ALS centra en onderzoeksinstituten met als doel door middel van optimale samenwerking de oorzaak en behandeling van ALS te ontdekken.

Er werd door medewerkers van het ALS Centrum Nederland actief deelgenomen aan internationale congressen/symposia om resultaten van wetenschappelijk onderzoek te presenteren en kennis uit te wisselen. Zo was het ALS Centrum Nederland prominent aanwezig op het internationale ALS symposium in Orlando met 5 voordrachten en diverse posters.

B. Lopende onderzoeksprojecten ALS Centrum Nederland 2010

Prospectieve ALS studie Nederland (PAN)

Wereldwijd de grootste prospectieve population-based case-control studie bij amyotrofische laterale sclerose (ALS), primaire laterale sclerose (PLS), progressieve spinale spieratrofie (PSMA) en pseudobulbaire parese (PBP). Doel van het onderzoek is genetische en omgevingsfactoren te ontdekken die het risico op en het beloop van ALS, PLS, PSMA of PBP voorspellen. Alle volwassen patiënten met sporadische of familiale ALS, PLS, PSMA of PBP in Nederland worden verzocht deel te nemen aan de PAN. Informatie uit vragenlijsten en vanuit bloedafname wordt vergeleken met een vergelijkbare groep gezonde controlepersonen. Momenteel staan data van 1500 patiënten en 3000 controlepersonen in een database. Hieruit valt op te maken dat de ziekte gemiddeld 2.77 keer per 100.000 mensen per jaar gediagnosticeerd wordt in Nederland. De kans om ALS te krijgen neemt toe tot ongeveer het 75^e levensjaar, hierna neemt de kans weer af. Het komende jaar worden onder andere de uitkomsten verwacht van de invloed van roken, alcohol, aandoeningen in de naaste familie en beroep verwacht. Nieuwe patiënten blijven in de studie opgenomen worden.

Genetische risico factoren voor sporadische ALS

Recente technologische en wetenschappelijke ontwikkelingen hebben het mogelijk gemaakt om in 1 experiment bijna alle variatie in het genoom te toetsen voor associatie met ziekte. Deze zogenaamde genoomwijde associatie studies (GWAS) zijn case-control studies waarin > 300,000 SNPs worden getest voor associatie met ALS. In samenwerking met onderzoeksgroepen in België, Zweden, Duitsland, Engeland, Frankrijk, en de USA hebben we een GWAS uitgevoerd in een populatie van meer dan 5000 ALS patiënten en 10.000 gematchte controles. In dit onderzoek zijn 2 belangrijke genen ontdekt die het risico voor het krijgen van ALS vergroten. Nieuw onderzoek is gestart om meer te weten te komen over de precieze functie van deze genen in ALS.

Toen werd ontdekt dat deleties in het gen NIPA1 het risico op ALS verhogen, besloten we ook andere variatie in dit gen te bekijken. Door dit te onderzoeken in bijna 2300 patiënten en 2800 controle personen. Hierin zien we bij ALS patiënten het einde van NIPA vaker verlengd is. Een zich herhalend patroon is in ALS patiënten vaak langer, een zogenaamde repeat-expansie. Van 1 ander gen (Ataxine-2) was al bekend dat een repeat expansie het risico op ALS verhoogt. Nu we dit ook hebben aangetoond voor NIPA1, bevestigen we dat NIPA1 een rol speelt in de ontstaanswijze van ALS.

Familiaire ALS

Het doel van deze studie is om te onderzoeken:

- Hoe vaak familiale ALS voorkomt.
- Hoe de ziekte overerft.
- Of er specifieke, karakteristieke kenmerken van familiale ALS in Nederland zijn.
- Of familiale ALS patiënten gemeenschappelijke voorouders hebben.
- Of er afwijkingen zijn in bekende genen bij ALS.
- Of er nieuwe afwijkingen in genen gevonden kunnen worden met de nieuwste genetische technieken.

Om deze doelstellingen te beantwoorden proberen we zo veel mogelijk materiaal en informatie van families met ALS in Nederland te verzamelen. Op dit moment bevindt zich informatie over meer dan 100 families in onze database.

Bij vijf tot tien procent van de patiënten komt ALS in de familie voor. Dit betekent dat erfelijke factoren een belangrijke rol spelen bij het ontstaan van de ziekte. Met deze studie willen we de erfelijke factoren in kaart brengen. Zo onderzoeken we hoe vaak familiäre ALS voorkomt, wat de overerving is, of de patiënten specifieke kenmerken vertonen, en of ze gemeenschappelijke voorouders hebben. Om deze doelstellingen te beantwoorden proberen we zo veel mogelijk materiaal en informatie over families met ALS in Nederland te verzamelen. Op dit moment bevat onze database informatie over meer dan 150 patiënten.

Daarnaast richt deze studie zich op de oorzaken van familiäre ALS, hierdoor weten we nu dat 15-20% van de patiënten met familiäre ALS afwijkingen heeft in genen (bouwtekeningen voor een bepaald eiwit) waarvan bekend is dat ze ALS kunnen veroorzaken. Welke andere afwijkingen de overige gevallen kunnen verklaren is echter nog onbekend. Daarom zullen we gebruik maken van een nieuwe revolutionaire techniek die alle 30.000 genen van de mens in één keer kan bepalen (exome sequenzen). Het toepassen van deze nieuwe techniek op het DNA van patiënten met familiäre ALS zal het onderzoek een enorme impuls geven, en ons in staat stellen nieuwe ALS genen op te sporen.

Copy-number variatie in amyotrofische laterale sclerose

Dit onderzoek gaat over de rol van deleties (het ontbreken van een stukje DNA) en duplicaties (te veel van een stukje DNA) in het menselijk genoom die betrokken zijn bij de pathogenese van ALS. Sinds enkele jaren is namelijk bekend dat structurele variatie (dus deleties en duplicaties van brokken DNA, in plaats van variaties op nucleotide niveau (SNPs)) een belangrijke bron zijn van genetische variatie. Er is al een copy-number variant (CNV) bekend, die geassocieerd is met ALS, namelijk in het survival of motor neuron (SMN) gen. Het is zeer waarschijnlijk dat er nog meer van dit soort varianten met ALS te maken hebben. Sinds kort is het mogelijk om het hele menselijke genoom te onderzoeken op CNVs. Het onderzoek is er momenteel op gericht om de data die zijn verkregen met een genoom-wijde genotypering studie te analyseren bij duizenden patiënten en controles, en te onderzoeken of er CNVs geïdentificeerd kunnen worden die geassocieerd zijn met ALS.

Eerdere onderzoeken hebben gekeken naar verschillende deleties en duplicaties in het DNA van ALS patiënten. Eerder was al bekend dat deze variatie in het SMN-gen en NIPA1 een rol spelen bij ALS. Echter, hierbij is altijd gekeken naar DNA afkomstig uit het bloed van patiënten, omdat dit immers makkelijk beschikbaar is. Op deze manier is het DNA te onderzoeken van vele patiënten en controlepersonen. Recent is gebleken dat copy-number variaties in het bloed niet altijd representatief zijn, voor DNA in andere weefsels. Omdat ALS zich voornamelijk manifesteert in het ruggenmerg en de hersenen, kijken we nu naar copy-number variaties in deze weefsels. De hypothese is dat er misschien deleties en duplicaties in het DNA uit het ruggenmerg voorkomen bij ALS patiënten, maar dat je die niet vindt als alleen het bloed wordt onderzocht (een zogenaamd mosaïcisme). Ruggenmerg weefsel is natuurlijk veel moeilijker te verkrijgen (alleen uit obductiemateriaal). Vandaar dat we dit nu onderzoeken in 3 ALS patiënten en 3 overleden controlepatiënten zonder ALS. De resultaten van deze studie worden in de tweede helft van 2011 verwacht.

De ontwikkeling van nieuwe therapeutische mogelijkheden bij ALS

Pathologisch onderzoek bij ALS toont eiwitinclusies ('Bunina bodies') in motorische neuronen. Ophoping van eiwitten als oorzaak van motor neuron degeneratie is dan ook een voor de hand liggende hypothese. Lithium bevordert via de signaalstof inositol-monofosfatase-1 (IMP-1) de opruiming van afvalstoffen en niet functionele eiwitten in cellen (autofagie). Begin 2008 is er een onderzoek gepubliceerd waarbij lithiumtherapie in het muismodel voor ALS geassocieerd was met langzamere ziekteprogressie en langere overleving. Er is tevens in een kleine groep patiënten een vergelijkbaar effect gevonden. Deze bevindingen vroegen om een grote gerandomiseerde studie naar het effect op het dagelijks functioneren en de overleving bij ALS. November 2008 is de lithium trial bij ALS (LITRA) van start gegaan in Nederland om dit verder te onderzoeken. Het betreft een placebogecontroleerde, dubbelblinde studie vanuit het ALS Centrum Nederland. In 2010 zijn er 125 patiënten geïncludeerd, middels sequentiële analyse is er voortdurende monitoring van de effectiviteit en de veiligheid. Zodra er significante verschillen worden gevonden tussen de twee behandelarmen wordt de trial beëindigd.

MRI onderzoek naar ALS: biomarkers en netwerken in het brein

De MRI speelt een belangrijke rol bij de diagnostiek en follow-up van veel neurologische ziekten. Multiple sclerose is hier een mooi voorbeeld van; de afwijkingen die hierbij gezien worden op een MRI scan hebben de diagnostiek verbeterd en het onderzoek naar medicijnen sneller en makkelijker gemaakt. Bij ALS wordt de MRI scan enkel gebruikt om andere ziekten uit te sluiten aangezien er op het oog geen specifieke afwijkingen voor ALS te zien zijn. Technologische ontwikkelingen hebben het echter mogelijk gemaakt hele gedetailleerde metingen van hersenstructuren te verrichten waardoor kleinere afwijkingen gedetecteerd kunnen worden. Inmiddels hebben we met dergelijke metingen gevonden dat patiënten een dunnere motorische hersenschors hebben ten opzichte van gezonde controles. Deze verdunning is weliswaar subtiel, maar kan behoorlijk goed onderscheid maken tussen patiënten met ALS en gezonde controlepersonen. Momenteel wordt in Utrecht onderzocht of deze metingen kunnen helpen bij het stellen van de diagnose.

Het is nog niet goed bekend wat het effect is van ALS op de hersengebieden die niet betrokken zijn bij de motoriek en op het geheel aan verbindingen in de hersenen. Door alle verbindingen in de hersenen in kaart te brengen met behulp van specifieke MRI scans kan onderzocht worden hoe ALS de rest van het brein beïnvloed. De eerste resultaten hebben laten zien dat verbindingen tussen de motorische hersenschors en andere hersengebieden minder sterk worden.

Onderzoek naar een biomarker voor ALS middels gen expressie-profiel in bloed van patiënten met ALS

Biomarkers kunnen de diagnose versnellen, voortgang en progressie van de ziekte meten en informatie geven over welke ziektemechanismen ALS veroorzaken. Onderzoek in ons laboratorium voor Experimentele Neurologie heeft aangetoond dat in bloed van patiënten met ALS er een uniek gen-expressie profiel is. Deze resultaten worden gebruikt om specifieke expressie van een set genen te identificeren die gebruikt kunnen worden als biomarker. Inmiddels hebben we van de 40.000 genen een set met expressie-profielen van 12 genen weten te selecteren op basis waarvan wij ALS patiënten kunnen onderscheiden van patiënten met een ziekte die er op ALS lijkt. We staan nu op het punt dit expressie profiel te gebruiken op een set van nieuwe ALS patiënten, om te kijken of we ook daadwerkelijk kunnen *voorspellen* of iemand ALS heeft, of dat het om een andere ziekte gaat.

De meerwaarde van intensieve zorg-coaching in de behandeling en begeleiding van patiënten met ALS

Onderzoek toont aan dat er tekorten zijn in de zorg voor patiënten met ALS, met name als het gaat om de samenwerking tussen de verschillende disciplines, het op tijd verkrijgen van benodigde hulpmiddelen en de hoge frequentie van onbehandelde, maar goed te behandelen symptomatologie. Case management in de vorm van een zorgcoach lijkt een organisatorische oplossing te bieden. De hypothese van dit onderzoek is dat het toevoegen van persoonlijke, ziekte specifieke begeleiding aan de bestaande zorg door middel van een zorgcoach leidt tot een toename van de kwaliteit van de zorg en de kwaliteit van leven van patiënten met ALS in Nederland en een vermindering van de belasting van de mantelzorger.

Gedurende 2 jaar zal een gerandomiseerde studie uitgevoerd worden bij ALS patiënten die gedurende 12 maanden intensieve persoonlijke begeleiding ontvangen door een zorgcoach naast de bestaande zorg.

De meerwaarde van intensieve zorg-coaching in de behandeling en begeleiding van patiënten met ALS. Een aanvullende kwalitatieve studie

In het zorgcoach onderzoek zijn 132 patiënten geïnccludeerd waarvan 71 begeleiding krijgen (hebben gekregen) van een zorgcoach. De daadwerkelijke invulling van deze begeleiding blijkt divers. Aanvullend kwalitatief onderzoek is gewenst om inzicht te krijgen in de behoeften van ALS patiënten en hun naasten aan persoonlijke begeleiding en in de ervaringen die zij hebben met de inzet van de zorgcoach. Tevens kan door een kwalitatieve studie een vertaalslag naar de praktijk gemaakt worden door met patiënten, naasten en professionals te kijken hoe de (bestaande) zorg georganiseerd kan worden om zoveel mogelijk aan de zorgbehoeften van mensen met ALS en hun naasten tegemoet te komen.

Onderzoek naar gedeelde genetische aanleg voor ALS en ziekte van Alzheimer, ziekte van Parkinson en Frontotemporale Dementie (ook: ziekte van Pick)

Zowel bij patiënten met ALS, de ziekte van Alzheimer, de ziekte van Parkinson en Frontotemporale Dementie (ook wel ziekte van Pick) zijn grote onderzoeken gedaan naar genetische risicofactoren verspreid over al het DNA (zogenaamde genomwijde associatie studies). Er zijn aanwijzingen dat er overlap bestaat in de ontstaansmechanismen van deze verschillende ziekten. Wij combineren en vergelijken de resultaten van de genomwijde associatiestudies om te zoeken naar nieuwe of gedeelde genetische risicofactoren die betrokken zijn bij de ontstaansmechanismen van meerdere ziekten. De gecombineerde analyse van ALS en frontotemporale dementie heeft geen nieuwe risicofactoren opgeleverd, maar toont aan dat genetische risicofactoren voor ALS ook betrokken zijn bij het ontstaan van frontotemporale dementie. Gecombineerde analyses van ALS met ziekte van Alzheimer, ziekte van Parkinson zijn nog lopende.

Onderzoek naar het verband tussen genetische variatie in het gen UNC13A en overlevingsduur van patiënten met ALS

Bij een groot onderzoek naar genetische risicofactoren, verspreid over het gehele DNA, van ALS patiënten uit meerdere landen zijn variaties in twee genen ontdekt die het risico op ALS vergroten. Eén daarvan is het gen *UNC13A*, dat de signaaloverdracht tussen zenuwcellen kan beïnvloeden. Wij hebben in een nieuwe groep van bijna 500 Nederlandse ALS patiënten onderzocht of variatie in *UNC13A* invloed heeft op de overlevingsduur van patiënten. Uit het onderzoek is gebleken dat de variant van *UNC13A* die een verhoogd risico geeft op ALS, ook voor een kortere overlevingsduur zorgt. Deze uitkomst kan met name van pas komen bij toekomstig onderzoek naar nieuwe medicijnen gericht op verlenging van de overlevingsduur van ALS patiënten.

Onderzoek naar nieuwe genen als risicofactoren voor ALS door te kijken welke genen ook een veranderde activiteit hebben in bloed

Bij een groot onderzoek naar genetische risicofactoren, verspreid over het gehele DNA, van ALS patiënten uit meerdere landen zijn variaties in twee genen ontdekt die het risico op ALS vergroten. Wij hebben in het bloed van ruim 300 ALS patiënten de activiteit van genen (de hoeveelheid RNA), verspreid over het gehele DNA, gemeten. Door te onderzoeken welke variaties in genetische gebieden de activiteit van genen in bloed beïnvloeden, kunnen er nieuwe genetische risicofactoren voor ALS worden gevonden en kunnen we meer inzicht krijgen in het ontstaansmechanisme van ALS. Met dit onderzoek hebben we een nieuw gen gevonden dat een licht verhoogd risico op ALS geeft, maar ook de genactiviteit in bloed beïnvloedt. Bij verder onderzoek zullen we dit resultaat proberen te bevestigen in een nieuwe groep van ALS patiënten.

Aerobe fysieke training en cognitieve gedragstherapie bij ALS: FACTS-2-ALS studie

Patiënten met ALS hebben progressief verlies en zwakte van de spieren, deze spierzwakte kan resulteren in het vermijden van fysieke activiteiten, waardoor de spierzwakte en cardiovasculaire deconditionering verder kunnen toenemen. Daarnaast kan de impact van de infauste prognose ook resulteren in depressieve symptomen en gevoelens van hopeloosheid. Doel van het onderzoek is het bestuderen van de effectiviteit van Aerobe Fysieke Training (AFT) en Cognitieve Gedragstherapie CGT op het verbeteren van het activiteitsniveau en het verbeteren van kwaliteit van leven bij patiënten met ALS. De studie betreft een multicenter RCT, waarbij 75 ALS- patiënten (1 maand postdiagnose, 18-70 jaar) worden geworven uit 4 verschillende universitaire ziekenhuizen / revalidatiecentra (Utrecht, Amsterdam, Nijmegen en Enschede). In mei 2011 waren er 22 patiënten geïncludeerd. De laatste patiënt zal naar verwachting eind 2013 geïncludeerd worden. De resultaten van de trial zijn in 2014/2015 beschikbaar.

Proteomic onderzoek ALS

In de zieke motorische neuronen in de voorhoornen van de ruggenmergen van ALS patiënten worden bij weefselonderzoek abnormale eiwitophopingen gevonden. Om inzicht te krijgen in de aard van deze eiwitophopingen en de processen die tot deze ophopingen en uiteindelijk celdood leiden worden de eiwitprofielen van de voorhoornen van ALS patiënten vergeleken met die van controles. Ook worden de motorische voorhoornen van ALS patiënten en controles vergeleken met de neuronen in de achterhoornen van beide groepen. De cellen in de achterhoornen zijn niet aangedaan bij ALS. De hoop is dat dit inzicht geeft in de celsystemen die de motorische voorhoornen gevoelig maken voor het ziekteproces bij ALS.

RNA onderzoek ALS patiënten met mutatie in het FUS-gen

Abnormaal eiwitmetabolisme lijkt een belangrijke rol te spelen bij de celdood van motorische neuronen in ALS-patiënten. De informatie voor eiwitten ligt opgesloten in de genetische code van het DNA. De informatie voor specifieke eiwitten, de genen, wordt afgelezen waarbij boodschapper RNA ontstaat, dat vervolgens wordt vertaald in de aminozuurvolgorde van het eiwit. Het eiwit zal vervolgens nog modificaties ondergaan alvorens zijn uiteindelijke functie te kunnen uitoefenen. Bekend is dat bij bepaalde groepen ALS patiënten specifieke afwijkingen in genen voorkomen. Een van de genen is het FUS-gen. Hoe afwijkingen in het FUS-gen leiden tot ALS is niet bekend. De RNA profielen van ALS patiënten met een afwijking van het FUS-gen zal worden vergeleken met die van sporadische ALS patiënten (zonder bekende genafwijking) en die van controles. Dit kan leiden tot inzicht in de celsystemen en hun interactie die uiteindelijk leiden tot celdood van motorische neuronen en ALS.

Speekselvloed bij ALS

Door de ziekte ALS krijgen sommige patiënten last van hinderlijke en overmatige speekselvloed. Deze klachten kunnen op meerdere manieren worden behandeld. Bepaalde medicijnen kunnen deze overmatige speekselvloed tegengaan maar deze medicijnen gaan soms gepaard met relatief veel bijwerkingen terwijl het effect ervan vaak tegenvalt. Bestraling (= radiotherapie) van de speekselklieren is een behandeling die goed resultaat geeft met relatief weinig en kortdurende bijwerkingen. Een andere behandeling die de laatste jaren effectief is gebleken is injectie met botuline toxine (ook wel Dysport genoemd) in de speekselklieren. Deze behandeling heeft eveneens weinig bijwerkingen.

Het doel van dit onderzoek is om uit te vinden welke behandeling (lokale bestraling van de speekselklieren of botuline injecties in de speekselklieren) het beste resultaat en de minste bijwerkingen geeft bij overmatige speekselvloed ten gevolge van de ziekte ALS. Resultaten worden momenteel uitgewerkt.

Het spier-echo onderzoek bij ALS

De diagnose ALS is in een vroeg stadium soms moeilijk te stellen. Bovendien wordt het EMG, dat nodig is om de diagnose ALS te kunnen stellen, door sommige patiënten als minder prettig ervaren. Spierecho onderzoek blijkt in staat om verandering in de spieren die optreden in het beloop van de ziekte in een vroeg stadium te detecteren. In dit onderzoek zal spierecho onderzoek direct worden vergeleken met het EMG. Het doel van de studie is aan te tonen dat spierecho onderzoek (een deel van) het EMG in de toekomst kan vervangen. Eerdere spierecho studies hebben zich vooral gericht op de spieren van armen en benen. De huidige studie richt zich met name op de bulbaire musculatuur.

Corticocorticale connectiviteit in patiënten met ALS

De prikkelbaarheid van de hersenen, motore hersenschors, is verhoogd in patiënten met ALS. Nog preciezer gezegd is er sprake van verminderde intracorticale inhibitie, vooral in het begin van de ziekte. Deze prikkelbaarheid is te meten met een techniek genaamd transcraniële magneet stimulatie (TMS). Dergelijke metingen zijn gebonden aan het meten van de motore hersenschors met als uitkomst de grootte van de respons van de spieractiviteit (bijv. handspieren). Door de TMS te combineren met elektro-encefalografie (EEG) is het mogelijk ook de verbondenheid van de verschillende hersengebieden direct te meten. Een aantal functionele MRI studies geven al aan dat er veranderingen optreden in onder andere het motore netwerk in de hersenen bij ALS patiënten. Met het komende onderzoek zouden we de veranderingen in deze motore netwerken in kaart willen brengen door patiënten te vergelijken met gezonde controles. Inzicht in deze connecties en veranderingen daarin zullen ons inzicht geven in het ziekteproces.

High density surface EMG in het onderzoek naar patiënten met ALS

High density surface EMG is een techniek waarmee het mogelijk is om op een geheel nieuwe manier onderzoek te doen naar het tweede motor neuron. Een voordeel van deze techniek is dat het mogelijkheden biedt om op een niet invasieve manier de verschillende motor units te identificeren en langdurig te registreren.

Voorbeelden van recente studies bij patiënten met ALS zijn de motor unit number estimation (MUNE) studie en de fasciculatie studie bij ALS-patiënten en later bij patiënten met benigne fasciculaties. Verder onderzoek is er op gericht om de data analyse, die nodig is om de veelheid aan gegevens te verwerken, verder te automatiseren. Daarnaast zal er dit jaar (2011) een studie van start gaan waarbij met behulp van oppervlakte EMG en een nieuw ontwikkelde index voor het aantal motorunits (MUNIX) het beloop van de ziekte gevolgd zal worden. Dit is een internationale studie waarbij Nijmegen een van de deelnemende centra is. In deze studie zal MUNIX ook direct vergeleken worden met de spierecho.

Onderzoek naar de motorische en andere systemen in ALS en ander vormen van motor neuron disease zoals PSMA en PLS: een klinisch-neurologische en MRI-studie

Met behulp van 2 verschillende soorten MRI scans werd onderzocht welke soorten motorische zenuwcellen aangetast zijn bij de verschillende soorten motor neuron ziekte. Dit onderzoek werd gedaan bij patiënten met ALS (patiënten bij wie de ziekte een bulbaire begin heeft (met articulatie- en/of slikstoornissen) en patiënten met een begin in een arm of been), progressieve spinale spieratrofie (PSMA) en primaire lateraal sclerose (PLS). Daarnaast werd in samenwerking met een groep in Leuven onderzocht of er ook andere zenuwcellen in de hersenen zijn betrokken bij het ziekteproces. Die informatie zal ons helpen om een beter inzicht te krijgen in de ziekte ALS en de andere vormen.

Cognitieve stoornissen in motor neuron ziekten: de COMO studie

Er komen steeds meer aanwijzingen dat ook andere hersengebieden dan die welke de skeletspieren aansturen, aangedaan kunnen zijn in een deel van de ALS-patiënten. Dit kan leiden tot lichte problemen van bijvoorbeeld geheugen, taal of ruimtelijk inzicht (ook wel *cognitieve stoornissen* genoemd). Bij PSMA is hierover vrijwel niets bekend. In de COMO-studie wordt onderzocht welke hersengebieden precies zijn aangedaan en welke gevolgen dit heeft. Hiervoor wordt een MRI van de hersenen gemaakt en een neuropsychologisch onderzoek uitgevoerd en dit wordt na een half jaar nog eens herhaald.

Ontwikkelen nieuwe klinisch-metrisch verantwoorde vragenlijst om gedragsveranderingen bij ALS-patiënten te kunnen vaststellen

ALS-patiënten kunnen naast cognitieve stoornissen ook gedragsveranderingen vertonen, overeenkomend met die bij frontotemporale dementie (FTD). Hoe vaak het voorkomt en hoe ernstig het is is nog onduidelijk want vragenlijsten die er bestaan vertonen vaak methodologische tekortkomingen.

Eerst werd literatuuronderzoek verricht om vast te stellen wat relevante vragen zijn.

In een vooronderzoek (pilot) vulden partners van ALS-patiënten de lijst in waarna de lijst definitief werd gemaakt en aan een veel grotere groep patiënten en hun partners, maar ook aan patiënten met FTD en een controlegroep (gezonden, spierdystrofiëpatiënten) wordt voorgelegd.

De vragenlijst zal in 2011 beschikbaar komen.

Beademing bij ALS patiënten: kan verwijzing beter?

Patiënten met ALS, PSMA en PLS overlijden aan de gevolgen van zwakte van de ademhalingsspieren en in overleg met de behandelaars wordt vaak besloten om naar het Centrum voor Thuisbeademing (CTB) te gaan om over de mogelijkheden van niet-invasieve beademing te spreken. Het CTB heeft evenwel de indruk dat veel mensen te laat worden doorverwezen. In het onderzoek werd nagegaan hoeveel mensen acuut moesten worden ingesteld en of er eventuele aanbevelingen zijn ten opzichte van de verwijzing?

Het betreft een retrospectieve studie naar ALS, PSMA en PLS patiënten, verwezen in 2007-2009.

De resultaten van de studie zijn beschikbaar in 2011.

C. Publicaties in wetenschappelijke tijdschriften 2010

Publicaties AMC

1. Van Noorden S et al. A comparison of the cingulum tract in ALS-B patients and controls using kernel matching. *Med Image Comput Comput Assist Interv.* 2010;13:249-256.
2. Van der Graaff MM et al. MR Spectroscopy Findings in Early Stages of Motor Neuron Disease. *AJNR Am J Neuroradiol.* 2010;31:1799-806.
3. Raaphorst J et al. Cognitive dysfunction in lower motor neuron disease: executive and memory deficits in progressive muscular atrophy. *J Neurol Neurosurg Psychiatry* 2010 Jun 18. [Epub ahead of print].
4. Raaphorst J et al. Amyotrofische laterale sclerose en frontotemporale dementie: overlap in kenmerken. *Ned Tijdschr Geneeskd.* 2010;154:1-13

Publicaties UMC St Radboud

1. Delnooz CC, Lefeber DJ, Langemeijer SM, Hoffjan S, Dekomien G, Zwarts MJ, Van Engelen BG, Wevers RA, Schelhaas HJ, van de Warrenburg BP. New cases of adult-onset Sandhoff disease with a cerebellar or lower motor neuron phenotype. *J Neurol Neurosurg Psychiatry.* 2010;81:968-72.
2. de Bot ST, van den Elzen RT, Mensenkamp AR, Schelhaas HJ, Willemsen MA, Knoers NV, Kremer HP, van de Warrenburg BP, Scheffer H. Hereditary spastic paraplegia due to SPAST mutations in 151 Dutch patients: new clinical aspects and 27 novel mutations. *J Neurol Neurosurg Psychiatry.* 2010 Jun 20.
3. van Dijk JP, Schelhaas HJ, Van Schaik IN, Janssen HM, Stegeman DF, Zwarts MJ. Monitoring disease progression using high-density motor unit number estimation in amyotrophic lateral sclerosis. *Muscle Nerve.* 2010;42:239-44.
4. Boekestein WA, Kleine BU, Hageman G, Schelhaas HJ, Zwarts MJ. Sensitivity and specificity of the 'Awaji' electrodiagnostic criteria for amyotrophic lateral sclerosis: Retrospective comparison of the Awaji and revised El Escorial criteria for ALS. *Amyotroph Lateral Scler.* 2010 Jun 11.
5. Philips T, De Muynck L, Thu HN, Weynants B, Vanacker P, Dhondt J, Slegers K, Schelhaas HJ, Verbeek M, Vandenbergh R, Sciort R, Van Broeckhoven C, Lambrechts D, Van Leuven F, Van Den Bosch L, Robberecht W, Van Damme P. Microglial upregulation of progranulin as a marker of motor neuron degeneration. *J Neuropathol Exp Neurol.* 2010;69:1191-200.

Publicaties UMC Utrecht

1. Verstraete E, van den Heuvel MP, Veldink JH, Blanken N, Mandl RC, Hulshoff Pol HE, van den Berg LH. Motor network degeneration in ALS: a structural and functional connectivity study. *PLoS One* 2010;5: e13664.
2. Franssen H, Gebbink TA, Wokke JHJ, van den Berg LH, van Schelven LJ. Is cold paresis caused by axonal depolarization? *J Peripher Nerv Syst* 2010;15:227-37.
3. Cats EA, Jacobs BC, Yuki N, Tio-Gillen AP, Piepers S, Franssen H, Van Asseldonk JT, van den Berg LH, van der Pol WL. Multifocal motor neuropathy: association of anti-GM1 IgM antibodies with clinical features. *Neurology* 2010;30;75:1961-7.
4. Cai C, Langfelder P, Fuller TF, Oldham MC, Luo R, van den Berg LH, Ophoff RA, Horvath S. Is human blood a good surrogate for brain tissue in transcriptional studies? *BMC Genomics* 2010;11:589.

5. Piepers S, Jansen MD, Cats EA, van Sorge NM, , W-Ludo van der Pol*, van den Berg LH*. IVIg inhibits classical pathway activity and anti-GM1 IgM mediated complement deposition in multifocal motor neuropathy. *J Neuroimmunol* 2010;229:256-62.
6. Verstraete E, Veldink JH, van den Berg LH. Would riluzole be efficacious in the new ALS trial design? *Lancet Neurol* 2010;9:949-50.
7. Cats EA, van der Pol WL, Piepers S, Franssen H, Jacobs BC, van den Berg-Vos RM, Kuks JB, van Doorn PA, van Engelen BG, Verschuuren JJ, Wokke JH, Veldink JH, van den Berg LH. Correlates of outcome and response to IVIg in 88 patients with multifocal motor neuropathy. *Neurology* 2010;75:818-25.
8. Van der Graaff MM, Lavini C, Akkerman EM, Majoie CB, Nederveen AJ, Zwinderman AH, Brugman F, van den Berg LH, de Jong JM, de Visser M. MR Spectroscopy Findings in Early Stages of Motor Neuron Disease. *Am J Neuroradiol* 2010 Nov;31:1799-806.
9. Shatunov A, Mok K, Newhouse S, Weale ME, Smith B, Vance C, Johnson L, Veldink JH, van Es MA, van den Berg LH, Robberecht W, Van Damme P, Hardiman O, Farmer AE, Lewis CM, Butler AW, Abel O, Andersen PM, Fogh I, Silani V, Chiò A, Traynor BJ, Melki J, Meininger V, Landers JE, McGuffin P, Glass JD, Pall H, Leigh PN, Hardy J, Brown RH Jr, Powell JF, Orrell RW, Morrison KE, Shaw PJ, Shaw CE, Al-Chalabi A. Chromosome 9p21 in sporadic amyotrophic lateral sclerosis in the UK and seven other countries: a genome-wide association study. *Lancet Neurol* 2010;9:986-94.
10. Verstraete E, Biessels GJ, Van Den Heuvel MP, Visser F, Luijten PR, Van Den Berg LH. No evidence of microbleeds in ALS patients at 7 Tesla MRI. *Amyotroph Lateral Scler* 2010;11:555-7.
11. Raaphorst J, de Visser M, van Tol MJ, Linssen WHJP, van der Kooi AJ, de Haan RJ, van den Berg LH, Schmand B. Cognitive dysfunction in lower motor neuron disease: executive and memory deficits in progressive muscular atrophy. *J Neurol Neurosurg psych* 2011;82:170-5.
12. Bogaert E, Goris A, Van Damme P, Geelen V, Lemmens R, van Es MA, van den Berg LH, Slegers K, Verpoorten N, Timmerman V, Jonghe PD, Van Broeckhoven C, Traynor BJ, Landers JE, Brown RH Jr, Glass JD, Al-Chalabi A, Shaw CE, Birve A, Andersen PM, Slowik A, Tomik B, Melki J, Robberecht W, Van Den Bosch L. Polymorphisms in the GluR2 gene are not associated with amyotrophic lateral sclerosis. *Neurobiol Aging* 2010 Apr [Epub ahead of print].
13. Verstraete E, Veldink JH, van den Berg LH. Would riluzole have been proven efficacious in the 'new' ALS trial design? *Lancet Neurol*;9(10):949-50.
14. Blauw HM, Al-Chalabi A, Andersen PM, van Vught PWJ, Diekstra FP, van Es MA, Saris CGJ, Groen EJM, van Rheeën W, Koppers M, van 't Slot R, Strengman E, Estrada K, Rivadeneira F, Hofman A, Uitterlinden AG, Kiemeny LA, Vermeulen SHM, Birve A, Waibel S, Meyer T, Cronin S, McLaughlin RL, Hardiman O, Sapp PC, Tobin MD, Wain LV, Tomik B, Slowik A, Lemmens R, Rujescu D, Schulte C, Gasser T, Brown Jr RH., Landers JE, Robberecht W, Ludolph AC, Ophoff RA, Veldink JH, van den Berg LH. A large genome scan for rare CNVs in amyotrophic lateral sclerosis. *Hum Mol Genet* 2010;19(20):4091-9.
15. Maessen M, Veldink JH, Van den Berg LH, Schouten HJ, van der Wal G, Onwuteaka-Philipsen BD. Requests for euthanasia: origin of suffering in ALS, heart failure, and cancer patients. *J Neurol* 2010;257(7):1192-8.
16. Cats EA, van der Pol WL, Piepers S, Franssen H, Jacobs BC, van den Berg-Vos RM, Kuks JB, van Doorn PA, van Engelen BG, Verschuuren JJ, Wokke JH, Veldink JH, van den Berg LH. Correlates of outcome and response to IVIg in 88 patients with multifocal motor neuropathy. *Neurology* 2010;75:818-25.
17. Erdman P, Lindeman E, Cats E, Van den Berg LH. Functioning of patients with multifocal motor neuropathy. *J Periph Nerv Syst* 2010;15:113-9.
18. Van der Pol WL, Cats EA, van den Berg LH. Intravenous immunoglobulin treatment in multifocal motor neuropathy. *J Clin Immunol* 2010;30:S79-83.

19. Piepers S, van den Berg LH. No benefits from experimental treatment with olfactory ensheathing cells in patients with ALS. *Amyotroph Lateral Scler* 2010;11:328-30.
20. Van Vught PWJ, Veldink JH, van den Berg LH. P413L *CHGB* is not associated with ALS susceptibility or age at onset in a Dutch population. *Proc Natl Acad Sci* 2010;107:E77.
21. Taes I, Goris A, Lemmens R, van Es MA, Van den Berg LH, Chio A, Traynor BJ, Birve A, Andersen P, Slowik A, Tomik B, Brown RH, Shaw CE, Al-Chalabi A, Boonen S, Van den Bosch L, Dubois B, Van Damme P, Robberecht W. Tau levels do not contribute to human ALS or motor neuron degeneration in the SOD1^{G93A} mouse model. *Neurology* 2010;74:1687-93.
22. Sutedja NA, Otten HG, Cats EA, Piepers S, veldink JH, van der Pol WL, van den Berg LH. Increased frequency of HLA/DRB1*15 in patients with multifocal motor neuropathy. *Neurology* 2010;74:828-32.
23. Ludolph AC, Bendotti C, Blaugrund E, Chio A, Greensmith L, Loeffler JP, Mead R, Niessen HG, Petri S, Pradat PF, Robberecht W, Ruegg M, Schwalenstöcker B, Stiller D, van den Berg LH, Viera F, von Horsten S. Guidelines for preclinical animal research in ALS/MND: a consensus meeting. *Amyotroph Lat Scler* 2010;11:38-45.
24. Groen EJN, van Es MA, van Vught PWJ, Spliet WGM, van Engelen-Lee J, de Visser M, Wokke JHJ, Schelhaas HJ, Ophoff RA, Fumoto K, Pasterkamp RJ, Dooijes D, Cuppen E, Veldink JH, Van den Berg LH. FUS mutations in familial ALS in the Netherlands. *Arch Neurol* 2010;67:224-30.
25. Van Es MA, Dahlberg C, Birve A, Veldink JH, Andersen PM*, van den Berg LH*. Large scale SOD1 mutation screening provides evidence for genetic heterogeneity in amyotrophic lateral sclerosis. *J Neurol Neurosurg Psych* 2010;81:562-6.

Proefschriften 2010

1. Nadia Sutedja 'Risk factors for motor neuron diseases – Genes, environment and lifestyle. Universiteit Utrecht. Promotor Prof Dr LH van den Berg
2. Michael van Es 'Unraveling the genetics of familial and sporadic amyotrophic lateral sclerosis'. Universiteit Utrecht. Promotor Prof Dr LH van den Berg. *Cum Laude*
3. Sanne Piepers 'Treatment strategies in ALS and mimics'. Universiteit Utrecht. Promotor Prof Dr LH van den Berg
4. Frans Brugman 'Primary Latral Sclerosis: diagnostic boundaries and outcome'. Universiteit Utrecht. Promotor Prof Dr LH van den Berg
5. Van Dijk, 4 juni 2010. MUNE onderzoek bij neuromusculaire aandoeningen. Universiteit Nijmegen. Promotor Prof Dr MJ Zwarts, Prof Dr DF Stegeman.

Meetbare resultaten:

- *In 2012 zal de onderzoeksgroep van het ALS Centrum Nederland behoren tot de top 3 van de wereld*
Dit loopt goed op schema, zie publicatielijst in internationale wetenschappelijke tijdschriften.
- *Alle patiënten in Nederland kunnen bereikt worden voor deelname aan wetenschappelijk onderzoek*
Dit is in 2010 gerealiseerd middels de website, het patiëntenportaal en de landelijke database van patiënten.
- *De research database wordt gekoppeld aan het patiëntenportaal/EPD*

Dit is gerealiseerd voor het UMC St Radboud en het UMC Utrecht in 2010 en zal gerealiseerd worden voor het AMC in 2011.

- *In een biobank wordt na toestemming DNA/RNA/serum opgeslagen. Deelname aan een ALS weefselbank (ruggenmerg, hersenen) wordt gestimuleerd. Samenwerking tussen de afdelingen pathologie van de drie Academische ziekenhuizen zal worden opgezet door eenduidige protocollen*

De biobank voor DNA/RNA/serum/obducties is gerealiseerd in 2010.

- *Individuele bereidheid tot deelname aan wetenschappelijk onderzoek zal worden geregistreerd: research participatie op maat*

Dit vindt plaats middels de ALS patiënten database (PAN onderzoek).

- *Twee maal per jaar wordt in een gemeenschappelijke bijeenkomst de resultaten van wetenschappelijk onderzoek en nieuwe ideeën/plannen van de drie Academische ziekenhuizen besproken en afgestemd*

Dit is gerealiseerd in 2010.