

‘Een beter leven nu’



**Handleiding subsidieronde
2018-2019**

EEN BETER LEVEN NU

Het Prinses Beatrix Spierfonds heeft één groot doel: alle spierziekten de wereld uit. Ons belangrijkste middel in deze strijd is wetenschappelijk onderzoek. De zoektocht naar behandelen en genezen gaat onverminderd door. Maar dit soort onderzoek neemt veel tijd in beslag. Tijd die sommige spierziektepatiënten helaas niet hebben. Daarom willen we ook de patiënten van vandaag helpen. Om het leven met een spierziekte draaglijker te maken, het liefst op zeer korte termijn.

Vanwege lichamelijke klachten als vermoeidheid en pijn kunnen veel spierziektepatiënten niet alles doen wat ze willen en zijn ze beperkt in hun dagelijks handelen. Met de subsidieronde 'Een beter leven nu' willen wij hier wat aan doen.

WAT IS HET DOEL?

Het doel van de subsidieronde 'Een beter leven nu' is:

Het investeren in onderzoek naar concrete, in de praktijk toepasbare oplossingen die de lichamelijke klachten van spierziektepatiënten verminderen.

Wij dagen onderzoekers uit om met vernieuwende en creatieve voorstellen te komen die voor een zo groot mogelijke groep patiënten op korte termijn wezenlijk verschil kunnen maken. Onderzoeksvoorstellen waarvan de resultaten **direct na het onderzoek, breed (voor meerdere diagnoses) geïmplementeerd** kunnen worden.

Iedere spierziekte is anders, maar veel symptomen worden gedeeld. Samen met spierziektepatiënten en onderzoekers is een lijst opgesteld met thema's die een grote invloed hebben op het leven van mensen met een spierziekte. Voor de subsidieronde van 2019 financieren wij **alleen onderzoeken naar een van deze thema's**:



Vermoeidheid



Pijn



Conditie/
vermoeibaarheid



Hulpmiddelen

Deadline

dinsdag 16 april 2019 14.00 uur

Aan te vragen bedrag

€ 50.000 - € 100.000



Onderzoek met impact

Een belangrijke doelstelling van het fonds is om onderzoek te sturen op impact en resultaat voor de patiënt. Hoe kiezen we niet alleen de beste, maar ook de juiste onderzoeken uit? De stem van de patiënt is hierin cruciaal. Wij vinden het belangrijk dat de onderzoeksvraag een vertaling is van een vraag uit de praktijk. Daarom is het bij deze subsidieronde vereist dat **patiënten betrokken worden bij de opzet en de uitvoer** van de studie. Neem bijvoorbeeld contact op met een relevante patiëntenorganisatie, zodat ze kunnen meedenken bij de opzet van het onderzoek.

Daarnaast moet bij de aanvraag een aanbevelingsbrief van een relevante patiëntenorganisatie toegevoegd worden. Om de betreffende organisatie hiervoor voldoende gelegenheid te geven, adviseren wij om tijdig contact met hen op te nemen. Houd daarbij rekening met een doorlooptijd van drie weken.

LET OP!

De haalbaarheid van het onderzoeksvoorstel (de power analyse) is een belangrijk punt bij de beoordeling. Verleden jaar is een groot deel van de onderzoeksvorstellen op dit punt afgewezen. De zeldzaamheid van spierziekten maakt het vinden van grote aantallen patiënten moeilijk. Maar ook met kleine patiëntaantallen is het mogelijk om een haalbaar onderzoek te ontwerpen met een realistische power analyse. Denk bijvoorbeeld aan een N=1 design. Wij raden onderzoekers aan om voor het bepalen van de meest geschikte methodologie contact op te nemen met een (medisch) statisticus.

WIE KAN AANVRAGEN?

- De aanvrager is gepromoveerd en heeft een aanstelling bij een universiteit, hogeschool, onderzoeksinstelling of academisch ziekenhuis
- De aanvrager is werkzaam in de instelling waar het project wordt uitgevoerd
- Een van de leden van de projectgroep is werkzaam bij een door het ministerie van VWS erkend [expertisecentrum voor neuromusculaire ziekten](#)

CHECKLIST: WAAR MOET HET VOORSTEL AAN VOLDOEN?

- Het betreft wetenschappelijk onderzoek naar neuromusculaire ziekten (zie bijlage II).
- In het onderzoek worden in de praktijk toepasbare oplossingen getest die de lichamelijke klachten van spierziektepatiënten kunnen verminderen.
- Het onderzoek richt zich op een of meerdere van de vier thema's die een grote invloed hebben op het leven van mensen met een spierziekte (zie pagina 2).
- Het onderzoek betreft patiënten met een spierziekte.
- De onderzoeksvraag is een vertaling van een vraag uit de praktijk.
- Patiënten zijn als eindgebruikers betrokken bij de opzet en uitvoer van de studie.
- Onderzoeksresultaten dienen tijdens of direct na het onderzoek geïmplementeerd te kunnen worden in de praktijk.
- Er is een door het ministerie van VWS erkend expertisecentrum voor neuromusculaire ziekten betrokken bij het onderzoek.
- Er is een aanbevelingsbrief van een patiëntenorganisatie bijgevoegd.



WAT IS HET BUDGET?

Per projectvoorstel kan een bedrag worden aangevraagd van € 50.000 - € 100.000. Het Prinses Beatrix Spierfonds heeft voor 2019 een totaal bedrag begroot van € 300.000 voor deze subsidieronde.

HOE WORDEN DE AANVRAGEN BEOORDEELD?

Bij het beoordelen van de subsidieaanvragen wordt de 'Beoordelingsprocedure wetenschappelijk onderzoek' van het Prinses Beatrix Spierfonds gevolgd. We toetsen de projectvoorstellen op relevantie voor de patiënt, kwaliteit en kans op vervolg. Dit wordt gedaan door **buitenlandse referenten en onze Wetenschappelijke Adviesraad**. Om het perspectief van de patiënt goed tot zijn recht te laten komen, worden de aanvragen tegelijkertijd met de buitenlandse referenten ook beoordeeld door onze **Gebruikerscommissie**, bestaande uit patiënten en zorgverleners. De Gebruikerscommissie beoordeelt drie aspecten: relevantie voor de (toekomstige) patiënt, de route naar maatschappelijke impact, en aandacht voor en betrokkenheid van patiënten. De beoordelingen van de referenten en de Gebruikerscommissie worden voorgelegd aan de aanvrager, die in de gelegenheid gesteld wordt hierop schriftelijk te reageren (wederhoor).

WAT IS DE DEADLINE VOOR INDIENING?

De deadline voor indiening is **dinsdag 16 april 2019 om 14.00 uur**. Alle relevante documenten en formulieren vindt u op ons subsidieportaal. U stuurt het volledig ingevulde formulier via het [subsidieportaal](#) vóór de deadline. Daarnaast stuurt u een ondertekende papieren versie van uw aanvraag in tweevoud naar onderstaand adres. Deze moet op vrijdag 19 april binnen zijn.

Prinses Beatrix Spierfonds
Afdeling Wetenschappelijk Onderzoek
Postbus 85810
2508 CM DEN HAAG

WAT IS DE TIJDSPLANNING?

| | |
|--------------------------------------|-------------------------------------|
| Deadline indiening | 16 april 2019 om 14.00 uur |
| Beoordelen aanvragen door referenten | april – juli 2019 |
| Wederhoor | eind augustus – half september 2019 |
| WAR vergadering | eind oktober/begin november 2019 |
| Bestuursvergadering | november 2019 |
| Bericht over honorering | november/december 2019 |

WELKE BESTANDEN ZIJN RELEVANT BIJ HET AANVRAGEN VAN EEN SUBSIDIE?

- Deze Handleiding subsidieronde 'Een beter leven voor spierziektepatiënten nu' 2018-2019
- De Voorwaarden subsidieronde 'Een beter leven voor spierziektepatiënten nu' 2018-2019 - zie bijlage I
- De lijst neuromusculaire ziekten - zie bijlage II
- Het aanvraagformulier 'A better life now' 2018-2019 - zie subsidieportaal
- De Beoordelingsprocedure 2018-2019 - zie subsidieportaal
- De Regeling Subsidieverlening 2018-2019 - zie subsidieportaal
- De Algemene Subsidievoorwaarden - zie subsidieportaal

WAT ZIJN AANDACHTSPUNTEN BIJ HET INVULLEN VAN HET AANVRAAGFORMULIER?

- Zorg dat de aanvraag past binnen de richtlijnen in deze handleiding.
- Zorg dat de aanvraag voldoet aan de voorwaarden in bijlage I.



- Zorg dat u tijdig overlegt met de patiëntenvereniging over impact en participatie.
- Zorg dat het maximum aantal woorden per sectie niet wordt overschreden.
- Voeg een aanbevelingsbrief van een relevante patiëntenorganisatie toe.
- Zorg dat het maximum aantal woorden per sectie niet wordt overschreden.
- Beschrijf in sectie 8 duidelijk de mogelijke impact van het onderzoek voor de patiënt.
- Beschrijf in sectie 9 duidelijk de methodologie en geef een realistische power analyse. Zorg dat de voorgestelde methoden en analysetechnieken waarmee de onderzoeksvraag beantwoord zal worden, optimaal passen bij de aard van de vraagstelling.
- Zorg dat de publiekssamenvatting in sectie 14 goed te begrijpen is en geen onnodige vaktermen bevat. Deze sectie is van groot belang bij de beoordeling door de Gebruikerscommissie.



BIJLAGE 1: VOORWAARDEN SUBSIDIERONDE 'EEN BETER LEVEN NU' 2018-2019

Subsidieaanvragen die in de subsidieronde 'Een beter leven nu' van het Prinses Beatrix Spierfonds worden ingediend dienen te voldoen aan onderstaande eisen om voor beoordeling in aanmerking te komen. In geval van twijfel, behoudt het fonds zich het recht voor om een subsidieaanvraag niet in behandeling te nemen. Hierover beslist de directeur van het fonds op advies van de voorzitter van de Wetenschappelijke Adviesraad. De aanvrager ontvangt hiervan binnen zes weken na het verstrijken van de indieningsdeadline bericht.

- De aanvrager is gepromoveerd en heeft een aanstelling bij de instelling waar het project wordt uitgevoerd, zijnde een Nederlandse universiteit, hogeschool, onderzoeksinstituut of academisch ziekenhuis.
- De hoofdaanvrager is het officiële aanspreekpunt voor het fonds tijdens de procedure en heeft de aanvraag voor de deadline ingediend via het subsidieportaal als Word-bestand.
- Een van de leden van de projectgroep is werkzaam bij een door het ministerie van VWS erkend [expertisecentrum voor neuromusculaire ziekten](#)
- De aanvraag heeft betrekking op een (of meerdere) van de neuromusculaire ziekten die in bijlage II worden genoemd.
- Het opstellen van een richtlijn valt niet onder de doelstelling van deze subsidieronde.
- De aanvraag is voorzien van een aanbevelingsbrief van een patiëntenorganisatie.
- De aanvraag is in helder en begrijpelijk Engels opgesteld en is voorzien van een begrijpelijke Nederlandse publiekssamenvatting.
- Eenzelfde projectvoorstel mag in principe maximaal twee keer worden ingediend. Bij herindiening moeten in desbetreffende sectie in het aanvraagformulier de aangebrachte wijzigingen worden benoemd. Als een aanvraag bij de tweede indiening van voldoende kwaliteit was, maar door een gebrek aan financiële middelen niet gehonoreerd kon worden, mag deze een derde en laatste keer worden ingediend. Hierover dient voorafgaand aan het herindienen van de aanvraag contact opgenomen te worden met het fonds.
- Als in één subsidieronde meerdere projectvoorstellen vanuit uw afdeling worden ingediend op hetzelfde inhoudelijke terrein, dient in een begeleidende brief aangegeven te worden waarom is gekozen voor meerdere verschillende aanvragen en wat de relatie tussen de aanvragen is.
- Als elders financiering is aangevraagd ten behoeve van het onderzoek vermeld in het projectvoorstel, dient dit met het eventuele resultaat te worden gemeld aan het fonds.
- Als het onderzoek betrekking heeft op een zeer zeldzame aandoening (minder dan 40 patiënten in Nederland), dient in de aanvraag aangetoond te worden dat de resultaten uit het onderzoek breder toepasbaar zijn voor de doelgroep van het fonds.
- Het onderzoek moet geheel in Nederland worden verricht. Indien een onderdeel van het onderzoek in het buitenland plaats vindt, moet het fonds daar vooraf een duidelijk voorstel voor ontvangen. Het fonds staat samenwerking met buitenlandse onderzoekers niet in de weg, maar wil de bijdrage in Nederland besteed zien.
- Onderzoek dat al is gestart voordat de beoordeling van de WAR heeft plaatsgevonden, komt niet voor financiering in aanmerking.
- Bij het opstellen van dit budget moet de onderzoeker zich houden aan de *Regeling Subsidieverlening* die het fonds hanteert.
 - **Sectie 3, punt 2 van de Regeling Subsidieverlening vervalt: voor deze subsidieronde hanteren wij geen ondergrenzen aan de duur en omvang van de aanstelling van het personeel (wetenschappelijk en niet-wetenschappelijk).**
- Na eventuele toekenning van een subsidieaanvraag zijn de *Algemene Subsidievoorwaarden* van het fonds van toepassing.



BIJLAGE II: LIJST NEUROMUSCULAIRE ZIEKTEN

MOTOR NEURON ZIEKTEN

- Amyotrofe laterale sclerose (ALS)
- Polio en postpoliosyndroom (PPS)
- Primaire laterale sclerose (PLS)
- Progressieve spinale spieratrofie (PSMA)
- Spinale musculaire atrofie (SMA)
- Ziekte van Kennedy

PERIFERE ZENUWZIEKTEN

- Charcot Marie Tooth (CMT / HMSN)
- Chronische idiopathische axonale polyneuropathie (CIAP)
- Dunnevezelneuropathie (DVN)
- Erfelijke drukneuropathie (HNPP)

INFLAMMATOIRE NEUROPATHIEËN

- Chronische inflammatoire demyeliniserende polyneuropathie (CIDP)
- Guillain-Barré syndroom (GBS)
- Multifocale motore neuropathie (MMN)
- MGUS polyneuropathie
- Neuralgische amyotrofie (NA)

ZIEKTEN VAN DE NEUROMUSCULAIRE OVERGANG

- Myasthenia gravis (MG)
- Lambert-Eaton myastheen syndroom (LEMS)
- Congenitaal myastheen syndroom

SPIERDYSTROFIEËN

- Becker spierdystrofie (BMD)
- Duchenne spierdystrofie (DMD)
- Emery-Dreifuss spierdystrofie (EDS)
- Facioscapulohumerale dystrofie (FSHD)
- Limb girdle spierdystrofie (LGMD)
- Oculopharyngeale spierdystrofie (OPMD)
- Congenitale spierdystrofie (merosin-deficient, Ullrich, dystroglycanopathie, integrin-deficient, rigid spine)
- Distale spierdystrofie (Miyoshi, Nonaka, Welander, Markesbery, Laing)

MYOTONE DYSTROFIEËN

- Myotone dystrofie
- Niet-dystrofische myotonieën (Thomsen, Becker, Paramyotonia Congenita)
- Periodieke paralysen (PP)

CONGENITALE MYOPATHIEËN

- Ziekte van Brody
- Central core disease
- Myotubular Myopathy/Centronuclear myopathy
- Nemaline myopathie



INFLAMMATOIRE MYOPATHIEËN

- Dermatomyositis
- Inclusion body myositis (IBM)
- Polymyositis

METABOLE MYOPATHIEËN

- Glycogeenstapelingsziekten
 - Lipid storage myopathieën
 - Mitochondriële myopathieën
-
- Van de infectieziektes komt alleen poliomyelitis anterior acuta in aanmerking voor financiering.
 - Niet in aanmerking voor financiering komt onderzoek naar: ziekten die een gevolg zijn van trauma, diabetes mellitus, cardiovasculaire afwijkingen, kanker, geneesmiddelengebruik of intoxicaties (alcohol); ziekten die een uiting zijn van een psychische ziekte of stoornis; onbegrepen aandoeningen zonder organisch substraat.
 - Voor multisysteemziekten dient in de subsidieaanvraag aangetoond te worden dat het gaat om een hoofdzakelijk neuromusculair fenotype waarbij spierzwakte op de voorgrond staat.

