

Programma publiek-private Samenwerking 2024

Handleiding

Over het Prinses Beatrix Spierfonds

Het Prinses Beatrix Spierfonds financiert, stuurt en stimuleert wetenschappelijk onderzoek naar spierziekten. Omdat we weten dat wetenschappelijk onderzoek de enige sleutel is om alle spierziekten in de toekomst behandelbaar te maken. Door samen te werken met deskundige onderzoekers en alles uit ons onderzoek te halen, boeken we succes. Daarbij hebben we oog voor de kansen die nieuwe technologieën en toepassingen bieden.

De magie zit in wat we nog moeten ontdekken. Want hoe meer we weten, hoe verder we komen.

Over het PPS-programma

Samenwerking is essentieel om nieuwe manieren te creëren en implementeren om spierziekten behandelbaar te maken en de kwaliteit van leven te vergroten. Daarom werkt het Spierfonds samen met de [Topsector Life Sciences & Health \(Health~Holland\)](#) om innovatief onderzoek te stimuleren door publiek-private samenwerking (financieel) te ondersteunen.

Voor 2024 heeft Health~Holland een [Pilot Call](#) in het leven geroepen om nieuwe samenwerkingen binnen de '[PPS-Innovatieregeling](#)' aan te moedigen. Voor deze call streeft Health~Holland naar een honorering van ten minste 66% van de ingediende aanvragen. Het Spierfonds heeft de mogelijkheid één onderzoeksaanvraag in deze Pilot Call in te dienen. Wij zijn daarom op zoek naar vernieuwende onderzoeksprojecten op het gebied van spierziekten met zowel maatschappelijke als economische impact.

Binnen dit PPS-programma werken we met een vooraanvraag om de belasting bij aanvragers zo gering mogelijk te houden. De twee vooraanvragen die het beste aansluiten bij de [voorwaarden van Health~Holland](#) en die de grootste (potentiële) impact hebben voor mensen met een spierziekte worden geselecteerd voor verdere uitwerking en beoordeling.

Wat voor onderzoek komt in aanmerking?

Wij zijn binnen het PPS-programma op zoek naar onderzoeksprojecten die een belangrijk verschil kunnen maken in het leven van mensen met een spierziekte en die passen binnen de centrale missie en een van de vijf specifieke missies opgesteld door het ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport, zoals beschreven in de [Kennis- en Innovatie Agenda \(KIA\) 2024-2027](#) voor het Maatschappelijk Thema Gezondheid & Zorg.



Centrale missie:

In 2040 leven alle mensen in Nederland tenminste vijf jaar langer in goede gezondheid en zijn de gezondheidsverschillen tussen de laagste en hoogste sociaaleconomische groepen met 30% afgenomen.

Specifieke missies die bijdragen aan de centrale missie:



Figuur 1: De zes Gezondheid & Zorg missies zoals geformuleerd door het Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport (VWS) (Bron: Health~Holland)

Het onderzoeksproject dient verder aan de volgende kernvoorwaarden te voldoen:

- Het consortium bestaat uit tenminste één onderneming met winstoogmerk en één onderzoeksorganisatie.
- Het project heeft betrekking op een (of meerdere) van de neuromusculaire ziekten die in [bijlage I](#) worden genoemd.
- Het project is gericht op een van de volgende thema's: diagnostiek, oorzaak & mechanisme, medicijnontwikkeling, trial readiness, kwaliteit van leven.
- Het project heeft innovatieve producten en/of diensten als deliverables die van maatschappelijke en economische toegevoegde waarde zijn.
- Het project omvat fundamenteel onderzoek, industrieel onderzoek of experimentele ontwikkeling, of een combinatie daarvan.
- Het project wordt uitgevoerd voor gezamenlijke rekening en risico en alle consortium partners dragen inhoudelijk bij aan het project.
- De hoofdaanvrager is in Nederland gevestigd, en het project duurt maximaal 4 jaar.

Voor meer informatie over de PPS-Innovatieregeling en de bijbehorende voorwaarden verwijzen wij naar de 'Handleiding TKI-LSH Pilot Call 2024' op het [subsidieportaal](#).

Deadline en budget

Binnen dit programma werken we met een voorronde. We nodigen alle onderzoekers van harte uit om een korte vooraanvraag in te dienen voor onderzoeksprojecten. Dit kan tot **maandag 18 maart 2024 14.00 uur**. De maximale beschikbare PPS-bijdrage van het Spierfonds is **€ 375.000**.

Beoordeling

Om de kans op honorering bij Health~Holland zo groot mogelijk te maken, beoordeelt het Spierfonds de (voor)aanvragen op de volgende criteria:

- Passendheid binnen de voorwaarden van Health~Holland en het Spierfonds
- Impact en relevantie
- Haalbaarheid
- Wetenschappelijke kwaliteit (bij volledige aanvraag)

Toetsing vooraanvragen

Vooraanvragen worden schriftelijk beoordeeld door een evaluatiecommissie, bestaande uit vertegenwoordigers uit onze Gebruikerscommissie en onze Wetenschappelijke Adviesraad (WAR), en de afdeling Onderzoek & Innovatie van het Spierfonds. Op basis van deze beoordeling worden maximaal twee vooraanvragen voor verdere beoordeling geselecteerd. Zij ontvangen vanuit het Spierfonds instructies voor het indienen van een volledige aanvraag.

Toetsing volledige aanvragen

Volledige aanvragen worden getoetst door buitenlandse referenten en onze Wetenschappelijke Adviesraad (WAR). De beoordelingen van de referenten worden voorgelegd aan de aanvrager, die in de gelegenheid gesteld wordt hierop schriftelijk te reageren (wederhoor). Het Spierfonds besluit op basis van de beoordelingen van de referenten en de WAR, welke aanvraag bij Health~Holland wordt ingediend. Bij gelijke geschiktheid maakt het Spierfonds een keuze op basis van passendheid binnen de PPS-Innovatieregeling en de VWS-missies zoals beschreven in de [Kennis en Innovatie Agenda](#), en de potentiële impact voor mensen met een spierziekte.

Beoordeling Health~Holland

Voor informatie over de beoordeling door Health~Holland verwijzen wij naar de 'Handleiding TKI-LSH Pilot Call 2024' op het [subsidieportaal](#).

Tijdspad

De tijdsplanning is als volgt:

Indienen vooraanvraag	18 maart 2024 om 14.00 uur
Uitnodiging uitwerken aanvraag	1 april 2024
Indienen aanvraag bij Spierfonds	3 juni 2024 om 14.00 uur
Wederhoor	12 augustus – 2 september 2024
Besluit	23 september 2024
Indienen bij Health~Holland	1 oktober 2024
Uitslag over honorering	± 10 weken na deadline

Contact

Heeft u vragen over het PPS-programma? Bijvoorbeeld of uw onderzoeksidee binnen het programma past? Wij denken graag mee. U kunt contact opnemen met de afdeling Onderzoek & Innovatie van het Prinses Beatrix Spierfonds via onderzoek@spierfonds.nl.

Bijlage I: Neuromusculaire ziekten

Motor neuron ziekten

- Amyotrofische 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 paralyzen (PP)

Congenitale myopathieën

- Ziekte van Brody
- Central core disease

Prinses Beatrix Spierfonds

- 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.