

PROGRAMMA

PUBLIEK-PRIVATE SAMENWERKING

INNOVATIEF – TRANSLATIONEEL – MULTIDISCIPLINAIR



SPIERZIEKTEN DE WERELD UIT!

Wat doet het Prinses Beatrix Spierfonds?

Het Prinses Beatrix Spierfonds is de aanjager van de strijd tegen spierziekten. We financieren, sturen en stimuleren wetenschappelijk onderzoek naar genezing en behandeling voor de 200.000 mensen met een spierziekte in Nederland. Het geld hiervoor brengen we bijeen met de hulp van duizenden mensen die zich ieder op hun eigen manier inzetten tegen spierziekten.

Wat willen we bereiken?

Voor de meeste spierziekten is nog geen behandeling mogelijk. Het is de missie van het Prinses Beatrix Spierfonds om spierziekten de wereld uit te krijgen. We willen **spierziekten genezen**. Of, totdat het zover is, stopzetten of vertragen met een medicijn. Daarom investeren we in wetenschappelijk onderzoek. Maar het vinden van een medicijn is een lange weg. In de tussentijd willen we dat mensen met een spierziekte een **volwaardig leven** kunnen leiden. Daarom ondersteunen we patiëntenvereniging Spierziekten Nederland met een jaarlijkse subsidie. Zo maken we ons sterk voor goede zorg, voorlichting en belangenbehartiging. Daarnaast is ook **bewustwording** een belangrijk doel. Want als mensen weten wat voor impact een spierziekte op je leven heeft, zullen ze meer begrip hebben voor de mensen die er dagelijks mee te maken hebben.

OVER HET PPS-PROGRAMMA

Het Spierfonds kan jaarlijks aanspraak maken op een toeslag vanuit de overheid voor publiek-private samenwerking. Wij werken samen met Health~Holland (Topsector Life Sciences & Health) om deze 'PPS-toeslag' te besteden aan nieuw spierziektenonderzoek. Zo willen we innovatieve onderzoeksprojecten stimuleren die nodig zijn voor de volgende stap in translationeel onderzoek.

Wat voor onderzoek komt in aanmerking?

Binnen het PPS-programma zijn we op zoek naar innovatieve, translationele en multidisciplinaire onderzoeksprojecten. Ingediende projecten moeten betrekking hebben op een (of meerdere) van de neuromusculaire ziekten die in bijlage I worden genoemd. Daarnaast dienen de projecten aan de [voorwaarden van Health~Holland](#) te voldoen. De belangrijkste zijn:

- Er moet sprake zijn van een publiek private samenwerking in een consortium. Het consortium bevat tenminste één bedrijf en één kennisinstelling.
- Het project is gericht op experimentele ontwikkeling, industrieel onderzoek of fundamenteel onderzoek, of een combinatie daarvan.
- Voor fundamenteel onderzoek mogen de totale projectkosten voor max. 75% uit PPS-toeslag bestaan, voor industrieel onderzoek voor max. 50% en voor experimentele ontwikkeling voor max. 25%.
- De bedrijfsbijdrage dient minimaal 15% van de totale projectkosten te zijn.
- 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.
- Het project duurt maximaal 4 jaar.



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 5 september 14.00 uur**. De totale beschikbare PPS-bijdrage van het Spierfonds zal ongeveer **€ 300.000 - € 350.000** bedragen.

Hoe worden de aanvragen beoordeeld?

We toetsen de vooraanvragen op haalbaarheid en potentiële impact. In een gesprek met medewerkers van de afdeling Wetenschappelijk Onderzoek en met een lid van de Gebruikerscommissie kunnen aanvragers deze punten mondeling toelichten. Op basis van deze gesprekken worden maximaal 2 vooraanvragen voor verdere beoordeling geselecteerd. Zij ontvangen vanuit het Spierfonds instructies voor het indienen van een volledige aanvraag. Deze wordt/worden getoetst op relevantie voor de patiënt, wetenschappelijke kwaliteit en kans op vervolg. Dit wordt gedaan 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, gecombineerd met beleid en belang van het fonds, welke aanvraag bij Health~Holland wordt ingediend.

Wat is het tijdsplan?

De tijdsplanning is als volgt:

Indienen vooraanvraag	5 september 2022 om 14.00 uur
Gesprek met fonds en patiëntvertegenwoordiger	12 september 2022 – 23 september 2022
Uitnodiging uitwerken aanvraag	26 september 2022
Indienen aanvraag	28 november 2022 om 14.00 uur
Wederhoor	26 januari – 9 februari 2023
Besluit	februari/maart 2023
Indienen bij Health~Holland	maart 2023
Uitslag over honorering	mei 2023

Contact

Heeft u vragen over het PPS-programma? Bijvoorbeeld of uw onderzoeks idee binnen het programma past? Wij denken graag mee. U kunt contact opnemen met de afdeling Wetenschappelijk Onderzoek van het Prinses Beatrix Spierfonds via het algemene telefoonnummer 070 – 3 607 607 of 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
- 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.

