

Spierfonds Bridging the Gap

Subsidieronde 2024

Het doel van de eenmalige subsidieronde 'Bridging the Gap' is een oplossing te bieden voor urgente problemen op weg naar een behandeling voor mensen met een spierziekte. Dit doen we door wetenschappelijk onderzoek te financieren naar de verschillende fases van medicijnontwikkeling. We zoeken daarbij projecten die aansluiten bij de huidige status van onderzoek naar de betreffende spierziekte(n). Wat is nodig om verder te komen en waarom is dit juist nú nodig? De subsidieronde staat open voor jonge onderzoekstalenten; van (bijna) gepromoveerde onderzoekers tot aan beginnende groepsleiders.

Prinses Beatrix
Spierfonds

Stop de achteruitgang!

In de ideale wereld van het Prinses Beatrix Spierfonds hebben alle mensen met een spierziekte in Nederland toegang tot effectieve medicijnen die de achteruitgang stopzetten. Dit bereiken we door gericht en vooruitstrevend wetenschappelijk onderzoek te financieren. Dat is de sleutel tot fundamenteel succes. Maar we richten ons niet alleen op morgen, ook op vandaag. Daarom steken we een deel van onze energie en geld in goede zorg, voorlichting en belangenbehartiging. Zodat mensen met een spierziekte een volwaardig leven kunnen leiden en op begrip kunnen rekenen vanuit de maatschappij.

Het creëren van doorbraken is een zaak van een lange adem. Er is al veel gedaan, de ontwikkelingen gaan inmiddels razendsnel en we boeken steeds sneller successen. Maar er is nog veel werk te verzetten. Juist nu is het zaak om de focus te bewaren, vol te houden en door te zetten. Alleen zo brengen we steeds meer spierziekten van onbehandelbaar naar behandelbaar.

Bridging the Gap

Het Spierfonds gelooft dat we met wetenschappelijk onderzoek de strijd tegen spierziekten kunnen winnen. Daarom zetten we vol in op de ontwikkeling van nieuwe medicijnen, het verbeteren van bestaande behandelingen en snelle toegang tot nieuwe medicijnen.

Het doel van de subsidieronde 'Bridging the Gap' is een oplossing te bieden voor urgente problemen op weg naar een behandeling voor mensen met een spierziekte.

Dit doen we door wetenschappelijk onderzoek te financieren naar de verschillende fases van medicijnontwikkeling. Van het nauwkeurig beschrijven van de verschijnselen en het vinden van de oorzaak, tot het ontwikkelen en uitbrengen van een medicijn. **Urgentie** is hierbij het sleutelwoord. Dit speelt een belangrijke rol in de beoordelingsprocedure en bij de uiteindelijke ranking van de onderzoeksaanvragen.

We zoeken projecten die qua fase aansluiten bij de huidige status van onderzoek naar de betreffende spierziekte(n). We vragen onderzoekers te kijken naar de context van de ziekte; wat speelt er al, in Nederland en wereldwijd? Wat is nodig om verder te komen en waarom is dit juist nú nodig?

Wat voor onderzoek komt in aanmerking?

Binnen deze call kan een aanvraag ingediend worden op een van onderstaande thema's:



Verbeteren van diagnostiek

Het is belangrijk dat mensen met een spierziekte de juiste diagnose krijgen. Alleen dan kunnen ze op de juiste manier behandeld worden. We financieren onderzoek naar het verbeteren van de diagnostiek voor spierziekten die moeilijk of nog niet zijn vast te stellen.



Targets voor therapie

Om oplossingen te vinden, moeten we eerst weten wat er misgaat. We financieren daarom onderzoek naar het vinden van de oorzaak of het ontrafelen van het ziektemechanisme. Dit is met name urgent wanneer er in de huidige status van onderzoek onvoldoende bekend is om aan gerichte therapieën te werken en er wereldwijd geen of weinig medicijnen in ontwikkeling zijn.



Ontwikkelen en/of testen van een therapie

Als we weten wat er misgaat, kunnen we de stap maken van laboratorium naar patiënt. We financieren zowel klinisch als preklinisch onderzoek gericht op het ontwikkelen en/of testen van een therapie die aangrijpt op de oorzaak of het ziektemechanisme. Daarbij hebben we ook aandacht voor *drug repurposing*.



Trial readiness

We willen Nederland goed voorbereiden op de komst van klinische trials. Bij de uitvoer van klinische trials zijn goede meetinstrumenten essentieel om het effect van nieuwe medicijnen bij patiënten te bepalen. We financieren daarom onderzoek naar het natuurlijk beloop en uitkomstmaten. Dit is met name urgent wanneer er zicht is op klinische trials.

Wat vinden we belangrijk?

- Patiëntenparticipatie
Patiëntenparticipatie kan voor elk onderzoek in elke fase waardevol zijn. Daarom is betrokkenheid van patiënten(vertegenwoordigers) bij de opzet van het onderzoek verplicht. Ook is het verplicht om een aanbevelingsbrief van een relevante patiëntenorganisatie toe te voegen. Houd hierbij rekening met een doorlooptijd van minimaal drie weken.
- Implementatie
We willen zo snel mogelijk verschil maken voor de patiënt. Daarom hechten wij veel waarde aan de implementatie van de onderzoeksresultaten. Wij vragen daarom in het aanvraagformulier naar de stappen die op het betreffende project volgen. Om te waarborgen dat eventuele implementatie in de kliniek succesvol is, is het verplicht dat een van de leden van de projectgroep werkzaam is bij een door het ministerie van VWS erkend [expertisecentrum voor neuromusculaire ziekten](#).
- Maatschappelijk verantwoord licentiëren
Betaalbaarheid is voor het Spierfonds een belangrijk onderwerp, waarover we – indien van toepassing – graag in gesprek gaan. Wij sluiten ons aan bij het standpunt van de SGF en vinden dat het licentiëren van onderzoeksresultaten moet voldoen aan de '[Tien principes voor Maatschappelijk Verantwoord Licentiëren](#)' opgesteld door de NFU.
- Open Science
Het Spierfonds beschouwt het als een maatschappelijke verantwoordelijkheid van onderzoekers om bij te dragen aan Open Science en daarmee aan meer transparantie van uitkomsten van wetenschappelijk onderzoek. We streven ernaar 100% Open Access te publiceren.
- Samenwerking
We stimuleren samenwerking met patiënten, andere afdelingen, instellingen en bedrijven. Zodat kennis, middelen, creativiteit en ervaring elkaar versterken. Zeker als het de mogelijkheden voor implementatie van de onderzoeksresultaten vergroot.

Wie kan indienen?

Aanvragers dienen aan de volgende criteria te voldoen:

- De aanvrager is een (bijna) gepromoveerde onderzoeker, postdoctorale onderzoeker of beginnende groepsleider en ambieert een carrière binnen het spierziektenveld.
- De aanvrager is aangesteld als assistant professor of in een meer junior positie.
- De aanvrager is op de sluitingsdatum van de subsidieronde niet langer dan tien jaar gepromoveerd óf is promovendus en kan op de sluitingsdatum van de subsidieronde aannemelijk maken in 2024 te promoveren. Wij hanteren hierbij de [extensieregeling van NWO](#).

De aanvrager dient de aanvraag alleen in, maar wordt hierbij bijgestaan door een mede-aanvrager: een senior (een gevestigde wetenschappelijk onderzoeker binnen het spierziektenveld met een eigen onderzoekslijn of onderzoeksprogramma) die het belang en de urgentie van het onderzoek onderschrijft.

Wat is het budget?

Voor deze subsidieronde is een totaal budget begroot van **€ 1.420.000**. Per subsidieaanvraag kan een bedrag worden aangevraagd van **€ 100.000 - € 350.000** voor projecten van **minimaal 1 tot maximaal 4 jaar**. Wij stimuleren onderzoekers een bedrag aan te vragen dat passend is bij het project en hun functie. Het subsidiebedrag is opgebouwd uit personele kosten (voor eigen salaris of het aanstellen van personeel), materiële kosten en een budget voor *career building*.

Career building budget

Met het career building budget wil het Spierfonds de professionele ontwikkeling van de aanvrager stimuleren. Dit budget kan worden gebruikt voor bijvoorbeeld buitenlandervaring, het opzetten van een nieuwe samenwerking of de organisatie van een netwerkbijeenkomst. Dit budget kan alleen worden aangewend door de aanvrager, niet door eventueel aangesteld personeel. De maximale vergoeding voor career building is € 20.000,- (vallend binnen de totale begroting).

Hoe worden de aanvragen beoordeeld?

Aanvragen worden door buitenlandse referenten getoetst op wetenschappelijke kwaliteit, impact, urgentie en kwaliteit van de projectgroep, en door onze Gebruikerscommissie op relevantie, 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). Op basis van de beoordelingen en het wederhoor, geeft onze Wetenschappelijke Adviesraad een eindoordeel. Bij gelijke geschiktheid kan het fonds een prioritering aanbrengen op basis van beleid en belang van het Spierfonds.

Meer informatie vindt u in de *Beoordelingsprocedure Wetenschappelijk Onderzoek 2024*.

Wat is de deadline voor indienen?

De deadline voor indiening is **dinsdag 26 maart 2024 om 14.00 uur**. Relevante documenten en formulieren vindt u op [ons subsidieportaal](#). U stuurt het volledig ingevulde en ondertekende formulier via het subsidieportaal vóór de deadline.

Wanneer wordt de uitslag bekend?

Aanvragers ontvangen september 2024 bericht over honorering. De tijdsplanning is als volgt:

Deadline indiening	26 maart om 14.00 uur
Beoordeling door referenten en Gebruikerscommissie	april – half juni
Wederhoor	17 juni – 11 juli
WAR-vergadering	augustus/september
Vergadering Raad van Toezicht en Bestuur	september
Bericht over honorering	september

Relevante bestanden bij het aanvragen van een subsidie (zie [het subsidieportaal](#))

- Deze handleiding
- Het Aanvraagformulier 'Spierfonds Bridging the Gap' 2024
- De Beoordelingsprocedure Wetenschappelijk Onderzoek 2024
- De Regeling Subsidieverlening 2023-2024
- De Algemene Subsidievoorwaarden

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 tijdens de opzet van de aanvraag overleg heeft met patiënten(vertegenwoordigers) over impact en participatie.
- Voeg een aanbevelingsbrief van een relevante patiëntenorganisatie toe.
- Zorg dat het maximum aantal woorden per sectie niet wordt overschreden.
- Zorg dat de publiekssamenvatting in sectie 5 goed te begrijpen is en geen onnodige vaktermen bevat. Deze sectie is van groot belang bij de beoordeling door de Gebruikerscommissie.
Tip: laat een leek (bijvoorbeeld een patiënt of een bekende buiten het onderzoek) meelezen en maak gebruik van de tips en tricks uit de [SGF Handreiking voor onderzoekers](#) (pagina 4).
- Geef bij secties 9 t/m 11 duidelijk antwoord op de vraag en gebruik hierbij makkelijk te begrijpen taal. Deze secties zijn van groot belang bij de beoordeling door de Gebruikerscommissie.
- Beschrijf in sectie 14 duidelijk de methodologie en geef - zeker bij proefdier- en patiëntgebonden onderzoek - een power analyse, dit is een belangrijk punt bij de beoordeling. Motiveer bij proefdiergebonden onderzoek waarom het diermodel nodig is, waarom voor het betreffende model is gekozen, en wat de relevantie van het diermodel is voor de mens.

Handige links

[Spierziekten Nederland](#) - patiëntenvereniging die input kan geven m.b.t. patiëntenparticipatie
[Kickstarter](#) - een website over patiëntenparticipatie van PGO Support voor onderzoekers
[Dutch Clinical Research Foundation](#) - over klinisch onderzoek, met tips over inclusie
[Toolkit Maatschappelijk Verantwoord Licentiëren](#) - een toolkit van VSNU en NFU
[PreclinicalTrials.eu](#) - internationaal register met protocollen voor proefdieronderzoek
[SGF Handreiking voor onderzoekers](#) - hulpmiddel voor het schrijven van een lekensamenvatting

Contact

Heeft u vragen over deze subsidieronde? Bijvoorbeeld of uw onderzoeks idee binnen de doelstelling past of over patiëntenparticipatie? Wij denken graag mee. U kunt contact opnemen met de afdeling Onderzoek & Innovatie van het Prinses Beatrix Spierfonds via het algemene telefoonnummer 070 – 3 607 607 of onderzoek@spierfonds.nl.

BIJLAGE I: VOORWAARDEN

Subsidieaanvragen die in de subsidieronde 'Bridging the Gap' 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 algemeen directeur van het Spierfonds 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 bijna of maximaal 10 jaar gepromoveerd en heeft een aanstelling bij de instelling waar het project (merendeels) wordt uitgevoerd, zijnde een Nederlandse universiteit, universitair medisch centrum of KNAW-instituut.
- De aanvrager is het officiële aanspreekpunt voor het fonds tijdens de procedure en heeft de aanvraag voor de gestelde 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.
- 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 fonds erkent de noodzaak van dierexperimenteel onderzoek voor wetenschappelijk onderzoek. Als maatschappelijk gedragen organisatie moedigt het fonds alternatieven voor of vermindering van proefdieronderzoek aan. Daarbij worden de [richtlijnen van de Gezamenlijke Gezondheidsfondsen](#) gevolgd. Voor onderzoek met proefdieren gelden de volgende voorwaarden:
 - Alleen onderzoek dat gebruik maakt van ongewervelde dieren en kleine knaagdieren komt in aanmerking voor financiering. Onderzoek dat voor een belangrijk deel geënt is op het gebruik van grote zoogdiersoorten wordt door het fonds niet gesubsidieerd.
 - De ontwikkeling en karakterisatie van diermodellen wordt niet door het fonds gefinancierd, omdat deze te ver kunnen afstaan van de ziekten die vallen onder de doelstelling.

- Het onderzoek moet voor het grootste gedeelte in Nederland worden verricht. Indien een onderdeel van het onderzoek in het buitenland plaatsvindt, moet het Spierfonds daar vooraf een duidelijk voorstel voor ontvangen.
- Onderzoek dat al is gestart voordat de beoordeling van de WAR heeft plaatsgevonden, komt niet voor financiering in aanmerking.
- Bij het opstellen van het benodigde budget moet de onderzoeker zich houden aan de *Regeling Subsidieverlening* die het fonds hanteert.
- Na eventuele toekenning van een subsidieaanvraag zijn de *Algemene Subsidievoorwaarden* van het fonds van toepassing.

BIJLAGE II: 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 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.