

Jaarverslag

2016

Stichting PSC Patients Europe

“De impact van een goed georganiseerde groep PSC patiënten is groot, heel groot”
Marleen Kaatee – oprichter en voorzitter PSC Patients Europe

Contactgegevens

PSC Patients Europe

T.a.v.: M.M. Kaatee

Postbus 55

2120 AB Bennebroek (NL)

Email: info@pscpatientseurope.org

Tel: +31 6 51 18 64 57



**PSC
Patients
Europe**



Samenvatting

Primaire Scleroserende Cholangitis (PSC) is een zeldzame leverziekte waar momenteel geen geneesmiddel voor bestaat. Zolang er geen remedie is gevonden, zijn verbetering van kwaliteit van leven mét PSC en onderzoek naar genezing ván de ziekte de stromalmen waaraan mensen met PSC vasthouden. Stichting PSC Patients Europe is 14 november 2014 opgericht en zet zich in om vanuit patiëntperspectief onderzoek te bevorderen en het leven met de ziekte zo dragelijk mogelijk te maken. In dit jaarverslag leest u de resultaten van het succesvolle tweede jaar van de stichting.

Wat we hebben bereikt in 2016

Stichting PSC Patients Europe (PSCPE) is een jonge patiëntenorganisatie, die met kwalitatief hoogwaardige inbreng van ervaringsdeskundige vrijwilligers een actieve rol speelt in het slaan van een brug tussen de behoeften van de patiënten enerzijds en de onderzoeksthema's van artsen en onderzoekers anderzijds. Bijvoorbeeld door de resultaten van nieuw wetenschappelijk onderzoek in begrijpelijke taal te publiceren voor mensen met PSC (drie artikelen in 2016). Tevens heeft PSC Patients Europe meerdere malen nationale en internationale patiënten inbreng georganiseerd ter ondersteuning van onderzoeksvorstellen van researchers.

In relatief korte periode heeft PSC Patients Europe een significant internationaal netwerk opgebouwd met o.a. voor de ziekte toonaangevende Europese artsen, researchers en onderzoeks-consortia. Zowel op nationaal als Europees niveau neemt de stichting deel aan kansrijke onderzoekaanvragen en projecten. Betrokkenheid van PSC Patients Europe staat garant voor een patiënt gedreven en -georiënteerde, innovatieve en een onafhankelijke aanpak. De eerste van twee projecten in Nederland is inmiddels afgerond: de realisatie van een digitale huisartsenbrochure. Het andere project, de Kwaliteitsstandaard PSC, wordt in 2017 verder uitgewerkt. Beide projecten vinden plaats i.s.m. VSOP.

Het contact met medepatiënten verloopt via een eigen [website](#), gelieerde PSC-specifieke Facebook-pagina's in diverse Europese talen, via National Liaisons -landelijke patiëntenorganisaties die mensen met PSC vertegenwoordigen- en deelname aan nationale en Europese platforms voor zeldzame ziekten zoals VSOP, Eurordis en RareConnect.

Daarnaast kiest de stichting er bewust voor om kennis en ervaring ook ziekte-overstijgend in te zetten in diverse gelegenheidscoalities over bijvoorbeeld geneesmiddelenontwikkeling voor zeldzame ziekten, orgaandonatie en -transplantatie etc.. Ze tracht diverse subsidieverlenende instanties te attenderen op de behoefte die er is vanuit zeldzame ziekten om op een andere manier tegen patiëntenorganisaties aan te kijken.

Exploitatie

PSC Patients Europe ging ervan uit dat haar inspanningen binnen één tot twee jaar zou leiden tot deelname aan onderzoekconsortia en de toekenning van meerdere projectsubsidies voor concrete initiatieven. De praktijk bleek echter moeilijker dan vooraf ingeschat: consortia waaraan we deelnamen, werden geen subsidie toegekend. Hierdoor zullen de grootste huidige kostenplaatsen (voor scholing, reis- en verblijfskosten) op de reguliere exploitatie blijven drukken.

PSC Patients Europe is hiermee het afgelopen jaar actief een nieuwe weg aan het plaveien in de belangenbehartiging van patiënten op de hybride schaal van nationaal/Europees niveau, die een goede blauwdruk kan zijn voor andere patiëntenorganisaties voor zeldzame ziekten. Het is PSC Patients Europe gelukt een financiële basis voor haar activiteiten in de opstartfase te vinden door een tweede exploitatiebijdrage uit het Dioraphte fonds.



Daarnaast bestaan de voornaamste inkomsten uit donaties, beurzen voor deelname aan en reiskosten voor congressen en een subsidie voor de ontwikkeling van een digitale huisartsenbrochure en een kwaliteitsstandaard PSC.

Details over het tweede financiële boekjaar (1 januari – 31 december 2016) zijn te vinden in het Financieel Jaarverslag 2016 PSC Patients Europe.

Organisatie

PSC Patients Europe is een vanuit Nederland opererende vrijwilligersorganisatie. Er is geen eigen personeel, geen kantoor, het merendeel van de dagelijkse contacten verloopt digitaal en de vaste lasten worden zo laag mogelijk gehouden. Vrijwilligers uit 2015 bleven enthousiast meewerken en in 2016 hebben zich nog enkele vrijwilligers gemeld. Helaas blijft het aantal aangemelde vrijwilligers achter bij de verwachtingen van het bestuur. Wel is er een begin gemaakt met het samenstellen van een werkgroep 'Transplantatie' en een werkgroep 'Patiënt en voeding'

3

Het bestuur van de stichting werd in 2016 gevormd door:

Marleen Kaatee – voorzitter
Petra van Houwelingen – de Wit – secretaris
Erik Dorrepaal – penningmeester

Oprichting en operationeel

Op 14 november 2014 is de Stichting Primary Sclerosing Cholangitis Patients Europe opgericht (werknaam PSC Patients Europe). De stichting is gevestigd in Nederland, ingeschreven bij de Kamer van Koophandel, en heeft met terugwerkende kracht tot 14 november 2014 door de Nederlandse belastingdienst de ANBI status toegekend gekregen.

Het bestuur stelde in januari 2016 het beleidsplan en de begroting vast. De activiteiten van de stichting zijn onveranderd in het beleidsplan ingedeeld volgens de activiteiten gebieden:

- 1 De PSC patiënt centraal**
Bevorderen van laagdrempelige informatie, voorlichting en lotgenotencontact in eigen taal
- 2 Patiëntenparticipatie**
volwaardig partner in het wetenschappelijk netwerk van PSC-onderzoek met altijd patiëntperspectief als uitgangspunt. Multi-stakeholder approach.
- 3 Fondswerving voor de eigen organisatie en voor onderzoek naar PSC**
Het jaarverslag zal de resultaten langs de lijn van deze activiteitgebieden presenteren.

PSC Patients Europe

*Patiëntenorganisatie
100% vrijwilligers
Dekkingsgebied Europa
Gevestigd in Nederland
(Nederlands bestuur)
Stichting
ANBI status
Ingeschreven in KvK
Opgericht november 2014*



1 De PSC patiënt centraal

PSC Patients Europe stelt zich ten doel laagdrempelig **informatie, voorlichting en lotgenotencontact** beschikbaar te stellen met betrekking tot PSC gerelateerde onderwerpen. In het opstartjaar van de stichting zijn de volgende resultaten bereikt:

In 2015 stond het ontwikkelen en lanceren van een communicatie met een herkenbare huisstijl centraal. Dit is goed gelukt. Er zijn veel complimenten ontvangen over de huisstijl en de herkenbaarheid wordt vaak genoemd.

In 2016 stond het communiceren in de moedertaal centraal. In totaal zijn de zes artikelen, verdeeld over 27 talen, maar liefst 127 maal vertaald! Primair zijn de vertalingen voor de patiënten uit alle windstreken. Daarnaast zullen de kansen van onderzoekers op (EU) fondsen vergroot worden, daar disseminatie van informatie zwaar wordt meegewogen in de beoordeling en de informatie via de PSCPE website in legio EU werktalen beschikbaar kan komen.

Thans zijn de volgende 26 talen beschikbaar op de PSCPE website:

Bulgaars, Deens, Duits, Engels, Frans, Grieks, Hebreeuws, Hindi, Italiaans, Japans, Kroatisch, Lets, Litouws, Macedonisch, Nederlands, Noors, Pools, Portugees, Roemeens, Russisch, Sloveens, Slowaaks, Spaans, Tsjechisch, Turks en Zweeds.

- Website** www.pscpatientseurope.org
- E-mail** info@pscpatientseurope.org
- Facebook** [PSC Patients Europe](https://www.facebook.com/PSCPatientsEurope)
- Twitter** [@PSCPatientsEur](https://twitter.com/PSCPatientsEur)





Visitor FB PSC Patients Europe

<< Dear Marleen, it was a very nice opportunity to get together and discuss with you. I and members of Japanese PSC group were highly encouraged. I do hope to have a long-lasting and wonderful collaboration with you. Keep in touch! >>
Prof. Tanaka, Teikyo University School of Medicine in Tokyo (Japan)

5

Informeren over nieuwe ontwikkelingen

Via onder andere website en Facebook zijn drie nieuwe patiëntvriendelijke [artikelen](#) gepubliceerd over actuele ontwikkelingen op het gebied van onderzoek naar PSC, de zogenaamde “lay man versions” van wetenschappelijke publicaties (inhoudelijk beoordeeld door betrokken artsen en PhD studenten). Vanaf maart 2018 zijn lay versions op Europees niveau verplicht vanuit de New Clinical Trials Regulations. Fijn dat onze kijk op de zaak wijder wordt ingezet. Onze artikelen in 2016:

- 1) [Scoringssystemen voor leverhistologie ter voorspelling van de uitkomst van primaire scleroserende cholangitis](#)
- 2) [Risicofactoren voor primaire scleroserende cholangitis](#)
- 3) [East meets West: PSC in Japan](#)

Daarnaast is op de PSCPE website de eerdergenoemde Nederlandstalige [Huisartsenbrochure PSC](#) met bijbehorende begeleidende brieven voor patiënten en eerstelijns verzorgenden in de eerste 24 uur maar liefst 400 maal gedownload. En dat op een geschatte populatie van tussen de 1.000 en 1.2000 Nederlandse PSC patiënten! Dit geeft aan dat er duidelijk in een behoefte is voorzien. Reacties van zowel patiënten als het werkveld zijn zeer positief.

Het plan is om in 2017 dit ‘sjabloon’ gratis beschikbaar te stellen aan andere buitenlandse patiënten organisaties, zodat ze met hun nationale huisartsen organisatie en nationale PSC onderzoekers, alsmede hun patiëntenpanel aan de slag kunnen. Kortom, de subsidie voor de huisartsenbrochure heeft een multiplier effect.



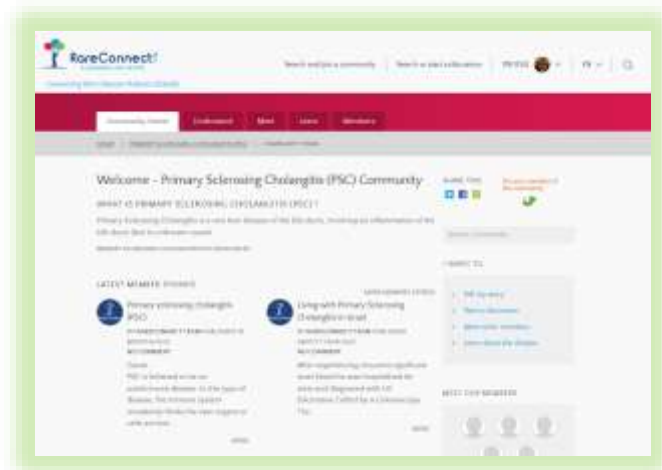


Vind informatie en lotgenoten in je eigen taal

Het lezen en schrijven van Engels, en zeker het wetenschappelijk jargon in een vreemde taal, is nog niet voor iedere Europeaan vanzelfsprekend. Daarom wil de stichting toegankelijke informatie en laagdrempelig lotgenotencontact voor PSC patiënten in de eigen moedertaal bevorderen. PSC Patients Europe zet daar vrijwilligers uit diverse Europese landen en de 'National Liaisons' (zie uitleg hieronder) voor in en maakt maximaal gebruik van de mogelijkheden om mensen via de digitale snelweg te bereiken.

Facebook is in de westerse wereld een breed geaccepteerd platform om met elkaar te communiceren. In (besloten) Facebook-groepen delen mensen met PSC in eigen moedertaal hun ervaringen en vragen. PSC Patients Europe bevordert deze vorm van lotgenotencontact door forumbeheerders te adviseren hoe om te gaan met een dergelijk forum. En PSCPE stimuleert mensen met PSC zelf een Facebook-groep in hun eigen taal op te zetten en is bereid ze daarbij te helpen. Via de Facebook-fora staat PSC Patients Europe op deze manier in rechtstreeks contact met PSC-patiënten in diverse Europese landen. De Facebook-groepen worden met enquêtes en vragen betrokken bij de voorbereiding van input van PSC Patients Europe in bijvoorbeeld onderzoeksvoorstellen of voor interviews. Deze Facebook-groepen worden vermeld op de website van PSC Patients Europe.

Voor een aantal Europese landen is het gebruik van Facebook niet vanzelfsprekend. Voor die landen heeft PSC Patients Europe i.s.m. Eurordis een ['Primary Sclerosing Cholangitis'](#) pagina ingericht bij RareConnect. Dit is een internationaal digitaal platform voor mensen met zeldzame ziekten. Daar is een besloten forum beschikbaar voor lotgenotencontact, dat in de toekomst ook antwoorden (bijna automatisch) vertaalt. Het komende jaar hopen we dit platform, i.s.m. verschillende partners, uit te breiden.



National Liaisons in Europa

PSC Patients Europe werkt samen met belangenbehartigers op nationaal niveau ('National Liaisons') en probeert in landen waar voor PSC patiënten (nog) geen patiëntenorganisatie actief is, de patiënten te ondersteunen in het opzetten daarvan. Het netwerk van National Liaisons wordt onder andere ingezet om artikelen te vertalen en onderling informatie uit te wisselen. Door inzet van hun communicatiekanalen kunnen we gezamenlijk een grote groep PSC patiënten bereiken. PSC Patients Europe beschikt over een Cloud voor de internationale vrijwilligers, waarmee men 24/7 over goede PSC-gerelateerde informatie beschikt, alsmede praktische informatie, zoals voor het organiseren van een nationale PSC Dag.



Door de hybride opzet van de stichting (Nederlandse roots/Europese focus) wordt het werkveld en contact met mensen met PSC in Nederland door de stichting zelf onderhouden. Via een actieve (besloten) Facebook-groep staat PSC Patients Europe eind 2016 in rechtstreeks contact met zo'n 387 Nederlands sprekende mensen met PSC en/of AIH. Anno 2016 wordt nauw samengewerkt met:

- Albi Espana – Spaanse auto-immuun leverziekten patiëntenvereniging
- Deutsche Morbus Crohn/ Colitis ulcerosa Vereinigung DCCV – e.V.:
Onder deze patiënten vereniging vallen in Duitsland ook de PSC patiënten
- Deutsche Leberhilfe e.V.
- FAL: Forening for Autoimmune Leversykdommer – Noorse patiënten organisatie PSC/PBC/AIH
- Munuais, Finse nier- en leverpatiënten vereniging
- HHÖ: Hepatitis Hilfe Österreich - Oostenrijkse leverpatiënten vereniging
- PSC Sverige – Zweedse nieuwe tak, die mede dankzij PSCPE, actief samenwerking aan is gegaan met de bestaande, slapende lever patiëntenvereniging in Zweden

In veel landen om ons heen blijken er nauwelijks leverpatiënten verenigingen te zijn die zich richten op de zeldzame leverziekten. In veel landen werken we met hepatologen (arts/onderzoekers), die wellicht slechts enkele PSC patiënten in hun praktijk hebben. Ze verwijzen naar onze website en stimuleren patiënten en mantelzorgers zich ook te gaan verenigen, al dan niet met hulp van PSCPE. Ervaring leert dat het in veel landen veel tijd kost om iets van de grond te krijgen.

2 Patiëntenparticipatie

Het *unieke* in de aanpak van PSC Patients Europe is de nadruk die wordt gelegd op de actieve samenwerking met onderzoekers en artsen en alle andere betrokken partijen bij onderzoek naar PSC: een zogenaamde multi-stakeholder approach. Alle belanghebbenden kunnen aanschuiven en worden betrokken bij de activiteiten. Gevoed door contact met mensen met PSC en met input vanuit het lotgenotencontact (draagvlak en legitimiteit), brengt PSC Patients Europe het patiëntenperspectief rechtstreeks in onderzoeksvoorstellen in en genereert ook zelf onderzoeksonderwerpen. Bij de uitvoering, verspreiding en terugkoppeling van onderzoek bereikt PSC Patients Europe voor artsen makkelijk een groot deel van de doelgroep (disseminatie). Voor artsen en onderzoekers neemt de kans op toekenning van onderzoeksgelden toe, wanneer patiënten daadwerkelijk bij de opzet en het onderzoek betrokken zijn.



ZELDZAME LEVERZIEKTEN DIALOOG: patiënt en onderzoeker leren van elkaar

VRIJDAG 2 DECEMBER 2016, van 9:30 tot 12:30, Wagenwerkplaats te Amersfoort

Op 2 december 2016 waren we mede-organisator van de Zeldzame Leverziekten Dialoog te Amersfoort. Doel was om patiënt en onderzoeker samen te brengen en de dialoog aan te gaan over klinisch onderzoek. Het is het bestuur van PSCPE opgevallen dat er veelal geen contact is tussen onderzoeker en patiënt: dat is een gemiste kans.

De locatie, centraal in Nederland gelegen, werd ons aangeboden door MLDS (Maag Lever Darm Stichting), i.s.m. de NVH (Nederlandse Vereniging Hepatologie) en de NLV.

Het programma was, mede op ons verzoek, vernieuwend: geen tsunami aan presentatie dia's die op je afkomen, maar drie korte presentaties over hoe je als patiënt en onderzoeker door nauwe samenwerking het verschil kunt maken. Vervolgens werd er in de drie workshops verder gepraat over de invulling hoe men dit kan bereiken. Thema's waren: 1) Van onderzoek naar zorg 2) Patiëntenbehoeften voorop in onderzoek 3) Patiëntvriendelijk onderzoek. Vervolgens was er nog tijd om na te praten onder het genot van een lunch. Op de vraag of een dergelijke dialoog voor herhaling vatbaar is, vulde men op het evaluatieformulier gemiddeld een 8,9 in! Er zal naar alle deelnemers een terugkoppeling plaatsvinden aangaande de resultaten van de workshops en hoe alle partijen hiermee aan de slag gaan. Daarnaast zal er ook een terugkoppeling van de gehouden evaluatie plaatsvinden (twitter: #ZLDialoog).

Reactie deelnemer #ZLDialoog:

<< *Wauw wat een dag.*

Informatief, herkenning, bemoedigend.

Zeer interessant om aan een tafel te zitten met lotgenoten én onderzoekers/artsen..... wie is die patiënt en wie is die onderzoeker...

Hoe kom je nader tot elkaar....

.....op deze momenten.....

[#samenstajesterk](#)

[#zldialoog](#) >>



Participatiekompas @Part_Kompas · 2 dec.

Koudwatervrees bij onderzoeker bij de start vd #ZLDialoog? 'ik heb nog nooit een patiënt gesproken met de ziekte waar ik onderzoek naar doe'



Ook worden diverse vrijwilligers meegenomen naar bijeenkomsten en gesprekken waarbij desbetreffende in de doelgroep valt waarvoor het samenkomen bedoeld is. Zo gaat er in principe altijd een getransplanteerde mee naar de bijeenkomsten van de Nederlandse Transplantatie Stichting (NTS) en kan een ouder aanschuiven bij een gesprek met een onderzoeker die gespecialiseerd is in PSC bij kinderen. Bij de enquête over de PSC app heeft PSCPE er voor gezorgd dat ook jongeren konden participeren.



PSC Patients Europe garandeert achterbanraadpleging bij het uitvoeren van diverse activiteiten. Wanneer voor input en ervaring de PSC patiënten via het netwerk van de stichting worden benaderd is een groot deel blij iets concreets te kunnen bijdragen. Een rechtstreekse 'patient empowerment' en betrokkenheid, waar de vrijwilligers van PSC Patient Europe op hun beurt veel energie van krijgen!

Via SurveyMonkey zijn er diverse enquêtes uitgezet over verschillende onderwerpen. De doelgroepen waren nationale en internationale patiënten en onderzoekers.

1) **PSC Patients Survey**

Taal: Duits, Engels, Frans, Nederlands, Noors en Zweeds.

Doelgroep: patiënten

Doel: Inzicht krijgen in ervaring, verwachtingen en aanbevelingen aangaande klinisch onderzoek, incl. welke onderzoeksprioriteiten er zijn (zie kader hieronder).

2) **PSC Research and patient organisation collaboration**

Taal: Engels

Doelgroep: internationale PSC onderzoekers

Doel: inzicht in of, en zo ja hoe, onderzoekers samenwerken met patiëntenorganisaties en welke verbeterpunten ze graag zien

3) **PSC Patient organisations and researchers collaboration**

Taal: Engels

Doelgroep: PSC patiëntenorganisaties

Doel: inzicht of, en zo ja in hoeverre de patiëntenorganisaties samenwerken met PSC onderzoekers en welke verbeterpunten ze graag zien.

4) **PSC patiënten app**

Taal: Nederlands

Doelgroep: Nederlandse patiënten

Doel: PSCPE werkt i.s.m. AMC en Tytgat Instituut aan een app voor PSC, naar een idee van PSCPE. Door de patiënten reeds vanaf begin te betrekken bij het ontwikkelen, is er onmisbare informatie voor het team van onderzoekers. De component 'oververmoeidheid' is moeilijk te onderzoeken, zo stelden de onderzoekers, omdat het vereiste diermodel hier niet voor beschikbaar is. Derhalve wordt gekeken in hoeverre het inzetten van het gebruik van een mobiele telefoon dit model zou kunnen vervangen.

De uitwerking van de onder 1) genoemde vragenlijst kon door omstandigheden niet in 2016 worden uitgewerkt. Verlenging van de verkregen subsidie om dit alsnog te bereiken werd toegewezen en wordt medio 2017 verwacht.



Zo werkt PSC Patients Europe: een voorbeeld uit de praktijk

De FDA organiseerde in februari 2016 een workshop over 'Trial Design and Endpoints for Clinical Trials in Adults and Children with PSC'. Zoals gebruikelijk was het een Angelsaksische benadering; de stem van de Engelstalige patiënt was ruim vertegenwoordigd. Echter, bij klinisch onderzoek voor een zeldzame ziekte is een wereldwijd klinisch onderzoek vaak noodzakelijk (om het minimum aantal participanten te krijgen). Uit ervaring weten we dat de ideeën over klinisch onderzoek in Europa sterk kunnen afwijken van bijvoorbeeld de Amerikaanse stem. PSCPE besloot een enquête in 6 talen te lanceren, teneinde de diverse Europese ervaringen en verwachtingen ten aanzien van klinisch onderzoek in beeld te krijgen. Met de enquête kon o.a. worden aangetoond dat hoewel van de Engelssprekende patiënten 70% klaarblijkelijk bereid was driemaal een leverbiopsie te ondergaan voor een klinisch onderzoek, in NL slechts 38% van de respondenten bereid was één leverbiopsie te ondergaan, en in Noorwegen slechts 11% toestemde met een eenmalig leverbiopsie. Hieruit blijkt maar weer dat de stem van de patiënt verschilt per land en cultuur en daar moet rekening mee worden gehouden bij het opzetten van klinisch onderzoek voor een zeldzame ziekte als PSC. Dit hebben we dan ook bij de FDA workshop benoemd.

10

Er is vaak een hoge response op de diverse enquêtes. Voor velen is het de eerste keer dat men iets gevraagd wordt. We geven dan ook relatief veel ruimte voor open vragen. Dat is wel moeilijker verwerken, maar de verkregen informatie is cruciaal.

Er is in 2016 door PSC Patients Europe binnen twee PSC-onderzoekconsortia samengewerkt aan medische onderzoekaanvragen (grotendeels onder geheimhoudingsplicht tot toekenning). Deze onderzoekaanvragen kennen een lange doorlooptijd. Eén consortium (SINCHRON) wil PhD studenten opleiden als onderzoeker van levergerelateerde aandoeningen, met de nadruk op jeuk. Tevens wordt er, op ons initiatief, gekeken naar een model om ook vermoeidheid te meten (dat wordt momenteel niet onderzocht). De aanvraag hiervoor is na een eerste poging in 2015, met actieve inbreng van PSC Patients Europe, voor een tweede ronde ingediend (SINCHRON, januari 2016). PSC Patients Europe is participant in dit onderzoeksvoorstel. Helaas is het voorstel niet gehonoreerd.



Netwerk PSC – zeldzame ziekten

Voordat (deelname aan) onderzoeksvoorstellen concreet wordt én om te garanderen dat input van patiënten op de juiste plek terecht komt, is het cruciaal contacten op te bouwen en te onderhouden met Europese artsen, beleidsmakers en onderzoekers op het gebied van PSC en aangrenzende onderwerpen (zoals de ontwikkeling van geneesmiddelen voor zeldzame ziekten, transplantatie). Het afgelopen jaar heeft PSC Patients Europe daar invulling aan gegeven door:

- aanwezig te zijn op relevante congressen/netwerk bijeenkomsten van artsen en onderzoekers, steeds met een kwalitatieve inbreng van het patiëntenperspectief ;
- gesprekken te voeren met instanties, artsen, onderzoekers, subsidieverstrekkers;
- artsen en onderzoekers proactief te wijzen op mogelijke subsidies en samenwerkingsverbanden;
- een warme relatie op te bouwen met de [International PSC Study Group](#) (IPSCSG), wereldwijd een toonaangevende groep artsen en onderzoekers op het gebied van PSC;
- actieve voorbereiding op en deelname aan ERN-RARE-LIVER ([European Reference Network](#)). Op 15 december 2016 is bekend geworden dat ook deze ERN gehonoreerd wordt. Eén van onze bestuursleden vervult hierin de functie van Patient Lead (Adults) in de ERN-RARE-LIVER Management Board.
- bijwonen van diverse meetings van overkoepelende organisaties, zoals IAIHSG.
- lid [VSOP Platform Beleid Zeldzame Aandoeningen](#) en [Platform Onderzoek, therapieontwikkeling en medicijnbeleid](#)

Het doel van netwerken is er steeds op gericht enerzijds meer inzicht te krijgen in de behoeften van de diverse belanghebbenden, zoals artsen, onderzoekers, regelgevers en farmaceuten, teneinde hierop goed met de achterban in te kunnen spelen, waardoor onderzoek versneld kan worden. Anderzijds om de behoefte van (PSC-)patiënten permanent een stem te geven bij de overleggen.

Voor een –niet uitputtend- overzicht van de gevoerde gesprekken zie:

http://www.pscpatientseurope.org/about_us/achievements.html



Samenwerking patiëntenorganisaties

Om samen sterk te staan én om kennis en ervaring optimaal te kunnen delen, is samenwerking tussen patiëntenorganisaties broodnodig. PSC Patients Europe is in 2016 [Eurordis member](#), de Europese koepel van patiëntenorganisaties voor zeldzame ziekten, geworden. Door actieve inbreng in onder andere de halfjaarlijkse ledenbijeenkomsten levert PSC Patients Europe een bijdrage aan standpuntbepaling en beleidsontwikkeling. Verder maakt de stichting gebruik van het scholingsprogramma van Eurordis. Daarnaast is PSCPE actief binnen de [CEF](#), het netwerk van federaties. Een PSCPE bestuurslid is actief lid van [DITA Task Force](#) (Drugs, Information, Transparency and Access). Deze task force volgt nauwkeurig de activiteiten van patiënten binnen de EMA (European Medicine Agency) en [EUnetHTA](#). De groep brengt diverse rapportages uit, o.a. over Compassionate Use en over [de EU HTA consultation](#). Eén PSCPE bestuurslid was één van de 63 individuen in Europa die gereageerd hadden op de consultatie (en 1 van de 8 Nederlanders). PSCPE was één van de 186 organisaties die heeft gereageerd.

In Nederland heeft de [VSOP](#) (koepelorganisatie voor zeldzame en genetische aandoeningen) de stichting vanaf het eerste moment enthousiast ondersteund. De samenwerking heeft in 2015 onder andere vorm gekregen in de digitale huisartsenbrochure (VSOP verzorgt de uitvoering daarvan), deelname van een vrijwilliger van PSC Patients Europe in een Europees patiëntenpanel (Asterix) op voordracht van de VSOP. Sinds november 2015 is PSC Patients Europe lid van de vereniging. In 2016 werd de prettige samenwerking voortgezet. Dit heeft onder andere geleid tot de publicatie van de Huisartsenbrochure PSC, met bijbehorend Communicatie Plan. Ook werden de eerste stappen gezet voor de 'Kwaliteitsstandaard PSC in Nederland'. Er is ook regelmatig contact over en weer voor lopende zaken, zoals interviews, presentaties, zorgen dat de andere partij ook uitgenodigd wordt voor belangrijke bijeenkomsten, delen van kennis etc..



3 Fondsenwerving

Exploitatie

Hoewel er enkele incidentele donaties plaatsvonden in 2016 was dit ver onder de verwachting. De reclamecampagne 'Ook de Belastingdienst helpt PSC op de kaart zetten' leverde een teleurstellend aantal vaste donateurs op.

Dit is niet genoeg om de exploitatie van de stichting te dragen. Daarom is voor vergroten van het draagvlak en de financiële draagkracht o.a. uitbreiding van het donateurenbestand noodzakelijk. Het inroepen van een professionele fondsenwerfer en een brainstormsessie zullen in de nabije toekomst hopelijk voldoende financiële armslag opleveren.

13

The screenshot shows the website for PSC Patients Europe. The navigation menu includes: HOME, ABOUT US, COUNTRIES, ARTICLES, VOLUNTEERS, CONTACT US, and SUPPORT US. The 'COUNTRIES' menu is expanded, listing: BELGIË - LA BELGIQUE, DEUTSCHLAND, ESPAÑA, ITALIA, MAKEDONIJA - MACEDONIA, NEDERLAND, NORGE, OSTERREICH, POLSKA, PORTUGAL, SUOMI, SVERIGE, and TURKYE. The 'NEDERLAND' section is highlighted with a list of links: 'Belastingvoordeel bij gift aan PSCPE', 'Eenmalige PSC zorg in NL', 'Huisartsenbranche PSC', and 'PSC Facebook groep Nederlandstalig'. The main content area features a blue box with the text: 'Ook de Belastingdienst helpt mee om PSC op de kaart te zetten'. Below this, there is a text block: 'Hoe belangrijk dat is weet u zelf al. De Belastingdienst betaalt graag een deel van uw gift. PSC Patients Europe heeft de ANBI status. En als u ons voor minimaal 5 jaar voor een vast bedrag per jaar (minimaal € 60) steunt, is uw gift volledig aftrekbaar. Dankzij deze periodieke schenking krijgt u dus een deel van de gift terug. En u heeft niet te maken met een drempel.'



Projectsubsidies

PSC Patients Europe adviseert en is participant in meerdere projectsubsidies van derden. De eerste rechtstreeks aan PSC Patients Europe toegekende subsidie is die voor een digitale huisartsenbrochure en dat project werd in 2016 zeer succesvol afgerond .

Onderzoeksfonds

Duidelijk is dat vooraleerst een goed netwerk opgebouwd en onderhouden moet worden met de belangrijkste (consortia van) artsen en onderzoekers in Europe op PSC-gebied, om nog te verwerven gelden voor onderzoek verantwoord te kunnen besteden. Ook in 2016 heeft fondsenwerving voor onderzoek geen prioriteit gekregen ten opzichte van de overige opstartwerkzaamheden. Alvorens onderzoekssubsidies financieel te steunen, moet de eigen organisatie eerst een betere financiële basis hebben.

Uit onze activiteiten blijkt echter dat men niet per se geld hoeft bij te dragen aan een onderzoek. Ondersteuning, bijvoorbeeld met de 'unieke patiënten kijk', levert minimaal dezelfde goede resultaten op. Bij PSCPE hebben we al een aardig aantal onderzoekers geholpen bij het krijgen van subsidies. Denk bijvoorbeeld aan het snel uitvoeren van een enquête om data te verzamelen die een onderzoeker binnen zeven dagen moest aanleveren bij de subsidieverstrekker. Mede dankzij de door PSCPE ingewonnen data werd de voorlopig toegewezen subsidie omgezet in een daadwerkelijke toekenning (€ 410.000,--).

Een subsidiegevende organisatie heeft, op ons verzoek, de eigen regels nogmaals kritisch bekeken en een en ander herzien (ten gunsten van patiënten organisaties).

Aangezien één van onze bestuursleden een [EUPATI Fellow](#) is, hebben consortia waaraan PSCPE meedoet een significant grotere kans om (Europese) subsidies binnen te slepen. De training werd immers betaald door de Innovative Medicines Initiative (IMI), een partij die over de verdeling van veel EU subsidies gaat. Ze zien graag 'hun eigen mensen' terug in de door IMI gesubsidieerde projecten.



4 Resultaten

Een greep uit de behaalde resultaten. Veel zaken hebben een lange doorlooptijd en zijn hieronder veelal niet genoemd. Er zit dus nog een hoop in de pijpleiding.

Nationaal

- Er vindt elke twee maanden overleg plaats met Prof. Beuers, internationaal top onderzoeker PSC en o.a. lid bestuur van IPSCSG
- [Eupati Tool Box](#) over geneesmiddelenonderzoek en -ontwikkeling wordt vertaald in het Nederlands. PSCPE is de drijver geweest om dit te realiseren en projectmatig betrokken bij de uitvoering
- Rare Disease Day 2016: co-organisator 'Rare Drinks meeting', waarbij alle stakeholders onder genot van een drankje met elkaar in gesprek gingen
- Deelnemer bijeenkomst afgevaardigden Tweede Kamer
- Deelname [Medische Inspirator 2016](#) van ZonMw
- Diverse gesprekken Ministerie van VWS en CCMO
- Patiëntenpanel [Programma Translationeel Onderzoek](#) (MLDS/ZonMw)
- [HollandBio](#) bijeenkomsten
- [MLDS](#): overleg met directeur en met hoofd onderzoek
- 'Rondje Europa' : cursusleider i.s.m. Cees Smit (VSOP/ EGAN)
- Deelname [Radboud Summer School](#)
- Dutch Clinical Trial Foundation conferentie deelname
- Mede-organisator Zeldzame Leverziekten Dialoog

Internationaal

- Deelname aan Conference Health Care in Milaan
- [FDA/AASLD workshop](#)
- Spreker [Patients as Partners Conference USA](#), maart 2016, Philadelphia
- [EASL International Liver Congres](#), Barcelona, april 2016, incl. IAIHSG meeting
- Deelname en presentatie [HTAi 2016 Annual Meeting](#), Tokio, mei 2016. Onderwerp presentatie: 'Patient involvement at Eurordis and EMA'. Presentatie van PSCPE; 'Accidental HTA case'.
- Deelname [ECRD & Eurordis Membership Meeting](#), mei 2016, Edingburgh
- Deelname EPF congress
- Spreker/deelnemer [ESOF EuroScience Open Forum](#)
- Actief lid [DITA Task Force](#) (Eurordis)
- [Orphan Drug Summit](#) deelname
- Eurotransplant Annual Conference 2016 deelname
- Diverse ERN workshops gevolgd
- [ISPOR Patients Representatives Roundtable](#) genodigde, ISPOR Europe Annual Meeting, oktober 2016, Wenen
- Eurordis CEF conference deelname, november 2016, Parijs



Bijlage 1 Factsheet PSC

Primaire Scleroserende Cholangitis (PSC) is een zeldzame ziekte van de galwegen, waarbij de galwegen (door onbekende oorzaak) ontstoken raken. De littekenvorming na de ontsteking vernauwt de galwegen, waardoor gal terug stroomt in de lever en daar (op termijn) schade veroorzaakt. De ziekte openbaart zich veelal bij jongvolwassenen en mensen van middelbare leeftijd, maar ook kinderen worden gediagnostiseerd. Er zijn meer mannen dan vrouwen die PSC hebben (ratio 2:1).

Thans bestaat er geen geneesmiddel voor PSC en kent de ziekte een onvoorspelbaar en individueel bepaald verloop. De voornaamste gevolgen zijn onder andere (invaliderende) pijn, vermoeidheid, jeuk, geelzucht en ernstige schade aan de galwegen en lever waardoor verschillende andere levergerelateerde ziektebeelden als complicatie optreden. De kwaliteit van leven bij een groot deel van patiënten is laag. De ziekte zorgt voor onzekerheid over de (nabije) toekomst zowel voor de patiënt als zijn of haar directe omgeving. De gemiddelde tijd tussen diagnose en overlijden óf levertransplantatie is momenteel 21 jaar. Maar zoals gezegd, dat is individueel zeer verschillend, variërend van binnen drie maanden na diagnose een levertransplantatie tot nauwelijks last ervaren.

Er zijn geen goede getallen beschikbaar voor Europa, de laatste voorzichtige schatting is dat er zo'n 9.000 mensen met PSC in Europa zijn. In Europa lijkt PSC meer voor te komen in de noordelijke landen (Scandinavië, Nederland, Engeland, Duitsland). Uit mediterrane landen zijn slechts enkele gevallen bekend. Uit Oost-Europese landen zijn weinig gegevens beschikbaar over voorkomen van de ziekte. Artsen weten nog niet hoe dit verschil verklaard kan worden. Genetisch onderzoek naar de oorzaak van PSC (Europese databank onderzocht door het Norwegian PSC Research Centre Oslo, Noorwegen) heeft de afgelopen 10 jaar nog geen resultaat opgeleverd.

Er zijn volgens de meest recente inzichten zo'n 1.000 tot 1.200 PSC Patiënten in Nederland. Dat betekent dat PSC in Nederland een zeldzame ziekte is. Via een actieve Facebook-groep (bestuurslid is tevens een van de forumbeheerders) staat PSC Patients Europe eind 2016 in rechtstreeks contact met zo'n 350 Nederlands sprekende mensen met PSC en/of AIH. Het aantal leden op de besloten groep stijgt nog wekelijks.