

Jaarverslag 2023

Stichting Beat Batten



Inhoudsopgave

Voorwoord	3
1 Over Stichting Beat Batten	4
1.1 Algemene informatie over de stichting.....	4
1.2 Missie en doelstellingen	4
1.3 Organisatiestructuur	5
1.4 Het netwerk.....	7
2 Wat is de ziekte van Batten.....	9
2.1 Onderzoeksprojecten	11
3 Fondsenwerving 2023	15
3.1 Externe factoren.....	15
3.2 Acties derden.....	15
3.3 Particuliere donaties	15
3.4 Digitale collecteweek - Batten Disease Awareness Day.....	16
3.5 Zakelijke ondersteuning	16
4 Bekendheid en media.....	18
4.1 Bekendheid ziekte en naamsbekendheid stichting.....	18
4.2 Website en media.....	18
4.3 PR & Publiciteit.....	18
4.4 Ambassadeurs	18
5 Terugblik en vooruitzichten.....	20
5.1 Resultaten 2023.....	20
5.2 Plannen voor 2024	20
6 Financiën	22

Voorwoord

Over 2023 kijken we met een positief gevoel terug. Zo waren er weer veel acties en events die voor de inkomsten hebben gezorgd, zoals bijvoorbeeld de Wolf Rally, de eerste Larense Beat Batten Rally en de 4daagse. Voorbeelden van events waar vele donateurs en ook vele vrijwilligers onze stichting hebben geholpen. Want daar zijn we voor onze doelbesteding van afhankelijk. En die doelbesteding, daar gaan we zuinig mee om. Immers, we willen inzetten op kansrijke trajecten. En in 2023 lijkt daar wel beweging in positieve zin in te komen. Door onze gezamenlijke financiering van onderzoekswerk aan de Stanford University weten we steeds meer over de ziekte, en wat er fout gaat in de cellen van kinderen met Batten. Samen met onze medische adviesraad, in 2023 versterkt met Randall Marshall, focussen we ons op 2 trajecten: zijn er bestaande middelen die wellicht de ziekte kunnen vertragen, of zijn er nieuwe typen behandelingen/therapieën waar we op kunnen inzetten. Beide trajecten zijn niet eenvoudig, maar komen nu in beeld. Via onze langdurige samenwerking met het WKZ in Utrecht kunnen we in 2024 en verder kijken of we effecten zien van bestaande middelen. Daarnaast is er de mogelijkheid dat ook in Nederland een clinical trial start, hoewel deze eind van 2023 is uitgesteld door een tekort in financiering. Dat was uiteraard een teleurstelling, maar in 2024 gaan we op beide trajecten met volle inzet doorpakken. Hopelijk wederom met jullie steun, om een einde te maken aan deze slopende ziekte en Batten kids weer een kans op een langer leven te geven!

Ronald Jansen
Voorzitter Stichting Beat Batten!



1 Over Stichting Beat Batten

Om wetenschappelijk onderzoek naar de ziekte van Batten te bevorderen is de stichting Beat Batten door ouders opgericht in 2007, anno 2024 nog steeds onder aanvoering van families met Batten patiënten. De stichting probeert samen met families van patiënten, vrijwilligers en hun achterban om acties op te zetten en daarmee zo veel mogelijk geld in te zamelen voor wetenschappelijk onderzoek.

1.1 Algemene informatie over de stichting

Statutaire naam, vestigingsplaats en rechtsvorm

Stichting Beat Batten!

Binnendelta 1N, 1261 WZ Blaricum

Kamer van Koophandel

De stichting is ingeschreven in het Stichtingenregister van de Kamer van Koophandel Midden-Nederland onder nummer 30234066.

RSIN/Fiscaal nummer ANBI 818841084

Algemeen Nut Beogende Instelling

Stichting Beat Batten is door de Belastingdienst aangemerkt als een Algemeen Nut Beogende Instelling. Dit wil zeggen dat giften in aanmerking komen voor belastingaftrek.

Daarnaast heeft de stichting Beat Batten het CBF-keurmerk voor kleine stichtingen toegewezen gekregen.

1.2 Missie en doelstellingen

Missie

Beat Batten zamelt geld in voor onderzoek naar de ziekte van Batten om alle Batten kinderen in Nederland te kunnen behandelen tegen deze ziekte, om de ziekte een halt tot te roepen en hopelijk de kinderen te genezen.

Visie

Door de voortdurende ontwikkeling van innovatief medisch-technische onderzoeks- en behandelingsmethoden en de toenemende bundeling van kennis en kunde wereldwijd verwacht Beat Batten dat bij voldoende investeringen in het noodzakelijke onderzoek in 2025 een Kinderdementiecentrum in het Wilhelmina Kinderziekenhuis op te richten waar alle Batten kinderen behandeld kunnen worden. Dit begon in 2023 al vorm te krijgen doordat wij zicht hebben gekregen op een nieuw onderzoek via een nieuw geworven onderzoekster.

Doelstelling

- Stimuleren van onderzoek naar een behandeling voor de ziekte van Batten (Neuronal Ceroid Lipofuscinosis) die deze ziekte kan genezen dan wel vertragen en het bespoedigen van de toepassing van deze behandeling en al hetgeen in de ruimste zin daarmee verband houdt, daartoe behoort en/of daartoe bevorderlijk kan zijn.
- De stichting beperkt haar ondersteuning tot organisaties en instellingen die zijn gerangschikt in de zin van artikel 6:33 van de Wet op de Inkomstenbelasting of daarvoor in de plaats komende wetgeving, alsmede buitenlandse instellingen die met binnenlandse instellingen zijn gelijkgesteld.
- Bijdragen met financiële middelen aan internationale kennisoverdracht en scholingsactiviteiten verband houdende met de hiervoor genoemde ziekte.
- Fondsenwerven bij particulieren, bedrijven, stichtingen, serviceclubs, religieuze instellingen, vermogensfondsen.
- Bekendheid geven aan de ziekte van Batten en de stichting bij het Nederlandse publiek, bij betrokkenen, overheid en andere betrokken partijen.
- De stichting heeft *geen* winsttoegmerk.

1.3 Organisatiestructuur

Tot halverwege 2023 bestond het bureau team uit 2 parttime medewerkers. Doordat 1 van hen een functie buiten Beat Batten aanvaardde, ontstond er een vacature die tot het eind van 2023 nog niet was ingevuld. Zowel het bestuur als de medische adviesraad zijn afgelopen jaar uitgebreid.

Operationele team

Tot halverwege 2023 bestond het operationele team uit Marije van der Maarel die haar expertise op officegebied had en Sabrina de Haan met voornaamste focus op projectmanagement. Door het vertrek van Marije van der Maarel ontstond er een vacature welke in 2023 niet meer werd ingevuld. Rosan Honing heeft vanaf oktober tot eind 2023 ondersteunende werkzaamheden verricht. Rosan zal in maart 2024 op reis gaan en daarna haar studie voortzetten.

Bestuur

Het (onbezoldigd) bestuur bestaat uit Ronald Jansen (Voorzitter), Addy Rouwenhorst (Dagelijks bestuur), Marco de Jong (Penningmeester) en Sascha de Lint (Algemeen bestuur). Ronald Jansen is vader van Roel (18), Addy Rouwenhorst is vader van Rocco (14). Roel & Rocco hebben de ziekte van Batten en daarom strijden hun vaders voor een behandeling en zetten ze zich in voor de stichting.

Het bestuur houdt toezicht op de stichting en heeft op reguliere basis contact met de projectmanager. Zowel de voorzitter als het dagelijks bestuur zorgen voor de aansturing van en contacten met artsen en het onderzoeksteams.

Het bestuur vergadert op frequente basis en ook met het operationele team vindt frequent overleg plaats. De bestuurders zijn onbezoldigd, maar hebben wel recht op vergoeding van gemaakte kosten

voor internationale kennisuitwisseling. Bestuursleden hebben maximaal 3 jaar zitting. Herverkiezing is mogelijk indien daar unaniem mee wordt ingestemd. Aanwijzing van nieuwe leden komt vanuit de zittende en vertrekkende bestuursleden. Tijdens een bestuursvergadering dient er unaniem instemming te zijn met een nieuw te kiezen lid. Bestuursleden hebben geen relevante e/o conflicterende nevenfuncties.

Wetenschappelijke adviesraad

Sinds 2023 heeft Beat Batten een eigen wetenschappelijke adviesraad. Deze raad adviseert het bestuur ten aanzien van onze doelbesteding (onderzoek keuzes, onderzoekbegeleiding, internationale samenwerkingen ed). Deze raad staat in nauw contact met niet alleen experts in Nederland maar ook internationaal en werken veelal samen met internationale stichtingen. De wetenschappelijke adviesraad bestaat uit:

Margriet Groot – Huisman is sinds 2022 actief betrokken vanuit de medische adviesraad voor Stichting Beat Batten. En we zijn blij dat Randall Marshall sinds 2023 is toegetreden tot de wetenschappelijke adviesraad. Margriet is met name medisch inhoudelijk betrokken, Marshall kijkt vanuit zijn ervaring mee met bijvoorbeeld toekomstige trials en samenwerkingen met farma.

(Regio) Ambassadeurs en vrijwilligers

Zowel Erik de Zwart als Patricia hebben hun inzet en betrokkenheid bij onze stichting in 2023 onverminderd voortgezet. Waarbij Erik de Zwart ook betrokken was bij de organisatie van de eerste Larense Batten rally. Tevens heeft journalist en opiniepeiler Gijs Rademaker zijn hulp en inzet aan stichting Beat Batten aangeboden. Tijdens een aantal mini docu's ging Gijs in gesprek met betrokkenen om kennisdeling over de ziekte van Batten én de status van onderzoeken te vergroten. Ook freerunner en Youtuber Tim Tygran heeft aangeboden de stichting te steunen om meer bekendheid te genereren.

De regio ambassadeurs, ouders en vrijwilligers zetten we in bij evenementen en om op lokaal niveau aandacht te vragen voor Beat Batten. Inmiddels hebben we rond de 60 vrijwilligers die zich actief inzetten voor de stichting.

Integriteitsbeleid

Beat Batten vindt het belangrijk dat binnen de organisatie en in de verhouding tot alle andere betrokken partijen integer gehandeld wordt. Beat Batten biedt binnen deze werkende en lerende cultuur de mogelijkheid om integriteit te bespreken en plaatst daarbij integer handelen voorop. Daarom heeft de stichting sinds januari 2022 een Integriteitsbeleid. Dit beleid wordt op reguliere basis besproken, Addy Rouwenhorst is daarbij de vertrouwenspersoon.

1.4 Het netwerk

Doordat de ziekte van Batten een zeldzame ziekte is, is de bewustwording over het bestaan van deze ziekte, maar ook de impact van deze ziekte op patiënten en hun gezinnen ook niet bij iedereen bekend. Daarom is de hulp van ons netwerk van groot belang, door met elkaar de krachten te bundelen, kunnen wij aandacht vragen voor deze vorm van kinderdementie en kunnen wij donaties werven om hoopgevend onderzoek te financieren. Het netwerk is onder te verdelen in verschillende groepen.

Families

Het (onbezoldigde) bestuur van de stichting bestaat deels uit vaders van patiënten. Samen met andere ouders en het directe netwerk daaromheen, wordt continue geprobeerd de bewustwording over de ziekte te vergroten, maar ook om zoveel mogelijk actiestarters en digitale collectanten te vinden om de doelstelling en missie van de stichting te realiseren.

Wij informeren families, naast de gebruikelijke communicatiekanalen naar ons gehele netwerk, waar mogelijk ook via email als er belangrijke updates zijn. Waar nodig werken wij hierbij samen met BrandNewDay Foundation om ook ouders te bereiken die niet bij ons bekend zijn, maar wel bij BrandNewDay. Wij proberen tevens gezinnen die daar behoefte aan hebben met elkaar in contact te brengen.

Wij hopen ieder jaar weer dat zoveel mogelijk familieleden ons steunen om geld in te zamelen en om de bewustwording over deze ziekte te vergroten. Families (en hun netwerken) komen jaarlijks in actie door deelname aan een of meerdere (sportieve) activiteiten waaraan zij een sponsoractie koppelen, maar bijvoorbeeld ook als digitaal collectant.

In 2023 het thema Hoop gehanteerd, hoop op het vinden van een behandeling, hoop op stappen die zijn gemaakt in de onderzoeken en hoop dat er een grotere bekendheid en daarmee begrip voor de impact van Batten ontstaan.

In 2023 hebben er 2 webinars plaatsgevonden die volgden op de goed ontvangen eerdere webinar in 2022. Deze webinars worden georganiseerd door Bartimèus, Visio en Beat Batten en hebben als doel ouders te informeren over de status van onderzoeken maar ook om hen te voorzien van praktische tips in de dagelijkse omgang met de ziekte van Batten. Deze webinars worden dan ook voortgezet in 2024.

Metapact

Beat Batten is steunt een nieuw samenwerkingsplatform Metapact. Samen met andere stichtingen, patiëntenorganisaties en ervaringsdeskundigen op het gebied van stofwisselingsziekten proberen we beter de belangen van patiënten beter te behartigen alsook de ziektegroep in de breedte bekender te maken bij het grote publiek en andere doelgroepen. Voorzitter Ronald Jansen is betrokken en zit in het kernteam, een groep kartrekkers die het initiatief van de grond probeert te krijgen.

Actievoerders, sporters, rallyrijders en digitale collectanten

2023 was het eerste jaar dat de evenementen weer volledig konden plaatsvinden zonder de corona beperkende maatregelen waar we in de afgelopen jaren mee te maken hadden. De eerste editie van de Larense Batten Rally werd georganiseerd met behulp van Erik de Zwart, maar ook vonden er diverse andere events plaats waarbij actiestarters voor onze stichting in actie kwamen.

Donateurs

De stichting heeft vaste donateurs die structureel via de website of de bank hun bijdrage doen voor onderzoek naar de ziekte. Daarnaast zijn er eenmalige bijdrages, o.a. via ons actieplatform, de bank en de website. Iedere donateur waarvan de contactgegevens bekend zijn, ontvangt een bedankmail voor zijn gift en wordt als dat gewenst is op de hoogte gehouden van de ontwikkelingen in het onderzoek en onze activiteiten via de nieuwsbrief.

Vrienden en partners

Een zakelijk netwerk met vrienden en partners die ons met diensten, materialen of financieel steunen is onontbeerlijk voor onze stichting. Wij zijn heel dankbaar voor de mogelijkheden die zij ons bieden en zich samen met ons inzetten om onderzoek en behandeling voor Batten mogelijk te maken. Een aantal van deze bedrijven proberen ook hun medewerkers te stimuleren om hun deelname aan sportieve activiteiten voor Beat Batten te laten sponsoren.

2 Wat is de ziekte van Batten

De ziekte

Juvenile Neuronale Ceroid Lipofuscinosis (JNCL, ook bekend als Batten Disease/ziekte van Batten/Batten-Spielmeyer-Vogt) is een autosomaal recessief erfelijke neurodegeneratieve ziekte die begint tijdens de kindertijd. Door een defect in het CLN3 gen op chromosoom 16 wordt een enzym niet aangemaakt. Dit enzym zorgt er normaal gesproken voor dat door de cel geproduceerde afvalstoffen worden afgebroken en afgevoerd. Onder andere doordat deze afvalstoffen zich opstapelen - als auto fluorescerend materiaal in het lysosoom in de cel - wordt een adequate cel functie verhindert, waardoor de cel uiteindelijk afsterft. Met name hersenweefsel wordt hierdoor getroffen. In Nederland wordt ca. 1,5 op de 100.000 levendgeborenen per jaar getroffen door deze verwoestende ziekte.

Op de 46 chromosomen die een mens heeft, liggen circa. 25.000 genen die het lichaam opdracht geven om specifieke eiwitten aan te maken. Deze eiwitten zijn betrokken bij ieder proces dat plaatsvindt in het lichaam, zoals bijvoorbeeld de ademhaling. Maar niet elk gen is perfect, sommigen hebben een defect. En de gemiddelde persoon krijgt drie defecte kopieën van genen op het totaal van 25.000 genen. Meestal heeft dit geen nadelige gevolgen, omdat ieder mens twee varianten (allel) van elk gen heeft. Als één al een defect heeft, is er altijd nog de andere om dat defect te neutraliseren/corrigeren. Je zou verwachten dat zo'n verschrikkelijke kinderziekte als Batten veroorzaakt wordt door vele defecte genen. Niets is echter minder waar: Batten wordt veroorzaakt door maar één defect gen: defect gen Batten type CLN3.

Typisch voor het ziekteverloop is:

- **Gezichtsvermogen** – Het begint met vermindering in het gezichtsvermogen. Uiteindelijk ontwikkelt dit tot blindheid.
- **Vermoeidheid** – Kinderen zullen vermoeidheid kunnen ervaren, waardoor ze een verstoord slaapritme kunnen ontwikkelen. Doordat ze overdag wat vaker slapen, kunnen ze in de nacht minder makkelijk slapen.
- **Gedragsproblemen** – Het gedrag van kinderen met Batten kan langzaam veranderen. Bij drukte en veel geluiden kunnen ze overprikkeld raken. Hierdoor kunnen ze boos of verdrietig worden. Ook kunnen er stemmingswisselingen optreden. Tot slot kunnen ze angstig worden, doordat ze steeds meer de controle over hun eigen lichaam verliezen.
- **Cognitie en geheugenproblemen** – Kinderen rond de 6 á 7 jaar kampen met cognitieve problemen, waardoor ze moeilijk hun aandacht erbij kunnen houden. De informatieverwerking en het verstandelijk vermogen (IQ) gaat steeds meer achteruit. Uiteindelijk leidt dit tot kinderdementie. Al het aangeleerde wordt vergeten en er wordt ook geen nieuwe informatie meer onthouden.
- **Epilepsie** – Kinderen kunnen last van epilepsie krijgen. Meestal ontstaat dit rond het 10e levensjaar. De epilepsie kunnen verschillende vormen aannemen, zoals verstijving, schokken in beide armen en benen, staren of een algehele spierverslapping.

- **Psychose** – Kinderen kunnen in een later stadium last krijgen van hallucinaties en waanideeën. Meestal is dit zo rond het tiende levensjaar. Door het zien en horen van deze beelden en geluiden die er dus eigenlijk niet zijn, kunnen kinderen angstig worden en soms zelfs agressief.
- **Problemen met de motoriek** – De achteruitgang bij de ziekte van Batten wordt meestal nog duidelijker zichtbaar tijdens de puberteit. Naarmate de ziekte vordert, zullen de spieren in het lichaam stijver worden. Hierdoor wordt lopen, zitten en staan steeds moeilijker waardoor de meeste kinderen met Batten in een rolstoel belanden. Daarnaast ervaren sommige kinderen trillingen in de handen, waardoor basale handelingen als drinken en schrijven moeilijker wordt.
- **Problemen met eten** – Slikken en kauwen wordt in de puberteit lastiger, waardoor de kinderen minder zelfstandig kunnen eten. In eerste instantie kan het eten in kleine stukjes worden gesneden of fijn gemalen, maar uiteindelijk zullen sommige kinderen sondevoeding nodig hebben. Ook krijgen ze in sommige gevallen last van maagzuur, wat kan zorgen voor longontsteking.
- **Communicatie** – Communiceren wordt gedurende het verloop van de ziekte een steeds grotere uitdaging voor kinderen met Batten. Dit gaat zover dat de kinderen na verloop van tijd niet meer uit hun woorden kunnen komen. Dit verbaal niet meer kunnen uiten resulteert vaak ook in een gevoel van eenzaamheid, omdat kinderen zich onbegrepen voelen.
- **Incontinentie** – Aan het einde van het ziekteproces krijgen kinderen problemen met het ophouden van urine en soms ook met ontlasting.

Stichting Beat Batten wil door het financieren van internationaal wetenschappelijk onderzoek een therapie vinden om de fatale ziekte van Batten te verslaan.

Er zijn verschillende subtypes van deze ziekte, die zich hoofdzakelijk van elkaar onderscheiden door:

- de leeftijd van het kind waarop de ziekte zich openbaart
- de snelheid waarmee de ziekte het kind “overmeestert”

Er is hoopgevend onderzoek, alleen op dit moment is er nog geen behandeling mogelijk en is de ziekte altijd nog fataal. Beat Batten zet zich alleen in voor CLN3.

2.1 Onderzoeksprojecten

Beat Batten steunt wetenschappelijk onderzoek naar de ziekte van Batten om een therapie of behandeling te vinden. Hoewel het gendefect en het ontbrekende enzym bekend zijn, is het vinden van een oplossing voor deze ziekte nog lastig.

Onderzoek is een tijdrovend proces. Tijd die de stichting en de ouders helemaal niet hebben, omdat zonder behandeling er bij Batten patiënten elke dag onherstelbare schade optreedt. Wereldwijd worden diverse onderzoeken naar Batten gedaan. Het samenbrengen van deze kennis zou een accelerator kunnen zijn op het vinden van een oplossing. Daarom vindt Beat Batten het belangrijk te investeren in verschillende onderzoeken en op de hoogte te zijn van onderzoeksresultaten wereldwijd. Kortgezegd zijn we natuurlijk op zoek naar een behandeling voor deze patiënten.

In de afgelopen jaren en in 2023 verleende de stichting steun aan de hieronder vermelde onderzoeken en activiteiten. Dit zijn voornamelijk langjarige samenwerkingen met onderzoekers aan gerenommeerde instituten.

1. Peter van Hasselt en Willemijn Kuper, verbonden aan het Wilhelmina Kinderziekenhuis te Utrecht, doen klinisch onderzoek naar Batten patiënten. Dit houdt in dat zij onderzoek doen naar de ontwikkeling van de ziekte bij de patiënten door de jaren heen, om zo veel meer inzicht te krijgen over het verloop van de ziekte. Dit is belangrijk voor de begeleiding van ouders van patiënten en bovendien noodzakelijk wanneer keuzes moeten worden gemaakt over toepassing van een toekomstige behandeling. Hierin werken we samen met Stichting Bartiméus (instelling voor mensen die slechtziend of blind zijn) en delen en bespreken we de onderzoeksresultaten met de NCL Stiftung (Duitse stichting, die zich ook op CLN3 richt).
2. Helen Roessler en Peter van Hasselt, van afdeling Genetica van het UMC te Utrecht, testen of bestaande medicijnen, die ontwikkeld zijn voor andere ziekten, werking kunnen hebben bij kinderen met de ziekte van Batten. Hiervoor maken zij gebruik van zebrafissen met CLN3. Helaas heeft Helen in 2022 besloten om te stoppen met haar project waardoor dit project vanaf juni 2022 on hold is gezet. In 2023 is een nieuwe onderzoekster gevonden, te weten Ursula Heins Marroquin. Begin 2024 zal het project worden voortgezet.
3. Dr. Monther Abu-Remaileh en de onderzoekers in zijn lab, verbonden aan de Stanford University in de Verenigde Staten, doen fundamenteel medisch onderzoek naar de werking van het CLN3-eiwit, dat een centrale rol speelt bij de ziekte van Batten. Samen met de Duitse NCL Stiftung dragen wij financieel bij aan dit onderzoek
4. Dankzij Margriet Groot Huisman, is er zeer hard gewerkt om alle documentatie op orde te krijgen om een nieuw project binnen de WKZ omgeving te starten, ook met betrekking tot de funding. We berichten hier in 2024 meer over.

Wat gaat er fout in de lichaamscellen van een Batten patiënt?

Het bij de ziekte van Batten betrokken eiwit wordt CLN3 genoemd. Dit eiwit zit verankerd in de wand van het lysosoom, de recyclingfabriek van de cel*. Bij de ziekte van Batten is het CLN3-eiwit niet goed aangemaakt. In deze vorm kan het CLN3-eiwit niet goed werken. Hoe het CLN3-eiwit precies werkt was overigens tot voor kort niet bekend. Wel het resultaat: afvalstoffen die zich opstapelen in het lysosoom. We weten dat door deze stapeling de recycling in het lysosoom niet goed meer werkt en dat het dan ook mis gaat met het verwerken (en hergebruiken) van afvalstoffen in de cel. Daarom gaan veel cellen uiteindelijk dood wat leidt tot de bekende vormen van uitval van functies bij CLN3 patiënten.

Het heeft lang geduurd voordat we iets meer te weten zijn gekomen over de functie van het CLN3-eiwit. Dat komt, omdat het lysosoom een heel klein onderdeelje is van een cel en daarom is het lastig om het apart van de cel te kunnen bestuderen. Het is prof. Abu Remaileh en zijn team gelukt om lysosomen uit mensen- en muizen cellen vrij te maken. Met behulp van de modernste technieken is het tegenwoordig mogelijk om in de lysosomen alle daarin voorkomende organische stoffen op te sporen. Zo kan men van de onderzochte lysosomen vaststellen welke storingen er bij de recycling plaatsvinden.

Wat hebben de onderzoekers gevonden?

In het hierboven genoemde artikel is verslag gedaan van het onderzoek naar lysosomen uit gekweekte mensencellen en hersencellen van de muis. Prof. Abu Remaileh en zijn collega's hebben gekeken of er verschillen zijn in organische stoffen tussen "zieke" lysosomen ten opzichte van de "niet-zieke". En zo ja, welke stoffen dat zijn en in welke hoeveelheden ze aanwezig zijn. Ze hebben ontdekt dat een aantal organische stoffen – die glycerofosfodi-esters (GPDs) heten – enorm opstapelen in lysosomen met een afwijkend CLN3-eiwit. Deze massieve stapeling komt voor in lysosomen van "zieke" (gekweekte) mensencellen én in lysosomen van "zieke" muizenhersencellen.

GPDs zijn vetachtige stoffen, die door het lysosoom gerecycled zijn vanuit niet-werkende resten van de celwand. GPDs zijn erg belangrijk voor de cel, ze zijn o.a. nodig als nieuwe bouwstenen voor de reparatie van de celwand, dus het is belangrijk dat ze uit het lysosoom verwijderd worden en de cel binnengaan. De onderzoekers hebben nu gevonden dat het CLN3-eiwit verantwoordelijk is voor de verwijdering van GPDs uit het lysosoom. Een niet-werkend CLN3-eiwit veroorzaakt daardoor stapeling van GPDs.

Omdat de enorme stapeling van de GPDs in lysosomen in verband staat met een niet-werkend CLN3-eiwit, is het een voor de hand liggende gedachte dat GPDs goede biomarkers zouden kunnen zijn voor de ziekte van Batten. Biomarkers zijn organische stoffen die aan kunnen geven dat iemand ziek is, die kunnen voorspellen hoe ernstig een ziektebeloop zal zijn, of die laten zien of een behandeling werkt of niet. Helaas was er tot nu toe nog geen echt goede biomarker gevonden voor patiënten met de ziekte van Batten. Daarom hebben de onderzoekers ook onderzocht of GPDs in lichaamsvloeistof van patiënten voorkomen. Hierbij is aangetoond dat één specifieke GPD, glycerophosphoinositol,

verhoogd voorkomt in ruggenmergvocht van patiënten met de ziekte van Batten. Dit ondersteunt de gedachte dat GPDs als biomarkers voor deze ziekte nuttig kunnen zijn.

Samenvattend:

- Een functie van het CLN3-eiwit is om de GPDs uit het lysosoom te verwijderen
- Omdat deze functie bekend is kan men nu gericht op CLN3 nieuwe therapeutische strategieën ontwikkelen
- GPDs zijn waarschijnlijk een goede biomarker waardoor de mogelijkheid groot is dat het verloop van een therapie nu vervolgd kan worden

Wat betekenen deze resultaten voor vervolgonderzoek en voor patiënten?

De resultaten van dit onderzoek zijn erg belangrijk om uiteenlopende redenen. Allereerst zijn de inzichten zo nieuw, dat het ook gevolgen heeft voor ander wetenschappelijk onderzoek. Er loopt natuurlijk veel onderzoek op het gebied van CLN3, waarbij er altijd bepaalde aannames moesten worden gemaakt over wat er precies verkeerd gaat in een cel en/ of de processen in die cel. Deze nieuwe inzichten maakt dat minder op aannames geleund hoeft te worden en meer op de feiten kan worden afgegaan. Het vergroot dus de kans dat bestaand onderzoek beter kan worden begrepen en toekomstig onderzoek meer gericht kan worden ondernomen.

Verder leiden de resultaten, zoals hierboven kort stond beschreven, tot hopelijk een goede biomarker zodat wereldwijd het verloop van de ziekte veel beter in beeld kan worden gebracht. Tot nu toe werd er, met name, vastgesteld hoe ver gevorderd de ziekte was aan de hand van allerlei testen. In Nederland kennen de meeste ouders wel de 6 minuten loop test die in het WKZ in Utrecht wordt toegepast. Dit is een voorbeeld om vast te stellen hoe goed een patiënt dat over een langere periode kan (blijven) doen. Maar in de praktijk is het erg moeilijk om aan de hand daarvan vast te stellen hoe ver de ziekte is, omdat er relatief weinig patiënten zijn (het is een zeldzame ziekte) met een enorme verscheidenheid in type uitval en wanneer die optreedt. Een meer biologische, objectief meetbare biomarker in de vorm van de GPD's gaat waarschijnlijk een zuiverder beeld opleveren. En dat is weer van groot belang als er straks hopelijk behandelingen zijn; dan moeten artsen weten hoe ver gevorderd de ziekte is in verband met bijvoorbeeld doseringen.

Een ander belangrijk aspect van de resultaten is dat het een stap in de goede richting is om tot een behandeling te komen. Nu we weten wat de kern van het probleem is, kan er gericht gekeken worden naar welke therapie het meest kansrijk is om die stapeling van GPD's tegen te gaan. En dat dat op zo'n manier gebeurt, dat zij hun functie kunnen behouden. Naar alle waarschijnlijkheid gaat dat leiden tot een combinatie van behandelingen. Welke dat zijn, dat weten we helaas nog niet, maar men heeft wel al bepaalde ideeën daarover. De vervolgstap is dan ook dat wij als stichting, samen met andere stichtingen nu volop aansturen op vervolgonderzoek, dat moet gaan aantonen welke behandelingen een kans op succes gaan bieden. De stap daarna is om die beoogde

behandelingen dan te gaan testen. Zoals gezegd, zover is het nog niet, maar de resultaten bieden voor het eerst de mogelijkheid om concreet stappen te gaan zetten.

Prof. Abu Remaileh gaat nu onderzoeken of GPDs ook aangetoond kunnen worden in lysosomen van bloedcellen van patiënten met de ziekte van Batten. Samen met zijn team blijft prof. Abu Remaileh dus actief op dit gebied en kijken wij als stichting of we met name vervolgonderzoek m.b.t. mogelijke behandelmethoden kunnen opstarten dan wel versnellen. We houden jullie daar uiteraard van op de hoogte via nieuwsbrieven en onze website!

We hebben geprobeerd deze moeilijke materie zo goed mogelijk uit te leggen, maar we kunnen ons voorstellen dat er nog vragen zijn. Als die er zijn dan kunt u die mailen naar info@beatbatten.nl dan sturen wij ze door naar onze wetenschappelijk adviseur Margriet Groot-Huisman.

** Het lysosoom is de recyclingfabriek van de cel: de afvalstoffen van de cel gaan het lysosoom binnen, worden afgebroken en in kleine stukjes uit het lysosoom verwijderd. Dit is een erg ingewikkeld proces want er zijn heel veel verschillende afvalstoffen, die allemaal op een specifieke manier afgebroken en afgevoerd moeten worden. Als er ook maar één schakel in het proces ontbreekt dan leidt dat tot een stapelingsziekte, zoals bijvoorbeeld de ziekte van Batten.*

3 Fondsenwerving 2023

In 2023 zijn de belangrijkste inkomstenbronnen van Beat Batten evenementen en acties die worden georganiseerd voor en door de stichting. De overige inkomsten komen van zakelijke en particuliere donateurs, maar ook uit loten van de vriendenloterij. Begin 2023 bestond het team uit 2 parttime krachten, waarvan 1 projectmanager en 1 officemedewerker met focus op fondsenwerving. Helaas moesten wij in het derde kwartaal afscheid nemen van de officemedewerker omdat zij een functie elders aanvaarde. De initiële doelstelling hebben wij ondanks het vertrek van de officemedewerker gehandhaafd op het gestelde niveau. Er is een bedrag van € 293.064,= ingezameld, wat de doelstelling net niet evenaarde.

Evenementen en acties

Het jaar werd gestart met een grote, gesponsorde publiekscampagne op radio en tv.

Gaandeweg kwartaal één werden er weer meer evenementen voor Stichting Beat Batten georganiseerd. Om ook meer bekendheid in het Gooi te realiseren hebben wij de eerste Larense Batten Rally georganiseerd. Een rally met een vergelijkbare opzet als in Oss, echter nu geheel in eigen beheer. Deze eerste editie werd een groot succes met een bruto-opbrengst van maar liefst ruim € 60.000,=. Het resultaat van de digitale collecteweek nam af naar ruim € 26.000,= maar daarentegen kwamen er digitale collectanten van tijdens de collecteweek in actie tijdens evenementen en acties. Het kannibaliserend effect van de digitale collecteweek tijdens de coronapandemie is daarmee grotendeels opgeheven.

3.1 Externe factoren

De onrust in de markt als gevolg van de pandemie, de oorlog in Oekraïne, maar ook de aardbevingen in zowel Turkije als Marokko maakten dat men voorzichter geef gedrag vertoonde.

3.2 Acties derden

Acties derden ontstaan middels evenementen die aan Beat Batten gekoppeld zijn, of door losstaande initiatieven. Een aantal voorbeelden van losstaande acties zijn: Niels onderweg naar, hij begeleidde de Alp D'huez als Motard en vroeg daarbij aandacht voor stichting Beat Batten. Er werden ook diverse verjaardag inzamelingsacties voor Beat Batten georganiseerd.

3.3 Particuliere donaties

Het grootste deel van de particuliere donaties komen uit acties van derden, dit zijn eenmalige donateurs die soms ook al bij ons bekend zijn. Via ons actieplatform, inactievoorbeatbatten.nl kunnen actievoerders acties aanmaken of evenementen en zich zo laten sponsoren.

Daarnaast ontvangen wij via onze website, www.beatbatten.nl Eenmalige, maandelijkse en terugkerende donaties. Ook komen er via de bank met regelmaat giften binnen.

De beoogde pilot voor het actief benaderen van donateurs dat in 2022 zou plaatsvinden is opnieuw verschoven naar een later moment wanneer het nieuw te vormen team op volle kracht is en het nieuwe CRM-systeem volledig in gebruik is.

Fondsenwerving Particulieren

Jaartal:	2020	2021	2022	2023
Evenementen	8	12	11	10
Acties	141	148	217	149

De afname in het aantal evenementen is grotendeels gevolg van de eenmalige scholenactie die in 2022 werd georganiseerd in Oss, waarbij iedere klas een eigen sponsorpagina had.

3.4 Digitale collecteweek - Batten Disease Awareness Day

Op 9 juni is het International Batten Awareness Day. Deze dag is door zusterorganisaties in het Verenigd Koninkrijk en in de Verenigde Staten op de kaart gezet. Beat Batten heeft dit initiatief omarmd en daarom besloten de Digitale Collecteweek jaarlijks – in 2023 voor het 4^e jaar op rij - in de week rond 9 juni te organiseren.

Vanaf 4 juni tot en met 10 juni zijn 60 collectanten actief, digitaal gaan collecteren. Deze week was het thema; Hoop, gebaseerd op de in 2022 baanbrekende, hoopgevende onderzoeksresultaten vanuit het onderzoek van prof. Monther Abu Remaileh in Stanford University. Voormalig journaliste, Nikki Sterkenburg, heeft meerdere gezinnen geïnterviewd met het thema toekomstdromen als leidraad. Elke dag werd er een van deze interviews gepubliceerd.

Tijdens de Digitale Collecteweek werd ruim € 26.000,= ingezameld. Een afnemend resultaat wat ook andere goede doelen zien. Dit is verklaarbaar door het feit dat een aantal van de digitale collectanten tijdens acties en evenementen voor Beat Batten een inzameling organiseerde.

3.5 Zakelijke ondersteuning

Al geruime tijd ontvangen wij van diverse bedrijven steun, dit is hetzij financieel, hetzij in ondersteuning op gebied van hun producten en diensten.

DVJ Insights; financiële bijdrage

Meomodo; voorziet ons kosteloos in onze huisvesting, gas, water en licht.

Meadow; ondersteunt ons op gebied van het regenboogijsje en de Deventer Buddy Challenge.

Brandbuilders; verzorging van een gehele digitale on- en offline campagne in 2022/2023.

The Goodplace; ondersteunt met de werkzaamheden en beheer van de website.

Strak Grafisch Ontwerp; verzorgt de vormgeving van promotie- en beeldmaterialen.

ACMA; maakt de begroting en de jaarcijfers.

Abovo; ondersteunt tegen gereduceerd tarief met de online media/optimaliseren website

Salesforce; zorgt voor gratis licenties van het CRM voor non-profit organisaties en tevens implementatie en her-inrichting Salesforce.

Wolf Herenmode; 5e editie van Wolff Rally in het teken van Batten.

Webinars.nu: steunt ons met kosteloze inzet van promotie video's in hun studio.

Invigor Video: steunt ons met de aftermovie in Laren en het maken van de mini-docu's met Gijs Rademaker

Topicus: steunt Beat Batten, door Beat Batten als goed doel aan de Batavierenrace te koppelen, maar komt als team ook in actie voor Beat Batten tijdens de IJsselloop en eigen acties.

De IJsprofessor – Onwijs Lekker IJs: heeft samen met Pleun het regenboogijsje ontwikkeld en dit wordt nu in verschillende horecalocaties en op evenementen in Nederland aangeboden, van elk verkocht ijsje gaat € 0,50 naar onze stichting. In 2023 heeft het Regenboogijsje bijna € 10.000,= gedoneerd naar aanleiding van verkochte ijsjes.

Creative Rebel: Heeft de cartoons van Beba kosteloos uitgebreid.

Coosto: Coosto is een social media monitoring tool, waarbij publiceren, reageren, analyseren en rapporteren in één omgeving biedt. Dit biedt ons direct overzicht en bespaart ons op social mediatijd besparen. Dit platform wordt ons kosteloos aangeboden.

4 Bekendheid en media

4.1 Bekendheid ziekte en naamsbekendheid stichting

De ziekte van Batten is vanwege de zeldzaamheid onbekend. Meer bekendheid is nodig om snellere diagnoses te kunnen stellen en om mensen rondom patiënten meer inzicht te geven in de ziekte en het verloop daarvan.

Het is van cruciaal belang dat de ziekte meer (naams)bekendheid gaat krijgen. Daarnaast is bekendheid van de ziekte en naamsbekendheid van de Stichting Beat Batten van cruciaal belang bij het werven van fondsen.

In 2023 is er actief gewerkt aan het bereik via de social mediakanalen om de traffic naar de website te vergroten. Er is gekozen om de samenwerking met een professionele partij (Abovo Media) te continueren om de online vindbaarheid te vergroten.

4.2 Website en media

In 2023 is de inzet van Abovo media gecontinueerd om de in 2022 genomen stappen te verstevigen en uit te breiden. Abovo adviseert ongoing welke optimalisatie acties uitgevoerd moeten worden om de gerealiseerde optimalisatie te handhaven dan wel te verbeteren.

4.3 PR & Publiciteit

De Larense Batten Rally heeft voor een groot bereik gezorgd in de regio Gooi en Vechtstreek.

In aanloop naar de digitale collecteweek zijn er met behulp van Invigor Video mini documentaires opgenomen waarbij journalist en opiniepeiler Gijs Rademaker in gesprek ging met artsen en ouders van patiënten over de ziekte van Batten en de status van het onderzoek.

Tijdens de digitale collecteweek vond de boeklancering plaats van het boek Alles Gegeven, dat is geschreven door Rina van Wingerden Schrauwen. Dit heeft veel media-aandacht gegenereerd in de omgeving Zundert.

4.4 Ambassadeurs

Erik de Zwart

Erik de Zwart is een zeer betrokken ambassadeur. Hij kent Roel Jansen, zoon van bestuurslid Ronald Jansen, persoonlijk en weet wat de ziekte inhoudt en wat het met Roel doet. Gelukkig kunnen we al enkele jaren op zijn inzet rekenen. Erik is bekend als radio DJ. Tegenwoordig is Erik actief als mediaondernemer. Erik denkt met ons mee om Beat Batten nog meer bekendheid te geven en zet daar ook zijn netwerk voor in. Samen met Erik werd in 2023 de eerste editie van de Larense Batten Rally georganiseerd.

Patricia van Haastrecht

Zangeres en musicalactrice Patricia van Haastrecht is sinds 2021 ambassadeur van Beat Batten. Zij vindt het belangrijk dat er meer aandacht komt voor de ziekte en steun komt voor onderzoek. Patricia heeft zich ingezet als collectant en meegereden tijdens de Larense Batten Rally.

Regio ambassadeurs

Onze regioambassadeurs brengen de ziekte en de stichting op lokaal niveau onder de aandacht. Ook ondersteunen ze bij evenementen, organiseren zelf evenementen of zetten hun netwerk in om Beat Batten te steunen.

5 Terugblik en vooruitzichten

5.1 Resultaten 2023

Doelstelling voor 2023 was om € 350.000 in te zamelen, gebaseerd op een team van 2 medewerkers. Ondanks dat in september een vacature ontstond is besloten dit doel te handhaven.

Het afnemende resultaat van de digitale collecteweek was ook in 2023 zichtbaar, maar wederom verklaarbaar. Ook de resultaten van de WOLF Rally Oss zijn in 2023 significant lager dan in 2022 en 2021.

Dankzij goede resultaten in andere evenementen zoals bijvoorbeeld de Nijmeegse Vierdaagse werd er toch een goed resultaat werd behaald.

Vanwege de continuïteit van de stichting blijft het doel voor de stichting om in 2024 meer bekendheid te geven en ervoor te zorgen dat er bredere basisinkomsten zijn vanuit donateurs en bedrijven.

5.2 Plannen voor 2024

Op het gebied van onderzoek met het WKZ, NCL Stiftung, Stanford University heeft dit ervoor gezorgd dat er stappen zijn gemaakt op gebied van de ziekte van Batten.

- Een functie van het CLN3-eiwit is om de GPDs uit het lysosoom te verwijderen
- Omdat deze functie bekend is kan men nu gericht op CLN3 nieuwe therapeutische strategieën ontwikkelen
- GPDs zijn waarschijnlijk een goede biomarker waardoor de mogelijkheid groot is dat het verloop van een therapie nu vervolgd kan worden

Deze resultaten zijn erg belangrijk voor het vervolgonderzoek en voor patiënten, deze inzichten hebben ook gevolgen voor ander wetenschappelijk onderzoek. Verder leiden de resultaten, zoals hierboven kort stond beschreven, tot hopelijk een goede biomarker zodat wereldwijd het verloop van de ziekte veel beter in beeld kan worden gebracht.

Door deze belangrijke stap, kan heel gericht worden gewerkt aan een oplossing. Deze fase gaat wel nog grotere investeringen met zich meebrengen, mogelijk ook voor de clinical trials die de komende jaren mogelijk gaan zijn. Dit is geweldig omdat er dan behandelingen (onder scherp toezicht) kunnen gaan plaatsvinden wat ook inhoudt dat er grote investeringen nodig zijn.

We kijken terug op een bewogen periode waarin is gepoogd te investeren in een grotere bezetting van het team. Dat is helaas niet uit de verf gekomen en daarnaast zijn de laatste jaren voor onze stichting en overige alle goede doelen niet makkelijk geweest door de corona periode, de oekraïne oorlog en de inflatie als gevolg daarvan. Vandaar dat onze begroting wat meer behouden is en we de

groeydoelstellingen van de afgelopen jaren in deze huidige begroting wat temperen. Vandaar dat we hopen in 2024 op 429.000 euro aan inkomsten te genereren.

We verwachten dit te realiseren door ons meer te focussen op het (door)ontwikkelen van een aantal eigen, sterke events. We hopen met minder betaalde krachten, en meer vrijwilligers, meer inkomsten uit deze events te realiseren. Een voorbeeld daarvan is de Beat Batten Rally in Laren. Daarnaast blijven we ons richten op naamsbekendheid, waarbij de landelijke campagnes via ons netwerk in de media belangenloos worden ontwikkeld en ingezet, en de social/online campagnes door Abovo Media worden gerealiseerd, hetgeen is terug te vinden in onze begroting.

Beat Batten belegt niet in aandelen of obligaties vanwege de onzekerheid van deze investeringen. Liquide middelen staan op spaarrekeningen bij verschillende Nederlandse banken en zijn direct opeisbaar, zodat toegekende onderzoeksgelden altijd volledig uitgekeerd kunnen worden.

Risicoanalyse en -management

Het grootste risico voor Beat Batten is:

Omvang achterban met de collecteweek is gebleken dat er veel uit dezelfde achterban geput wordt en deze vrij wankel is met de financiële onzekerheid en de fors gestegen kosten van de basisbehoefte. Er is fors geïnvesteerd in on- en offline media om Batten meer op de kaart te zetten en daarmee een bredere achterban te creëren en makkelijkere zakelijke partnerships aan te kunnen trekken om door deze partijen serieus te worden genomen.

6 Financiën

Zie jaarrekening 2023

Colofon



Datum: juni 2024

Statutaire naam, vestigingsplaats en rechtsvorm

Stichting Beat Batten!
Binnendelta 1N, 1261 WZ Blaricum

Kamer van Koophandel

De Stichting is ingeschreven in het Stichtingenregister van de Kamer van Koophandel Midden-Nederland onder nummer 30234066.

RSIN/Fiscaal nummer ANBI 818841084

Telefoon: 088 - 228 0000

Email: info@beatbatten.nl

Website: www.beatbatten.nl

Bankrekeningnummer


ING Bank
IBAN: NL 61 INGB 0000 0094 95
BIC: INGB NL 2A

ABN AMRO Bank N.V.
IBAN: NL 95 ABNA 0428 4138 03
BIC: ABNA NL 2A

Ondertekening bestuursleden



R. Jansen
Voorzitter



A. Rouwenhorst
Dagelijks bestuur



M. de Jong
Penningmeester



S. de Lint