

Een **beter** en **langer** leven voor mensen met **CF**

Jaarverslag NCFS 20**17**



NEDERLANDSE
CYSTIC FIBROSIS
STICHTING

2017 in vogelvlucht

We kijken terug op een veelbewogen en enorm druk jaar. Een jaar dat ons veel energie kostte, maar dat ook veel opleverde. Een jaar om trots op te zijn.

Het medicijn Orkambi dreigde in eerste instantie niet vergoed te worden. De NCFS trok samen met clinici, onderzoekers en haar eigen achterban op, om het tij te keren. Uiteindelijk werd het medicijn vergoed en konden patiënten die daarvoor in aanmerking komen, eindelijk starten. Het was het meest in het oog springende onderwerp in 2017. Het traject trok (inter)nationale belangstelling van pers en politiek.

Maar er was meer. Onze missie is kernachtig: een beter en langer leven voor mensen met CF. Om te werken aan die missie is geld nodig. De baten waren op een jaar na, het hoogste bedrag ooit. Onze fondsenwervende evenementen zijn belangrijk; Skate4AIR nu niet alleen in Oostenrijk, maar ook in Zweden. Voor het eerst organiseerden we een Botterrace en die was zeer succesvol. Maar ook onze eigen achterban was buitengewoon actief en betrokken. Honderden acties en evenementen werden lokaal en regionaal georganiseerd. De NCFS koestert deze betrokkenheid en is zeer betrokken bij de organisatie van dit alles. Tenslotte moet het geworven geld ook zo effectief en doelmatig mogelijk worden besteed.

Het HIT CF onderzoeksprogramma verloopt voorspoedig. HIT CF 2.0 is begin 2017 gelanceerd en eind 2017 waren 12 van de 17 projecten gestart en was 1.5 miljoen euro van het totale budget van 5 miljoen gerealiseerd. Met dit onderzoek beogen we de juiste medicijnen sneller bij de juiste patiënt te krijgen. Dat geldt niet alleen voor de meer voorkomende mutaties; de mensen die een zeldzame mutatie hebben, mogen niet worden vergeten. In 2021 willen wij voor 95% van de mensen met CF een vorm van gepersonaliseerde therapie hebben, waarbij de oorzaak van CF op celniveau wordt aangepakt.

De NCFS probeert haar achterban zo goed mogelijk van relevante informatie te voorzien. We bieden hulp en begeleiding, wanneer mensen vanwege hun aandoening, of als ouder van een kind met Cystic Fibrosis, vastlopen. De problematiek waarbij mensen begeleid kunnen worden, varieert van belastingtechnische adviezen tot en met psychosociale ondersteuning, op het moment dat ouders net te horen hebben gekregen dat hun pasgeboren baby aan CF lijdt.

Zo laagdrempelig mogelijk zijn en luisteren naar wat onze doelgroep nodig heeft; dat is wat ons drijft en waar we onze dienstverlening steeds beter op aan willen laten sluiten. Gezien de relatie die we hebben met onze achterban, denken we dat we daar in 2017 grotendeels in geslaagd zijn. In 2018 hopen we deze tendens zeker voort te kunnen zetten.

Jacquelien Noordhoek

Directeur NCFS

Inhoud

1	CF en de NCFS	4
1.1	Een beter en langer leven	4
1.2	CF: de stand van zaken.....	4
2	Hét hoogtepunt van 2017: vergoeding van Orkambi	5
2.1	Intensieve lobby NCFS.....	5
2.2	Resultaat: Orkambi beschikbaar!	5
3	Wetenschappelijk onderzoek	6
3.1	Start HIT CF 2.0	6
3.2	Christina Onderzoekssubsidie.....	6
3.3	Subsidies buitenlandse stages	6
3.4	Co-organisator internationale symposia.....	7
3.5	Registratie.....	7
4	Acties en evenementen	8
4.1	Acties in 2017	8
4.2	Onze ambassadeurs	8
4.3	Eerste Botterrace.....	8
4.4	CF onder de loep.....	8
4.5	Skate4AIR naar Zweden	9
4.6	Collecte: langs de deuren én digitaal	9
4.7	Nalatenschappen.....	9
5	Communicatie, voorlichting en bijeenkomsten	10
5.1	Website en social media.....	10
5.2	Informeren van familieleden	10
5.3	CF-dag 2017: van je familie moet je 't hebben.....	10
5.4	NCFS-symposium: van hielprik tot donorlong.....	10
6	Belangenbehartiging	11
6.1	Ondersteuning bij vragen en problemen	11
6.2	Coaching.....	11
7	Lotgenotencontact	12
7.1	Regiobijeenkomsten	12
7.2	NCFS-forum	12

1 CF en de NCFS

1.1 Een beter en langer leven

De Nederlandse Cystic Fibrosis Stichting zet zich ten volle in voor een beter en langer leven van mensen met CF. Dit doen we door het financieren en coördineren van wetenschappelijk onderzoek, het behartigen van belangen, het faciliteren van lotgenotencontact, het geven van voorlichting en het werven van baten voor het financieren van onze doelstellingen. Zoals ook beschreven in het Beleidsplan 2017-2022, willen we ons de komende jaren extra inzetten om een zo optimaal mogelijke, gepersonaliseerde behandeling voor mensen met CF te helpen realiseren. Hierbij richten wij ons vooral op het aanpakken van het basisdefect in de lichaamscellen van mensen die lijden aan CF.

Sinds 2017 werkt de NCFS samen met internationale onderzoekers en klinici aan het onderzoeksprogramma 'HIT CF 2.0'. Binnen dit programma worden nieuwe technieken en behandelingen die therapie op maat mogelijk maken, verbeterd en toegepast (zie ook hoofdstuk 3).

1.2 CF: de stand van zaken

Hoe staan we er voor in 2017? Welke successen zijn in de afgelopen jaren behaald, en welke doelen hebben we nog? Om een beeld te krijgen van de stand van zaken op het gebied van Cystic Fibrosis in 2017, delen we hierbij enkele belangrijke cijfers.

De ontwikkelingen op het gebied van medicijnen die de oorzaak van CF aanpakken, gaan hard. Eind 2017 is voor **80%** van de mensen met CF een medicijn beschikbaar of in onderzoek.

In 2017 zijn in Nederland ongeveer **1.550** mensen met CF. Een half miljoen mensen in Nederland zijn drager van het gen, vaak zonder dit te weten.

Van **bijna de helft** van de mensen met CF zijn minidarmpjes opgenomen in een biobank. Met behulp van minidarmpjes kan worden voorspeld of een medicijn een positief effect zal hebben bij de desbetreffende patiënt.

De gemiddelde levensverwachting is in twintig jaar tijd **verdubbeld** naar 40 jaar. Toch is 40 nog veel te jong om dood te gaan. Het is onze missie dat in 2035 CF voor vrijwel niemand meer een doodsoorzaak is.

2 Hét hoogtepunt van 2017: vergoeding van Orkambi

2.1 Intensieve lobby NCFS

Orkambi is het eerste geneesmiddel dat zich richt op de onderliggende oorzaak van CF. Ivacaftor en lumacaftor zijn stoffen die aangrijpen op het probleem bij de vorming van chloridekanaaltjes in de cel. De NCFS voerde in 2017 een stevige lobby om Orkambi op te nemen in het verzekerde zorgpakket. Het beoogde resultaat was: Orkambi beschikbaar krijgen voor de mensen die voor dit medicijn in aanmerking komen. Dat dit niet eenvoudig was, zagen we in andere landen waar ook een hevige lobby aan de gang was, vaak zonder succes.

In de weg naar vergoeding werkte de NCFS intensief samen met patiënten, ouders, artsen en andere (zorg)professionals. De NCFS zette de fabrikant en minister onder druk. Op initiatief van de NCFS vond een gesprek met de minister van Volksgezondheid plaats. Hiervoor nam de NCFS een delegatie mee van artsen, een zorgverzekeraar en het Hubrecht Instituut.

Er was een grote betrokkenheid van patiënten, ouders en andere belangstellenden. Er ontstond een sterke (social) community waarin mensen zich verbonden voelden en met elkaar ten strijde trokken. Met de door de NCFS in het leven geroepen hashtag #daaromOrkambi deelden patiënten en ouders massaal hun verhaal op social media. De NCFS had bovendien dagelijks contact met media en Tweede Kamerleden om ervaringen van patiënten te delen en hen met elkaar in contact te brengen.

Een moeder van een kind met CF startte een online petitie om Orkambi vergoed te krijgen. Het aantal handtekeningen liep snel op en na een dag stond de teller al op 40.000. De NCFS steunde haar initiatief en was erbij toen zij de petitie – met ruim 90.000 handtekeningen – aanbood in de Tweede Kamer.

Om patiënten te informeren over de stand van zaken is een Orkambi-dossier ontwikkeld op de website (www.ncfs.nl/orkambi) met daarin: 1) een tijdlijn van alle gebeurtenissen, 2) een overzicht van de mediaberichtgeving en 3) antwoorden op veelgestelde vragen.

2.2 Resultaat: Orkambi beschikbaar!

Op 25 oktober 2017 kwam dan eindelijk het bericht: Orkambi wordt opgenomen in het basispakket. Vanaf het begin van de strijd was duidelijk dat het geen gelopen race zou zijn en alles op alles gezet moest worden om het doel te bereiken. Het bericht dat Orkambi beschikbaar zou komen, voelde daarom als een overwinning. Voor de NCFS, maar vooral voor alle CF-patiënten en hun naasten die al zo lang wachtten op dit medicijn.

3 Wetenschappelijk onderzoek

3.1 Start HIT CF 2.0

Begin 2017 is het onderzoeksprogramma HIT CF 2.0 gelanceerd. HIT CF 2.0 is het vervolg op het programma HIT CF en heeft als doel een toekomst voor te bereiden waarin alle mensen met Cystic Fibrosis een behandeling kunnen krijgen die de oorzaak van CF aanpakt.

Binnen HIT CF 2.0 worden nieuwe technieken en behandelingen die therapie op maat mogelijk moeten maken voor mensen met CF, verbeterd en toegepast.

Het onderzoeksprogramma verloopt voorspoedig. Eind 2017 waren 12 van de 17 projecten gestart en was 1.5 miljoen euro van het totale budget van 5 miljoen gerealiseerd. Met dit onderzoek willen we de juiste medicijnen sneller bij de juiste patiënt krijgen. Dat geldt niet alleen voor de meer voorkomende mutaties: ook de mensen die een zeldzame mutatie hebben, mogen niet worden vergeten. In 2021 willen wij voor 95% van de mensen met CF een vorm van gepersonaliseerde therapie hebben, waarbij de oorzaak van CF op celniveau wordt aangepakt.

Het intensiveren van de samenwerking met alle CF-centra in het Nederlands CF Trial Consortium in 2018 moet Nederland nog aantrekkelijker maken als partner bij het onderzoek naar nieuwe medicijnen bij CF.

3.2 Christina Onderzoekssubsidie

De NCFS kende de Christina Onderzoek Subsidie (COS) 2017 van € 49.434 toe aan kinder-maagdarmlieverarts Frank Bodewes van het UMC Groningen. Hij onderzoekt samen met arts-onderzoeker Ivo van de Peppel het effect van het laxeermiddel polyethyleenglycol op de darmgezondheid van mensen met Cystic Fibrosis.

3.3 Subsidies buitenlandse stages

De NCFS stelt jaarlijks een beperkt aantal beurzen beschikbaar aan studenten/onderzoekers voor een onderzoeksstage in het buitenland. Het uit te voeren onderzoek dient direct gerelateerd te zijn aan Cystic Fibrosis. In 2017 zijn aan twee onderzoeksstages en één training subsidie verstrekt:

Melbourne: onderzoek naar evaluatie van longziekte via beeldvorming bij jonge kinderen met CF.

Toronto: onderzoek naar de ontwikkeling van de longen en ervaren klachten bij kinderen met CF.

Lissabon: training van vaardigheden in het kweken en onderzoeken van cellen van de luchtwegen en darmen van mensen met CF.

3.4 Co-organisator internationale symposia

De NCFS (co)-organiseerde in 2017 de Preconference Basic Science Meeting in Albufeira, Portugal en de Young Investigators Meeting in Parijs.

Tijdens de Preconference Basic Science Meeting werd het veranderen van genetische eigenschappen bij CF gepresenteerd en bediscussieerd met 50 internationale onderzoekers op dat gebied.

Tijdens de Europese CF Young Investigators Meeting presenteerden 40 jonge onderzoekers onder leiding van 10 senior onderzoekers hun werk aan elkaar op het gebied van genetherapie, afweer, infecties, celbiologie en klinische onderwerpen. Er was daarnaast veel ruimte voor discussies en netwerken.

3.5 Registratie

De NCFS beheert de Nederlandse CF-registratie met geanonimiseerde gegevens over mensen met Cystic Fibrosis. Het doel hiervan is om wetenschappelijk onderzoek te ondersteunen en om de zorg en behandeling van mensen met CF te verbeteren. In 2017 is de rapportage van het jaar 2016 gepubliceerd op de website. Hierin zijn de gegevens opgenomen van 1549 van de naar schatting 1575 mensen met CF en CF-gerelateerde ziekte in Nederland. Het rapport gaat dus over 98% van de Nederlandse patiënten met CF in 2016.

De belangrijkste gegevens uit de Registratie zijn voor het eerst ook te bekijken in een interactief overzicht via www.ncfs.nl/over-cystic-fibrosis/cf-registratie.

De procedures voor de Registratie worden verder beschreven zodat we accreditatie kunnen aanvragen en in de nabije toekomst de registratie kunnen gebruiken voor door de overheid gevraagde rapporten over de evaluatie van het gebruik van nieuwe medicijnen bij CF.

4 Acties en evenementen

4.1 Acties in 2017

Dat de achterban van de NCFS actief en betrokken is, is wel te zien aan het aantal acties dat in 2017 werd georganiseerd: het waren er maar liefst 196. Van marktverkoop tot sponsorloop en van fietstocht tot collecte.

Op de actiesite acties.ncfs.nl kunnen mensen zelf een actie aanmaken. Steeds meer mensen starten een teamactie, waarbij een groep deelnemers als team geld inzamelt. Een complete basisschoolklas of een sportclub samen in actie, vaak met één persoon in het hoofd voor wie ze het allemaal doen. Mensen die iets willen doen, kunnen ook bij een bestaand team aanhaken of een individuele actie aanmaken, waarna anderen de actie kunnen ondersteunen door middel van een donatie.

De totale opbrengst van alle georganiseerde acties in 2017 (exclusief Skate4AIR) is € 486.647¹.

¹Vanuit de Richtlijn Verslaggeving 650 is er een andere wijze van vastleggen donatiestromen opgelegd. Vanaf 2017 wordt gevraagd een onderscheid te maken in inkomsten vanuit particulieren, bedrijven en stichtingen. Omdat de NCFS zelf graag inzicht wil hebben in welke baten specifiek vanuit acties komen, wordt dit ook apart bijgehouden. Deze wijziging in verslaggeving zorgt voor een vertekend beeld van de realisatie t.o.v. de begroting.

4.2 Onze ambassadeurs

De NCFS kon ook in 2017 weer rekenen op de steun en aanwezigheid van onze ambassadeurs tijdens diverse evenementen. Zo bracht Arnold Vanderlyde de deelnemers van de Botterrace in opperbeste stemming en was Jochem Uytdehaage de drijvende kracht achter Skate4AIR en gedurende het hele jaar intensief betrokken bij veel activiteiten van de NCFS. De NCFS is daarnaast dankbaar voor al onze andere (CF-)ambassadeurs, die soms stad en land afreizen om een cheque in ontvangst te nemen of een presentatie te geven over CF. NCFS-ambassadeurs, ontzettend bedankt voor jullie inzet, enthousiasme en betrokkenheid!

4.3 Eerste Botterrace

In mei hesen wij de zeilen tijdens de eerste NCFS-Botterrace. De haven van Spakenburg was het sfeervolle decor van deze zeilwedstrijd, waarbij teams onder leiding van een ervaren schipper de strijd aangingen om de NCFS-wisseltrofee. Ongeveer 70 mensen deden mee. Na afloop konden de deelnemers haringhappen en was er een veiling. Met een prachtige opbrengst van € 24.550 is een mooie basis gelegd voor komende edities. De wind in de zeilen, met volle kracht vooruit!

4.4 CF onder de loep

Eind 2017 ging de online campagne CF onder de loep van start. Met CF onder de loep zamelde de NCFS geld in voor onderzoek naar de erfelijke eigenschappen die mogelijk een

rol spelen bij de effectiviteit van medicijnen die de oorzaak van CF aanpakken. Dit onderzoek helpt vaststellen welke genen van invloed zijn op het wel, minder of niet werken van een medicijn. De campagne was een succes en leverde meer dan € 71.000 op: ruim boven het streefbedrag van € 60.000. Alle donaties boven dit bedrag worden gestort in een ander onderzoeksproject en komen dus ook ten goede aan CF-onderzoek.

4.5 Skate4AIR naar Zweden

De schaatstocht Skate4AIR vond in 2017 naast in Oostenrijk ook plaats in Zweden. De eerste editie in Zweden had 30 deelnemers en een opbrengst van € 58.625 aan sponsorgeld. Wat ons betreft een mooie start. Onze ambitie voor de komende jaren is om het evenement verder te laten groeien, zowel in aantal deelnemers als in opbrengst.

Inclusief Oostenrijk had Skate4AIR 2017 een recordopbrengst van € 446.138.

4.6 Collecte: langs de deuren én digitaal

Honderden vrijwillige collectanten gingen in 2017 weer langs de deuren tijdens de huis-aan-huis collecte. In totaal werden er 12 collectes georganiseerd met een gezamenlijke opbrengst van € 30.768.

In oktober ging, voor de tweede keer, de online collecte van start. De 20-jarige Aicha stond symbool in de campagne. Zij heeft Cystic Fibrosis, maar laat zich daardoor niet belemmeren om carrière te maken. Aicha studeert Creatieve Therapie en wil graag later haar eigen praktijk beginnen. Dat is een prachtige ambitie, maar met CF extra lastig. De ontwikkelingen in het CF-onderzoek naar medicijnen die de oorzaak van CF aanpakken, zijn hoopvol. Maar er is wel geld voor nodig.

68 mensen maakten een online collectebus aan en 1126 mensen deden een donatie in één van de bussen. De totale opbrengst was € 14.818. De eerste online collecte in 2016 leverde € 20.800 op.

4.7 Nalatenschappen

De NCFS dankt een deel van haar inkomsten aan nalatenschappen. In 2017 ontving de NCFS drie nalatenschappen van in totaal € 83.700. Een zeer groot deel hiervan ontving de NCFS van mevrouw Kroonenberg. Zij hoopte dat de NCFS er uiteindelijk in zal slagen een belangrijke bijdrage te kunnen leveren aan het perspectief en de levensvreugde van mensen met Cystic Fibrosis. Wij zijn mevrouw Kroonenberg en de andere personen erg dankbaar voor hun nalatenschap aan de NCFS.

5 Communicatie, voorlichting en bijeenkomsten

5.1 Website en social media

De website www.ncfs.nl had in 2017 gemiddeld 12.110 bezoeken per maand: nog niet eerder had de website gemiddeld zoveel bezoeken. Deze stijging ten opzichte van voorgaande jaren is voor een groot deel te verklaren door de (media)-aandacht rondom Orkambi. Het meestgebruikte zoekwoord op de website van 2017 was 'Orkambi', gevolgd door 'belasting' en 'jaarverslag'. De pagina 'Over CF' werd het vaakst bezocht, direct gevolgd door het nieuwsbericht van mei waarin stond dat Orkambi niet zou worden vergoed en het Orkambi-dossier.

Het aantal likes op Facebook was eind 2017 3.702. Eind 2016 was dit 3.039.

Het aantal volgers op Twitter was eind 2017 798. Eind 2016 was dit 658.

5.2 Informeren van familieleden

In samenwerking met het Erfocentrum is de brochure 'Informeren van familieleden' ontwikkeld. Wanneer iemand een kind heeft gekregen met CF, is het belangrijk om er met familie over te praten. CF is een erfelijke ziekte en sommige familieleden kunnen de ziekte misschien ook doorgeven, zonder dat ze dit weten. De brochure bevat informatie over de overerving van CF, het praten met familie en een vader vertelt over zijn eigen ervaringen.

5.3 CF-dag 2017: van je familie moet je 't hebben

De CF-dag 2017 stond in het teken van Cystic Fibrosis in je familie. Ruim 250 mensen bezochten de CF-dag in Ermelo en luisterden naar de presentaties van o.a. Els van der Heijden, die vertelde over leven met CF en kinderlongarts Kors van der Ent, die inging op nieuwe medicijnen en ontwikkelingen in CF-onderzoek. Ook waren er twee workshoprondes, waar bezoekers zich in kleinere groepen konden laten bijpraten over een voor hen interessant thema en hun ervaringen konden delen.

5.4 NCFS-symposium: van hielprik tot donorlong

Het NCFS-symposium voor zorgprofessionals stond in februari 2017 in het teken van Cystic Fibrosis in alle leeftijdsfasen. De presentaties gingen o.a. over hieprikscreening, verlies van gezondheid, het leven met CF en complicaties voor en na orgaantransplantaties. Ongeveer 115 zorgverleners die professioneel betrokken zijn bij de zorg voor mensen met CF, namen deel aan het symposium.

6 Belangenbehartiging

6.1 Ondersteuning bij vragen en problemen

De NCFS behartigt de belangen van mensen met CF en hun naasten. Onderwerpen waarover de NCFS adviseert en waarbij behoefte is aan ondersteuning lopen uiteen.

De NCFS kreeg in 2017 de meeste vragen over de beschikbaarheid van Orkambi, financiële regelingen (bijvoorbeeld dubbele kinderbijslag) en de zorgverzekering.

6.2 Coaching

'Coaching na de diagnose CF' is speciaal ontwikkeld voor ouders die via de hielprik hebben gehoord dat hun baby CF heeft. De NCFS biedt een aantal gesprekken aan met een professionele coach die handvatten geven om beter om te kunnen gaan met deze ingrijpende verandering in hun leven. Daarnaast is er een coachingaanbod voor jongeren met CF en hun ouders.

In 2017 startten 9 gezinnen met coaching na de diagnose CF. 5 gezinnen startten met coaching voor jongeren met CF en hun ouders.

In 2018 zal het huidige coachingaanbod worden uitgebreid naar gezinsbrede coaching voor alle leeftijden.

7 Lotgenotencontact

7.1 Regiobijeenkomsten

In diverse regio's in Nederland zijn contactpersonen van de NCFS actief. Als ouders van een kind met CF zich aanmelden bij de NCFS neemt de contactouder in de betreffende regio contact op om kennis te maken. Ongeveer twee keer per jaar wordt in elke regio een regiobijeenkomst georganiseerd waar ouders elkaar kunnen ontmoeten en ervaringen kunnen delen.

In 2017 namen Han en Harma Broeksma afscheid als regiocontactouders in Leiden. 25 jaar lang deelden zij op persoonlijke wijze hun expertise met veel verschillende mensen in hun regio. Vanaf 2018 zijn Corjan Vlieg en Alieke Wildenbeest de nieuwe contactouders in de regio Leiden/Rotterdam.

7.2 NCFS-forum

In 2017 is het nieuwe forum van de NCFS geopend op www.ncfs.nl/forum. Het forum vervangt het forum op CF-Café, dat in de zomer van 2017 is gesloten. In het nieuwe forum kunnen gebruikers praten over CF en alle zaken daaromheen: van behandeling en onderzoek naar nieuwe medicijnen tot vakantie en vergoedingen.

In 2018 zal de NCFS in kaart brengen of de huidige vormen van lotgenotencontact, waaronder het forum en de regiobijeenkomsten, voldoende aansluiten bij de behoeften van onze achterban.