

# Parent Project

Občanské sdružení rodičů dětí se svalovou  
dystrofií Duchenne/Becker (DMD/BMD)

## Výzkum - Léčba - Naděje

Jozef Suchý - Parent Project ČR  
19. 02. 2009, Praha

# Parent Project (Projekt rodičů)

**Parent Project (Projekt rodičů) je nezisková organizace založená rodiči, jejichž děti se narodily se svalovou dystrofií Duchenne/Becker. Organizace byla založena v roce 1994 v USA. V ČR působí oficiálně od roku 2001.**

V současné době se práce PP dá shrnout do několika nejdůležitějších bodů ...

- Získávání finančních prostředků pro výzkum a budoucí léčbu Duchenne/Becker (DMD/BMD) v České republice
- Zlepšujeme standardy péče a kvalitu života pacientů s DMD/BMD
- Získáváme, zpracováváme a předáváme informace rodičům i odborné veřejnosti o výzkumu DMD/BMD a základní i specializované péči
- Jsme v kontaktu s výzkumnými centry v Evropě i USA a hledáme možnosti zapojení pacientů do klinických studií v zahraničních centrech
- Organizujeme charitativní akce s cílem informovat o DMD/BMD
- Databáze pacientů s DMD/BMD a potenciálních přenašeček

## Získávání finančních prostředků pro výzkum a budoucí léčbu Duchenne/Becker (DMD/BMD) v České republice

- Výzkum léčby jakékoliv geneticky podmíněné nemoci je nesmírně finančně a časově náročný. Pro malé sdružení, jakým je Parent Project je v současné době velice obtížné získávat mnohonásobně vyšší částky právě na výzkum.
- Vzhledem k tomu, že výzkum DMD/BMD neprobíhá v ČR, snažíme se finančně podporovat výzkumné projekty v Evropě. Například v roce 2007 jsme věnovali částku 10.000 € na výzkum Univerzitě v Newcastle (UK) – Institutu genetiky člověka.

## Získávání finančních prostředků pro výzkum a budoucí léčbu Duchenne/Becker (DMD/BMD) v České republice

- Hlavní část finančních zdrojů je v současné době vkládána do Projektu databáze pacientů DMD/BMD, která je pro nás prvním předpokladem pro možnou budoucí léčbu našich pacientů a jejich účasti v klinických testech. Proto jsme založili konto výzkumu, ze kterého bychom v blízké budoucnosti chtěli hradit právě provozní náklady na účast našich pacientů v klinických testech.
- Díky Ing. Miroslavu Stuchlíkovi naše sdružení zorganizovalo již dva rodičovské testy na výživové doplňky, které by mohli být schopny zmírnit progresi této nemoci. Na prvním jsme spolupracovali s firmou LifeVantage Corporation (USA) na testování výživového doplňku Protandim. Druhý s doplňkem Haelan od firmy Haelen Products Inc, který je v současné době ve stádiu vyhodnocování. Oba testy jsou hrazeny z prostředků našeho sdružení.

## Zlepšujeme standardy péče a kvalitu života pacientů s DMD/BMD

- Díky spolupráci s nejrůznějšími nadacemi a díky úspěšným projektům našeho sdružení se nám podařilo zakoupit mnoho přístrojů a pomůcek, které výrazně zkvalitní nejen diagnostiku nemoci ale též kvalitu života pacientů s DMD/BMD.
- Klinice dětské neurologie v Praze v Kateřinská jsme zapůjčili dýchací přístroj pro domácí plicní ventilaci v hodnotě téměř 200.000,- Kč. Pro Kliniku dětské neurologie v Brně jsme zakoupili bioptickou jehlu, díky níž je možné provádět biopsie bez nutnosti narkózy. Parent Project zakoupil software pro monitorovací jednotku Nervosvalového centra VFN Praha

## Zlepšujeme standardy péče a kvalitu života pacientů s DMD/BMD

- Naše sdružení zakoupilo velké množství materiálu pro Centrum molekulární biologie a genové terapie v Brně, který umožňuje provádět na špičkové úrovni molekulárně genetické testy, přesně identifikující genové mutace způsobující Duchenneovu svalovou dystrofii. Laboratorní sondy, pořízené pro Patologicko – anatomický ústav, jsou nezbytné pro analýzy svalových biopsií pro diagnostiku pacientů i potenciálních přenašeček. Materiál pro neurofyziologickou laboratoř Kliniky dětské neurologie, zejména speciální elektromyografické jehly, významně zkvalitnil vyšetřování svalů a zároveň snížil traumatizaci pacientů se svalovou dystrofií.



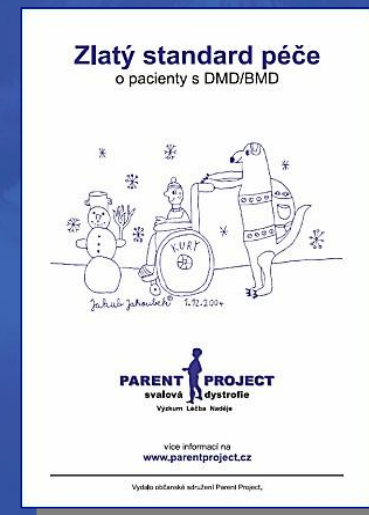
## Zlepšujeme standardy péče a kvalitu života pacientů s DMD/BMD

- Pro naše pacienty se podařilo z nadačních příspěvků zakoupit rehabilitační přístroje, relaxační podložky, notebooky pro děti s poruchami učení, příspěť na bezbariérové úpravy a osobní asistenci.
- Každoročně pořádáme setkání rodičů a dětí s programem, pořádáme rekondiční pobyty pro pacienty s DMD/BMD.



## Získáváme, zpracováváme a předáváme informace rodičům i odborné veřejnosti o výzkumu DMD/BMD a základní i specializované péči

- Ve spolupráci s neurologem MUDr. Petrem Vondráčkem jsme vydali publikaci „Zlatý standard péče o pacienty s DMD/BMD“, kde je kompletně popsána DMD/BMD, dále péče o pacienty, rehabilitace i názory lékařů a pacientů.
- Zajišťujeme internetovou on-line poradnu pro rodiče dětí s DMD/BMD. Tato poradna je zaměřena hlavně na odborné lékařské rady od doporučeného užívání doplňků stravy až po rady od specializovaných lékařů v oboru neurologie a ortopedie.





# Získáváme, zpracováváme a předáváme informace rodičům i odborné veřejnosti o výzkumu DMD/BMD a základní i specializované péči

- Snažíme se získávat všechny informace dostupné ve světě a to prostřednictvím internetu a různých publikací a v maximální možné míře se snažíme získané informace přeložit. Na našich stránkách jsou k nalezení snad všechny aktuální informace o probíhajících výzkumech, jejich průběžné výsledky, postupy a jejich pravděpodobný vývoj.



## Organizujeme charitativní akce s cílem informovat o DMD/BMD

- Parent Project organizuje několik pravidelných charitativních akcí po celé republice. Na všech akcích se snažíme o propagaci DMD/BMD a o seznámení veřejnosti s touto zákeřnou nemocí
- Akce Sněhulák ve Vrchlabí, na které PP již několik let spolupracuje s nejlepším českým lyžařem posledních let Lukášem Bauerem, který v loňském roce vydražil ve prospěch PP korunku pro vítěze světového poháru v klasickém lyžování



## Organizujeme charitativní akce s cílem informovat o DMD/BMD

- Střelby v Žihli u Plzně, které se konaly již 5. rokem





## Organizujeme charitativní akce s cílem informovat o DMD/BMD

- Koncerty vážné hudby v kostele sv. Mikuláše na Staroměstském náměstí v Praze
- Benefiční akce a utkání ve Vrchlabí a Hostinném

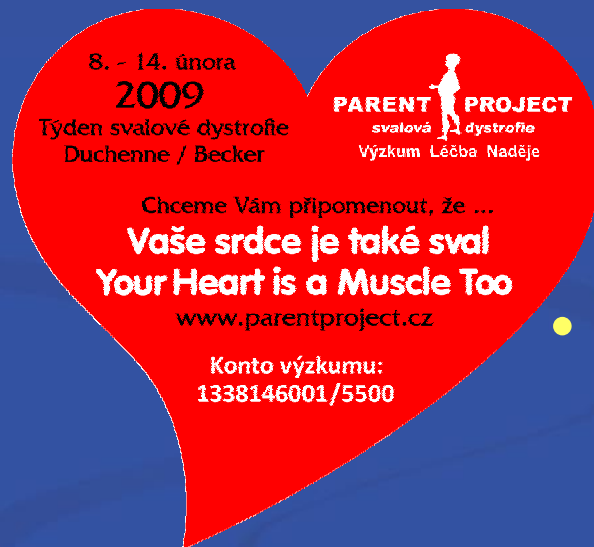


- Hasičská soutěž v Rohovládově Bělé



## Organizujeme charitativní akce s cílem informovat o DMD/BMD

- PP každoročně organizuje propagační akci „Vaše srdce je taky sval - týden svalové dystrofie DMD/BMD“ v měsíci únoru v období sv. Valentýna.

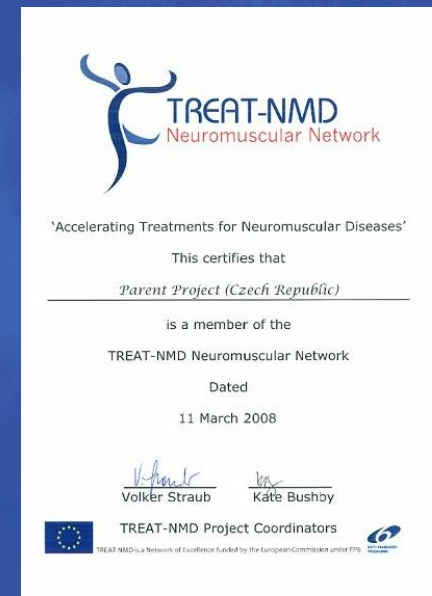


- Několik relací vysílala o Parent Projectu a pacientech s DMD/BMD Česká televize, televize Nova a Markíza. Cílem těchto akcí je poukázat na DMD/BMD a informovat veřejnost o této nemoci.



## Jsme v kontaktu s výzkumnými centry v Evropě i USA a hledáme možnosti zapojení pacientů do klinických studií v zahraničních centrech

- Jsme v neustálém v kontaktu s odborníky ze zahraničních výzkumných center. Naši zástupci z řad členů PP i lékařů se společně účastní odborných seminářů zaměřených na výzkum DMD nebo problematiku databází pacientů.
- Jsme členy evropského projektu TREAT-NMD. Dne 11. 3. 2008 bylo občanské sdružení PP po téměř roční komunikaci zařazeno do tohoto projektu.



- a v současné době náš nejdůležitější projekt ...

**„Databáze pacientů s DMD/BMD a potenciálních přenašeček“**  
The Central Database of Czech and Slovak DMD/BMD Muscular Dystrophy Patients



**The National DMD/BMD Registry**

<http://dystrofie.registry.cz>

<http://dystrophy.registry.cz>

## „Databáze pacientů s DMD/BMD a potenciálních přenašeček“

**Ve spolupráci s Masarykovou univerzitou v Brně jsme vytvořili „Databázi pacientů s DMD/BMD a potenciálních přenašeček“ pro české a slovenské pacienty. Projekt do kterého se letos zapojila i slovenská organizace OMD**

- Tento projekt je rovněž hlavním tématem semináře, a to z pohledu spolupráce s odbornými lékaři z důvodu rozšiřování a pravidelné aktualizaci databáze českých a slovenských pacientů. Záměrem je vytvoření přístupů pro lékaře z řad neurologů a genetiků, kteří přicházejí do kontaktů s pacienty s DMD/BMD.

## „Databáze pacientů s DMD/BMD a potenciálních přenašeček“

- V současné době existuje jenom několik center, které mají přístup do databáze a pro některé pacienty je komplikované obracet se pouze na tato centra. Na Slovensku zatím dokonce není ani jedno. Z důvodů možného zapojení se do budoucího výzkumu je důležité, aby DB obsahovala aktuální informace a tudíž, aby pacienti při návštěvě svého odborného lékaře měli možnost pravidelné aktualizace svého zdravotního stavu pro případ jeho vytipování pro klinickou studii.

## „Databáze pacientů s DMD/BMD a potenciálních přenašeček“

### Cílem databáze je :

- **efektivní integrace pacientů do mezinárodních klinických studií**
- **pro případ nalezení účinné léčebné metody, urychlit výběr a indikaci vhodných pacientů**
- **zjistit počet českých a slovenských pacientů a shromáždit všechny potřebné informace o nich**



## „Databáze pacientů s DMD/BMD a potenciálních přenašeček“

Registr českých a slovenských pacientů s DMD/BMD je výsledkem spolupráce mezi Institutem biostatistiky a analýz, Masarykovy univerzity v Brně (technická realizace, analýzy dat), občanského sdružení Parent Project v České republice (zahájení projektu, finanční podpora) a Fakultní nemocnice v Brně (vědecký poradce). Nově se do projektu zapojila slovenská organizace OMD.



# Parent Project (Projekt rodičů)

Děkujeme Vám za pozornost  
a těšíme se na další spolupráci