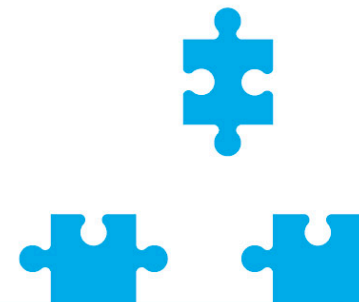




Kind Beter

Beleidsplan Stichting Kind Beter

In samenwerking met:

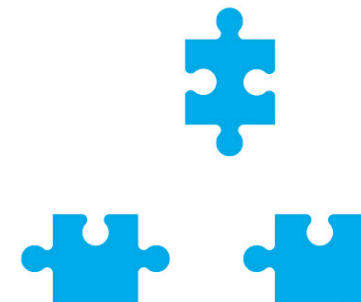


Kind Beter



Business plan om zeldzame ziekte

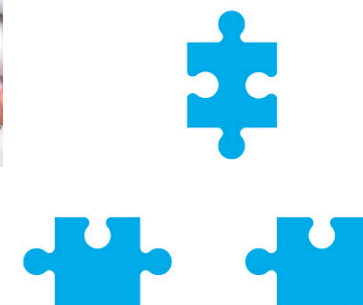
FoxP1 syndroom aan te pakken.



Omdat elk kind het verdient om
beter te worden!

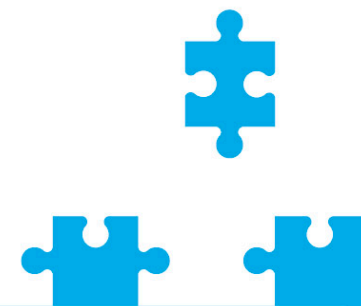
If only...

voor Fenn



Inhoud

- Inleiding
- Achtergrond
- Doelstelling
- Organisatie
- Budgetdoel LUMC
- Financieel beleid
- Fondswervingsplan incl. ruwe planning
- Positionering
- Contact en bronnen



Inleiding

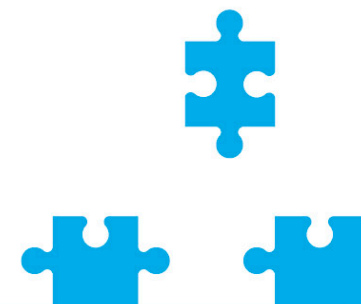
Dit document betreft een plan van aanpak tot de financiering van een onderzoek naar de oorzaak en een mogelijke genezing van de zeldzame ziekte FoxP1 in eerste instantie.

Dit is een initiatief van de ouders van Fenn Kloosterman.

Den Haag,

Esther Kloosterman

André de Koning



Achtergrond

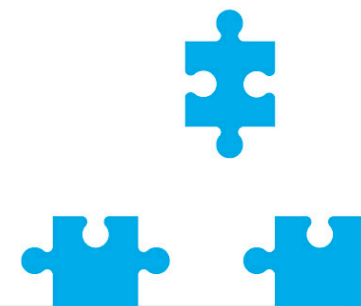
In 2012 is onze Fenn geboren. Hij leek aanvankelijk een gewone jongen, maar al snel bleek dat hij een zeldzame aandoening heeft.

De genetische afwijking op het FoxP1 gen is nog maar kort bekend en er is nog geen fundamenteel onderzoek verricht naar de oorzaak en een mogelijke oplossing.

Momenteel zijn er een 100-tal kinderen internationaal in beeld met deze afwijking. De gradatie waarin dit syndroom zich openbaart varieert van kind tot kind.

Samen met de medische universiteit van Leiden (LUMC) is er een onderzoeksprogramma gedefinieerd. Hiertoe moet er een financiering tot stand komen.

De Stichting Kind Beter is in het leven geroepen om hierin te gaan voorzien.



Doelstelling

Overtuiging

Je wenst iedereen een gezond en gelukkig leven.

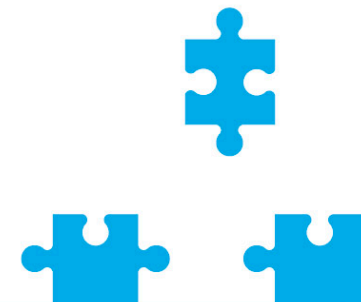
Aangezien zeldzame ziektes als economisch probleem worden gezien door instituten is het een particuliere verantwoordelijkheid hierop in te springen.

Visie

We geloven dat, met de juiste inspanning, medemensen te overtuigen zijn om bij te dragen aan een oplossing voor zeldzame ziektes.

Ambitie

Binnen een termijn van vijf jaar een oplossing voor FoxP1.



Doelstelling

In eerste instantie:

1 de financiering van een onderzoek naar de oorzaak en een mogelijke genezing van de zeldzame ziekte FoxP1 syndroom

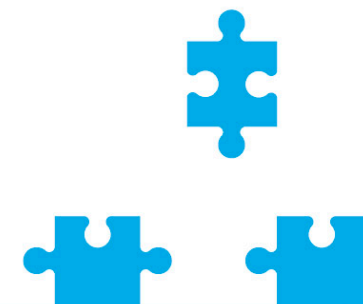
2 het financieren van mogelijke medische behandeling/medicijnen ter genezing van FoxP1 syndroom.

In tweede instantie:

1 het screenen van mogelijke aanpalende ziektes die door deze studie voor nadere analyse in aanmerking kunnen komen.

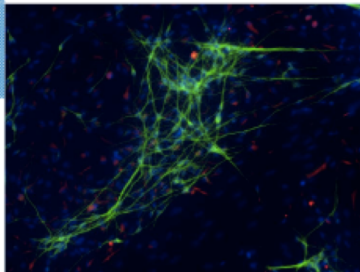
Algemeen:

Het ontwikkelen en onderhouden van relevantie relaties ter bevordering van het realiseren van vernoemde doelstellingen.



Molecular mechanisms and gene targeting therapies for the Foxp1 syndrome

Ziektemechanismen en gentherapie voor het Foxp1 syndroom



Willeke M.C Van Roon-Mom, Department
Of Human Genetics, LUMC, 05-04-2018



2.3 Aims of this project

1. To create induced pluripotent stem cell lines carrying the FOXP1 p.R514H variant and a FOXP1 knock out cell line using CRISPR/Cas9.
2. Determine the role of FOXP1 protein during brain development using cerebral organoids from induced pluripotent stem cells.
3. Study the disease mechanism of the Foxp1 p.R514H variant in early brain development using cerebral organoids from induced pluripotent stem cells (See Figure 1).
4. Explore the potential of programmable adenine base editors (ABEs) to correct the G to A conversion in FOXP1 in genomic DNA.

2 control cell lines -> 2 Foxp1 cell lines (total 4 cell lines)

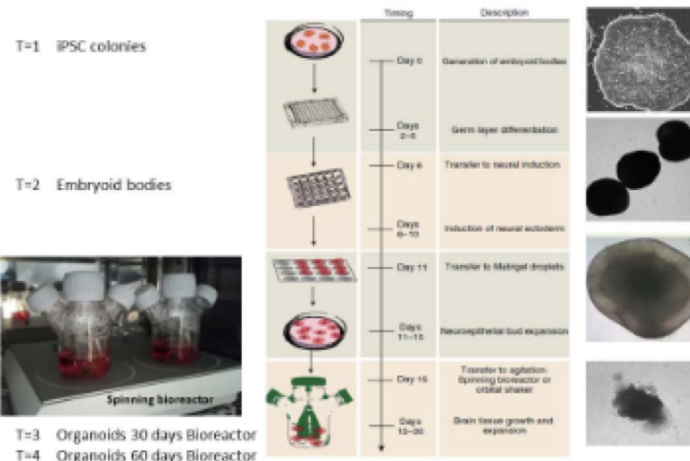


Figure 1: Schematic representation of the generation of FOXP1 mutant organoids

Organisatie

Ten behoeve van een onafhankelijke en zuivere procesvoering is er een Stichting in het leven worden geroepen, waarvoor een ANBI* status zal worden aangevraagd.

Het bestuur zal worden gevormd door ouders die een ziek kind hebben en een externe functionaris. Functies zullen onbezoldigd worden gedaan.

Indien er een personele bezetting komt, dan zal honorering conform markt plaatsvinden.

*Stichting KindBeter wordt aangemerkt als een Algemeen Nut Beogende Instelling (ANBI). Dit betekent dat het geen winstoogmerk heeft en zich voor de volle 100% inzet voor het algemeen belang. Het ontvangt geen overheidssteun en is volledig afhankelijk van donaties en giften van fondsen, particulieren en bedrijven.

Organisatie

Bestuursleden:

Esther Kloosterman

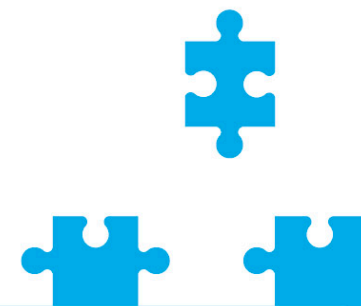
Secretaris, moeder Fenn

André de Koning

Voorzitter, vader Fenn

Wilko Korving

Bestuurslid en penningmeester



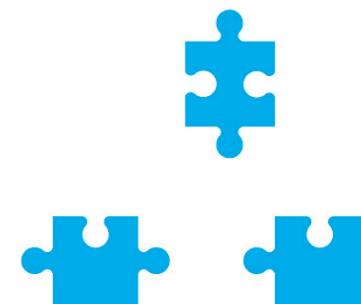
Budgetdoel LUMC

Onderzoek kosten LUMC	€ 245.000
Oprichtingskosten	gesloten beurs
Administratieve kosten	gesloten beurs
Communicatie kosten	gesloten beurs

Budget deel plan:

2018 q2-2019 q4	€ 105.000
-----------------	-----------

Stichting Kind Beter wordt financieel beheerd door BWK administraties te Zoetermeer.



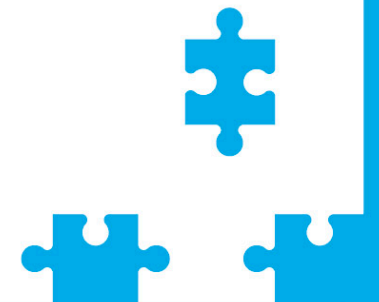
Budget LUMC



	Year 1				Year 2			
Tasks	Q1	Q2	Q3	Q4	Q5	Q6	Q7	Q8
CRISPR/Cas cell line generation								
iPSC organoid culturing								
Immuno organoids								
RNAseq organoids								
Design ABEs								
Test ABEs in human cells								

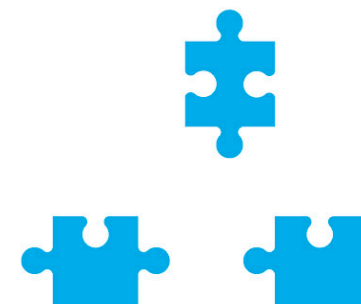
3.2 Budget

	Year 1	Year 2	Total
PostDoc salary (1.0 fte)			
Technician (0.2 fte)			
iPS cell culture			
scRNAseq			
Lab consumables			
Total cost			€245.000



Financieel beleid

- Tegoeden worden niet belegd, noch wordt ermee gespeculeerd.
- De financiële controle wordt gedaan door BWK administraties, Zoetermeer.



Fondswervingsplan incl. ruwe planning

- | | | |
|-----|---|---------|
| 1. | Eigen website met mogelijkheid tot donatie via Geef.nl | gereed |
| 2. | Facebook pagina opzetten met mogelijkheid voor acties | gereed |
| 3. | Aanschrijven Stichtingen (o.a. ZZF) (na ontvangst ANBI status) | Q2 2019 |
| 4. | Mogelijke samenwerking met Mount Sinai Hospital New York en het Seaver Institute New York (overleg in juni tijdens FoxP1 congres) | Q2 2019 |
| 5. | Blog opstarten | Q3 2019 |
| 6. | Aparte crowd funding | Q3 2019 |
| 7. | Onbetaalde PR onderzoeken | Q4 2019 |
| 8. | Koppeling met een product/dienst – merk. | ? |
| 9. | Organiseren events. | ? |
| 10. | Koppeling met een event. | ? |
| 11. | Ambassadeur zoeken...? | ? |

Positionering

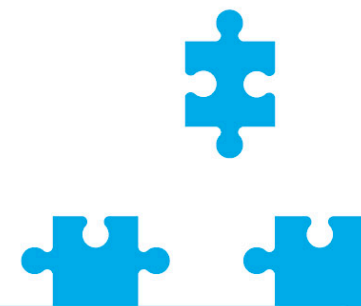
Kind Beter is een particulier initiatief

Ouders zijn de back bone

We willen op een luchtige manier aandacht vragen voor een ziekte per campagne

We pushen niet

Elke bijdrage is geweldig



Contact en bronnen

Stichting Kind Beter

Postbus 82048

2508EA Den Haag

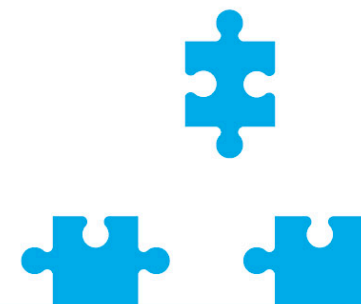
www.kindbeter.nl

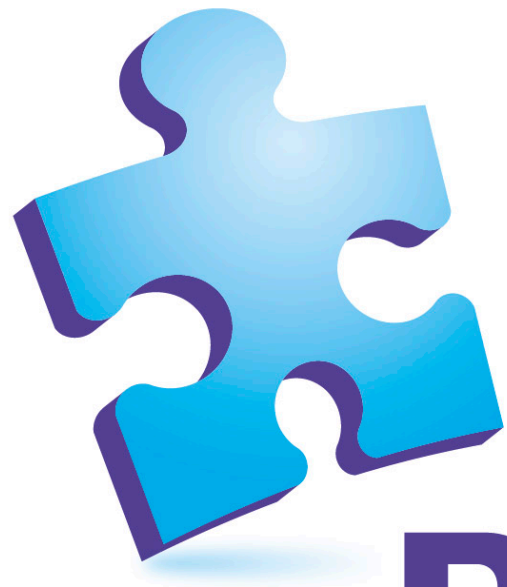
kindbeter@ziggo.nl

KVK nummer 71725261

RSIN/Fiscaalnummer 858824693

<https://www.rareconnect.org/en/community/foxp1>





Kind Beter

Bedankt voor uw aandacht!

