

Parent Project

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

Výzkum - Léčba - Naděje

Pavel Trojan - Parent Project ČR



www.parentproject.cz

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 ...

- Získáváme finanční prostředky 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 o 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 přenašečků



www.parentproject.cz

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

- Hlavní naší aktivitou v současné době je podpora „Projektu databáze pacientů DMD/BMD“, která je pro nás předpokladem účasti našich pacientů v klinických testech a budoucí léčby. Klinické hodnocení realizované v České republice je důkazem správnosti naší volby.
- Další neméně důležitá aktivita směřuje k zavedení a uplatňování standardů komplexní péče. S tím souvisí potřeba na vytvoření dvou až třech specializovaných center pro tuto komplexní péči o pacienty se svalovými dystrofiemi v ČR.
- Za účelem finanční podpory těchto aktivit bylo založeno „Konto výzkumu“, ze kterého bychom chtěli hradit i případné provozní náklady na účast našich pacientů v klinických testech a především náklady na léčbu.



www.parentproject.cz

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 několik přístrojů a pomůcek, které výrazně zkvalitní nejen diagnostiku nemoci, ale též kvalitu života pacientů s DMD/BMD.
- Klinice dětské neurologie v Praze v Kateřinské jsme zapůjčili dýchací přístroj pro domácí plicní ventilaci v hodnotě téměř 200.000,- Kč. Pro Kliniku dětské neurologie v Brně jsme zakoupili bioptickou jehlu, do Nervosvalového centra VFN Praha Parent Project zakoupil software pro monitorovací jednotku. Naše sdružení zakoupilo materiál i pro Centrum molekulární biologie a genové terapie v Brně.
- Podílíme se na financování zahraničních stáží a pracovních cest lékařů, které jim umožňují získat celou řadu nových poznatků a zkušeností. Současně přispíváme k navazování další spolupráce s kolegy, kteří se zabývají problematikou nervosvalových onemocnění v zahraničí.



www.parentproject.cz

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, příspěvek na bezbariérové úpravy a osobní asistenci.
- Každoročně pořádáme několik setkání rodičů a dětí s programem, pořádáme rekondiční pobyty pro pacienty s DMD/BMD.



www.parentproject.cz

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

- Ve spolupráci s neurologem doc. MUDr. Petrem Vondráčkem, Ph.D. jsme v roce 2007 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. Většina informací v knize je stále platná, ale celý náklad knihy je již v současnosti zcela rozebrán.
- Ve spolupráci s MUDr. Janou Haberovou, Ph.D. zajišťujeme internetovou on-line poradnu pro veřejnost. 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.



www.parentproject.cz

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

V letošním roce se našemu sdružení podařilo vydat již dvě nové odborné publikace a informační brožuru pro rodiče. Všechny tyto materiály vznikly překladem a úpravou zahraničních materiálů.



• Diagnostika a léčba svalové dystrofie typu Duchenne - Příručka pro rodiny

• Diagnostika a péče u Duchennovy svalové dystrofie

• Aktuální a urgentní péče o pacienty s Duchennovou svalovou dystrofií

Za pomoc při jejich přípravě děkujeme MUDr. Janě Haberlové PhD. a MUDr. Lence Mrázové. Materiály byly vydány za podpory Občanského sdružení MDA RIDE, pomáhajícího lidem se svalovou dystrofií.

PARENT PROJECT
svalová dystrofie
Výzkum. Léčba. Naděje.

www.parentproject.cz

Získáváme, zpracováváme a předáváme informace rodičům i odborné veřejnosti o výzkumu DMD/BMD a o 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.



PARENT PROJECT
svalová dystrofie
Výzkum. Léčba. Naděje.

www.parentproject.cz

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.



PARENT PROJECT
svalová dystrofie
Výzkum. Léčba. Naděje.

www.parentproject.cz

Organizujeme charitativní akce s cílem informovat o DMD/BMD

- Parent Project organizuje několik pravidelných charitativních akcí po celé republice. Na všech akcích se snažíme seznámit veřejnost s našimi aktivitami, ale především s problematikou DMD/BMD.
- Dlouhodobě spolupracuje s nejlepším českým lyžařem posledních let Lukášem Bauerem. Od roku 2009 jsme navázali spolupráci s českým silničním profesionálním cyklistou Romanem Kreuzigerem.



PARENT PROJECT
svalová dystrofie
Výzkum. Léčba. Naděje.

www.parentproject.cz

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



PARENT PROJECT
svalová dystrofie
Výzkum. Léčba. Naděje.

www.parentproject.cz

Organizujeme charitativní akce s cílem informovat o DMD/BMD

- Letošní střelecký turnaj Parent Project Cup v Žihli u Plzně byl již osmým ročníkem této velmi úspěšné akce.



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

PARENT PROJECT
svalová dystrofie
Výzkum. Léčba. Naděje.

www.parentproject.cz

Účastníme se charitativních akcí, které mají za cíl pomáhat lidem se svalovou dystrofií



MDA RIDE je společnost lidí, kteří se rozhodli dlouhodobě pomáhat lidem s neurosvalovým postižením, známým jako svalová dystrofie. Tato společnost byla inspirována podobnými akcemi, které se pořádají v U.S.A. a ve Švýcarsku právě na podporu asociace muskulárních dystrofií.



PARENT PROJECT
svalová dystrofie
Výzkum Léčba Nadeje

www.parentproject.cz

Účastníme se charitativních akcí, které mají za cíl pomáhat lidem se svalovou dystrofií



Vozíčkáři se účastní letošního HERVIS 1/2 Maratonu Praha, a to díky projektu Running With Those That Can't (RWTC). Tuto iniciativu založili studenti 3. lékařské fakulty UK již v loňském roce. Letos spojili tento charitativní projekt s rodičovskou organizací Parent Project, která sdružuje rodiče dětí postižených svalovou dystrofií DMD/BMD. Celkem bylo na startu téměř 100 studentů, rodou postižených dětí, lékařů a duchovních. Účast v závodě umožní speciální zakoupené vozíky které jsou využitelné pro denní sportování a aktivity rodiny (běh, in-line, tažení za kolem). Je to jedna z cest jak pomoci rodinám k integraci jejich dětí do běžného života, i když je známo, že zdravotní postižení je pro tyto děti trvalé. Vozíky byly po závodě předány rodinám sdruženým v rámci rodičovské organizaci Parent Project. Na projektu se též podíleli organizátoři lékařského projektu Fofrem Na Maraton a PIM.



PARENT PROJECT
svalová dystrofie
Výzkum Léčba Nadeje

www.parentproject.cz

Nejdůležitější priority v současné době ...

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

... nyní pod novým názvem a s novými možnostmi:

„REaDY – Registry of muscular Dystrophy“



<http://ready.registry.cz>

PARENT PROJECT
svalová dystrofie
Výzkum Léčba Nadeje

www.parentproject.cz

„REaDY – Registry of muscular Dystrophy“

Regist českých a slovenských pacientů s DMD/BMD byl 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). Do projektu se zapojila i slovenská organizace OMD.

Na tento projekt navázal v květnu 2011 projekt REaDY – Registry of muscular Dystrophy. Nový projekt si klade za cíl zmapovat vedle DMD/BMD i další dva typy svalových dystrofií.

Projekt REaDY (REgistr svalových Dystrofií) se zabývá sběrem dat o léčbě a vývoji tří druhů svalových onemocnění:

- Duchennova/Beckerova svalová dystrofie (DMD/BMD),
- spinální muskulární atrofie (SMA)
- myotonická dystrofie (DM).

PARENT PROJECT
svalová dystrofie
Výzkum Léčba Nadeje

www.parentproject.cz

„REaDY – Registry of muscular Dystrophy“

Regist si klade za cíl evidovat co nejvíce pacientů trpících těmito vrozenými genetickými vadami a díky kompletním genetickým vyšetřením pomoci ve vývoji léčby a péče o nemocné.

Tento projekt je v současnosti jedním z hlavních témat činnosti především z pohledu spolupráce s odbornými lékaři při rozšiřování a pravidelné aktualizaci databáze českých a slovenských pacientů. Důležitým záměrem je vytvoření přístupů pro lékaře z řad neurologů a genetiků, kteří přicházejí do kontaktu s pacienty s DMD/BMD.

V současné době je již několik center, které mají přístup do databáze. Z důvodů možného zapojení se do budoucího výzkumu je důležité, aby databáze 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.

PARENT PROJECT
svalová dystrofie
Výzkum Léčba Nadeje

www.parentproject.cz

„REaDY – Registry of muscular Dystrophy“

Cílem databáze je :

- Vedení databáze českých i slovenských pacientů s DMD/BMD, SMA a DM
- Zařazení pacientů do mezinárodních studií
- Urychlení výběru vhodných pacientů v případě vývoje účinného léčiva
- Podpora výzkumu svalových dystrofií
- Informační servis o výsledcích nejnovějších způsobů léčby

Odborná garance sekce DMD/BMD:

- doc. MUDr. Petr Vondráček, MUDr. Lenka Mrázová

PARENT PROJECT
svalová dystrofie
Výzkum Léčba Nadeje

www.parentproject.cz

Komplexní péče o pacienty se svalovými dystrofiemi

Ve spolupráci s lékaři FN Brno a FN Motol jsme zahájili aktivity na vytvoření center pro zajištění komplexní péče o pacienty se svalovými dystrofiemi.

V současné době neexistují standardy ani jasné postupy v péči o pacienty se svalovou dystrofií DMD/BMD. Vzhledem k malému počtu pacientů (cca. 400 až 500 v ČR), kteří jsou navíc roztroušeni po celé ČR, nemají lékaři dostatek pacientů na to, aby si vytvořili přehled o progresi této nemoci a postupy, jak o tyto pacienty v jednotlivých vývojových stupních pečovat. Z tohoto důvodu je naše snaha sjednotit pacienty ve dvou až třech specializovaných centrech v ČR. Vzhledem k působnosti sdružení Parent Project a kontaktů na rodiče tím dosáhneme postupně přeměrování většiny stávajících a téměř všech nových pacientů do těchto center. Lékaři specialisti v těchto centrech budou pečovat o větší počet pacientů s DMD/BMD a časem získají neocenitelné zkušenosti v péči o tyto pacienty.



www.parentproject.cz

Komplexní péče o pacienty se svalovými dystrofiemi

Ve spolupráci s lékaři, odborníky a specialisty chceme tyto standardy komplexní péče pomoci zavést do praxe i v České republice. Na tomto spolupracujeme s evropským projektem Treat-NMD, který již základy standardů pro Západní Evropu vydal. Tyto standardy jsme přeložili do češtiny a nyní je dáváme k dispozici specialistům i u nás.

V návaznosti na tyto materiály chceme ve spolupráci s renomovanými lékařskými centry, Masarykovou universitou a odborníky z Treat-NMD seznámit a proškolit vybrané odborníky na tyto standardy. Komplexní a kvalitní péče je podmíněna mezioborovou spoluprací mezi řadou lékařů.

Ke zlepšení oboustranné informovanosti by mělo pomoci i pravidelné setkávání se a dlouhodobá spolupráce rodičů s odborníky, jakou je třeba právě tato konference.



www.parentproject.cz

Parent Project (Projekt rodičů)

Naší snahou je zajistit pro děti s DMD/BMD komplexní péči ve specializovaných centrech, zabezpečit jim kompletní vyšetření a veškerou dostupnou lékařskou péči, aby se jejich život v maximálním možném čase prodloužil a z kvalitní. Tím tyto děti dostanou šanci dožít se léku, který jak všichni pevně doufáme, jednou bude k dispozici.

Děkuji Vám za pozornost
a těším se na další spolupráci



www.parentproject.cz