**Beleidsplan**

***Stichting Batten Research Fonds***

Stichting Batten Research Fonds is op 19 juni 2014 notarieel opgericht.
Zij is gevestigd Rosariumlaan 36, 3972 GK Driebergen-Rijsenburg.

De Stichting is ingeschreven in het Stichtingenregister van de Kamer van Koophandel Midden-Nederland onder nummer 60899514. RSIN/Fiscaal nummer ANBI is 854110252.

**De doelstelling en het verkrijgen van de middelen:**

* De stichting heeft ten doel het stimuleren van het onderzoek naar een behandeling voor de ziekte van Batten (Neuronal Ceroid Lipofuscinosis) die deze ziekte kan genezen danwel vertragen en het bespoedigen van de toepassing van deze behandeling en al hetgeen in de ruimste zin daarmede verband houdt, daartoe behoort en/of daartoe bevorderlijk kan zijn, mits in het algemeen belang.
* De stichting tracht dit doel te bereiken onder meer door met geldelijke middelen bij te dragen aan internationale kennisoverdracht en scholingsactiviteiten verband houdende met de hiervoor genoemde ziekte.
* De stichting heeft geen winstoogmerk.

**Vermogen**

Het vermogen van de stichting wordt gevormd door subsidies, giften, legaten, hetgeen door erfstelling verkregen wordt, alsmede andere baten.

**Bestuur**

Het bestuur bestaat uit de volgende personen:

* mevrouw Laura Christina den Hertog-Schutz is voorzitter, verzorgt het algemeen beleid en coördineert het wetenschappelijk onderzoek;
* de heer Wilhelmus Johannes van ’t Veer is penningmeester en verzorgt de financiële en juridische zaken;
* de heer Gijsbertus Pieter den Hertog is secretaris;
* de leden Hendrik Kroeze

 Hendrik Willem Ries Velema

**De ziekte**

Juveniele Neuronale Ceroid Lipofuscinosis (JNCL, ook bekend als Batten Disease/ziekte van Batten/Batten-Spielmeyer-Vogt)) is een autosomaal recessief erfelijke neurodegeneratieve ziekte beginnend tijdens de kindertijd. Door een defect in het CLN3 gen op chromosoom 16 wordt een bepaald enzym niet aangemaakt dat er normaal gesproken voor zorgt dat door de cel geproduceerde afvalstoffen worden afgebroken en afgevoerd. Onder andere doordat deze afvalstoffen zich opstapelen als autofluorescerend materiaal in het lysosoom  in de cel wordt een adequate celfunctie verhinderd 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.

 Typisch voor het ziekteverloop is :
-          de progressieve achteruitgang van het gezichtsvermogen tussen het 5e en 8e jaar, leidend tot
 blindheid
-          gevolgd door epilepsie,
-          cognitieve achteruitgang (dementie)
-          toenemende problemen in de motoriek met uiteindelijk rolstoelgebondenheid,
- toenemend verlies van spraak en taal, dus van het vermogen tot communiceren
- een vroegtijdige dood gemiddeld tussen het 20e en 30e levensjaar.

 **Werkzaamheden van de stichting**

Het bestuur vergadert tenminste 3 maal per jaar en zal voor de uitvoering van haar activiteiten zorgdragen.

**Wetenschappelijk onderzoek**

Batten Research Fonds steunt/is voornemens onderstaande onderzoeken financieel te ondersteunen:

* **Prof. David A. Pearce, Sanford Children's Hospital, Sioux Falls, SD, USA:**
* *The possibility of read through therapy in nonsense mutations causing juvenile CLN3  disease: in cell cultures and in mice with genetically the same nonsense mutation*

Bestudeerd wordt of read-through gen-therapie bij stop- of nonsense mutaties die JNCL veroorzaken een positief effect heeft op het aanmaken van het CLN3 eiwit, op basis van ervaringen met andere ziekten veroorzaakt door dergelijke mutaties. De resultaten zijn bemoedigend.

* **University of Luxembourg (L) / Münster (D):**

 **-** *JNCL iPSC (induced pluripotent stem cells) research:*

het kweken van JNCL-cellijnen (menselijke niet-embryonale stamcellen) vanuit iPSC met diverse JNCL-mutatie varianten.

De bedoeling is dat na stabilisatie hierop high-throughput drug-screening kan worden toegepast, teneinde op snelle en efficiënte wijze te kunnen beoordelen welke bestaande medicijnen/ stofcomponenten een positief effect hebben op deze cellen, ten behoeve van therapeutische toepassing voor JNCL.

Voor het financieren van nieuwe wetenschappelijke onderzoeksprojecten bestaan meerdere mogelijkheden:

·         Een bestaand project wordt uitgebreid/verlengd. Vaak zal de onderzoeker het initiatief nemen om te verzoeken dit financieel te ondersteunen. Het kan echter ook zijn dat de stichting hangende het onderzoek meerdere aspecten onderzocht wil krijgen, bijv. op basis van informatie voortkomend uit andere onderzoeken, en daarvoor de onderzoeker benadert.

·         Een nieuw project wordt door een onderzoeker uit eigen initiatief aangemeld bij de stichting

·         De stichting wil een bepaald aspect onderzocht hebben en benadert een of meerdere onderzoekers om hiervoor een voorstel te schrijven.

In alle bovenstaande gevallen kan het zo zijn dat er ten behoeve daarvan reeds financiële middelen ter beschikking staan, of dat er juist ten behoeve van een specifiek project nog financiën geworven moeten gaan worden d.m.v. publieke fondsenwerving of persoonlijke benadering van een potentiële donateur.

·         Daarnaast is het mogelijk dat de stichting door haar wervende activiteiten, giften, legaten e.d. een bepaald bedrag ter beschikking heeft, waarvoor een “call for proposals” wordt uitgeschreven. Onderzoekers kunnen hun projectvoorstellen dan indienen, waarna er een project wordt uitgekozen.

·         Bovendien kunnen er door de goede internationale samenwerking met andere stichtingen met hetzelfde doel ook gezamenlijk onderzoeksprojecten worden gefinancierd, hetzij op initiatief van Batten Research Fonds, hetzij op initiatief van een van de andere stichtingen.

·         Ondersteuning wetenschappelijke JNCL congressen in of buiten Nederland

 Ten behoeve van toekomstige projecten probeert de stichting ondertussen d.m.v. diverse activiteiten gelden te werven, opdat, als er een definitieve keuze voor een project gemaakt is, er ook direct financiële middelen daarvoor inzetbaar zijn.

Deze middelen kunnen voortkomen uit:

* Giften ( al dan niet periodiek)
* Evenementen zoals sponsorlopen, bedrijfsuitjes met opbrengst voor stichting
* Benefietconcerten
* Legaten
* Donaties vermogensfondsen

Meer specifieke plannen voor 2015/2016:

* Organiseren/begunstigde zijn van sport-sponsor-evenementen

Singelloop Utrecht

Wijnproeverij

Tandemfiettocht 2 Bike 4 Batten

* Ondersteuning zorgvuldig geselecteerd wetenschappelijk onderzoek (zie boven)
* Samenwerking met zusterstichtingen met gelijkluidende doelstelling in binnen- en buitenland; samenwerking op financiering van kennisoverdracht en projecten, onder het motto: 1+1=3
* Bevorderen onderlinge communicatie tussen relevante researchers wereldwijd
* Bevorderen translational research: het implementeren van wetenschappelijke vindingen naar werkelijke therapie, het helpen slaan van bruggen tussen de diverse disciplines (wetenschap, farmaceutische industrie, kliniek)
* Ondersteuning projecten die het leven voor JNCL patiënten draaglijker maken, zoals bijv. educatieve software speciaal geschikt voor blinden met motorische en cognitieve beperkingen

Verslag van de uitgeoefende activiteiten 2015

* sponsorloop Singelloop Utrecht
* wijnproeverij Lions Utrechtse Heuvelrug
* intensieve samenwerking met NCL-Stiftung Hamburg
* start *JNCL iPSC (induced pluripotent stem cells) research in Luxemburg/Münster*
* financiële ondersteuning en participatie wetenschappelijk congres 2015 NCL-Stiftung (D)
* continueren contacten met financiële instellingen tbv funding van onderzoeksprojecten