



ALS Liga België vzw

Amyotrofe Lateraal Sclerose

*Onder de Hoge Bescherming van H.M. de Koningin
Lid van de Internationale Alliantie van ALS/MND verenigingen*

Jaarverslag 2012

ALS Liga vzw België

INHOUDSTAFEL

Hoofdstuk 1 : Over de Liga

- 1.1. Wat is ALS
- 1.2. Oprichting van de Liga

Hoofdstuk 2 : Organisatie en Bestuur

- 2.1. Organigram
- 2.2. Organisatie
- 2.3. Zetel en contact
- 2.4. Secretariaat
- 2.5. Raad van Bestuur
- 2.6. Algemene vergadering
- 2.7. Personeel
- 2.8. Vertegenwoordiging
- 2.9. Ambassadeurs

Hoofdstuk 3 : Missie en Visie

- 3.1. Missie
- 3.2. Visie

Hoofdstuk 4 : Eredoctoraat voor de ALS Liga

Hoofdstuk 5 : Activiteiten

- 5.1. Intern
- 5.2. Extern

Hoofdstuk 6 : Interne en externe communicatie

- 6.1. Interne communicatie
- 6.2. Externe communicatie
 - 6.2.1. Sociale media

Hoofdstuk 7 : Onderzoek en fondsen

- 7.1. Steunfonds 'A cure for ALS'

Hoofdstuk 8 : Projecten

- 8.1. vzw ALS DAN

Hoofdstuk 9 : Dienstverlening

- 9.1. vzw Mobility and Digitalk
- 9.2. Rechtstreekse contacten met pALS
- 9.3. Vlaams minister Jo Vandeurzen op werkbezoek bij ALS

Statistieken van de verschillende uitgeleende hulpmiddelen

Hoofdstuk 1: Over de Liga

1.1. Wat is ALS?

ALS staat voor **A**myotrofe **L**ateraal **S**clerose

Amyotrofie betekent "verlies van het spierweefsel" (myo=spier). Lateraal sclerose betekent "verharding door littekenweefsel van de zijstrengen, waarin de piramidebanen afdalen.

ALS is een neuromusculaire niet-besmettelijke aandoening die in elke spiergroep kan beginnen en waarvan de oorzaak nog niet met zekerheid is vastgesteld. Evenmin is een afdoende behandeling of een preventiemethode momenteel gekend. De overlevingsduur en het beloop van de ziekte verschillen sterk tussen patiënten onderling, hetgeen zekere voorspellingen moeilijk maakt. De aandoening is veelal fataal binnen 3 à 5 jaar na diagnose en dit door verlamming van de ademhaling- of slikspieren. Maar toch zit er een grote variatie in de levensduur van ALS-patiënten.

1.2. Oprichting van de Liga

In februari 1995 (Belgisch Staatsblad 15.06.1995) werd de VZW ALS Liga België officieel opgericht door een groep van patiënten en hun familieleden. Deze mensen hadden het jaar voordien gereageerd op een oproep van Hugo Mees, de vader van een jonge ALS-patiënt. Allen hadden nood aan goede informatie, hulp en coördinatie van de zorg bij ALS.

De vereniging richt zich naar alle Belgische ALS-patiënten. Het bestuur bestaat uitsluitend uit ALS-patiënten of hun familie met als voordeel dat zij de ziekte met haar directe en indirecte gevolgen zeer goed kennen.

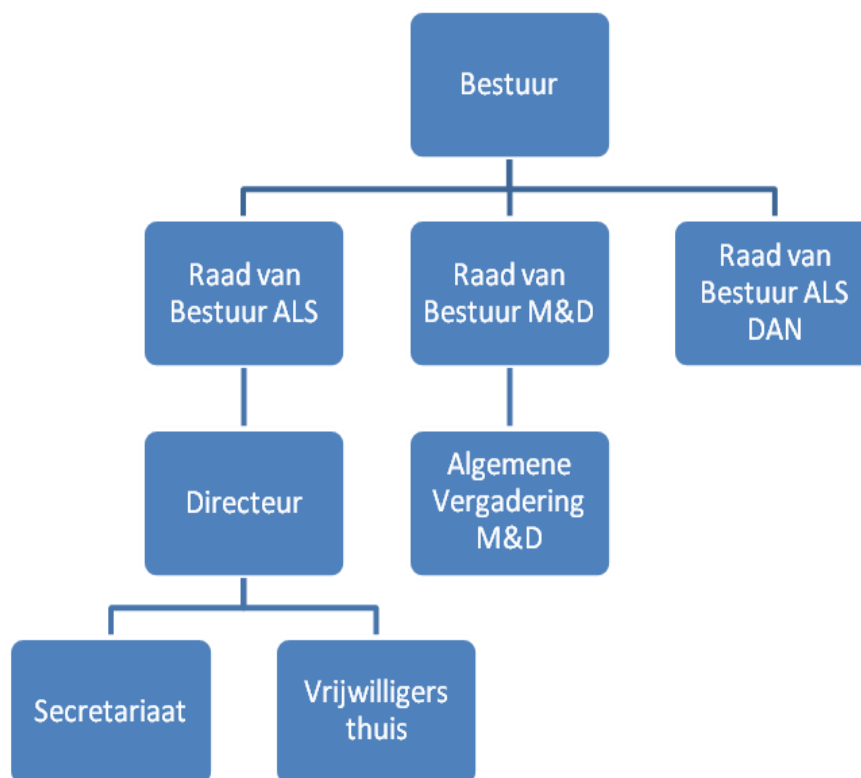
De vzw met Identificatienummer 9897/95 staat onder de Hoge Bescherming van Hare Majesteit de Koningin van België en is aangesloten bij de overkoepelende Internationale Alliantie van ALS/MND verenigingen.

Ondertussen is de vereniging uitgegroeid tot een heuse organisatie die steeds klaarstaat voor mensen met ALS en hun familie. De Liga beschikt nu over een eigen secretariaat dat bemand wordt door vrijwilligers. De zetel is gevestigd in Leuven. We beschikken over allerlei hulpmiddelen van A tot Z: zoals rolstoelen, van de eenvoudigste tot de meest gesofisticeerde computergestuurde rolwagens. Alle soorten communicatieapparatuur, omgevingsbesturingssystemen, enz... Mensen met ALS die lid zijn van de vereniging kunnen van deze service gebruik maken als de nood aan hulpmiddelen zich opdringt.

Mensen mogen al hun vragen aan ons stellen, in de mate van het mogelijke zal er antwoord op gegeven worden, anders wijzen we hem/haar door naar medici of naar de bevoegde instanties.

Hoofdstuk 2: Organisatie en bestuur

2.1. Organigram



2.2. Organisatie

De vzw ALS Liga België werd opgericht in februari 1995 (Belgisch Staatsblad 15/06/1995). De Liga staat onder de Hoge Bescherming van Hare Majesteit de Koningin van België en is aangesloten bij de overkoepelende Internationale Alliantie van ALS/MND verenigingen.

De organisatie omvat de deel vzw's ALS Mobility & Digitalk (gratis ter beschikking stellen van aangepaste hulpmiddelen) en ALS DAN (oprichten en uitbaten van een ALS Zorgverblijf).

2.3. Zetel en contact

De zetel is gevestigd in de Kapucijnenvoer 33/B1, te 3000 Leuven.
Tel. +32(0)16/23.95.82, fax +32(0)16/29.98.65,
e-mail info@alsliga.be of secretariaat@alsliga.be
website www.ALSLIGA.be

2.4. Secretariaat

Het secretariaat van de organisatie is gevestigd op hetzelfde adres.

2.5. Raad van Bestuur

De Raad van Bestuur vzw ALS Liga was op 31 december 2012 als volgt samengesteld :

Reviere Danny	Voorzitter
Luybaert Paula	Secretaris
Mahy Mia	Penningmeester
Bulcke Liliane	Bestuurder
Depotter Dave	Bestuurder
Reviere Evy	Bestuurder

De Raad van Bestuur vzw ALS DAN was op 31 december 2012 als volgt samengesteld:

Reviere Danny
Mahy Mia
Boehme Luc
Vaneste Philip
Staelens Koen
Sabbe Bart
Crevits Marnix
Van Houwaert André

De Raad van Bestuur vzw ALS Mobility & Digitalk was op 31 december 2012 als volgt samengesteld :

Reviere Danny
Mahy Mia
Wittens Joske
Reviere Evy
Depotter Dave

2.6. Algemene vergadering

De Algemene Vergadering vzw ALS Liga en vzw Mobility & Digitalk was op 31 december 2012 als volgt samengesteld :

Bulcke Liliane
Depotter Dave
Luybaert Paula
Mahy Mia
Reviere Danny
Reviere Evy
Wittens Josephine

2.7. Personeel

Full-time personeel

Evy Reviere/executive director

Vrijwilligers op het secretariaat

Eind december 2012 werkten er 15 vrijwilligers op het secretariaat :

Danny, Mia, Mattias, Dirk C, Dirk DV, Yannick, Bea, Goele, Ingrid, Anne, Marijke, Cederic, Paula, Guido, Jean.

Thuiswerkende vrijwilligers

Eind december 2012 werkten er 23 vrijwilligers van thuis uit.

Vrijwilligers voor activiteiten en andere taken

Er zijn nog tientallen andere vrijwilligers actief (Paula, Liliane, Dave, Joske, Willy, Mirjam en James, Eddy en Christel, Saartje, Jean en Anne-Mie, ...) die geregeld of sporadisch andere taken voor hun rekening nemen, of die actief zijn bij het organiseren van diverse benefieten en activiteiten.

2.8. Vertegenwoordiging

De ALS Liga is daarnaast vertegenwoordigd in diverse overkoepelende patiëntenorganisaties te weten: VGPH, OL, en GRIP vzw. Dat engagement komt neer op deelname aan twee maandelijks bestuursraden en algemene vergaderingen. Daarin worden de activiteiten van die respectievelijke organisaties gestuurd en geëvalueerd.

2.9. Ambassadeurs

David Davidse (*zanger-acteur*), Eric Goris (*acteur*), Anouck Lepère (*model*), Marleen Merckx (*actrice*), Marc Pinte (*presentator*), Mong Rosseel (*cabaretier*), Kate Ryan (*zangeres*), Leah Thijs (*actrice*).

Hoofdstuk 3: Missie en Visie

3.1. Missie

De ALS Liga België is een patiëntenvereniging die in België de belangen van pALS (personen met ALS) behartigt. Deskundig en snel creëert de Liga zorg op maat aan pALS. pALS hebben recht op bijstand van diverse aard: morele steun, hulpmiddelen, advies in hun contacten met overheid en zorgverstrekkers en erkenning van het ruime publiek. De Liga legt ononderbroken contacten met overheid, zorgverstrekkers en het publiek om het lot van de pALS te verbeteren door het uitbouwen van zorg, door hoogstaand wetenschappelijk onderzoek naar ALS te bevorderen en door het zoeken naar financiële middelen daarvoor. De Liga stelt haar hoop op dat wetenschappelijk onderzoek en werkt mee aan de stimulering ervan om ALS de wereld uit te helpen. Zij bepleit prioritaire steun voor projecten gericht op zeldzame ziekten als ALS en is bereid een rol te spelen in de onderzoekscommunicatie.

3.2. Visie

Om de maatschappelijke rechten en noden van onze pALS optimaal te kunnen behartigen willen wij bekendheid geven aan de ziekte ALS. Wat wij vooral willen verduidelijken is de dramatische impact van ALS op onze pALS: de snelheid waarmee de ziekte toeslaat, de korte levensduur die de zieke nog rest met een drastisch verlies van levenskwaliteit en bijna steeds in het volle besef van de eigen aftakeling. Regelmatig kiezen de pALS dan zelf voor een vervroegd levenseinde. Die harde realiteit is voor ons een sterk argument bij het aanspreken van het grote publiek om respect af te dwingen. Als niet-gesubsidieerde vzw proberen wij op die manier middelen in te zamelen om onze eigen werking te financieren en om wetenschappelijk onderzoek te helpen mogelijk maken. Onze eigen werking bevat naast informatie en morele steunverlening ook de kosteloze uitlening van gespecialiseerde hulpmiddelen die onze pALS bijstand bieden bij hun spraakmoeilijkheden, bij hun bewegingsproblemen na verlammingen of bij hun dagelijkse verzorging.

Op het vlak van wetenschappelijk onderzoek steunen wij de activiteiten van de Belgische wereldvermaarde onderzoekers. Hun ultieme uitdaging is het ontdekken van de ontbrekende sleutel om het raadsel van ALS op te lossen. Met hun onderzoek zoeken zij ook naar middelen om de overlevingskansen van pALS te doen toenemen. In het verlengde daarvan ligt er voor ons nog een actieve rol weggelegd in de onderzoekscommunicatie naar patiënten. Via het bevorderen van hoogstaand wetenschappelijk onderzoek naar ALS willen wij meewerken aan een zo spoedig mogelijke oplossing voor de ziekte. Immers, tot op heden is de oorzaak van ALS nog niet bekend, en evenmin is er op dit moment een afdoende behandeling of een preventiemethode voorhanden. De ALS Liga bepleit daarom bij regionale en federale overheden de noodzaak om meer financiële middelen vrij te maken om Belgische onderzoekers uit zowel universiteiten, universitaire ziekenhuizen als industrie toe te laten onderzoeksprojecten versneld uit te voeren. De ALS Liga onderschrijft daarbij de recente initiatieven voor stimulatie van biomedisch onderzoek in zijn totaliteit die door diverse regeringen werden genomen. Wij zien het evenwel als onze taak om bij de financierders van onderzoeksgelden te pleiten voor het hanteren van minder stringente selectiecriteria voor projecten gericht op zeldzame ziekten, in het bijzonder ALS. Onze vereniging wil daarnaast een nog actievere rol vervullen in onderzoekscommunicatie naar patiënten. We bepleiten daartoe bij de diverse financiers van onderzoek de aanvaarding van patiëntenorganisaties als uitvoerder van werkpakketten rond onderzoekscommunicatie binnen onderzoeksprojecten, met toegang tot een bijhorend budget.

Hoofdstuk 4: Eredoctoraat voor de ALS Liga

Trefpunt Zelfhulp bestaat dertig jaar en dat werd op vrijdag 26 oktober 2012 gevierd. Als blijk van bijzondere waardering kreeg de ALS Liga die dag een eredoctoraat van de Faculteit Sociale Wetenschappen. Ook prinses Mathilde was op deze viering aanwezig. Annemie Vandermeulen: "Er zijn heel grote groepen, met 24000 leden en ook heel kleine, soms tijdelijke initiatieven." Al die verenigingen kunnen bij Trefpunt Zelfhulp terecht voor vorming, begeleiding en advies.

De viering werd ingeleid door professor Koen Matthijs, voorzitter van het trefpunt. Hij noemde lotgenotencontact 'de best denkbare steun'. "Het zijn lotgenoten die goed weten dat een probleem vaag kan beginnen, maar pijnlijk scherp kan eindigen. Het zijn zij die vanuit de buik weten hoe de zaken in elkaar zitten, hoe je ermee kan omgaan, hoe je het kan beheersen." Emeritus professor Yvo Nuyens die Trefpunt Zelfhulp in 1982 oprichtte, lichtte vervolgens de ontstaansgeschiedenis toe.

Na een voordracht en in de middag een groepsgesprek waar besproken werd welke accenten het Trefpunt in de toekomst zou moeten leggen, reikte Minister Joke Schauvliege samen met Vicerektor Filip Abraham het eredoctoraat uit. Voor de eerste keer werd deze niet aan één maar verschillende vertegenwoordigers van meerdere groepen uitgereikt, waaronder de ALS Liga.

Wij danken het trefpunt voor hun advies en ondersteuning sinds het ontstaan van de Liga, nu bijna achttien jaar geleden, en het goede contact met Peter Gielen en zijn medewerkers. Evy Reviërs nam in naam van de Liga en alle vrijwilligers de erkenning graag in ontvangst.



Hoofdstuk 5: Activiteiten

5.1. Intern

Aantal vergaderingen plaatsgevonden in het jaar 2012:

- Vergaderingen Raad van Bestuur ALS Liga:
- Vergaderingen Raad van Bestuur ALS DAN:
- Vergadering Raad van Bestuur M&D:
- AV van ALS DAN, ALS Liga en Mobility & Digitaltalk:

5.2. Extern

De vzw ALS Liga heeft een voortdurende nood aan financiële middelen om haar dagelijkse werking mogelijk te kunnen maken. Daarom vragen wij steeds opnieuw hulp van derden: van vrijwilligers die ondersteunende taken willen uitvoeren en van individuele geldschietters die ons een duwtje in de rug willen geven. Wij ontvangen immers geen structurele overheidssubsidie, zodat wij beroep doen op giften van bedrijven, service clubs en van andere individuen met een groot hart voor ons. Die financiële steun helpt ons om specifieke communicatie apparatuur te kopen waarmee wij onze patiënten kunnen helpen het verlies van hun uitdrukkingsvermogens ietwat te compenseren.

Maar daarnaast kunnen wij nog zoveel meer bedenken om het leven met ALS leefbaarder te maken, indien wij maar wat meer middelen zouden kunnen aanwenden. Om ook die dromen waar te maken zoeken wij gulle schenkers die financiële middelen aanreiken of logistieke steun bieden of persoonlijke vaardigheden inzetten. Want laat ons niet vergeten dat er ook een ultieme droom is, namelijk het vinden van een medisch antwoord: de genezing van de nu nog steeds ongeneeslijke ziekte ALS. Alleen hooggespecialiseerd onderzoek kan daarvoor zorgen, en om dat mogelijk te maken willen wij ook middelen vergaren.

Activiteiten in 2012

4 februari 2012: Bonzaï Kortenberg

In aanloop voor hun vormsel werd tijdens het Bonzaï-weekend in januari aan de jongeren van Kortenberg gevraagd om voorstellen te doen voor de 'goede doel verkiezing'. Voor het gekozen project werd er, net zoals de voorbije jaren, tijdens de vormselviering geld ingezameld. Het is een van de manieren waarop deze jongeren hun engagement voor anderen concreet willen maken. Er werd gekozen voor de ALS Liga, voorgesteld door Jens, wiens grootvader Lux Six aan ALS overleed. Lode Quintens kwam hierover op het einde van de viering nog een korte toelichting en warme getuigenis geven. De ALS Liga mocht een mooi bedrag in ontvangst nemen.

4 februari 2012: Scala in de opera Gent

Op 4 februari ging het spektakel 'Scala in de Opera Gent' door. Dit concert werd georganiseerd door de 'Rotary Club' Deinze. Buiten de klassieke nummers brachten de 25 zangeressen ook nummers van gekende pop- en rocksongs. Het succes was overweldigend en de zaal was totaal uitverkocht. Een geweldige stimulans voor de ALS Liga was de toespraak die werd gehouden door Europees President Herman Van Rompuy. De opbrengst ging integraal naar de ALS Liga.

7 februari: Kaartavond te Loppem

Reeds voor de 9de maal werd er een kaartavond georganiseerd door de familie Lakière ten voordele van de ALS Liga. Er was een mooie tombola met als hoofdprijs een hesp van 7 kg. Na de tombola werd een woordje van dank uitgesproken in naam van de ALS Liga.

28-29 april, 5 mei 2012: Toernooi georganiseerd door basketbalclub Makeba te Brasschaat

Voor de derde maal organiseerde de basketbalclub Makeba in de Sporthal Mariaburg te Brasschaat een toernooi waarvan de opbrengst naar de ALS Liga gaat. Er vonden twee demonstratiewedstrijden plaats van oud-spelers en er werd een wereldrecordpoging 'popcorn shoot-out' gehouden, een wedstrijd in het nemen van vrijwerpen. Deze actie werd mee ondersteunt door de Antwerp Giants. Dit evenement wordt jaarlijks door de club georganiseerd, als waardering voor hun basketbalcoach Eddy Rillaerts, waarbij drie jaar geleden de erfelijke vorm van ALS werd vastgesteld.

16 mei 2012: Muzikaal entertainment in GC Den Hoek te Kortenen

Een avond met muzikaal entertainment door Jan Kerckhofs, Jan Haesevoets, Stéphanie Onclin (deelnemster The Voice van Vlaanderen), Steffi Vertriest, Eva Blom en Saartje Polleunis.

23 mei 2012: Nice Guys en Friends

Deelname aan de triathlon in Mallorca voor 'Een hart voor ALS' van pALS Alain Verspecht. Opbrengst is ten voordele van de ALS Liga.

15 juni 2012: Old Pulteney 1997 ten voordele voor ALS Liga.

21 juni 2012: Werelddag ALS

Verschillende vrijwilligers van de ALS Liga vatten post in het Centraal Station van Brussel, deelden pins en flyers uit aan de voorbijgangers en gaven, indien gevraagd, wat meer uitleg over deze dodelijke spierziekte. We hadden hierbij ook de aanwezigheid van pers en media. Het doel van deze jaarlijkse werelddag is meer bekendheid te geven aan deze verschrikkelijke ziekte.

21 juni 2012 – 11 november 2012: Campagne AB

Start van een campagne gevoerd door de AB ten voordele van de ALS Liga. De actie bestond erin het statiegeld van de herbruikbare bekens dat het publiek niet terugvorderde te schenken aan het project 'A Cure for ALS'.

22 juni 2012: Groot pétanquetornooi 'De Langste Dag' te Brugge-Koolkerke

Pétanquetornooi met randanimatie te Brugge op de vernieuwde terreinen aan de pastorie ter Arendstraat. Het is reeds het vijfde jaar op rij dat het Feestcomité van Koolkerke de Liga financieel ondersteunt. Het pétanquetornooi werd gehouden tijdens het jaarlijkse kermisweekend en werd een groot succes.

10 augustus 2012: Dodentocht te Bornem voor het goede doel

De Goededoelstappers uit Erpe-Mere wandelden dit jaar de 100km dodentocht ten voordele van de ALS Liga. Het was de bedoeling dat zoveel mogelijk wandelaars zich per kilometer lieten sponsoren. Ze verschenen met 22 deelnemers en 19 ervan behaalden de finish.

10-11 augustus 2012: 100 km te Bornem door Gerd en Hilde Potom

Op 10 augustus 2012 gingen de zusjes Gerd en Hilde Potoms de uitdaging aan om de 100 km van Bornem uit te stappen. Hun bedoeling hiermee was de ALS Liga te

steunen en hun schoonbroer Kris en zus Lin een hart onder de riem te steken.

18 augustus 2012: 6^{de} Memorial Hedwig Debusscher Classic te Klerken

Op zaterdag 18 augustus 2012 organiseerden 'WTC De Heuvelrijders Klerken' de 6^{de} Memorial Hedwig Debusschere Classic. Deze fietstocht startte aan het Heuvelhuis, recht tegenover de kerk van Klerken. Er was voor elk wat wils. Er kon gekozen worden voor een gezinstocht van 30 km, een fietstocht van 60 km of een fietstocht van 115 km.

27-31 augustus 2012: Actie door AB tijdens festivals 'Boterhammen in het Park' en 'Feeërieën'

Tijdens hun jaarlijkse festivals 'Boterhammen in het Park' en 'Feeërieën', stelt de AB telkens een goed doel in de kijker. Dit jaar was de ALS Liga in de aandacht gekomen. De campagne werd gevoerd vanaf 21 juni, werelddag ALS, tot 11 november 2012, zowel aan de togen van de AB als tijdens deze twee festivals. De actie bestond erin geld bijeen te zamelen ten voordele van de ALS Liga. Het statiegeld van de herbruikbare bekertjes dat het publiek niet terugvorderde werd geschonken aan het project 'A Cure for ALS'.

1 september 2012: Fietstocht Steenbrugge (Assebroek)

2^{de} fietsrit ter nagedachtenis van Eric Lakière.

4 september 2012: Reünie cafébazen te Heultje

De voormalige cafébazen van cafés De Welkom, Hof Ter Linden en De Bichtstuul en de voormalige medewerkers kwamen samen in de fanfarezaal voor een reünieavond en er werd geld in het laatje gebracht voor de ALS Liga. Tijdens de samenkomst werd ook stilgestaan bij het overlijden van Gerry Dens die in 2007 om het leven kwam na een ongeval.

6 september 2012 : Dessertenbuffet Antwerpen

Veerle Jacobs, een oud-collega van ALS-patiënt Eddy Rillaerts, bedacht het leuke initiatief om in het Provinciaal Instituut voor Hygiëne te Antwerpen een dessertenbuffet te organiseren ten voordele van de ALS Liga. Een twintigtal collega's reageerden positief op haar oproep en zo werd dan op 6 september 2012 een mooi en lekker dessertenbuffet neergezet. De opbrengst was bestemd voor het MaMuze-fonds.

16 september: Moordspel te Gits, domein Dominiek Savio

Prosa, de vriendenkring van de politiezone Riho, organiseerden een moordspel. Het moordspel omvatte een traject van drie kilometer en onderweg werden toneelstukjes gespeeld en waren er hints te vinden waarmee je de moordenaar kon ontmaskeren, het moordwapen vinden en het motief ontdekken. Aansluitend werd er ook een barbecue georganiseerd.

23 september 2012: Fietstocht in Waarschoot

25 km gezinsvriendelijk fietsen doorheen Waarschoot, samen met de burgemeester, gevolgd door een gastoptreden van Mong Rosseel, ambassadeur ALS Liga. Deze tweede editie was opnieuw een groot succes. Het was een leuke fietstocht met de nodige stops, drankjes, hapjes en muziek.

15,16,19,22,23 september 2012: Open House tentoonstelling te Meerbeek

De aquarellen zijn van aquarellist Andréa Matthijs, die in 2011 overleed aan de ziekte ALS, en waren te bezichtigen in de Dorpsstraat 119A te Meerbeek

- op zaterdag 15 en 22 september
- op zondag 16 en 23 september

- woensdag 19 september
van 14u tot 18u.

De vele tientallen werken namen de benedenverdieping, de slaapkamers en het zolderatelier in beslag. Er was veel belangstelling en vele werken werden dan ook verkocht. De verkoop van de aquarellen was ten voordele van de ALS-liga.

2 oktober 2012: Fietstocht Wardje Snor te Oostkamp

Aan de tweede fietstocht van Wardje Snor namen 38 sportievelingen deel. De tocht werd twee jaar geleden in het leven geroepen door Wardje Snor die in 2000 te horen kreeg dat hij de ziekte van Parkinson heeft en die in 2011 zijn kameraad Eric Lakiere verloor aan de ALS-ziekte.

27 oktober 2012: Benefiet 'Een hart voor ALS' te Kalken

Barbecue, live-optreden en dansfeest, georganiseerd door Alain Verspecht.

28 oktober 2012: Benefietconcert in het Antwerpse Provinciehuis

Voor de derde maal reeds werd een benefietconcert gehouden in het Antwerpse Provinciehuis ten voordele van de ALS Liga. De prachtige locatie werd gratis ter beschikking gesteld voor het benefiet. Het eerste deel van het concert werd verzorgd door het gitaarduo Senza Parole. Marleen en Isabelle trakteerden de aanwezigen op heerlijke Zuid-Amerikaanse muziek. De laatste twee nummers werden zij versterkt door een bevriende gitariste. Tijdens de pauze konden de bezoekers smullen van zelfgemaakte vlaaien en cakes.

Tijdens het tweede deel kwam 't Rio Nova aan bod met Bossa Nova muziek. Ze brachten naast enkele gekende nummers ook eigen composities van Frank De Roeck, bezieler en gitarist van de groep. De gezongen nummers werden door Marleen gebracht in de originele Portugese versie. De talrijke positieve reacties na het concert toonden aan dat het zeer goed was geweest. Dit concert was een initiatief van Eddy en Christel en de opbrengst was ten voordele van de ALS Liga.

13 december 2012: Benefietvoorstelling ten voordele van 'A cure for ALS' te Antwerpen

Scholengroep Antigono, De bühne.be, Theater aan de Stroom presenteren de benefietvoorstelling 'De Parochie van Miserie', met muziek van Wannes Van de Velde.

21 december 2012: Uitreiking cheque 'A Cure for ALS' te Leuven

In het kader van de oproep van het ALS Onderzoeksfonds 2012 – A cure for ALS – werden de projectvoorstellen van Prof. P. Van Damme (UZ Leuven) en Prof. Carmeliet (VIB) financieel ondersteund door de ALS-Liga door uitreiking van twee symbolische cheques ten bedrage van 20.000 euro. De projectvoorstellen van Prof. P. Van Damme en Prof. P. Carmeliet getuigen beide van excellente wetenschappelijke visie en kwaliteit. Deze uitreiking werd feestelijk begeleid door een receptie.

Hoofdstuk 6: Interne en externe communicatie

6.1. Interne communicatie

Ook in 2012 werd er op alle niveaus door de ALS Liga gecommuniceerd. Intern bezorgen wij patiënten die de diagnose ALS krijgen alle informatie. In onze geïnformateerde maatschappij betekent dit gewoonlijk dat ze op het internet zullen gaan zoeken en bij ons terechtkomen.

Aan diegenen die niet over internet beschikken, kunnen wij, op verzoek, een basisinformatiepakket bezorgen.

De leden worden op de hoogte gehouden door middel van het driemaandelijks tijdschrift 'ALS Nieuwsbrief', dat gratis wordt verstuurd. Ook via de website kan alles op de voet gevolgd worden, want deze wordt dagelijks up-to-date gehouden. Om kwalitatieve informatie in te winnen maakt de ALS Liga deel uit van een overkoepelende Internationale Alliantie.

Op regelmatige basis organiseert de Liga contactmomenten waarbij mensen in ontspannen sfeer samengebracht worden. Meer specifiek worden regelmatig praatgroepen ingericht. Hierop worden ook professoren uitgenodigd die dan de laatste stand van zaken toelichten over de ziekte, evenals ambtenaren van de diverse overheden die specifieke informatie verschaffen betreffende terugbetalingen en tegemoetkomingen.

6.2. Externe communicatie

Extern treedt de ALS Liga op als spreekbuis van haar patiënten. Als belangengroep heeft zij slechts één streefdoel : de rechten van haar patiënten optimaal verdedigen.

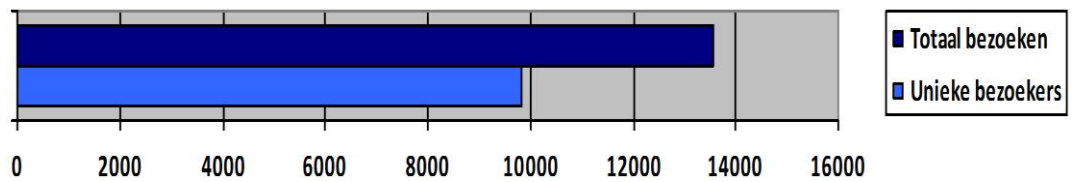
In eerste instantie komt zij op voor die rechten bij diverse instanties en bij de overheid. Het uniek dramatische karakter van de ziekte ALS vraagt om een aangepaste aanpak waarin met de specifieke noden van de patiënt wordt rekening gehouden. De ALS Liga wijst op structurele tekortkomingen van administratieve, financiële, medische en sociale aard waarmee in Koninklijke Besluiten, reglementeringen en controles rekening dient gehouden te worden. De ALS Liga ijvert voor ad hoc conventies en voorzieningen voor haar patiënten.

In tweede instantie tracht de ALS Liga het publiek kennis te doen nemen van het lot van haar patiënten. Zij wil via diverse kanalen kijkers, lezers en luisteraars inlichten over de impact van ALS op een mensenleven. Daarbij aansluitend tracht zij haar werkmiddelen uit te breiden door het inzamelen van fondsen via initiatieven die opvallen bij het grote publiek.

6.2.1. Sociale media

Meer en meer gebruiken we de sociale media. Uit cursussen en vormingsdagen van de overheid leren we dat die communicaties een uitlaatklep zijn voor vrienden onderling. Ook organisaties en overheden zelf stappen mee in deze vorm van communicatie. Doch het gebruik ervan ziet er voor een organisatie als de ALS Liga even anders uit dan voor individuen onderling omwille van het specifieke karakter zoals bv de zware diagnose ALS. We leren uit deze vormingen ook dat de sociale media voor verenigingen die te maken hebben met een diagnose als ALS en dus een grote impact betekenen op het gezinsleven, veel minder impact zullen hebben indien er niet een goede website als fundament bestaat. Op een website kan men zoeken naar de geschikte informatie zonder de eigen privacy en anonimiteit bekend te maken. En dat het werkt tonen de

volgende cijfers aan : de ALS-website wordt per maand gemiddeld tussen de 12000 en 13000 keer bezocht, met pieken van meer dan 1600 bezoekers per dag en bijna 14000 bezoekers per maand (zie grafiek).



Inmiddels is de ALS Liga ook te vinden op Facebook, LinkedIn, Twitter en op Google+. Dit levert de Liga de mogelijkheid om op een gemakkelijke manier in contact te blijven met donateurs en geïnteresseerden.



Tenslotte hebben we nog onze driemaandelijkse ALS Nieuwsbrief, die ook in de externe communicatie een grote rol speelt, vooral voor mensen die niet vertrouwd zijn met het internet, want iedereen die geïnteresseerd is, sturen wij gratis de Nieuwsbrief toe.

Hoofdstuk 7: Onderzoek en fondsen

Alle nieuwe ontwikkelingen inzake onderzoek betreffende de ziekte ALS vindt u op de website van de ALS Liga. Ongetwijfeld is dit het belangrijkste en meest bezochte onderdeel van de site. Hierop dringen zich regelmatig aanpassingen op en worden nieuwe ontwikkelingen getoond. Voortdurend doen er zich immers onderzoeken voor over de ganse wereld en komen er nieuwe studies.

Van zodra wij hier meer gegevens over ontvangen worden deze onmiddellijk aan dit thema toegevoegd. Want er wordt wel degelijk hard gezocht en gewerkt om aan deze vreselijke aandoening zo snel als mogelijk een halt toe te roepen.

Ook in de nieuwsbrief verschijnen er regelmatig artikels over nieuwe ontwikkelingen in het onderzoek betreffende de ziekte ALS. Het onderzoeksteam van de KULeuven, onder leiding van Prof. Robberecht, werkt in hun onderzoek voor het ogenblik met enkele diermodellen. Onderstaand artikel verscheen in nieuwsbrief 155.

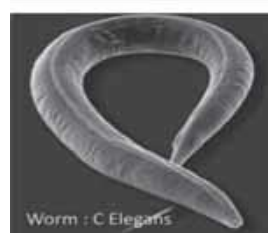
DIERMODELLEN VOOR ONDERZOEK NAAR HET MECHANISME EN BEHANDELING VAN DE ZIEKTE ALS

Er is een verrassend grote variabiliteit in ALS. Sommige mensen krijgen de ziekte op jonge leeftijd, andere op latere leeftijd. Soms verloopt de ziekte erg agressief, dan weer vrij mild. Zelfs tussen patiënten met ALS uit dezelfde familie zijn deze verschillen erg groot. Het is erg belangrijk te ontdekken waarop deze verschillen gebaseerd zijn. Immers, als we zo'n factoren met een geneesmiddel zouden kunnen beïnvloeden, kunnen we misschien de ziekte tegenhouden, zelfs zonder de precieze oorzaak te kennen.



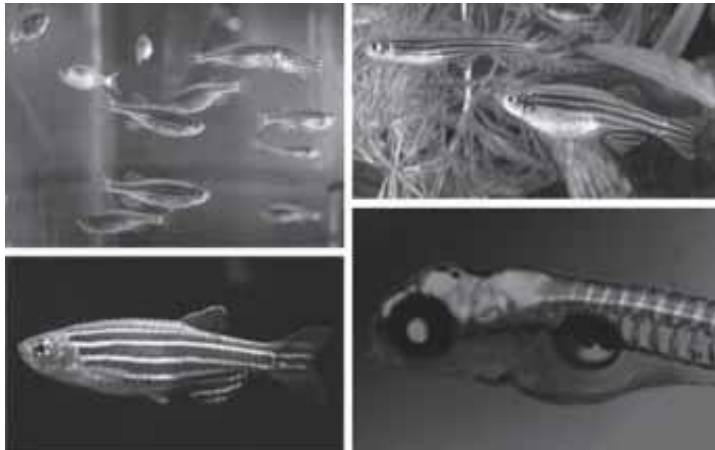
Het meeste onderzoek gebeurt aan de hand van muizen en in mindere mate ratten, die een stuk erfelijk materiaal hebben ingeplant gekregen dat ALS veroorzaakt (een abnormale vorm van SOD1) bijvoorbeeld). De ziekte die deze dieren ontwikkelen is inderdaad erg gelijkend op ALS bij de mens, al zijn er wel een aantal lastige verschillen. Veel onderzoeksvragen kunnen evenwel aan de hand van deze proefdieren aangepakt worden, maar voor sommige problemen zijn muizen en ratten minder geschikt. Daarenboven verloopt het ziekteproces te traag. Het duurt namelijk een half jaar tot een jaar vooraleer deze dieren ziek worden en heeft men een groot aantal dieren nodig.

Daarom trachten de onderzoekers diermodellen te ontwikkelen die goedkoop en gemakkelijk te manipuleren zijn. Sommigen hebben een model in de vlieg ontwikkeld, anderen hebben wormen en gisten gebruikt.



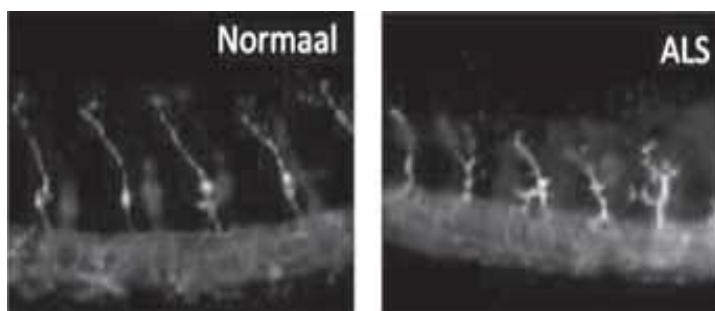
Zebrawis als uniek model in onderzoek voor ALS

Het team van Wim Robberecht heeft gekozen om een model in de vis te ontwikkelen, omdat vissen dieren zijn met een zenuwstelsel dat in feite erg lijkt op dat van de mens. Zebrawissen zijn klein en hun zenuwstelsel is goed bestudeerd. De afwijkingen van de motorische zenuwen veroorzaakt door ALS-genen in de vis tot expressie te brengen zijn gemakkelijk te kwantificeren.



In de vis kan men snel en efficiënt de interactie tussen de factoren onderzoeken die een rol spelen bij ziekten van het zenuwstelsel. Zo kon in het laboratorium de invloed van progranuline en vascular endothelial growth factor (VEGF) op de nadelige effecten van erfelijke afwijkingen in SOD1 en TDP-43 worden nagegaan. Dit is belangrijk omdat VEGF momenteel als mogelijk geneesmiddel voor ALS wordt

onderzocht.



In het zebravismodel speuren de wetenschappers ook naar genen die de ziekte verergeren of beter maken. Prof. Annelies Van Hoecke, Wim Robberecht en co. identificeerden de receptor EphA4 als genetische factor die het ALS-ziektebeeld bij de zebrawis wijzigt. Het uitschakelen van deze receptor bij deze dieren leidt tot

het verdwijnen van de ziekte, en in muismodellen leidt het blokkeren ervan tot een duidelijke verbetering van de levensverwachting. Daarenboven toont hun onderzoek aan dat er bij ALS-patiënten een relatie is tussen expressie van de receptor EphA4 en de ernst van de ziekte. ALS-patiënten die deze receptor slechts in beperkte mate tot expressie brengen, ontwikkelen de ziekte pas later en hebben een betere levensverwachting tegenover ALS-patiënten die veel van deze receptor aanmaken. Bovendien vonden ze dat EphA4 verhindert dat zenuwcellen reculeren van schade, en dat net die cellen die erg gevoelig zijn aan ALS veel van deze receptor tot uiting brengen. Deze studie is veelbelovend en bewijst dat kleine modelorganismen zoals de zebrawis waardevol kunnen zijn in de zoektocht naar een therapie voor ALS. Het toont ook dat moleculen die essentieel zijn voor de ontwikkeling van het zenuwstelsel ook een rol kunnen spelen in het ontstaan van neurodegeneratieve aandoeningen op volwassen leeftijd. Verder suggereren de resultaten dat het blokkeren van EphA4 een invloed heeft op het ziekteverloop van ALS, zodat deze receptor een doelwitmolecule kan zijn voor een toekomstig ALS-geneesmiddel. Er is natuurlijk nog een hele weg af te leggen vooraleer zo'n geneesmiddel bij patiënten kan worden gebruikt.

Het is natuurlijk van het grootste belang om telkens men iets gevonden heeft in de vis, na te kijken of de gevonden afwijkingen ook in de muis of de rat een rol spelen, en uiteraard moet uiteindelijk datgene dat in deze modellen bevestigd wordt, ook nagekeken worden bij de mens. Vandaar dat de medewerking van patiënten aan het wetenschappelijk onderzoek zo essentieel is. In een recent onderzoek hebben we daarom bestudeerd of die factoren die bij de vis de ALS-afwijkingen 'corrigeren', dat ook bij de muis doen. Door het gen van één van deze factoren in de muis uit te schakelen,

hebben we inderdaad kunnen aantonen dat de effecten gevonden in de vis evenzeer gelden in de muis. Interessant genoeg blijkt uit de resultaten van onderzoek bij de mens dat de gevonden factor een rol speelt in het bepalen van de leeftijd waarop ALS zich manifesteert, en blijkt hij bovendien van invloed te zijn op de agressiviteit van de ziekte. In lopend onderzoek in de muis en rat trachten ze na te gaan of geneesmiddelen die deze factor beïnvloeden, ook het ziekteverloop kunnen veranderen.

ANDERE MODELLEN

Er zijn nog andere modellen voor ALS. Zo gebeurt ook interessant onderzoek aan de hand van motorische neuronen en hun steuncellen die in een schaalpje in het laboratorium gekweekt worden. Echter, ook die cellen zijn afkomstig van ratten en muizen. Recent onderzoek toont echter aan dat we (huid) cellen van ALS-patiënten kunnen reprogrammeren zodat ze motorische neuronen gaan vormen. Het is nog onzeker of deze gereprogrammeerde cellen van ALS patiënten iets over ALS zullen leren, maar vele onderzoekers hebben hun hoop hierop gesteld. Het zou in alle geval een mooie methodologische stap vooruit zijn, moesten we deze cellen als modellen kunnen gebruiken.

Geen enkel van de besproken modellen is ideaal, allemaal hebben ze voor- en nadelen. Het vissenmodel heeft het voordeel dichter bij de mens te staan dan de vlieg, worm of gist, en een 'levend' model te zijn. Het heeft het nadeel dat onderzoekers over aquaria moeten beschikken en een hoogkwalitatief verversingssysteem moeten installeren. Gelukkig zijn die beschikbaar door de inspanningen van de KU Leuven en van het Vlaams Instituut voor Biotechnologie (VIB). De ALS Liga draagt via haar fonds 'A cure for ALS' in belangrijke mate bij tot dit onderzoek door financiële steun waarmee aquaria zijn aangekocht om dit onderzoek mogelijk te maken. Het laboratorium neurobiologie is de ALS Liga en alle patiënten bijzonder dankbaar voor deze bijdrage.

Dit onderzoek werd ook nog gefinancierd door Thierry Latran Foundation for ALS research, de Association Belge contre les maladies neuromusculaires, IUAP, FP7, Packard Center for ALS Research en het FWO.

7.1. Steunfonds 'A cure for ALS'

We zien het als onze opdracht om bij overheden te pleiten om meer financiële middelen vrij te maken om wetenschappers toe te laten hun onderzoek versneld uit te voeren. Daarbij dringen we aan op het hanteren van minder strenge selectiecriteria voor projecten gericht op zeldzame ziekten, in het bijzonder ALS.

Bovendien wenst de ALS Liga België een actieve bijdrage te leveren aan de versnelling van het wetenschappelijk onderzoek naar ALS door fondsen ter beschikking te stellen van onderzoekers die zich in België specifiek toeleggen op deze ziekte.

Als ethische fondsenwerfers hebben wij besloten om de gelden die wij bij het publiek inzamelen voor steun aan wetenschappelijk onderzoek onder te brengen in het ALS-onderzoeksfonds. Daardoor garanderen wij onze schenkers een correcte bestemming van de opgehaalde financiële steun. Onder het globale motto '**A cure for ALS**' worden de giften vanuit dat ALS-onderzoeksfonds in de Kerstperiode uitgereikt aan de verkozen bestemming. Afhankelijk van de hoeveelheid ingezamelde fondsen hoopt de ALS Liga deze ondersteuning jaarlijks te kunnen toekennen.

In het kader van het ALS Onderzoeksfonds – A cure for ALS 2012 – besloot de ALS Liga de projectvoorstellen van Prof. P. Van Damme (UZ Leuven) en Prof. Carmeliet (VIB) te steunen door uitreiking van twee symbolische cheques ten bedrage van 20.000 euro. Beide projectvoorstellen getuigden van excellente wetenschappelijke visie en kwaliteit.

Een cheque van €20.000 werd uitgereikt aan Prof. Philip Van Damme voor zijn onderzoek het verband tussen TDP-43 en progranuline in detail bestuderen als

pre-klinische behandeling (in muis en rat) voor ALS met TDP-43 pathologie valideren.

Een tweede cheque van €20.000 werd uitgereikt aan Prof. Peter Carmeliet die een nieuwe neuroprotective behandeling PHD1 opstart die de rol en het therapeutisch potentieel van zuurstof sensoren (PHD1, 2 en 3) in ALS ontrafelen. Omdat effectieve therapieën die ALS genezen momenteel ontbreken. Het gaat om een selectieve PHD1-inhibitor te ontwikkelen als innovatieve therapeutische molecule tegen ALS.

Deze feestelijke uitreiking, met aanwezigheid van pers en media, vond plaats te Leuven op 21 december 2012, in de hoofdzetel van de Liga.

De rol van progranuline in Amyotrofische Laterale Sclerose

Philip Van Damme, Dienst neurologie UZ Leuven, labo neurobiologie KU Leuven, Vesalius Research Center, VIB, Leuven.

De afgelopen jaren is er een enorme vooruitgang geboekt in de kennis van de neuropathologie en genetica van Amyotrofische Laterale Sclerose (ALS). Het is ook duidelijk geworden dat er een verband bestaat met een andere neurodegeneratieve aandoening, frontotemporale kwabdegeneratie (FTLD).

Bij ALS wordt vooral het motorisch systeem getroffen, met neurodegeneratie van hoger motorneuronen in de motorische hersenschors en van lager motorneuronen in de hersenstam of het ruggenmerg. Als gevolg hiervan treedt er een progressieve spiervlamming op die bij de meeste patiënten fataal wordt 2 tot 5 jaar na het ziektebegin ¹. FTLD is een neurodegeneratieve aandoening van de frontale en temporale hersenkwabben met taalstoornissen of persoonlijkheids- of gedragsveranderingen tot gevolg ².

Beide neurodegeneratieve aandoeningen komen familiaal voor in een deel van de patiënten (~10% bij ALS, ~30% bij FTLD). Bij de meerderheid van de patiënten, echter, is er niemand anders in de familie met een dergelijke aandoening; men spreekt dan van 'sporadische' ALS of FTLD. Mutaties in *superoxide dismutase 1* (*SOD1*) en *C9orf72* zijn de meest frequente oorzaak van familiale ALS, en die veroorzaken respectievelijk 20 en 50%³⁻⁵ van de gevallen. Minder frequent komen mutaties voor in *TARDBP* of *FUS*, die coderen voor de DNA/RNA bindende eiwitten TDP-43 ^{6,7} en FUS ^{8,9}. Bij familiale FTLD zijn mutaties in *tau* (*MAPT*) ¹⁰, *progranuline* (*GRN*) ^{11,12} of opnieuw *C9orf72* ^{4,5} de meest frequente oorzaak.

Hoewel ALS en FTLD op het eerste gezicht erg verschillende aandoeningen zijn, blijken ze toch gelijkenissen te vertonen. Men onderscheidt klinische, genetische en neuropathologische kenmerken die wijzen op een verband tussen beide ziekten.

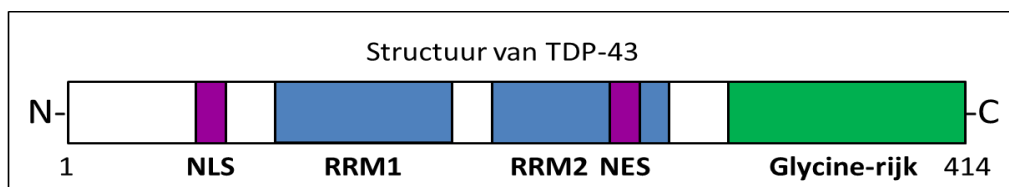
De meest markante klinische uiting van het verband tussen ALS en FTLD is het gelijktijdig voorkomen van beide aandoeningen bij sommige patiënten. Minder opvallende tekens van frontotemporale aantasting bij patiënten met ALS of van motorneuronlijden bij patiënten met FTLD komen veel vaker voor ¹³. De link tussen ALS en FTLD wordt bevestigd door het bestaan van gen mutaties die zowel ALS als FTLD kunnen veroorzaken. Mutaties in het gen dat zorgt voor de aanmaak van TDP-43 veroorzaken meestal ALS, maar komen ook voor in zeldzamen ALS-FTLD patiënten ¹⁴. Het omgekeerde is waar voor *GRN* mutaties: ze veroorzaken typisch FTLD, maar komen ook zeldzaam voor bij patiënten met ALS of ALS-FTLD ¹⁵⁻¹⁷. Het meest recent ontdekte gen, *C9orf72*, bevestigt de genetische verwantschap tussen ALS en FTLD en is meteen de meest frequente oorzaak van familiale ALS, ALS-FTLD en FTLD ^{4,5}. Bij neuropathologisch onderzoek van de hersenen of het ruggenmerg na het overlijden van patiënten met ALS of FTLD zijn eiwitinclusies in neuronenv zichtbaar. Bij de meeste patiënten met ALS en meer dan de helft van de patiënten met FTLD bevatten deze de eiwitten TDP-43 en ubiquitine. Ook patiënten met mutaties in *TARDBP*,

C9orf72 en *GRN* bevatten dergelijke TDP-43 inclusies¹⁸. Hoe de neerslag van het eiwit TDP-43 precies aanleiding geeft tot neurodegeneratie is nog niet goed geweten, maar de vele gelijkenissen tussen ALS en FTLD suggereren dat dezelfde ziektemechanismen hier een rol spelen. In tabel 1 wordt een overzicht van de belangrijkste genen en hun klinische uiting en neuropathologische kenmerken gegeven.

Tabel 1 Samenvatting van de meest voorkomende genmutaties bij ALS en FTLD

Gen naam	Klinische uiting	Neuropathologie	Referenties
<i>SOD1</i>	ALS	Ubiquitin, SOD1	3
<i>C9orf72</i>	ALS, FTLD, ALS/FTLD	Ubiquitin, TDP-43	4, 5
<i>TARDBP</i>	ALS, (FTLD, ALS/FTLD)	Ubiquitin, TDP-43	6, 7, 14, 19, 20
<i>FUS</i>	ALS, (FTLD, ALS/FTLD)	Ubiquitin, FUS	8, 9, 21
<i>VCP</i>	ALS, FTLD, ALS/FTLD	Ubiquitin, TDP-43	22, 23
<i>ANG</i>	ALS, (ALS/FTLD)	?	24, 25
<i>VAPB</i>	ALS	?	26
<i>OPTN</i>	ALS	OPTN	27
<i>UBQLN2</i>	ALS, (ALS/FTLD, FTLD)	Ubiquitin, TDP-43, FUS, UBQLN2, OPTN	28
<i>PFN1</i>	ALS	?	29
<i>MAPT</i>	FTLD, (ALS)	tau	10, 30
<i>GRN</i>	FTLD, (ALS/FTLD)	Ubiquitin, TDP-43	11, 12, 15
<i>CHMP2B</i>	FTLD, (ALS)	Ubiquitin	31, 32

TDP-43 is een DNA/RNA bindend eiwit dat een belangrijke rol speelt in het overschrijven van DNA in boodschapper RNA en in de maturatie van dit boodschapper RNA. Voor deze belangrijke functie dient het zich in de celkern te bevinden. Onder bepaalde omstandigheden kan het eiwit zich echter ook uit de kern naar het cytoplasma verplaatsen. TDP-43 bevat 2 RNA-bindende domeinen, alsook een motief om in en uit de celkern te kunnen migreren. Een glycine-rijk deel van het eiwit, aan het uiteinde gelegen, is belangrijk voor de interactie met andere RNA-bindende eiwitten. In deze regio bevinden zich de meeste mutaties die ALS veroorzaken. De structuur van TDP-43 staat afgebeeld in figuur 1.

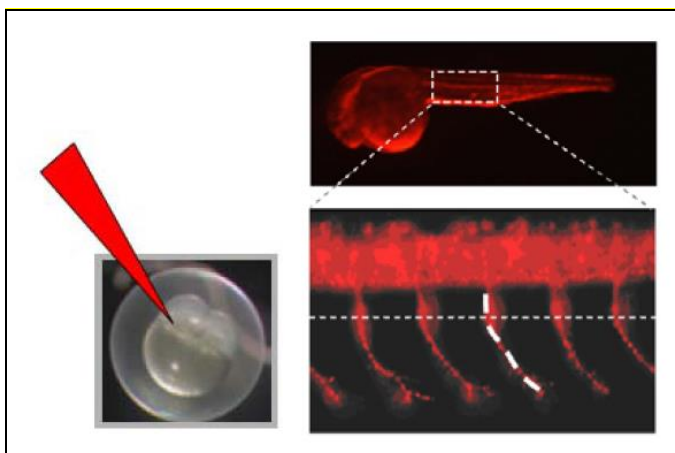


Figuur 1 Structuur van het TDP-43 proteïne.

Afkortingen: NLS nucleair localisatie signaal, RRM RNA recognitie motief, NES nucleair export signaal

Onder pathologische omstandigheden wordt het eiwit overmatig gefosforyleerd, gesplitst en slaat het neer in cytoplasmatische inclusies¹⁸. Het is nog onduidelijk of het vooral een tekort aan TDP-43 in de celkern, dan wel de neerslag van TDP-43 in het cytoplasma de neuronale toxiciteit medieert. Zowel het verhogen als het verlagen van de levels van TDP-43 lijkt toxisch te zijn voor neuronen³³⁻³⁷. Een

van de erfelijke aandoeningen met TDP-43 inclusies is FTLD veroorzaakt door progranuline (*GRN*) mutaties. Progranuline is een groeifactor die de overleving van neuronen en de uitgroei van uitlopers van neuronen stimuleert³⁸. Mutaties die de expressie van progranuline verminderen zijn een belangrijke oorzaak van familiale FTLD^{38, 39}. Een tekort aan progranuline (men spreekt van haploinsufficiëntie, het tekort wordt veroorzaakt door disruptie van één van beide allelen van het progranuline gen) wordt geacht de boosdoener te zijn. Bij patiënten met dergelijke progranuline deficiëntie vindt men ook de typische cytoplasmatische TDP-43 inclusies terug, maar het verband tussen beiden is onopgehelderd. Naast de associatie van een tekort aan progranuline met TDP-43 pathologie, zoals ook bij ALS gezien wordt, zijn er nog verschillende andere redenen die het plausibel maken dat progranuline ook een rol in ALS speelt. In zeldzame ALS-patiënten worden puntmutaties in *GRN* gevonden en bepaalde polymorfismen in *GRN* zijn geassocieerd met een vroegere beginleeftijd en kortere ziekteduur in patiënten met sporadische ALS^{17, 40}. Bovendien is progranuline waarschijnlijk ook betrokken in de neuroinflammatoire reactie in ALS aangezien het in hoge levels aangemaakt wordt door reactieve microglia in ALS⁴¹. Aangezien een tekort aan progranuline kan aanleiding geven tot TDP-43 aggregatie bij patiënten met *GRN* mutaties is het goed mogelijk dat het ook van belang is bij andere aandoeningen met TDP-43 accumulatie. Bovendien is er een directe interactie tussen beide molecules. Het eerste RNA-bindende domein van TDP-43 (RRM1) bindt aan het boodschapper RNA van progranuline met versnelde afbraak van dit RNA species tot gevolg^{42, 43}. Bovendien zijn er aanwijzingen dat een tekort aan progranuline leidt tot caspase-afhankelijke afbraak van het TDP-43 eiwit met cytoplasmatische accumulatie TDP-43^{44, 45}. In verkennende experimenten hebben we gebruik gemaakt van een zebravismodel om na te gaan of progranuline gunstige effecten op uitoeft. In zebraisembryo's kan met genen tot expressie brengen door direct het boodschapper RNA te injecteren in bevruchte eicellen (2-4 cellig stadium). Genen uitschakelen kan met door op dezelfde wijze morfolino's (oligonucleotiden die het overschrijven van RNA naar eiwit van specifieke genen verhinderen) te injecteren. De toxiciteit van bepaalde moleculen wordt in dit model gemeten aan de hand van het effect dat ze hebben op de uitgroei van motorische axonen uit het ruggenmerg van deze visjes. In figuur 2 staat afgebeeld hoe de bevruchte eicellen geïnjecteerd worden en hoe een kleuring met SV-2 (in rood) toelaat de uitgroei van motorische axonen te kwantificeren ongeveer 30 uur na injectie (stippellijn). Dit model heeft zijn waarde reeds bewezen en lijkt een goede manier om factoren die het ziektebeloop bij ALS kunnen beïnvloeden uit te testen⁴⁶.



Figuur 2 Zebravismodel van motorneurontoxiciteit

De injectie van bevruchte eicellen van zebrafish met RNA of morfolino laat toe het effect van overexpressie of knockdown van bepaalde genen op de uitgroei van motorische axonen te evalueren.

Het effect van progranuline op de toxiciteit geïnduceerd door mutant SOD1, TDP-43 en door een tekort aan progranuline werd nagekeken. Zowel een tekort aan progranuline, als een overexpressie van mutant SOD1 of TDP-43 gaf aanleiding tot een verstoring van de axonale uitgroei. Het toevoegen van progranuline had enkel een gunstig effect op het phenotype veroorzaakt door progranuline-deficiëntie en op dat van mutant TDP-43⁴⁷. Progranuline had geen gunstig effect op de SOD1-afhankelijke toxiciteit. Dit suggereert dat progranuline enkel een gunstig effect heeft op vormen van neurodegeneratie met TDP-43 pathologie en deze bevindingen vormen de basis voor het verdere onderzoek naar de relatie tussen progranuline en TDP-43 in het ontstaan van ALS.

Bijkomende experimenten, mogelijk gemaakt door de financiële steun van de ALS Liga, zullen het verband tussen TDP-43 en progranuline verder verduidelijken en zullen het therapeutisch potentieel van progranuline in ALS bestuderen.

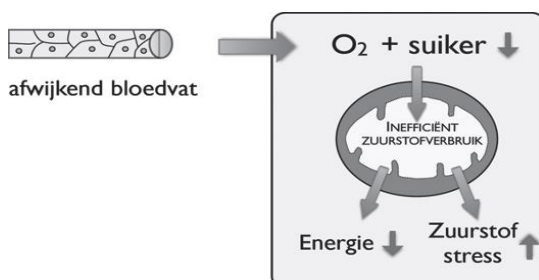
Bloedvaten en stofwisseling: waarom zuurstof belangrijk is in ALS

Annelies Quaegebeur, Peter Carmeliet, Vesalius research center, VIB, Leuven
Laboratory of neurobiology, KU Leuven

Reeds lange tijd is het geweten dat het zenuwstelsel veel zuurstof en suiker nodig heeft. Toch is het opvallend weinig begrepen waarom deze behoefte in zenuwcellen zo groot is en op welke manier deze voedingsstoffen verwerkt worden. Meer nog, hoe dit suiker- en zuurstofverbruik precies verstoord geraakt in ziekten zoals ALS en hoe een nieuw geneesmiddel hiermee zou kunnen interferen is nog veel minder gekend.

Alle cellen van ons lichaam hebben zuurstof en suikers (of andere voedingsstoffen) nodig om hun complexe taken te volbrengen. Een netwerk van bloedvaten voert de nodige zuurstof en suikers naar iedere cel. In de cel worden deze omgezet naar energie, een proces dat in motorische zenuwcellen voornamelijk gebeurt in de mitochondriën. Deze laatste kunnen dan ook beschouwd worden als de energiefabriekjes van de motorische neuron.

Het spreekt voor zich dat de aanvoer van zuurstof en suiker via het bloed aangepast moet zijn aan de behoefte van de cel. Het lijkt erop dat dit evenwicht in ALS onder druk komt te staan. Enerzijds vertonen de bloedvaten in ALS afwijkingen waardoor er vermoedelijk minder zuurstof en suiker de cellen bereikt. Anderzijds zijn er ook aanwijzingen dat de stofwisseling (het verbruik van zuurstof en voedingsstoffen zoals suiker) inefficiënt gebeurt: de mitochondriën in ALS zijn namelijk beschadigd waardoor ze minder energie aanmaken. Bijkomend is er nog een probleem van zuurstofstress: zuurstof wordt voor het grootste deel gebruikt om energie te genereren, maar een klein deel gaat verloren naar de vorming van zuurstofradicalen. De mitochondriën in ALS zullen te veel van deze schadelijke zuurstofradicalen vormen die de mitochondriën en andere delen van de cel verder zullen beschadigen, wat uiteindelijk zal bijdragen aan het afsterven van de motorische zenuwcel.



Aangezien dit evenwicht tussen aanvoer en behoefte zo belangrijk is voor het functioneren van iedere cel, beschikt ons lichaam over "sensoren" die aanvoelen wanneer dit evenwicht verstoord geraakt. De familie van de zuurstofsensoren zijn moleculen die tot deze groep behoren. Wanneer een verminderde bloeddorstrooming een tekort aan zuurstof veroorzaakt, zullen de zuurstofsensoren hierop reageren. Zij zullen bijvoorbeeld de aanmaak van factoren zoals VEGF stimuleren die op hun beurt nieuwe bloedvaten doen groeien en zo de zuurstofbalans herstellen. We hebben in het verleden ontdekt dat deze signalen mogelijk een heel belangrijke rol zouden kunnen spelen in ALS: na een genetische manipulatie die deze zuurstof-afhankelijke manier van VEGF productie stillegt, ontwikkelen muizen een ziekte die lijkt op ALS.

Door lagere VEGF niveaus, sterven de motorische zenuwcellen stelselmatig af waardoor deze muizen verlammingsteken ontwikkelen. Deze studie toonde dus aan dat een tekort aan VEGF de overleving van motorische zenuwcellen ondermijnt. Vandaar dat we in een tweede fase VEGF als een mogelijke nieuwe behandeling hebben getest in een rattenmodel voor ALS. Het VEGF eiwit werd toegediend via een pompje in de hersenholtes. Dit resulteerde in een vertraging van de verlamming en een verlenging van de overleving. Op basis van deze bevindingen in ratten loopt er in het Universitair Ziekenhuis van Leuven momenteel een klinische studie die de veiligheid van VEGF toediening bij ALS-patiënten test.

De link tussen zuurstofsensoren en VEGF bracht ons op het idee om de rol van zuurstofsensoren in ALS te bestuderen. Een eerdere studie in het labo toonde dat zuurstofsensoren niet alleen de vorming van vaten bepalen, maar ook de manier waarop een cel zuurstof en suiker verbruikt kunnen beïnvloeden. Zo bleek dat door een genetische manipulatie in één van de zuurstofsensoren, de spieren van een muis niet langer afsterven na het afbinden van een bloedvat. Met andere woorden, door de genetische manipulatie gaf de zuurstofsensoren voortdurend de boodschap aan de spier dat er een tekort aan zuurstof was, waardoor de spier zich al kon voorbereiden op een episode van echt zuurstoftekort. Deze voorbereiding gebeurde door het suiker- en zuurstofverbruik van de spiervezels aan te passen. Als een gevolg werden er minder zuurstofradicalen gevormd en konden de spiervezels beter overleven.



In ALS spelen zowel een tekort aan zuurstof enerzijds, als een overmaat aan zuurstofradicalen anderzijds een rol. Daarom willen we onderzoeken of eenzelfde genetische manipulatie van zuurstofsensoren een gunstige invloed zal hebben op het ziekteverloop. Hiervoor gebruiken we een ALS-muizenmodel waarbij de muizen dezelfde erfelijke afwijking dragen in het SOD1 gen als sommige ALS-

patiënten. Door deze afwijking in het DNA, zullen de motorische zenuwcellen geleidelijk afsterven, een proces dat ook bij de muis aanleiding geeft tot verlamming en overlijden. In lopend onderzoek bestuderen we het effect van een manipulatie van zuurstofsensoren op de spierfunctie en overleving van deze ALSmuizen. De eerste resultaten tonen aan dat het beïnvloeden van zuurstofsensoren resulteert in een afremmen van de verlamming en een verlengde overleving.

Daarom zullen we deze genetische manipulatie trachten na te bootsen met een geneesmiddel, en het effect hiervan op het ziekteverloop nakijken. Hiernaast is het ook belangrijk om de effecten van deze zuurstofsensoren op bloedvaten en stofwisseling te onderzoeken, omdat dit ons kan helpen om beter te begrijpen welke processen in ALS een belangrijke rol spelen. Al deze proeven met muizen hebben als nadeel zeer kostelijk te zijn. Daarom zijn we de ALS liga meer dan erkentelijk voor haar belangrijke financiële steun aan dit project via het fonds "A cure for ALS".

Hoofdstuk 8: Projecten

8.1. vzw ALS DAN

In België bestaat er tot op heden geen gespecialiseerd zorgverblijf voor ALS-patiënten. Daarom heeft de ALS Liga in 2011 het initiatief genomen om een project op te starten voor de bouw van een zorgverblijf 'Middelpunt' aan de Belgische kust. 'Middelpunt' in Middelkerke is een samenwerking met het Dienstencentrum GID(t)S. Er zijn 20 kamers voorzien voor patiënten en hun verzorgers.

Dit project is ondertussen gerealiseerd en zal van start gaan in juni 2013. Ondertussen is de bouw van het zorgcentrum al aardig opgeschoten, zijn de folders gedrukt en is inschrijving reeds mogelijk.



In dit zorgverblijf werkt de ALS Liga aan het aanbod van opvang- en verzorging op maat, waar ALS-patiënten in optimale omstandigheden hun eigen omgeving tijdelijk kunnen verlaten. Voor hun creëert dit een vakantiegevoel en aan de verzorgers geeft dit wat ademruimte. Daarna kan met nieuwe energie de zorg op maat in de thuissituatie weer opgenomen worden.

Aan onze Belgische kust kunnen pALS volledig tot rust komen en opnieuw energie opdoen. Het zorgverblijf wordt een multifunctioneel en gespecialiseerd zorgverblijf waarin de thuissituatie zo dicht mogelijk benaderd wordt. Speciaal opgeleide professionele medewerkers gaan er samenwerken met een netwerk van vrijwilligers en mantelzorgers.

De zeelucht biedt niet alleen patiënten met ademhalingsproblemen meer comfort, maar alle patiënten, in elk stadium van de ziekte, vinden er hun gading. De zeedijk bevindt zich op 500m van het zorgverblijf en is rolstoeltoegankelijk. De gemeente beschikt ook over een aangepast openbaar zwembad. Bovendien worden aan de Belgische kust vele activiteiten georganiseerd die ervoor zorgen dat er voldoende ontspanning en verstrooiing is voor onze patiënten. Binnen het centrum zelf worden, naast een aantal therapieën voor de patiënten, ook tal van ontspannings-mogelijkheden aangeboden.

De vzw ALS DAN heeft voor dit zorgverblijf een aanvraag ingediend bij het RIZIV. De onderhandelingen zijn lopende. De voorwaarden voor het zorgverblijf zijn onder voorbehoud van goedkeuring van de conventie met het RIZIV. Dit zorgverblijf wordt opgericht door de vzw ALS DAN. Dit is een samenwerkingsverband tussen de ALS Liga vzw, ALS Mobility & Digitalk, Dominiek Savio Instituut vzw en Mariasteen vzw.

VERBLIJF

Voor elke zorgvraag zoeken wij een geschikte oplossing. Om de gepaste verzorging te garanderen, werken wij hiervoor samen met partners, zoals thuisverpleging, therapie en huisarts. Indien je zwaartzorgbehoevend bent, kan ons zorgverblijf je hierbij ondersteunen.

Het zorgverblijf richt zich tot de volgende doelgroepen:

Prioritair: Personen met snel degeneratieve aandoeningen, met als hoofdprioriteit de personen met ALS.

Secundair: Personen met een neuromusculaire aandoening, personen met andere evolutieve aandoeningen zoals personen met multiple sclerose, ziekte van Parkinson,...

Het zorgverblijf voorziet in een 24u/24u verpleegkundige permanentie. Daarnaast zullen verzorgers aanwezig zijn in functie van de dagelijkse lichaamsverzorging en comfortzorg. Medische coördinatie door een huisarts en kinesithérapie is voorzien.

Voor het verblijf is een goedkeuring noodzakelijk. Om hierop een beroep te kunnen doen, is een goedkeuring van het RIZIV nodig. Maximale verblijfsduur is 90 dagen per kalenderjaar (niet noodzakelijk aaneensluitend).

De kamers worden verhuurd met hotelservice: een opgemaakt bed, handdoeken en onderhoud van de kamer is voorzien. Elke kamer is uitgerust met 2 hoog/laagbedden, noodoproepsysteem, frigo en beschikt over een aangepaste badkamer met douche en onderrijdbare wastafel. De kamers zijn voorzien van TV, gratis internet en een eigen balkon (familie- en groepskamers hebben 1 badkamer en 1 balkon per 2 kamers).

Een gespecialiseerd zorgverblijf in stand houden, daar is een groot financieel budget voor nodig. Giften blijven dan ook nog steeds meer dan welkom. Nieuwe giften worden verzameld in het 'MaMuze' fonds dat zal dienen ter ondersteuning van de patiënten ter plaatse.

De vooruitgang van de bouwwerken van het zorgcentrum kan men volgen aan de hand van foto's die men terugvindt op de website van de ALS Liga.

Hoofdstuk 9: Dienstverlening

9.1. vzw Mobility & Digitalk

Eén van de redenen voor het ontstaan van deze dienstverlening is de lange wachttijd bij de overheidsinstanties. Door de administratieve rompslomp bij de openbare instanties moeten mensen met ALS vaak te lang wachten op hun hulpmiddelen. Vandaar dat de beslissing i.v.m. het aangevraagde hulpmiddel dikwijls pas toekomt wanneer de aandoening al zodanig geëvolueerd is dat het aangevraagde hulpmiddel al niet meer functioneel is. Of met andere woorden door het snel evoluerende aspect van de ALS komt de beslissing vaak te laat. Daarenboven moet je voor je 65^{ste} verjaardag ingeschreven zijn bij de bevoegde instanties om aanspraak te maken op tussenkomsten en/of terugbetalingen bij de aankoop van hulpmiddelen. Wanneer je na je 65 jaar wordt getroffen door ALS dan moet je **bijna** alles zelf bekostigen wat financieel een zware dobber is.

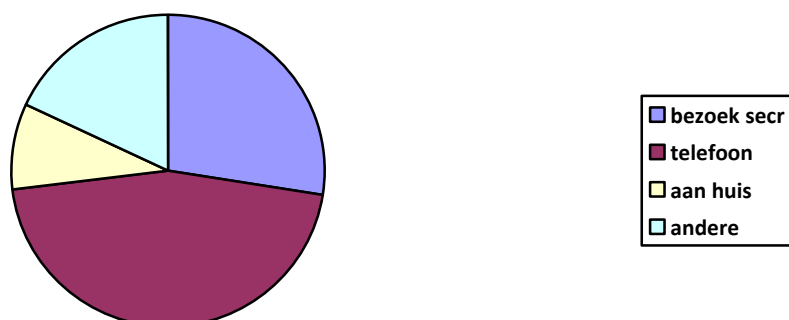
De ALS M&D werkt met geschonken toestellen na overlijden van de pALS, schenkingen van serviceclubs of door ALS M&D aangekochte toestellen. Al deze hulpmiddelen worden onderhouden en aangepast door specialisten, zodat de service optimaal en vakkundig verloopt.

Alle aanvragen voor reparaties en aanpassingen aan hulpmiddelen ontleend bij ALS M&D moeten aangevraagd worden bij de organisatie zelf. De werken worden enkel in opdracht van ALS M&D uitgevoerd. Indien de reparaties niet via ALS M&D verlopen of door nalatigheid van de ontleener worden deze reparatiekosten sowieso niet ten laste genomen.

9.2. Rechtstreekse contacten met pALS

In principe bezoeken alle pALS minstens eenmaal het Secretariaat van de Liga. Bij die gelegenheid krijgen zij gerichte informatie van algemene aard en ook van strikt individuele aard. Die laatste neemt vooral de vorm aan van antwoorden op persoonlijke vragen. Bij hun bezoek vernemen pALS de mogelijkheden van toekenning van hulpmiddelen, het gebruik ervan en de mogelijke vervanging ervan. Die vervanging heeft meestal betrekking op het aanpassen van het hulpmiddel aan de stand van de evolutie van hun gezondheidstoestand. Die evolutie houdt dan verband met de mate waarin de pALS nog mobiel is of de vraag of de pALS spreek- of andere communicatieproblemen heeft.

In totaal hebben wij in 2012 **473** interventies gehad. Op het secretariaat ontvingen we **146** pALS. Bij elk bezoek wordt er informatie verstrekt en bijna steeds worden er hulpmiddelen uitgereikt. Het aantal interventies via telefoon bedroeg **241**, interventies aan huis **47** en andere **39** (zie grafiek).



9.3. Vlaams minister Jo Vandeurzen op werkbezoek bij de ALS Liga

Vrijdag 24 augustus 2012 bracht Vlaams minister Jo Vandeurzen, bevoegd voor beleidsdomeinen Welzijn, gezondheid en Gezin samen met zijn adviseur mevrouw Ritje Pauwels een bezoek aan de ALS Liga.

De minister werd vooreerst rondgeleid in onze lokalen, waar hij kennis maakte met de verschillende aspecten van onze werking. De staf en de vrijwilligers gaven hem toelichting bij hun inzet voor pALS via ondermeer administratief werk op het secretariaat, het onderhoud en de aanschaf van hulpmiddelen binnen onze uitleendienst.

Van de minister mochten wij de primeur ontvangen dat 2014 internationaal erkend wordt als 'het jaar van het brein'. In dit kader zal waarschijnlijk extra aandacht voor wetenschappelijk onderzoek naar neurologische aandoeningen (Alzheimer, Parkinson, ALS...) komen.

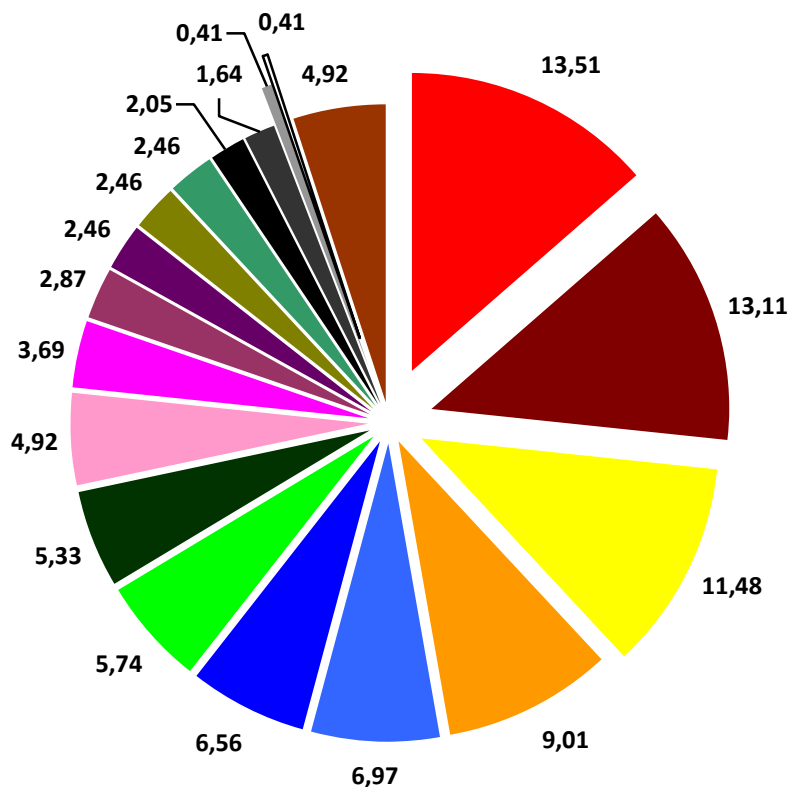


Tijdens een overlegmoment werden meerdere initiatieven ten behoeve van pALS besproken waarin de ALS Liga momenteel samenwerkt met het kabinet van de minister. De minister toonde daarbij grote luisterbereidheid en interesse. Hij wil ondermeer een belangrijk dossier rond hergebruik en recuperatie van hulpmiddelen snel verwezenlijkt zien.

De ALS Liga dankte de minister voor het Flanders' Care project 'Proeftuin ALS Digital' dat hij mee heeft toegekend, en voor de financiële steun in de opstartfase van zorgverblijf Middelpunt. Met enige trots konden we hem medelen dat de bouwwerken volgens plan verlopen en we hem graag uitnodigen op de plechtige opening van het zorgverblijf in juni 2013.

Statistiek van de verschillende uitgeleende hulpmiddelen

Communicatieapparatuur:	13,51%
WC douchestoelen:	13,11%
Elektrische rolwagen:	11,48%
Manuele rolwagen:	9,01%
PC aanpassing:	6,97%
Tilliften:	6,56%
Bedden:	5,74%
Rollators:	5,33%
Matrassen:	4,92%
Kussens:	3,69%
Oprijgoten:	2,87%
Badliften:	2,46%
Zetel:	2,46%
Software:	2,46%
Bladomslagapparaten:	2,05%
Scooter:	1,64%
Autoliften:	0,41%
Fietsen:	0,41%
Alle andere:	4,92%



- | | | | | |
|--|---|---|---|---|
| ■ Commu.-app. | ■ WC-douchestoelen | ■ Elekt. Rolwagen | ■ Man. Rolwagen | ■ PC-aanpassin |
| ■ Tilliften | ■ Bedden | ■ Rollators | ■ Matrassen | ■ Kussens |
| ■ Oprijgoten | ■ Badliften | ■ Zetel | ■ Software | ■ Bladomslagapp. |
| ■ Scooter | ■ Autoliften | ■ Fietsen | ■ Alle andere | |