

Stuttgart, Holle, Hannover, 06.03.2022

Tätigkeitsbericht 2021

Allgemeine Informationen:

ZNM – Zusammen Stark! e. V. ist der Selbsthilfe-Verein für extrem seltene, sehr schwere Muskelerkrankungen (zentronukleäre Myopathien = ZNM) von denen vor allem Kinder betroffen sind, denn die Lebenserwartung von Menschen mit ZNM liegt leider deutlich unter 10 Jahren. Die meisten Betroffenen werden künstlich ernährt und oft auch über ein Tracheostoma (Luftröhrenschnitt) invasiv beatmet. Viele Eltern in unserem Verein bekommen nur unzureichend Unterstützung über Pflegekräfte, obwohl ihnen diese gesetzlich zusteht. Mittlerweile (Stand 31.12.2021) vertreten wir 210 Menschen aus 74 Familien in Deutschland (67), Österreich (4) und den Niederlanden (3) (Abbildung 1).

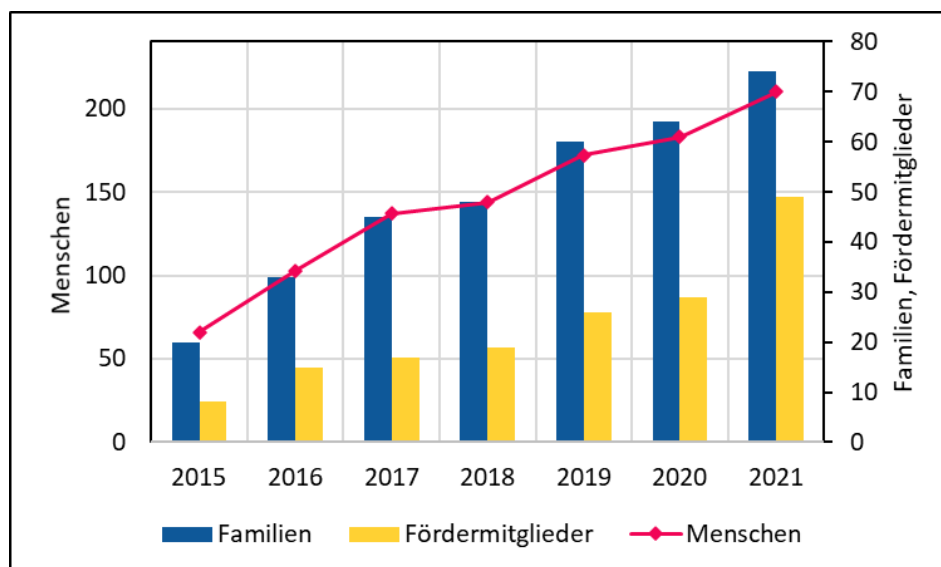


Abbildung 1: Entwicklung der Mitgliederzahlen seit Gründung (jeweils zum Jahresende)



Die häufigste Diagnose in unserem Verein bleibt die schwerste aller ZNM, die myotubuläre Myopathie (MTM1). Weitere häufig betroffene Gene sind RYR1 und DNМ2 (Abbildung 2).

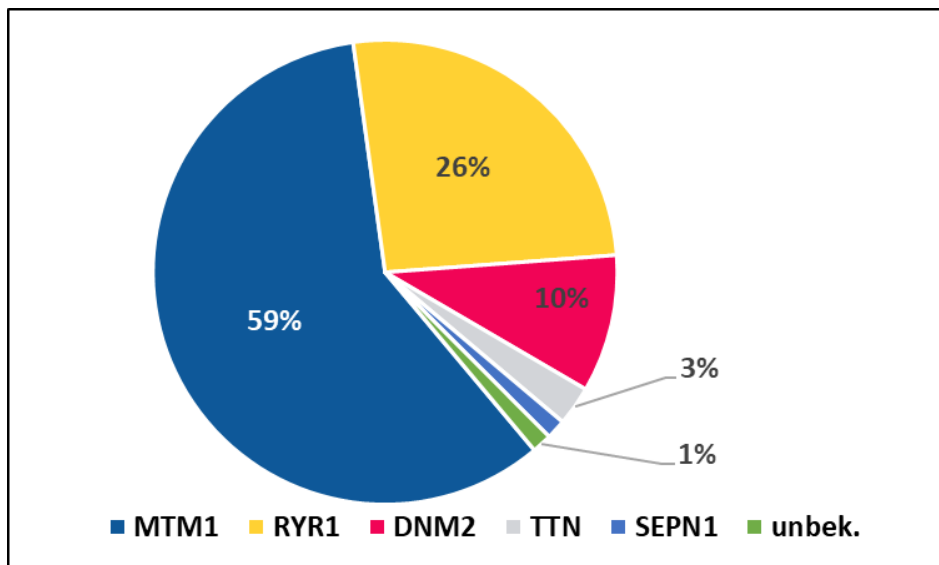


Abbildung 2: Verteilung der Diagnosen (Stand 31.12.2021)

Finanzen

Im Jahr 2021 hat der Verein **Eingänge von 115.119 €** verzeichnen können. Soviel wir noch nie zuvor. Anders als im letzten Jahr lag das nicht an der großen Unterstützung durch Pharma-Unternehmen, die 2020 noch 48% zu den Einnahmen beigetragen hatten. 2021 wurden die Spenden hauptsächlich von vielen Einzelspender:innen erbracht, insgesamt über 52.000 € oder 45%. Das ist der Verdienst vieler unserer Mitglieder, die trotz Pandemie Spendenaktionen organisiert haben, vor allem über Online-Spendenportale, aber auch, wenn es die Situation zuließ, in Live -Events.

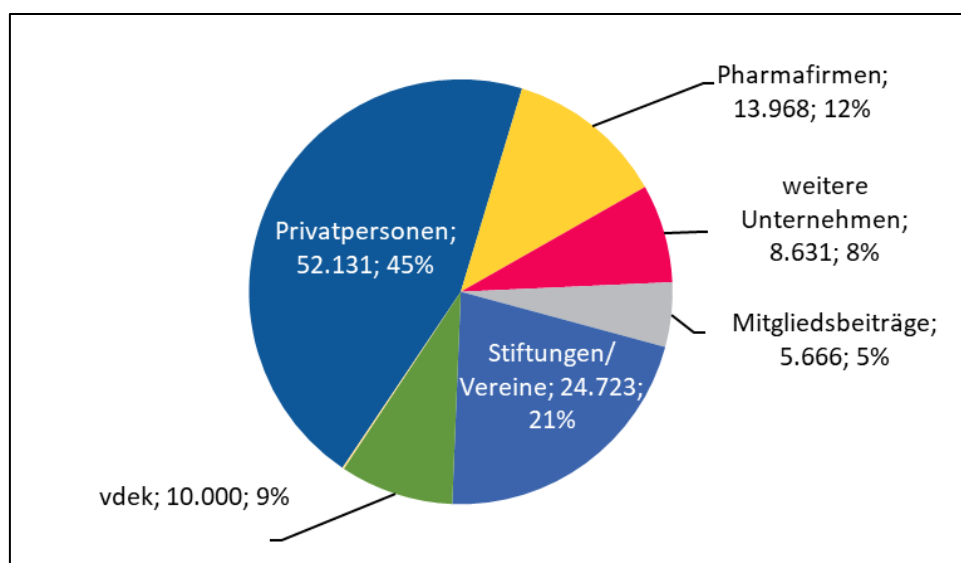


Abbildung 3: Einnahmen des Vereins im Jahr 2021



Zweitgrößter Einzelposten sind Zuwendungen von Vereinen und Stiftungen - namentlich von CureCMD bzw. Team Titin, die sich an einem von uns geförderten Forschungsprojekt für TTN beteiligen, das bald startet. - Außerdem hatte durch Vermittlung von Mitgliedern unser Vorsitzender Holger Fischer gleich zwei Mal die Gelegenheit, bei Rotary bzw. Lions Clubs einen Vortrag zu halten. Beide Organisationen haben uns im Nachgang großzügige Spenden überwiesen. Besonders erfreulich ist auch der Anstieg der Mitgliedsbeiträge. Wir haben trotz Pandemie im Jahr 2021 viele neue Mitglieder und Fördermitglieder gewinnen können. Für diese Zuwendungen, mit denen wir fest rechnen können, sind wir sehr dankbar.

Die **Ausgaben** betragen 2021 109.454,93 €. Das allermeiste Geld haben wir dabei in die Forschung investiert (72%). Mit 48.000 € haben wir unser "Forschungsstipendium 2022" aufgestockt. Jetzt sind da 93.000 € insgesamt auf dem Konto - es fehlt also nicht mehr viel bis zur Marke von 120.000 €, mit der wir in die nächste Ausschreibung gehen wollen.

Weiterhin haben wir 31.144 € für das Forschungsprojekt TTN zurückgelegt. Dieses Forschungsprojekt wird in Kooperation mit Team Titin über CureCMD unterstützt. Sobald die letzten Formalitäten geklärt sind, wird das Projekt starten.

Der nächste große Posten sind Fortbildungen für Mitglieder - die gab es teilweise online und teilweise auch in Form unseres Strategietreffens im November.

Unser Verein hat im Jahr 2021 wieder Geld für direkt betroffenen Kinder mit ZNM gesammelt. Darunter war auch Bruno, ein kleiner Junge mit MTM aus Argentinien, der durch einen Brand sein zu Hause verloren hatte. Durch unsere Mithilfe hat er jetzt wieder ein Zu Hause.



Abbildung 4: Bild unserer Fundraising-Kampagne für Bruno



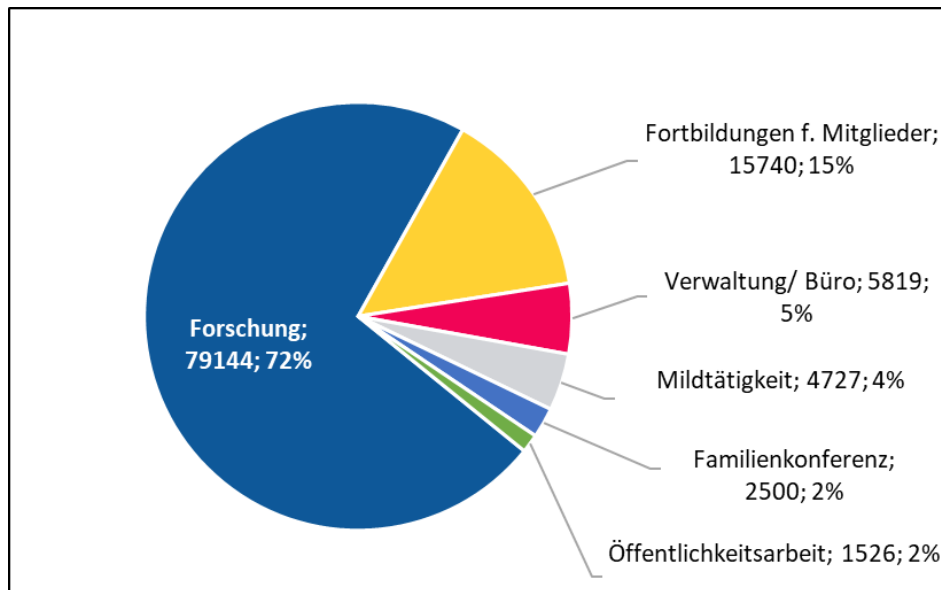
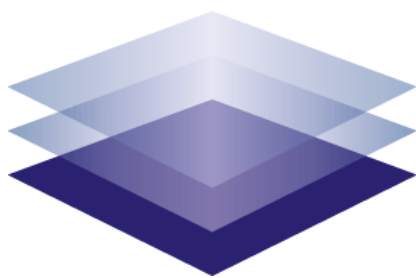


Abbildung 5: Investitionen des Vereins im Jahr 2021

Seit diesem Jahr veröffentlichen wir wesentliche Informationen über unseren Verein, über seine Mittel Zu- und Abflüsse auf [unserer Homepage](#). Deswegen dürfen wir das Siegel der Initiative Transparente Zivilgesellschaft tragen.



Initiative
Transparente
Zivilgesellschaft

Interne Organisation, Veranstaltungen und Fortbildungen

Das Jahr 2021 ist nun unser zweites Corona-Jahr. Wieder mussten wir unsere Familienkonferenz verschieben, alle unsere Vereinsangebote und auch die Mitgliederversammlung online durchführen. Für uns war das auf eine gewisse Weise die Fortführung von dem, was wir schon 2020 geschafft haben. – Allerdings zehrt eine solche Situation, das Ausbleiben von persönlichen Kontakten ganz besonders an einem Verein wie unserem. Trotzdem konnten am 28.05.2021 33 Mitglieder an der Mitgliederversammlung teilnehmen. Holger Fischer und Frank Schulte wurden mit sehr großer Mehrheit in ihren Ämtern als Vorsitzender bzw. Schatzmeister bestätigt.

Zum Glück konnten sich 17 Mitglieder unseres Vereins vom 05. – 07. 11.2021 in Präsenz zu unserer [Strategie- Klausur](#) treffen – noch dazu im Hotel Dolce Bad Nauheim, wo 2022 nun endlich auch unsere Familienkonferenz stattfinden soll.





Abbildung 6: Mitglieder von ZNM - Zusammen Stark! beim Strategietreffen

Die Arbeit an einer Neuausrichtung des Vereins hat schon vorher begonnen: Es gab teilweise mit unserem externen Berater, Tim Weinert von Nowwork - in den vergangenen Monaten fast zehn Treffen von unterschiedlichen Gruppen aus dem Verein. Und die Arbeit geht natürlich auch weiter... Tim und sein Team werden uns bei der Umsetzung unserer Strategie weiter begleiten.

In den drei Tagen im November in Bad Nauheim haben wir den Kompass neu ausgerichtet, unsere vielen Projektideen priorisiert und vor allem haben wir uns im sog. "Konsent-Verfahren" auf drei wichtige Aussagen zum "Purpose" (warum gibt es ZNM- Zusammen Stark! e. V.?), zur "Vision" (was ist unser fernes Ziel?) und zur "Mission" (Was tun wir, um unsere Vision wahr werden zu lassen?) geeinigt.

PURPOSE

Es gibt unseren Verein, weil wir als Betroffene genau wissen, was es bedeutet, mit einer der seltenen Erkrankungen aus der Gruppe der Zentronukleären Myopathien zu leben. Deswegen bieten wir Betroffenen und ihren Angehörigen Raum für Austausch und verleihen ihnen eine Stimme. Unsere eigene Suche nach neuen Perspektiven treibt uns an.

VISION

Wir träumen von einer Welt, in der ZNM heilbar ist und ZNM-Patient:innen eine bestmögliche Lebensqualität und Lebenserwartung haben.

Darin sind wir ein lebendiges Netzwerk, das von Betroffenen und Angehörigen, Wissenschaft und Forschung, Medizin und anderen getragen wird.

Wir inspirieren zu neuen Projekten, die auf internationaler Ebene den Wissensaustausch und die Hoffnung zwischen allen stärken.

MISSION

Wir arbeiten zusammen daran, uns selbst sowie andere Betroffene und Angehörige zu vernetzen und ihnen die vielen Möglichkeiten zu zeigen, die ein Leben mit ZNM bietet. Außerdem setzen wir uns dafür ein, dass Betroffene die bestmögliche Behandlung erhalten, indem wir Mediziner:innen und Therapeut:innen umfassend informieren und unterstützen.

Auf internationaler Ebene fördern wir den Wissensaustausch und investieren in die Forschung, um neue Heilmittel und Therapiemöglichkeiten zu finden.





Abbildung 7: Purpose, Mission, Vision!

Zusammen ergeben diese Aussagen ein Bild und sollen uns für die Vereinsarbeit als Orientierung dienen. Vielen Dank an alle, die live oder auch online an dem Prozess beteiligt waren. Am Abschlusstag der Klausur haben wir dann auch schon die ersten Projekte bestimmt, die wir nun zusammen angehen wollen.

Natürlich hat unsere AG „Alltag meistern“ auch in diesem Jahr alle Angebote online durchgeführt. Dies waren insbesondere die Online-Stammtische, die teils mit teils ohne festes Thema angeboten wurden und wo sich Mitglieder abends online getroffen haben. Besonders in Erinnerung bleiben wird vielen das Adventsbasteln. Wichtig ist auch, dass zahlreichen Neu-Mitglieder willkommen geheißen werden und sie wissen an wen im Verein sie sich mit welcher Frage wenden können. Auch das übernimmt die AG. Außerdem wird gerade eine Tabelle mit wichtigen Hilfsmitteln erstellt. Dies soll vor allem Neu-Mitgliedern Orientierung geben.



Abbildung 8: Online - Bastelabend

Die AG „Wissenschaft, Studien und Medikamentenzulassung“ bringt Wissen aus der Forschung und aus den Zulassungsprozessen in die Mitgliedschaft des Vereins. So wurden im vergangenen Jahr sechs Webinare durchgeführt zu z. B. den für uns so wichtigen Patientenregistern, dem Stand der Klinischen Studie zur Gentherapie und einen Überblick über aktuelle Forschung den uns Johann Böhm gegeben hat. Außerdem befinden sich die Mitglieder der AG in engem Austausch mit unserer Partnerorganisation der Deutschen Gesellschaft für Muskelkranke, wenn es um den Zulassungsprozess beim Gemeinsamen Bundesausschuss (G-Ba) geht.



- [Aktion zum Tag der seltenen Erkrankungen](#)

Auf der Homepage gibt es auch ein kleines Video dazu...



- [Sonnenblumenaktion](#)

Wir verteilen am Anfang des Jahres Sonnenblumensamen an die Freund:innen unseres Vereins und bitten sie, Bilder von den blühenden Sonnenblumen in den sozialen Medien zu posten, um auf die ZNM aufmerksam zu machen.



Die Ziele der Kampagne waren mehr Aufmerksamkeit für diese seltene Muskelerkrankung und neue Mitglieder, Spender oder Kooperationspartner zu gewinnen. Die Kampagnen waren sehr erfolgreich, damit haben wir mehr als 25.000 Personen erreicht.

Forschungsförderung

Im Herbst 2019 hatten wir unser erstes Forschungsstipendium ausgeschrieben und wir konnten mit insgesamt 150.000 € glücklicherweise sogar zwei Projekte fördern. Das Projekt "[REDyT](#)" unter Leitung von Isabel Punzon (Paris) mit 106.000 € und das Projekt "[Therapie-Entwicklung für DNM2 - ZNM](#)" unter Leitung von Jim Dowling (Toronto) mit 44.000 €. In diesem Jahr stand nun die Evaluation der Zwischenberichte an. Beide Projekte haben gute Fortschritte gemacht (Hier Mitteilung zu [Punzon](#) und hier zu [Dowling](#)). Aufgabe des Forschungsbeirates war es, die Zwischenberichte zu evaluieren, Nachfragen zu stellen und die Auszahlung der nächsten Raten vorzubereiten. Zusätzlich hat der Forschungsbeirat die Dokumente, die für Ausschreibung und Stipendienvergabe nötig sind, überarbeitet. Damit können wir unsere nächste Ausschreibung (geplant für Herbst 2022) angehen.



Ausblick

Für das Jahr 2022 haben wir uns vor allem zwei große Dinge vorgenommen:

1. Wir wollen endlich wieder eine [Familienkonferenz](#) veranstalten. Sie soll vom 26. - 29. Mai im Hotel Dolce Bad Nauheim stattfinden. Wir stecken gerade mitten in den Vorbereitungen dafür, laden Referent:innen ein, organisieren das Kinderprogramm und buchen die Übersetzung und die Räume im Hotel. Jetzt hoffen wir auf die Teilnahme von vielen Familien aus unserem Verein, aber auch von unseren Partnerorganisationen weltweit. Hoffen wir, dass uns Corona keinen Strich durch die Rechnung macht. Solche Familienkonferenzen sind nicht nur Wissensvermittlung. Sie sind ein Zusammenkommen der vielen Mitglieder unseres Vereins und damit Möglichkeit für gegenseitigen Austausch, Trost und Inspiration – lebenswichtig für unseren Verein.
2. Im Herbst 2022 werden wir zum zweiten Mal ein Forschungsstipendium ausschreiben. Wir hoffen, dass wieder so viele und gute Anträge bei uns eingehen wie beim letzten Mal. Wir alle knüpfen große Hoffnungen an die Arbeit der vielen Forscher:innen weltweit, die sich mit Therapien für ZNM beschäftigen. Wir wollen unseren Teil dazu beitragen, dass bald für viele unsere Mitglieder wirkungsvolle Therapien gefunden werden.

Beide Ziele können wir nur durch die fortwährende Unterstützung unserer vielen Spender:innen erreichen. Bitte helfen Sie, uns selbst zu helfen! Wir sind #ZusammenStark

Vielen Dank im Namen aller Mitglieder,

die Vorstände von ZNM – Zusammen Stark! e. V.

Holger Fischer, Mareen Bockstette und Frank Schulte

