

Stuttgart, Holle, Hannover, 20.03.2023

Tätigkeitsbericht 2022

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 Menschen mit ZNM haben eine deutlich verkürzte Lebenserwartung. Schwer Betroffene sterben häufig im Kindesalter. 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 31.12.2022) vertreten wir **258 Menschen aus 92 Familien** in Deutschland (81), den Niederlanden (5), Österreich (4), Belgien (1) und der Schweiz (1).

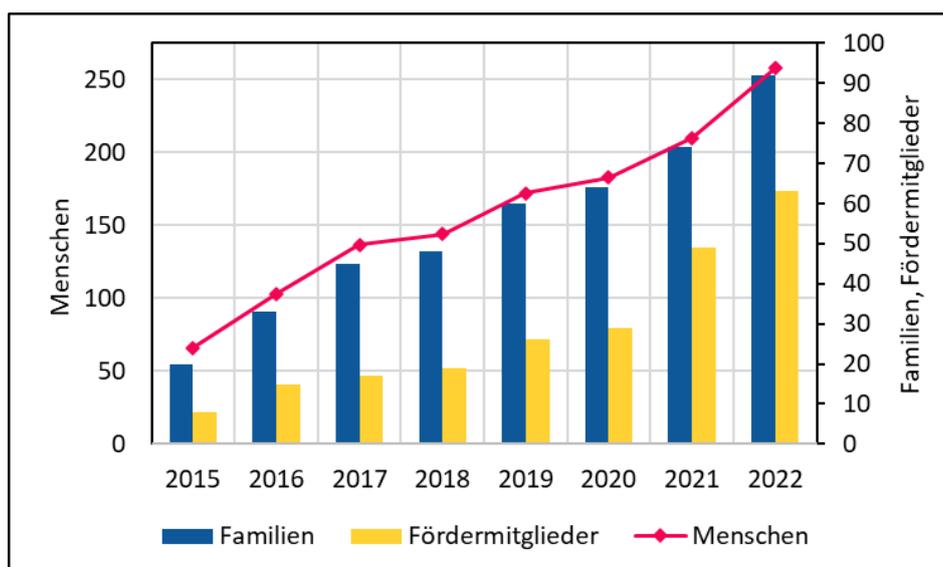


Abbildung 1: Entwicklung der Mitgliederzahlen seit Gründung (jeweils zum Jahresende)



Die häufigste Diagnose in unserem Verein bleibt die schwerste aller ZNM, die myotubuläre Myopathie (MTM1). Weitere häufig betroffene Gene sind RYR1 und DNM2. Im Vergleich zum letzten Jahr haben die Anteile aller „weniger häufiger“ Diagnosen (DNM2, TTN, SEPN1) gegenüber MTM1 zugenommen. Unser Verein vertritt seit 2022 auch Menschen mit BIN (Abbildung 2).

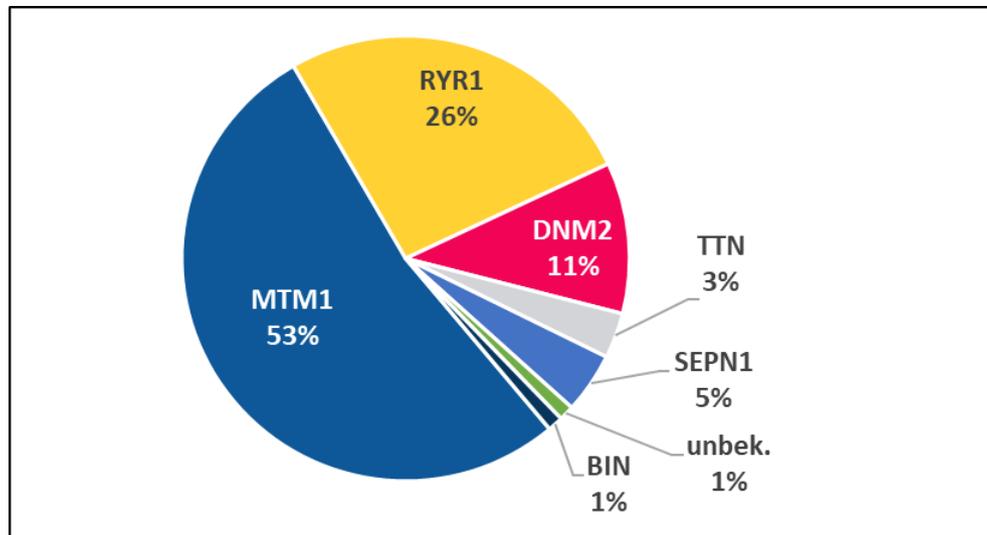


Abbildung 2: Verteilung der Diagnosen (Stand 31.12.2022)

Finanzen

2022 hat der Verein **Eingänge von 113.979 €** verzeichnen können, fast so viel wie im Rekordjahr 2021, und das obwohl unsere Spenden von Einzelspender:innen von etwa 52.000 € (2021) auf etwa 35.000 € (2022) zurückgingen. Dieser Rückgang konnte aber fast vollständig durch die jeweils etwa doppelt so hohen Eingänge der pharmazeutischen Unternehmen und aus der Pauschalförderung des vdek wettgemacht werden. Trotzdem bleiben die vielen Einzelspenden mit über 30% unser Hauptgeldeingang. Das ist der Verdienst vieler unserer Mitglieder, die trotz der wirtschaftlichen Lage erfolgreich Spendenaktionen organisiert haben, vor allem über Online-Spendenportale. Erfreulich ist auch der weiter sehr starke Anstieg der Mitgliedsbeiträge. Durch das Ausklingen der Pandemie konnten wir die Familienkonferenz unter anderem zum aktiven Werben um neue Mitglieder nutzen. Das hat uns dabei sehr geholfen. Für diese Zuwendungen, mit denen wir fest rechnen können, sind wir sehr dankbar.



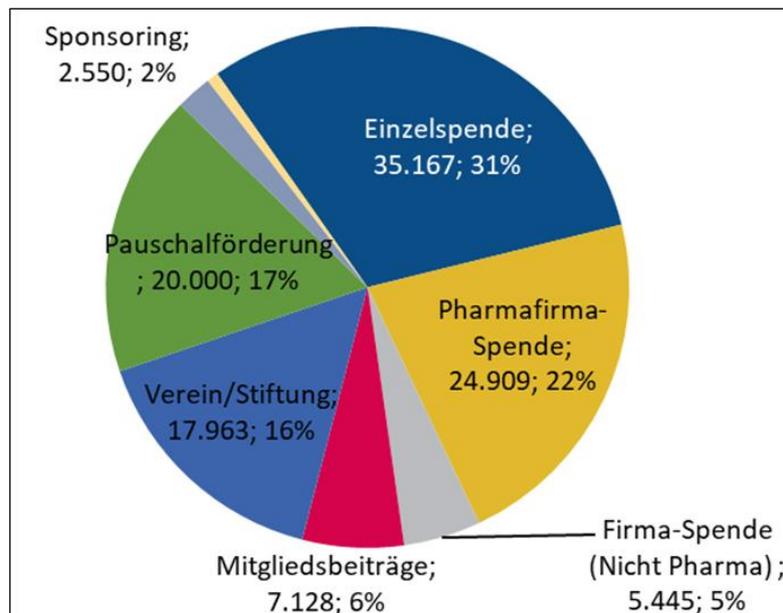


Abbildung 3: Einnahmen des Vereins im Jahr 2022

Die **Ausgaben** von unserem Hauptkonto betragen 2022 **105.000 €**. Das meiste Geld haben wir dabei in die Forschung investiert (56%). Mit 57.000 € haben wir unser "Forschungsstipendium 2022" aufgestockt. Jetzt sind 150.000 € insgesamt auf dem Konto. Deswegen konnten wir Anfang November zum zweiten Mal eine Ausschreibung für ein Forschungsstipendium veröffentlichen. Bis zum Termin Ende April hoffen wir auf eine ähnlich hohe Beteiligung der Forschungsgruppen wie beim letzten Mal.

Der nächste große Posten war unsere Familienkonferenz. Zwar hatten wir durch die Pandemiejahre schon eine Rücklage gebildet. Dennoch konnten und mussten wir in diesem Jahr noch etwas mehr als 30.000 € dafür bereitstellen.

Zum ersten Mal taucht in unserem Jahresbericht der Posten „Assistenz“ auf! Dies ist eine Rücklage, aus der wir Lohn und Lohnabrechnung bezahlen. Wie auf unserem Strategietreffen im November 2021 als Idee formuliert und dann auf der Mitgliederversammlung 2022 beschlossen, haben wir eine 50%-Stelle als „Assistenz des Vorstands“ ausgeschrieben und konnten diese zum 01.11.2022 besetzen. Seitdem unterstützt uns Judith Wartenburger. Mit ihrer Unterstützung hoffen wir unsere Vereinsarbeit weiter professionalisieren zu können.



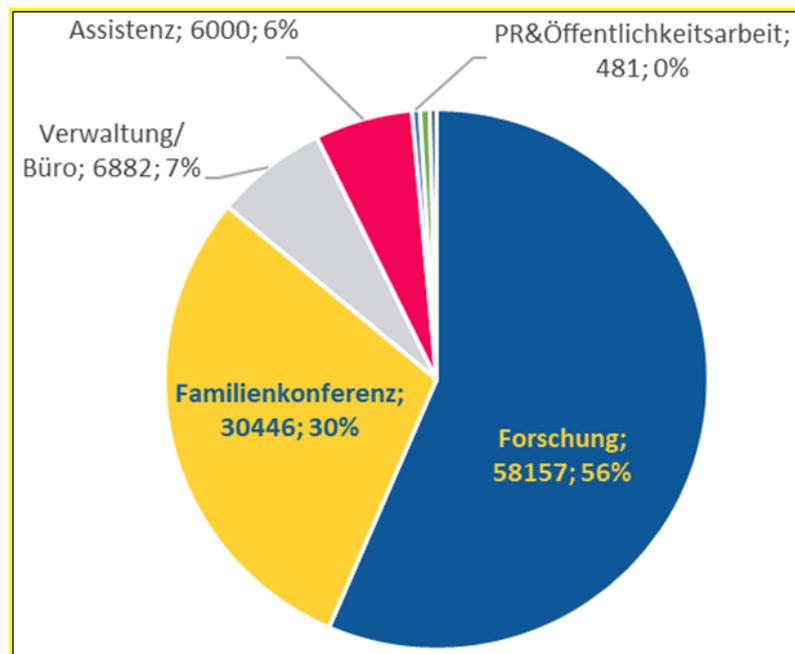
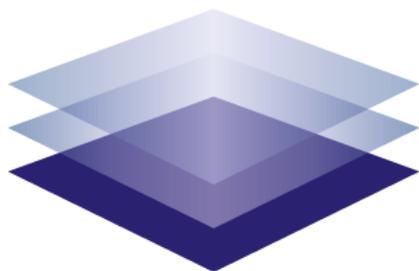


Abbildung 4: Investitionen des Vereins im Jahr 2021

Seit 2021 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. Auch intern ist uns Transparenz sehr wichtig. Sämtliche Entscheidungen des Vorstands werden protokolliert und allen Mitgliedern zugänglich gemacht.



Initiative
Transparente
Zivilgesellschaft

Interne Organisation, Veranstaltungen und Fortbildungen

Unsere Familienkonferenz war ein voller Erfolg!

TOGETHER EVEN STRONGER 2022

INTERNATIONAL CNM FAMILY CONFERENCE - BAD NAUHEIM - GERMANY

Vom 26. bis zum 28. Mai 2022 konnten wir zum ersten Mal seit 2019 unsere [Familienkonferenz](#) feiern. Was war das für ein großartiges Erlebnis! Zusammen zu sein, sich auszutauschen, sich endlich umarmen zu können, unsere Erfolge zu feiern, unsere Ängste zu teilen,



gemeinsam zu lachen und zu weinen und sich über die neuesten Forschungsprojekte zu informieren, um eine Behandlung für ZNM zu finden. Solche Familienergebnisse hinterlassen einen Fußabdruck in unserem Leben. Plötzlich merken wir, dass wir nicht mehr allein sind. Wir sind ZUSAMMEN STARK!

39 Familien aus Deutschland, Österreich, den Niederlanden, Belgien, der Schweiz, Polen und Irland waren da. Durch das lange Himmelfahrtswochenende gab es viel Zeit und damit mehr Freiraum für alle Teilnehmenden, um nicht nur die Workshops und wissenschaftlichen Vorträge zu besuchen, sondern auch die freien Zeiten dazwischen für Gespräche zu nutzen. Auch die Mitgliederversammlung konnte nun am 26. Mai, endlich wieder in Präsenz stattfinden, nachdem sie zwei Jahre über Microsoft Teams durchgeführt werden musste.



Abbildung 5: Auf der Mitgliederversammlung wurde Mareen Bockstette (links) als stellv. Vorsitzende für zwei weitere Jahre bestätigt.

Am Freitag teilten sich die Familienmitglieder in kleine Gruppen auf, um in verschiedenen Workshops Wissen über den Alltag mit ZNM auszutauschen. Am Samstag gab dann wissenschaftliche Vorträge zu den ZNM, Updates der klinischen Studien, einschließlich einiger vielversprechender Therapien zur Behandlung dieser Erkrankungen. Besonders schön war es, dass die mit unseren Stipendien geförderten Wissenschaftlerinnen, [Isabel Punzon aus Paris](#) und [Mo Zhao aus Toronto](#) anwesend waren und Zwischenberichte über ihre Projekte vorgestellt haben. Alle Vorträge wurden simultan (Englisch <-> Deutsch) übersetzt und auch live gestreamt.





Abbildung 6: (Links) Dr. Lutz Dondit (Olga-Hospital Stuttgart) beim „Sekretmanagement-Workshop“ (rechts) Unser Mitglied Jenö van Tienen beim Erfahrungsbericht Cholesteatom

Und für die Kinder war auch viel geboten! Während der Vorträge gab es ein umfangreiches Kinderprogramm. Geboten wurden unter anderem ein mobiler Kindergarten, das beliebte Kinderschminken, Bastelangebote, für draußen eine Hüpfburg und für viel Spaß sorgte ein Mitmach-Theater. Samstag überraschte uns die örtliche Feuerwehr mit viel Action.



Abbildung 7: (links) Die größeren Kinder nahm Johann Böhm mit auf eine Reise in die Bibliothek unserer Gene und ließ sie DNA extrahieren – aus Bananen. Für viele ein unvergesslicher Workshop! (rechts) Gespannte Kinder beim Theater!

Beim gemeinsamen Ausflug am Sonntag besuchten wir den Gradierbau und kamen beim Spazieren ins Gespräch. Das Feedback nach der Konferenz war eindeutig! Es hat allen sehr gut gefallen! Darum sind wir 2023 auch wieder hier!





Abbildung 8: So viele waren wir auf unserer Familienkonferenz in Bad Nauheim 2022

Natürlich hat unsere AG „Alltag meistern“ auch in diesem Jahr Online-Stammtische angeboten. So wurde unseren Mitgliedern die Möglichkeit des Austauschs geboten. Wichtig ist auch, dass zahlreiche Neu-Mitglieder willkommen geheißen werden und sie wissen, an wen im Verein sie sich mit welcher Frage wenden können. Auch das übernimmt die AG. Wir stellen Kontakte zu anderen Familien her, um den Austausch zu fördern. Wir standen den Vereinsmitgliedern bei vielen Fragen persönlich, am Telefon oder per Messenger zur Verfügung. Außerdem recherchierten wir für die Mitglieder relevante Informationen rund um das Meistern des Alltags und stellten sie -inkl. einer Erläuterung- zur Verfügung.



Abbildung 9: Einladung zum Online – Stammtisch auf Teams

Die AG „Öffentlichkeitsarbeit“ hat dieses Jahr eine Vielzahl von Kommunikationskampagnen in den Sozialen Medien (Facebook, Instagram, Twitter, LinkedIn) und auf unserer Homepage geplant und umgesetzt. Die Themen der Kampagne waren:



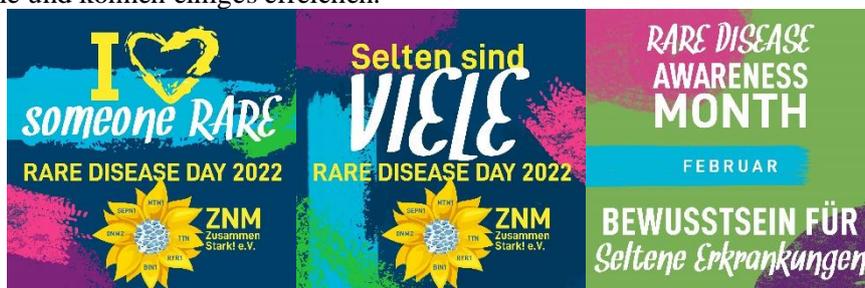
- [Informationskampagnen über Menschen mit einer zentronukleären Myopathien oder ihre Eltern](#)



Abbildung 10: Beispiel der Geschichte von Frau Barbara Preiß, Mama von einem Kind mit ZNM (RYR1), ehrenamtliche Mitarbeiter und Mitglied des Verein ZNM – Zusammen Stark e. V.

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

Der Monat Februar steht im Zeichen des Bewusstseins für seltene Erkrankungen. Als Betroffene der verschiedenen ZNM-Erkrankungen gehören wir dieser seltenen Gruppe an – und doch durften wir in den letzten Jahren erfahren: Wir sind nicht allein! Nein, wir sind viele und können einiges erreichen.



- [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.



- [Familienkonferenz](#)

Wir sind so froh, dass wir nun endlich unsere bereits für 2020 geplante internationale Familienkonferenz in Bad Nauheim durchführen konnten. In der AG PR haben wir Kommunikationskampagnen in den Sozialen Medien durchgeführt, um ZNM-Betroffene und ihre Familien zur Anmeldung und Teilnahme an der Konferenz zu bewegen. Das war sehr erfolgreich. Mehr als 150 Menschen haben an der Familienkonferenz teilgenommen. Die Familienkonferenz war ein wichtiges Event für alle ZNM-Betroffenen, ganz besonders auch für die Kinder.



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

Forschungsförderung

Der Forschungsbeirat des Vereins hat im Jahr 2022 die Richtlinien und Dokumente gesichtet und nach den Erfahrungen unseres ersten Forschungsstipendiums überarbeitet. Im November konnte ein [zweites Forschungsstipendium](#) – wieder in Höhe von 150.000 € ausgeschrieben werden.

Gleichzeitig wurden die Fortschrittsberichte der beiden laufenden Projekte, [“REDyT”](#) unter Leitung von Isabel Punzon (Paris) und [“Therapie-Entwicklung für DNM2 - ZNM”](#) unter Leitung von Jim Dowling (Toronto) evaluiert und dem Vorstand jeweils die Empfehlung zur Auszahlung der zweiten Raten gegeben.

Personell hat sich der Forschungsbeirat etwas verändert: Carl-Philipp Nagy folgte auf Aart den Hollander als Laienmitglied und Andreas Roos verstärkte die Gruppe der „wissenschaftlichen“ Mitglieder, die jetzt damit zu viert sind. Die kompletten Informationen über den Forschungsbeirat sind auf [unserer Homepage](#) zu finden.

Ausblick

Für das Jahr 2023 haben wir uns vor allem drei große Dinge vorgenommen:

1. Vom 28.04. bis 01.05.2023 werden wir in Bad Nauheim [wieder eine Familienkonferenz](#) veranstalten. Wir legen dieses Mal den Fokus auf das „Meistern des Alltags“. So wird es Informationen rund um Physiotherapie, barrierefreies Reisen, Resilienz



und die Angebote unsere deutschen Partnerorganisationen, wie z. B. der Deutschen Gesellschaft für Muskelkranke geben. Wir stecken gerade mitten in den Vorbereitungen dafür, laden Referent:innen ein, organisieren das Kinderprogramm und buchen die Räume im Hotel. 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 Spätsommer werden uns die Gutachten der Anträge zu unserem **zweiten Forschungsstipendium** vorliegen. Auf dieser Basis wird der Forschungsbeirat dann dem Vorstand einen Vorschlag unterbreiten, welche Projekte gefördert werden sollen. Wir werden also im Oktober darüber informieren können, wo das viele Spendengeld für die Forschung seinen Dienst tut! 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.
3. **In diesem Jahr wollen wir unsere Webseite komplett neu aufsetzen.** Die ersten Schritte dazu haben wir bereits unternommen. Wir wissen, dass die Webseite nicht nur unser öffentliches Aushängeschild, sondern auch Informationsquelle von Ärzt:innen und ganz neu betroffenen Menschen ist. Deswegen ist es uns wichtig, dass dort optimal, aktuell und ansprechend informiert wird.

All diese Projekte 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.

Dr. Holger Fischer, Mareen Bockstette und Frank Schulte

