



**Savez društava distrofičara Hrvatske - SDDH**

**Prikaz uspješnih modela održivosti međunarodnih  
organizacija osoba s mišićnom distrofijom**

# The French Muscular Dystrophy Association (AFM-Telethon)

<https://www.afm-telethon.fr/en>

## O organizaciji

AFM-Telethon djeluje neovisno, vođen samo hitnošću progresivne bolesti, za dobrobit pacijenata. Povjerenički odbor koji se sastoji samo od pacijenata i roditelja pacijenata. Strategiju i djelovanje AFM-Teletona utvrđuje Upravni odbor na svojoj godišnjoj skupštini koja se održava jednom godišnje. Sastoji se od 21 člana, svi su pacijenti ili roditelji pacijenata, a Upravni odbor redovito se sastaje kako bi razvio i pratio politiku AFM-Teletona. Laurence Tiennot-Herment, majka djeteta koje boluje od Duchenneove mišićne distrofije, predsjednica je AFM-Teletona od 2003. Ona je također predsjednica Genethona, Instituta za miologiju i Instituta za bioterapije rijetkih bolesti.

Francuska udruga mišićne distrofije (AFM-Telethon) je udruga aktivista, pacijenata i roditelja pacijenata, oboljelih od rijetkih, progresivnih genetskih bolesti, poznatih kao neuromuskularne bolesti. Udruga je nastala iz uvjerenja i želje da liječi bolesti koje su se dugo smatrale neizlječivima. AFM-Telethon je također Telethon, događaj prikupljanja sredstava.

## Financiranje

Ideja financiranja preuzeta je od američkog Telethona, dobrotvornog TV maratona koji od 1996. vodio Jerry Lewis.

U Francuskoj se prvi Telethon održao 1987. emitiranjem programa uživo, u neprekidnom trajanju od 28 sati. Cilj je staviti rijetke bolesti u fokus i prikupiti što je više moguće sredstava. Američki komičar Jerry Lewis bio je sponzor prvog Telethona 1987., kada je prikupljeno je rekordnih 29,7 milijuna eura!

Od tada svake godine neka nova slavna ličnost daje podršku Telethonu tako što postaje njegov sponzor. Prvog vikenda u prosincu, Telethon se prenosi uživo na TV kanalima France Télévisions, vjerni partner Telethona (France 2 i France 3), a program se također emitira uživo u Belgiji, Švicarskoj, Luksemburgu, Andori i Monaku. Riječ je o televizijskom maratonu jedinstvenom u svijetu po trajanju i live statusu. Kroz reportaže i svjedočanstva, program ističe iskustva roditelja i osoba s rijetkim genetskim bolestima. Liječnici i istraživači dolaze podijeliti napredak u istraživanju i preostale izazove kako bi osigurali liječenje za sve koji ga trebaju. Francuzi svake godine daju svoju podršku; iz godine u godinu njihova velikodušnost omogućuje AFM-Telethonu daljnja istraživanja, unapređenje skrbi za pacijente i pružanje podrške u svim stadijima bolesti, putem savjetnika za zdravstvenu skrbi. Također pomaže kod prepoznavanja rijetkih bolesti i hitne inovativne terapije za te bolesti koje se dugo smatraju neizlječivima.

## Djelovanje:

AFM-Telethon:

- promovira miologiju, znanost i medicinu mišića, liječi bolesne mišiće, ali i mišiće u svim stanjima (zdravi, ozlijeđeni, stari)
- je razvio namjenske istraživačke alate koji su promijenili medicinu: od mapa ljudskog genoma koje je proizveo Genethon i prilagođene medicine do stvaranja DNK banaka, otkrića gena odgovornih za stotine patologija i pristupa genetskom savjetovanju i dijagnozi
- se bori za priznavanje prava na potporu za promicanje zdravstvene autonomije za sve one koji žive s kroničnom, progresivnom bolešću.

- se bori za poticanje uključivanja osoba s invaliditetom u društvo i omogućavanje samostalnog života. Promiče pravo na školovanje u uobičajenom okruženju, pravo na osposobljavanje i zapošljavanje te potpuno plaćeni pristup sustavima za osobe s invaliditetom.
- Potiče uvrštavanje rijetkih bolesti r u javnozdravstvenim politikama. Dao je doprinos u stvaranju platforme za rijetke bolesti, jedinstvenog resursnog centra u Europi, i potaknuo pokretanje nacionalnih planova za rijetke bolesti.
- je glavni aqkter u razvoju inovativnih terapija putem svojih laboratorija (Genethon, I-Stem, Institut za miologiju) i podržava terapijske inovacije u svim njihovim oblicima.
- je stvorio vlastite laboratorije kako bi ubrzao razvoj inovativnih tretmana za rijetke bolesti,. Posvećeni genskoj terapiji rijetkih bolesti (Genethon), matičnim stanicama (I-Stem) i miologiji (Institut za miologiju), sada su međunarodni lideri u svom području. Okupljena unutar Instituta za bioterapiju rijetkih bolesti, tri laboratorija Udruge igraju važnu ulogu u medicinskoj revoluciji.

### **Struktura Telethona:**

- **Mreža Telethona:** lokalni timovi sastavljeni od volontera koji koordiniraju organizaciju Telethona diljem Francuske i inozemstva s Telethonom za Francuze u inozemstvu ;
- **Izaslanstva** sastavljena od volontera koji predstavljaju Udrugu u regijama, zagovaraju prava pacijenata u lokalnim predstavničkim tijelima te pružaju podršku i savjete među vršnjacima osobama pogođenim bolešću;
- **Regionalni odjeli** sastavljeni od plaćenih stručnjaka koji pružaju podršku pacijentima i njihovim obiteljima za zdravstvenu autonomiju i neovisan život u svakoj fazi napredovanja bolesti;
- **Interesne skupine** sastavljene od dobrovoljaca oboljelih od iste bolesti ili unutar grupe bolesti koji podržavaju druge pacijente i njihove obitelji te se povezuju s liječnicima i istraživačima.

Godine 2021. AFM-Telethon imao je 2987 stalnih volontera i 569 zaposlenika, od kojih gotovo 74% radi izravno za društvene misije Udruge diljem Francuske.

### **Telethon danas:**

- Gotovo 215.000 volontera i 50.000 udruga angažiranih na terenu
- Preko 10.000 uključenih općina
- 30 sati TV programa na France Télévisions
- 90 nacionalnih partnera koji obnavljaju svoju predanost svake godine
- Digitalni program na društvenim medijima s Telethon Gamingom, Telethon Challengeom i program uživo na YouTubeu.

# Društvo distrofikov Slovenije

## (DDS)

<http://www.drustvo-distrofikov.si/>

### O organizaciji:

Društvo distrofičara Slovenije od svog osnutka 1969. godine djeluje kao nacionalna reprezentativna organizacija za osobe s invaliditetom u cijeloj Sloveniji. Planskim djelovanjem do sada je postigla uređenje mnogih pitanja, ne samo u području zdravstva, već i u području gospodarskog rasterećenja, školovanja, smještaja i društvenog života. Također je učinjen važan doprinos u području ostvarenja punopravnog sudjelovanja u društvu.

### Djelovanje:

DDS samostalno provodi neke posebne socijalne programe, a neki od njih se zbog svojih profesionalnih postignuća mogu svrstati među vrhunska postignuća slovenske skrbi o osobama s invaliditetom. To su, između ostalog, **usluge prijevoza i osobne asistencije**, koje pružaju mobilnost i fizičku pomoć primjerenu osobama s mišićnom distrofijom.

Provodeći brojne posebne socijalne programe, DDS je osnovalo i dvije tvrtke osoba s invaliditetom koje posluju izuzetno uspješno:

- **Birografiku BORI** vodeće je slovensko tiskarsko poduzeće koje se na tržištu natječe sa suvremenom tehnologijom tiska, dizajna i knjigovodstva, koja svoje ciljeve ostvaruje upravljanjem tržištem i dokazuje da je uz korištenje visoke tehnologije i organizacije ekonomski opravdano zapošljavati osobe s mišićnom distrofijom i drugim vrstama invaliditeta.
- **Dom dva topola** je rehabilitacijski centar za osobe s mišićnom distrofijom i drugim vrstama invaliditeta, smješten u Izoli, primorskom mjestu gdje se provodi medicinska rehabilitacija na moru. Rehabilitacijski centar je potpuno prilagođen osobama s invaliditetom, raspolaže s 70 smještajnih jedinica od kojih 20 radi ljeti. U neposrednoj blizini je plaža prilagođena osobama s invaliditetom kao i grijani bazen, što predstavlja jedinstvenu rehabilitacijsku ponudu. U Domu se provodi program grupne restorativne rehabilitacije za osobe s mišićnim distrofijom i neuromišićnim bolestima sa svrhom očuvanja bioloških potencijala distrofičara koji su odlučujući za kvalitetu življenja svakog pojedinca, što utječe i na ublažavanje socijalnih i psihičkih posljedica invaliditeta. To se postiže: provođenjem fizioterapije (individualne ili grupne vježbe), ručne masaže, hidroterapije (potpomognuto plivanje u moru i grijanom bazenu s morskom vodom na plaži prilagođenoj distrofičarima), kineziterapije, elektro i termoterapije. Poseban naglasak se stavlja i na psihičke i socijalne potrebe kroz druženja u zajedničke aktivnosti. Program se u pravilu provodi svake godine od svibnja do listopada.

### Financiranje:

Društvo distrofikov Slovenije financira se putem Zaklade za financiranje invalidskih i humanitarnih organizacija u Republici Sloveniji. Zaklada financira ili sufinancira trajne i općekorisne djelatnosti koje obihvaćaju programe i usluge koji su od neposredne koristi pojedincima, pridonose poboljšanju njihovog socijalnog položaja ili sprječavaju pogoršanje te stvaraju mogućnosti za samostalniji i neovisniji život.

Zaklada upravlja sredstvima koja stekne plaćanjem naknada za priređivanje igara na sreću u skladu s odredbama Zakona o igrama na sreću i to:

- plaćanja naknade za koncesiju za trajno priređivanje klasičnih igara na sreću, odnosno 80% sredstava ostvarenih uplatom naknade za trajno priređivanje brojčane lutrije, lutrije s trenutno poznatim dobitcima i lutrije, te 20% sredstva ostvarena plaćanjem naknade za koncesiju za trajno uređenje sportske prognoze, druge sportske kladionice i kviza,
- plaćanje naknade za koncesiju za priređivanje posebnih igara na sreću
- plaćanje naknada za povremeno priređivanje igara na sreću,
- iz dobiti - dividende Lutrije Slovenije dd,
- iz sredstava ostvarenih donacijama, glasovima i drugim prihodima.

### **Programi i usluge uključuju:**

- posebne socijalne programe i usluge organizacija s invaliditetom, kojima se osobito pridonosi ostvarivanju prava osoba s invaliditetom, uključivanju osoba s invaliditetom u društvo i njihovom sudjelovanju u svakodnevnom životu, nediskriminaciji osoba s invaliditetom, poticanju oslanjanja na vlastitih snaga i sposobnosti, te osiguravanje ekonomske, socijalne, zdravstvene i pravne zaštite osoba s invaliditetom, socijalne pravde, jednakih mogućnosti i autonomije osoba s invaliditetom kao korisnika usluga,
- programi i usluge humanitarnih organizacija, usmjereni osobito na spašavanje ugroženih osoba i njihovih života, ublažavanje socijalnih i psihosocijalnih poteškoća i problema, poboljšanje socijalnog stanja, sprječavanje pogoršanja socijalnog stanja, jačanje zdravlja, sprječavanje pogoršanja zdravlja ljudi s kroničnim bolestima, te stvaranje mogućnosti za kvalitetniji i samostalniji život osobe s kroničnom boli."
- ulaganja u dugotrajnu imovinu udruga osoba s invaliditetom i humanitarnih udruga te njihovo održavanje
- djelovanje udruga osoba s invaliditetom i humanitarnih udruga.

Posebnost Društva distrofičara Slovenije je da se ne brine samo za interese svojih članova, već se zalaže i za opći napredak položaja osoba s invaliditetom u Sloveniji, jer su dobro uređeni opći životni uvjeti i prijateljsko okruženje, bez arhitektonskih i drugih prepreka, preduvjeti za veću društvenu integraciju osoba s invaliditetom.

DDS danas broji 946 redovnih članova s različitim oblicima mišićnih i neuromuskularnih bolesti te 245 članova podupiratelja. Od rujna 1992. godine udruga je redoviti član EAMDA (European Alliance of Neuromuscular Disorders Associations) sa sjedištem u Ljubljani i svjetske udruge WANDA (World Alliance of Neuromuscular Disorders Associations) sa sjedištem u Australiji. Preko Nacionalnog vijeća organizacija osoba s invaliditetom Slovenije (NSIOS), DDS je članica Europskog foruma osoba s invaliditetom (EDF) od ulaska Slovenije u Europsku Uniju.

# Muscular Dystrophy Association

## (MDA)

<https://www.mda.org/>

### O organizaciji:

MDA je najveća nacionalna neprofitna organizacija koja podržava istraživanje više od 40 različitih neuromuskularnih bolesti već više od 70 godina. Svake godine MDA podupire stotine liječnika i znanstvenika u borbi za razvoj učinkovitih tretmana za mišićne distrofije, bolesti motoričkih neurona i srodne bolesti slabljenja mišića kako bi ljudi koji žive s ovim poremećajima mogli napredovati i baviti se svojim strastima. Od svog osnutka, MDA je uložio više od milijardu dolara zajedno u laboratorije 7000 znanstvenika, pomažući u izgradnji cijelog polja biologije neuromuskularnih bolesti i pionirskih tehnologija kao što su identifikacija gena koji uzrokuju bolesti, genska terapija, antisense oligonukleotidi i, većina nedavno, uređivanje gena.

Istraživanje, koje sponzorira MDA dovelo je do razvoja sedam terapija koje je odobrila FDA, uključujući Rilutek® za ALS, Myozyme® za Pompeovu bolest, Keveyis® za periodičnu paralizu, Spinraza® za spinalnu mišićnu atrofiju (SMA) i Exondys 51®, Emflaza® i Vyondys 53® za Duchenneovu mišićnu distrofiju (DMD). MDA je također financirao prvo ispitivanje genske terapije za bilo koji oblik mišićne distrofije 1999. i prvo ispitivanje genske terapije za DMD na bazi vektora 2006. Sve tri genske terapije u kliničkom testiranju za Duchennea u SAD-u sada se temelje na strategijama razvijenim s MDA financiranje. Američko društvo za staničnu i gensku terapiju MDA je 2019. godine dodijelilo nagradu Sonia Skarlatos za javnu službu za svoj rad na unapređenju genske terapije.

MDA podržava najveću mrežu multidisciplinarnih klinika koje pružaju najbolju skrb u klasi u više od 150 vrhunskih medicinskih ustanova u zemlji, a svake godine tisuće djece i mladih odraslih uče vitalne životne vještine i stječu neovisnost u ljetnom kampu i kroz rekreativne programe, bez troška za obitelj.

### Djelovanje:

U središtu djelovanja MDA su obitelji – davanje više nade i odgovora za obitelji koje žive s mišićnom distrofijom i srodnim neuromuskularnim bolestima koje oduzimaju fizičku snagu i pokretljivost.

Programi koji se provode:

**Inovacije u znanosti** - pogled na bolest iz šire perspektive dovodi do otkrića koja ubrzavaju tretmane i liječenja, a obuhvaćaju:

- **Istraživanje:** MDA je najveći izvor financiranja istraživanja neuromuskularnih bolesti izvan federalne vlade i od svog je početka uložio više od milijardu dolara u financiranje.
- **Tretmani:** Istraživanja koja podržavaju izravno su povezana s odobrenim terapijama koje mijenjaju život u više neuromuskularnih bolesti.
- **Tehnologija:** MOVR platforma prvo je i jedino podatkovno središte koje jedinstveno prikuplja zdravstvene, genetske podatke i podatke koje su prijavili pacijenti, transformirajući zdravstvene ishode i razvoj lijekova za neuromuskularne bolesti.

### Inovacije u njezi

Rana dijagnoza, visoko specijalizirana njega i pristup obećavajućim kliničkim ispitivanjima pomažu u osiguravanju najboljih mogućih ishoda za pojedince i obitelji koji se suočavaju s mišićnom distrofijom, ALS-om i srodnim bolestima opasnim po život. MDA pruža skrb za djecu i odrasle od prvog dana. MDA Care centri nude obiteljima najbolju u klasi, sveobuhvatnu skrb od širokog spektra zdravstvenih stručnjaka na jednom mjestu u istom danu, dok su stručnjaci informirani i obrazovani za pružanje smjernica i podrške kroz svaki korak putovanja:

- **MDA Care Centri:** najveća mreža centara za skrb koji pružaju najbolju u klasi sveobuhvatnu kliničku skrb u vrhunskim zdravstvenim ustanovama.
- **Centar za resurse MDA:** nacionalni centar za resurse ima posvećeni tim stručnjaka koji nude podršku jedan na jedan bez ikakvih troškova.

- **MDA Summer Camp:** Svake godine tisuće djece i mladih odraslih uči vitalne životne vještine i samostalnost u MDA Summer Campu i drugim rekreacijskim programima bez ikakvih troškova za obitelji.

### **Stručno obrazovanje**

MDA nudi niz obrazovnih programa razvijenih za kliničare i specijaliste koji upravljaju i liječe osobe s neuromuskularnim bolestima. Tim za medicinsko obrazovanje udružio se s vodećim državnim misaonim vođama i stručnjacima kako bi kreirao niz obrazovnih programa uključujući CME certificirane velike okrugle webinare, peer-to-peer obrazovne programe i studije slučaja.

- **MDA Grand Rounds Webinari:** MDA Grand Rounds webinar i uključuju stručnjake za neuromuskularne bolesti i uključuju najbolje prakse i praktična klinička razmatranja u liječenju i skrbi za osobe s neuromuskularnim bolestima.
- **Razmatranja u studijama slučaja skrbi:** ove studije slučaja istražuju multidisciplinarno kliničko donošenje odluka kroz optiku dubinskih iskustava pacijenata koji žive s različitim neuromuskularnim bolestima.

**Obrazovanje zajednice** - MDA nudi programe i resurse koji pomažu u obrazovanju zajednice o osnovama neuromuskularnih bolesti.

- **Obrazovni seminari MDA Engage zajednice:** Ovi cjelodnevni obrazovni seminari osnažuju pojedince i obitelji znanjem i resursima o neuromuskularnim bolestima općenito.
- **MDA Engage Simpoziji o specifičnim bolestima:** Ovi jednodnevni edukativni događaji osnažuju pojedince i obitelji znanjem i resursima specifičnim za jednu dijagnozu.

**Zagovaranje** - MDA je posvećena zagovaranju nacionalnih politika i programa koji podržavaju obitelji s neuromuskularnim bolestima ubrzanjem razvoja terapija i liječenja, olakšavanjem rane dijagnoze i liječenja od prvog dana, osiguravanjem pristupa kritičnoj podršci i promicanjem politika koje štite neovisnost ljudi koji žive s invaliditetima. Osim osoblja, zastupnici MDA na lokalnom nivou osiguravaju da zakonodavci u Washingtonu, DC, čuju njihov glas djelujući na mreži, virtualno se sastajući sa zakonodavcima, angažirajući se na društvenim medijima i dijeleći svoje priče s ključnim donositeljima odluka.

### **Financiranje:**

Prikupljanje sredstava i donacija provodi se kroz niz aktivnosti i akcija u koje se uključuju građani (Fill the boot, Galas, Golf Tournament, Muscle Walk, Sharmrocks, Summer camps)

Jedna od aktivnosti koja osigurava održivost financiranja ostvaruje se kroz suradnju s Harley-Davidson Motor Company. Suradnja je započela 1980. godine organizacijom aktivnosti Ride for Life u koju se uključuju motociklisti i prikupljaju sredstva za podršku istraživanjima u znanosti i njezi.

# Muscular Dystrophy Canada

## (MDC/DMC)

<https://muscle.ca/>

### **O organizaciji:**

Od 1954., Muscular Dystrophy Canada (MDC) je vodeći glas neuromuskularne zajednice u Kanadi. Zahvaljujući donatorima, predstavljaju podršku oboljelima kroz ulaganja u istraživanja, osiguravanjem programa i usluga, zagovaranjem te unapređenjem javne politike. Neuromuskularne bolesti definiraju se kao zdravstvena stanja koja su uzrokovana promjenama u genetskom kodu (mutacije) ili promjenama u autoimunom sustavu koje zauzvrat utječu na mišiće i/ili živce koji se povezuju s mišićima. Želja MDC je pružiti podršku kroz sve faze napredovanja bolesti pružanjem alata, resursa i podrške pojedincima koji su potrebni da žive punim i bogatim životom.

### **Djelovanje:**

Programi i usluge MDC igraju ključnu ulogu u informiranju i pružanju podrške članovima neuromuskularne zajednice financiranjem opreme za poboljšanje svakodnevnog života; udumljavanjem obitelji i skrbnika; pružanjem emocionalne i obrazovne podrške; te s pružanjem pristupa vitalnim resursima i sustavima podrške. Zagovaranje je usmjereno su na jačanje javne politike na svim razinama vlasti s ciljem stvaranja pozitivnih promjena. Stalno je nastojanje u dovođenje novih tretmana i ispitivanja u Kanadu. Napredak medicine rezultirao je time da osobe s neuromuskularnim poremećajima žive dulje, ali ne nužno i bolje. Kako njihova bolest napreduje i mijenja se, tako se mijenjaju i potrebe i financijski zahtjevi.

### **Financiranje:**

Dugogodišnja suradnja MDC i kanadskih vatrogasaca u okviru akcije Fill the Boot izgradila je trajno partnerstvo među ta dva dionika. Već više od 67 godina, vatrogasci diljem Kanade podupiru organizaciju organizacijom aktivnosti diljem Kanade kojima se prikupi više od 3 milijuna dolara godišnje. Od 1954. vatrogasci su prikupili gotovo 100 milijuna dolara i napravili veliku razliku za cijelu kanadsku neuromišićnu zajednicu. Svake godine profesionalni i dobrovoljni vatrogasci daju svoje vrijeme i podupiru akciju Fill the Boot organizirajući razne događaje kao što su šetnje čizmama, kampovi na krovovima, penjanje uz stepenice, sjedenje na ljestvama, pranje automobila, tombole, sportska događanja i izvlačenje kamiona! Vatrogasci su napravili razliku u životima bezbrojnih kanadskih obitelji s neuromuskularnim bolestima. Pomogli su u kupnji invalidskih kolica, bolničkih kreveta, proteza za noge, hodalica, respiratora i druge opreme koja mijenja život. Podržavaju napore zagovaranja podizanja svijesti i pozitivnih promjena politike te pomažu u financiranju istraživanja koja pomažu Kanadanim da žive dulje. Ono što je možda najvažnije, stavili su osmijehe na lica tisuća djece, nadu u srca roditelja, povjerenje u umove donatora i primjer su predanosti i služenja našoj zajednici.