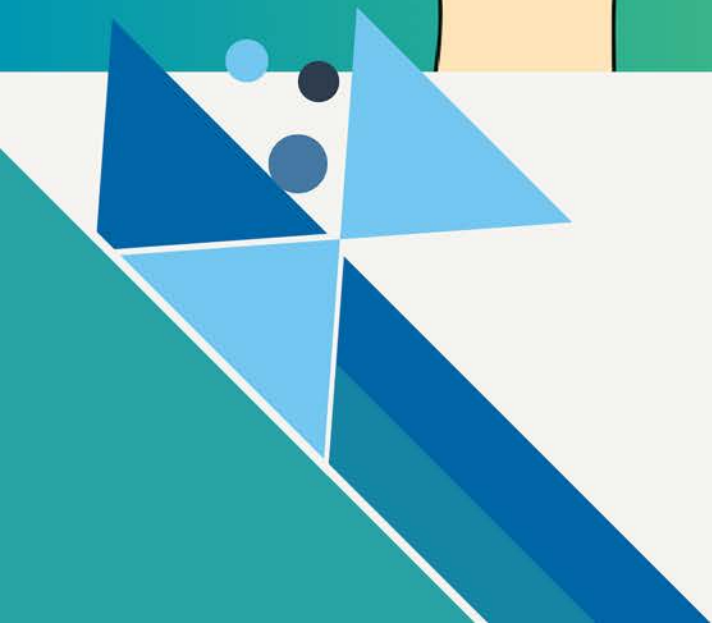


# Jaarverslag

2023

VKS

Zwolle



# INHOUD

2	Inhoud	
3	Dit is VKS	
4	Taken en Missie	
5	Een terugblik	
6	Contact toegelicht	
8	Overzicht bijeenkomsten	
9	Ontcijferen informatie	
10	Wisselstof	
		11
		12
		13
		14
		15
		16
		17
		Informatieproject 2023
		Zorgpaden
		Opkomen voor patiënten
		Verder Samenwerken
		Vergoeding gentherapie
		De organisatie VKS
		De Jaarcijfers





# Dit is VKS

VKS staat voor Volwassenen en Kinderen met Stofwisselingsziekten. Het is de patiëntenorganisatie die zich inzet voor mensen met alle erfelijke stofwisselingsziekten in Nederland. Wij richten ons op het verbeteren van het leven van patiënten met deze ziekten. Erfelijke stofwisselingsziekten worden in de medische wereld ook wel erfelijke metabole ziekten genoemd. Wij gebruiken beide termen als synoniem.

VKS is momenteel verbonden met meer dan 1500 families, voornamelijk uit Nederland. Op dit moment zijn er in onze achterban meer dan 160 verschillende ziekten vertegenwoordigd. Iedereen die te maken heeft met een stofwisselingsziekte is welkom om zich bij ons aan te sluiten.

Ons bestuur bestaat uit ervaringsdeskundigen. Ouders van een patiënt of mensen die zelf een stofwisselingsziekte hebben. Zij stellen het beleid vast en zetten zich met passie in voor onze missie. Op ons kantoor werken vier toegewijde medewerkers, wat resulteert in een totaal van 2,9 fulltime equivalent (FTE).

Binnen VKS bundelen we de kennis en ervaring van het bestuur, de medewerkers en onze leden. Samen vormen we ideeën en projecten die bijdragen aan ons doel: meer aandacht voor stofwisselingsziekten, snellere diagnose, betere zorg en een beter leven voor iedereen die met deze ziekten te maken heeft. Laten we samen hoop creëren voor de toekomst!

## BESTUUR



Alfons Heetjans, voorzitter  
Marjolein Koot, bestuurslid  
Laura Ruitenburg, bestuurslid  
Jaqueline Mertens, bestuurslid  
Anneke Vermeulen, secretaris  
Miranda Smit, adsp. bestuurslid

## BUREAU



Hanka Dekker, directeur  
Caroline van Essen, coördinator/verbinder  
Petra Hollak, wetenschappelijk redacteur  
Sabine Boschman, secretaresse

# Taken en Missie

Het is onze missie om bewustzijn te creëren en meer kennis te verspreiden over alle erfelijke stofwisselingsziekten die onze achterban treffen.

Bij VKS draait alles om informatie, contact en belangenbehartiging.

Vanwege de zeldzaamheid weet het grote publiek vaak niet veel van deze ziekten. Maar ze hebben een enorme impact op het leven van patiënten en hun families en dat zouden meer mensen moeten weten.

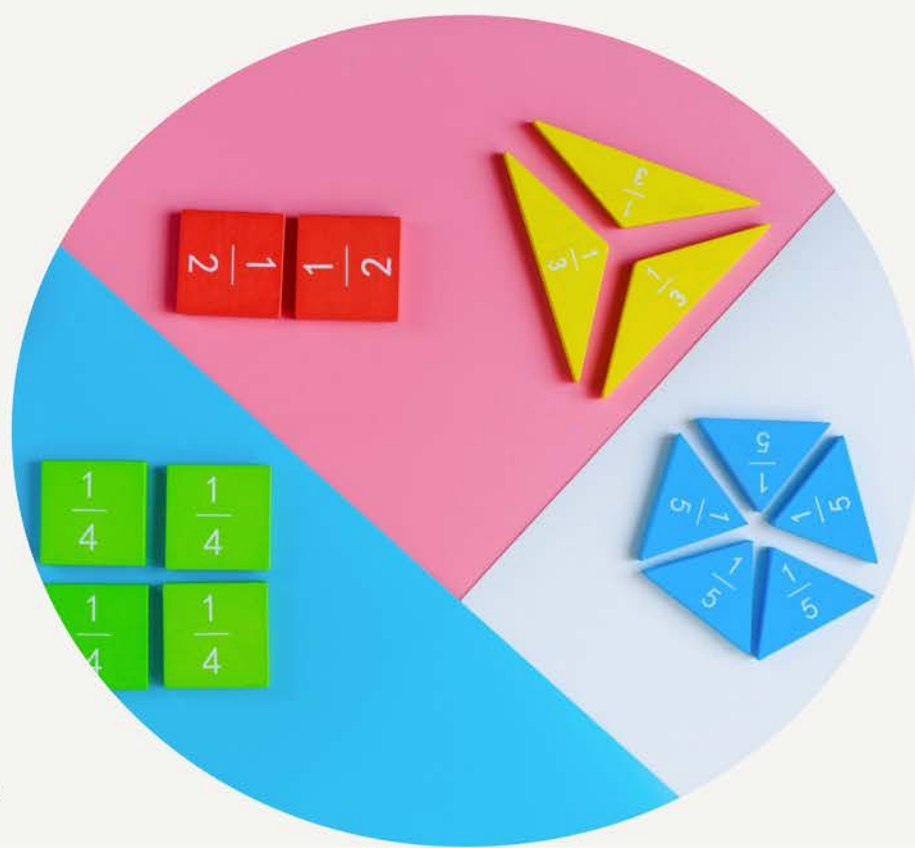
We werken aan meer bekendheid voor de problematiek en zorgvraag van patiënten.

Binnen VKS zijn er verschillende groepen gevormd van mensen met op elkaar lijkende of dezelfde ziekten.

Daarnaast hebben we ook thematische groepen die zich richten op de overstijgende aspecten van stofwisselingsziekten. Deze groepen bieden lotgenotencontact en relevante informatie aan ouders, patiënten of geïnteresseerden.

Maar bovenal komen wij op voor de belangen van patiënten. Of het nu gaat over zorg, toegang tot medicijnen of de ontwikkelingen in de wetenschap.

## CONTACT, INFORMATIE, BELANGENBEHARTIGING





# Een terugblik op onze inzet

VKS wil er ook zijn voor familieleden van hen die te maken krijgen met stofwisselingsziekten. We willen iedereen die met stofwisselingsziekten te maken krijgt bereiken en betrekken. Het afgelopen jaar hebben we ons daar op verschillende manieren voor ingezet. In dit jaarverslag vind u een kleine bloemlezing. Het thema van dit jaar is 'hoop', omdat het ons drijft en inspireert om door te gaan. We willen soms meer dan mogelijk is maar we blijven ons best doen om het verschil te maken. Voor de mensen die getroffen zijn door een stofwisselingsziekte. We zijn er ook voor mensen die (nog) geen lid zijn.

Onze motivatie om door te gaan komt voort uit de hoop op een betere toekomst voor kinderen en volwassenen met een stofwisselingsziekte. Beschikken over voldoende middelen om dit doel te bereiken is niet altijd gemakkelijk. Desondanks zijn we trots op wat we hebben bereikt.

We delen graag onze successen en uitdagingen met u. En staan ook open voor suggesties en samenwerking. Als lezer kunt u ons helpen door uw steun en feedback. Samen kunnen we werken aan een gezonde toekomst voor mensen met een stofwisselingsziekte.

Bedankt voor uw interesse en betrokkenheid.

Hanka Dekker  
Directeur VKS



# Contact toegelicht

We organiseren jaarlijks veel bijeenkomsten om mensen met lotgenoten in contact te brengen en informatie over ziekten te laten geven door specialisten en onderzoekers. Door deze bijeenkomsten, live of online, kunnen we patiënten en ouders ook laten meedenken en meepraten over de organisatie van de zorg. Het contact met anderen die met dezelfde ziekte of dezelfde problematiek te maken hebben, kan voor een individuele patiënt heel veel betekenen. Bijeenkomsten waar artsen en onderzoekers patiënten informeren, helpen ook bij het omgaan met de ziekte in de praktijk. Naast voorbeelden, geven we ook een overzicht van alle bijeenkomsten in 2023.

## Online ALD-vrouwen

Het was een gezellige boel tijdens het allereerste online samenkomen van vrouwen met ALD. En wat een succesvolle bijeenkomst was het! Tien vrouwen sloten zich aan bij deze primeur en er ontstond een levendig gesprek over herkenning, erkenning, klachten en hoe we in beweging kunnen blijven (of juist niet). Maar bovenal deelden we onze zorgen over het heden en de toekomst. We spraken over keuzes die we maken voor onszelf en voor onze kinderen, en wat nu precies kwaliteit van leven betekent voor ieder van ons. Het was een fascinerende avond waarin iedereen haar verhaal kon delen, er naar elkaar werd geluisterd, tips werden uitgewisseld en af en toe een hart onder de riem werd gestoken. Kortom, absoluut voor herhaling vatbaar!

We gaan binnenkort weer een nieuw moment prikken om verder te praten met elkaar. En dit is natuurlijk niet alleen voor de dames die de eerste keer aanschoven. Alle vrouwen met ALD zijn welkom om mee te praten. Want samen voelen we ons vaak toch een stuk sterker.



## Bijeenkomst in het licht

Het was juni en warm buiten, maar heel cool in het UMC Utrecht op de bijeenkomst voor langeketenvetzuuroxidatieziekten. Voor een publiek van 50 ouders en patiënten werden allerlei interessante onderwerpen besproken.

Er waren veel sprekers: Marit Schwantje, Leonie Akerboom, Jorien Haverkamp, Riekelt houtkooper en Khya Snelder. Allemaal artsen in spé onderzoekers, dietisten en labspecialisten. Verder nog:

Rose Maase van het RIVM praatte ouders en patiënten helemaal bij over de stappen van de hielprikscreening. Ze zijn bij het RIVM altijd bezig om die nog sneller en nauwkeuriger te maken.

Kinderarts Sabine Fuchs sprak over uitkomsten van onderzoeken naar de problemen die kunnen ontstaan door langeketenvetzuuroxidatiestoornissen. Er zijn ernstige en milde vormen van deze ziekten. Kinderen van vóór en ná invoering in de hielprik hebben een duidelijk verschil in het verloop van de ziekte. Ook vertelde ze vol enthousiasme vertelde ze over nieuwe technieken voor behandeling. Er wordt onderzoek gedaan naar gentherapie, mRNA-therapie, gen-correctie en *prime editing*.

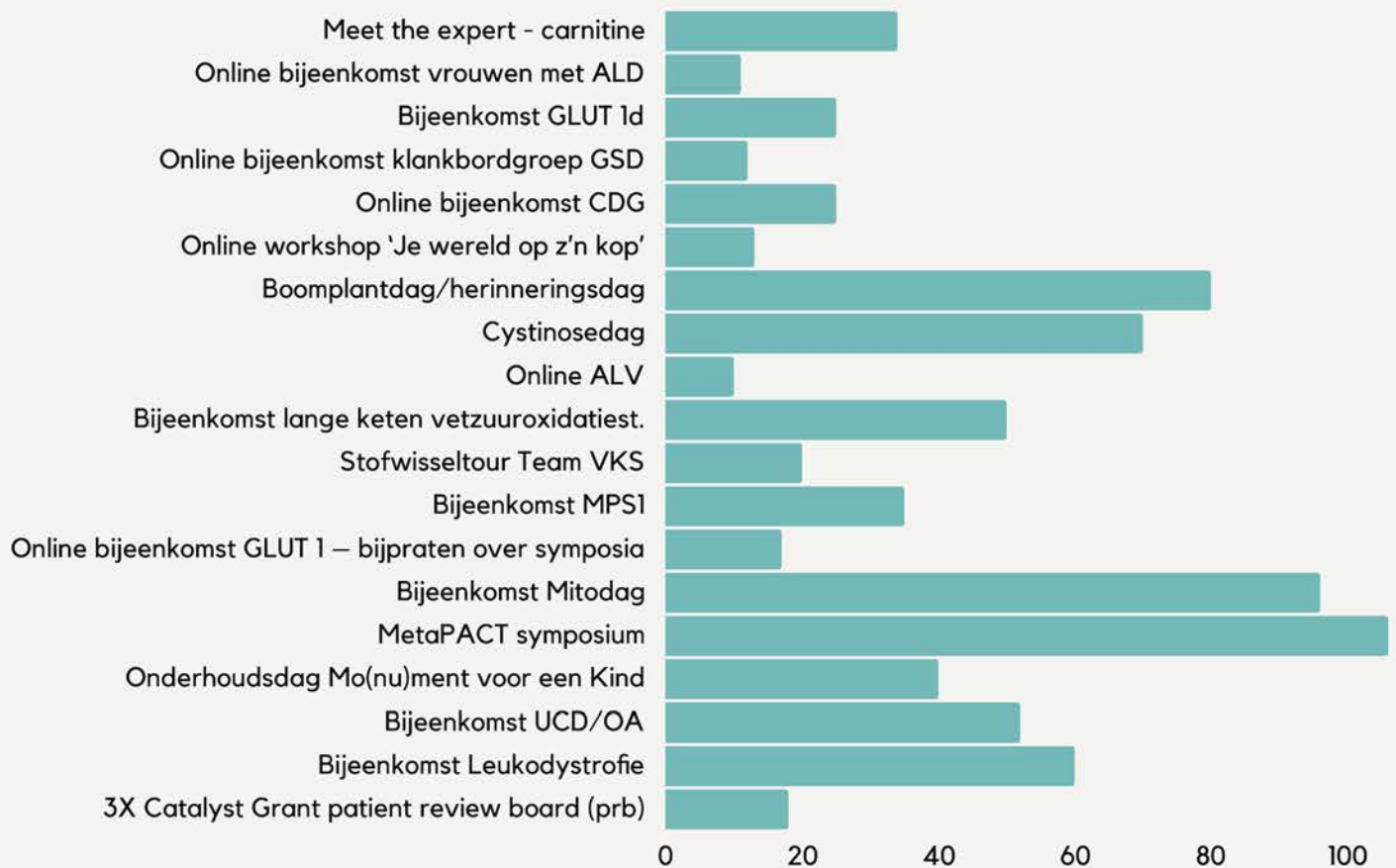
Internist Mirjam Langeveld ging in op haar onderzoek naar het inspanningsvermogen en de inspanningstolerantie van patiënten met LCHADD.

Hopelijk hebt u door deze samenvatting een indruk van hoeveel professionals op hun vrije zaterdag klaarstaan voor patiënten.

Zo'n dag is echt belangrijk voor patiënten die met (in dit geval) een vetzuuroxidatie stofwisselingsziekte te maken hebben.



# Overzicht bijeenkomsten 2023



24 BIJEENKOMSTEN MET 798 BEZOEKERS/DEELNEMERS

13 VOOR SPECIFIEKE ZIEKTEN(GROEPEN)

8 VOOR/OVER THEMA

3 VOOR UMD ORGANISATIE





# Ontcijferen van informatie

We willen een wereld waarin informatie over erfelijke stofwisselingsziekten (ook wel metabole ziekten) glashelder is, zodat patiënten en ouders niet verdwalen in medisch jargon maar begrijpelijke informatie krijgen. Dit is een belangrijk deel van onze taak.

## Een brug tussen wetenschap en dagelijkse realiteit

Medische communicatie kan ontoegankelijk zijn. VKS werkt om informatie over ziekten toegankelijk te maken. Door deze te 'ver- en hertalen' naar producten die leesbaar zijn en waarde toevoegen aan het leven van patiënten en hun ouders. We hebben het hier niet over het alleen vervangen van moeilijke woorden door gemakkelijkere termen. Het gaat verder. Denk hierbij aan:

- Leesbare Informatie: ziekte-informatie uit de wetenschap vertaald naar leesbare informatie in het Nederlands.
- Visuele Hulpmiddelen: omdat een beeld soms meer zegt dan duizend woorden, maken we informatie die meer beeld dan tekst gebruikt om complexe onderwerpen uit te leggen.
- Het online Magazine Wisselstof met ervaringsverhalen en interviews.
- Zorgpaden: ontwikkeld samen met professionals om patiënten door het zorgproces te navigeren.

## Het echte leven belichten

Er zijn twee kanten aan elk verhaal. We brengen het echte leven met een stofwisselingsziekte, de ervaringskennis, onder de aandacht van professionals. Onze inbreng komt terecht bij internationale onderzoeksprojecten, wetenschappelijke artikelen en richtlijnen voor specifieke stofwisselingsziekten.

Door verhalen en ervaringen te delen wordt er bewustzijn gecreëerd. Dit opent nieuwe wegen voor onderzoek en behandeling. Dit delen motiveert ook alle partijen. In essentie draait alles om samenspel. Tussen patiënten, ouders, artsen en onderzoekers, tussen tekst en beeld! Dit samenspel maakt informatie over stofwisselingsziekten niet alleen toegankelijk maar transformeert het ook tot iets levends. Iets dat groeit en boven alles hoop geeft.





# Wisselstof

4x per jaar komt ons online magazine Wisselstof uit. Met deze publicatie proberen wij de wereld van patiënten en de wetenschappelijke wereld bij elkaar te brengen. Daarom bevat dit magazine zowel ervaringsverhalen als nieuws en interviews met professionals. Lees het blad online of grasduin in artikelen die we via onze website aan specifieke ziekten koppelen.

Congenitale defecten van de glycosylering (CDG) type 1A

## 'WAT HEB JE HET DAPPER GEDAAN'

Na drie extra zware jaren medische zorg moest de 8-jarige Lieselot in de lente van 2022 haar strijd opgeven. Ze overleed aan een combinatie van congenitale defecten van de glycosylering (CDG) type 1A en de griep. Haar moeder Anouschka moet het inmiddels een half jaar zonder haar dochter stellen. 'Nu komt er pas een beetje rust, en het besef', vertelt ze. In oktober heeft ze met familie en vrienden de verjaardag van Lieselot gewoon nog gevierd. 'Een persoonlijk begeleider van Lieselot had zonder dat ik het wist een dagboek over haar bijgehouden. Dat kreeg ik online op haar verjaardag. Het is prachtig, heel bijzonder!'



NAEI

## DE ONTDEKKING VAN EEN NIEUWE ZIEKTE

Dankzij de 12-jarige Joline uit Amersfoort kwamen wetenschappers van het UMC Utrecht een nieuwe stofwisselingsziekte op het spoor. Het gaat om een genetisch defect aan een gen dat belangrijk is voor 'normale' groei en bescherming tegen verschillende ziekten en fysieke stress. De ontdekkers van het defect aan het NAEI-gen zijn blij. Wie weet opent zich nu een weg naar een toekomstige behandelmogelijkheid. Maar hoe is het voor Joline en haar ouders om 'patiënt 1' te zijn? Vader Björn vertelt.

Nieuw: Kennisagenda Erfelijke Metabole Ziekten

## LOSSE POSTZEGELTJES SAMEN OP VOLLE KRACHT VOORUIT

Het haalde niet het achtuurjournaal en stond niet op voorpagina's. Maar voor wie betrokken is bij de wereld van metabole ziekten was er op 19 juni 2023 wel degelijk belangrijk nieuws. Die dag werd in Den Haag de eerste Nederlandse Kennisagenda Erfelijke Metabole Ziekten gepresenteerd. In een kennisagenda beschrijven deskundigen -50k ervaringsdeskundigen- welke kennis ontbreekt binnen een vakgebied en wat nodig is om dat te veranderen. We vroegen drie betrokkenen wat deze kennisagenda zo belangrijk maakt.



# Informatieproject 2023

## Noodbrieven Generator

We werken vaak internationaal samen om patiënten te helpen. Uit een internationaal project kwam de website [www.emergencyprotocol.org](http://www.emergencyprotocol.org) voort. Deze website stelt mensen met vetzuuroxidatiestoornissen of levergebonden glycogeenstapelingsziekten in staat om noodbrieven te maken. Dat document geeft artsen en verpleegkundigen instructies over hoe ze in noodgevallen kunnen helpen.

Een noodbrief is belangrijk wanneer een patiënt ernstig lage bloedsuikerspiegels krijgt in combinatie met koorts of braken. In 2023 werd een nieuwe website in gebruik genomen. Sindsdien zijn er al 2000 brieven gemaakt, die in 12 talen en in vele landen worden gebruikt.

Onze toekomstplannen omvatten nieuwe noodbrieven voor andere ziekten, zoals ureumcyclusdefecten en organische zuurziekten. Voordat dit mogelijk is, moeten artsen in Nederland gezamenlijk beslissen welke behandeling en medicijnen voor die ziekten standaard zijn tijdens noodgevallen.

Met de feedback van gebruikers en artsen willen we deze tool steeds beter maken. Het doel is om ouders en patiënten praktisch te ondersteunen en artsen te helpen om samen te werken voor de beste zorg. VKS zet zich in voor het goed functioneren en bijhouden van de website en de noodbrieven, omdat we geloven dat grensoverschrijdende samenwerking geweldige resultaten kan opleveren voor mensen die extra hulp nodig hebben in moeilijke situaties.

### Handleiding voor ouders en patiënten



**Als je/je kind ziek wordt**  
Symptomen die gepaard gaan met risico op metabole ontsporing, kunnen algemeen zijn (zoals overgeven, diarree en koorts) of heel specifiek voor de ziekte (zoals spierpijn). Als deze symptomen zich voordoen, hebben patiënten met een metabole ziekte extra energie nodig. Maar door de metabole ziekte kunnen zij niet op de normale manier voldoende energie vrijmaken. Daardoor kan metabole ontsporing ontstaan. Behalve een tekort aan energie kunnen er ook giftige stoffen ontstaan, die schadelijk zijn voor het lichaam.

**Fase 1, stap 1**  
Als je risicofactoren ziet van metabole ontsporing start dan met de toepassing van het noodprotocol. Neem contact op met de specialist of het lokale ziekenhuis om hem/haar hierover te informeren. De telefoonnummers staan allemaal in het noodprotocol.

**Fase 1, stap 2**  
Geef het kind de in het protocol voorgeschreven paracetamol en noodoplossing. Het verlagen van de lichaamstemperatuur is heel belangrijk om het verbruik van energie naar beneden te krijgen. Hiervoor is Paracetamol een goede eerste stap. Sommige dokters adviseren aanvullende of andere koortsverlagende middelen, zoals NSAIDs (bijv. Ibuprofen).

**Voelt de patiënt zich beter?**  
Check elke drie uur, ook 's nachts, de temperatuur en hoe ziek de patiënt zich voelt. Als hij/zij zich in de loop van de tijd beter voelt, geef dat dan door aan de dokter.  
Gaat de patiënt zich niet beter voelen?  
Wanneer het slechter gaat, gaat fase twee van het noodprotocol in. Deze fase vraagt om een rechtstreeks bezoek aan het ziekenhuis.

**Fase 2**  
**Bel een ambulance of breng de patiënt naar het ziekenhuis.**  
Bel het dichtstbijzijnde ziekenhuis (waarmee ook afspraken zijn gemaakt en die een kopie van het protocol hebben ontvangen) en neem voor de zekerheid het noodprotocol mee. Als de situatie heel ernstig is: bel 112 en vraag met spoed om een ambulance. Geef het noodprotocol zo snel mogelijk aan de dokter/verpleger of ambulancemedewerker en benadruk het belang van het volgen ervan. Geef ook de contactgegevens van de dokter die eerder geïnformeerd is. Het noodprotocol kan dan verder door de professionals gevolgd worden.  
Het is belangrijk dat in fase 2 de metabool specialist wordt gebeld voor overleg.




# Zorgpaden

Normaal gesproken is het ziekenhuis verantwoordelijk voor het maken van plannen om een patiënt met een bepaalde ziekte behandelen. Vaak wordt dat een zorgpad genoemd. Vanuit VKS zijn we in 2010 begonnen met het maken van zorgpaden voor stofwisselingsziekten omdat er destijds geen zicht was op hoe patiënten met stofwisselingsziekten behandeld en gevolgd werden. Er waren nog geen expertisecentra en er zijn nog steeds weinig wetenschappelijke richtlijnen. Daarom misten ouders en patiënten houvast.

Bijzonder aan onze zorgpaden is dat alle artsen en onderzoekers in Nederland met ons samenwerken om ze te maken. Financiering liep de laatste jaren via UMD en Metakids.

Helaas gaat de betrokkenheid van VKS eindigen in 2024. We zijn trots op wat we hebben bereikt, en verdrietig dat het stopt. We proberen manieren te vinden om de zorgpaden door te geven aan de beroepsgroepen. De zorgpaden die we nu hebben, zijn lijvige documenten. We willen versies die zowel patiënten als andere behandelaren (niet gespecialiseerd in stofwisselingsziekten) snel en goed op de hoogte brengen van de zorg die patiënten kunnen en mogen verwachten.

De zorgpaden blijven beschikbaar via de website.

## nieuwe zorgpaden 2023

**MADD**

Behandelaren

**MLD**

Behandelaren

**Mitochondriële ziekten**

Patiënten

**Zellweger spectrum**

Behandelaren

**Ziekte van Fabry**

Patiënten

**GSD III**

Update Patiënten

## Concepten 2023

**GLUT1-deficiëntie**

**GSD VI en IX**

**LPI**

**MPS 2**

**SLO-syndroom**





# Opkomen voor patiënten

Het is een vage term en een lang woord: belangenbehartiging. Het betekent dat we opkomen voor dingen die belangrijk zijn voor alle stofwisselingsziekten (ook wel metabole ziekten genoemd). Patiëntenorganisaties bestaan om dit te doen. In de wereld gaat het vaak om jezelf en wat jij wilt. Als er ziekte is, heb je minder te willen, maar er zijn wel wensen. Het is belangrijk om samen te werken aan dingen die goed zijn voor iedereen. Niet alle ziekten zijn hetzelfde en niet alle patiënten zijn hetzelfde, maar als we samenwerken, kunnen we betere zorg geven aan mensen nu en misschien een beter leven geven aan patiënten in de toekomst.

Onze samenwerkingspartners zijn mensen die werken met stofwisselingsziekten. Zij zijn lid van verschillende organisaties zoals ESN, INVEST en de Federatie van Medisch specialisten (waar kinderartsen en internisten bij horen).

VKS maakt sinds 5 jaar deel uit van het UMD-consortium. Dit betekent dat we samenwerken met 6 ziekenhuizen en met patiënten om de behandeling en zorg voor patiënten te verbeteren, zodat hun leven beter wordt. Het UMD is de afgelopen 5 jaar gefinancierd door Metakids.

Samen hebben we in 2023 o.a. de kennisagenda erfelijke metabole ziekten gemaakt.



# Verder samenwerken

Er zijn veel verschillende erfelijke stofwisselingsziekten. Omdat ouders en patiënten onderzoek en informatie voor hun eigen ziekte heel belangrijk vinden, zijn er in de loop van de tijd diverse organisaties gevormd voor één ziekte of voor fondsenwerving voor onderzoek.

Sinds maart 2020 zijn zo'n 25 organisaties met elkaar in gesprek om te kijken hoe ze elkaar en de boodschap 'Samen werken aan en voor stofwisselingsziekten' vorm kunnen geven. UMD, het consortium van alle UMC's plus VKS, is ook in deze samenwerking vertegenwoordigd. Evenals Metakids, in omvang de grootste fondsenwerver voor onderzoek. Krachtenbundeling resulteerde al in een gezamenlijk symposium, een website en een aantal nieuwsbrieven voor Metapact. Ook is er een gezamenlijke dag: 17 oktober, de dag van de krachtenbundeling.

Samen gaat het misschien minder snel, maar komen we verder voor iedereen die met een stofwisselingsziekte te maken heeft. Hieronder een overzicht van de organisaties die actief bij Metapact zijn aangehaakt:





# Vergoeding gentherapie

## Een verhaal van hoop

Ontwikkeling en marktintroductie van medicijnen voor zeldzame ziekten duurt lang. Dit geldt zeker voor gentherapie. Deze behandeling is nieuw en onbekend en kampt vaak met hoge prijzen. Daardoor zijn er lange trajecten naar vergoeding door de verzekering. VKS zet zich in voor de beschikbaarheid van medicijnen. In de afgelopen 20 jaar hebben we veel geleerd en soms een succesje behaald voor patiënten.

Voordat er een medicijn is moet er al veel gebeurd zijn:

- Wetenschappers moeten onderzoek doen naar de ziekte en weten hoe het komt.
- Er moet genoeg geld zijn voor onderzoek en ontwikkeling van het medicijn.
- Artsen moeten veel weten over de ziekte en al veel patiënten kennen.
- Het moet mogelijk zijn om snel een diagnose te stellen.
- Een farmaceutisch bedrijf moet willen investeren in het medicijn.
- Er moeten patiënten zijn die mee willen en kunnen doen aan onderzoek.

Voor de stofwisselingsziekte MLD hebben wetenschappers een nieuwe behandeling bedacht met veranderde cellen. Deze behandeling kan sommige patiënten helpen. Dankzij een biotechbedrijf kon dit medicijn uiteindelijk geregistreerd worden. De naam werd Libmeldy.

Maar daarna moest nog besloten worden of het medicijn vergoed zou worden in Nederland. Het medicijn is namelijk heel duur. Ook kan niet iedere patiënt ermee worden behandeld. Veel kinderen met MLD worden pas gevonden als ze al te veel symptomen hebben, waardoor behandeling niet zinvol is. De verhalen van ouders en patiënten speelden een belangrijke rol bij het pleiten voor vergoeding. In april 2023 zei de minister dat er geen vergoeding kwam. Maar dat veranderde in het najaar, toen er een Nederlandse baby behandeld kon worden. Dankzij samenwerking tussen VKS, artsen en beleidsmakers werd het medicijn uiteindelijk toch vergoed in Nederland.

Alle kinderen met MLD zouden op tijd gevonden moeten worden. Daarvoor moet MLD toegevoegd worden aan de hielpriek in Nederland. Hiervoor pleiten is onze missie in de komende jaren.

## 'KIND MIDDEL NIET GEVEN IS ONMENSELIJK'

door Renate Curfs

**AMSTERDAM** • Vier jaar geleden kreeg de nu achtjarige Karsten uit De Bilt de diagnose metachromatische leukodystrofie (MLD). Deze ernstige en erfelijke stofwisselingsziekte is zo zeldzaam dat slechts een paar kinderen per jaar deze ziekte krijgen.

„Zijn broer Joep was kort daarvoor gediagnosticeerd met MLD”, vertelt Arco Stam, vader van beide jongens. „Dus we wilden weten of Karsten het ook had.” Als ze horen dat zowel Joep als Karsten de ziekte hebben, komt dat hard aan. „De grond verdween onder onze voeten.”

Kinderen met MLD krijgen een

verstandelijke beperking en hebben steeds meer moeite met lopen, zien en praten. Meestal overlijden ze al een paar jaar na de diagnose. De Britse farmaceut Orchard Therapeutics kwam vijf jaar geleden met een medicijn tegen de ziekte: gentherapie Libmeldy.

De behandeling werkt alleen als kinderen nog geen klachten hebben. Omdat Karsten nog niets mankeerde, kon hij in 2020 meedoen aan een wetenschappelijke trial met het middel. „Na een jaar bleek dat de therapie had gewerkt”, zegt Stam. „Onze jongste zoon had weer een toekomst.”

Waar Karsten herstelde, had Joep minder geluk. De ziekte was bij hem al zo ver gevorderd, dat



De broers Karsten en Joep met hun ouders.

EIGEN FOTO

hij geen baat meer zou hebben bij Libmeldy. Twee maanden geleden overleed hij op negenja-

rige leeftijd. „De pijn die je als ouder dan voelt, is onbeschrijfelijk.”

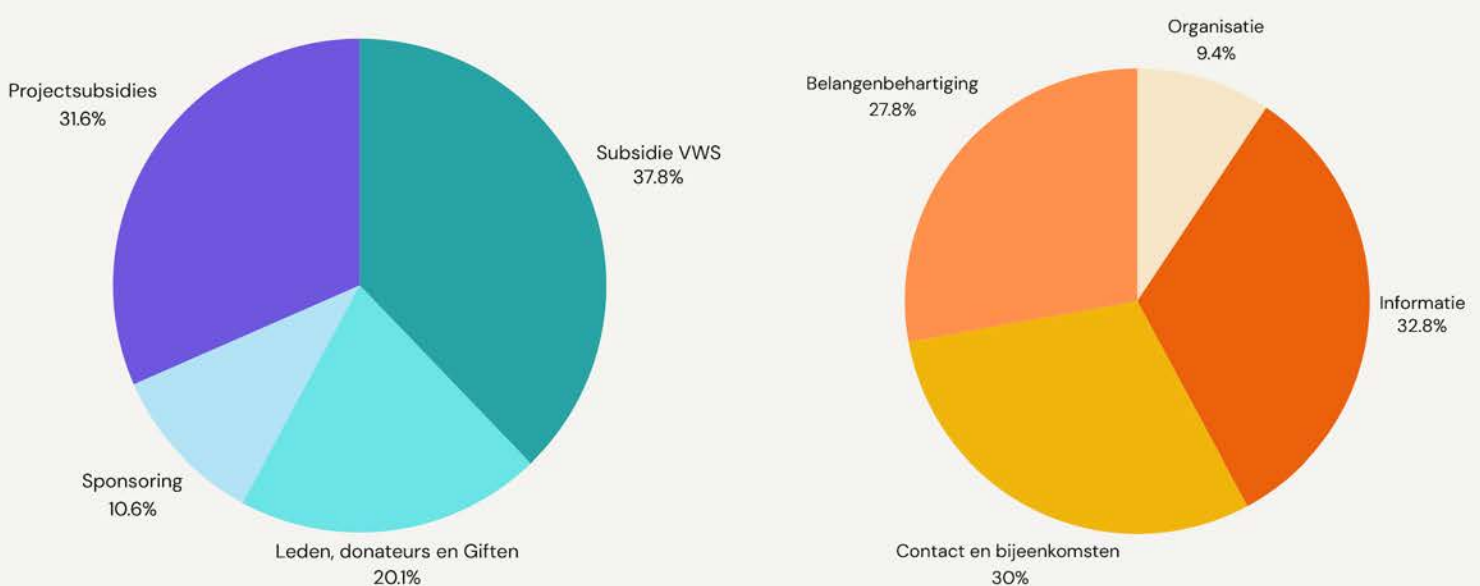
Dit voorjaar meldt zorgminister Kuipers dat Libmeldy niet in het basispakket komt. De fabrikant vraagt een veel te hoge prijs: bijna 2,9 miljoen euro per behandeling. Nederland wil nog niet de helft betalen. Daarmee hebben kinderen met MLD voorlopig geen toegang tot het middel.

„Natuurlijk gaat het om veel geld”, zegt Stam. „En ik begrijp het dilemma.” Het wordt even stil. „Maar ik weet als geen ander hoe het is om een kind aan deze ziekte te verliezen. Hoe duur ook, een kind dit middel niet geven, zie ik als onmenselijk.”

# De organisatie VKS

## Klein maar veelzijdig

De bureauorganisatie van VKS is niet groot. Toch krijgen we voor veel verschillende ziekten veel voor elkaar. Financieel gaat het VKS het ene jaar beter dan het andere. Dat komt vooral doordat er niet altijd vaste inkomsten tegenover de uitgaven staan. We hebben de ambitie om van betekenis te willen zijn voor onze achterban. Dat betekent soms al handelen en meedoen, terwijl er nog geen financiële dekking is. In het belang van de patiënten. In de tabellen een percentuele weergave van uitgaven en inkomsten.



## Solvabiliteit

De accountant stelt vast dat het solvabiliteitspercentage van VKS 70% is. Vorig jaar was dat 78%. Over het algemeen wordt een percentage tussen de 25 en 50% als minimum gezien om aan de financiële verplichtingen te kunnen voldoen. Een ander belangrijk kengetal is het weerstandsvermogen. Dit is de hoogte van het eigen vermogen ten opzichte van de baten. Algemeen wordt een weerstandsvermogen van 20% tot 25% als minimum gehanteerd. Het weerstandsvermogen van VKS is ultimo 2023 ruim 25%. Vorig jaar 40%. De Quick ratio staat op 3.5 (vorig jaar 5.6). Het netto werkkapitaal is € 62.375 (vorig jaar € 121.669). Een gezonde onderneming heeft bij voorkeur een quick ratio van 1 of hoger, afhankelijk van de samenstelling van kortlopende vorderingen en schulden.



# De Jaarcijfers

## BALANS

	31-12-2023		31-12-2022			31-12-2023		31-12-2022	
	€	€	€	€		€	€	€	€
<b>Activa</b>					<b>Passiva</b>				
<b>Materiele vaste activa</b>					<b>Eigen vermogen</b>				
Andere vaste bedrijfsmiddelen		14.824		21.206	continuïteitsreserve	47.883		116.483	
<b>Financiële vaste activa</b>					bestemmingsreserve	20.114		20.114	
Andere deelnemingen	3.000		3.000			67.997		136.597	
waarborgsommen	2.716		2.716		<b>Voorzieningen</b>		14.918		11.994
		5.716		5.716					
		20.540		26.922	<b>Kortlopende schulden</b>				
<b>Vlottende activa</b>					Crediteuren	3.747		2.885	
<b>Vorderingen</b>					Belastingen en premies sociale verzekeringen	12.802		12.918	
Debiteuren	200		600		overige schulden	8.368		10.797	
Overige vorderingen	21.842		22.826			24.917		26.600	
		22.042		23.426					
<b>Liquide middelen</b>		65.250		124.843					
		107.832		175.191		107.832		175.191	

## STAAT VAN BATEN EN LASTEN

	Realisatie 2023 €	Begroting 2023 €	Realisatie 2022 €	Begroting 2022 €
<b>Baten</b>				
Contributie en Schenkingen	52.928	55.000	59.565	60.000
Sponsorbijdragen	27.897	40.000	18.959	20.000
Bijdragen producten en diensten	5.270	4.000	5.552	-
Subsidiebatens	183.466	225.000	255.848	235.000
overige Baten	80	-	5.694	-
	<u>269.641</u>	<u>324.000</u>	<u>345.618</u>	<u>315.000</u>
<b>Lasten</b>				
Lotgenotencontacten	12.604	12.000	9.825	8.500
informatie en voorlichting	9.375	13.800	7.465	7.500
belangenbehartiging en ontwikkeling	(218)	5.000	22.848	15.000
personeelsbelongingen	259.924	258.000	239.561	245.000
afschrijvingen	6.382	6.000	6.479	6.000
Huisvestingslasten	16.943	20.000	15.653	18.000
Kantoorlasten	24.039	8.000	16.134	11.000
Algemene lasten	10.009	1.200	9.498	4.000
Financiële baten en lasten	(754)	-	37	-
	<u>338.241</u>	<u>324.000</u>	<u>327.500</u>	<u>315.000</u>
<b>(Negatief) Saldo</b>	<u>(68.600)</u>	<u>-</u>	<u>18.118</u>	<u>-</u>
<b>Resultaatbestemming</b>				
Continuïteitsreserve	(68.600)	-	12.424	-
Bestemmingsreserve	-	-	5.694	-
	<u>(68.600)</u>	<u>-</u>	<u>18.118</u>	<u>-</u>

### Financieel verslag

Wij laten onze jaarstukken jaarlijks door HK Accountants BV controleren en proberen de financiële en inhoudelijke verantwoording zo transparant mogelijk te maken. De Balans en staat van Baten en lasten, publiceren we dan ook met dit verslag. De gewaarmerkte stukken en de goedkeurende verklaring zijn via ons op te vragen.