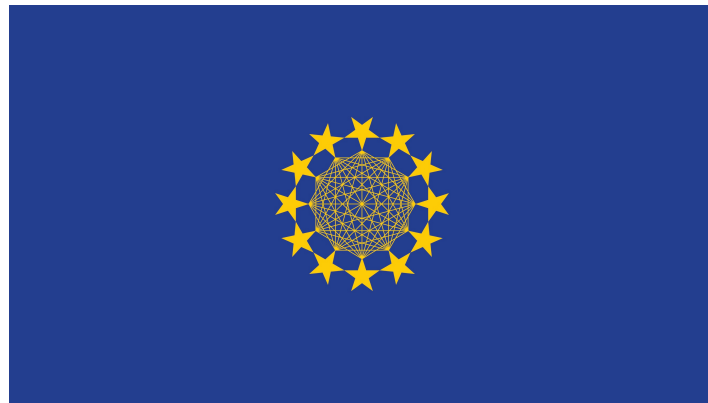


# PIERRE ROBIN EUROPE



## 2018 Annual Report Policies, Goals, and Activities

Stichting Pierre Robin Europe  
Gerard Terborgstraat 51 2  
1071TL Amsterdam  
The Netherlands  
[www.pierrerobineurope.com](http://www.pierrerobineurope.com)  
[outreach@pierrerobineurope.com](mailto:outreach@pierrerobineurope.com)  
+31-20-671-1790  
RSIN 859502351



Ref: DU/SGR (14 december 2018.1)  
Dos: 2018.3329.01

## STICHTING

Heden, achttien december tweeduizend achttien, \_\_\_\_\_  
verschijnt voor mij, mr. Ingeborg Margu erithe Duyverman, notaris te Utrecht: \_\_\_\_\_  
de heer **Jean-Phillippe Auguste Pakter**, geboren te New York, Verenigde Staten van \_\_\_\_\_  
Amerika op twaalf juni negentienhonderdtwee nzeventig, wonende te Gen ve 1201, \_\_\_\_\_  
Zwitserland, 29 Rue de Neuch tel, paspoortnummer: BLFLR3F69, uitgegeven op vier \_\_\_\_\_  
juni tweeduizend vijftien te Haarlemmermeer, geldig tot vier juni tweeduizend \_\_\_\_\_  
vijfentwintig, ongehuwd (zonder geregistreerd partnerschap), hierna te noemen: **de \_\_\_\_\_**  
**oprichter.** \_\_\_\_\_

De comparant verklaart bij deze akte een stichting op te richten en daarvoor de volgende \_\_\_\_\_  
statuten vast te stellen: \_\_\_\_\_

### STATUTEN

#### NAAM EN ZETEL

##### Artikel 1.

1. De stichting draagt de naam: **Stichting Pierre Robin Europe**. De Engelse \_\_\_\_\_  
benaming van de stichting luidt: Pierre Robin Europe Foundation. \_\_\_\_\_
2. Zij is gevestigd te Amsterdam. \_\_\_\_\_

### DOEL

##### Artikel 2.

1. De stichting heeft ten doel: informatie te verstrekken over het Pierre Robin \_\_\_\_\_  
Syndroom en andere zeldzame ziekten, om zodoende het belang van het tijdig \_\_\_\_\_  
opsporen van deze en andere ziekten, alsmede adequate behandeling ervan, onder \_\_\_\_\_  
de aandacht van pati nten en belanghebbenden te brengen en deze hierbij te \_\_\_\_\_  
ondersteunen, waar ook ter wereld, en voorts al hetgeen met  en en ander \_\_\_\_\_  
rechtstreeks of zijdelings verband houdt of daartoe bevorderlijk kan zijn, alles in de \_\_\_\_\_  
ruimste zin des woords. \_\_\_\_\_  
De stichting beoogt niet het maken van winst. \_\_\_\_\_
2. Zij tracht dit doel te bereiken door onder meer: \_\_\_\_\_
  - a. het belang van: "Patient gerichte zorg" en "Recht op toegang tot die zorg" \_\_\_\_\_  
onder de aandacht te brengen bij mensen die betrokkenen zijn bij deze ziekten; \_\_\_\_\_  
zoals onder andere pati nten en hun families, werkers in de gezondheidszorg, \_\_\_\_\_  
politici, juristen werkzaam in de wetgeving, onderzoekers, pati nten \_\_\_\_\_  
belangengroepen. Daarnaast ook in een bredere laag van de maatschappij; \_\_\_\_\_
  - b. informatie te verschaffen over de EU wetgeving omtrent de mogelijkheid tot \_\_\_\_\_  
grensoverschrijdende gezondheidszorg in Europa. Over dit onderwerp zelf en \_\_\_\_\_  
richtlijnen over dit onderwerp te publiceren, om zodoende pati nten te wijzen \_\_\_\_\_  
op de mogelijkheid toegang te krijgen tot medische behandeling die hen niet \_\_\_\_\_  
geboden wordt door hun locale artsen en/of in hun eigen land; \_\_\_\_\_
  - c. te wijzen op het belang van de verdere ontwikkeling en toepassing van een \_\_\_\_\_  
prenataal ultrasound systeem om de eerste verschijnselen van het Pierre \_\_\_\_\_  
Robin Syndroom alsmede andere zeldzame ziekten vroegtijdig op te sporen en \_\_\_\_\_  
waar nodig, zo snel mogelijk te kunnen behandelen; \_\_\_\_\_
  - d. informatie te verstrekken in verschillende talen over het Pierre Robin Syndroom \_\_\_\_\_  
en andere zeldzame ziekten en de behandelingen daarvan; \_\_\_\_\_
  - e. communicatie te bevorderen, contact tussen lotgenoten en belanghebbenden \_\_\_\_\_  
te faciliteren en het verspreiden van kennis over de zeldzame ziekte, het Pierre \_\_\_\_\_



Robin Syndroom alsmede andere zeldzame ziekten, zowel in Europa als \_\_\_\_\_  
daarbuiten. \_\_\_\_\_

**VERMOGEN** \_\_\_\_\_

**Artikel 3.** \_\_\_\_\_

1. Het vermogen van de stichting wordt gevormd door alle ontvangen bijdragen, \_\_\_\_\_  
subsidies, giften, legaten, erfstellingen, alsmede andere baten. \_\_\_\_\_
2. Erfstellingen mogen slechts worden aanvaard onder het voorrecht van \_\_\_\_\_  
boedelbeschrijving. \_\_\_\_\_

**BESTUUR** \_\_\_\_\_

**Artikel 4.** \_\_\_\_\_

1. Het bestuur van de stichting bestaat uit een door het bestuur vast te stellen aantal \_\_\_\_\_  
van ten minste drie personen. De meerderheid van de bestuurders mag geen familie  
van een andere bestuurder zijn. Onder familie moet in dit verband worden verstaan:—  
bloed- en aanverwanten tot en met de vierde graad, waarbij samenwoning wordt \_\_\_\_\_  
gezien als een huwelijk. \_\_\_\_\_
2. Bestuurders worden benoemd door het bestuur. Indien een bestuurder op grond van \_\_\_\_\_  
een bepaalde hoedanigheid wordt benoemd, wordt daarvan in het \_\_\_\_\_  
benoemingsbesluit expliciet melding gemaakt. \_\_\_\_\_
3. Het bestuur wijst uit zijn midden een voorzitter, een secretaris en een \_\_\_\_\_  
penningmeester aan. Een bestuurder kan binnen het bestuur twee functies \_\_\_\_\_  
bekleden. \_\_\_\_\_
4. De benoeming van een bestuurder geschiedt voor onbepaalde tijd, tenzij in het \_\_\_\_\_  
betreffende benoemingsbesluit een bepaalde tijd is vastgesteld. \_\_\_\_\_
5. Bij belet van een bestuurder zijn/is de overige bestuurder(s) met het bestuur belast.  
Indien sprake is van een vacature in het bestuur, vormen de overgebleven \_\_\_\_\_  
bestuurders of vormt de overgebleven bestuurder een bevoegd bestuur. Het bestuur  
is echter verplicht zo spoedig mogelijk in de vacature(s) te voorzien. \_\_\_\_\_  
In alle gevallen waarin niet binnen drie maanden na het ontstaan van een vacature —  
in de benoeming van een bestuurder is voorzien, zal de meest gereede bestuurder of  
overige belanghebbende de rechtbank van het Arrondissement waarbinnen de \_\_\_\_\_  
stichting statutair is gevestigd kunnen verzoeken een bestuurder te benoemen. \_\_\_\_\_
6. Een bestuurder defungeert: \_\_\_\_\_
  - a. door zijn overlijden; \_\_\_\_\_
  - b. door zijn aftreden; \_\_\_\_\_
  - c. door het verlies van het vrije beheer over zijn vermogen; \_\_\_\_\_
  - d. door zijn ontslag door de rechtbank; \_\_\_\_\_
  - e. door zijn ontslag door het bestuur; het besluit hiertoe kan slechts worden \_\_\_\_\_  
genomen met algemene stemmen van de overige bestuurders. \_\_\_\_\_
  - f. door verlies van de hoedanigheid op grond waarvan hij blijkens het \_\_\_\_\_  
benoemingsbesluit is benoemd. \_\_\_\_\_
  - g. door het verstrijken van de tijd waarvoor hij is benoemd. \_\_\_\_\_
7. Het bestuur kan besluiten een bestuurder te schorsen. Een schorsing die niet \_\_\_\_\_  
binnen drie maanden gevolgd wordt door een besluit tot ontslag, eindigt door het \_\_\_\_\_  
verloop van die termijn. \_\_\_\_\_

**TAAK, BEVOEGDHEDEN, BELONING** \_\_\_\_\_

**Artikel 5.** \_\_\_\_\_

1. Het bestuur is belast met het besturen van de stichting. Het bestuur kan als zodanig—  
één of meer van zijn bevoegdheden, mits duidelijk omschreven, aan anderen \_\_\_\_\_  
verlenen. Degene die aldus bevoegdheden uitoefent, handelt in naam en onder \_\_\_\_\_  
verantwoordelijkheid van het bestuur. Het bestuur dient jaarlijks een beleidsplan op —  
te stellen. \_\_\_\_\_



2. Het bestuur is niet bevoegd te besluiten tot het aangaan van overeenkomsten tot —  
verkrijging, vervreemding of bezwaring van registergoederen noch tot het aangaan—  
van overeenkomsten waarbij de stichting zich als borg of hoofdelijk —————  
medeschuldenaar verbindt, zich voor een derde sterk maakt of zich tot —————  
zekerheidstelling voor een schuld van een ander verbindt. —————
3. Bestuurders hebben recht op vergoeding van de door hen in de uitoefening van hun—  
functie (in redelijkheid) gemaakte kosten en voorts op een niet bovenmatig —————  
vacatiegeld. —————

## **BESLUITVORMING**

### **Artikel 6.**

1. Bestuursvergaderingen worden gehouden zo dikwijls de voorzitter of ten minste ———  
twee van de overige bestuurders zulks wensen, doch ten minste éénmaal per zes ———  
maanden. —————
2. De bijeenroeping van een bestuursvergadering geschiedt door de voorzitter of ten ———  
minste twee van de overige bestuurders, dan wel namens deze(n) door de —————  
secretaris, en wel schriftelijk, waaronder begrepen per elektronische —————  
gegevensdrager, onder opgaaf van de te behandelen onderwerpen, op een termijn —  
van ten minste zeven dagen, de dag van de oproeping en die van de vergadering—  
niet meegerekend. —————  
Indien de bijeenroeping niet schriftelijk is geschied, of onderwerpen aan de orde ———  
komen die niet bij de oproeping werden vermeld, dan wel de bijeenroeping is ———  
geschied op een termijn korter dan zeven dagen, is besluitvorming niettemin ———  
mogelijk, mits ter vergadering alle in functie zijnde bestuurders aanwezig of ———  
vertegenwoordigd zijn. —————  
In spoedeisende gevallen kan de voorzitter van het bestuur besluiten van de wijze —  
van oproeping en/of de termijn van oproeping af te wijken. —————
3. Bestuursvergaderingen worden gehouden ter plaatse te bepalen door degene die ———  
de vergadering bijeenroept. —————
4. Toegang tot de vergaderingen hebben de bestuurders, alsmede zij die door de ter ———  
vergadering aanwezige bestuurders worden toegelaten. Een bestuurder kan zich ———  
door een schriftelijk door hem daartoe gevolmachtigd mede-bestuurder ter ———  
vergadering doen vertegenwoordigen. —————
5. Iedere bestuurder heeft één stem. —————  
Voor zover deze statuten geen grotere meerderheid voorschrijven worden alle ———  
bestuursbesluiten genomen met volstrekte meerderheid van de geldig uitgebrachte —  
stemmen. —————  
Blanco stemmen worden beschouwd als niet te zijn uitgebracht. —————  
Staken de stemmen bij benoeming van personen dan beslist het lot; staken de ———  
stemmen bij een andere stemming, dan is het voorstel verworpen. —————
6. Alle stemmingen geschieden mondeling, tenzij een bestuurder schriftelijke stemming  
verlangt. —————
7. De vergaderingen worden geleid door de voorzitter. Bij zijn afwezigheid voorziet de —  
vergadering zelf in haar leiding. —————
8. Van het verhandelde in de vergadering worden door de secretaris of door een door —  
deze onder zijn verantwoordelijkheid en met instemming van het bestuur —————  
aangewezen persoon notulen opgemaakt. De notulen worden vastgesteld door het —  
bestuur en ten blijke daarvan door de voorzitter en secretaris van de desbetreffende  
vergadering ondertekend. De vastgestelde notulen zijn ter inzage voor alle ———  
bestuurders. Afschriften worden aan hen kosteloos verstrekt. —————
9. Het bestuur kan ook buiten vergadering (schriftelijk) besluiten, mits alle bestuurders —  
zich schriftelijk omtrent het desbetreffende voorstel hebben uitgesproken, waaronder



begrepen per elektronische gegevensdrager. Van een besluit buiten vergadering —  
wordt onder bijvoeging van de ingekomen antwoorden door de secretaris een relaas  
opgemaakt, dat na mede-ondertekening door de voorzitter bij de notulen wordt —  
gevoegd. \_\_\_\_\_

10. In alle geschillen omtrent stemmingen niet bij de statuten voorzien, beslist de —  
voorzitter. \_\_\_\_\_

#### **VERTEGENWOORDIGING**

##### **Artikel 7.**

1. De stichting wordt vertegenwoordigd door het bestuur. Voorts kan de stichting —  
worden vertegenwoordigd door twee tezamen handelende bestuurders. \_\_\_\_\_
2. Het bestuur kan besluiten tot het verlenen van volmacht aan één of meer —  
bestuurders alsook aan derden, om de stichting binnen de grenzen van die volmacht  
te vertegenwoordigen. Het bestuur kan voorts besluiten aan gevolmachtigden een —  
titel te verlenen. \_\_\_\_\_
3. Het bestuur zal van het toekennen van doorlopende \_\_\_\_\_  
vertegenwoordigingsbevoegdheid opgave doen bij het handelsregister. \_\_\_\_\_

#### **REGLEMENTEN**

##### **Artikel 8.**

1. Het bestuur is bevoegd één of meer reglementen vast te stellen, waarin die —  
onderwerpen worden geregeld, waarvan nadere regeling wenselijk wordt geacht. —
2. Een reglement mag niet met de wet of deze statuten in strijd zijn. \_\_\_\_\_
3. Het bestuur is te allen tijde bevoegd een reglement te wijzigen of op te heffen. \_\_\_\_\_
4. Ten aanzien van een besluit tot vaststelling, wijziging of opheffing van een —  
reglement vindt het bepaalde in artikel 10, leden 1 en 2, overeenkomstige —  
toepassing. \_\_\_\_\_

#### **BOEKJAAR, JAARSTUKKEN**

##### **Artikel 9.**

1. Het boekjaar van de stichting valt samen met het kalenderjaar. \_\_\_\_\_
2. Het bestuur is verplicht van de vermogenstoestand van de stichting en van alles —  
betreffende de werkzaamheden van de stichting, naar de eisen die voortvloeien uit —  
deze werkzaamheden, op zodanige wijze een administratie te voeren en de daartoe —  
behorende boeken, bescheiden en andere gegevensdragers op zodanige wijze te —  
bewaren, dat te allen tijde de rechten en verplichtingen van de stichting kunnen —  
worden gekend. \_\_\_\_\_
3. Het bestuur is verplicht jaarlijks binnen zes maanden na afloop van het boekjaar de —  
balans en de staat van baten en lasten met bijbehorende toelichting van de stichting  
te maken en op papier te stellen. Deze stukken dienen te worden ondertekend door —  
alle bestuurders; ontbreekt de ondertekening van een of meer van hen, dan wordt —  
daarvan onder opgave van redenen melding gemaakt. \_\_\_\_\_
4. Het bestuur kan, alvorens tot vaststelling van de in lid 3 bedoelde stukken over te —  
gaan, deze doen onderzoeken door een door het bestuur aan te wijzen deskundige. —  
Deze brengt alsdan omtrent zijn onderzoek verslag uit. \_\_\_\_\_
5. De balans en de staat van baten en lasten, met bijbehorende toelichting, worden —  
door het bestuur vastgesteld. \_\_\_\_\_
6. Het bestuur is verplicht de in de leden 2 en 3 bedoelde boeken, bescheiden en —  
andere gegevensdragers gedurende zeven jaren te bewaren. \_\_\_\_\_

#### **STATUTENWIJZIGING, FUSIE, SPLITSING**

##### **Artikel 10.**

1. Het bestuur is bevoegd deze statuten te wijzigen en tot fusie en splitsing te —  
besluiten. Het besluit daartoe moet worden genomen met een meerderheid van ten —  
minste tweederden van de uitgebrachte stemmen in een vergadering, waarin alle —



- bestuurders aanwezig of vertegenwoordigd zijn. Is een vergadering, waarin een dergelijk besluit aan de orde is, niet voltallig, dan wordt een tweede vergadering bijeengeroepen, te houden niet eerder dan twee en niet later dan vier weken na de eerste vergadering. In deze tweede vergadering kan ongeacht het aantal aanwezige of vertegenwoordigde bestuurders rechtsgeldig omtrent het voorstel, zoals dit in de eerste vergadering aan de orde was, worden besloten, mits met een meerderheid van ten minste twee derden van de uitgebrachte stemmen.
2. Bij de oproeping tot de vergadering, waarin een statutenwijziging zal worden voorgesteld, dient een afschrift van het voorstel, waarin de voorgedragen wijziging woordelijk is opgenomen, te worden gevoegd.
  3. De statutenwijziging treedt eerst in werking nadat daarvan een notariële akte is opgemaakt. Iedere bestuurder is afzonderlijk bevoegd gemelde notariële akte te verlijden.

#### **ONTBINDING**

##### **Artikel 11.**

1. Het bestuur is bevoegd de stichting te ontbinden.
2. Op het besluit van het bestuur tot ontbinding is het bepaalde in het vorige artikel van overeenkomstige toepassing.
3. De stichting blijft na ontbinding voortbestaan voor zover dit tot vereffening van haar vermogen nodig is. In stukken en aankondigingen die van haar uitgaan, moet aan haar naam worden toegevoegd: in liquidatie. De vereffening eindigt op het tijdstip waarop aan de vereffenaars geen baten meer bekend zijn.
4. De bestuurders zijn de vereffenaars van het vermogen van de stichting. Op hen blijven de bepalingen omtrent de benoeming, de schorsing en het ontslag van bestuurders van toepassing. De overige statutaire bepalingen blijven eveneens voor zo veel mogelijk van kracht tijdens de vereffening.
5. Een eventueel batig saldo van de ontbonden stichting wordt voor een door het bestuur te bepalen algemeen nut beogende instelling met een soortgelijke doelstelling besteed of voor een buitenlandse instelling die uitsluitend of nagenoeg uitsluitend het algemeen nut beoogt en die een soortgelijke doelstelling heeft.
6. Na afloop van de vereffening blijven de boeken en bescheiden van de ontbonden stichting gedurende zeven jaar onder berusting van de door het bestuur aangewezen persoon.

#### **SLOTBEPALING**

##### **Artikel 12.**

In alle gevallen, waarin zowel de wet als deze statuten niet voorzien, beslist het bestuur.

#### **OVERGANGSBEPALING EN EERSTE BOEKJAAR**

##### **Artikel 13.**

1. In afwijking van het bepaalde in artikel 4 lid 2 worden de bestuurders voor de eerste maal bij deze akte benoemd.
2. Het eerste boekjaar van de stichting eindigt op eenendertig december tweeduizend negentien.

#### **SLOTVERKLARING**

Ten slotte verklaart de comparant, ter uitvoering van het bepaalde in artikel 13, dat voor de eerste maal tot bestuurders van de stichting worden benoemd:

- a. de oprichter, en wel als voorzitter;
- b. Neil Robert Russell, geboren op tien november negentienhonderdvierenveertig te Sydney (Australië), en wel als secretaris;
- c. Lisa-Beth Harris, geboren op negen oktober negentienhonderdneuenzestig te Californië (Verenigde Staten van Amerika), en wel als penningmeester.



**SLOT**

De comparant is mij, notaris, bekend. \_\_\_\_\_

Verder heb ik, notaris, de zakelijke inhoud van de akte meegedeeld aan de comparant en daarop een toelichting gegeven, inclusief de uit de inhoud van de akte voortvloeiende \_\_\_\_\_ gevolgen. \_\_\_\_\_

De comparant verklaart van de inhoud van de akte te hebben kennis genomen en \_\_\_\_\_ daarmee in te stemmen. Tevens verklaart de comparant uitdrukkelijk in te stemmen met \_\_\_\_\_ de beperkte voorlezing van de akte. Dadelijk na beperkte voorlezing is de akte door de \_\_\_\_\_ comparant en door mij, notaris, ondertekend. De akte is verleden te Utrecht, op de datum \_\_\_\_\_ aan het begin van deze akte vermeld. \_\_\_\_\_

Volgt ondertekening.

**UITGEGEVEN VOOR AFSCHRIFT**



## **Stichting Pierre Robin Europe Goals and Activites**

Like many patient advocacy groups, Pierre Robin Europe was conceived and established by the parents of a baby suffering from a rare disease. In this case the rare disease is Pierre Robin Sequence (also called Pierre Robin Syndrome). We saw that there was a disconnect between the various Pierre Robin Sequence patient organisations scattered throughout Europe. As an example, we saw that there was little contact between the parents in the French based organisation, and the parents in the German based organisation, and the parents in the UK based organisation. The people of Europe are supposed to act as a community, without internal borders; they are supposed to share knowledge, and collaborate, and pool European expertise. We thought it would benefit babies suffering from this rare disease, and their parents, and healthcare providers, if we brought individuals and groups together, promoted serious dialog, and initiated meaningful debate. Although we began here in Europe, we intend to extend our reach beyond Europe, because this life threatening rare disease affects babies around the world. In view of these aspirations, our organisation's operational aims include the following:

- To promote communication and increase awareness among patients, families, healthcare providers, healthcare system administrators, lawmakers, policy advisors, patient advocacy groups, and the general public, about the rare disease, Pierre Robin Sequence, both in Europe and beyond.
- To provide, in multiple languages, using various channels of communication, practical information about Pierre Robin Sequence, and Pierre Robin Sequence treatments, to parents whose babies suffer from this life-threatening illness, and to healthcare providers who are treating babies struck by this rare disease.
- To advocate for the development of a reliable Pierre Robin Sequence fetal ultrasonography screening protocol, validated with prospective clinical trials, to reduce the incidence of airway emergencies, oxygen deprivation and death in the delivery room; to furnish information to radiologists and delivery room teams on the techniques which have already been developed and are currently available to prenatally diagnose Pierre Robin Sequence.
- To provide information about various legal tools and resources which can be used by Pierre Robin Sequence patients and their families for the purpose of facilitating access to highly specialised Pierre Robin Sequence treatments which may not be available within their own state of residence. Examples of such legal tools include the EU's 2011 Cross-border Healthcare Directive, Regulation 883 on the Coordination of Social Security Systems, the fundamental principle of the freedom to provide and receive services in the EU under Article 56 of the Treaty on the Functioning of the European Union, and the established caselaw of the Court of Justice of the European Union; to engage with lawyers, academics and patients' rights organisations regarding the use of these laws, and foster their continued development; to engage in public outreach, advocacy efforts, and possible legal action, when such laws are not respected.
- To advocate for patient centered care, and the right to access care, not only for the benefit of babies suffering from Pierre Robin Sequence, but for the benefit of all rare disease patients, wherever they may be.

After launching this project, we have engaged in numerous activities in pursuit of the aims described above. What follows is a list of some of the actions we have taken, and some of the progress we have made.

We, the founding members of Pierre Robin Europe, carried out exhaustive research on Pierre Robin Sequence, and on the various treatments which have been developed for this rare disease.



While not healthcare providers, we consider it critical to be familiar with the disease and with the broadest possible range of treatments, since parents have and will continue to reach out to us for information and advice.

We established contact with an Orphanet Reference Center for the rare disease, Pierre Robin Sequence; the Reference Center is based in Paris. We communicated with the coordinator of the Reference Center on the various treatments which have been developed for this rare disease. The coordinator shed light on which treatments tend to be favored in various countries, and why. She explained that universally speaking, long term hospitalization is expensive; long term hospitalization in the intensive care unit is generally required, for instance, when providing a Pierre Robin Sequence baby with breathing assistance via Continuous Positive Airway Pressure. On the other hand, surgery, for instance, mandibular distraction osteogenesis – if there are no complications – can reduce this expensive long-term hospitalization. Thus, Continuous Positive Airway Pressure, which generally requires long term hospitalisation, is a relatively costly treatment when compared with surgery, which can reduce it. She explained that in America, healthcare policy is strongly influenced by economic considerations. Therefore, in America, surgery is a favored option, since it can reduce long term hospitalisation, and therefore reduce the financial costs borne by the healthcare insurance companies. We cannot overemphasize how important it was for us to learn these principles from the coordinator of the Orphanet Reference Center; it was a critical event for us because these principles led us to formulate our own organisation’s policy positions concerning Pierre Robin Sequence treatments.

We made contact with CLEISS, France’s national contact point (“NCP”) under the EU’s 2011 Cross-border healthcare Directive. We learned directly from CLEISS which legal conditions must be fulfilled in order for an EU citizen to benefit from the right to cross-border healthcare within in the EU. This information, coming directly from an official EU NCP, is critical, for families seeking access to cross-border healthcare in Europe.

We reached out to EURORDIS, the EU’s largest rare disease organisation in Europe. EURORDIS provided us with legal information and policy advice concerning cross-border healthcare in the EU, particularly in the context of a rare disease, such as Pierre Robin Sequence.

We were asked by the largest patient advocacy umbrella organisation in Europe, the European Patients’ Forum, to deliver a presentation on cross-border healthcare in the EU, and to describe our efforts under the EU’s 2011 Directive to access cross-border healthcare for our own child. The members of Pierre Robin Europe prepared the presentation together as a group, and the presentation was delivered by Philippe Pakter in Brussels, at the European Patients’ Forum conference. The presentation was well received and led to many contacts: patient advocates, healthcare providers, officials from the European Commission, the staff members of the European Patients’ Forum, and the European Patients’ Forum President and Secretary General themselves, who were kind enough to appoint us as the keynote speaker for the event.

We made contact with a Senior Member of European Parliament who is deeply familiar with the EU’s 2011 Cross-border Healthcare Directive – she was the European Parliament’s special rapporteur for this cross-border healthcare legislation. After initial exchanges by email, we eventually scheduled an appointment to meet with her in person. We discussed the general rules and principles of European cross-border healthcare law, and we have remained in touch with her ever since.

One of our organisation's aims is "to provide information about various legal tools and resources which can be used by Pierre Robin Sequence patients and their families for the purpose of facilitating access to highly specialised Pierre Robin Sequence treatments..." In carrying out this function, we want to be sure that the legal information we are providing to the rare disease community is accurate. We began by making extensive efforts to research and understand the laws ourselves. We also studied the decisions which have been issued by the Court of Justice of the European Union over more than a decade. We then reached out to law professors throughout Europe to ask questions and go more deeply into these complex and often overlapping laws. We identified the law professors by reading academic papers which were published in international legal journals. After reading the academic papers, we contacted the authors directly, and asked them various questions. These professors, who specialize in cross-border healthcare law, social security systems, and EU law, gave us a great deal of information on the laws, regulations, court cases and legal principles which govern cross-border healthcare in the EU.

We as an organisation applied for the EURORDIS Fellowship Programme for the 9<sup>th</sup> European Conference on Rare Diseases, ECRD 2018, in Vienna Austria. In our EURORDIS Fellowship application we explained that "It can be difficult to access medically proven rare disease treatments, even when they are available in another EU Member State..." We attended the ECRD event in order to learn how rare disease patients can overcome these obstacles. We also wanted to learn about Health Technology Assessments ("HTAs") and in particular about the EUnetHTA initiative. Fortunately, we were awarded the EURORDIS Fellowship, so we traveled to Vienna and participated in the ECRD event. We attended numerous presentations, we learned a great deal, and we made many strategic contacts who will help our organisation achieve its goals.

We learned that the EU Parliament had formed an official Parliamentary Committee and mandated the Parliamentary Committee to study the implementation of the 2011 Cross-border Healthcare Directive in Europe. We provided the European Patients' Forum with various materials in order to inform the EU Parliamentary Committee of the kinds of difficulties which Europe's rare disease patients can face in their quest to obtain highly specialised treatments for their rare disease. The information we shared entered into the EU Parliament's official documentary record concerning cross-border healthcare in Europe.

We made contact with EURORDIS to inquire about the possibility of our organisation serving as a Patient Advocacy Group within one of the EU-sponsored European Reference Networks (the "ERN's"). We determined that for our organisation, ERN-Cranio would be the most appropriate of the ERN's, based on the medical characteristics of Pierre Robin Sequence. We began by making contact with the coordinators of ERN-Cranio, and we corresponded with them over the next several months. We drafted and delivered to them a formal letter of interest; after discussing our candidature during several phone call and email exchanges, we were formally accepted by ERN-Cranio as an official ERN-Cranio European Patient Advocacy Group (an "ePAG") Patient Representative. As an ePAG rep in ERN-Cranio, a board member of Stichting Pierre Robin Europe attended a two-day ERN-Cranio conference in Uppsala Sweden, and met with a number of highly specialised experts, including physicians, orthodontists, surgeons, and other patient group representatives.

We decided to move forward and establish a Pierre Robin Sequence "Patient Community" on the "RareConnect" platform. RareConnect is "a safe, easy to use platform where rare disease patients, families and patient organisations can develop online communities and conversations across continents and languages... RareConnect includes disease-specific online communities that enable people living with rare diseases to meet, share stories and learn from each other."

The RareConnect platform includes built in machine-translation services, as well as human translation services; practically speaking, this means that any message shared on or posted to the Pierre Robin Sequence Patient Community we are creating will be promptly translated into 8 different languages. This will increase Pierre Robin Europe's ability to hear from and communicate with parents and patient groups based in Europe and in fact throughout the world.

We received a message from a woman whose 2 month old baby was subjected to an invasive surgical procedure called mandibular distraction osteogenesis. The surgery went badly. As a result, her baby suffered serious brain damage. The boy is now 2 years old, and he is not able to breathe on his own, or drink milk on his own; he has both a tracheostomy, and a gastrostomy. Surgery creates risks, especially when carried out on a newborn baby. We believe it is important for parents to know that nonsurgical techniques have been developed for treating this rare disease. In order to meet this informational need, we decided to write an information document for parents. The goal was to give parents a broad overall view of the whole situation, which is something they need, and something they deserve, and something they do not always get from their local physicians. The Parent Information document went through many revisions, and it received input from a number of different healthcare providers and Pierre Robin Sequence patient groups. One of the physicians who contributed to the document – himself a surgeon – emphasized that non-surgical treatments should be tried first, in order to avoid performing surgical operations on these small babies. If the mother mentioned above had known about the possibility of nonsurgical alternatives, she may not have consented to mandibular distraction osteogenesis. In the UK, a nonsurgical treatment called the NPA tube is widely used. In Germany, a nonsurgical treatment called the TPP is widely used. Physicians can be trained how to provide these nonsurgical treatments, but the physicians must first know that the treatments exist. Unfortunately, physicians do not always know, because Pierre Robin Sequence is a rare disease (~1/10,000 babies). And parents too have to know about the various treatment options, so that they can make an informed choice for their own baby. The Parent Information document we created provides parents with basic information about Robin Sequence, and about various treatments – both surgical and non-surgical. The document is for parents, so the language is simple, clear, gentle, and understandable. Thanks to the close oversight and involvement of numerous healthcare providers, the document is also medically accurate, and scientifically objective. We plan on distributing the Parent Information document as widely as possible.

We decided that rather than relying exclusively on individual Facebook accounts, and individual membership in Facebook groups, that Pierre Robin Europe should have its own official Facebook Page – a Page providing basic information about us as a non-profit organisation, listed under the category of “Medical & Health”. We have gone ahead and set up the page: <https://www.facebook.com/PierreRobinEurope/>

As an official ePAG Patient Representative in ERN-Cranio, we were invited to attend an ERN-Cranio ePAG meeting in Rotterdam, The Netherlands. Each participant in the meeting explained their own envisioned contributions to the ePAG, the expectations they have of the ERN's coordinators, clinicians, and fellow ePAG Patient Representatives, and the skills they can bring to ERN-Cranio. Mr. Matt Johnson from EURORDIS delivered a presentation on the importance and value of the patient-clinician partnership. We also defined roles, and formulated an action plan for the year ahead. As a Patient Representative for Pierre Robin Europe, we expressed our strong interest in helping to create a Standards of Care Guidelines for Pierre Robin Sequence. In this context we discussed various principles and goals, including “desired patient outcome measures”, and “burdens of care”. We learned about Grade and Agree

2 standards, and about methodologies for creating a Standards of Care Guidelines document. Helping to create this Standards of Care Guidelines document is likely to be one of our organisation's most important projects in 2019.

Our organisation is young, but we have already made substantial progress in pursuit of our aims. We look forward to continuing our work and together achieving much more in the years to come.

A handwritten signature in black ink that reads "Philippe Pakter". The script is cursive and fluid.

Philippe Pakter  
Voorzitter, Stichting Pierre Robin Europe

## **Stichting Pierre Robin Europe Board Members**

The Board Members of Stichting Pierre Robin Europe are:

Chairman – Jean-Phillippe Pakter

Secretary – Neil Russell

Treasurer – Lisa-Beth Harris

## Stichting Pierre Robin Europe - Income and Expenses, 2018

Operating Income (Euros)		
Type	2018	2017
Grants and legacies	782.62	n/a
Investment income	0	n/a
Membership fees	0	n/a
Merchandise sales	0	n/a
Other revenues	0	n/a
Partnership	0	n/a
Public subsidies	0	n/a
Services	0	n/a
<b>TOTAL/REVENUES</b>	<b>782.62</b>	<b>n/a</b>

Exchange Rate: 1 USD = .8763 EUROS (10 December 2018)

EURORDIS Fellowship, ECRD conference in Vienna, 2018; €500;  
EURORDIS support for ERN-Cranio ePAG meeting, Rotterdam, €282.62.


Operating Expenses (Euros)		
Type	2018	2017
Communication	0	n/a
Desktop computer software	0	n/a
Domain name	7.42	n/a
Email services	113.25	n/a
Hosting services, website	144.59	n/a
Insurance	0	n/a
Maintenance/repairs	0	n/a
Office supplies, including biz cards	56.08	n/a
Other (Legal/Notarial fees)	950	n/a
Postal charges and telephone	0	n/a
Project expenses	0	n/a
Publication	0	n/a
Rent and utilities	0	n/a
Representation expenses	0	n/a
Salaries	0	n/a
Social security charges	0	n/a
Training fees	0	n/a
Translation fees	942.68	n/a
Travel, int'l conferences	996.99	n/a
Various purchases	0	n/a
Website, software	233.1	n/a
<b>TOTAL/ EXPENSES</b>	<b>3444.11</b>	<b>n/a</b>

\$8.47 per year using the domain buyer's club discount.  
Two pierreroberneurope.com email accounts, \$10.77/month x 12 = \$129.24.  
\$165 for one year of website hosting.


CHF64 for 200 business cards printed by Migros Printing.  
€950 for Dutch notaire to establish a Stichting (foundation) under Dutch law.

German: \$29, \$24, \$897.75; French: \$17, \$39, \$69. Total: \$1075.75.  
ECRD Vienna: €231.51 airfare, €323.50 hotel; ERN-Cranio Uppsala:  
€159.36 airfare; ePAG Rotterdam: €261.62 airfare; €21 train; = €996.99  
WordPress plugins and other website software, \$266.

Income less Expenses (Euros)		
	2018	2017
Income	782.62	n/a
Expenses	3444.11	n/a
<b>Income less Expenses (Euros)</b>	<b>-2661.49</b>	<b>n/a</b>



Chairman, Philippe Pakter



Secretary, Neil Russell



Treasurer, Lisa-Beth Harris

## Stichting Pierre Robin Europe - Balance Sheet, 2018

<b>Assets (Euros)</b>		
Type	2018	2017
<b>CURRENT ASSETS</b>		
<b>Cashflow</b>		
Liquidities	0	n/a
Cash	0	n/a
Bank account	0	n/a
Postal account	0	n/a
<b>Total liquidities</b>	<b>0</b>	<b>n/a</b>
<b>Operating assets</b>		
Debts	0	n/a
Stocks in reserve	0	n/a
Outstanding income	0	n/a
Other current assets	0	n/a
<b>Total current assets</b>	<b>0</b>	<b>n/a</b>
<b>FIXED ASSETS</b>		
Tangible fixed assets (furniture, IT equipment, vehicle, etc)	0	n/a
Intangible assets (Formation Costs)	2661.49	n/a
Royalties	0	n/a
Depreciation	0	n/a
Capital assets (loans, ownership titles, bonds, etc)	0	n/a
<b>Fixed assets total</b>	<b>0</b>	<b>n/a</b>
<b>TOTAL ASSETS</b>	<b>2661.49</b>	<b>n/a</b>

<b>Liabilities (Euros)</b>		
Type	2018	2017
<b>LIABILITIES</b>		
<b>SHORT TERM FOREIGN CAPITAL</b>		
<b>Cashflow debt</b>		
Bank overdraft	0	n/a
<b>Operating debts</b>		
Suppliers' debts	0	n/a
Outstanding expenses	0	n/a
Reserves	0	n/a
<b>PERMANENT ASSETS / CAPITAL</b>		
<b>Long term debts</b>		
Loans (Loan to cover Formation Costs)	2661.49	n/a
<b>EQUITIES</b>		
<b>Allocated funds</b>		
Funds allocated for projects	0	n/a
<b>Unallocated funds</b>		
Capital	0	n/a
Reserve	0	n/a
Retained Earnings	0	n/a
<b>TOTAL LIABILITIES</b>	<b>2661.49</b>	<b>n/a</b>

*Philippe Pakter*

Chairman, Philippe Pakter

*Neil Russell*

Secretary, Neil Russell

*Lisa-Beth Harris*

Treasurer, Lisa-Beth Harris