

Care-for-Rare Foundation

Stiftung für Kinder mit seltenen Erkrankungen

erkennen
verstehen
heilen





Impressum

Herausgeber:
Care-for-Rare Foundation® 2016

V.i.S.d.P.: Prof. Dr. Dr. Christoph Klein
Redaktion: Prof. Dr. Dr. Christoph Klein, Anne-Marie Flad
Gestaltung und Konzeption: Eberhard Wolf
Fotografien: Verena Müller, Anselm Skogstad, Michael
Wielke
Druck: DRUCK-Kultur GmbH

Care-for-Rare Foundation
Dr. von Haunersches Kinderspital
Ludwig-Maximilians-Universität München
Lindwurmstraße 4
D-80337 München

Sehr geehrte Damen und Herren, liebe Freunde der Care-for-Rare Foundation,



Prof. Dr. Dr. Christoph Klein
Direktor der Kinderklinik und
Kinderpoliklinik für Kinderheilkun-
de und Jugendmedizin im Dr. von
Hauerschen Kinderspital;
Gründer der Care-for-Rare
Foundation

Kinder mit seltenen Erkrankungen sind die “Waisen der Medizin” – sie haben keine Stimme in einer immer lauter werdenden Welt. Wir verstehen ihre Krankheiten nicht und trotz großer Fortschritte der Medizin sind die meisten seltenen Erkrankungen immer noch unheilbar.

Wir haben die Care-for-Rare Foundation gegründet, um Kindern mit seltenen Erkrankungen zu helfen. Die Care-for-Rare Foundation ist Deutschlands erste Stiftung mit dieser Ausrichtung, sie wurde aus Medizin und Wissenschaft heraus ins Leben gerufen und will gemäß ihres Leitmotivs “From Discovery to Cure” durch eine gezielte Förderung der Forschung dazu beitragen, dass kein Kind mehr an seiner seltenen Erkrankung sterben muss – ohne Ansehen seiner Herkunft und ohne Ansehen der finanziellen Möglichkeiten seiner Familie.

Die Care-for-Rare Foundation hat seit ihrer Gründung im Jahre 2009 bereits vieles geleistet, doch wir sind noch lange nicht am Ziel. Diese Broschüre vermittelt Ihnen einen Einblick in die Grundlagen unserer Stiftungsarbeit – sie stellt Ihnen individuelle Schicksale vor und lässt Sie teilhaben an unseren Visionen und ganz konkreten Möglichkeiten Ihres Mit-Wirkens. Viele Menschen haben uns zurückgespiegelt, dass die Care-for-Rare Foundation viel mehr darstellt als eine akademische Stiftung zur Förderung der Wissenschaft. Care-for-Rare betont die Würde jedes einzelnen Kindes und verbindet Menschen über alle Grenzen hinweg.

Ich würde mich sehr freuen, wenn die Lektüre dieser Seiten Ihr Herz berühren und Ihren Verstand überzeugen könnte – denn nur gemeinsam und nur mit starken Allianzen kann die Care-for-Rare Foundation ihren Weg in die Zukunft beschreiten – über alle Grenzen hinweg!

Prof. Dr. Dr. Christoph Klein



JOSEPHINE STEHT FÜR
VIELE KINDER MIT
SELTENEN ERKRANKUNGEN.
SIE ALLE HOFFEN AUF EINE
CHANCE ZU LEBEN.





Kinder mit seltenen Erkrankungen – die Waisen der Medizin

Kinder mit seltenen Erkrankungen sind die Waisen der Medizin – ihr Schicksal steht im Schatten der öffentlichen Aufmerksamkeit. Ihr Leidensweg ist oft durch lange Odysseen von Arzt zu Arzt geprägt, durch Fehldiagnosen und oft auch ungeeignete oder fehlerhafte Therapien. Selbst wenn die Diagnose korrekt gestellt wird, sind die Patienten oft damit konfrontiert, dass es keine wirkungsvollen Behandlungsmöglichkeiten gibt – zu selten sind ihre Erkrankungen, als dass die pharmazeutische Industrie Interesse daran hätte, in die Forschung und Entwicklung von neuen Medikamenten zu investieren.

Immer noch sterben in jedem Jahr allein in Deutschland über 2.000 Kinder an den Komplikationen ihrer seltenen Erkrankungen.

Etwa 7.000 seltene Erkrankungen sind heute bekannt, und ihre Zahl wächst stetig weiter. Die meisten seltenen Erkrankungen entstehen auf dem Boden eines kleinen Webfehlers im Genom. Nur ein einziger von ca. 3,2 Milliarden Bausteinen des menschlichen Genoms muss fehlerhaft sein, damit daraus eine seltene Erkrankung resultiert. Das Spektrum der Symptome ist sehr weit gefächert, die seltenen Erkrankungen können jedes Organsystem einzeln oder auch in Kombination betreffen. Manche seltenen Erkrankungen tragen die Namen der Ärzte, die sie erstmals beschrieben haben: Morbus Hurler, Morbus Kostmann oder das Wiskott-Aldrich-Syndrom. Andere werden durch ihre Symptome und Krankheitszeichen definiert, wie die zystische Fibrose oder die Ceroidlipofuszinose, oder werden durch den Namen des betroffenen Gens gekennzeichnet, wie die G6PC3-Defizienz oder der IL21-Rezeptor-Defekt.

Der Schweregrad der seltenen Erkrankungen ist äußerst variabel. Es gibt seltene Erkrankungen, die die Gesundheit der betroffenen Patienten nur leicht beeinträchtigen und es gibt seltene Erkrankungen, die innerhalb kurzer Zeit zum Tode führen. Noch vor wenigen Jahrzehnten sind viele Patienten mit seltenen Erkrankungen im frühen Kindesalter gestorben – heute können sie dank des Fortschritts der Medizin die Krisen ihrer Krankheit überleben, auch wenn sie noch nicht

wirklich geheilt werden können.

Doch es gibt Hoffnung. Die Geschichte der Kinderonkologie hat deutlich gemacht, dass Krebserkrankungen heilbar werden können. Starben vor 60 Jahren noch alle Kinder mit bösartigen Tumorerkrankungen, so können heute vier von fünf betroffenen Kindern dauerhaft geheilt werden. Dieser Meilenstein der Medizingeschichte gibt auch die Richtung vor: es gilt nun, diese Erfolge auch für jene Kinder zu erwirken, deren Krankheiten immer noch unheilbar sind.

Im Gegensatz zu chronischen Volkskrankheiten des Erwachsenenalters bieten seltene Erkrankungen bei Kindern die Chance, dass ihre Ursachen klar und deutlich definiert werden können. Die großen Volkskrankheiten sind im Blick auf ihre Ursachen sehr heterogen und äußerst komplex – die seltenen Erkrankungen beruhen meist auf einem einzigen Gendefekt. Moderne genomische Sequenzierverfahren eröffnen uns heute die Möglichkeit, die zugrundeliegenden Gendefekte aufzuspüren. Damit können nicht nur die Mechanismen der Krankheitsentstehung aufgeklärt werden, sondern es eröffnen sich neue Perspektiven für die Entwicklung von zielgerichteten Therapien.

Die Waisen der Medizin können somit zu Pionieren einer neuen Ära einer genomischen Medizin werden, in der Arzneistoffe, zell- und gentherapeutische Verfahren zielgerichtet eingesetzt werden, um Krankheiten zu heilen – nicht nur seltene Erkrankungen, sondern auch sehr viel häufigere Erkrankungen! Die Erforschung seltener Erkrankungen ist nicht nur für die betroffenen Patienten von großer Bedeutung. Wissenschaftliche Erkenntnisse zu seltenen Erkrankungen tragen auch dazu bei, dass fundamentale Prinzipien der Differenzierung und Funktion von Zellen und Organen erhellt werden können – mit Implikationen für die Grundlagenwissenschaften und die gesamte Medizin. Die Erforschung jeder seltenen Erkrankung kann gleichsam ein neues Tor für ein besseres Verständnis von krankheitsrelevanten Prozessen beim Menschen öffnen. So werden Kinder mit seltenen Erkrankungen, heute noch die Waisen der Medizin, morgen zu Wegbereitern einer modernen Medizin.



Die Care-for-Rare Foundation

Erkennen – verstehen – heilen: Dieses Leitmotiv durchzieht die Förderaktivitäten der jungen Stiftung, die einen nachhaltigen Beitrag leisten möchte – für Kinder mit seltenen Erkrankungen und die gesamte Medizin.

Care-for-Rare folgt der Vision, dass kein Kind sterben sollte, nur weil seine Krankheit zu selten ist, um die nötige Aufmerksamkeit von Forschung und Pharmaindustrie zu erhalten.

Wir müssen die Würde eines jeden Kindes respektieren und unser Bestes dafür tun, dass jedes Kind Zugang zu den modernsten medizinischen Therapien erhält – ohne Ansehen seiner Herkunft und der finanziellen Möglichkeiten seiner Eltern. Darüber hinaus ist es unerlässlich, dass wir unser Wissen durch wissenschaftliche Forschung stetig erweitern, um auch jenen Kindern eine begründete Hoffnung auf Heilung zu schenken, die heute noch schwerstes Leid ertragen müssen.

Vision:

Alle Kinder mit seltenen Erkrankungen heilen – weltweit.

Mission:

Die Care-for-Rare Foundation hilft Kindern mit seltenen Erkrankungen durch grenzüberschreitende Allianzen, um die Ursachen seltener Erkrankungen zu identifizieren und wirksame Therapien zu entwickeln.

Werte:

Jedes Kind soll Zugang zu medizinischer Betreuung haben, unabhängig von ethnischen, weltanschaulichen, religiösen oder finanziellen Gesichtspunkten. Dafür baut die Care-for-Rare Foundation Brücken zwischen Ärzten, Wissenschaftlern, Patienten, Vertretern aus der Welt der Politik, der Unternehmen, der Medien und der Kunst. Die Care-for-Rare Foundation orientiert sich an nationalen und internationalen Grundsätzen zur Arbeit wohltätiger Organisationen.

Strategie:

Die Care-for-Rare Idee konkretisiert sich derzeit in fünf Förderlinien. Die internationale *Care-for-Rare Alliance* verbindet akademische Zentren der Kinderheilkunde sowie wissenschaftliche Institute, die gemeinsam die Ursachen seltener Erkrankungen erforschen und neue Therapien entwickeln. Die *Care-for-Rare Academy* fördert die Weiterbildung von Ärzten und Wissenschaftlern im Rahmen von kurz- und langfristigen Programmen. *Care-for-Rare Aid* hilft in Einzelfällen jungen Patienten in akuten Notsituationen. Im Rahmen der *Care-for-Rare Awareness* werden Aktionen unterstützt, die die öffentliche Aufmerksamkeit auf das Schicksal von Kindern mit seltenen Erkrankungen lenken und das medizinische Fachpersonal entsprechend sensibilisieren. Dadurch sollen Verbesserungen in Diagnostik und Therapie erwirkt werden. Die *Care-for-Rare Awards* zeichnen hervorragende Wissenschaftler aus, die bei der Erforschung seltener Erkrankungen bereits auf erste Erfolge verweisen können.

Care-for-Rare Foundation
Alliance



Die internationale *Care-for-Rare Alliance* vereint Ärzte und Wissenschaftler, die sich gemeinsam dafür einsetzen, dass Ursachen seltener Erkrankungen erforscht und neue Behandlungen entwickelt werden können. Sie alle teilen das Ziel, dass Kinder mit seltenen Erkrankungen unabhängig von ihrer Herkunft und der finanziellen Möglichkeiten ihrer Eltern Zugang zur besten medizinischen Betreuung erhalten müssen und setzen sich dafür ein, dass die Waisen der Medizin aus dem Schattendasein treten und zur Avantgarde einer neuen Ära der genomischen Medizin werden können.

Mittelpunkt dieser Aktivitäten ist das Dr. von Haunersche Kinderspital der Ludwig-Maximilians-Universität in München. Gegründet im Jahre 1846, bürgt Bayerns älteste und renommierteste Kinderklinik seit vielen Generationen für Exzellenz in Klinik, Forschung und Lehre. Die Sorge um Kinder mit seltenen Erkrankungen ist ein zentraler Schwerpunkt geworden, über ein Drittel aller betreuten Patienten ist von einer der 7.000 seltenen Erkrankungen betroffen. In unseren *Care-for-Rare* Laboratorien können wir umfassende Genomanalysen durchführen, neue Gendefekte aufspüren, Krankheitsmechanismen und neue Behandlungsstrategien erforschen.

Am Haunerschen Kinderspital werden vielfältige nationale und internationale Forschungsverbünde koordiniert, auch die Geschäftsstelle der von der deutschen Bundesregierung geförderten Netzwerke zu seltenen Erkrankungen ist dort beheimatet.

Gemeinsam können wir etwas für Kinder mit seltenen Erkrankungen bewegen, über alle Grenzen hinweg!



Care-for-Rare – über alle Grenzen hinweg



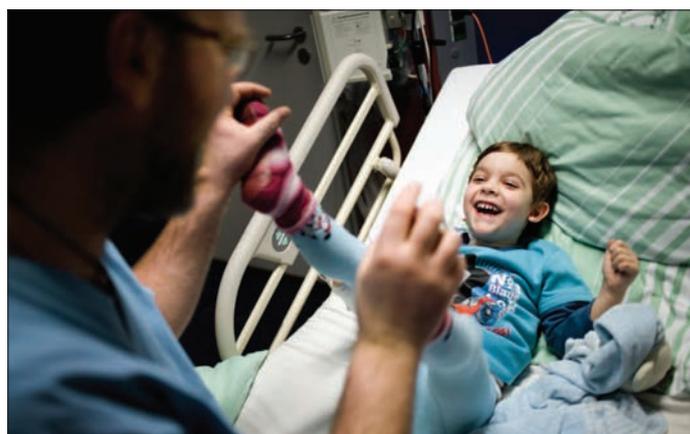
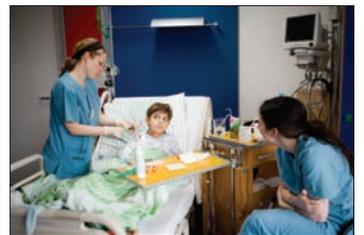
Weltweit beteiligen sich viele akademische Zentren an der Mission der Care-for-Rare Foundation. Liegt gegenwärtig der Schwerpunkt des Netzwerkes noch auf Erkrankungen des Blutes und des Immunsystems, so sollen im Laufe der kommenden Jahre auch andere pädiatrische Systemerkrankungen in den Fokus rücken. Eine aktuelle Partnerschaft mit dem Deutschen Akademischen Austauschdienst ermöglicht eine Intensivierung des wissenschaftlichen Austauschs mit den Care-for-Rare Partnern in Boston (Children's Hospital Harvard Medical School), Toronto (SickKids), Wien (IMBA), Kayseri (Erciyes University), Tel Aviv (Sheba Medical Center), Isfahan (Isfahan University of Medical Sciences) und Bangkok (Chulalongkorn University). Dank einer strategischen Zusammenarbeit mit dem Helmsley Charitable Trust in New York City kann die Care-for-Rare Foundation ein weltweites Netzwerk zur Erforschung seltener entzündlicher Darmerkrankungen im Kindesalter unterhalten. Die Allianz bietet zudem eine wichtige Plattform für Bildungsaktivitäten, vorrangig in weniger privilegierten Ländern wie Marokko oder Kolumbien.











Felix ist einer der ersten Patienten weltweit, die eine Stammzellgen-therapie erhalten haben

Felix und die Entwicklung der Gentherapie

Felix kommt aus Rheinland-Pfalz, er ist heute 10 Jahre alt. Bereits als Baby musste er "in Watte gepackt" werden, denn aufgrund eines Fehlens seiner Blutplättchen führte jede kleine Verletzung zu schweren Blutungen. Felix' Kinderarzt stellte zunächst die Diagnose einer "idiopathischen thrombozytopenischen Purpura" – eine häufige Erkrankung im Kindesalter, die in den meisten Fällen ohne schwerwiegende Komplikationen ausheilt. Felix teilte somit das Schicksal vieler Kinder mit seltenen Erkrankungen, die zunächst unter dem Etikett einer nicht zutreffenden Diagnose behandelt werden. Denn an den Universitäten lernen angehende Ärztinnen und Ärzte immer noch, dass seltene Erkrankungen viel zu selten seien, als dass sie sie in ihrer ärztlichen Praxis jemals sehen würden. Doch der Kinderarzt von Felix war kritisch – er überwies ihn an ein Zentrum, wo schließlich die richtige Diagnose eines Wiskott-Aldrich-Syndroms etabliert werden konnte. Das Wiskott-Aldrich-Syndrom ist eine sehr seltene Erkrankung, die lediglich ein Kind von einer Million trifft. Aufgrund eines kleinen genetischen Webfehlers auf dem X-Chromosom zeigen die betroffenen Jungen eine schwere Blutungsneigung, eine Neigung zu lebensbedrohlichen Infektionen sowie zu schweren Autoimmunerkrankungen. Die einzig wirksame Therapie für Felix bestand in der Transplantation von gesunden Blutstammzellen, doch ein passender Spender war nicht zu finden. So entschieden sich Felix' Eltern für die Teilnahme an einer klinischen Studie, die zum damaligen Zeitpunkt als weltweit erste die Frage prüfte, ob die genetische Korrektur von Felix' eigenen Stammzellen die Erkrankung heilen könne. Felix war einer der ersten Patienten, der diese experimentelle Stammzellgentherapie erfuhr – mit überraschendem Erfolg. Kurz nach der Re-Infusion seiner eigenen, mit Genfähren behandelten Blutstammzellen produzierte sein Körper genügend

Blutplättchen und die Blutungsneigung verschwand. Auch Felix' Immunsystem war nun gestärkt und robust genug, um mögliche Krankheitserreger zu bekämpfen und die für Autoimmunprozesse typische Imbalance auszugleichen. Felix konnte viele Jahre ein gesundes Leben führen, ohne sich in Watte einpacken lassen zu müssen.

Allerdings zeigte Felix, ähnlich wie andere Patienten nach einer Stammzellgentherapie mit der ersten Generation von Genfähren, nach einigen Jahren leider eine schwere Nebenwirkung in Form eines myelodysplastischen Syndroms, einer Vorstufe einer Leukämie. Glücklicherweise war eine erneute Suche nach einem passenden Knochenmarkspender in den internationalen Datenbanken nun erfolgreich. Felix erhielt eine Blutstammzell-Transplantation, welche die gentherapie-assoziierte Nebenwirkung kurierte.

Felix' Geschichte illustriert sehr anschaulich, dass die Pfade zur Heilung von Patienten mit seltenen Erkrankungen oft verschlungen sind. Schritt für Schritt müssen dringend nötige neue Therapien entwickelt werden, und Rückschläge sind auf dieser Expedition unvermeidlich. Dennoch hat Felix einen entscheidenden Anteil an einer Entwicklung, die noch längst nicht abgeschlossen ist. Viele Wissenschaftler arbeiten mit Hochdruck an der Entwicklung neuer und weniger nebenwirkungsbelasteten Genfähren sowie an neuen mikrochirurgischen Technologien, die möglicherweise den Einsatz der konventionellen Genfähren überflüssig machen könnten.

Felix geht es heute gut – seine großartige Familie schenkte ihm Stärke und Zuversicht, seine Erkrankungen sind überwunden, sein Leben liegt mit allen Möglichkeiten vor ihm.

Sevkan und die neuen Therapien für chronisch-entzündliche Darmerkrankungen

Sevkan litt seit seinem ersten Lebensjahr an schwersten Darmentzündungen. Unerträgliche Bauchschmerzen und eitrige Abszesse verbunden mit hohem Fieber waren dafür verantwortlich, dass er drei seiner sechs ersten Lebensjahre im Krankenhaus verbringen musste. Über ein Dutzend verschiedener Ärzte und Krankenhäuser hat die Familie konsultiert, unzählige Untersuchungen musste der kleine Junge türkischstämmiger Eltern über sich ergehen lassen, doch niemand fand eine Erklärung für diese ungewöhnlich schwere Erkrankung. Doch nicht nur die fehlende Diagnose belastete die Familie, viel schwerer wog die Tatsache, dass keine der verschiedenen Behandlungen Erfolg zeigte. Sevkan musste sich vielen Operationen unterziehen, eines Tages verlor er fast seinen gesamten Dickdarm – doch immer noch schwellten seine Entzündungsprozesse weiter.

Als das Team der Care-for-Rare Foundation konsultiert wurde und offenbar wurde, dass das Wissen der medizinischen Lehrbücher erschöpft war, wurden neue Wege beschritten. Unter der Annahme, dass die Ursache von Sevkans Erkrankung in einem kleinen Webfehler seiner Gene zu suchen sei, wurde ein mehrjähriges Forschungsprojekt initiiert.

Es dauerte drei Jahre, dann herrschte Klarheit: Die schweren Darmentzündungen waren nicht eigentlich eine Erkrankung des Darms, sondern resultierten vielmehr aus einem Unvermögen von Sevkans Immunzellen, die harmlosen Bakterien des Darms als harmlos anzuerkennen. Eine Antenne der Immunzellen war aufgrund einer Mutation im Gen des Interleukin-10-Rezeptors funktionsuntüchtig, wichtige Botschaften und "Friedenssignale" gegenüber den harmlosen Darmbakte-

rien konnten ihre Empfänger nicht mehr erreichen. Die Folgen waren fatal: das Immunsystem blieb im Glauben, dass alle Bakterien im Darm zu bekämpfen seien und zerstörte durch die nicht kontrollierte Entzündungsreaktion das gesamte Organ.

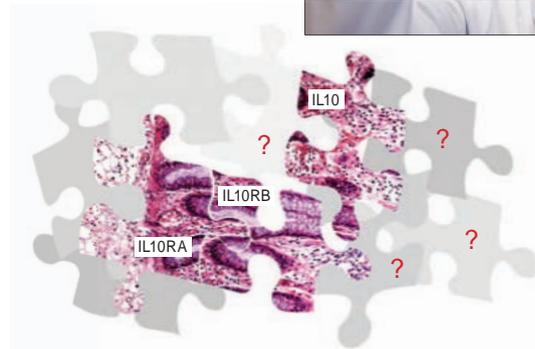
Diese Erkenntnis war für Sevkan lebensrettend, denn eine neue vielversprechende Behandlungsmaßnahme erschien plötzlich möglich. Wenn es gelänge, das gesamte Immunsystem durch die Transplantation von passenden Blutstammzellen auszutauschen, dann wäre die defekte Antennenfunktion wiederhergestellt. Sevkans Ärzte entschieden sich gemeinsam mit Sevkan und seiner Familie für diesen Schritt einer experimentellen Therapie. Der Erfolg war beeindruckend – innerhalb eines Monats nach der Behandlung heilten die Entzündungen und Sevkan konnte endlich ein normales Leben im Kreise seiner Familie und seiner Freunde führen. Heute ist er ein gesunder Teenager auf dem Weg zu einer beruflichen Laufbahn als Mechatroniker im Autobau.

Doch nicht nur Sevkan, Dutzende weiterer Kinder auf der ganzen Welt konnten von diesen Erkenntnissen profitieren. Sarah aus München, Ben aus Boston, Thuraja aus Bangkok und viele viele weitere litten an dieser Erkrankung durch einen Defekt im Interleukin-10-Rezeptor. Sie alle konnten durch die Transplantation von Blutstammzellen geheilt werden.

Darüber hinaus offenbarte diese Geschichte von Sevkan, Sarah, Ben und vielen anderen, dass es viele weitere Kinder mit ähnlich schweren Darmentzündungen auf der Welt gibt, deren Ursachen weiterhin im Dunkeln liegen. Doch dank eines neu etablierten globalen Netzwerkes trägt die Care-for-Rare Foundation nun dazu bei, dass auch ihre Erkrankungen entschlüsselt werden. Genährt wird diese Forschung von der Hoffnung, dass eines Tages auch alle anderen betroffenen Kinder geheilt werden können.

Wirkungsanalyse der Care-for-Rare Alliance

Die Ergebnisse der im Rahmen der Care-for-Rare Alliance geförderten Forschungsaktivitäten werden von der Wissenschaftsgemeinschaft wahrgenommen und geschätzt. Im Bereich der Erforschung seltener Erkrankungen gibt es zwar noch keine allgemein anerkannten Kriterien des "Impact Assessments", doch die mit Hilfe der Care-for-Rare Foundation entstandenen wissenschaftlichen Publikationen wurden zum größten Teil in herausragenden Fachjournals (New England Journal of Medicine, Nature Medicine, Nature Genetics, Science Translational Medicine, Journal of Experimental Medicine, Gastroenterology, Blood und weitere) einer breiten Öffentlichkeit zugänglich gemacht. Dank dieser Publikationen können viele Ärzte und Wissenschaftler weltweit an den Ergebnissen teilhaben und damit ihren jeweiligen Patienten eine exakte Diagnose geben oder auch neue Behandlungsmöglichkeiten anbieten. Darüber hinaus entstanden viele Kristallisationszentren neuer wissenschaftlicher Initiativen und Projekte, deren Ergebnisse ebenfalls Wirkungen entfalten werden.



Sevkan und Äyâ stehen für viele Kinder mit chronisch-entzündlichen Darmerkrankungen, deren zugrunde liegende Gendefekte erst nach und nach verstanden werden. Diese Forschungsarbeit gleicht der Lösung eines Puzzles – je mehr Teile zum Vorschein kommen, desto genauer wird unser Verständnis der komplexen Zusammenhänge von Toleranz und Immunität im Darm.



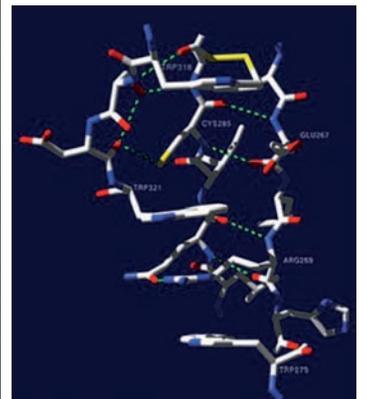
Care-for-Rare Foundation
Academy



Die *Care-for-Rare Academy* will dazu beitragen, dass junge Ärzte und Wissenschaftler Kompetenzen in der interdisziplinären Betreuung kranker Kinder erwerben und die Zukunft der Medizin gestalten lernen. Unter dem Motto "Zeit zum Denken schenken" vergibt die Stiftung Stipendien und fördert insbesondere die wissenschaftliche Weiterbildung in den pädiatrischen Subdisziplinen. Da die Kosten für diese hochspezialisierte Weiterbildung in Deutschland heute weder von den Krankenversicherungen noch von den Krankenhausträgern übernommen werden, trägt die *Care-for-Rare Foundation* dazu bei, dass eine exzellente klinische Versorgung kranker Kinder auch in Zukunft gesichert ist.

Dank der Förderung durch die *Care-for-Rare Academy* lernt eine kommende Generation von Ärzten und Wissenschaftlern auch, wie sich neue Prinzipien einer genomischen Medizin zum Wohl kranker Kinder entwickeln und anwenden lassen. Auf diese Weise werden die individualtypischen Besonderheiten der Patienten berücksichtigt und eine auf die Person hin maßgeschneiderte Medizin ermöglicht. Die Stiftung investiert in die besten Köpfe und will jungen Wissenschaftlern dabei helfen, ihre Talente zu entdecken und zur Entfaltung zu bringen.

Neben den fachspezifischen Weiterbildungskonzepten ist es uns ein besonderes Anliegen, auch kritische Reflexionen auf einer philosophischen Metaebene zu fördern. Die klinische Praxis der Medizin und die Ausrichtung der Wissenschaft sind immer wieder aufs Neue im Licht ethischer Prinzipien zu betrachten. Da die naturwissenschaftlichen Spezialdisziplinen diese Dimension oft vernachlässigen, will die *Care-for-Rare Foundation* hier einen wichtigen Beitrag leisten, damit Ärzte und Wissenschaftler in aller Welt sich immer einer Medizin mit Menschlichkeit verpflichtet fühlen.



Selim und seine Schwester sind die ersten Patienten mit vererbter G-CSFR-Defizienz, einer Erkrankung, die erst kürzlich von einer Care-for-Rare Stipendiatin entdeckt wurde.

Die Entdeckung des G-CSFR-Defektes

Alexa absolviert derzeit ihre Facharztausbildung an der Harvard Medical School in Boston. Bereits als Medizinstudentin wollte sie im Rahmen eines wissenschaftlichen Jahres ihren Horizont erweitern. Die junge Amerikanerin schrieb sich an der LMU ein und verbrachte als Stipendiatin der Stiftung ein Jahr in den Care-for-Rare Laboratorien am Dr. von Haunerschen Kinderspital. Gemeinsam mit ihren Kolleginnen und Kollegen gelang es ihr, die Krankheitsursache bei zwei türkischen Kindern aufzuklären, die aufgrund eines Mangels an weißen Blutkörperchen, der neutrophilen Granulozyten, immer wieder bakterielle Infektionen entwickelten.

Unter Anleitung erfahrener Wissenschaftler erlernte sie nicht nur die allgemeinen Grundlagen wissenschaftlichen Arbeitens, sondern auch die speziellen molekularen und zellbiologischen Techniken, um seltene Erkrankungen bei Kindern aufzuklären. Alexa identifizierte die weltweit ersten Patienten mit vererbten Mutationen im Gen des G-CSF-Rezeptors: die Mutationen führen zur fehlerhaften Faltung und damit zur unzureichenden Expression auf der Oberfläche der Zellen. Diese Entdeckung versetzt uns heute in die Lage, nach neuen pharmakologischen Substanzen zu suchen, die die Fehlfunktion des G-CSF-Rezeptors teilweise oder in Gänze korrigieren. Möglicherweise werden sich diese neuen Wirkstoffe auch bei anderen Krankheiten einsetzen lassen, die durch Defekte der Proteinfaltung hervorgerufen werden.

Die Care-for-Rare Foundation fördert insbesondere "Clinician Scientists", Ärzte, die dank einer fundierten wissenschaftlichen Ausbildung befähigt werden, über die Grenzen ihrer Disziplin hinauszudenken und damit die Handlungsfelder der Medizin im Interesse der Kinder mit seltenen Erkrankungen stetig zu erweitern.

” Working with C4R was a great opportunity to realize the responsibility and capacity that we have as physician-scientists to better understand and develop new treatment strategies for children with under-represented diseases. The interface between the patient and the laboratory provided an efficient way to translate theoretical concepts into understanding the pathophysiology of their disease, as well as develop real-life treatment strategies.“



Care-for-Rare Stipendiaten

Während jungen Grundlagenwissenschaftlern eine Vielzahl an Fördermöglichkeiten zur Verfügung stehen, gibt es vergleichsweise nur sehr wenige Programme zur spezifischen Ausbildung von „Clinician Scientists“. Care-for-Rare investiert daher gezielt in die Förderung dieser Zielgruppe und stellt Mittel zur Sicherung von Innovation und Kreativität zur Verfügung – eine entscheidende Voraussetzung, um die Zukunft von Kindern mit seltenen Krankheiten zu verbessern.



**Dr. Tilmann Schober, Dr. von Hauner-
sches Kinderspital 2013-2016**

Tilman Schober hat seine pädiatrische Weiterbildung an der Medizinischen Hochschule Hannover und der Johann Wolfgang Goethe-Universität in Frankfurt a. M. absolviert. Angespornt von leidenschaftlicher Neugier will Dr. Schober die Grundlagen der menschlichen Immunität verstehen. Gefördert durch die Care-for-Rare Foundation untersucht er die Pathomechanismen einer erst kürzlich entdeckten Immundefizienz-Erkrankung. Darüber hinaus ist er in Forschungsprojekte zum Verständnis kindlicher Schlaganfälle involviert.

**Dr. Daniel Kotlarz, Dr. von Hauner-
sches Kinderspital 2012-2016**

Daniel Kotlarz ist „Clinician Scientist“ mit Schwerpunkt auf primären Immunschwächekrankheiten. Er wird derzeit von der Care-for-Rare Foundation darin unterstützt, ein globales interdisziplinäres Netzwerk von Forschern und Ärzten zu erweitern, um die genetischen Ursachen

von entzündlichen Darmerkrankungen bei Kindern zu entschlüsseln. Für seine herausragenden Forschungserfolge hat er bereits mehrere nationale und internationale Preise gewonnen, wie z. B. den John Harries Prize und den Innovationspreis der Deutschen Hochschulmedizin.

**Ehsan Bahrami MSc, Dr. von Hauner-
sches Kinderspital 2012-2016**

Ehsan Bahrami ist Absolvent der Medizinischen Universität Isfahan im Iran. Er erhielt ein Care-for-Rare Stipendium, um die molekularen Pathomechanismen eines neu entdeckten Gendefekts mit progressivem Knochenmarkversagen zu untersuchen.

**Dr. Judith Feucht, Memorial Sloan
Kettering Cancer Center 2015-2016**

Judith Feucht ist Absolventin der Universität Tübingen. Ihr Hauptinteresse gilt der Entwicklung einer Immuntherapie, um seltene Formen von Krebs bei Kindern zu bekämpfen. Mithilfe eines Care-for-Rare Stipendiums absolviert sie einen Forschungsaufenthalt im Labor von Professor Michel Sadelain am Memorial Sloan Kettering Cancer Center in New York, einem der weltweiten Pioniere für Gentherapien des Immunsystems.

**Dr. Tobias Schwerd,
Oxford University 2013-2014**

Tobias Schwerd ist Absolvent der LMU München und begann seine pädiatrische Facharztausbildung 2010. Er verfolgt die Hauner-DUO-Laufbahn mit einer kombinierten klinischen und wissenschaftlichen Ausbildung. Ein Care-for-Rare Stipendium ermöglicht ihm einen Forschungsaufenthalt an der Universität Oxford, UK, wo er Mechanismen der Immuntoleranz untersucht.



**Dr. Volker Wiebking,
Stanford University ab 2016**

Volker Wiebking erhielt seine pädiatrische Facharztausbildung am Dr. von Haunerschen Kinderspital in München. Sein Forschungsinteresse gilt der Entwicklung neuer Gentherapien für seltene Erkrankungen. Dr. Wiebking erhält ein Care-for-Rare Stipendium, damit er im Labor von Professor Matthew Porteus an der Universität Stanford, USA, neue Methoden der genetischen Modifizierung hämatopoetischer Stammzellen entwickeln kann.

**Dr. Anna-Lisa Lanz,
Oxford University 2014-2016**

Anna-Lisa Lanz absolvierte ihre pädiatrische Facharztausbildung im Dr. von Haunerschen Kinderspital. Mit Unterstützung der Care-for-Rare Foundation kann sie sich in der Arbeitsgruppe von Professor Oreste Acuto an der Oxford University, UK, wissenschaftlichen Studien zur Entwicklung von T-Zellen widmen.

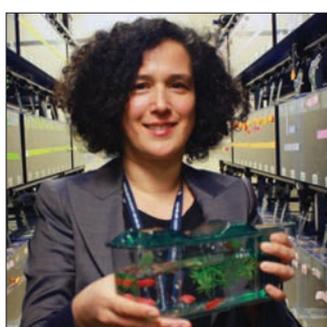


**Dhaarini Murugan MSc,
MHH und LMU 2010-2014**

Dhaarini Murugan graduierte an der Universität Madurai, Indien, und erwarb ihren PhD an der Medizinischen Hochschule Hannover. Sie half dabei, neue Gendefekte zu entschlüsseln und trug zu einem genaueren Verständnis der Rolle des IL-10-Rezeptors bei der Entstehung einer Darmentzündung bei. Dr. Murugan ist Autorin verschiedener wissenschaftlicher Veröffentlichungen in renommierten Fachzeitschriften. Derzeit ist sie als Postdoktorandin am Knight Cancer Institute, Oregon Health State University, USA, tätig.

**Dr. Vera Binder, Harvard
Medical School 2014-2016**

Vera Binder wurde am Dr. von Haunerschen Kinderspital München, der Heinrich-Heine-Universität Düsseldorf, dem Weizmann-Institut in Isreal und der Harvard Medical School in Boston ausgebildet. Ein Care-for-Rare Stipendium ermöglichte es ihr, am Boston Children's Hospital die Rolle der hämatopoetischen Stammzellnische bei Leukämien zu erforschen. Sie publizierte ihre Erkenntnisse in der Zeitschrift „Nature“ und kehrte daraufhin nach München zurück, um mit einer weiteren Förderung durch die Care-for-Rare Foundation ihre eigene Arbeitsgruppe aufzubauen.



**Dr. Maximilian Witzel, Dr. von
Haunersches Kinderspital 2013-2016**

Maximilian Witzel begann seine klinisch-pädiatrische Ausbildung an der Universität Heidelberg. Er wechselte an die LMU, um seine kinderärztliche Ausbildung mit der wissenschaftlichen Arbeit zu primären Immundefekterkrankungen zu kombinieren. Er hat an einer klinischen Gentherapie-Studie zur Heilung von Kindern mit dem Wiskott-Aldrich-Syndrom mitgewirkt und deren Ergebnisse als Erstautor im Magazin „Science Translational Medicine“ veröffentlicht. Zurzeit forscht er an einem neu entdeckten Defekt der neutrophilen Granulozyten.



Care-for-Rare Foundation
Aid



Das *Care-for-Rare Aid* Programm will im Sinne einer konkreten Einzelfallhilfe bedürftigen Kindern mit seltenen Erkrankungen eine Chance zur Heilung eröffnen. Immer wieder erreichen uns Anfragen von Ärzten und Eltern aus aller Welt, nicht immer können wir das Unmögliche möglich machen. Doch Kinder mit seltenen Erkrankungen können oft direkt von einer internationalen und interdisziplinären Zusammenarbeit profitieren. Aus diesem Grund sammelt die Care-for-Rare Foundation regelmäßig Spenden, um Kindern einen lebensrettenden Zugang zur modernen Medizin zu gewähren – immer dann, wenn die Sozialversicherungen dies nicht erlauben. Für Kinder aus Deutschland eröffnet sich dadurch beispielsweise die Chance einer modernen genetischen Diagnostik, welche die Krankenkassen nicht übernehmen, oder die Teilnahme an neuen Therapieverfahren, deren Kosten noch nicht abgebildet sind. Für Kinder aus aller Welt kann diese Hilfe eine lebensrettende Behandlung sein, die in ihren Heimatländern nicht verfügbar ist.



Foto: Klaus Haag/M. Merkur



Foto: Klaus Haag/M. Merkur

Der kleine Knowah aus den Philippinen mit seinem Arzt und seinen Eltern während seiner Therapie in München

Knowahs Heilung

Der einjährige Knowah aus den Philippinen spielt lebhaft und freut sich, wenn jemand sein Krankenzimmer im Dr. von Haunerschen Kinderspital besucht. Er spielt mit kleinen Autos und wirft sie voller Freude immer mal wieder aus dem Bett. Der aufgeweckte Eindruck des kleinen Jungen täuscht aber nicht darüber hinweg: Knowah ist schwer krank. Lebensgefährlich krank. Er leidet unter dem Wiskott-Aldrich-Syndrom, einem sehr seltenen Immundefekt, der zu schwersten Ekzemen und lebensbedrohlichen Infektionen führt. Zudem hat er schwere Blutungen vor allem im Darm aufgrund einer zu geringen Anzahl an Blutplättchen. Nur eine Stammzelltherapie mittels Knochenmarkspende kann Knowah retten. Ein passender Fremdspender wurde nicht gefunden, daher sollen einem Elternteil Stammzellen für die Transplantation entnommen werden. Die Familie hat eine wahre Odyssee hinter sich: „Knowah bekam schon am dritten Lebenstag hohes Fieber“, erklärt seine Mutter Dindin. Das Kind schlief nicht, es erbrach die Milch, die es gefüttert bekam, immer wieder, es hatte Ekzeme und Schleimhautentzündungen im Mundraum. Und immer wieder hohes Fieber. Die Ärzte gingen zunächst von einer Milchallergie aus, schließlich von einer Amöbenruhr, ein Bluttest ergab, dass etwas mit dem Hämoglobin nicht stimmte. Das Baby bekam eine Lungenentzündung.

Dindin und ihr Mann Joubert reisten von Arzt zu Arzt und von Krankenhaus zu Krankenhaus – schließlich erfuhren sie, dass Knowah wahrscheinlich am Wiskott-Aldrich-Syndrom erkrankt war. Und es war klar, dass es in ihrer Heimat keine Möglichkeit gab, ihr Kind zu behandeln.

Eine Internetrecherche zeigte Knowahs Eltern, wo ihr Kind Hilfe erfahren könnte. Am Weihnachtstag 2014 schrieben sie eine E-Mail an Professor Klein, den Direktor des Haunerschen Kinderspitals der Universität München. Die Care-for-Rare Foundation initiierte eine Spendenkampagne, die die Kosten für Knowahs Therapie aufbringen sollte. München ist ein guter Standort für

die Behandlung des kleinen Jungen. Nicht nur verfügen die Ärzte um Christoph Klein über eine große Expertise in Sachen Stammzellbehandlung. Auch wurde Knowahs Krankheit am Dr. von Haunerschen Kinderspital erstmals beschrieben – im Jahr 1937 von dessen früherem Direktor Professor Alfred Wiskott.

Dank einer wunderbaren Welle der Unterstützung durch viele kleine und große Spender konnte die für Knowahs Behandlung erforderliche Summe gesammelt werden. Der kleine Junge aus den Philippinen bekam nach entsprechenden Vorbereitungen im Juli 2015 die Blut-Stammzellen seines Vaters transplantiert. Glücklicherweise stellten sich die gefürchteten möglichen Nebenwirkungen nicht ein, und Knowah ist ein halbes Jahr nach der Therapie ein fideler kleiner Junge, der seinen Charme versprüht und Ärzte und Schwestern mit deutschen Wörtern erfreut. Knowahs Eltern sind sehr glücklich: „Die Ärzte in München haben Knowahs Leben gerettet – wir sind sehr sehr dankbar für diese Hilfe durch die Care-for-Rare Foundation!“

Auch Kinder aus Deutschland, aus dem Iran, aus Israel, aus Marokko, aus Indien und Pakistan, aus Russland, aus dem Libanon, aus Ungarn und der Türkei, aus Australien und den USA haben bereits im Rahmen des Care-for-Rare Aid Programms profitiert.

Care-for-Rare Foundation
Awareness



In der Förderlinie *Care-for-Rare Awareness* tritt die Stiftung dafür ein, dass die Sorgen und Nöte von Kindern mit seltenen Erkrankungen einer breiteren Öffentlichkeit bekannt werden.

Wir wollen dazu beitragen, dass betroffenen Kindern und ihren Familien die Odysseen von Arzt zu Arzt erspart und vielmehr durch rasche Diagnosestellungen optimale Behandlungen ermöglicht werden können. Gemeinsam mit Elterninitiativen und ihrem Dachverband, der Allianz chronisch seltener Erkrankungen (ACHSE), richten sich unsere Aktivitäten ebenso an ein Laienpublikum wie an die Fachöffentlichkeit. Es ist von größter Bedeutung, dass sich Ärzte der besonderen Herausforderung bei der Behandlung von Kindern mit seltenen Erkrankungen gewahr werden und auch Unterstützung bei hochspezialisierten Kolleginnen und Kollegen in Anspruch nehmen. Die meisten Menschen, die nicht direkt mit dem Schicksal eines betroffenen Kindes konfrontiert sind, können sich die daraus resultierenden Belastungen kaum vorstellen – umso mehr möchten wir den Waisen der Medizin eine starke Stimme geben!

Die Geschichte von „Precious Life“



Dr. Raz Somech kümmert sich am Sheba Medical Center der Universität Tel Aviv um Kinder mit seltenen Erkrankungen. Eines Tages hört er von einer Familie aus Gaza, deren Baby Mohamad an einer schweren Immundefekterkrankung leidet. Die medizinischen Möglichkeiten in den palästinensischen Autonomiegebieten sind begrenzt, das Kind hätte keine Überlebenschance. Raz Somech ist mit dem Journalisten Shlomi Eldar befreundet, der über die israelischen Medien zu Spenden für Mohamads Behandlung in Tel Aviv aufruft. Ein jüdischer Mäzen meldet sich und stellt die nötige Summe bereit. Der kleine Mohamad aus dem Gazastreifen kann nun in Tel Aviv behandelt werden – und die Geschichte dieser Behandlung wird in einem Dokumentarfilm festgehalten. „Precious Life“ schildert weit mehr als die Erzählung des Schicksals eines Kindes mit einer seltenen Erkrankung. Der Film ist ein Zeugnis der Menschlichkeit, die die tiefen Gräben zwischen Juden und Palästinensern überbrückt. Er thematisiert Brüche und Zweifel angesichts der Realitäten der Intifada und der Antwort der israelischen Armee. Die Schizophrenie der Situation kulminiert in der Frage: Wie würden sich Mohamads Eltern verhalten, wenn ihr in Tel Aviv geretteter Sohn eines Tages zu einem Selbstmordattentat in Israel aufgerufen würde? Der preisgekrönte und oscar-nominierte Film kann weder Antworten geben noch den Nahost-Konflikt lösen. Doch „Precious Life“ gibt dennoch Hoffnung. Er plädiert am Beispiel eines Kindes mit einer seltenen Erkrankung für den universalen Respekt vor der Würde jedes Menschen.



Deutsche Erstaufführung von „Precious Life“ in der BMW Welt München im Beisein des Regisseurs und der Hauptakteure

Die Care-for-Rare Foundation hat in Anwesenheit des Regisseurs und der Protagonisten „Precious Life“ erstmals in Deutschland gezeigt. Über 500 Gäste in der BMW Welt haben sich von dieser Geschichte berühren lassen, sie alle wissen nach dieser Premiere von den Sorgen und Nöten der Waisen der Medizin, aber auch von den immer neuen Chancen, die sich eröffnen, wenn Menschen über tiefe Gräben hinweg zueinander finden.

Kinder mit seltenen Erkrankungen im Portrait

Die Care-for-Rare Foundation fördert immer wieder öffentliche Aktionen, um die Gesellschaft für die Sorgen und Nöte kranker Kinder zu sensibilisieren. Im Rahmen des deutsch-türkischen Wissenschaftsjahres 2014 haben wir einfühlsame Portraitbilder von deutschen und türkischen Kindern mit seltenen Erkrankungen erstellt. Eine Ausstellung dieser Fotografien wurde in Istanbul, Ankara, Kayseri sowie in München einer breiten Öffentlichkeit zugänglich gemacht. Ein Bildband mit Aufnahmen von Kindern mit seltenen Erkrankungen ist derzeit im Entstehen – dieses Buch soll zeigen, dass jedes Kind, unabhängig von seiner Nationalität, unseren Respekt verdient. Unsere Fotografen reisen daher auf alle Kontinente und dokumentieren mit ihren Kameras das Schicksal der Waisen der Medizin. In verschiedenen Beiträgen in den Printmedien, im Hörfunk sowie im Fernsehen berichtet die Care-for-Rare Foundation regelmäßig über Kinder, die an immer noch unheilbaren Krankheiten leiden. Es ist nicht leicht, den Wirkungsgrad dieser Awareness-Aktionen zu messen, doch wir sind überzeugt, dass wir dadurch immer wieder Menschen erreichen, die sich sensibilisieren lassen und dann die Sorgen von Kindern mit seltenen Erkrankungen besser verstehen.

Doch nicht nur die allgemeine Bevölkerung sollte für die Nöte von Kindern mit seltenen Erkrankungen sensibilisiert werden, auch Ärztinnen und Ärzte müssen mehr über diese Erkrankungen wissen, damit ihre Patienten rasch und sicher diagnostiziert werden und, sofern möglich, zielführende Therapien gewählt werden können.

Pionierarbeit in Südostasien

Die Care-for-Rare Foundation war Geburtshelferin bei der Etablierung eines neuen südostasiatischen Netzwerkes für Kinder mit seltenen Erkrankungen des Immun-

systems. Gemeinsam mit der internationalen Patientenorganisation für primäre Immundefekterkrankungen organisierte die Stiftung die erste europäisch-südostasiatische Konferenz für angeborene Immundefekterkrankungen. Ärzte und Wissenschaftler aus Thailand, Vietnam, Malaysia, Indonesien, Singapur, Hongkong und den Philippinen trafen sich im Chulalongkorn University Hospital, um den Grundstein für ein südostasiatisches Netzwerk für primäre Immundefekte zu legen. Die Referenten zeigten nicht nur die neuesten Erkenntnisse in Klinik und Forschung auf, sondern setzten diese in Beziehung zu den regionalen Besonderheiten in Südostasien und einigten sich auf strategische Ziele.

Das Engagement der Care-for-Rare Foundation zeigt, wie sich Menschen über die Grenzen ihrer Länder hinweg zusammenfinden, um gemeinsam im Interesse der Waisen der Medizin Zukunft zu gestalten.



Die erste europäisch-südostasiatische Konferenz zu kongenitalen Immundefekterkrankungen



Care-for-Rare Foundation Awards



Anerkennung und wissenschaftliche Auszeichnungen können Menschen zu Höchstleistungen motivieren. Um das Interesse von Ärzten und Wissenschaftlern in verstärkter Weise auf das Schicksal von Kindern mit seltenen Erkrankungen zu lenken, wurde das *Care-for-Rare Award* Programm geschaffen. Dank einer Kooperation mit weiteren Stiftungen schreibt die Stiftung jedes Jahr zwei Preise aus. Der mit 5.000 Euro dotierte Dr. Holger Müller Preis zeichnet eine wissenschaftliche Publikation aus, der Care-for-Rare Science Award in Höhe von 50.000 Euro dient der Anschubfinanzierung eines herausragenden Forschungsprojektes im Bereich der seltenen Erkrankungen.

Unter der Schirmherrschaft Seiner Königlichen Hoheit Franz Herzog von Bayern wird der Care-for-Rare Science Award jährlich gemeinsam mit dem Bayerischen Stifterpreis verliehen. Die Preisverleihung ist Teil der Initiative „pro.movere – mehr bewegen“, die von der Care-for-Rare Foundation und der Werner Reichenberger Stiftung ins Leben gerufen wurde, um den Geist bürgerschaftlichen Engagements in der Bevölkerung zu stärken. Beide Preisträger erhalten neben dem Preisgeld Skulpturen aus Bronze, die jeweils eine Hälfte eines Bau-

mes symbolisieren und eine Einheit bilden. Dieses Sinnbild verdeutlicht, dass Wissenschaft und Mäzenatentum eng miteinander verflochten und aufeinander angewiesen sind.





Festabend im glanzvollen Schloss Nymphenburg; Verleihung des Bayerischen Stifterpreises an Eva-Luise and Horst Köhler (2013) und José Carreras (2014)



Sulins Vermächtnis

Sulin, ein in Deutschland lebendes Mädchen libanesischer Eltern, erinnert uns daran, dass Kinder mit einer seltenen Erkrankung auf Ärzte angewiesen sind, die sich nicht mit dem Stand des Wissens zufriedengeben, sondern vielmehr bereit sind, neue Wege einzuschlagen.

Sulin wurde einst zur Lebertransplantation überwiesen. Ihre Ärzte diagnostizierten eine „idiopathische Leberfibrose“ – eine nicht erklärliche („idiopathische“) Vernarbung („Fibrose“) der Leber – und wollten das funktionsuntüchtige Organ durch eine gesunde Spenderleber ersetzen. Doch einige Ärzte des Care-for-Rare Teams zweifelten diese Diagnose an und fahndeten weiter, um der unerklärlichen Erkrankung auf den Grund zu gehen. Sie fühlten sich in ihrem Zweifel bestätigt, als eine tiefere Analyse der Gewebeproben zeigte, dass die Leberfibrose nicht „idiopathisch“ sein konnte, sondern vielmehr auf dem Boden einer schweren Entzündung der Gallengänge durch Kryptosporidien entstand – kleine Parasiten, die bei gesunden Menschen lediglich vorübergehende Durchfallerkrankungen auslösen, bei Patienten mit angeborenen oder erworbenen Immunschwächeerkrankungen aber fatale Folgen haben können. Da Sulin keine der bekannten Immunschwächeerkrankungen zeigte, führte das Team in den Care-for-Rare Laboratorien eine Genom-Analyse durch und fand eine defekte Antenne auf Sulins Immunzellen. Weitere Untersuchungen bestätigten zweifelsfrei, dass Sulins Erkrankung durch eine fehlende Funktion des sogenannten Interleukin-21-Rezeptors hervorgerufen wurde – damit war sie die erste Patientin weltweit mit dieser Diagnose. Leider war ihre Erkrankung aber schon so weit fortgeschritten und viele Organe bereits so geschädigt, dass trotz intensiver Bemühungen keine Heilung mehr möglich war. Sulin erlag ihrem Leiden im Alter von 13 Jahren. Doch sie hat uns ein Vermächtnis hinterlassen – aufgrund der Entdeckungen des Care-for-Rare Teams konnte Sulins Erkrankung mittlerweile bei vielen anderen Kindern weltweit rechtzeitig diagnostiziert und durch eine Transplantation von Blut-

stammzellen geheilt werden. Dr. Daniel Kotlarz und Dr. Natalia Zietara erhielten für ihre Entdeckung nicht nur den Dr. Holger Müller Preis, auch der Innovationspreis der Deutschen Hochschulmedizin 2015 würdigte diese Projektarbeit folgendermaßen: „Das Projekt beschäftigt sich mit der translationalen Anwendung von innovativen gendiagnostischen Sequenzierungsverfahren bei primären Immundefekterkrankungen. Die erfolgreiche Übertragung von Grundlagenwissen in die Patientenversorgung ist von fundamentaler Bedeutung für die Universitätsmedizin.“

Der Care-for-Rare Science Award kann dank einer Kooperation mit der Werner Reichenberger Stiftung seit 2013 verliehen werden. Der Preisträger wird in einem kompetitiven Auswahlprozess vom wissenschaftlichen Beirat der Stiftung ausgesucht. Bislang wurden Wissenschaftler der Universitäten in Köln, München und Ulm mit dem Science Award ausgezeichnet und konnten somit in die Lage versetzt werden, ein innovatives Forschungsprojekt zu seltenen Erkrankungen zu initiieren.



Ein kleiner Webfehler führt dazu, dass der IL21-Rezeptor nicht mehr an die Zelloberfläche gelangt. Für ihre Entdeckung dieser zuvor unbekanntes Krankheit erhielten Daniel Kotlarz und Natalia Zietara den Dr. Holger Müller Preis 2013.

Stimmen über Care-for-Rare

Annette Schavan, Botschafterin der Bundesrepublik Deutschland beim Heiligen Stuhl



Mit großer Freude habe ich die Schirmherrschaft über die Care-for-Rare Foundation übernommen. Seltene Erkrankungen sind eine große Herausforderung für die Medizin, für die Wissenschaft, für unsere Gesellschaft. Die Care-for-Rare Foundation ist ein Lichtblick – sie engagiert sich über die Ländergrenzen hinweg. Humanität, wissenschaftliche Exzellenz, Interdisziplinarität und Internationalität sind Garanten für ihr nachhaltiges Wirken in der Welt. Mögen uns viele engagierte Menschen in dieser wichtigen Mission begleiten und fördern.

Reinhard Kardinal Marx, Erzbischof von München und Freising, Vorsitzender der Deutschen Bischofskonferenz und der Kommission der Bischofskonferenzen der Europäischen Gemeinschaft



Jesus hat die Kinder in die Mitte gestellt. Kinder mit seltenen Erkrankungen gehören zu den Schwächsten der Schwachen unserer Welt. Die internationale Care-for-Rare Foundation macht sich für sie stark – wir sollten diese Mission nach Kräften unterstützen.

Claus Hipp, Unternehmer



Kinder sind unsere Zukunft – Menschen, die sich von Herzen für kranke Kinder einsetzen, sind Helden unserer Zeit, sie brauchen unsere Unterstützung.

Pep Guardiola, Fußballtrainer



Wir brauchen Menschen mit Visionen und Tatkraft. Die Care-for-Rare Foundation am Haunerschen Kinderspital in München hat diese Menschen und ich freue mich, dass sie ihre Vision und Tatkraft zum Wohl kranker Kinder in der ganzen Welt einsetzen!

Dr. Norbert Lammert, Präsident des Deutschen Bundestages



Kinder mit seltenen Erkrankungen brauchen die Hilfe unserer staatlichen Sozialsysteme, sie brauchen aber auch vermehrt Hilfe durch überzeugendes bürgerschaftliches Engagement. Die Vertreter unserer staatlichen Institutionen sind sich ihrer Fürsorgepflicht bewusst, doch die Möglichkeiten staatlicher Hilfen sind begrenzt. Privatpersonen, Unternehmen und dem Gemeinwohl verpflichtete Institutionen können und sollten sich vermehrt dort einsetzen, wo die öffentliche Hand an ihre Grenzen kommt. Die Care-for-Rare Foundation lässt sich von der Vision leiten, dass kein Kind an seiner seltenen Erkrankung sterben sollte und leistet großartige Arbeit im Interesse der Schwächsten der Schwachen!

Professor Dr. Heinrich Bedford-Strom, Landesbischof der Evangelisch-Lutherischen Kirche in Bayern und Ratsvorsitzender der Evangelischen Kirche in Deutschland



Das Care-for-Rare Center am Dr. von Haunerschen Kinderspital ist ein wichtiger Ort für unsere Gesellschaft. Hier wird Nächstenliebe konkret, hier engagieren sich Ärzte, Wissenschaftler und Pflegende für kranke Kinder und unterstreichen durch ihr Wirken, dass die Würde aller Menschen der Maßstab in der Medizin ist.

Eva Luise Köhler, Stiftungsratsvorsitzende der Eva Luise und Horst Köhler Stiftung für Menschen mit Seltenern Erkrankungen



Kinder mit seltenen Erkrankungen können sich mit ihrer schwachen Stimme in unserer lauten Welt nicht durchsetzen. Sie brauchen unsere Hilfe und Unterstützung. Die Care-for-Rare Foundation ist eine bemerkenswerte Stiftung, die nahe an der medizinischen Wissenschaft ihren humanitären Auftrag ernst nimmt – und damit über Ländergrenzen hinweg dazu beiträgt, dass Kinder mit seltenen Erkrankungen Hoffnung auf Heilung hegen dürfen.

**Joachim Gauck, Bundespräsident
der Bundesrepublik Deutschland**



Was mich besonders bewegt hat, ist, dass ein so berühmter Wissenschaftler demütig auf die Grenzen seiner Macht hingewiesen hat und dass ihm dieses menschliche Maß bewußt ist. Das finde ich großartig.

*August 2010 im Norddeutschen Rundfunk
("Das Beste im Norden")*

**Dr. Joachim Faber, Aufsichtsrats-
vorsitzender der Deutschen Börse**



Die Care-for-Rare Foundation ist eine einzigartige Stiftung mit zeitgemäßer Mission und überzeugender Strategie. Angetrieben von humanitären Werten gewährt der Fokus auf Kinder mit seltenen Erkrankungen relevante Einsichten in Krankheitsmechanismen, die letztlich der Heilung von Patienten auf der ganzen Welt dienen.

**Dr. Ludwig Spaenle, Bayerischer
Staatsminister für Bildung und Kultus,
Wissenschaft und Kunst**



Die Care-for-Rare Foundation am Dr. von Haunerschen Kinderspital leistet einen großartigen Beitrag zur Erforschung seltener Erkrankungen bei Kindern und zur internationalen Vernetzung! Sie ist ein wichtiger Brückenpfeiler für die bayerische Wissenschaft.

**Dr. h.c. Charlotte Knobloch, Präsidentin der
Israelitischen Kultusgemeinde und ehem.
Vizepräsidentin des World Jewish Council**



Die Care-for-Rare Foundation am Dr. von Haunerschen Kinderspital zeigt immer wieder aufs Neue, dass sich die Medizin und wir alle uns mit dem Status quo nicht zufriedengeben sollten. Vielmehr gilt es, im Interesse aller kranken Kinder Sorge zu tragen, dass wir unseren Kindern eine gute Zukunft eröffnen können, unabhängig von Religion und Nationalität und mit Respekt vor der Würde jedes Menschen.

**Barbara Stamm,
Präsidentin des Bayerischen Landtags**



Die Care-for-Rare Foundation am Dr. von Haunerschen Kinderspital der Landeshauptstadt München setzt sich für eine umfassende ärztliche, pflegerische und psychosoziale Versorgung von Kindern mit seltenen Erkrankungen aus München, Bayern und weit darüber hinaus ein. Sie entwickelt immer wieder kreative Ideen, damit in einer Zeit, in der es leider nicht immer selbstverständlich ist, dass das kranke Kind im Zentrum steht, neue Wege im Interesse kranker Kinder eingeschlagen werden können. Ohne eine solide Unterstützung im Rahmen gestärkten bürgerschaftlichen Engagements wäre dieser wichtige Pfeiler nicht tragfähig.

Seine Durchlaucht

Karl Friedrich Fürst von Hohenzollern



Ich kenne das Schicksal von Kindern mit seltenen Erkrankungen aus eigener Erfahrung in unserer Familie. Wir wollen uns dafür einsetzen, dass kein Kind an einer seltenen Erkrankung sterben muss!

**Prof. Dr. Harald zur Hausen,
Medizin-Nobelpreisträger
Mitglied des Kuratoriums der
Care-for-Rare Foundation**



Die Forschung sucht und liefert immer wieder neue Erkenntnisse. Erkenntnisse, die seltene Krankheiten heilen und Leid lindern können. Die Care-for-Rare Foundation leistet hier einen bedeutenden Beitrag, nicht nur für Kinder mit seltenen Erkrankungen, sondern für die gesamte Medizin!

Julian Steckel, Cellist



Musik kann uns trösten, aufrütteln, beruhigen, anspornen, sie füllt uns mit Energie und bringt die Seele zum Schwingen. Daher ist sie durchaus Partner der Medizin, denn Krankheitsbewältigung sollte ebenfalls nicht nur den Körper, sondern auch Geist und Seele im Blick haben.

**Professor Yu-Lung Lau MBChB, MD (Hon),
FRCPC, FRCPS (Glas), FHKAM, FHKCPaed
Chair Professor of Pediatrics
LKS Faculty of Medicine, The University of
Hong Kong**



The Care-for-Rare Foundation has given tremendous assistance and support to improve care for children with rare diseases of the immune system in South-East Asia. With this partnership bond we are positive of a brighter future for patients with rare diseases. Another plus for humanity.

Jonas Kaufmann, Opernsänger



Mit großer Freude und Respekt unterstütze ich die Mission der Care-for-Rare Foundation. Durch die Sorge um Kinder mit seltenen Erkrankungen erweitern Ärzte und Wissenschaftler weltweit die Grenzen ihres Wissens, sie haben sich verpflichtet zu helfen und neue, dringend nötige Therapien zu entwickeln. Musiker und Künstler können gemeinsam etwas bewegen, indem sie jene stärken, die Hilfe bei der Erfüllung ihrer Mission brauchen.

**Karin Seehofer, Bayerns „First Lady“ und
Gattin des Bayerischen Ministerpräsidenten**



Die Care-for-Rare Foundation dient Kindern aus ganz Bayern und weit darüber hinaus. Ich weiß, dass die mitwirkenden Ärztinnen und Ärzte, die Schwestern und Pflegenden, die Psychologen und alle anderen Berufsgruppen sich unermüdlich dafür einsetzen, Kindern mit seltenen Erkrankungen zu helfen. Wir alle sollten sie dabei unterstützen!

**Bruce Beutler M.D.,
Medizin-Nobelpreisträger
Mitglied des Kuratoriums der Care-for-Rare
Foundation**



The destiny of children with rare diseases depends critically on enthusiastic scientists and international collaboration. The Care-for-Rare Foundation provides a valuable platform for both – therefore, I proudly share its vision and mission!

**Sandor Frankel, Board of Trustees,
Helmsley Charitable Trust, New York, USA**



The Helmsley Charitable Trust supports the Care-for-Rare Foundation as part of a worldwide initiative to help children with early onset Inflammatory Bowel Disease. Our funds both help children and their families who are in dire need, and may also unlock clues to the disease to help develop new treatments and a cure for everyone with IBD. Christoph Klein and his team are connected to medical centers across the world, bringing hope to many children and their parents.

**Professor Dr. Wolfgang M. Heckl,
Generaldirektor Deutsches Museum**



Dank neuer technologischer Möglichkeiten erlebt die moderne Medizin auf vielen Ebenen einen dramatischen Wandel. Wir sollten dabei das Schicksal kranker Kinder nicht vergessen, deren Krankheiten so selten sind, dass sich die Mainstream-Forschung und die Industrie nicht für sie interessieren. Hier leistet die Care-for-Rare Foundation einen wunderbaren gesellschaftlichen Beitrag – wir sollten sie alle in ihrem Einsatz für die Waisen der Medizin unterstützen!

**Ulrich Wilhelm,
Intendant des Bayerischen Rundfunks**



Als Journalist liegt es mir am Herzen, auch jenen kleinen Patientinnen und Patienten eine Stimme zu geben, die als „Waisen der Medizin“ im Schatten der Öffentlichkeit stehen. Wir müssen uns dafür einsetzen, dass die Würde jedes Kindes geachtet wird!

Dr. Stefan Leifert, ZDF-Korrespondent



Die Care-for-Rare Foundation beeindruckt mit ihrer Mischung aus medizinischer Exzellenz und unermüdlichem Einsatz. Ihr Netzwerk verbindet Ärzte und Wissenschaftler rund um die Welt, um Kindern mit seltenen Erkrankungen eine Zukunft zu schenken.

**Dr. Nikolaus von Bomhard,
Vorsitzender des Vorstands, Munich Re**



Im Care-for-Rare Zentrum des Dr. von Haunerschen Kinderspitals arbeiten Forschung und Praxis Hand in Hand bei der Behandlung gerade der selteneren Krankheiten, zum Wohle der Kinder.

**Ihre Königliche Hoheit
Ursula Prinzessin von Bayern**



Die Care-for-Rare Foundation ist ein leuchtendes Vorbild – die Stiftung gibt sich nicht damit zufrieden, dass Kinder mit seltenen Erkrankungen keine Hoffnung auf Heilung haben. Sie setzt sich mit viel Enthusiasmus und höchster Kompetenz dafür ein, dass diese Kinder durch Wissenschaft und Forschung Hoffnung schöpfen können. Die Care-for-Rare Foundation braucht unsere Unterstützung, helfen wir ihr!

**Dr. Paul Achleitner, Vorsitzender des
Aufsichtsrats, Deutsche Bank AG**



Die Care-for-Rare Foundation nimmt sich des vergessenen Schicksals von Kindern mit seltenen Erkrankungen an. Anerkannte Pioniere der Medizin und der Wissenschaft setzen sich dafür ein, dass sie Forschung fördern und damit nachhaltige Hilfe für Kinder auf der ganzen Welt leisten kann – die Stiftung hat es geschafft, innerhalb kürzester Zeit zu den wirkungsvollsten Stiftungen Deutschlands aufzusteigen, sie verdient unsere Unterstützung!

Nina Ruge, Moderatorin



Care-for-Rare hat mich überzeugt – ich bewundere das Engagement, die Kompetenz und die Begeisterungsfähigkeit. Care-for-Rare hat immer wieder gezeigt, dass wir Kindern mit seltenen Erkrankungen helfen können, wenn wir alle mithelfen!

Marc B. Wolpow,
Co-Chief Executive Officer, Audax Group,
Boston, USA



The Care-for-Rare Foundation is a unique philanthropic entity. Established by visionary scientists and empowered by a growing network of private and corporate institutions, the foundation's team truly makes a difference for children with rare diseases. I am impressed how fast the foundation has been able to assemble the world's best clinicians and scientists devoted to unravel the mysteries of rare diseases and to jointly develop urgently needed new therapies!

Michael Apkon, MBA, MD, PhD,
President and CEO at The Hospital for Sick Children, Toronto



The Hospital for Sick Children, SickKids, at the University of Toronto is Canada's premier academic institution for pediatric health care. We have a long and successful history of striving towards excellence in the best interest of the children of our society. The international Care-for-Rare Foundation with its headquarter in Munich, Germany, is an excellent example for growing interdisciplinary and international collaborations. SickKids is a partner of the Care-for-Rare Alliance, together we are committed to decipher the genetics of early onset inflammatory bowel diseases and to design innovative treatment strategies.

Prof. Dr. Joseph Penninger,
Direktor des Instituts für Molekulare Biotechnologie, Wien
Mitglied des Kuratoriums der Care-for-Rare Foundation



Die Care-for-Rare Foundation unterstützt hochrangige Wissenschaftler auf der ganzen Welt. Sie leistet mit ihrem einzigartigen „Spirit“ und Enthusiasmus einen fundamentalen Beitrag, um Therapien für lebensbedrohliche Erkrankungen zu entwickeln!

Vicki and Fred Modell,
Jeffrey Modell Foundation, NYC, USA



The tragic loss of our son Jeffrey has prompted us to change the destiny of children with primary immunodeficiency diseases around the world – the international Care-for-Rare Foundation is a wonderful partner for this mission and Christoph Klein as spiritus rector together with his outstanding team has made remarkable progress.

Professor Aziz Bousfiha,
Professor of Pediatrics, Casablanca, African Society for Immunodeficiencies



With great level of enthusiasms I am a sincere well-wisher of the Care-for-Rare Foundation for children with rare diseases. The African continent is part of our shared world but its children are often bound to suffer because access to preventive and curative medical measures are limited. The Care-For-Rare Foundation partners with us providing resources for education and research. Even though this support is still limited at this time, I am very optimistic that the spirit of collegiality, enthusiasm and optimism across nations and continents will eventually translate into a better health care system and a brighter future for those who are greatly disadvantaged today. The Care-for-Rare Foundation is a paradigm for these efforts.

Prof. Dr. Heribert Prantl, Mitglied der Chefredaktion Süddeutsche Zeitung



Jedes Kind hat Anspruch auf Gesundheit, Schutz und Fürsorge der Gemeinschaft. Jedes kranke Kind, überall, braucht Hilfe, die dem Stand der medizinischen Wissenschaft entspricht. Defizite gibt es auch hier in Deutschland; die dürfen uns nicht ruhen lassen. Wir müssen Missstände erkennen und beseitigen, das sind wir den Kindern schuldig. Das Wohl der Kinder ist kein Luxus. Es ist ein Grundrecht der Kinder und eine Grundpflicht der Gesellschaft.

Professor Kanya Suphapeetiporn MD PhD,
Chulalongkorn University, Bangkok



Partnering with the international Care-for-Rare Foundation, we promote public awareness for rare diseases and enjoy being a part of an even larger network dedicated to train future leaders in pediatrics. Care-for-Rare has had a wonderful impact on how we currently rethink our responsibility for sick children with rare diseases and on how we will direct future research studies aiming to cure them.

Felix' Familie



Die Ärzte der Care-for-Rare Foundation haben uns sehr geholfen. Zu Beginn unserer Krankheitsgeschichte haben sie eine rasche Diagnose ermöglicht, sie haben nie aufgegeben und uns in unserer Verzweiflung immer wieder Mut gemacht – jetzt hat Felix seine Krankheit überwunden und ist gesund. Wir sind sehr dankbar für alles, was die Stiftung ermöglicht hat!

David G. Nathan MD,
Robert A. Stranahan Distinguished Professor of Pediatrics and Professor of Medicine, Harvard Medical School, em. Physician-in-Chief, Boston Children's Hospital



The international Care-for-Rare Foundation for children with rare diseases is a remarkable initiative with a truly humanitarian vision: no child should be destined to die because of a rare disease – regardless of national and ethnic origin and regardless of the financial situation of his or her parents. This mission is perfectly in line with Boston Children's Hospital mission „until every child is well“! We are proud to be part of the international Care-for-Rare Alliance.







Wie Sie Ihren Beitrag leisten können

Die Care-for-Rare Foundation ist auf ideelle und finanzielle Unterstützung angewiesen, damit sie ihre Vision verwirklichen kann. Sie können uns helfen, indem Sie Ihre persönlichen Netzwerke auf das globale Engagement der Care-for-Rare Foundation aufmerksam machen – damit unterstützen Sie ein wichtiges Ziel der Stiftung, denn immer noch wissen viele Menschen wenig von den Sorgen und Nöten von Kindern mit seltenen Erkrankungen. Sie können unter Umständen auch Ihre Talente in den Dienst der Care-for-Rare Foundation stellen, wie es manche Beratungs- und Medienagentur, einige Künstler oder Experten aus den Bereichen Jura, Finanzwirtschaft und Medien bereits tun. Wir sind bestrebt, diese Allianzen weiter auszudehnen und wissen es sehr zu schätzen, dass uns Menschen ihre Zeit schenken. Auch in finanzieller Hinsicht können Sie uns unter die Arme greifen. Wir zeigen Ihnen im Folgenden einige konkrete Möglichkeiten einer Unterstützung auf und illustrieren dies mit konkreten Beispielen – doch Ihrer Kreativität sind keine Grenzen gesetzt!

Es gibt vielfältige Möglichkeiten, die Mission der Care-for-Rare Foundation zu fördern. Sehr gerne entwickeln wir mit Ihnen eine für Sie in Ihre persönliche Lebenssituation passende Strategie Ihrer Wohltätigkeit!

Private Spende

Haben Sie bereits Ihre materiellen Grundbedürfnisse befriedigt und möchten daher anlässlich Ihres Jubiläums oder eines persönlichen Feiertages lieber Sinn stiften?

Dann laden wir Sie ein, Ihre Gäste um eine Spende an die Care-for-Rare Foundation zu bitten. Wir setzen diese Mittel zeitnah zur Verwirklichung unserer satzungsgemäßen Ziele ein. Jede Spende fließt ohne Abzüge in unsere Projektarbeit. Selbstverständlich stellen wir Ihnen und Ihren Gästen auf Wunsch eine Zuwendungsbescheinigung aus, die sich für Sie steuermin-



dernd auswirkt. Mit Ihrer Spende, ob groß oder klein, können Sie zu einer lebensrettenden Behandlung für ein Kind mit einer seltenen Erkrankung beitragen. Sie helfen uns, Reisekosten und notwendige Medikamente zu finanzieren, wenn das staatliche Versicherungssystem diese Kosten nicht übernimmt.

Beispiel: *Jörg Richter, ein passionierter Radsportler, erfüllte sich im Sommer 2015 einen Traum und radelte von Seattle bis New York quer durch die Vereinigten Staaten von Amerika. Er stellte seine 100 Tage-Tour unter das Motto der Care-for-Rare Foundation "From Discovery to Cure" und sammelte auf seiner 6.000 km langen Radtour Spenden für die Care-for-Rare Foundation.*

Unternehmensspende

Wollen Sie mit Ihrem Unternehmen ein Zeichen für gesellschaftliches Engagement setzen und damit Ihrer sozialen Verantwortung Ausdruck verleihen? Vielleicht meinen Sie beim ersten Blick, dass die Stiftungszwecke der Care-for-Rare Foundation wenig mit dem Geist Ihres Unternehmens zu tun haben – gerne helfen wir Ihnen, Gemeinsamkeiten aufzuspüren, damit auch Ihr



Unternehmen in Übereinstimmung mit Ihren Zielen und Werten zur Gestaltung der Zukunft unserer Gesellschaft einen nachhaltigen sozialen Beitrag leisten kann.

Beispiel: *Mehrere pharmazeutische Unternehmen haben sich im "Club of 50" zusammengeschlossen, um gemeinsam für eine Ausbildung von Physician Scientists in den pädiatrischen Subdisziplinen Sorge zu tragen. Nur dank dieses Engagements kann das hohe Niveau der Betreuung chronisch kranker Kinder gestärkt und die Zukunft einer hochwertigen Weiterentwicklung der Medizin gesichert werden. Andere Unternehmen schenken uns eine Teilhabe an ihrer spezifischen Expertise und helfen der Care-for-Rare Foundation auf diese Weise, weitere Netzwerke zu gewinnen und die Stiftungsarbeit stetig weiterzuentwickeln.*

Stifterdarlehen

Sie können noch nicht absehen, ob Sie Ihr Vermögen noch einmal für die finanzielle Absicherung Ihrer Familie einsetzen müssen? Dann können Sie der Care-for-Rare Foundation eine "Stiftung auf Zeit" in Form eines Stifterdarlehens gewähren. Als Darlehensgeber können Sie mit uns die Höhe des Stifterdarlehens, die Laufzeit

und die Kündigungsfristen vertraglich regeln. Gerne unterstützen wir Sie dabei. Die steuerfreien Kapitalerträge fließen der Care-for-Rare Foundation zu und werden für die in der Satzung festgelegten Ziele eingesetzt.

Beispiel: *Mit einem Stifterdarlehen in Höhe von 100.000 Euro auf Zeit schenken Sie jedes Jahr bis zu fünf Kindern eine genomweite Diagnostik zur zielführenden Diagnose ihrer seltenen Erkrankungen – und ebnen damit den Weg für die Entwicklung neuer Therapiemaßnahmen.*

Zustiftung

Sie haben eine Erbschaft gemacht oder verfügen aus anderen Gründen über eine größere Summe, die Sie gerne in Ihrem Namen für einen guten Zweck einsetzen wollen? Wenn Sie möchten, können Ausbildungsprogramme in Ihrem Namen erstellt und mit den Erträgen aus Ihrer Stiftung finanziert werden.

Beispiel: *Aus den Erträgen Ihrer Zustiftung können auf Wunsch hin namensgebende Weiterbildungsprogramme eingerichtet werden. So fördern wir im Andenken an einen viel zu früh an schwerer Krankheit gestorbenen Manager eine Arztstelle im Bereich der Kinderkrebsforschung. Dank einer zielgerichteten Zustiftung können wir dieses Fellowship verwirklichen und damit Zeit zum Denken schenken und kreative, unkonventionelle Wissenschaft unterstützen, damit Kinder mit Krebserkrankungen in Zukunft wirkungsvoller geheilt werden können.*

Treuhandstiftung

Wenn Sie sich mit dem Gedanken tragen, eine eigene Stiftung ins Leben zu rufen, aber den Verwaltungsaufwand und die kontinuierliche Betreuung scheuen, so können Sie unter dem Dach der Care-for-Rare Foundation rasch und ohne großen Aufwand eine Treuhandstiftung gründen.

Beispiel: *Durch die Errichtung einer Treuhandstiftung schenken Sie der Care-for-Rare Foundation die Möglichkeit, kontinuierlich junge Ärzte und Wissenschaftler aus aller Welt weiterzubilden. Nach dem Prinzip "Train the Trainer" erhöht sich der Wirkradius Ihres Engagements,*

denn wir fördern die talentiertesten jungen Wissenschaftler und eröffnen ihnen dadurch neue Horizonte für ihre jeweiligen Wirkungsstätten, sei es in Europa, in Südamerika, in Afrika, im Nahen oder im Fernen Osten. Die geförderten jungen Menschen aus weniger privilegierten Regionen werden in vieler Hinsicht geprägt – und damit immer auch Botschafter einer guten Völkerverständigung!

Testament

Sie gehören zur kleinen Gruppe von Menschen, die sich rechtzeitig Gedanken darüber machen, was nach Ihrem Tode mit Ihrem Vermögen geschehen soll? Das sorgfältige Erstellen eines Testaments trägt zu einer geregelten Nachfolge bei, Sie schaffen Klarheit und Verbindlichkeit für Ihre Angehörigen und Freunde. Sie können ein starkes und nachhaltig wirksames Zeichen für Kinder mit seltenen Erkrankungen setzen, indem Sie uns mit einem Teil Ihres Vermögens bedenken. So können Sie Sorge tragen, dass Ihr Name und Ihr Vermächtnis nicht in Vergessenheit geraten. Wir verfügen über einen Kreis von Experten und können Ihnen selbstverständlich kostenlos und unverbindlich bei allen Fragen zur Abfassung Ihres Testaments zur Seite stehen. Unter der Telefonnummer 089 4400 57700 stehen wir Ihnen für die Abstimmung eines Gesprächstermins zur Verfügung. Rufen Sie uns unverbindlich an!

Beispiel: *Aus den Erträgen Ihres Vermächtnisses können Sie beispielsweise den Fortbestand sowie die weitere Intensivierung des Leuchtturms der Care-for-Rare Alliance am Dr. von Haunerschen Kinderspital der LMU garantieren. Sie helfen uns, exzellente Wissenschaft im Interesse kranker Kinder zu fördern, jenes „en plus“ zu schenken, welches staatliche Institutionen durch ihre Beschränkung auf Minimalstandards heute nicht mehr zur Verfügung stellen. Hierzu zählen nicht nur Laborgeräte und -ausstattungen, sondern auch die Co-Finanzierung unserer sogenannten „Core-Units“, der gemeinsam genutzten Technologieplattformen (z. B. Genomdiagnostik) oder des interdisziplinären pädiatrischen Studienzentrums. Sie können auch dazu beitragen, dass der Forschungs-Leuchtturm neben dem neuen Hauptgebäude des Haunerschen Kinderspitals realisiert werden kann!*

Als Wohltäter der Care-for-Rare Foundation ist Ihnen unser Dank sicher! Je nach Ihren persönlichen Wünschen geben wir entweder gerne öffentliches Zeugnis Ihrer Großzügigkeit oder wahren Diskretion. Sie können regelmäßige Informationen über die aktuellen Entwicklungen der Stiftung sowie Berichte zu Projektfortschritten erhalten, Ihren Namen auf einer Stifterwand verewigen oder unter Umständen Namensgeber von Fellowship-Projekten oder Räumlichkeiten werden. Zu speziellen Veranstaltungen werden Sie exklusiv eingeladen.

Wir freuen uns darauf, mit Ihnen verbunden zu bleiben!

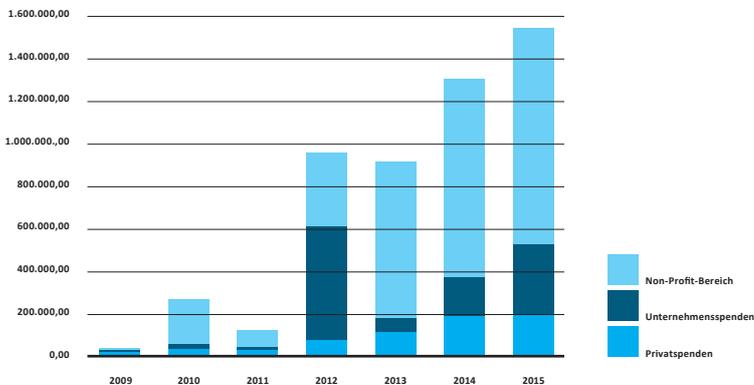
Das Dr. von Haunersche Kinderspital wird im Laufe der nächsten Jahren von der Bayerischen Staatsregierung neu gebaut werden. Wir sind nun auf der Suche nach Unterstützern, um ein translationales Care-for-Rare Forschungszentrum zu realisieren, wie in der Computersimulation der Architekten Nickl & Partner dargestellt (links: das neue Dr. von Haunersche Kinderspital, rechts: Care-for-Rare Translational Research Center).



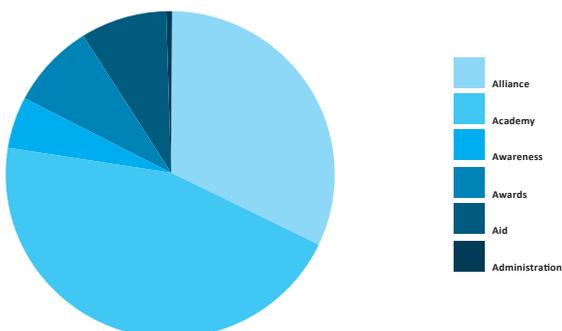
Organigramm der Care-for-Rare Foundation



Jährliche Zuwendungen an die Care-for-Rare Foundation (in €)



Verteilung der Fördermaßnahmen gemäß Förderlinien im Jahr 2015



Stiftungsvorstand

Professor Dr. Dr. Christoph Klein ist Direktor am Dr. von Haunerschen Kinderpital der Ludwig-Maximilians-Universität München. Als Kinderarzt und Wissenschaftler betreut er ein umfangreiches klinisches und wissenschaftliches Portfolio, das sich der Prävention, Diagnostik und Behandlung von Kindern mit seltenen und häufigen Erkrankungen widmet. Er ist Gründungsmitglied und Sprecher des deutschen Forschungsnetzwerkes für seltene Erkrankungen und berät zudem das Ministerium für Bildung und Forschung sowie das Gesundheitsministerium bei Fragestellungen rund um seltene Erkrankungen. Der Care-for-Rare Foundation steht er als Mitbegründer und „spiritus rector“ vor.

Er absolvierte seine pädiatrische Ausbildung an den Universitäten München und Freiburg sowie am Hôpital Necker des Enfants Malades in Paris und dem Boston Children's Hospital, Harvard Medical School. Als Experte für Erkrankungen des Blutes und des Immunsystems hat Professor Klein mit seinem Team maßgeblich an der Aufklärung vieler seltener Erkrankungen mitgewirkt und neue Therapiestrategien entwickelt. Für seine bahnbrechenden wissenschaftlichen Arbeiten wurde er mit vielen nationalen und internationalen Preisen geehrt; 2010 wurde er als erster Kinderarzt mit dem Gottfried Wilhelm Leibniz-Preis, dem höchsten deutschen Wissenschaftspreis, ausgezeichnet.

Professor Dr. Andreas Staudacher, Mitbegründer der Care-for-Rare Foundation, absolvierte sein Jurastudium an den Universitäten München und Tübingen. Er ist Fachanwalt für Verwaltungsrecht und leitet eine überregional aktive Kanzlei. Als Professor für Verwaltungs- und Baurecht lehrt er an der Fachhochschule Biberach und wirkt in zahlreichen philanthropischen Projekten mit.

Wissenschaftlicher Beirat

Professor Jean-Laurent Casanova MD PhD
Professor am St. Gildes Laboratory of Human Genetics of Infectious Diseases der Rockefeller-Universität, New York.
Professor Casanova untersucht die genetischen Grundlagen von Infektionskrankheiten.

Professorin Dr. rer. nat. Ulrike Gaul
Humboldt-Professorin am Genzentrum der Ludwig-Maximilians-Universität, München.
Professorin Gaul ist Entwicklungsbiologin mit einem besonderen Schwerpunkt im Bereich Neurobiologie und Systembiologie.

Professor Scott Snapper MD PhD
Professor für Gastroenterologie, Children's Hospital Boston, Harvard Medical School.
Professor Snapper untersucht die Mechanismen von Immunität und Toleranz im Intestinaltrakt.

Kuratorium

Prof. Dr. Bruce Beutler,
Träger des Medizin-Nobelpreises 2011
Dr. Thomas Jaschke,
Arvato Bertelsmann
Dr. Martin Ney,
Botschafter der Bundesrepublik Deutschland in Indien
Prof. Dr. Joseph Penninger,
Direktor des IMBA in Wien
Prof. Dr. Joseph Sayer,
ehem. Hauptgeschäftsführer von Misereor
Hubert Thaler,
Vorstand der Werner Reichenberger Stiftung
Prof. Dr. Harald zur Hausen,
Träger des Medizin-Nobelpreises 2008

Schirmherrin

Annette Schavan,
Botschafterin der Bundesrepublik Deutschland beim Heiligen Stuhl

Stiftungsrat

Dr. rer. pol. Thomas Jaschke studierte Betriebswirtschaft an der Universität Münster und nahm anschließend verschiedene internationale Führungsaufgaben innerhalb der Bertelsmann-Gruppe wahr. Er begleitete den Aufbau der Care-for-Rare Foundation als Vorsitzender des Stiftungskuratoriums und entwickelt nun die weitere strategische Ausrichtung als Mitglied im Stiftungsrat.

Gute Stiftungspraxis

Die Care-for-Rare Foundation verpflichtet sich, die Grundsätze guter Stiftungspraxis einzuhalten und unterstützt die Initiative Transparente Zivilgesellschaft. Satzung und Geschäftsordnung stellen wir Ihnen auf Anfrage gerne zur Verfügung. Die Care-for-Rare Foundation für Kinder mit seltenen Erkrankungen ist eine als gemeinnützig anerkannte rechtsfähige Stiftung des privaten Rechts. Die Mitglieder des Vorstandes, des Kuratoriums und des Stiftungsrates sind ehrenamtlich tätig. Alle Spenden fließen ohne Abzüge in die Projektarbeit, die Verwaltungskosten werden über definierte Projektpauschalen der großen Förderer gedeckt.

Auszeichnungen

Das soziale Engagement der Care-for-Rare Foundation wurde im Rahmen der Initiative "Deutschland – Land der Ideen" (2009) sowie durch die Verleihung des Cusanuspreises (2015) ausgezeichnet. Die Care-for-Rare Foundation wurde 2016 von der Deutschen Universitätsstiftung als Wissenschaftsstiftung des Jahres ausgezeichnet.



Danksagung

Wir danken allen Freunden und Unterstützern, die sich für die Mission der Care-for-Rare Foundation begeistern und uns regelmäßig mit kleineren und größeren Zuwendungen beschenken. Nur durch dieses großartige bürgerschaftliche Engagement ist es möglich, dass die Stiftung stetig wachsen darf und immer mehr Kinder mittelbar und unmittelbar von der Förderung durch die Care-for-Rare Foundation profitieren.

Die Care-for-Rare Foundation wird zudem von einem wachsenden Expertennetzwerk aus den Bereichen Medizin und Naturwissenschaft, Wirtschaft und Recht, Design und Marketing, Kunst und Kultur, Management, Journalismus und Politik unterstützt. Sie teilen ihre Expertise und ihren Rat mit uns.

Wir danken unseren gemeinnützigen Unterstützern Sternstunden e.V., Reinhard Frank Stiftung, Werner Reichenberger Stiftung, Tribute to Bambi Stiftung, Charitable Helmsley Trust NY, USA, Cyliax Stiftung, Jeffrey Modell Foundation NY, USA, Hörer helfen Kindern e.V., Radio ffn, SZ Adventskalender. Wir danken auch unseren "corporate supporters", insbesondere allen Mitgliedern des "Club of 50" (Alexion Pharma Germany GmbH, Bayer Pharma AG, Biotest AG, Boehringer Ingelheim GmbH, Celgene GmbH, CSL Behring GmbH, MSD Sharp Dohme GmbH, Roche, Shire Deutschland GmbH, sigma-tau Arzneimittel GmbH, Wacker Chemie AG), Gmund Papier, HypoVereinsbank, V-Bank, Flughafen München, Sausalitos Holding, AOK Bayern, BAIN & Company, eberhardwolf.com, BMW München, LEGO, Hilton International, Hirmer, HIPPI, Steiff und vielen anderen.

Wir sind sehr dankbar für ihre Hilfe und Engagement!

Stiftungsaufsichtsbehörde

Die Care-for-Rare Foundation® ist eine rechtsfähige Stiftung bürgerlichen Rechts.

Zuständige Aufsichtsbehörde:
Regierungspräsidium Tübingen
Konrad-Adenauer-Straße 20
D-72072 Tübingen
Steuernummer: 88041/00409

Kontakt

Care-for-Rare Foundation
Administrationsbüro am Dr. von Haunerschen
Kinderspital
Ludwig-Maximilians-Universität München
Lindwurmstraße 4
D-80337 München
Telefon: +49-(0)-89 4400 5 7700
Telefax: +49-(0)-89 4400 5 7702
E-Mail: info@care-for-rare.org
Web: www.care-for-rare.org

Stiftungssitz:
Berblingerstraße 31
D-88471 Laupheim

Spendenkonto

Care-for-Rare Foundation
Sparkasse Ulm
IBAN: DE93 6305 0000 0000 0035 33
SWIFT-BIC: SOLADES1ULM





Es gibt sehr viele Wege, die Care-for-Rare Foundation zu unterstützen. Am Anfang steht für uns das persönliche Gespräch mit Ihnen. Gemeinsam können wir abstimmen, wie Ihre Wünsche am besten verwirklicht werden können.

Rufen Sie uns an! Meine persönliche Telefonnummer lautet +49-(0)-89 4400 5 7700.

Kein Kind sollte an seiner seltenen Erkrankung sterben müssen – helfen Sie uns dabei, dies Schritt für Schritt zu ermöglichen!

Ihr

Prof. Dr. Dr. Christoph Klein



Care-for-Rare Foundation®

Stiftung für Kinder mit seltenen Erkrankungen

www.care-for-rare.org

ausgezeichnet als:

WissenschaftsStiftung
Jahres^{des} 2016