



Care-for-Rare Foundation

Stiftung für Kinder mit seltenen Erkrankungen

newsletter

Ausgabe 9 | Dezember 2016

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

pro.movere – mehr bewegen: Unter diesem Motto stand nicht nur unsere diesjährige Preisverleihung, bei der Ihre Majestät Königin Silvia von Schweden mit dem Bayerischen Stifterpreis und Prof. Heymut Omran mit dem Care-for-Rare Science Award ausgezeichnet wurden. Mehr bewegen wollen wir mit allen unseren Aktivitäten des zweiten Halbjahres 2016: Unsere jungen StipendiatInnen setzen sich für Fortschritte in der Erforschung seltener Erkrankungen ein, die C4R-Alliance will Bewegung weltweit erzeugen und immer mehr Mitstreiter für unsere Mission gewinnen, ein neues Forschungszentrum soll in München entstehen. Bewegen lassen auch wir uns von den Schicksalen unserer kleinen Patienten Knowah und Lacramiora, denen es dank des hervorragenden Engagements der Ärzte im Haunerschen Kinderspital immer besser geht. Die Weihnachtstage laden nun dazu ein, innezuhalten und das vergangene Jahr Revue passieren zu lassen. Wir möchten dies zum Anlass nehmen, um all unseren Freunden und Unterstützern zu danken: Herzlichen Dank, dass Sie an unserer Seite sind! Gemeinsam können wir auch im kommenden Jahr unsere Projekte tatkräftig vorantreiben, neue Aktivitäten anstoßen und so mehr bewegen – für die Zukunft unserer Kinder.

Ihre

Prof. Dr. Christoph Klein

Prof. Dr. Andreas Staudacher

NEUIGKEITEN AUS DER STIFTUNGSARBEIT

Awards

pro.movere: Preisverleihung mit Ihrer Majestät Königin Silvia von Schweden und Prof. Heymut Omran

Alliance

Wissenschaftliche Konferenz zu seltenen Erkrankungen am Starnberger See
Ausblick 2017: wissenschaftliche Symposien zu seltenen Erkrankungen
Spendenprojekt: C4R Research Center am neuen Haunerschen Kinderspital

Aid

Philippinen: Knowah zu Besuch in München
Rumänien: Lacramiora auf dem Weg der Besserung

Awareness

Zweite internationale Radltour für die Waisen der Medizin

Academy

Stipendium für junge Wissenschaftlerin aus Brasilien
Research for Rare Diseases: Success at the 58th ASH Annual Meeting
Club of 50: Ausbau des Akademie-Programms | Interview mit einer Stipendiatin
C4R Fellow berichtet von Forschungsstipendium in Boston

Kurz berichtet

Impressum

info@care-for-rare.org

Herausgeber:
Care-for-Rare Foundation
Lindwurmstr. 4
80337 München
www.care-for-rare.org

ViSdP:
Prof. Dr. Dr. Christoph Klein
Redaktion:
Anne-Marie Flad
Dr. Albrecht Matthaer

Fotos:
Michael Woelke
Kamer Aktas
Robert Gongoll
Architekturbüro Nickl u. Partner



AWARDS



Ihre Majestät Königin Silvia von Schweden erhält den Bayerischen Stifterpreis 2016

PRO.MOVERE – PREISVERLEIHUNG MIT IHRER MAJESTÄT KÖNIGIN SILVIA VON SCHWEDEN UND PROF. HEYMUT OMRAN

Die Care-for-Rare Foundation und die Werner Reichenberger Stiftung haben am 24. November 2016 mit ihrer gemeinsamen Initiative „pro.movere – mehr bewegen“ erneut zu gesellschaftlichem Engagement aufgerufen und zwei Engagementpreise verliehen. Bei der festlichen Abendveranstaltung erhielt Ihre Majestät Königin Silvia von Schweden den Bayerischen Stifterpreis für ihr weltweites Engagement für Kinder in Not. Der Care-for-Rare Science Award ging an Prof. Dr. Heymut Omran vom Universitätsklinikum Münster für die Erforschung seltener Lungenerkrankungen bei Kindern.



Laudator Prof. Dr. Josef Penninger übergibt den Care-for-Rare Science Award 2016 an Prof. Dr. Heymut Omran

Unter der Schirmherrschaft S.K.H. Herzog Franz von Bayern wurden am 24. November zum vierten Mal der Bayerische Stifterpreis und der Care-for-Rare Science Award verliehen. Die Preisverleihung fand in Anwesenheit von 140 geladenen Gästen aus Wirtschaft, Politik, Kultur und Wissenschaft im Hubertussaal in Schloss Nymphenburg statt.

Im Zentrum des Abends standen Kinder – Kinder in Not und Kinder mit seltenen Erkrankungen, die „Waisen der Medizin“. Kinderärzte waren einst die Wegbereiter der Kinderrechtskonvention und sind auch heute noch engagierte Advokaten für Kinder. Die Sorge um Kinder darf nicht nur staatlicher Fürsorge überlassen bleiben; jeder einzelne Mensch ist aufgerufen, sich für Kinderrechte und eine gute Zukunft unserer Kinder einzusetzen. Die beiden Auszeichnungen würdigen beispielhaftes Engagement in der Gesellschaft. Sie bringen Stifter mit Ärzten und Wissenschaftlern in Verbindung, Philanthropie und Mäzenatentum gewinnen für unsere Gesellschaft an Bedeutung. Darauf will die Initiative „pro.movere – für München, Bayern und die Welt“ hinweisen.

Der Bayerische Stifterpreis 2016



Hubert Thaler, S.K.H. Herzog Franz von Bayern, Prof. Dr. Heymut Omran, I.M. Königin Silvia von Schweden, Landesbischof Prof. Dr. Heinrich Bedford-Strohm, Prof. Dr. Christoph Klein (v.l.n.r.)

Ihre Majestät Königin Silvia von Schweden erhielt den Bayerischen Stifterpreis der Werner Reichenberger Stiftung in Anerkennung ihres Einsatzes für Kinder in Not in aller Welt. Ihre World Childhood Foundation kümmert sich seit 1999 um Kinder, die an Ausbeutung, Missbrauch und Ausgrenzung leiden. Prof. Dr. Heinrich Bedford-Strohm, Landesbischof der Evangelisch-Lutherischen Kirche in Bayern und Ratsvorsitzender der Evangelischen Kirche in Deutschland hob in seiner Laudatio hervor, dass Königin Silvia beherzt die Würde ihres Amtes in den Dienst entrechteter Kinder stellt, weit über die Grenzen Schwedens hinaus. Überall auf der Welt leiden Kinder. Diesen Kindern hilft Königin Silvia von Schweden mit ihrer Stiftung, die mit mehr als 100 Projekten in 17 Ländern zum Schutz von Kindern beiträgt und ein konkretes Zeichen für die Umsetzung der UN Kinderrechtskonvention setzt.

Der Care-for-Rare Science Award 2016



Festliches Ambiente im Hubertussaal in Schloss Nymphenburg

Für seine Forschungsarbeiten zu seltenen Lungenerkrankungen bei Kindern erhielt der Kinderarzt Professor Dr. Heymut Omran den Care-for-Rare Science Award 2016. Professor Dr. Josef Penninger vom Institut für Molekulare Biotechnologie in Wien hielt die Laudatio auf den Arzt und Wissenschaftler.

Heymut Omran leitet die Klinik für Kinder- und Jugendmedizin des Universitätsklinikums Münster und widmet sich der Erforschung der „Primären Ciliären Dyskinesie“ (PCD), einer seltenen angeborenen Erkrankung der Atemwege. Ihr liegen verschiedene Gendefekte zugrunde. Kinder mit PCD leiden von Geburt an an wiederkehrenden Infekten, die zu dauerhafter Schädigung der Lungenfunktion führen. Noch ist die Erkrankung, die bei etwa einem von 20.000 Neugeborenen auftritt, recht unbekannt und wird meist erst spät diagnostiziert. Im aktuellen Forschungsprojekt richten Omran und sein Team das Augenmerk daher zunächst auf eine Verbesserung der Diagnostik: Je früher PCD diagnostiziert wird, desto besser können Therapiemaßnahmen greifen und gravierenden Lungenschädigungen vorbeugen.



ALLIANCE



Summer School & Hauner Research Days im Juli 2016 am Starnberger See



Die Konferenzteilnehmer



"Speed Dating" bei den Hauner Research Days

SUMMER SCHOOL & HAUNER RESEARCH DAYS: WISSENSCHAFTLICHER AUSTAUSCH AM STARNBERGER SEE

„Genetics and Immunity – lessons from children with rare diseases of the immune system“: Zu diesem Schwerpunktthema kamen vom 14. bis 16. Juli 2016 internationale Wissenschaftler im oberbayerischen Bernried zusammen, um sich über neueste Erkenntnisse genetischer Erkrankungen des Immunsystems auszutauschen.

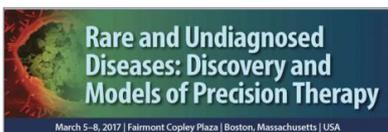
Im Rahmen der Konferenz fand zunächst das halbjährliche Treffen des Helmsley-Konsortiums statt, das chronisch-entzündliche, frühkindliche Darmerkrankungen („very early onset inflammatory bowel diseases, VEO-IBD) im Fokus hat. Unter den Konferenzteilnehmern waren zudem Mitglieder des vom Deutschen Akademischen Austauschdienst (DAAD) geförderten Netzwerks „Research for rare diseases and personalised medicine“ aus Thailand, Israel, Kanada, den USA, Österreich, der Türkei und dem Iran, die anlässlich ihrer jährlichen Summer School Forschungsprojekte vorstellten und ihre internationalen Kooperationen vertiefen konnten. Eine Zusammenarbeit über die Ländergrenzen hinweg ist angesichts der Notwendigkeit individualisierter Therapien gerade im Bereich der seltenen Erkrankungen von größter Bedeutung. Die Care-for-Rare Foundation ermöglichte jungen WissenschaftlerInnen aus Isfahan, Bangkok, Kayseri, Wien, Tel Aviv und Boston die Konferenzteilnahme, indem sie Reisestipendien vergab.

Das wissenschaftliche Symposium bildete auch den Rahmen für die „Hauner Research Days“. Ärzte und Wissenschaftler des Haunerschen Kinderspitals versammelten sich in Bernried, um Wege in die klinische Forschung aufzuweisen. Bei einer „Speed Dating“-Runde informierten die Forschungsgruppenleiter junge Kollegen aus Klinik und Forschung über ihre Projekte und Möglichkeiten der Mitarbeit. Organisiert wurde die Konferenz vom Dr. von Haunerschen Kinderspital der LMU und der Care-for-Rare Foundation.

AUSBLICK 2017: INTERNATIONALE KONFERENZEN ZU SELTENEN ERKRANKUNGEN

International Keystone Symposium

Die Care-for-Rare Foundation stärkt ihre internationalen Allianzen und ist Mitorganisator der Keystone Symposien Konferenz "Rare and Undiagnosed Diseases: Discovery and Models of Precision Therapy". Sie findet vom 5. - 8. März 2017 an der Fairmont Copley Plaza, Boston (Massachusetts, USA) statt. Stipendien sind für Studenten und Doktoranden erhältlich. Weitere Informationen: <http://www.keystonesymposia.org/17C2>



Klaus Betke Symposium 2017

Im zweijährigen Turnus findet das Internationale Klaus Betke Symposium am Dr. von Haunerschen Kinderspital statt. Die Tagung verbindet das Gedenken an Professor Betke mit unserem Auftrag, auf die Bedeutung seltener Erkrankungen im Kindesalter hinzuweisen.

Das Symposium führt im Jahr 2017 verschiedene Ereignisse rund um den Tag der seltenen Erkrankungen am 28. Februar zusammen: Das Symposium der Else Kröner Fresenius Clinical Research School, die Verleihung der Hauner-Medaille an Frau Prof. Anne Griffiths aus Toronto sowie die Jahrestagung des Very Early Onset Inflammatory Bowel Disease (VEO-IBD)-Consortiums. Die Konferenz findet vom 28. Februar bis 3. März 2017 im Dr. von Haunerschen Kinderspital und in den Räumen der Carl Friedrich von Siemens Stiftung statt. Der inhaltliche Schwerpunkt des Symposiums liegt in diesem Jahr auf entzündlichen Darmerkrankungen bei Kindern. Wir hoffen, viele junge



ALLIANCE

Wissenschaftler aus der ganzen Welt dabei zu haben, die sich für Immunologie und Gastroenterologie interessieren!

Weitere Informationen unter www.kbs2017.wordpress.com.



So soll das C4R Research Center am neuen Haunerschen Kinderspital aussehen
(© Architekturbüro Nickl und Partner)

SPENDENPROJEKT: DAS C4R RESEARCH CENTER AM NEUEN DR. VON HAUNERSCHEN KINDERSPITAL

Jedes dritte Kind, das im Dr. von Haunerschen Kinderspital behandelt wird, leidet an einer seltenen Erkrankung; trotz großer Fortschritte in der Medizin sind viele seltene Erkrankungen immer noch unheilbar. Nur Wissenschaft kann helfen: Um allen Kindern eine Chance auf ein gesundes Leben zu ermöglichen, müssen die Krankheitsmechanismen besser verstanden werden. Nur wenn Ärzte und Wissenschaftler sich weltweit verbinden und der Erforschung seltener Erkrankungen widmen, können erkrankte Kinder Hoffnung auf Heilung haben.

Das Forschungszentrum

Das Dr. von Haunersche Kinderspital in München ist ein Kompetenzzentrum für die Behandlung seltener Erkrankungen. Um die dringend nötige Forschung zu den „Seltene“ voranzutreiben, gilt es nun ein Forschungszentrum zu schaffen, das in direkter Nachbarschaft des „Neuen Hauner“ Raum für wissenschaftliche Kreativität und Innovation bietet.

Das Architekturbüro Nickl & Partner hat der Care-for-Rare Foundation einen Entwurf des geplanten Forschungszentrums geschenkt. Auf 3.000 qm² sollen bis zu 200 Wissenschaftler gemeinsam die Grundlagen seltener Erkrankungen erforschen und wirksame neue Therapien entwickeln. Das Zentrum wird von München aus weit über Deutschland hinaus wirken.

Helfen Sie mit!

Um das „Care-for-Rare Research Center“ realisieren zu können, sind wir auf Unterstützung wohlthätiger Mäzene angewiesen: 12 Millionen Euro, die Hälfte der für den Bau benötigten Kosten, müssen durch private Spenden akquiriert werden. Es ist uns bereits gelungen, Großspenden in Höhe von sechs Millionen Euro als Grundstock zu sichern. Unser nächstes Ziel besteht darin, weitere sechs Millionen Euro einzuwerben, um so einen weiteren wichtigen Meilenstein auf dem Weg zu einem Forschungszentrum der Spitzenklasse in München zu erreichen.

Unsere Vision: Kein Kind sollte an seiner seltenen Krankheit sterben! Wenn auch Sie Teil unserer Mission werden und den Bau des Forschungszentrums unterstützen möchten, sprechen Sie mit uns!

AID



Knowah und seine Mutter Dindin im Oktober 2016 im Haunerschen Kinderspital

PHILIPPINEN: KNOWAH ZU BESUCH IN MÜNCHEN

Freudiger Besuch: Unser kleiner philippinischer Patient ist im Oktober 2016 nach München gekommen. Nach seiner Heimkehr in die Philippinen im Mai dieses Jahres war es Knowahs erster Kontrollbesuch am Dr. von Haunerschen Kinderspital. Dem zweijährigen Jungen geht es aktuell sehr gut. Knowah litt am Wiskott-Aldrich-Syndrom und erhielt im Sommer letzten Jahres eine Stammzelltransplantation, um die Krankheit zu heilen. Dank der Hilfe vieler großzügiger Spenderinnen und Spender konnte die Care-for-Rare Foundation die lebensrettende Behandlung finanzieren. Wir freuen uns sehr, dass Knowah so fröhlich in eine gute Zukunft blicken kann – herzlichen Dank an alle Spenderinnen und Spender, die Knowahs Heilung ermöglicht haben!



AID



Die neunjährige Lacramiora leidet an einer seltenen Erkrankung des Immunsystems. Mit Medikamenten kann ihr Care-for-Rare helfen.

RUMÄNIEN: LACRAMIORA AUF DEM WEG DER BESSERUNG

Besser geht es auch der kleinen Lacramiora (9), die an einer seltenen Krankheit leidet, die ihr Immunsystem stark angegriffen hat. Um es wieder aufzubauen, hatte die Care-for-Rare Foundation einen Spendenaufruf gestartet. Denn Lacramiora benötigt G-CSF, ein spezielles Medikament, das sie seit ihrem ersten Besuch im Sommer nun täglich erhält. Ihr Husten ist inzwischen fast verschwunden, ihre Blutwerte haben sich verbessert. Der Care-for-Rare Stipendiat Dr. Sebastian Hesse kümmert sich nun weiterhin um sie. Er organisiert die benötigten Medikamente und besucht Lacramiora und ihre Familie regelmäßig in Rumänien.

An dieser Stelle danken wir allen Spenderinnen und Spendern, die die Behandlungen unserer kleinen Patientinnen und Patienten in diesem Jahr möglich gemacht haben!

AWARENESS



Jörg Richter im C4R-Trikot bei seinem Besuch im UCSF Benioff Children's Hospital in San Francisco

ZWEITE INTERNATIONALE RADLTOUR FÜR DIE „WAISEN DER MEDIZIN“: JÖRG RICHTER RADELT FÜR CARE-FOR-RARE DURCH DEN WESTEN DER USA

Die Care-for-Rare Foundation erhielt in diesem Sommer erneut sportliche Unterstützung. Nach seiner großen Radtour „from coast to coast“, bei der er die USA von der West- zur Ostküste durchquert hatte, machte sich Jörg Richter mit seinem Rad im Sommer 2016 auf eine vierwöchige Reise durch den Westen der Vereinigten Staaten. Wieder rief er dabei zu Spenden für Kinder mit seltenen Erkrankungen auf.

Am 27. August 2016 startete der Hobby-Radsportler seine Tour in San Francisco, wo zunächst ein Besuch des Benioff Children's Hospital der University of California San Francisco (UCSF) auf dem Plan stand. Die Care-for-Rare Foundation arbeitet mit Ärzten und Wissenschaftlern des UCSF Benioff Children's Hospital zusammen, um Kindern mit seltenen Erkrankungen weltweit Hoffnung auf Heilung zu geben. Gerade bei seltenen Krankheiten, von denen in den einzelnen Ländern meist nur sehr wenige Menschen betroffen sind, sind internationale Kooperationen und grenzüberschreitende Forschung essentiell.

Rund vier Wochen dauerte die Tour des Radsportlers, die ihn durch die Bundesstaaten Kalifornien, Nevada und Utah zu seinem Ziel in St. George bei Las Vegas führte. Jörg Richter geht auf seinen Reisen nicht nur seiner Radl-Leidenschaft nach, sondern möchte sie auch für die gute Sache nutzen und zu Spenden für die Care-for-Rare Foundation aufrufen. „Es ist wichtig, sich um die Menschen zu kümmern, die wenig Hilfe erfahren“, kommentiert Richter sein Engagement für die Stiftung. „Ich möchte Kindern und auch Erwachsenen Mut machen, ihre Träume nicht aufzuschieben und sich ernst zu nehmen!“

Bereits im Sommer 2015 machte sich Jörg Richter für Kinder mit seltenen Erkrankungen stark. Rund 7.700 Kilometer legte er „from coast to coast“ im Sattel seines Rades zurück und durchquerte die USA von der West- zur Ostküste. Rund 6.000 Euro Spendengelder kamen dabei für die Care-for-Rare Foundation zusammen.



ACADEMY



Natalia Duharte Linares bekam ein Visiting Short Term Fellowship der Care-for-Rare Foundation

WISSENSCHAFTLERIN AUS BRASILIEN FORSCHT DANK CARE-FOR-RARE IN MÜNCHEN

Im Rahmen des Academy-Programms vergibt die Care-for-Rare Foundation regelmäßig Stipendien an junge Ärzte und Wissenschaftler. Natalia, eine Wissenschaftlerin aus Brasilien, absolvierte im Herbst einen mehrwöchigen Forschungsaufenthalt im Care-for-Rare Labor am Dr. von Haunerschen Kinderspital. Die Arbeitsgruppen in Belo Horizonte und München erforschen gemeinsam die Grundlagen eines neuen Immundefektes, der Kinder in Brasilien betrifft. Es besteht die Hoffnung, dass diese Anstrengungen dazu führen können, Kindern in Belo Horizonte eine Therapie zu ermöglichen.

Natalia über ihre Forschung: „The field of rare genetic diseases completely fascinates me. I really like to study rare genetic disorders to understand the pathogenesis of diseases and to elucidate the function of involved genes. I study many types of genetic diseases, and I am always learning; this really motivates me! I believe that I have a lot to explore in this field and I am keen to take on new challenges. Studying these patients drives my attention about how human genetics, immunity and infection fields can interact and how extensive and effective this approach can be.“



Erforscht erfolgreich die Seltenen: Dr. Maximilian Witzel am Haunerschen Kinderspital

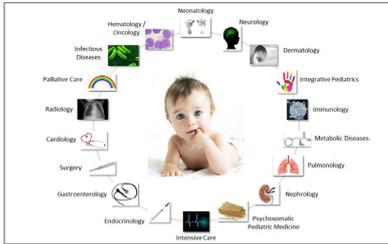
RESEARCH FOR RARE DISEASES: SUCCESS AT THE 58TH ASH ANNUAL MEETING

“It is not every day that we turn up a brand new inherited disease, discover its functional basis, and model it in two different species, all while elucidating new key factors in normal hematopoiesis in one fell swoop. ASH delivers again!” reports Dr. James S. Blachly in ASH News Daily. Dr. Maximilian Witzel (on the photo) presented his scientific work on SMARCD2 deficiency in the Plenary Session of the annual ASH meeting selecting the best 6 contributions out of more than 6.000 submitted abstracts. His work described the first human patients with mutations in SMARCD2, a critical regulator of blood cell development, and was the result of a superb collaborative effort in the international Care-for-Rare Alliance involving investigators from Germany, UK, Norway, USA, Lebanon, and Australia. Professor Len Zon from Harvard Medical School Boston/USA praised the “monumental work”: “It was amazing to collect these very interesting patients with a rare disease, with an important gene that is defective, and then to understand it with an animal model.” Professor Andrew Roberts from the Walter and Eliza Hall Institute in Melbourne, Australia, echoed in: “This is a paradigmatic example of bed to bench translational research. It is a quite complete, novel and multidimensional story that unravels a biological role for SMARCD2 and the role of chromatin remodeling for hematopoiesis and differentiation of neutrophil granulocytes. Dr. Blachly was very excited about Dr. Witzels achievements: “ASH is happy to be able to report such successful collaborations, and as hematologists, we should be proud of our field!”

Care-for-Rare is equally proud of a wonderful alliance and academy program that proves to make a difference for children with rare diseases. Join us in congratulating Dr. Maximilian Witzel for his outstanding contribution!



ACADEMY



Das Kind im Zentrum der pädiatrischen Spezialdisziplinen

NEUES VOM CLUB OF 50: FÖRDERUNG JUNGER ÄRZTE UND WISSENSCHAFTLER AM DR. VON HAUNERSCHEN KINDERSPITAL

In einem deutschlandweit einzigartigen Akademie-Programm sichert Care-for-Rare die Ausbildung zukünftiger führender Experten in der Kinder- und Jugendmedizin. Junge talentierte Ärztinnen und Ärzte erhalten über 3-5 Jahre eine fundierte Spezialausbildung in einer der 16 pädiatrischen Subdisziplinen; dabei werden sie parallel in Klinik und Forschung ausgebildet. Darüber hinaus können sie ihr Wissen an renommierten Partnerinstitutionen erweitern (u.a. Harvard/Boston Children's Hospital, Sick Kids Hospital Toronto, Columbia University). Nach ihrer Ausbildung werden die Kollegiaten die akademische Kindermedizin nicht nur in München, sondern an Leistungszentren im gesamten Bundesgebiet und weit darüber hinaus bereichern können – und damit die Zukunft der akademischen Pädiatrie entscheidend prägen. Die Ausbildung dieser Experten in den diversen pädiatrischen Subdisziplinen ist besonders wichtig, um eine gute klinische Versorgung für Kinder mit seltenen Krankheiten in Zukunft sicherzustellen.

Die Care-for-Rare Foundation übernimmt die Finanzierung dieser Ausbildung aufgrund der Vergütungsstrukturen im deutschen Gesundheitswesen: Die dringend notwendige klinische und wissenschaftliche Ausbildung von Kinderärzten in den pädiatrischen Spezialdisziplinen wird finanziell nicht abgedeckt. Um diese Lücke zu füllen, will die Stiftung 50 Firmen gewinnen, die uneigennützig diese Investition in die Zukunft unserer Kinder teilen. Bisher beteiligen sich 17 Unternehmen, hauptsächlich aus der Pharmabranche, mit jährlichen Spendenbeiträgen im fünfstelligen Bereich. Bene Arzneimittel München, Agfa Healthcare und Lilly Pharma sind im zweiten Halbjahr 2016 hinzugekommen, mit weiteren Partnern hoffen wir, im kommenden Jahr fünf Ärztinnen und Ärzte unterstützen zu können.



Dr. Maria Forstner

FORSCHUNGSaufenthalt IN NEW YORK CITY: INTERVIEW MIT FRAU DR. FORSTNER

Eine unserer Stipendiatinnen, die im Rahmen des Club of 50-Akademieprogramms gefördert wird, ist Dr. Maria E. Forstner. Care-for-Rare schenkt der jungen Ärztin "Zeit zum Denken" und ermöglicht ihr 2017 einen halbjährigen Forschungsaufenthalt an der Columbia University in New York City. Zeit für intensive Forschung und Wissenschaft, die den Wissenshorizont erweitern soll und so die Versorgung von kleinen Patienten mit seltenen Erkrankungen auch im klinischen Alltag nachhaltig verbessert.

Care-for-Rare: Was motiviert Sie, sich der Erforschung seltener Erkrankungen zu widmen?

Dr. Forstner: Im klinischen Alltag begegne ich oft Kindern mit seltenen Erkrankungen und ihren Familien, die einen langen Leidensweg hinter sich hatten, bis eine Diagnose gestellt werden konnte. Gerade bei den interstitiellen Lungenerkrankungen ist es zum Teil immer noch nicht möglich, eine exakte Diagnose zu treffen und den Eltern den genauen Hintergrund der Erkrankung zu erklären. Hier in Zukunft einen kleinen Baustein zu liefern und im besten Fall die Fragen der PatientInnen beantworten zu können, motiviert mich, den Erkrankungen im Labor nachzugehen.

Care-for-Rare: Woran forschen Sie zur Zeit?

Dr. Forstner: Ich forsche an einer seltenen Lungenerkrankung im Kindesalter, die zu den sogenannten Surfactant-Mangel-Syndromen zählt. Trotz intensiver internationaler Forschung sind hier einige Aspekte ungeklärt und viele der PatientInnen sterben bereits im



ACADEMY

Neugeborenenalter. Wir haben in unserem Labor bereits Methoden entwickelt, mit denen wir die verschiedenen ursächlichen Gen-Mutationen untersuchen und in Frage kommende Therapeutika testen können. Ein entscheidender Schritt ist die Erzeugung von Lungenzellen aus Körperzellen (induzierte pluripotente Stammzellen). Das Ziel meines Aufenthalts in New York ist es, diese Methode zu erlernen und in München zu etablieren, um die Erkrankung besser zu verstehen und möglichst auch Therapien zu entwickeln, um den kleinen PatientInnen in Zukunft helfen zu können.

Care-for-Rare: Wo werden Ihre Forschungsergebnisse im klinischen Alltag zu finden sein?

Dr. Forstner: Bisläng gibt es keine kausale Therapie für diese seltene Lungenerkrankung. Wird eine Familie mit der Diagnose bei ihrem Kind konfrontiert, können wir leider noch keine spezifischen Medikamente anbieten. Viele Kinder sterben oder sind auf eine Lungentransplantation angewiesen. Durch meine Forschung hoffe ich, mögliche Therapeutika identifizieren zu können, die z.B. ein Fortschreiten der Erkrankung verhindern. Bessere Erkenntnisse über die Vorgänge in der Lungenentwicklung, die sich aus meiner Arbeit ergeben, können auch wichtige Hinweise auf häufigere pädiatrische Lungenerkrankungen liefern bzw. auch einen Beitrag bei der Betreuung von Frühgeborenen liefern.

Care-for-Rare: Vielen Dank und viel Erfolg in New York! Wir freuen uns, bald von Ihren Erfahrungen berichten zu können.



C4R-Fellow Dr. Daniel Kotlarz

BERICHT AUS BOSTON: C4R-STIPENDIAT DANIEL KOTLARZ FORSCHT IN DEN USA

Die Care-for-Rare Foundation hat Dr. Daniel Kotlarz, Arzt und Wissenschaftler am Hauerschen Kinderspital, einen 6-monatigen Forschungsaufenthalt am renommierten Boston Children's Hospital ermöglicht. Herzlichen Dank an die Reinhard Frank-Stiftung, die das Geld für das Stipendium bereitgestellt hat!

Daniel Kotlarz berichtet über seinen Aufenthalt in den USA:

"Das Care-for-Rare Fellowship der Reinhard Frank-Stiftung hat mir die einmalige Gelegenheit geboten, einen 6-monatigen Forschungsaufenthalt in der Arbeitsgruppe von Dr. Scott Snapper am Boston Children's Hospital, USA (15.03. - 03.10.2016) durchzuführen. Dieser Forschungsaufenthalt diente insbesondere dazu, ein innovatives humanisiertes Mausmodell mit verbesserten Immunfunktionen zu adaptieren, um zukünftig die Plastizität und Pathobiologie von patientenspezifischen Immunzellen in vivo untersuchen und neue innovative therapeutische Konzepte testen zu können. Dementsprechend haben wir während meines Forschungsaufenthalts begonnen, ein humanisiertes Mausmodell für die IL 10R-Defizienz zu charakterisieren und die therapeutische Effektivität einer low-dose IL-2-Therapie zur Behandlung von chronisch-entzündlichen Darmentzündungen zu analysieren. Des Weiteren diente der Forschungsaustausch dazu, das transatlantische VEO-IBD Consortium zu stärken und gemeinsam mit dem Team von Dr. Snapper weitere kollaborative Forschungsprojekte zu entwickeln. Die zukünftige Zusammenarbeit mit Dr. Snapper und eine Assoziation zu einem der weltweit renommiertesten Institutionen hat für meine persönliche Karriereentwicklung mit dem Ziel der Etablierung einer Juniorforschergruppe eine große Bedeutung."



KURZ BERICHTET



Henry Boeck und sein Team brachten den Spendenscheck zur Care-for-Rare Foundation nach München

SPENDABLE AUTOFREUNDE

Bei der CarCharity am 3.9.2016 im schwäbischen Weißenhorn sind bei Wohltätigkeitsverkäufen und einer Tombola insgesamt 8.500 Euro für die Care-for-Rare Foundation zusammengekommen. Der Initiator der Charity-Aktion Henry Boeck besuchte die Care-for-Rare Foundation für die Spendenscheckübergabe und besichtigte anschließend die Forschungslabore am Dr. von Haunerschen Kinderspital. Wir danken ihm und allen beteiligten AutofreundInnen herzlich für ihr Engagement und die großzügige Spende!



"Water for Life": Wasser trinken hilft Kindern mit seltenen Erkrankungen

WASSER FÜR DIE WAISEN DER MEDIZIN

Wasser trinken hilft! Mit der Aktion "Water for Life" unterstützt das Restaurant Bar & Grill Little London die Care-for-Rare Foundation. Die Gäste können für 1,19 Euro eine Flasche Leitungswasser kaufen, pro Literflasche geht 1 Euro an C4R (abzüglich 0,19 Euro MwSt). Je mehr Wasser getrunken wird, desto mehr können wir gemeinsam helfen! Wenn Sie auch ein Restaurant kennen, das mitmachen möchte, dann werben Sie für diese Aktion – wir schicken Ihnen gerne weitere Informationen.



Dr. Gerald Untersteiner und Prof. Dr. Christoph Klein

BENE ARZNEIMITTEL UNTERSTÜTZT CARE-FOR-RARE

Die bene Arzneimittel GmbH engagiert sich für die Care-for-Rare Foundation und das Dr. von Haunersche Kinderspital. Im Rahmen des Care-for-Rare Projekts „Club of 50“ zeigt bene unternehmerische Verantwortung und unterstützt den ärztlichen Nachwuchs, der sich insbesondere um Kinder mit seltenen Erkrankungen kümmert. Dr. Gerald Untersteiner, Medizinischer Direktor des Münchner Pharmaunternehmens, überreichte Prof. Dr. Christoph Klein im August 2016 einen Spendenscheck über 5.000 €. Wir freuen uns sehr über die tatkräftige Unterstützung von bene und sagen von Herzen "Danke"!



Care-for-Rare Teddy "Benjamin"

STEIFF SPENDET ERLÖS VON CARE-FOR-RARE TEDDY "BENJAMIN"

Im Jahr 2015 begann eine überaus produktive Allianz zwischen der Firma Steiff und der Care-for-Rare Foundation – es war die Geburtsstunde des Care-for-Rare Bären Benjamin! Seither ist dieses Stofftier unzählige Male seinem Auftrag als Tröster von kranken Kindern und Botschafter der Care-for-Rare Foundation nachgekommen. Bei der Eröffnung des Steiff-Weihnachtsmarktes in Giengen überreichte die Firma Steiff der Care-for-Rare Foundation nun einen Spendenscheck über 6.666 Euro als symbolischen Betrag für die Spenden, die durch den Verkauf der Teddybären eingegangen sind.

Sie können Benjamin im Steiff Online-Shop kaufen:
<http://www.steiff.com/de-de/benjamin-teddybaer-988073.html>



Mitarbeiter von Bain und Care-for-Rare gehen gemeinsam über die Stationen des Dr. von Haunerschen Kinderspitals

BAIN & COMPANY VERTEILT TRÖSTERTEDDYS UND UNTERSTÜTZT CARE-FOR-RARE

Die Unternehmensberatung Bain & Company in München hat mit einer Spendenaktion gleich mehrfach Gutes getan: Mitarbeiter des Unternehmens kauften 165 Exemplare des Care-for-Rare Bären Benjamin und verteilten sie an Kinder, die während der Adventszeit im Dr. von Haunerschen Kinderspital behandelt werden. Mit dem Erlös aus dem Bärenkauf kann Care-for-Rare weiteren Kindern helfen. Wir danken Bain & Company von Herzen für ihr Engagement!



WERDEN SIE BOTSCHAFTER FÜR CARE-FOR-RARE

Auf 50 Seiten informieren wir ausführlich über seltene Erkrankungen sowie das Stiftungsprofil und aktuelle Projekte der Care-for-Rare Foundation. Möchten Sie sich selbst informieren, oder zum Botschafter für Care-for-Rare werden? Gerne senden wir Ihnen die Stiftungsbroschüre und weiteres Informationsmaterial zu! Lassen Sie uns hierfür bitte ein E-Mail an info@care-for-rare.org zukommen oder bestellen Sie telefonisch unter 089 4400-57982. Vielen Dank für Ihr Interesse!