



Care-for-Rare Foundation

Stiftung für Kinder mit seltenen Erkrankungen

newsletter

Ausgabe 4 | Juni 2014

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



Verleihung des Dr. Holger Müller Preises
2013 im alten Rathaus in Esslingen

„Science Bridging Nations – Wissenschaft verbindet Nationen“ lautet das Motto des diesjährigen Deutsch-Türkischen Wissenschaftsjahres der Forschung, Bildung und Innovation – einer gemeinsamen Aktion des BMBF (Bundesministerium für Bildung und Forschung) und dem türkischen Ministerium für Wissenschaft, Industrie und Technologie. Ziel der Partnerschaft ist es, auf die Bedeutung und die Erfolge der deutsch-türkischen Zusammenarbeit aufmerksam zu machen, neue Partnerschaften zu initiieren und die Kooperation bei zukunftsweisenden Projekten weiter auszubauen. Auch die Care-for-Rare Foundation setzt sich seit ihrer Gründung dafür ein, mit Medizin, Wissenschaft und Menschlichkeit Brücken zu bauen. Im Rahmen des Wissenschaftsjahres bewerben wir uns daher mit einer deutsch-türkischen Projektidee um Fördergelder des BMBF. Denn derartige konzertierte Kooperationen sind besonders im Bereich der seltenen Erkrankungen unabdingbar.

Mit diesem Newsletter möchten wir Sie über weitere Projekte, Erfolge aber auch Herausforderungen informieren – Entwicklungen, die ohne Ihre Unterstützung und Ihr Wohlwollen nicht möglich wären. Vielen Dank dafür!

Ihre

Christoph Klein

Andreas Staudacher



Deutsch-Türkisches Jahr der
Forschung, Bildung und Innovation 2014
Türk-Alman Araştırma,
Eğitim ve İnovasyon Yılı 2014

Science Bridging Nations – eine vom Bundesministerium für Bildung und Forschung geförderte Initiative



Rodion kann wieder lachen: mit seiner Mutter beim Nachsorgetermin im Dezember 2013 im Dr. von Haunerschen Kinderspital.

Strategische Förderlinien der Stiftung

Alliance

Entdeckung einer neuen Erkrankung
Deutsch-Türkisches Jahr der Forschung, Bildung und Innovation

Academy

Symposium: Translational Science of Rare Diseases – from Rare to Care II

Aid

Rodions neues Leben
Benefizkonzert in Hamburg

Award

Holger-Müller-Preis 2013

Awareness

Hirmer und Roeckl engagieren sich für die Care-for-Rare Stiftung
Care-for-Rare unterstützt das Neue Hauner
Internationaler Tag der Seltene Erkrankungen 2014

Impressum

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

ViSDP:
Prof. Dr. Dr. Christoph Klein
Redaktion:
Claudia Borsanyi
Beatriz Parente Matschke

Fotos:
Michael Woelke
Karin Leitz
Eric Vazzoler / MomentiMedia



Alliance

Entdeckung einer neuen Erkrankung

Deutsch-Türkisches Wissenschaftsjahr

Entdeckung einer neuen Erkrankung

Einer internationalen Forschergruppe um Prof. Dr. Christoph Klein (Direktor des Dr. von Haunerschen Kinderspitals), Dr. Raz Somech (Direktor der Pädiatrischen Abteilung des Edmond and Lily Safra Children's Hospital, Sheba Medical Center, Israel) und Dr. William Gahl (National Institute of Health, USA) ist es gelungen, eine neue Erkrankung zu identifizieren. Betroffene Kinder zeigten bereits im ersten Lebensjahr aufgrund eines ungewöhnlichen Knochenmarkversagens lebensbedrohliche Infektionen. Untersuchungsergebnisse von sieben Kindern aus Vorderasien und Nordafrika brachten jetzt den Durchbruch: Die Experten fanden heraus, dass die Ursache der Erkrankung auf Mutationen in einem Gen namens VPS45 (Vacuolar Protein Sorting 45) zurückzuführen ist. VPS45 hat vielfältige Funktionen in den Zellen des Blutes, es ist wichtig für den Membrantransport, für die Vitalität der Zellen und für ihre Migrationseigenschaften, wie die Autoren im renommierten New England Journal of Medicine berichten. Die Identifizierung dieser Erkrankung sowie die Aufklärung ihrer molekularen Ursache bedeutet Hoffnung für betroffene Familien, denn nun können die kleinen Patienten früher einer Blutstammzelltransplantation zugeführt werden.

Unterstützt wurde das Forschungsprojekt unter anderem von der Care-for-Rare Foundation.

Deutsch-Türkisches Jahr der Forschung, Bildung und Innovation

2014 steht im Zeichen des Deutsch-Türkischen Jahres der Forschung, Bildung und Innovation – eine gemeinsame Initiative des Bundesministeriums für Bildung und Forschung und des türkischen Ministeriums für Wissenschaft, Industrie und Technologie. Die Care-for-Rare Foundation möchte sich aktiv beteiligen und auf die bisherigen Kooperationen mit türkischen Wissenschaftlern in den Bereichen frühzeitige Diagnose, schnelle Entdeckung und individuelle Therapieentwicklung aufmerksam machen sowie neue Kooperationen initiieren. Im Zuge des Wissenschaftsjahres bewirbt sich die Stiftung bei einem Ideenwettbewerb, welcher deutsch-türkische Projekte mit bis zu 40.000€ fördert. Die Projektidee beinhaltet einen fachbezogenen Workshop mit türkischen Wissenschaftlern in München, bei dem die neuesten Erkenntnisse der Forschung im Bereich der Seltene Erkrankungen sowie aktuelle Herausforderungen in der Türkei diskutiert werden. Der zweite Teil der Projektidee umfasst eine Bilderausstellung: Fotografien von Kindern mit seltenen Erkrankungen sollen die alltäglichen, oft herausfordernden Lebensumstände von betroffenen Familien veranschaulichen. Damit möchte die Care-for-Rare Foundation die Bevölkerung in beiden Ländern für das Thema „Seltene Erkrankungen“ sensibilisieren und das nötige Bewusstsein zur Verbesserung der Situation von kranken Kindern schaffen.

Academy

Symposium: Translational Science of Rare Diseases – From Rare to Care II

Symposium: Translational Science of Rare Diseases – From Rare to Care II

Vom 8. bis 10. Oktober 2014 findet das Fachsymposium „Translational Science of Rare Diseases – From Rare to Care II“ in Herrenchiemsee statt. Das Symposium knüpft an die erfolgreiche Veranstaltung „Days of Molecular Medicine 2012“ in Wien an. Ziel der Veranstaltung ist es, Innovationen und neueste Forschungsergebnisse im Bereich der seltenen Erkrankungen zu präsentieren, den Austausch zwischen Ärzten, Patientenverbänden und Wissenschaftlern auf internationaler Ebene zu fördern und weiter auszubauen sowie Nachwuchsforschern – insbesondere aus Schwellen- und Entwicklungsländern – den Kontakt zu internationalen Experten auf dem Gebiet der translationalen Medizin zu ermöglichen. Dadurch sollen junge Mediziner motiviert und inspiriert werden, sich weiterhin auf dem Gebiet der seltenen Erkrankungen zu engagieren. Organisatoren der Konferenz sind die Geschäftsstelle „Research for Rare“ der Forschungsverbände für seltene Erkrankungen, das IMBA (Institute of Molecular Biotechnology) in Wien und die Care-for-Rare Foundation. Die Care-for-Rare Foundation wird auch in diesem Jahr Nachwuchswissenschaftlern die Teilnahme am diesjährigen internationalen

Fachsymposium ermöglichen: Die Stiftung wird 10 Reisestipendien zur Verfügung stellen und die anfallenden Reise- und Unterkunftskosten der ausgewählten Stipendiaten übernehmen. Bewerber werden nach Exzellenzkriterien vom wissenschaftlichen Beirat der Care-for-Rare Foundation ausgewählt.



Tagungsort des Symposiums im Oktober: Schloßwirtschaft am Herrenchiemsee



Aid

Rodions neues Leben

Benefizkonzert in Hamburg

Rodions neues Leben

Ausgelassen und fröhlich jagt Rodion auf einem Spielzeugtraktor durch den Wartebereich der Onkologischen Tagesklinik im Dr. von Haunerschen Kinderspital. Der neunjährige Junge und seine Mutter haben Grund zur Freude: Rodion weist auch acht Monate nach seiner Behandlung keine Anzeichen einer Leukämie mehr auf. Noch vor einem Jahr bangten Familie und Ärzte um das Leben des kleinen russischen Buben. Eine Stammzelltransplantation war seine letzte Chance auf Rettung. Dank vieler großzügiger Spenden sowie Beihilfen von Stiftungen konnte Rodion im April 2013 die lebensnotwendige Therapie erhalten. Sein Gesundheitszustand verbesserte sich daraufhin so sehr, dass er bereits im August 2013 die Klinik verlassen und in seine Heimat Kasan in Russland zurückkehren durfte. Dort lebt Rodion heute das Leben eines gesunden kleinen Jungen. Er kann wieder die Schule besuchen und liebt

Autos. Alle sechs Monate muss Rodion noch zu Nachuntersuchungen an das Dr. von Haunersche Kinderspital in München zurückkehren. Doch die langen und beschwerlichen Krankenhausaufenthalte gehören vorerst der Vergangenheit an.

Benefizkonzert in Hamburg

Zu Beginn des Jahres erfuhr die Care-for-Rare Foundation Unterstützung in Hamburg: Am 7. Februar widmete die iranische Künstlerin Shohreh Solati auf ihrem Konzert eines ihrer Lieder der Care-for-Rare Foundation und kranken Kindern aus dem Iran. Im Anschluss an das Konzert konnten sich die Gäste über die Stiftungsarbeit informieren. Der Veranstalter des Konzerts, die Firma Fairmotion, sammelte unter den Konzertbesuchern Spenden für die Kinder aus dem Iran. Wir freuen uns über die Unterstützung und hoffen, bald eine Kooperation im Iran initiieren zu können.

Award

Verleihung des Dr. Holger Müller Preises 2013

Verleihung des Dr. Holger Müller Preises 2013

Bereits zum dritten Mal wurde der mit 5.000€ dotierte Dr. Holger Müller Forschungspreis für seltene Erkrankungen im Alten Rathaus in Esslingen verliehen. In diesem Jahr teilen sich zwei talentierte junge Wissenschaftler die Auszeichnung für ihre Forschungsergebnisse zu einem neu entdeckten Immundefekt: In ihrer Arbeit beschreiben die Preisträger Dr. Daniel Kotlarz (Dr. von Haunersches Kinderspital der LMU) und Dr. Natalia Zietara (Medizinische Hochschule Hannover) einen genetischen Webfehler im Interleukin-21 Rezeptor, der zu schwerwiegenden Problemen

des Immunsystems und dadurch zu fatalen Leberentzündungen führt.



Frau Gabriele Maurer-Müller, Dr. Daniel Kotlarz, Dr. Natalia Zietara und Prof. Christoph Klein bei der Verleihung des Dr. Holger Müller Preises 2013

Awareness

Hirmer und Roeckl engagieren sich für die Care-for-Rare Stiftung

Care-for-Rare unterstützt das „Neue Hauner“

Internationaler Tag der seltenen Erkrankungen 2014

Hirmer und Roeckl engagieren sich für die Care-for-Rare Stiftung

Die Münchner Familienunternehmen Roeckl und Hirmer zeigten zur Vorweihnachtszeit großen Einsatz für Kinder mit seltenen Erkrankungen. Roeckl kaufte 200 Exemplare des Care-for-Rare Teddybären „Benjamin“ und verschenkte diese an benachteiligte Kinder in Deutschland und Rumänien.

Das Münchner Herrenmodenhaus Hirmer unterstützte die Care-for-Rare Stiftung aktiv in seinem Weihnachtsgeschäft: Mit einer großen Werbetafel machte es auf die Charity-Teddy-Aktion für Kinder mit seltenen Erkrankungen aufmerksam. Viele Teddys wurden zwischen den Weihnachtsfeiertagen im Hirmer Stammhaus in der Kaufinger Straße zugunsten der Care-for-Rare Foundation verkauft. Dabei erfreute sich der kuschelige Botschafter für Kinder mit seltenen Erkrankungen auch großer Beliebtheit bei ausländischen Touristen, die ihren Besuch in München für einen Weihnachtseinkaufsbummel nutzten. „Benjamin hat Kunden aus Russland

und den arabischen Emiraten begeistert. Der kleine Bär wird also auch fernab von Deutschland Kindern eine Freude machen. Wir freuen uns, dass wir die Care-for-Rare Stiftung mit dieser Aktion unterstützen konnten“, so Robert Greil, Verkaufsleiter im Hirmer Stammhaus. Wir danken den Firmen Hirmer und Roeckl herzlich für ihr Engagement!



Verkaufserfolg: Teddybär Benjamin im Hirmer Stammhaus in der Kaufinger Straße, München



Awareness

Hirmer und Roeckl engagieren sich für die Care-for-Rare Stiftung

Care-for-Rare unterstützt das „Neue Hauner“

Internationaler Tag der seltenen Erkrankungen 2014

Care-for-Rare unterstützt das „Neue Hauner“

Das Dr. von Haunersche Kinderspital am Goetheplatz in München gehört zu den ältesten und renommiertesten Kinderkliniken in Deutschland und dient als Referenzzentrum für Kinder mit schwersten Erkrankungen in Bayern und weit darüber hinaus. Nun soll ein „Neues Hauner“ am Standort Großhadern errichtet werden, da die alten Gebäude aus dem 19. Jahrhundert keine zeitgemäße und kindgerechte Betreuung mehr gewährleisten können. Auch das Care-for-Rare Center soll im Neuen Hauner ein neues Zuhause finden. Die Bayerische Staatsregierung unterstützt dieses Projekt mit hohem Nachdruck. Um die Öffentlichkeit auf das Vorhaben aufmerksam zu machen, wurde im Vorprogramm vieler Münchner Kinos ein Kinospot zum „Neuen Hauner“ gezeigt. Große Unterstützung erfuhr das Projekt durch die Filmproduktionsagentur „Bavaria Film Interactive“, die den Spot gemeinsam mit der Münchner Filmhochschule U5 konzipiert hat, durch die Kinowerbungsagentur AdEins/Weischer, und nicht zuletzt durch die teilnehmenden Münchner Kinos, die sich bereit erklärt haben, den Spot für bis zu acht Wochen kostenfrei zu zeigen.

Auf unserer Website www.care-for-rare.org können Sie den Spot unter „Engagement“ online sehen.



Begleitende Postkarten-Aktion zur Ausstrahlung des Kinospots.

Internationaler Tag der Seltene Erkrankungen 2014

„Gemeinsam für eine bessere Versorgung“ – unter diesem Motto stand der siebte Internationale Tag der seltenen Erkrankungen in diesem Jahr. Weltweit fanden am 28. Februar 2014 zahlreiche Aktionen statt, um die breite Öffentlichkeit zum Thema Seltene Erkrankungen zu informieren und für das Schicksal der „Waisen der Medizin“ zu sensibilisieren.

In München ist das Care-for-Rare Center am Dr. von Haunerschen Kinderspital eine zentrale Anlaufstelle für betroffene Kinder.

So wurden auch in der Landeshauptstadt Veranstaltungen zum Thema ins Leben gerufen, mit besonderer Beteiligung von Experten der Care-for-Rare Foundation und des Haunerschen Kinderspitals: Neben dem Workshop „2. Bayernweiter Tag der Seltene Erkrankungen“ wurde das 4. Fürstenrieder Symposium „Primäre Immundefekte und autoinflammatorische Erkrankungen“ durchgeführt. Auch die jährliche Verleihung des Dr. Holger Müller Preises findet im Zeichen der internationalen Tages der Seltene Erkrankungen statt. Das Interesse der breiten Öffentlichkeit, der niedergelassenen Ärzte und der Medien war in diesem Jahr erfreulich hoch. Mit Fachbeiträgen in Print, Funk und Fernsehen konnten die Stiftung und ihre Experten ihr Anliegen zudem gut positionieren. Eines wird an diesem Tag der Seltene Erkrankungen immer wieder deutlich: Nur gemeinsam kann es uns gelingen, das Schicksal der Waisen der Medizin zu verbessern.