

Nationale Konferenz für seltene Erkrankungen

Workshop Forschung:

Impulse der Selbsthilfe bei geringen finanziellen Mitteln

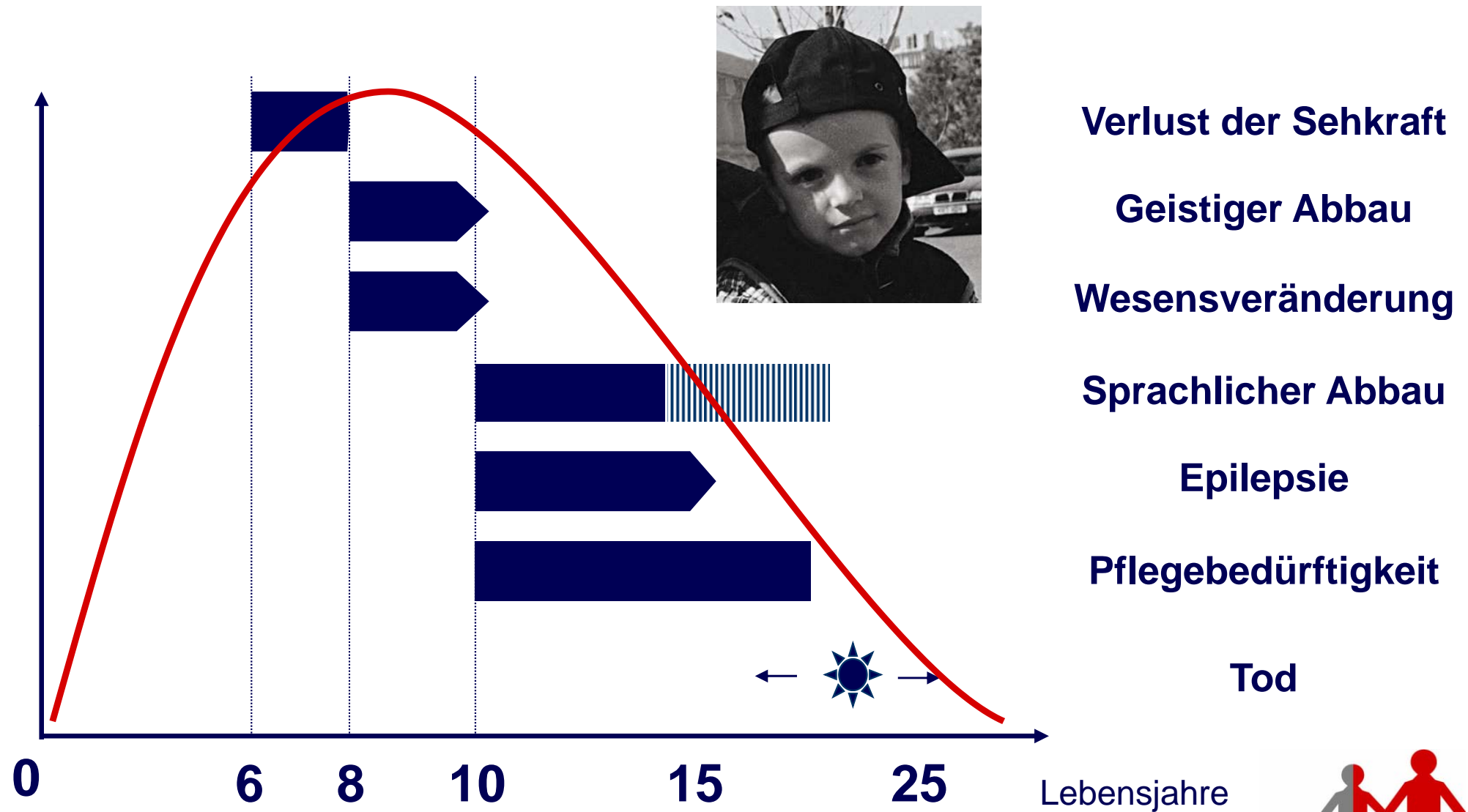
Berlin, 14. Oktober 2010

Dr. Frank Stehr
NCL-Stiftung
www.ncl-stiftung.de

Mitglied der



Wie ist der Verlauf der NCL-Erkrankung?



Verlust der Sehkraft

Geistiger Abbau

Wesensveränderung

Sprachlicher Abbau

Epilepsie

Pflegebedürftigkeit

Tod

Die NCL-Stiftung konzentriert sich auf konkrete Ziele und deren schnelle Umsetzung.

Ziele und Strategien



Wer forscht woran?

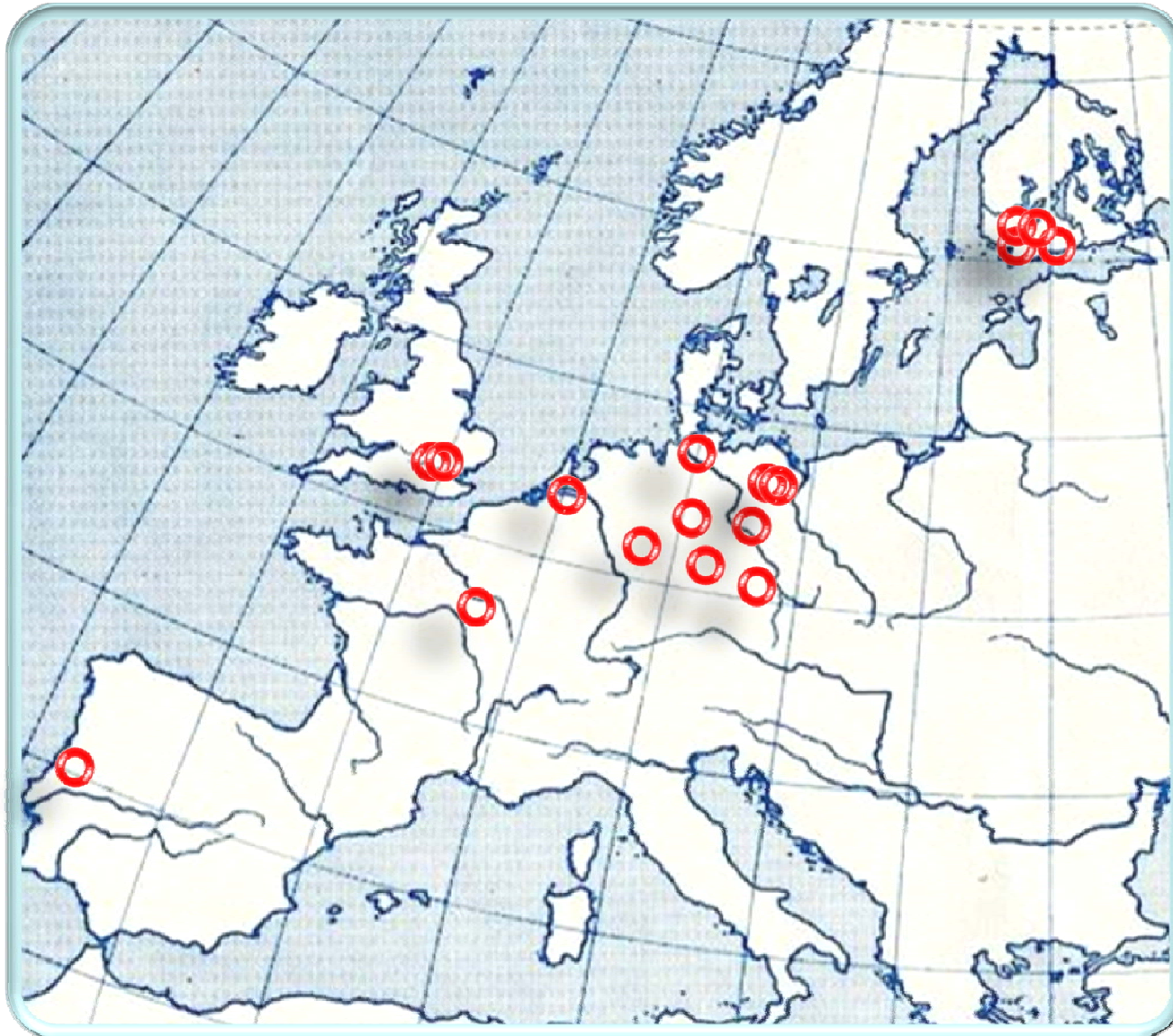


Wissenschaftliche Marktanalyse

Wer forscht überhaupt an dieser seltenen Krankheit?

- **Literaturrecherche: Internet (orphanet, Pubmed...)**
- **Andere Selbsthilfegruppen**
- **Forscher...**

Vor allem in Europa und in den USA wird an NCL geforscht.



○ : NCL-Grundlagenforscher-Labor



National Contest
for Life_NCL

Wissenschaftliche Marktanalyse

Was fehlt? Wer fehlt? Was will ich?

- **Patienten / Betroffene und Forscher befragen**
- **Grundlagenforschung, Vernetzung, Versorgungsforschung...**

Wie kann ich die Forschungs- lücke schließen?

Entwicklung von (Förder)-Maßnahmen

- **Budget festlegen**
- **Von anderen lernen:**
„Das Rad nicht neu erfinden.“

Beispiele für Fördermaßnahmen

Indirekte Maßnahmen

- Öffentlichkeitsarbeit
- Integration in Lehre
- Fortbildungen
- Informationsplattformen / Social networks
- Aktive Vernetzung von Laboren (Uni, Firmen)
- Interessensvertretung

Wir informieren die breite Öffentlichkeit.

FRANKFURTER ALLGEMEINE SONNTAGSZEITUNG, 6. SEPTEMBER 2009, NR. 36

WISSENSC



LE SYSTEME



soziale
arbeiten

JÜRGEN KAUBE

Buch über die String-
nat der amerikanische
Lee Smolin ein Kapi-
pft man gegen die So-
erschriften. Er beruft

Zu spät für Tim. Zu früh für andere?

Krankheiten wie das Batten-Syndrom lassen Nervenzellen quälend langsam sterben. Direkt ins Hirn injizierte Stammzellen sollen helfen – eine Therapie auf dem Prüfstand.

VON SASCHA KARBERG

Es beginnt wie in jeder anderen Familie auch. Ein Baby wächst heran, krabbelt los, brabbelt die ersten Worte, und ein paar Jahre später schon alle auf die Ein-
Auch bei Tim Huse-
das zunächst so. Doch
echs Jahren zu lesen be-
te er schon Buchstaben
P nicht mehr untersch-
war der erste Hinweis,
ute 14-Jährige am so-
gotten-Syndrom leidet.
sem seltenen Gendefekt,
Jasse der sogenannten
en Ceroid-Lipofuszi-
sind in Deutschland
hundert Kinder betrof-
firt zum Absterben von
im Hirn und im gesam-
ten Nervensystem, weil
fettähnliche Substanzen
llen ansammeln. Lang-
umhaltig verlieren



TUNG

Forschung und Lehre

MITTWOCH



Arbeit am Nachweis eines schweren erblich bedingten Gendefekts: Hamburgs Schüler in der avancierten Laborstunde ihres Biologieunterrichts

Wissen, Denken, Pipettieren

Die Profileroberstufe ist Teil der Hamburger Schulreform. Am

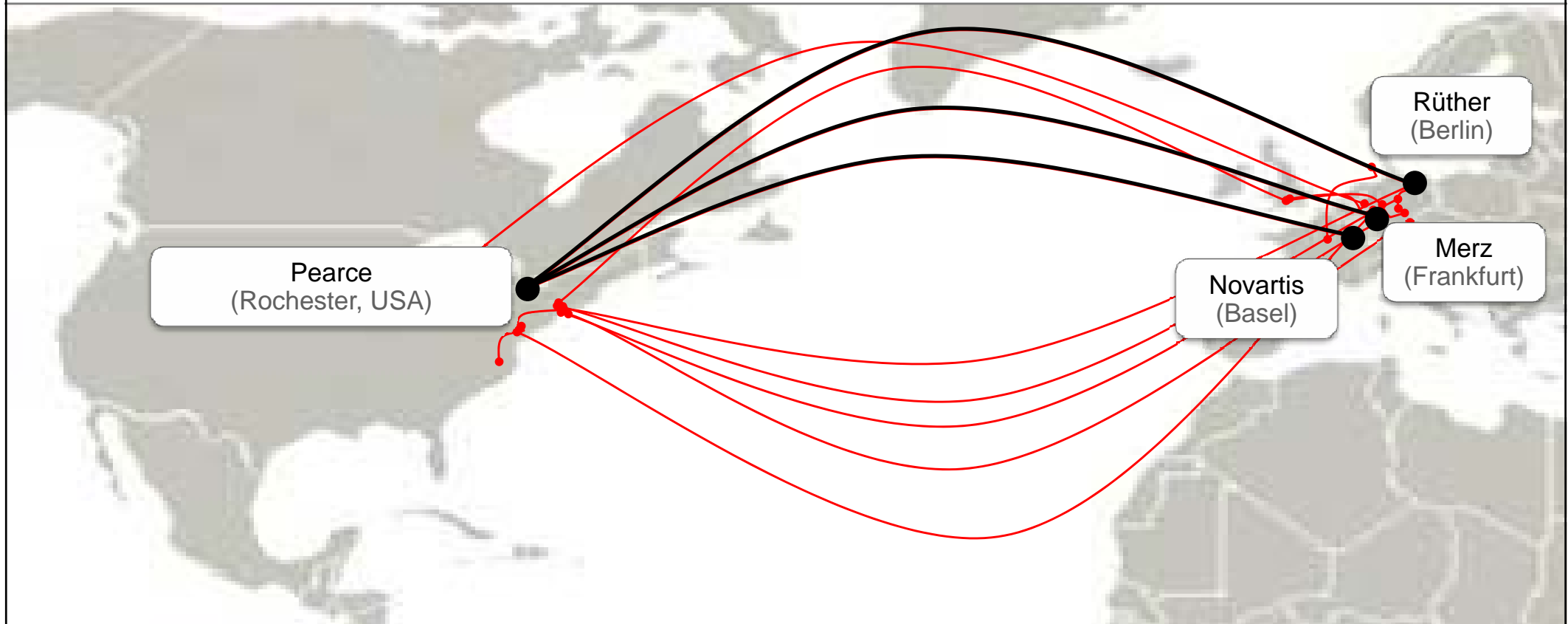
magnetischen Industrie keinen laborativen Markt eröffnen. Geht es für Forschung und die Entwicklung von Medikamenten sind rar. In den USA wurde de...hab vor dreißig Jahren der „Orphan Drug Act“ verabschie-

und Ellen-Sofia melden sich freiwillig für die Rollen der ratenden Ehepaars. Sei-ne Frau sei in der zweiten Woche schwan-ger, sagt der junge Vater. Krausemann fragt nach Empfängnis, Vorkonditionen in der

elektrische Spannung auf das Gel und dar-durch einblühende Produkt der PCR ange-legt wird, wird das vervielfältigte Erbgut sichtbar. Die Vorhänge werden vorgezo-gen und Stufe projiziert die Arbeitsergeb-



Die NCL-Stiftung vernetzt Forscher.



●: (NCL)-Labor

Beispiele für Fördermaßnahmen

Direkte Maßnahmen

- Finanzierung von Auslandsaufenthalten
- Wissenschaftler-Treffen
- Forschungsstipendien
- Geräteanschaffungen
- Forschungspreise
- Förderung von Netzwerken
- Stiftungsprofessur
- Gründung eines Forschungsinstituts

Kooperative Forschungsförderung aus Sicht der NCL-Stiftung

Stiftungen

Universitäten

NCL-Stiftung

Firmen

Selbsthilfe-
gruppen



National Contest
for Life_NCL

Fördermöglichkeiten

Krankheitsspezifische Netzwerke

Nationales Aktionsbündnis für Menschen mit Seltenen Erkrankungen

- E-Rare
- EURORDIS

EU

BMBF

NAMSE

Zentren

- DZNE
- Tübingen
- Freiburg

- BDSRA
- BDFA
- NCL Gruppe
- Pro Retina

Selbst-
hilfe

Stiftungen

Firmen

DFG

- Einzelverf.
- SFB
- Graduierten
- Klin. For.gr.

Fördertöpfe

- E. Luise und H. Köhler Stiftung
- care for rare foundation
- Stiftung Kindness for Kids
- Tom Wahlig Stiftung

- GSK
- Pfizer
- Genzyme...

Wie kann die Forschung im Bereich der Seltenen insgesamt weiter voran gebracht werden?

**Forschungs-
verträge**

- Meilensteine definieren

**Forschungs-
koordinator**

- in-house Kompetenz schaffen

EU-Vertreter

- pro Seltene mind. 1 Person

**Cross-over
Projekte**

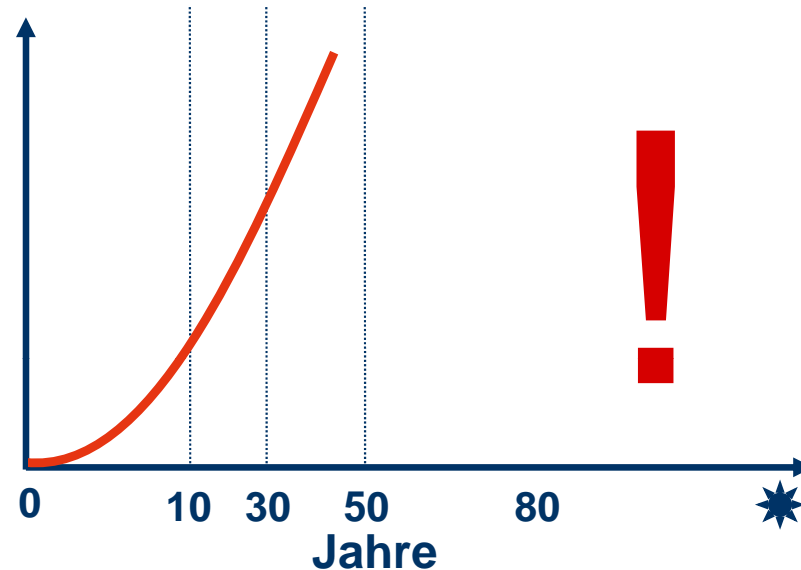
- mit Volkskrankheit kombinieren

**Förder-
Landschaft**

- Welche Töpfe gibt es noch?



**Unsere Vision:
Bis 2020 haben wir eine erste Therapie.**



**Vielen Dank für Ihre
Aufmerksamkeit!**