

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

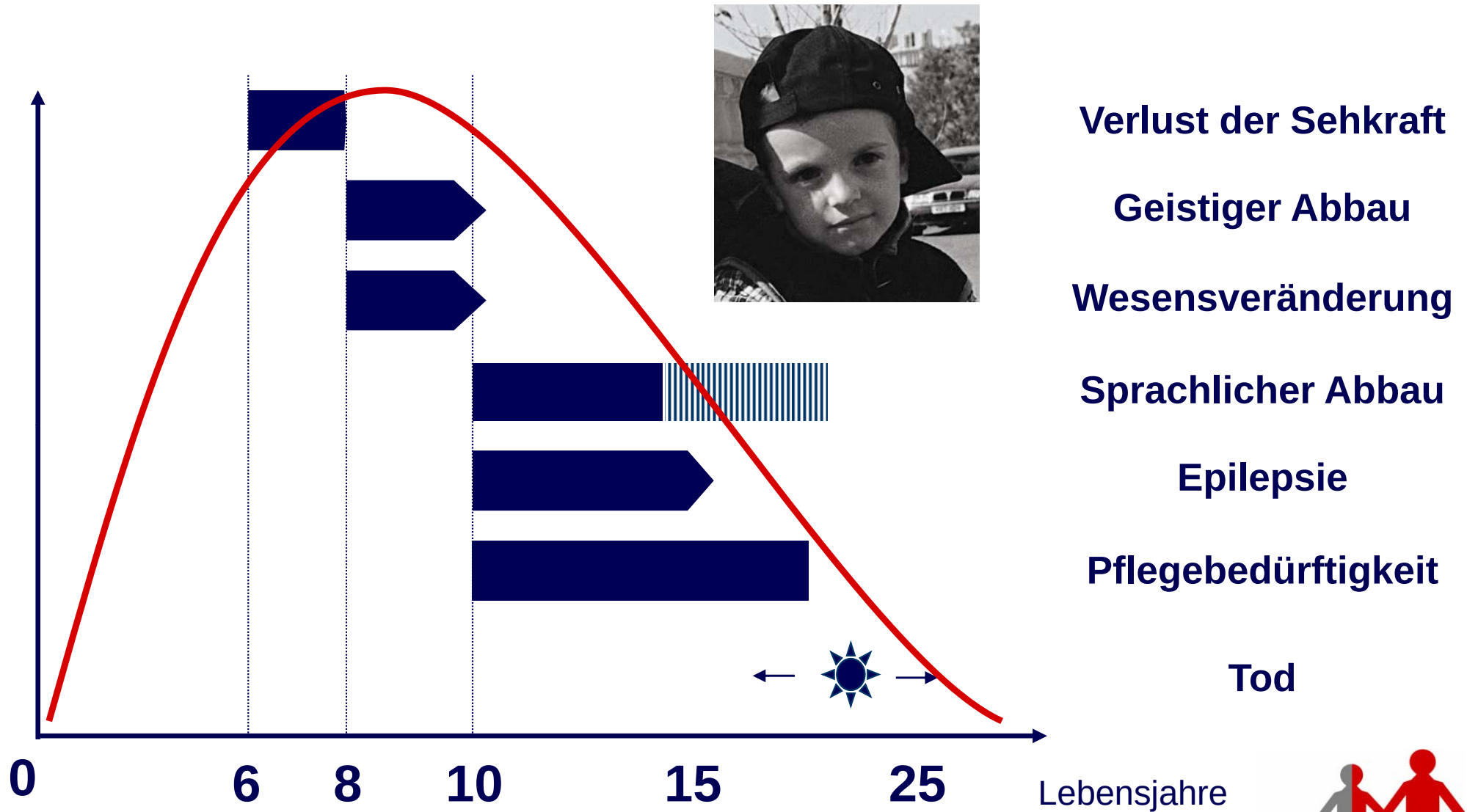
Mitglied der



Deutsches
Zentralinstitut
für soziale
Fragen/DZI

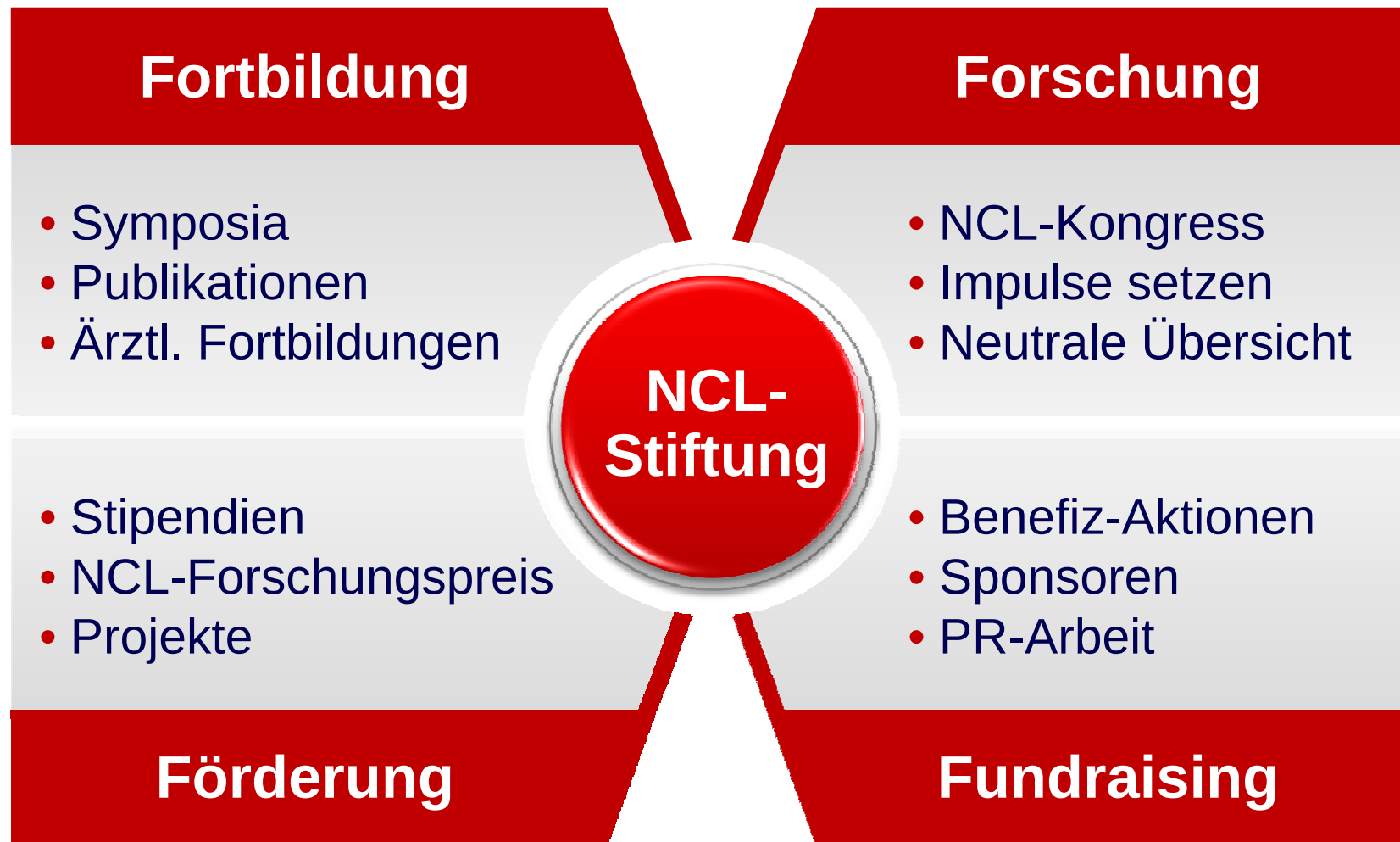


Wie ist der Verlauf der NCL-Erkrankung?



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

Ziele und Strategien



Wer forscht woran?

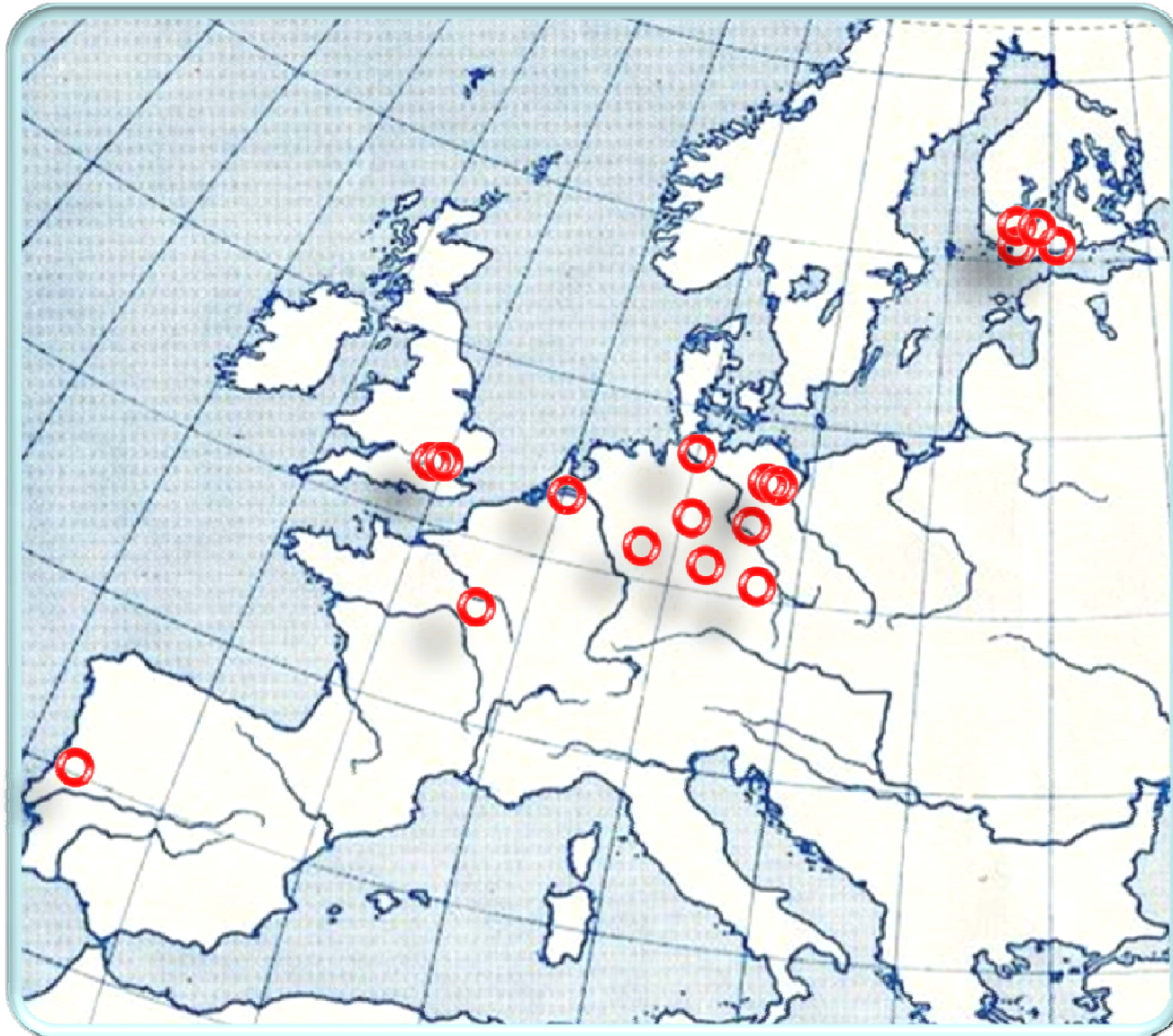


Wissenschaftliche Marktanalyse

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 Forschungslücke 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



TUNG

Forschung und Lehre



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 KARBURG

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 unterschei- war der erste Hinweis, ute 14-Jährige am sogei- tten-Syndrom leidet. em seltenen Gendefekt, Jasse der sogenannten en Ceroid-Lipofuszi- no-, sind in Deutschland hundert Kinder betrof- art zum Absterben von im Hirn und im gesa- men Nervensystem, weil fettähnliche Substanzen llen ansammeln. Lang- umrathaltam verlieren

MITTWOCH



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

Wissen, Denken, Pipettieren

Die Profileroberstufe ist Teil der Hamburger Schulreform. Am

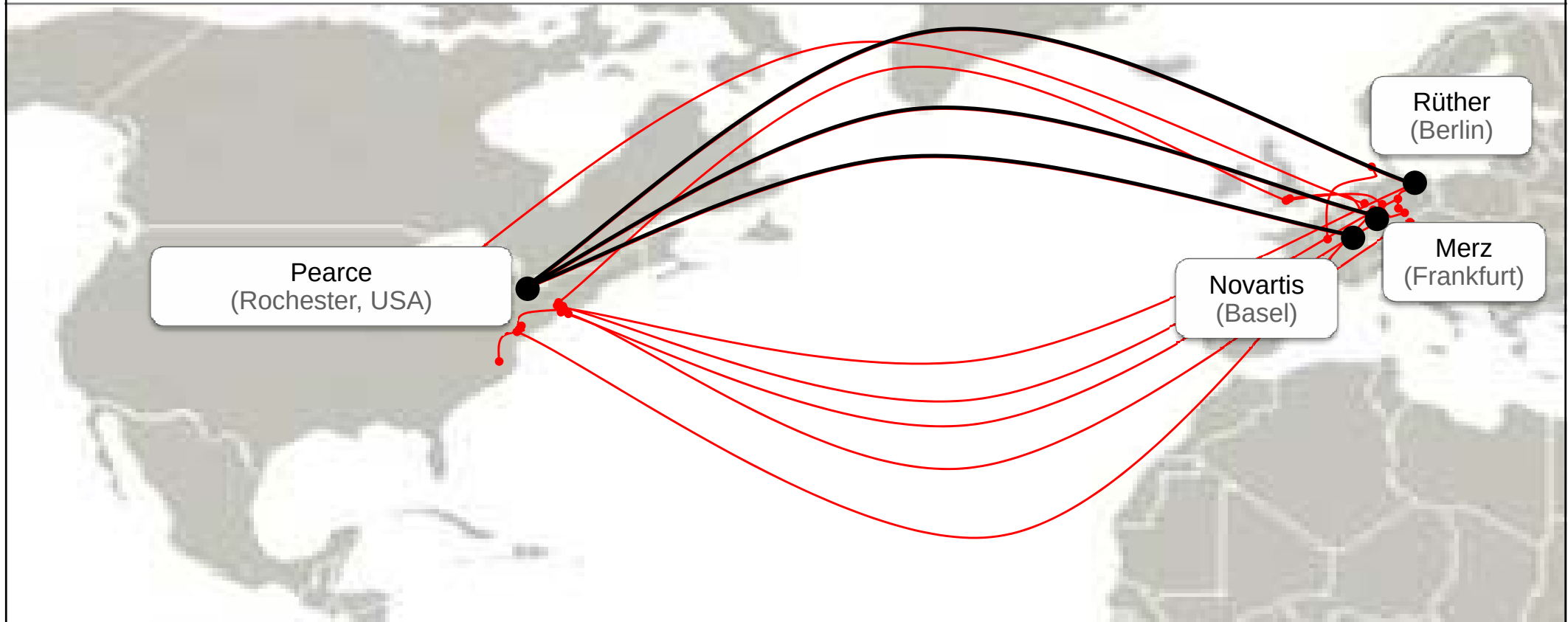
maximalen Industrie keinen lehrreichen Markt eröffnen. Geht es für Forschung und die Entwicklung von Medikamenten sind ran. In den USA wurde deshalb vor dreißig Jahren der „Orphan Drug Act“ verabschie-

und Ellen-Sofia melden sich freiwillig für die Rollen des zuckenden Ehepaars. Seine Frau sei in der zweiten Woche schwanger, sagt der junge Vater. Krausemann fragt nach Impfungen, Vordruckungen in der

elektrische Spannung auf das Gel und das darin enthaltene Produkt der PCR angelegt wird, wird das vervielfältigte Erbgut sichtbar. Die Vorhänge werden vorgezo-



Die NCL-Stiftung vernetzt Forscher.



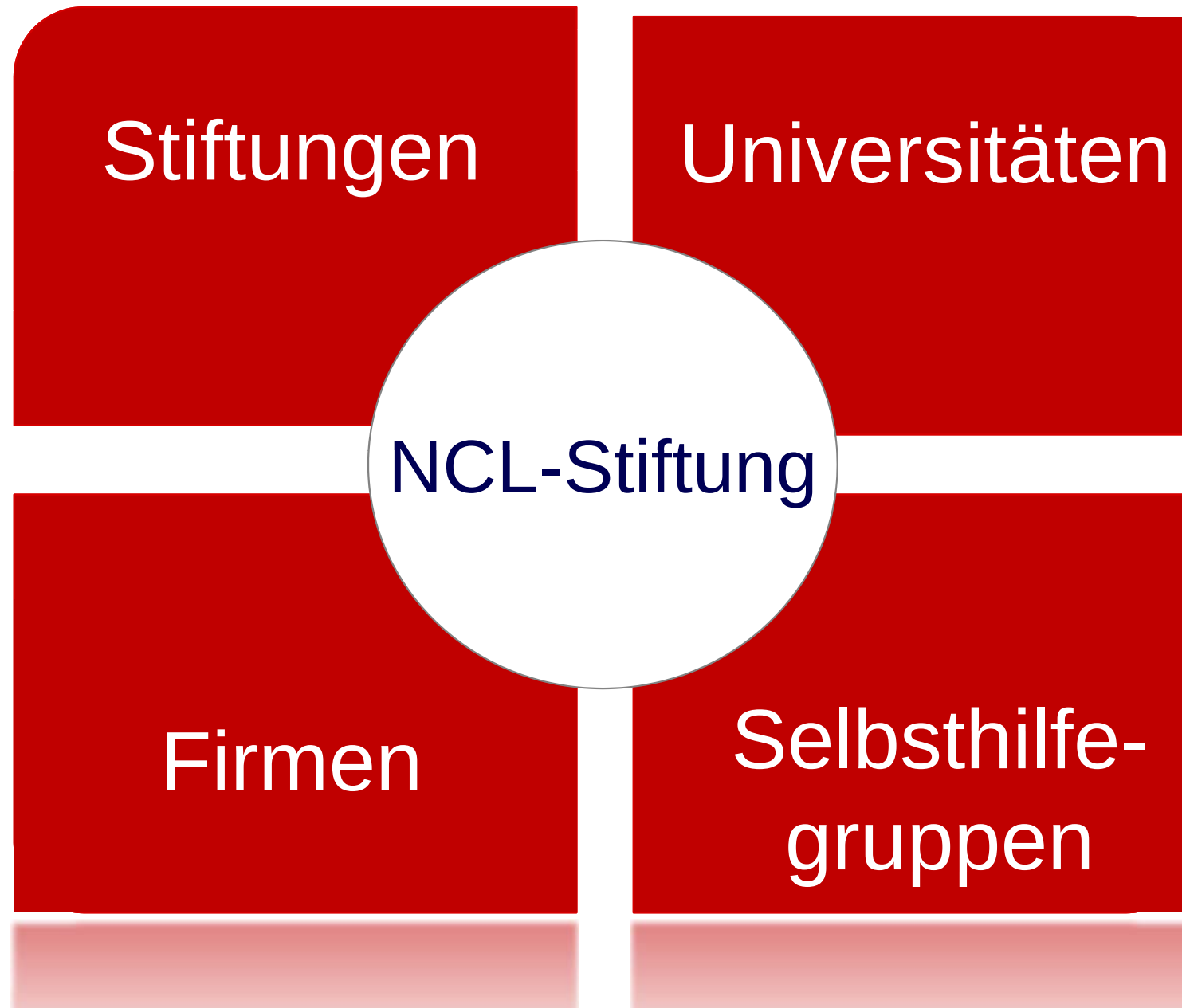
● : (NCL)-Labor

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



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.

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

- GSK
- Pfizer
- Genzyme...

Fördertöpfe

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**

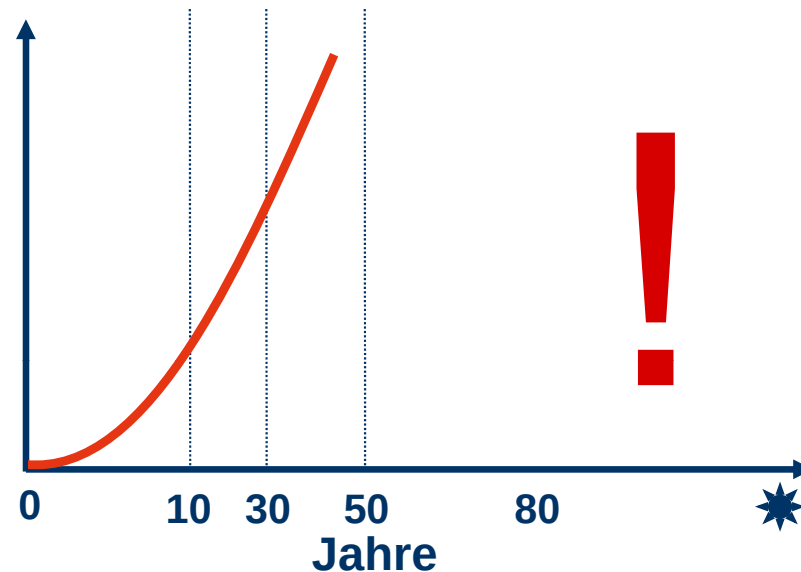
- mit Volkskrankheit kombinieren

**Förder-
Landschaft**

- Welche Töpfe gibt es noch?



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



**Vielen Dank für Ihre
Aufmerksamkeit!**