

CHF 2 Millionen für seltene Krankheiten: 5 Forschungsprojekte bringen Hoffnung

Basel/Zürich, 13. Dezember 2010 – Es gibt mehr als 7'000 seltene Krankheiten. Für die Betroffenen wie für die Gesellschaft bedeuten sie eine enorme soziale und ökonomische Herausforderung: Über 75 % der Betroffenen sind Kinder, und 35 % von diesen sterben, bevor sie das 5. Lebensjahr erreicht haben. Wirtschaftlich lohnt sich die Erforschung der seltenen Krankheiten kaum, geschweige denn die Entwicklung von Medikamenten. Hier greift die GEBERT RÜF STIFTUNG ein.

Nahezu jeder kennt in seinem Bekanntenkreis einen Menschen, der an einer seltenen Krankheit leidet. Statistisch leidet jeder zehnte Mensch an einer solchen, allein in Europa dürften es über 30 Millionen Menschen sein. Wegen der grossen Zahl an seltenen Krankheiten sind es jedoch nur wenige Menschen, die mit einer bestimmten Krankheit leben müssen. Die meisten Ärzte verfügen deshalb über keine geeigneten Mittel und kaum über das Wissen zur Diagnose seltener Krankheiten – oft bleiben diese unerkannt. Für nur 52 der insgesamt 7'000 seltenen Krankheiten gibt es in der Schweiz zugelassene Medikamente. Ärzte, Forscher, vor allem aber die Betroffenen selbst sind oft isoliert durch die geringe Verbreitung und das kaum vorhandene Wissen über die jeweilige seltene Krankheit.

Für die meisten seltenen Krankheiten existieren keine Forschungsprogramme. Das Gebiet ist wirtschaftlich uninteressant, was sich in der spärlichen Zuteilung von Forschungsgeldern niederschlägt. Gerade aber in der Erforschung seltener Krankheiten liegt nicht nur die Hoffnung für viele Patienten, sondern auch ein grosses Potential für die Wissenschaft in der Erkennung von genetischen Zusammenhängen. Bei dieser Forschungslücke setzt das Engagement der GEBERT RÜF STIFTUNG an:

Jedes Jahr stellt sie mit ihrem Programm «Rare Diseases – New Approaches» CHF 2 Mio. bereit und investiert diese im Rahmen von Ausschreibungen für konkrete Forschungsprojekte, die einen nachhaltigen Beitrag zur Diagnose und Behandlung seltener Krankheiten leisten. Das Programm ist vorerst auf 5 Jahre angesetzt und leistet damit auch einen Beitrag für den Aufbau eines Kompetenz-Netzwerks in der Schweiz.

Die aus der Jahresausschreibung 2010 mit 48 Gesuchen 5 hervorgegangenen Projekte überzeugen durch die Anwendung modernster Technologien, die Ausrichtung auf bisher schlecht bekannte Krankheitsmechanismen, die Umsetzung in einer konkreten Anwendung und das gute Renommee der beteiligten Forschenden:

Ein Projekt am *Friedrich Miescher Institut der Universität Basel* widmet sich der Krankheit «Friedreich's Ataxia», einer degenerativen Erkrankung des zentralen Nervensystems, die oft in jungen Jahren beginnt und bis heute nur symptomatisch therapiert werden kann. Das Projekt schlägt eine Brücke zwischen der Modellierung der Krankheit und einer Medikamentenprüfung. Ein Team am *Universitäts-Kinderspital Zürich* will für Patienten mit dem angeborenen Immundefekt «Septische Granuloamatose CGD», die an ständig wiederkehrenden bakteriellen Infektionen und Pilzkrankheiten leiden, eine neue Behandlung mittels Gentherapie erforschen und anbieten. Ziel des Grundlagenprojekts des Humangenetiklers Stylianos Antonarakis von der *Université de Genève* ist es, genetische Ursachen von seltenen rezessiven Krankheiten zu finden. Die «Spinale Muskelatrophie» ist ein Muskelschwund, der durch einen fortschreitenden Untergang von motorischen Nervenzellen im Vorderhorn des Rückenmark verursacht

wird. Das an der *Universität Basel* angesiedelte Projekt will die Symptome dieser Krankheit lindern. Die «Lafora Krankheit» schliesslich, eine tödliche Form der Jugendepilepsie, wird durch abnormale Glykogen-Ablagerung im Gehirn verursacht. Mit dem Projekt an der *ETH Zürich* sollen die für die Ablagerungen verantwortlichen Mechanismen identifiziert werden, was einen wichtigen Schritt für die Entwicklung einer Therapie dieser tödlichen Krankheit darstellt.

Wissenschaft.bewegen

Die 1997 gegründete GEBERT RÜF STIFTUNG setzt sich für die Schweiz als Wirtschafts- und Lebensraum ein. Mit einem jährlichen Budget von ca. CHF 10 Mio. unterstützt sie an Schweizer Hochschulen innovative Projekte mit grossem Wirkungspotential. Sie fördert neue Ansätze und ausgewählte Nachwuchsleute und legt Wert auf eine aktive Kommunikation der Forschungsergebnisse an die Öffentlichkeit. Ihre Aktivitäten bündelt sie in zeitlich befristeten Handlungsfeldern.

Rare Diseases – New Approaches

Seit 2009 investiert die GEBERT RÜF STIFTUNG CHF 2 Mio. jährlich in ihr neues Programm zur Erforschung seltener Krankheiten. Gefördert wird innovative, angewandte Forschung, die der Entwicklung und Implementierung neuer Technologien zur Diagnose und Behandlung seltener Krankheiten dient. Die Jahresausschreibungen richten sich an Forscherinnen und Forscher von Schweizer Universitäten, Universitätskliniken, der Eidgenössischen Technischen Hochschulen und der Fachhochschulen.

Im Sinne des Programms unterstützungswürdige Projekte sollen zu einem besseren Verständnis der genetischen, molekularen und biochemischen Prozesse, die zu seltenen Krankheiten führen, beitragen und den Weg zu neuen Behandlungen oder Diagnosetechniken weisen. Darüber hinaus soll der Transfer von der Grundlagenforschung in die klinische Praxis verbessert werden. Der Fokus der finanzierten Projekte muss auf Innovation, Machbarkeit und Effizienz liegen, wobei ein hohes wissenschaftliches und technologisches Niveau vorausgesetzt wird. Die nächste Jahresausschreibung wird im Februar 2011 lanciert.

Auskünfte und Informationen

Programmleitung: Pascale Vonmont, Stv. Geschäftsführerin GEBERT RÜF STIFTUNG
Tel. +41 (0)61 270 88 24, pascale.vonmont@grstiftung.ch, www.grstiftung.ch

Hintergrundinformationen:

www.grstiftung.ch/de/portfolio/handlungsfelder/aktive_handlungsfelder/rare-diseases.html