

## Sehr geehrte Damen und Herren,

jedes Jahr sterben allein in Deutschland über tausend Kinder an einer Seltenen Erkrankung und Hunderttausende werden niemals ein selbständiges Leben führen können, weil ihnen als „Waisen der Medizin“ wirksame Therapieoptionen fehlen.



Eva Luise und Bundespräsident a.D. Prof. Dr. Horst Köhler

Gezielte Investitionen in die pädiatrische Forschung könnten dies nun ändern: Leistungsfähige Diagnostik und hochpräzise therapeutische Verfahren eröffnen Wissenschaftlerinnen und Ärzten heute nie dagewesene Möglichkeiten, korrigierend in die einer Krankheit zugrunde liegenden Pathomechanismen einzugreifen. Das ist eine Jahrhundertchance – gerade auch für schwerst- kranke Kinder mit Seltenen Erkrankungen. Lassen Sie uns gemeinsam dafür sorgen, dass auch die Schwächsten in unserer Gesellschaft am medizinischen Fortschritt teilhaben und auf eine gesündere Zukunft hoffen dürfen!

*Eva L. Köhler*

*Horst Köhler*

## Das Forschungsnetzwerk der Alliance4Rare

Das Forschungsnetzwerk der Alliance4Rare umfasst bei Gründung drei Universitätskinderkliniken (Charité - Universitätsmedizin Berlin, Universitätsmedizin Göttingen, Universitätsklinikum Dresden) und das Berlin Institute of Health (BIH) und soll bis 2025 durch die Gewinnung weiterer Standort- und Förderpartner bundesweit verankert werden. Weitere Forschungseinrichtungen können überdies im Rahmen der Projektförderung in das Netzwerk eingebunden werden. Projektausschreibungen erfolgen ab Juli 2022 in vier zentralen Programmlinien, die das gesamte Spektrum von der Grundlagen- bis zur Versorgungsforschung konsequent entlang der Bedürfnisse von Patientinnen und Patienten mit Seltenen Erkrankungen abbilden.

### PREVENT

Früherkennung von Seltenen Erkrankungen und rechtzeitige Intervention

### RARE2COMMON

Erforschung Seltener Erkrankungen, die wegweisend für häufige Krankheiten sind

### INNOCURE

Entwicklung innovativer Therapien für Seltene Erkrankungen

### COPE&HOPE

Versorgungsforschung für unterstützende Maßnahmen bei ungeklärten Krankheiten ohne Therapieoption

### CADS


Internationales Kompetenz-Netzwerk für molekulare und klinische Tiefenanalytik

## Ihre Spende kommt an!

Nutzen Sie das Online-Spendenformular unter [www.elhks.de/spende](http://www.elhks.de/spende) oder überweisen unter dem Stichwort „Alliance4Rare“ an die

Eva Luise und Horst Köhler Stiftung  
Sparkasse KölnBonn  
IBAN DE83 3705 0198 1901 4480 17  
BIC COLSDE33X



Eine Initiative der  
 Eva Luise  
und Horst Köhler  
Stiftung

in Kooperation mit  
friede springer stiftung



ALLIANCE4RARE -

GEMEINSAM ZUKUNFT SCHAFFEN

Forschungsinitiative  
für Seltene Erkrankungen  
bei Kindern

Fotos: Andrea Katheder

Alliance4Rare gemeinnützige Stiftungsgesellschaft mbH  
c/o Eva Luise und Horst Köhler Stiftung  
Simrockstraße 4 | 53113 Bonn | [www.elhks.de/alliance4rare](http://www.elhks.de/alliance4rare)



Sie haben Fragen? Sprechen Sie mich gerne an!  
Sanna Börgel, Geschäftsführung  
+49 (0) 151 4129 7774 | [alliance4rare@elhks.de](mailto:alliance4rare@elhks.de)

## Alliance4Rare - Gemeinsam Zukunft schaffen

Die Alliance4Rare versteht sich als Brückenbauerin zwischen den wachsenden Möglichkeiten moderner Präzisionsmedizin und dem immensen Forschungsbedarf zu Seltenen Erkrankungen. Dazu vernetzt das zivilgesellschaftliche Bündnis die Expertise forschungsstarker Universitätskinderkliniken mit dem Gestaltungswillen fördernder Partner erstmals entlang einer standortübergreifend konsentierten Forschungsstrategie. Diese fokussiert auf die zügige Implementierung innovativer diagnostischer und therapeutischer Verfahren für seltene Krankheiten, die unbehandelt einen frühen Tod oder eine schwere lebenslange Behinderung verursachen.

Der standortübergreifende und konsequent translationale Ansatz der Alliance4Rare ist ein Zukunftsmodell für die pädiatrische Forschung: Sowohl die Etablierung dauerhafter Netzwerkstrukturen als auch die gezielte Förderung des wissenschaftlichen Nachwuchses im Rahmen von Clinician Scientist Programmen sind Weichenstellungen, die den gesamten Forschungsbereich nachhaltig stärken werden.

Für Kinder und Jugendliche, die trotz der Seltenheit ihrer jeweiligen Erkrankung auf die „Medizin von morgen“ hoffen dürfen, werden sich die heute getätigten Investitionen vielleicht ein Leben lang auszahlen. Gemeinsam Zukunft schaffen – das ist unsere Verpflichtung. Das ist unser Versprechen.



## Pädiatrische Forschung bedeutet für Kinder Teilhabe am medizinischen Fortschritt

Wissenschaftliches Arbeiten und die Versorgung von Kranken sind untrennbare Aufgaben, um trotz geringer Fallzahlen eine effiziente Translation sicherzustellen und bahnbrechende Erkenntnisse der Grundlagenwissenschaften zügig in die Anwendung zu bringen.

Da Seltene Erkrankungen in acht von zehn Fällen Kinder und Jugendliche betreffen, hängt deren Teilhabe am medizinischen Fortschritt in erster Linie von engagierten Pädiater:innen ab, die sich dem Spagat zwischen Krankenbett und Labor mit Hingabe stellen: Nur sie sind für die Durchführung von Studien mit Kindern ausgebildet; sie genießen das Vertrauen der betroffenen Familien und sind durch ihre klinische Erfahrung in der Lage, die relevanten Fragestellungen zu formulieren.

Für Pädiater:innen ist es jedoch zunehmend schwierig, Forschungsaktivitäten mit der stark verdichteten klinischen Tätigkeit in Einklang zu bringen. Weil Rückendeckung und inspirierende Vorbilder fehlen, geben viele Nachwuchswissenschaftler:innen früher oder später auf und konzentrieren sich auf ihre fachärztliche Ausbildung oder wenden sich besser dotierten Forschungsbereichen zu.

Trotz dieser strukturellen Mängel haben die Universitätskinderkliniken in Deutschland in den vergangenen Jahrzehnten zahlreiche internationale anerkannte Fortschritte in der Forschung zu Seltenen Erkrankungen erzielt. Damit das so bleibt und sukzessive ausgebaut werden kann, braucht der Forschungsbereich jedoch ein Programm zur gezielten Nachwuchsförderung.

## Clinician Scientist for Rare - Versorgung und Forschung sind eins

Um forschende Kinderärzt:innen auf ihre anspruchsvolle Aufgabe vorzubereiten und ihnen die nötigen Freiräume für wissenschaftliches Arbeiten auf hohem Niveau zu verschaffen, setzt die Alliance4Rare auf strukturierte Clinician Scientist Programme (CS4RARE). Diese ermöglichen den Teilnehmenden geschützte Forschungszeiten, in denen sie, von klinischen Aufgaben freigestellt, ihre wissenschaftlichen Projekte zu Seltenen Erkrankungen vorantreiben.

Jährliche Summer Schools und ein gezieltes Mentoring-Programm sorgen für Wissenstransfer und standortübergreifende Vernetzung. Die Arbeit in gemeinsamen Forschungsprojekten prägt die Nachhaltigkeit des Netzwerkes auch über die jeweilige Förderphase hinaus.



### Junior Clinician Scientist for Rare // JCS4RARE, 1 Jahr

- für Ärzt:innen in der fachärztlichen Weiterbildung
- Erwerb wissenschaftlicher Kompetenzen und klinische Tätigkeit
- Geschützte Forschungszeit (25 %)  
Kosten: ca. € 20 - 25.000/ Jahr

### Clinician Scientist for Rare // CS4RARE, 3 Jahre

- für Ärzt:innen in der fachärztlichen Weiterbildung (Pädiatrie)
- eigenes Forschungsprojekt und klinische Tätigkeit, Vorbereitung der Habilitation
- Geschützte Forschungszeit (50 %)  
Kosten: ca. € 30 - 50.000/ Jahr

### Advanced Clinician Scientist for Rare // ACS4RARE, 3 Jahre

- für Pädiater:innen mit mind. Facharzt- bzw. Habilitationsreife
- eigenständige, forschungsorientierte Lehre und klinische Tätigkeit in den ZSE, eigene Nachwuchsgruppe, Drittmittelanträge
- Geschützte Forschungszeit (50 %)  
Kosten: ca. € 55 - 70.000/ Jahr