



**Register** [Die Patientenregister von STOP-FSGS und NEOCYST](#)

**Aus den Verbänden** [Neues von MyPred, Treat-ION, ADDRess, HiChol und mitoNET](#)  
[Paper of the Quarter II / 2021 \(GAIN, MyPred, STOP-FSGS und HiChol\)](#)

[Paper of the Quarter III / 2021 \(NEOCYST, CONNECT-GENERATE, mitoNET und Treat-ION\)](#)

**Weitere Informationen** [Veranstaltungen / Ausschreibungen](#)

## Liebe Leser\*innen,

eine gute Nachricht zuerst: Die **Förderung der Verbundforschung** wird auch nach der aktuellen Phase für drei weitere Jahre fortgesetzt. Somit können wir weiterhin mit der Unterstützung des BMBF rechnen, um die Grundlagenforschung zu seltenen Erkrankungen voranzutreiben und Patientenregister und weitere Forschungsprojekte auszubauen.

Wie wichtig eine institutionelle Vernetzung universitärer Forschungseinrichtungen und eine strukturelle und finanzielle Unterstützung im Bereich der seltenen Erkrankungen ist, beschreibt Prof. Frank Leypoldt: Im +3 *Magazin* der Süddeutschen Zeitung vom September 2021 erläutert der Koordinator des Verbundes CONNECT-GENERATE, warum es „[nur im Netzwerk](#)“ vorangehen kann. Ebenso geht der Artikel „[Gemeinsam Wissen schaffen](#)“ von Prof. Thomas Klopstock in der gleichen Ausgabe auf diese Notwendigkeit ein. Auch weist die ACHSE e.V. in ihrem Positionspapier „[4 Millionen Gründe jetzt zu handeln](#)“ zur Bundestagswahl auf die große Bedeutung der Verbundforschung hin.

In dieser Ausgabe stellen wieder mehrere Verbände ihre neuesten Ergebnisse vor. Zwei Verbände, die sich mit unterschiedlichen seltenen Nierenerkrankungen beschäftigen, präsentieren ihre Fortschritte, die sie

auf der Grundlage ihrer Patientenregister erzielt haben.

Um die wichtigen Forschungsarbeiten und neuen Erkenntnisse einer breiten Öffentlichkeit bekannt zu machen, arbeitet die Koordinierungsstelle der Verbände seit vielen Jahren an leicht zugänglichen Informationsangeboten. Hierzu gehören auch die Kurzvorstellungen ausgewählter, hochrangiger Publikationen, die in dieser Ausgabe wieder zusammengefasst dargestellt werden.

Wir freuen uns auf unser im März/April 2022 stattfindendes **internationales Symposium „The Translational Science of Rare Diseases – From Rare to Care IV“** und hoffen sehr, dass die Corona-Lage einem Präsenztreffen nicht nochmals entgegensteht. Hier werden die Forschungsverbände und internationalen Gäste mit neuesten und innovativen Ergebnissen aus der Forschungslandschaft aufwarten. Halten Sie sich über unsere Website [www.research4rare.de](http://www.research4rare.de) auf dem Laufenden.

Mit den besten Grüßen

Ihr Prof. Dr. Thomas Klopstock

## Verbände (aktuelle Förderung)

### Netzwerk für Menschen mit Erkrankungen mit gestörter DNA-Reparatur ([ADDRess](#))

Prof. Dr. med. Christian Kratz  
Medizinische Hochschule Hannover

### Forschungsverbund für autoimmune Enzephalitiden ([CONNECT-GENERATE](#))

PD Dr. med. Frank Leypoldt  
Universitätsklinikum Schleswig-Holstein

### Deutsches Netzwerk für die Erforschung und Therapieoptimierung von Patienten mit Multi-Organ-Autoimmunerkrankungen ([GAIN](#))

Prof. Dr. med. Bodo Grimbacher  
Universitätsklinikum Freiburg

### Deutsches Netzwerk für RASopathieforschung ([GeNeRARE](#))

Prof. Dr. med. Martin Zenker  
Universitätsklinikum Magdeburg

### Translationales Netzwerk zu hereditären intrahepatischen Cholestasen ([HiChol](#))

Prof. Dr. med. Verena Keitel-Anselmino  
Universitätsklinikum Düsseldorf

### Deutsches Netzwerk für mitochondriale Erkrankungen ([mitoNET](#))

Prof. Dr. med. Thomas Klopstock  
LMU Klinikum, München

### Entwicklung von Früherkennungs- und Behandlungsstrategien für junge Menschen mit Prädisposition für myeloische Neoplasien ([MyPred](#))

Dr. med. Miriam Erlacher  
Universitätsklinikum Freiburg

### Netzwerk für frühkindliche zystische Nierenerkrankungen ([NEOCYST](#))

Prof. Dr. med. Martin Konrad  
Universitätsklinikum Münster

### Netzwerk für die seltene Nierenerkrankung Idiopathische FSGS ([STOP-FSGS](#))

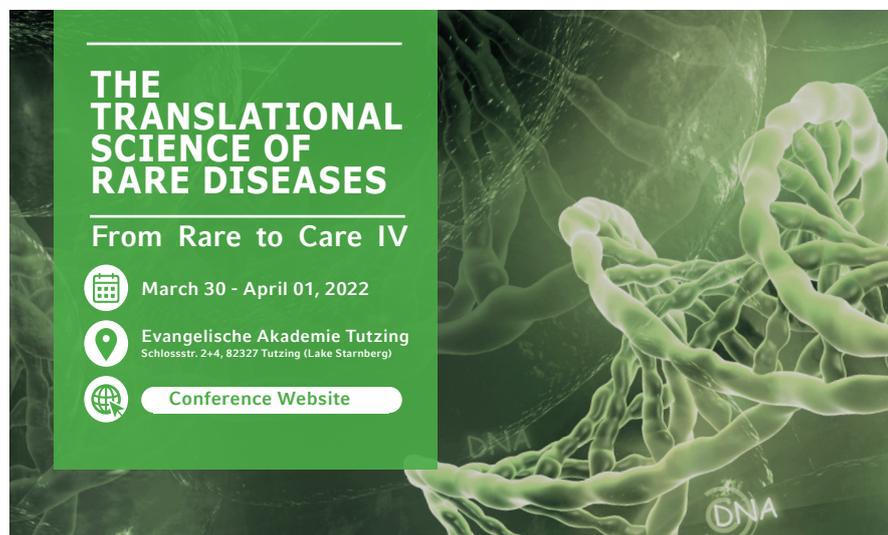
Prof. Dr. med. Marcus Möller  
Universitätsklinikum Aachen

### Translationale Forschung zur hereditären spastischen Paraplegie ([TreatHSP.net](#))

PD Dr. med. Rebecca Schüle  
Universitätsklinikum Tübingen

### Neue Therapien für neurologische Ionenkanal- und Transporterstörungen ([Treat-ION](#))

Prof. Dr. med. Holger Lerche  
Universitätsklinikum Tübingen





## STOP-FSGS

Forschungsverbund für die seltene Nierenerkrankung primäre fokal-segmentale Glomerulosklerose

### Die Patientenregister und die Biobank des Forschungsverbunds STOP-FSGS

Das STOP-FSGS Konsortium wird seit 2016 im Rahmen der BMBF-Verbundvorhaben für Seltene Erkrankungen gefördert. STOP-FSGS erforscht dabei die seltene proteinurische Erkrankung der Fokal Segmentalen Glomerulosklerose (FSGS), welches zu einer präziseren Krankheitseinteilung, einem besseren Verständnis der Pathophysiologie und neuen Therapieansätzen führt.

Entscheidend für diese Studien ist der Zugang zu Patientenregistern dieser seltenen Erkrankung. Hierfür konnten das Hamburger Nierenregister (als größtes nationales Glomerulonephritis-Register), das FOrMe Register (The German Focal Segmental Glomerulosclerosis and Minimal Change Registry) und das Nachfolgeregister der ersten europäischen, molekularen Nieren Bank HERO (The Hamburg and European Renal Omics-Biobank) in das STOP-FSGS-Konsortium integriert werden, um so eine einzigartige Grundlage für die STOP-FSGS-Studien zu schaffen. Die Register beinhalten u.a. die Erfassung von Krankheitsverläufen, umfassende Biosamplings und humangenetische Analysen.

#### Das Hamburger Glomerulonephritis Register in Zahlen

Das Hamburger Glomerulonephritis Register wurde in der ersten Förderphase des Sonderforschungsbereichs SFB 1192 für entzünd-

liche glomeruläre Erkrankungen gegründet. Das Register umfasst aktuell über 1200 Patient\*innen mit Glomerulonephritis, darunter über 150 Patient\*innen mit FSGS oder MCD.

Mehr Informationen unter [www.sfb1192.de/de/register](http://www.sfb1192.de/de/register)

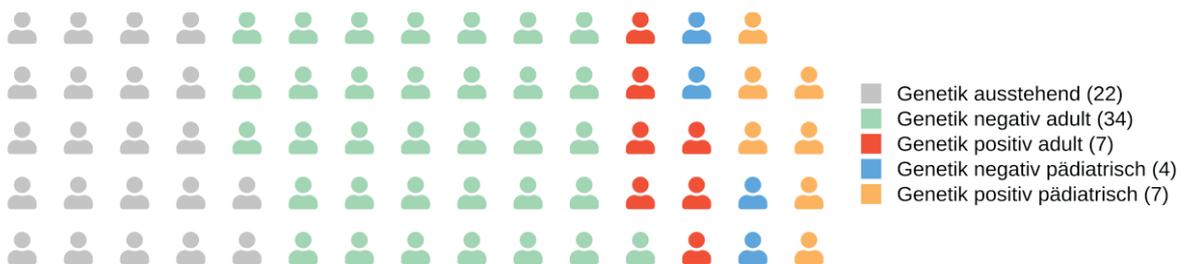
#### Das FOrMe-Register in Zahlen

FOrMe ist im Rahmen der DFG-geförderten klinischen Forschergruppe KFO329 entstanden und enthält auch eine digitale Plattform zum Austausch von Nierenbiopsien. Bisher wurden 85 Patient\*innen eingeschlossen und vollständig mit dem FOrMe Datensatz dokumentiert. Hierunter waren 23 Kinder und 62 Erwachsene. Es erfolgt eine prospektive Erfassung der Krankheitsverläufe.

Mehr Informationen unter [www.forme-register.de](http://www.forme-register.de)

#### HERO-Biobank

Die HERO-Biobank wird neben der klinischen Charakterisierung von Patient\*innen einen Fokus auf Einzel-Zell- und OMICS-Analysen enthalten. Der Vorläufer dieses Registers ERCB (European Renal cDNA Bank, Hamburg) war im Rahmen einer Förderung der Else Kröner-Fresenius-Stiftung entstanden und beinhaltet über 3000 molekular aufgearbeitete Biopsien, welche STOP-FSGS ebenfalls zur Verfügung stehen.



Häufigkeit von Genmutationen bei pädiatrischen und erwachsenen Patient\*innen des FOrMe Register (Stand 11/2021).



## NEOCYST

Netzwerk für frühkindliche zystische Nierenerkrankungen

### Große Schritte in Richtung individueller Prognose und Beratung

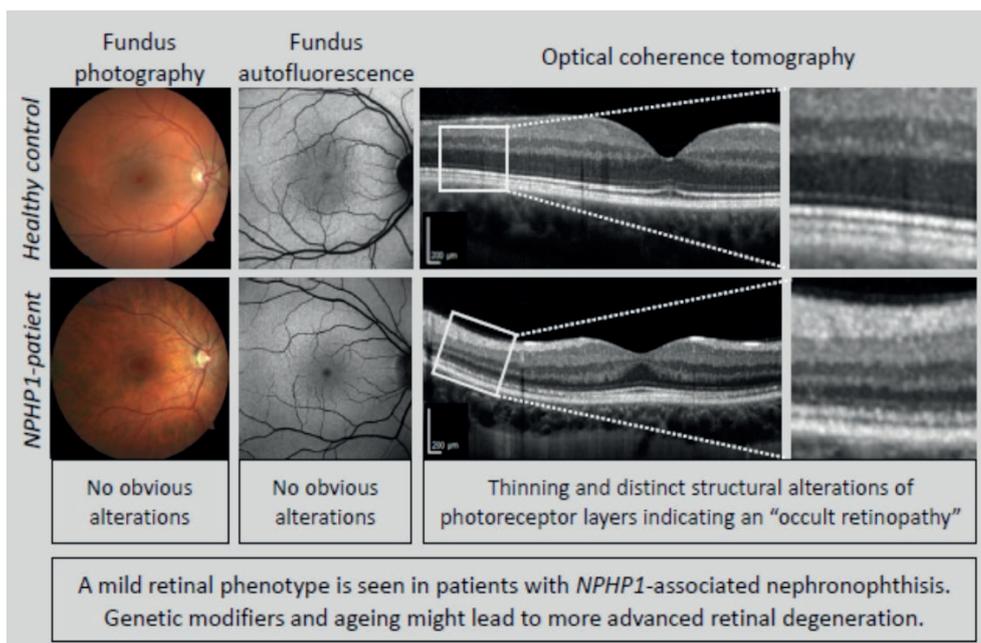
NEOCYST widmet sich als multidisziplinäres Netzwerk der klinischen, genetischen und molekularen Charakterisierung von Patient\*innen mit angeborenen zystischen Nierenerkrankungen. Seit Gründung im Jahr 2016 konnte der Verbund in vielen Bereichen entscheidend zu einer verbesserten Versorgung von betroffenen Kindern und deren Familien beitragen.

Basierend auf dem NEOCYST-Register ([www.neocyst.de](http://www.neocyst.de)) mit Daten von mittlerweile mehr als 500 Patienten sowie dem angegliederten ARPKD-Registers ([www.aregpkd.org](http://www.aregpkd.org)) mit > 700 eingeschlossenen Patient\*innen konnten zuletzt beachtliche Fortschritte in Bezug auf die Vorhersagbarkeit des individuellen Nierenfunktionsverlusts sowie der möglichen Beteiligung anderer Organsysteme gemacht werden.

Auf der Basis der bislang größten publizierten genetisch charakterisierten Patienten-Kohorten wurden erstmals Zusammenhänge nicht nur zwischen dem betroffenen Gen und der klinischen Prognose, sondern zum Teil auch zwischen der Schwere und Lokalisation der jeweiligen Genveränderung und dem erwarteten Nierenüberleben identifiziert<sup>1,2</sup>. Darüber hinaus konnten bei allen Patienten mit juveniler Nephronophthie und Veränderungen im NPHP1-Gen monomorphe Netzhautveränderungen ausgemacht werden, unabhängig davon, ob subjektiv eine Einschränkung des Sehvermögens bestand oder nicht (Abb.). Interessanterweise waren diese Veränderungen nicht durch die übliche augenärztliche Standarduntersuchung detektierbar, sondern lediglich mittels spezialisierter Bildgebung (optische Kohärenztomographie)<sup>3</sup>.

Die genannten Entwicklungen verdeutlichen beispielhaft, dass auch vor dem Hintergrund extrem seltener Erkrankungen durch die Unterstützung zentraler Registerstrukturen und Forschungsschwerpunkte Erkenntnisse gewonnen werden können, die eine individuelle Beratung Einzelner zulassen, welche die Definition von Zielparametern für klinische Studien ermöglichen und letztlich entscheidende Verbesserungen für das Leben betroffener Familien ausmachen können.

1. Burgmaier K, Brinker L, Erger F, Beck BB, Benz MR, Bergmann C, Boyer O, Collard L, Daffinger C, Fila M, Kowalewska C, Lange-Sperandio B, Massella L, Mastrangelo A, Mekahli D, Miklaszewska M, Ortiz-Bruechle N, Patzer L, Prikhodina L, Ranchin B, Ranguelov N, Schild R, Seeman T, Sever L, Sikora P, Szczepanska M, Teixeira A, Thumfart J, Uetz B, Weber LT, Wühl E, Zerres K; ESCAPE Study group; GPN study group, Dötsch J, Schaefer F, Liebau MC; ARegPKD consortium. Refining genotype-phenotype correlations in 304 patients with autosomal recessive polycystic kidney disease and PKHD1 gene variants. *Kidney Int.* 2021 Sep;100(3):650-659. ([siehe auch Paper of the Quarter III / 2021](#))
2. König J, Karsay R, Gerß J, Schlingmann KP, Dahmer-Heath M, Telgmann A, Kollmann S, Ariceta G, Gillion V, Bockenbauer D, Bertholet-Thomas A, Mastrangelo A, Boyer O, Lillien M, Decramer S, Schanstra J, Pennekamp P, Konrad M. Prediction of renal prognosis in nephronophthisis. *J Am Soc Nephrol.* 2021 (submitted).
3. Birtel J, Spital G, Book M, Habbig S, Bäumner S, Riehmer V, Beck BB, Rosenkranz D, Bolz HJ, Dahmer-Heath M, Herrmann P, König J, Charbel Issa P. NPHP1 gene-associated nephronophthisis is associated with an occult retinopathy. *Kidney Int.* 2021 Nov;100(5):1092-1100.



## Aktuelles aus der Verbundarbeit in Kürze

Ausgewählte Verbände berichten über Ihre Forschungsarbeiten:



### Von der „natürlichen“ Genterapie lernen

Kinder mit myelodysplastischen Syndromen (MDS) bilden nicht genügend Blutzellen in ihrem Knochenmark. Sie haben daher ein höheres Risiko, an Leukämie zu erkranken. In den letzten Jahren hat die Bedeutung genetischer Veränderungen für die Entstehung und den Verlauf eines MDS stark zugenommen. So weisen einige der jungen Patient\*innen angeborene Mutationen in den Genen SAMD9 und SAMD9L auf. Mögliche Zusammenhänge zwischen diesen Mutationen und einer MDS Erkrankung haben nun Forscher\*innen des MyPred Verbundes unter Studienleiter Marcin Wlodarski gemeinsam mit internationalen Kolleg\*innen erforscht und im Oktober 2021 in der Zeitschrift Nature Medicine veröffentlicht. ([Zur Publikation](#))

Die Analyse von Daten aus dem [EWOG-MDS Register](#) zeigte, dass SAMD9- und SAMD9L-Mutationen zu den häufigsten Ursachen für die Entstehung eines MDS gehören. Die Forscher\*innen fanden zudem heraus, dass SAMD9- oder SAMD9L-Mutationen bei 61 % der Patient\*innen, die sie in sich trugen, durch ein Verfahren inaktiviert oder unterdrückt wurden, das man als „natürliche Genterapie“ bezeichnen kann. Manchmal waren die Veränderungen gutartig und wirkten selbstkorrigierend. In anderen Fällen erhöhten die Veränderungen allerdings das Erkrankungsrisiko. Diese natürliche Genterapie liefert entscheidende Hinweise darauf, wie zukünftig Patient\*innen mit einer „künstlichen“ Genterapie behandelt und geheilt werden können.

Mehr Informationen zum Verbund findet sich unter der neuen Website [www.mypred.de](http://www.mypred.de)



### Neue Erkenntnisse zu Migräneentstehung & -therapie

Migräne ist eine der häufigsten neurologischen Erkrankungen weltweit. Bei einer Migräneattacke kann dem Kopfschmerz eine sog. Aura vorausgehen, welche sich in Sehstörungen oder auch anderen neurologischen Symptomen zeigt. Während dieser Auren kann ein typisches Aktivitätsmuster, die sog. kortikale Streudepolarisation, beobachtet werden: eine mit 3-5 mm/min wandernde Depolarisationswelle gefolgt von einer lang andauernden Hyperpolarisation und neuronalen Hemmung.

Forschende des Treat-ION Verbundes aus Tübingen und München konnten nun mit Hilfe eines Mausmodells einen neuen Mechanismus der Migräneaura bei einer seltenen Unterform, der erblichen, sogenannten familiären hemiplegischen Migräne (FHM) entschlüsseln. Die Mäuse tragen, wie die Betroffenen mit einer FHM, einen Defekt im SCN1A Gen. Der Defekt führt dazu, dass der spannungsgesteuerte Natriumkanal NaV1.1 stärker durchlässig ist und so zu einer Übererregbarkeit von hemmenden Neuronen führt. Die erhöhte Aktivität der hemmenden Neurone führt sehr wahrscheinlich über eine Erhöhung der extrazellulären Kaliumkonzentration zu einer vermehrten kortikalen Streudepolarisation.

Neben den grundlegenden Erkenntnissen zur Entstehung von Migräne-Auren fanden die Treat-ION Wissenschaftler eine mögliche Therapie: durch eine Substanz, welche die erhöhte Natriumkanalaktivität blockiert, konnte die krankhafte Aktivität bei den Mäusen verbessert werden. Die Erkenntnisse der Forscher\*innen liefern einen Ansatzpunkt für eine medikamentöse Behandlung von Patient\*innen bei dieser bestimmten Form der Migräne, die eventuell auch auf andere Migräneformen übertragbar ist.

[Zur Publikation](#)

Kontakt: [holger.lerche@uni-tuebingen.de](mailto:holger.lerche@uni-tuebingen.de)



Translational Research for Persons  
with Abnormal DNA Damage Response

**Bundesweite Studie zu Krebs bei Kindern mit Fanconi Anämie und Ataxia Teleangiectatica**

[Zur Pressemitteilung der Medizinischen Hochschule Hannover](#)

[Zur Publikation](#)

**Analysis of the Li-Fraumeni Spectrum Based on an International Germline TP53 Variant Data Set: An International Agency for Research on Cancer TP53 Database Analysis**

[Zur Pressemitteilung der Medizinischen Hochschule Hannover](#)

[Zur Pressemitteilung der Patientenorganisation LFSA \(Li-Fraumeni Syndrome Association\)](#)

[Zur Publikation](#)



**Selten, aber schwerwiegend: Gendefekte, die der Galle schaden**

Anlässlich des Deutschen Lebertages stellt der Forschungsverbund HiChol für seltene hereditäre intrahepatische Cholestasen seine Forschungsaktivitäten zu genetischen Ursachen angeborener Cholestasen vor.

In: BMBF Aktuelle Meldungen zur Gesundheitsforschung, 18.11.2021

[Zum Artikel](#)



**Übersichtsarbeit unter Beteiligung von mitoNET**

**„Mitochondriale Erkrankungen“**

In: Deutsches Ärzteblatt International, Ausgabe 44/2021, 05.11.2021

Klopstock T, Priglinger C, Yilmaz A, Kornblum C, Distelmaier F, Prokisch H

[Zum Artikel](#)

## Paper of the Quarter

Jedes Quartal kürt Research for Rare eine Publikation aus dem Kreis der Forschungsverbände und präsentiert eine Zusammenfassung. Aufgrund der stetig zunehmenden Anzahl hochrangiger Publikationen, möchten wir diesmal mehrere Veröffentlichungen vorstellen. Alle Publikationen der Verbände finden Sie [hier](#).

## Paper of the Quarter – Q II / 2021

### [Gain-of-function variants in SYK cause immune dysregulation and systemic inflammation in humans and mice](#)



**Nature Genetics** 2021; 53(4): 500-510

Wang L, Aschenbrenner D, Zeng ZY, Cao XY, Mayr D, Mehta M, Capitani M, Warner N, Pan J, Wang LR, Li Q, Zuo T, Cohen-Kedar S, Lu JW, Ardy RC, Mulder DJ, Dissanayake D, Peng KY, Huang ZH, Li XQ, Wang YS, Wang XB, Li SC, Bullers S, Gammage AN, Warnatz K, Schiefer AI, Krivan G, Goda V, Kahr WHA, Lemaire M, Lu CY, Siddiqui I, Surette MG, Kotlarz D, Engelhardt KR, Griffin HR, Rottapel R, Decaluwe H, Laxer RM, Proietti M, Hambleton S, Elcombe S, Guo CH, Grimbacher B, Dotan I, Ng SC, Freeman SA, Snapper SB, Klein C, Boztug K, Huang Y, Li DL, Uhlig HH, Muise AM, Genomics England Res C

[Zur Kurzzusammenfassung](#)

### [iPSC modeling of stage-specific leukemogenesis reveals BAALC as a key oncogene in severe congenital neutropenia](#)



**Cell Stem Cell** 2021; 28(5): 906-922.e6

Dannenmann B, Klimiankou M, Oswald B, Solovyeva A, Mardan J, Nasri M, Ritter M, Zahabi A, Arreba-Tutusaus P, Mir P, Stein F, Kandabarau S, Lachmann N, Moritz T, Morishima T, Konantz M, Lengerke C, Ripperger T, Steinemann D, Erlacher M, Niemeyer CM, Zeidler C, Welte K, Skokowa J

[Zur Kurzzusammenfassung](#)

### [Pro-cachectic factors link experimental and human chronic kidney disease to skeletal muscle wasting programs](#)



**Journal of Clinical Investigation** 2021; 131(11): e135821

Solagna F, Tezze C, Lindenmeyer MT, Lu S, Wu G, Liu S, Zhao Y, Mitchell R, Meyer C, Omairi S, Kilic T, Paolini A, Ritvos O, Pasternack A, Matsakas A, Kyllies D, Zur Wiesch JS, Turner J-E, Wanner N, Nair V, Eichinger F, Menon R, Martin IV, Klinkhammer BM, Hoxha E, Cohen CD, Tharaux P-L, Boor P, Ostendorf T, Kretzler M, Sandri M, Kretz O, Puelles VG, Patel K, Huber TB

[Zur Kurzzusammenfassung](#)

### [Diagnosis and management of secondary causes of steatohepatitis](#)



**Journal of Hepatology** 2021; 74(6): 1455-1471

Liebe R, Esposito I, Bock HH, vom Dahl S, Stindt J, Baumann U, Luedde T, Keitel V

[Zur Kurzzusammenfassung](#)

## Paper of the Quarter – Q III / 2021

### [Refining genotype-phenotype correlations in 304 patients with autosomal recessive polycystic kidney disease and PKHD1 gene variants](#)

**Kidney International** 2021; 100(3): 650-659

Burgmaier K, Brinker L, Erger F, Beck BB, Benz MR, Bergmann C, Boyer O, Collard L, Dafinger C, Fila M, Kowalewska C, Lange-Sperandio B, Massella L, Mastrangelo A, Mekahli D, Miklaszewska M, Ortiz-Bruechle N, Patzer L, Prikhodina L, Ranchin B, Ranguelov N, Schild R, Seeman T, Sever L, Sikora P, Szczepanska M, Teixeira A, Thumfart J, Uetz B, Weber LT, Wuhl E, Zerres K, Dotsch J, Schaefer F, Liebau MC, Grp ES, Grp GPNS, Consortium AR

[Zur Kurzzusammenfassung](#)



### [Association Between Neuronal Autoantibodies and Cognitive Impairment in Patients With Lung Cancer](#)

**Jama Oncology** 2021; 7(9): 1302-1310

Bartels F, Wandrey MM, Aigner A, Strönisch T, Farmer K, Rentzsch K, Tessmer A, Grohé C, Finke C

[Zur Kurzzusammenfassung](#)



### [Mitochondrial disease in adults: recent advances and future promise](#)

**Lancet Neurology** 2021; 20(7): 573-584

Ng YS, Bindoff LA, Gorman GS, Klopstock T, Kornblum C, Mancuso M, McFarland R, Sue CM, Suomalainen A, Taylor RW, Thorburn DR, Turnbull DM

[Zur Kurzzusammenfassung](#)



### [4-Aminopyridine is a promising treatment option for patients with gain-of-function KCNA2-encephalopathy](#)

**Science Translational Medicine** 2021; 13(609): eaaz4957

Hedrich UBS, Lauxmann S, Wolff M, Synofzik M, Bast T, Binelli A, Serratosa JM, Martínez-Ulloa P, Allen NM, King MD, Gorman KM, Zeev BB, Tzadok M, Wong-Kissel L, Marjanovic D, Rubboli G, Sisodiya SM, Lutz F, Ashraf HP, Torge K, Yan P, Bosselmann C, Schwarz N, Fudali M, Lerche H

[Zur Kurzzusammenfassung](#)



## VERANSTALTUNGEN

---

### [Rückblick: Nationale Konferenz zu Seltene Erkrankungen \(NAKSE\) 2021 - Gemeinsam für ein besseres Leben](#)

#### **ACHSE e.V. in Kooperation mit den Zentren für Seltene Erkrankungen (ZSE)**

Aufzeichnungen der Vorträge können bis 31.03.2022 unter <https://achse.live/> angesehen werden.

Zugangsdaten über [nakse@achse-online.de](mailto:nakse@achse-online.de).

[Programmheft](#)

### [Symposium: The Translational Science of Rare Diseases – From Rare to Care IV](#)

30.03.-01.04.2022, Tutzing/Starnberger See

Registrierungen sind möglich, aufgrund der aktuellen Situation (reduziertes Platzangebot) aber erst nach Zusage verbindlich.

## AUSSCHREIBUNGEN

---

### [European Joint Programme on Rare Diseases \(EJP RD\): Call for Proposals 2022](#)

#### **Development of new analytic tools and pathways to accelerate diagnosis and facilitate diagnostic monitoring of rare diseases**

Öffnung des Calls wird für den 14.12.2021 erwartet.

### [EMA / HMA - Repurposing of authorised medicines: pilot to support not-for-profit organisations and academia](#)

Einreichung von Bewerbungen bis 28.02.2022

[Weitere Informationen](#)

### [Horizon Health 2022](#)

#### **Development of new effective therapies for rare diseases**

Call ist geöffnet.

Abgabetermine (two-stage Verfahren): 01.02.2022 / 06.09.2022

### [Dr. Holger Müller Preis der Care-for-Rare Foundation](#)

Deadline 01.03.2022

---

## Impressum und Kontakt:

Koordinierungsstelle der Forschungsverbände für seltene Erkrankungen  
Friedrich-Baur-Institut an der Neurologischen Klinik und Poliklinik  
LMU Klinikum  
Ziemssenstraße 1a, 80336 München  
Tel.: +49 (0)89 4400-57063 / 64  
E-Mail: [info@research4rare.de](mailto:info@research4rare.de)  
[www.research4rare.de](http://www.research4rare.de)