

Liebe Patienten, liebe Förderer und Unterstützer des NEOCYST-Forschungsverbundes,

Ein weiteres Jahr der Erforschung seltener zystischer Nierenerkrankungen im NEOCYST Verbund ist fast vorüber. Wir freuen uns berichten zu können, dass eine ganze Menge passiert ist:

Das Jahr 2022 war vor allem geprägt von „Schreiben und Hoffen“. Zum einen hat sich das NEOCYST Konsortium in einem kompetitiven Bewerbungsverfahren um eine dritte und finale Förderung seitens des Bundesministeriums für Bildung und Forschung (BMBF) bemüht. Mitte des Jahres erhielten wir dann die fantastische Nachricht, dass der Antrag erfolgreich angenommen wurde. Wir freuen uns sehr und danken allen Beteiligten und Patientenvertretern für ihr großartiges Engagement! Die Erforschung seltener zystischer Nierenerkrankungen ist somit für die nächsten drei Jahre sichergestellt. Im Mittelpunkt der neuen Förderperiode stehen dabei weiterhin die PatientInnen und ihre Familien. Der inhaltliche Fokus verschiedener Projekten liegt dabei auf der Erarbeitung individueller Risikoprofile, der Entwicklung von Therapieansätzen und der Vorbereitung auf klinische Studien sowie der Ermöglichung personalisierter Krankheitsprognosen.

Darüber hinaus war NEOCYST auch auf europäischer Ebene aktiv. Als zentraler Partner des internationalen Forschungsvorhabens „TheRaCil“ wurde ebenfalls ein großer Forschungsantrag im Rahmen des EU-finanzierten „Horizon Europe“-Programms gestellt. Im Fokus dieser Initiative unter Leitung von Frau Prof. Sophie Saunier aus Paris steht die Identifizierung konkreter Therapieansätze für Nephronophthise und weiterer hereditärer zystischer Nierenerkrankungen. Eine finale Entscheidung über den im September 2022 eingereichten Antrag steht noch aus - wir sind jedoch optimistisch und drücken gemeinsam mit Ihnen die Daumen für eine positive Bewertung dieses wichtigen Forschungsvorhabens. Gerade vor dem Hintergrund extrem seltener Erkrankungen wäre eine internationale Kooperation von hoher Bedeutung, um durch die Unterstützung internationaler Registerstrukturen und Forschungsschwerpunkte Erkenntnisse gewinnen zu können, welche eine individuelle Beratung Einzelner und die Etablierung wirksamer Therapiestrategien zulassen.

Dank des unerschrockenen Einsatzes von Organisatoren, Selbsthilfeorganisationen und insbesondere Ihnen als TeilnehmerInnen konnten entgegen aller Hindernisse auch im Jahr 2022 sowohl ein virtueller Patiententag als auch zwei Patiententage in Präsenz durchgeführt werden. Im März traf sich die Gruppe der Nephronophthise und HNF1B Patienten mit >20 Teilnehmern, was vor dem Hintergrund der virtuellen Veranstaltung und der Seltenheit der Erkrankungsbilder unsere Erwartungen übertraf. Im September konnte dann endlich auch wieder ein Patiententag in Präsenz durchgeführt werden – diesmal für Patienten mit ARPKD, HNF1B und Nephronophthise. Teilnehmer konnten spannenden Vorträgen folgen und sich vor Ort mit den jeweiligen Experten austauschen. Darüber hinaus bestand die Möglichkeit an interessanten Workshops teilzunehmen und

verschiedene wissenschaftliche Projekte durch aktive Teilnahme zu unterstützen. Unser besonderer Dank gilt an dieser Stelle Herrn Dr. Metin Cetiner als verantwortlichem Organisator.

Ein weiteres Highlight im Oktober war der Patiententag im Rahmen des internationalen „EMBO Cilia 2022“-Wissenschaftskongresses, auf welchem NEOCYST ebenfalls als zuverlässiger Partner für PatientInnen und Familien vertreten war. Auf kurze Vorträge von führenden WissenschaftlerInnen und KlinikerInnen folgten Diskussionen im „World Cafe“-Format. Dabei kamen SpezialistInnen und Betroffene in kleinen Gruppen zusammen, um sich intensiv auszutauschen. Im Anschluss wurde Selbsthilfegruppen und Betroffenen die Möglichkeit gegeben, sich dem großen wissenschaftlichen Publikum vorzustellen und auf sich und ihre Belange aufmerksam zu machen. Hervorheben möchten wir an dieser Stelle das mutige Auftreten von Frau Tatjana Kordic, die in Vertretung der Selbsthilfevereinigung Nephthi-N ihre Krankheitsgeschichte sowie die Arbeit des Vereins vor über 300 TeilnehmerInnen vorstellte. Das positive Feedback, das wir von Ihnen zu allen 3 Veranstaltungen erhalten haben, ist für uns große Motivation, auch 2023 entsprechende Veranstaltungen zu organisieren.

Ein weiteres fantastisches Feedback und eine große Ehre war 2022 die Auszeichnung von Prof. Franz Schaefer mit dem angesehenem Black Pearl Award in der Kategorie „Wissenschaft und Forschung“. Der Award wurde von der europäischen Patientenorganisation EURORDIS (European Rare Disease Patient Organisation) verliehen und ehrt Prof. Schaefer für sein außerordentliches Engagement im Bereich der Erforschung seltener Nierenerkrankungen. Im Namen von NEOCYST gratulieren wir von Herzen und sind sehr stolz, Prof. Schaefer in unseren NEOCYST-Reihen zu wissen.

Abschließend soll nicht unerwähnt bleiben, dass die Arbeit des Verbundes auch 2022 erneut wesentlich zum Erkenntnisgewinn und wissenschaftlichen Fortschritt auf dem Gebiet zystischer Nierenerkrankungen beitragen konnte. Insgesamt wurden 9 Publikationen unter direkter NEOCYST-Beteiligung in hoch dotierten Fachmagazinen veröffentlicht und dem internationalen Publikum zur Verfügung gestellt. Unser Dank gilt allen Partnern, die auch 2022 mit großem Einsatz die Forschung an zystischen Nierenerkrankungen vorangetrieben haben.

An dieser Stelle wünschen wir Ihnen allen wundervolle, friedliche und von strahlenden Kinderaugen geprägte Weihnachtstage und freuen uns auch 2023 weiter gemeinsam mit Ihnen und Euch an Lösungen für seltenen zystischen Nierenerkrankungen arbeiten zu können.

Ihr/Euer NEOCYST Team

