# Gemeinsam zu Diagnose und Therapie

Juli 2025

Aus der Koordinierungsstelle R4R - Young Researchers Worskhop on Rare Diseases - März 2025

Aus den Verbünden Neues von GAIN, CONNECT-GENERATE, NEOCYST und MyPred

Paper of the Quarter IV/2024 und I/2025

Weitere Informationen Veranstaltungen / Ausschreibungen / Verschiedenes

# Liebe Leser:innen,

in den letzten Ausgaben unserer Newsletter berichteten wir ausführlich über die Unsicherheiten in der Weiterförderung des Research for Rare-Forschungsprogramms. Im Jahr 2026 müssen wir nun leider mit einer Beendigung unserer bisherigen Verbundförderung rechnen. Dies stellt aus Sicht aller Beteiligten einen großen Verlust für die Forschungslandschaft im Bereich der Seltenen Erkrankungen in Deutschland dar. Den Herausforderungen und Bedarfen in der Forschung und Patientenversorgung wird damit nicht angemessen begegnet. Dennoch schauen wir erwartungsvoll in die Zukunft und hoffen, dass die aktuelle Bundesregierung sich verstärkt für das Thema der Seltenen Erkrankungen sowie für die Forschungsförderung einsetzen wird.

Unbeirrt dieser erschwerten Rahmenbedingungen arbeiten alle Verbünde weiterhin engagiert und erfolgreich an neuen Forschungserkenntnissen und deren Umsetzung in die Praxis. Auf den folgenden Seiten finden Sie hierzu Einblicke in einzelne Projekte und Aktivitäten der Verbünde sowie eine Vielzahl an aktuellen Publikationen

An dieser Stelle noch einige Veranstaltungs-Highlights: Vom 24. bis 26. März 2025 fand der "Research for Rare - Young Researchers Workshop on Rare Diseases" statt - ein interdiszi-

plinärer Workshop, organisiert von und für junge Forscher:innen. Insgesamt 30 Teilnehmer:innen kamen in München zusammen, zum interaktiven Lernen, Präsentieren eigener Projekte und zum Austausch untereinander sowie mit erfahrenen Wissenschaftler:innen (S. 2). Im Anschluss wurden in einem Scientific Writing-Workshop sowohl Methoden als auch Voraussetzungen für erfolgreiches wissenschaftliches Schreiben vermittelt.

Ein weiterführender Scientific Writing-Workshop für Nachwuchswissenschaftler:innen ist im Rahmen unseres kommenden internationalen Research for Rare-Symposiums "The Translational Science of Rare Diseases - From Rare to Care V" geplant. Dieses findet vom 22. bis 24. April 2026 statt. Ein weiteres Mal treffen sich in Tutzing am Starnberger See renommierte Wissenschaftler:innen, um neueste Themen unter anderem aus den Bereichen der Gen- und Zelltherapie, "small molecule" und antikörpervermittelten Therapie, Repurposing von Arzneimitteln und Medizinethik - zu diskutieren.

Auf unserer Website zum Symposium finden Sie weitere Informationen, auch zum Programm, den Vortragenden und dem idyllisch gelegenen Veranstaltungsort. Wir laden herzlich zur Teilnahme ein und freuen uns auf einen regen Austausch mit allen Anwesenden!

Und nun wünschen wir Ihnen eine spannende Lektüre,

Prof. Dr. Rebecca Schüle

Koordinatorin TreatHSP.net Sprecherin des Research4Rare-Netzwerks & Prof. Dr. Thomas Klopstock

Koordinator mitoNET
Ko-Sprecher des Research4Rare-Netzwerks

## Geförderte Verbünde

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

Prof. Dr. med. Christian Kratz Medizinische Hochschule Hannover

Forschungsverbund für autoimmune Enzephalitiden (CONNECT-GENERATE)

Prof. 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

Translationales Netzwerk zu hereditären intrahepatischen Cholestasen (<u>HiChol</u>)

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

Entwicklung von Früherkennungs- und Behandlungsstrategien für junge Menschen mit Prädisposition für myeloische Neoplasien (<u>MyPred</u>)

Prof. Dr. med. Miriam Erlacher Universitätsklinikum Ulm

Netzwerk für frühkindliche zystische Nierenerkrankungen (<u>NEOCYST</u>)

Dr. med. Jens König Universitätsklinikum Münster

Netzwerk für die seltene Nierenerkrankung Idiopathische FSGS (<u>STOP-FSGS</u>)

Prof. Dr. med. Tobias Huber Universitätsklinikum Hamburg-Eppendorf

Translationale Forschung zur hereditären spastischen Paraplegie (<u>TreatHSP.net</u>)
Prof. Dr. med. Rebecca Schüle

Universitätsklinikum Heidelberg

Neue Therapien für neurologische Ionenkanalund Transporterstörungen (<u>Treat-ION</u>)

Prof. Dr. med. Holger Lerche Universitätsklinikum Tübingen

Förderung bis 2023:

Deutsches Netzwerk für RASopathieforschung (GeNeRARe)

Prof. Dr. med. Martin Zenker Universitätsklinikum Magdeburg

Deutsches Netzwerk für mitochondriale Erkrankungen (mitoNET) Prof. Dr. med. Thomas Klopstock

## Aus der Koordinierungsstelle



# Young Researchers Workshop on Rare Diseases

von: Tabita Ghete, University Hospital Erlangen (MyPred) & Midhuna I. Joseph Maran, Saarland University (Treat-HSP.net)

Vom 24. bis 26. März 2025 fand in München der vom Research for Rare-Netzwerk organisierte <u>YOUNG RESEARCHERS WORKSHOP ON RARE DISEASES</u> statt, eine interdisziplinäre Veranstaltung von und für junge Forscher:innen. Es kamen 30 Teilnehmer:innen aus verschiedensten Fachrichtungen zusammen, darunter Medizin, Biowissenschaften und Bioinformatik. Die Teilnehmer:innen hatte die Möglichkeit, ihre Forschungsarbeiten vorzustellen - entweder während der Poster-Session oder durch ausgewählte Kurzpräsentationen. Zudem wurden die Teilnehmer:innen ermutigt, direkt mit ihren Kolleg:innen und den erfahrenen Wissenschaftler:innen in Austausch zu treten.

Eine **Einführung in das Gebiet der Seltenen Erkrankungen** wurde von Prof. Rebecca Schüle gegeben, der Sprecherin des Forschungsnetzwerks Research for Rare und Koordinatorin des Verbunds TreatHSP.net. Gemeinsam mit Prof. Frank Leypoldt, Koordinator des Verbunds CONNECT GENERATE, erläuterte sie den aktuellen Stand, die Herausforderungen, sowie wegweisende Entwicklungen im Bereich der Forschung zu Seltenen Erkankungen.

Die **Bioinformatik-Sessions** wurden von Dr. Vicente Yépez geleitet, der besonderen Wert auf RNA-seq-basierte Analysen legte. Ergänzt wurde dies durch Dr. German Demidov mit einer ausführlichen Einführung in den Nachweis von CNV/SV in genetischen Daten. Im Anschluss konnten die Teilnehmer:innen in einem Praxisteil reale Szenarien zur Identifikation krankheitsverursachender Varianten lösen.

Weitere Sessions umfassten eine lebhafte Diskussion über Ethik in Forschung und Medizin mit Dr. Christoph Schickhardt sowie einen anschaulichen Einblick in den Peer-Review-Prozess durch Dr. Thomas Lemberger, der seine Erfahrungen beim Schreiben und Bewerten von Reviews schilderte. Zudem präsentierte Dr. Anandhi lyappan das Thema Strategien für ein effektives Datenmanagement im Rahmen der eigenen Forschung. Während eines Panels mit den erfahrenen Wissenschaftler:innen wurden Fragen der Teilnehmer:innen über Strategien im Umgang mit Leistungs- und Publikationsdruck und der Erreichung einer gesunden Work-Life-Balance offen und persönlich diskutiert.



Participants Young Researchers Workshop 2025 © Dr. German Demidov

Am dritten Tag nahmen 12 Teilnehmer:innen an einen ganztägigen Kurs zum wissenschaftlichen Schreiben teil. Schwerpunkte lagen unter anderem auf dem Verfassen von Abstracts und Methoden zur Überwindung von Schreibblockaden.

Der Workshop war eine erfolgreiche Veranstaltung, die die Zusammenarbeit und den Austausch von Nachwuchswissenschaftler:innen aus unterschiedlichen Fachbereichen förderte. Weitere Informationen finden sich auch im Workshop-Progamm.

Die Koordinierungsstelle plant für April 2026 einen weiteren Workshop zum wissenschaftlichen Schreiben für junge Forscher:innen, im Rahmen des internationalen Symposiums "The Translational Science of Rare Diseases – From Rare to Care V", das vom 22. bis 24. April 2026 stattfindet.



**Verbund: GAIN** 

Teilprojekt 9: Epigenetik

Faranaz Atschekzei, Klinik für Rheumatologie und Immunologie, MHH, Hannover

Das GAIN-Teilprojekt *Identifizierung epigenetischer Faktoren bei Multi-Organ-Autoimmunerkrankungen*, unter der Leitung von Frau Dr. rer. nat. Faranaz Atschekzei, Medizinische Hochschule Hannover (MHH), befasst sich mit der **Identifizierung und Untersuchung epigenetischer Faktoren**, die eine Autoimmunerkrankung, besonders bei Patient:innen mit einem variablen Immundefektsyndrom (CVID), begünstigen. Obwohl CVID primär durch eine gestörte Antikörperproduktion gekennzeichnet ist, entwickeln einige Patient:innen Autoantikörper, die zu verschiedenen Autoimmunmanifestationen führen. Eine CVID tritt meist sporadisch auf, jedoch haben bis zu 30 % der Fälle eine monogene Ursache. Doch selbst bei Letzteren weisen die fehlende Penetranz und die variable Expressivität der identifizierten genetischen Varianten auf eine pathogene Relevanz anderer Faktoren wie Umwelt und epigenetische Veränderungen hin.

Im Gegensatz zu genetischen Mutationen sind epigenetische Modifikationen vererbbare Veränderungen der Genexpression, die nicht auf DNA-Sequenzänderungen beruhen, sondern durch DNA-Methylierung, Histon-Modifikationen und nicht codierende RNAs vermittelt werden. Diese Mechanismen fungieren als molekulare Schalter, die die Aktivität und Zellfunktion regulieren und durch Umwelteinflüsse gelenkt werden.

In diesem Teilprojekt wurden insbesondere deutliche Unterschiede in der DNA-Methylierung zwischen CVID-Patienten mit und ohne Autoimmunität festgestellt. Im Fokus stehen unter anderem Veränderungen in nicht-codierenden oder regulatorischen DNA-Bereichen, was auf komplexe Wechselwirkungen zwischen verschiedenen Genomteilen und anderen biologischen Molekülen hinweist.

Man ist zuversichtlich, epigenetische Biomarker zu finden, die Autoimmunerkrankungen bei diesen Patient:innen früh erkennen und vorhersagen können. Außerdem sollen neue Diagnoseverfahren und Therapien entwickelt werden, die auf epigenetische Veränderungen abzielen. Dies wird dazu beitragen, die Versorgung von Patient:innen mit Autoimmunerkrankungen zu verbessern.

#### Außerdem:

<u>Der Code des Lebens – der Wissenschaftspodcast von GHGA: Unser Immunsystem: Superheld mit Schwächen?</u>

Interviewgast: Prof. Dr. Bodo Grimbacher, Universitätsklinikum Freiburg, Centrum für Chronische Immundefizienz (CCI), GAIN-Verbund, 28.02.2025

Warum werden manche Menschen kaum krank, während andere ständig mit Infekten kämpfen? Kann man sein Immunsystem wirklich trainieren? Und was passiert, wenn es plötzlich den eigenen Körper angreift? In dieser Folge, passend zum Tag der Seltenen Erkrankungen, **spricht Prof. Dr. Bodo Grimbacher, über die komplexen Mechanismen unserer Immunabwehr, den Einfluss des Mikrobioms und seltene Autoimmunerkrankungen**.

Es wird zudem darüber berichtet warum Forschungsnetzwerke wie GAIN eine entscheidende Rolle spielen und warum ihre Förderung für die Entwicklung neuer Therapien so wichtig ist.

CTLA4-Insuffizienz: Rheumamittel kann bei seltener Erkrankung helfen

Eine Studie des GAIN-Verbunds, in: BMBF Gesundheitsforschung, Aktuelle Meldungen, 24.02.2025



**Verbund: CONNECT-GENERATE** 

Warum Autoimmunerkrankungen erneut entflammen können

Ein Beitrag unter Mitwirkung von Prof. Dr. Frank Leypoldt, CONNECT-GENERATE in: BMBF Newsletter Gesundheitsforschung Nr. 117, April 2025

Manche Immunzellen können sich der Therapie von Autoimmunerkrankungen entziehen, indem sie sich "unsichtbar" machen. Forschende sind ihnen dennoch auf die Spur gekommen – und **entdeckten so eine neue Ansatzstelle für die Behandlung**.



**Verbund: NEOCYST** 

Videoprojekt: Aufklärung mit und für Betroffene

Seit Gründung im Jahr 2016 widmet sich der NEOCYST-Forschungsverbund der umfassenden Erforschung seltener, erblicher, renaler Zilienerkrankungen im Kindesalter.

Ein zentrales Projekt hat sich der **Erstellung einer Videoreihe gewidmet**, die sich sowohl an **Betroffene als auch an Angehörige richtet**. Im Rahmen von NEOCYST steht der Mensch im Mittelpunkt – insbesondere die Patient:innen sowie deren Familien. Ziel ist es, Aufklärung nicht nur medizinisch fundiert, sondern auch persönlich und verständlich zu gestalten.

Für die vier Erkrankungen Nephronophthise, Bardet-Biedl Syndrom, Autosomal-rezessive polyzystische Nierenerkrankung und HNF1B Nephropathie wurden jeweils zwei Videos gedreht: Zunächst erklären klinische Expert:innen die Erkrankung in leicht verständlicher Sprache. In den zweiten Videos berichten Betroffene und Angehörige offen über ihren Alltag, ihre Erfahrungen mit Diagnose und Therapie sowie Herausforderungen und Hoffnungen, die mit der Erkrankung einhergehen.

Diese **Kombination aus fachlicher Information und persönlichen Einblicken** schafft nicht nur mehr Verständnis für diese Seltenen Erkrankungen, sondern gibt anderen Betroffenen Mut. **Die Videos zeigen: Ihr seid nicht allein**. Die aktive Einbeziehung von Patient:innen macht sie zu einem wichtigen Teil der Aufklärung – aus ihrer Perspektive heraus wird spürbar, was es bedeutet, mit einer Seltenen Erkrankung zu leben. Die Videos sind für alle frei zugänglich – sowohl auf der <u>NEOCYST-Website</u> als auch auf dem <u>NEOCYST-You-Tube-Kanal</u>.

#### Außerdem:

# Grafiken zu seltenen Nierenerkrankungen

Im Rahmen einer Aktion von Research for Rare hat der Grafiker Manuel Recker in Zusammenarbeit mit dem Verbund NEOCYST eine Reihe leicht verständliche, kindgerechte Illustrationen zu seltenen Nierener-krankungen mit den wichtigsten Krankheitsmerkmalen erstellt (zum Download).





# Verbund MyPred

Ziel von MyPred ist die Entwicklung von Früherkennungs- und Behandlungsstrategien für junge Menschen mit einer genetischer Prädisposition für myeloische Neoplasien. Dazu gehören: akute und chronische Leukämien, myelodysplastische Syndrome und transiente abnormale Myelopoese bei Morbus Down.

Die MyPred Projekte decken verschiedene Phasen von der genetischen Veranlagung über die prämaligne Entwicklung bis hin zur malignen Erkrankung ab. Um diese Stadien zu erforschen werden experimentelle Modelle benötigt, die den Krankheitsverlauf bei Patient:innen widerspiegeln. Über die **Erforschung eines Modells für die juvenile myelomonozytäre Leukämie,** einer seltenen und sehr aggressive myeloische Neoplasie, die im frühen Kindesalter auftritt, berichten wir in der Zusammenfassung des <u>Research for Rare Paper of the Quarter (zur Publikation)</u>.

Für ein weiteres **Prädispositionssyndrom**, **das GATA2 Syndrom**, wurden von der MyPred Arbeitsgruppe um Prof. Erlacher ebenfalls kürzlich zwei Mausmodelle und ein zellbasiertes Modell etabliert und charakterisiert.

GATA2 ist ein Transkriptionsfaktor, der essentiell für die Regulation der Blutbildung ist. Funktioniert dieser nicht richtig, hat das schwere Störungen bei der Blutbildung und ein erhöhtes Risiko für ein myelodysplastisches Syndrom und eine akute myeloische Leukämie zur Folge. Die Modelle spiegeln die hämatologischen Phänotypen von Patient:innen mit GATA2 Syndrom wider. Mit Hilfe der Modelle konnten die Schritte zur Entwicklung einer Leukämie gezeigt werden. Der Entstehung der Leukämie ging immer ein schweres Knochenmarkversagen voraus. Im Krankheitsverlauf wurde eine erhöhte Expression von Myc-Zielgenen und genomische Instabilität beobachtet (zur Publikation).



# Aus den Verbünden

# Paper of the Quarter

Jedes Quartal kürt Research for Rare Publikationen aus dem Kreis der Forschungsverbünde und präsentiert Zusammenfassungen. Alle Publikationen der Verbünde finden Sie hier.

## Quartal I/2025



The severity of SLC1A2-associated neurodevelopmental disorders correlates with transporter dysfunction

EBioMedicine. 2025 Apr;14:105648

Peter Kovermann, Allan Bayat, Christina D Fenger, Lisette Leeuwen, Artem Borovikov, Artem Sharkov, Virginie Levrat, Gaetan Lesca, Laurence Perrin, Jonathan Levy, Christoph Fahlke, Rikke S Møller, Anders A Jensen

Zur Kurzzusammenfassung



Oncogenic and microenvironmental signals drive cell type specific apoptosis resistance in juvenile myelomonocytic leukemia

Cell Death Dis. 2025 Mar 8;16(1):165

Naile Koleci, Ying Wu, Niels Anton Wehner, Jovana Rajak, Venugopal Rao Mittapalli, Julia Mergner, Hui Xiao, Jun Wang, Madeleine Wahl, Sheila Bohler, Konrad Aumann, Georg Häcker, Senthilkumar Ramamoorthy, Melanie Boerries, Susanne Kirschnek, Miriam Erlacher Zur Kurzzusammenfassung



The intestinal microbiome and metabolome discern disease severity in cytotoxic T-lymphocyte-associated protein 4 deficiency

Microbiome. 2025 Feb 11;13(1):51

Prabha Chandrasekaran, Máté Krausz, Yu Han, Noriko Mitsuiki, Annemarie Gabrysch, Christina Nöltner, Michele Proietti, Theo Heller, Caroline Grou, Virginie Calderon, Poorani Subramanian, Drew R Jones, Yik Siu, Clayton Deming, Sean Conlan, Steven M Holland, Julia A Segre, Gulbu Uzel, Bodo Grimbacher, Emilia Liana Falcone

Zur Kurzzusammenfassung



#### Spectrum of Clinical and Imaging Features of Children With GFAP Astrocytopathy

Neurol Neuroimmunol Neuroinflamm. 2025 Jan;12(1):e200327

Simon Sommer, Andreas Panzer, Annikki Bertolini, Robert Cleaveland, Vivek Jain, Tugba Kapanci, Ute Derichs, Tobias Geis, Axel Neu, Christa Löhr-Nilles, Rahel Aeschimann-Huhn, Marina Flotats-Bastardas, Kumaran Deiva, Thais Armangue, Gemma Olivé-Cirera, Sudheeran Kannoth, Anne Koy, Hadas Meirson, Aviva Fattal-Valevski, Esther Ganelin-Cohen, Heike Losch, Annacarin Horne, Ronny Wickström, Justina Dargvainiene, Frank Leypoldt, Kevin Rostasy

Zur Kurzzusammenfassung



## Quartal IV/2024

Re-envisioning genetic predisposition to childhood and adolescent cancers

Nat Rev Cancer. 2025 Feb;25(2):109-128. Epub 2024 Dec 3.

Christian P Kratz

Zur Kurzzusammenfassung



## **Ecologically sustainable benchmarking of AI models for histopathology**

**NPJ Digit Med.** 2024 Dec 24;7(1):378.

Yu-Chia Lan, Martin Strauch, Pourya Pilva, Nikolas E J Schmitz, Alireza Vafaei Sadr, Leon Niggemeier, Huong Quynh Nguyen, David L Hölscher, Tri Q Nguyen, Jesper Kers, Roman D Bülow, Peter Boor

Zur Kurzzusammenfassung



<u>Urinary Dickkopf-3 Reflects Disease Severity and Predicts Short-Term Kidney Function Decline in Renal Ciliopathies</u>

Kidney Int Rep. 2024 Oct 10;10(1):197-208.

Mareike Dahmer-Heath, Joachim Gerß, Danilo Fliser, Max Christoph Liebau, Thimoteus Speer, Anna-Katharina Telgmann, Kathrin Burgmaier, Petra Pennekamp, Lars Pape, Franz Schaefer, Martin Konrad, Jens Christian König, NEOCYST Consortium Zur Kurzzusammenfassung

## **VERANSTALTUNGEN**



## NAKSE 2025 - Nationale Konferenz zu Seltenen Erkrankungen

18.-19.09.2025, Berlin und online

Registrierung



The Translational Science of Rare Diseases - From Rare to Care V

22.-24.04.2026, Evangelische Akademie Tutzing

Mehr Infos / Programm: <a href="https://symposium.research4rare.de/">https://symposium.research4rare.de/</a>

Registrierung



**3rd Channelopathy Meeting** 

23.-25.09.2025, Universitätsklinikum Tübingen

Mehr Infos: https://treat-ion.de/events/



Internationales HiChol-Symposium

23.-25.01.2026, Magdeburg

Mehr Infos folgen: https://www.hichol.de/

#### **AUSSCHREIBUNGEN**

### 18. Eva Luise Köhler Forschungspreis für Seltene Erkrankungen

Um die medizinische Versorgung der "Waisen der Medizin" zu verbessern, schreibt die Eva Luise und Horst Köhler Stiftung in Kooperation mit ACHSE e. V. seit 2008 einen Forschungspreis für Seltene Erkrankungen aus. Der Preis ist mit 50.000 Euro dotiert und würdigt innovative, wissenschaftlich herausragende Projekte, sowohl aus der Grundlagenforschung als auch der translationalen Forschung zu Seltenen Erkrankungen. Er richtet sich an Forschende aller Karrierestufen. Besonders preiswürdig sind nachhaltige, krankheitsübergreifende und forschungsvernetzende Projekte von hoher Patientenrelevanz. **Bewerbungsfrist: 07.09.2025.**Weitere Infos und Antragsformulare

# **VERSCHIEDENES**

### Eva Luise und Horst Köhler Stiftung: Eva Luise Köhler Forschungspreis & Annerkennungspreis 2025

Der diesjährige Forschungspreis geht an Prof. Dr. Didier Stainier, Dr. Christopher Dooley und Lara Falcucci (Max-Planck-Institut für Herzund Lungenforschung) und würdigt einen innovativen Therapieansatz für Duchenne-Muskeldystrophie. **Dr. Isabell Cordts (TU München)** und Prof. Dr. Thomas Klopstock (LMU Klinikum, LMU München) erhalten einen zusätzlichen Anerkennungspreis für innovative Diagnostik neuromuskulärer Erkrankungen (Projekt: DEtecting genetic Causes Of rare motor neuron DiseasEs – Decode-MND).

Die Forschungspreisverleihung fand im Rahmen des **9. Rare Disease Symposiums "Precision Medicine for Rare"** der Eva Luise und Horst Köhler Stiftung am 20. Juni 2025 in Berlin statt. Ein Rückblick zu den spannenden Fachbeiträgen und Diskussionen dieser Veranstaltung findet sich <u>hier</u>.

# Der Code des Lebens - der Wissenschaftspodcast von GHGA (Deutsches Humangenom-Phänomarchiv)

Zum Tag der Seltenen Erkrankungen, 28.02.2025: <u>38. Episode: Unser Immunsystem: Superheld mit Schwächen?</u> *Im Interview: Prof. Dr. Bodo Grimbacher / GAIN* 

## Impressum und Kontakt:

Koordinierungsstelle der Forschungsverbünde 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 www.research4rare.de