



DGM

Deutsche Gesellschaft
für Muskelkranke e.V.

Informationen

aus dem Bereich

Forschung und Forschungsförderung
der DGM

im Jahre **2014**



Deutsche Gesellschaft für Muskelkranke e.V. DGM

Im Moos 4

79112 Freiburg

Tel. 07665 9447-0

Fax 07665 9447-20

E-Mail: info@dgm.org

Internet: www.dgm.org

Inhalt:

1. Vorbemerkungen
 2. Geförderte Projekte im Jahre 2014
 3. ENMC – Workshops
 4. Forschungspreise 2014
 5. Projektberichte (Auszüge aus dem Muskelreport)
-

1. Vorbemerkungen

Die Deutsche Gesellschaft für Muskelkranke e.V. konnte im Jahr 2014 für Forschung und Forschungsförderung eine Gesamtsumme von 297.913,82 Euro ausschütten.

Als Deutsche Gesellschaft zur Bekämpfung der Muskelkrankheiten wurde die DGM 1965 gegründet. So war es von Anfang an eines der Kernziele der Gesellschaft, die Erforschung der neuromuskulären Erkrankungen voran zu bringen, um den betroffenen Menschen „Mut zur Zukunft“ zu vermitteln.

Dies geschieht vor allem durch

- die Vergabe von Forschungsgeldern an ausgesuchte und geprüfte Projekte
- die aktive Mitarbeit im ENMC (European Neuro Muscular Center)
- die jährliche Vergabe von Forschungspreisen
- die aktive Mitarbeit zur Vernetzung der auf dem Gebiet der neuromuskulären Erkrankungen tätigen Ärzte und Wissenschaftler

Die Forschungsförderung ist eines der vier satzungsgemäßen Ziele der Deutschen Gesellschaft für Muskelkranke e.V. – DGM. Die anderen sind Information (der Betroffenen und der Fachöffentlichkeit), Beratung (der Betroffenen und deren Angehörigen) und Vertretung im gesundheitspolitischen Bereich.

2. Geförderte Projekte im Jahre 2014

Zu zwei Stichtagen, dem 15.2. und dem 15.8., wurden Anträge angenommen.

Zum ersten Stichtag am 15.02.2013 lagen 5 Anträge vor.

4 Anträge wurden direkt für unterstützungswürdig erachtet.

1 Projekt wurde nachgefragt und dann ebenfalls positiv beurteilt.

Zum o.g. Stichtag konnte, die späteren Bewilligungen eingerechnet, eine Gesamtsumme von 66.000,00 EUR bewilligt werden.

Die geförderten Projekte in alphabetischer Reihenfolge:

1. Dr. Carla Merkel, PD Dr. Cornelia Kornblum und PD Dr. Martina Minnerop, Universitätsklinikum Bonn
20.000,00 €
„Hirnmorphologische Veränderungen bei Myotoner Dystrophie Typ 1 und Typ 2“
2. Prof. Dr. med. Rolf Schröder, Prof. Dr. phil. Dieter O. Fürst und Prof. Dr. Harald Herrmann, Universitätsklinikum Erlangen
5.000,00 €
„Sachbeihilfe für Molecular Insight into Muscle Function and Protein Aggregate Myopathies Internationales Meeting 13.-16.06.14 Potsdam“
3. Prof. Dr. med. Werner Stenzel, Prof. Dr. med. Hans-Hilmar Goebel und PD Dr. med. Arpad von Moers, Charité Universitätsmedizin Berlin
20.000,00 €
„Finanzielle Förderung des 19th International Congress of the World Muscle Society“
4. Prof. Dr. med. Maggie C. Walter, Prof. Dr. med. Rudolf A. Kley, Dr. med. Ralf Bauer und Prof. Dr. med. Rolf Schröder, Ludwig-Maximilians-Universität, München
20.000,00 €
„Etablierung eines (inter-)nationalen Registers für Protein-Aggregations-Myopathien“
5. Dr. Lilli Winter, Universitätsklinikum Erlangen
1.000,00 €
„Finanzielle Unterstützung für Kongressreise "13th International Congress on Neuromuscular Diseases - ICNMD"“

Zum zweiten Stichtag am 15.08.2013 lagen 10 Anträge vor.
8 Anträge wurden positiv beurteilt.
2 Anträge wurden abgelehnt.

Zum o.g. Stichtag wurde eine Gesamtsumme von 112.500,00 EUR bewilligt.
Die geförderten Projekte in alphabetischer Reihenfolge:

1. Dr. med. Dr. rer. nat. Yves Allenbach, Prof. Dr. med. Werner Stenzel, Charité
Universitätsmedizin Berlin
12.500,00 €
*„Ursachen der Muskelfasernekrosen bei autoimmuner nekrotisierender
Myopathie“*
2. PD Dr. med. Dr. rer. nat. Kristl Claeys, Universitätsklinikum der RWTH Aachen
15.000,00 €
*„Identifizierung von INF2-Genmutationen und Genotyp-Phänotyp-Korrelationen
bei Patienten mit Hereditärer Motorischer und Sensibler Neuropathie und Fokaler
Segmentaler Glomerulosklerose“*
3. PD Dr. med. Dirk Fischer, Universitätskinderhospital Basel
10.000,00 €
*„Randomised placebo controlled efficacy and biomarker trial of L-citrulline and
metformin in Duchenne´s muscular dystrophy“*
4. Prof. Dr. med. Susanne Petri, PD Dr. med. Florian Wegner, Medizinische
Hochschule Hannover
20.000,00 €
*„Funktionelle Analyse von patientenspezifischen induzierbaren pluripotenten
Stammzellen als humanes in vitro Modell der Amyotrophen Lateralsklerose (ALS)“*
5. Josefine Radke, Prof. Dr. Werner Stenzel, Charité – Universitätsmedizin Berlin
10.000,00 €
*„Molekulare Mechanismen zur Entstehung ektooper B-Zell-follikelartiger
Strukturen im Kontext der Dermatomyositis (DM)“*
6. Dr. Frank Suhr, Deutsche Sporthochschule Köln
15.000,00 €
*„Skelettmuskuläre Minderbelastung als physiologisches Modell für
neuromuskuläre Erkrankungen im humanen und murinen Skelettmuskel -
Regulation definierter Mechanosensoren und Hernhüllen-Proteinen“*
7. Dr. med. Stephan Wenninger, Prof. Dr. med. Benedikt Schoser, Friedrich-Baur-
Institut München
20.000,00 €
*„OPTIMISTIC - Observational Prolonged Trial in Myotonic Dystrophy type 1 to
Improve Quality of Life Standards, a Target Identification Collaboration“*

8. Dr. rer. nat. Lilli Winter, Prof. Dr. med. Rolf Schröder, Prof. Dr. med. Leena Bruckner-Tudermann, Dr. med. Dimitra Kiritsi, Universitätsklinikum Erlangen
10.000,00 €
„4-Phenylbutyrat-Behandlung von Plectin-abhängiger Epidermolysis bullosa simplex mit Muskeldystrophie (EBS-MD): Erstellung eines Studienprotokolls zur klinischen Prüfung“

Außerdem wurden die folgenden Forschungskonferenzen und -symposien finanziell unterstützt:

- Finanzielle Unterstützung für Kongressreise "13th International Congress on Neuromuscular Diseases – ICNMD“
- Sachbeihilfe für Molecular Insight into Muscle Function and Protein Aggregate Myopathies Internationales Meeting 13.-16.06.14 Potsdam (siehe auch geförderte Projekte Stichtag 15.02.2014)

Darüber hinaus fördert die „Initiative Forschung und Therapie für SMA“, die unter dem Dach des Fördervereins der Deutschen Gesellschaft für Muskelkranke e.V. beheimatet ist, Projekte auf dem Gebiet der Erforschung der Spinalen Muskelatrophie.

Im Jahre 2014 wurden 61.392,00 EUR vergeben.

Die Beträge gingen an:

1. 2 Reisestipendien zum FSMA-Kongress 2014 in Washington, USA
 - a. Eva Janzen, Köln
 - b. Dr. Raoul Heller, Köln2.642,00 EUR
2. SMA Europe e. V. Förderung von Eduardo Tizzano, Institut de Recerca del'Hospital de la Santa Creu I Sant Pau, Barcelona
„Modulating SMN2 splicing with dual inhibitors of Sam68 and hnRNP A1: A novel Therapeutic approach for Spinal Muscular Atrophy“
38.750,00 EUR (1. Rate)
3. SMA Europe e.V. Förderung von Martine Burkats, INSERM-OPMC-Institut de Myologie, Paris
„Optimization of AAV9-SMN gene therapy for SMA“
20.000,00 EUR (2. Rate)

3. ENMC – Workshops

Das European Neuromuscular Center ist ein Zusammenschluss, der den Austausch von Wissenschaftlern auf europäischer und internationaler Ebene in Form von Workshops organisiert. Die DGM unterstützt dies mit einem Jahresbetrag in Höhe von 30.000 EUR. Als Vollmitglied ist die DGM im Executive Committee (EC) durch das Vorstandsmitglied Dr. Arpad von Moers vertreten. ENMC wurde Mitglied des orphanet und ist der TREAT-NMD Allianz beigetreten.

Im Jahr 2014 wurden 6 Workshops organisiert:

Monat / Workshopnummer / Titel

Feb	204	Biomarkers in DMD
Apr	205	Pathology Diagnosis of Idiopathic Inflammatory Myopathies
May	206	Adults with DMD
Jul	207	Chronic respiratory insufficiency in Myotonic Dystrophies: management and implications for research
Oct	208	Formation of a European network to develop a European data sharing model and treatment guidelines for Pompe disease
Nov	209	SMA outcomes and clinical trial readiness

Die Workshopberichte finden Sie auf der Seite: www.enmc.org

4. Forschungspreise 2014

Die Deutsche Gesellschaft für Muskelkranke e.V. vergibt Forschungspreise in drei Kategorien.

Der **Junior-Preis** der Deutschen Gesellschaft für Muskelkranke e.V., gestiftet von der Temmler Pharma GmbH & Co KG, ist mit 2.500 EUR dotiert und wird jährlich vergeben.

Dieser Preis soll der Förderung der Forschung auf dem Gebiet der neuromuskulären Erkrankungen dienen, insbesondere auf dem Gebiet der Myasthenie. Er wurde im Jahr 2004 erstmals ausgeschrieben.

Der **Felix-Jerusalem-Preis**, gestiftet von der Firma Sanofi-Aventis Deutschland GmbH, wird in der Regel in drei Stufen verliehen. Der 1. Preis ist mit 7.500 EUR dotiert, der 2. Preis mit 5.000 EUR und der 3. Preis mit 2.500 EUR. Er wird ebenfalls jährlich vergeben.

Dieser Preis soll der Förderung der Forschung auf dem Gebiet der neuromuskulären Erkrankungen, insbesondere der Amyotrophen Lateralsklerose, im deutschsprachigen Raum dienen. Mit ihm sollen jüngere Forscher für Verdienste bei der Erforschung von Pathomechanismen und für objektiv nachvollziehbare Therapieerfolge bei allen Arten von neuromuskulären Erkrankungen ausgezeichnet werden. Besonders sollen dabei Arbeiten zur Untersuchung der Ätiologie und Pathogenese der Amyotrophen Lateralsklerose sowie zu neuen diagnostischen Methoden bei dieser Erkrankung gewürdigt werden, die sich mit der interdisziplinären Betreuung von ALS-Patienten befassen.

Der **Duchenne-Erb-Preis** der Deutschen Gesellschaft für Muskelkranke ist der höchstrangige Preis, der von der DGM verliehen wird. Mit ihm sollen Wissenschaftler geehrt werden, die durch ihren jahrelangen Einsatz in der Erforschung der neuromuskulären Erkrankungen Herausragendes geleistet haben. Er wird alle zwei Jahre vergeben und ist mit 12.500 EUR dotiert. Die nächste Preisvergabe wird 2015 sein.

Die Preisträger des Jahres 2014:

Der **Felix-Jerusalem-Preis** für neuromuskuläre Erkrankungen der Deutschen Gesellschaft für Muskelkranke e. V., gestiftet von der Firma Sanofi-Aventis Deutschland GmbH, erhielten folgende Wissenschaftler. 2014 wurden ein 1. Preis und zwei 2. Preise vergeben.

1. Preis PD Dr. Cornelia Kornblum, Bonn 7.500,00 EUR

Arbeiten zu mitochondrialen Erkrankungen, besonders zu der klinisch-phänotypischen und genetischen Charakterisierung einer besonderen Form einer chronisch-progressiven externen Ophthalmoplegie

2. Preis Prof. Dr. Rudolf Kley, Bochum 3.750,00 EUR

Publikationen, die sich mit der Pathogenese von myofibrillären Myopathien – insbesondere Filaminopathie und Desminopathie befassen

2. Preis Prof. Dr. Maggie Walter, München, Prof. Dr. Eckhard Wolf, München,
Dr. Nikolai Klymiuk 3.750,00 EUR

Gemeinsames Projekt „Dystrophin-deficient pigs provide new insights into the hierarchy of physiological derangements of dystrophic muscle“

Junior-Preis, gestiftet von der Firma Temmler GmbH & Co KG

Frau Dr. Lilli Winter, Erlangen, 2.500,00 EUR

Publikationen mit dem Schwerpunktthema Plectin und Plectinopathien

5. Projektberichte

Im Folgenden finden Sie Auszüge aus unserer Verbandszeitschrift, dem Muskelreport.