

# Förderung der Forschung im Bereiche der seltenen Krankheiten Rolle privater Stiftungen

Jacques Rognon, Cortaillod

Übersetzung: Rudolf Schlaepfer, La Chaux-de-Fonds

## Einführung

Die medizinische Forschung wird im Wesentlichen durch Universitäten, Technische Hochschulen, Nationalfonds zur Förderung der wissenschaftlichen Forschung, pharmazeutische Firmen und einige private Stiftungen finanziert. Für die seltenen Krankheiten, deren Prävalenz unter 1:2000 liegt, ist der finanzielle Beitrag von Universitäten und pharmazeutischen Firmen spärlich. Die Rolle privater Stiftungen ist deshalb für die Förderung der Forschung in dieser Kategorie Krankheiten wesentlich.

Die Entwicklung der vor 28 Jahren gegründeten Schweizerischen Stiftung für die Erforschung der Muskelkrankheiten (SSEM) ist ein interessantes Beispiel für die Rolle, die eine private Stiftung bei der Förderung der Forschung in einem so lange Zeit vernachlässigten Bereich spielen kann.

## Gründung und Entwicklung der SSEM

### Entstehung und Ziele der Stiftung

Die Myopathien oder neuromuskulären Krankheiten gehören zu den seltenen Krankheiten, d.h. zu den Krankheiten, die weniger als einen Menschen auf 2000 betreffen. Man zählt in der Schweiz etwa 10000 Kranke. Am bekanntesten sind die Muskeldystrophie Duchenne und die spinale Muskelatrophie. Diese Krankheiten sind angeboren, fortschreitend und heute noch unheilbar.

1982 erfuhr Jacques Rognon, dass seine beiden Knaben an einer Myopathie litten. Er stellte fest, dass die Forschung in diesem Bereich lange Zeit vernachlässigt wurde, und gründete deshalb vor 28 Jahren, mit Hilfe seiner Frau und einiger Freunde, die Schweizerische Stiftung für die Erforschung der Muskelkrankheiten (SSEM) [www.fsrm.ch](http://www.fsrm.ch). Zweck der Stiftung ist es, in der Schweiz die wissenschaftliche Erforschung der Muskel-

krankheiten im Kindes- und Erwachsenenalter zu fördern. Zu diesem Zweck stellt sie in erster Linie Stipendien für Forscher auf diesem Gebiet zur Verfügung. Sie kann des Weiteren wissenschaftliche Tätigkeiten durch andere Mittel materiell unterstützen.

### Organe Stiftungsrat

Die Stiftung wird durch einen Stiftungsrat verwaltet, der zweimal jährlich tagt. Er ist für die finanzielle und administrative Verwaltung, die Suche nach finanziellen Mitteln und die Wahl der vom wissenschaftlichen Rat vorgeschlagenen Stipendiaten verantwortlich. Er besteht aus etwa 15 Persönlichkeiten aus den drei schweizerischen Sprachregionen, die Wissenschaft, Wirtschaft und Politik vertreten.

### Wissenschaftlicher Rat

Der wissenschaftliche Rat tagt einmal jährlich. Er ist für Beurteilung und Auswahl der Arbeiten, die zum Erhalt eines Stipendiums eingereicht werden, verantwortlich. Der wissenschaftliche Rat besteht aus prominenten Fachleuten der Grundlagen- und klinischen Forschung an Schweizer Universitäten.

Die Zusammensetzung der beiden Räte kann auf der Website [www.fsrm.ch](http://www.fsrm.ch) eingesehen werden.

### Geldmittel

Da die Stiftung nicht über eine Anfangsschenkung verfügte, musste sie aktiv nach Geldmitteln suchen. Sie wird durch Wirtschaft, Stiftungen, Lotterien und Privatpersonen getragen. Seit 1989 wird sie durch die Stiftung Telethon unterstützt, eine breitangelegte karitative Aktion die einmal jährlich Tausende freiwilliger Helfer mobilisiert. Telethon ist mit 75% die hauptsächliche Geldquelle unserer Stiftung. Da Telethon in der deutschen Schweiz wenig bekannt ist, stammt der grösste Teil der Geldmittel zweifellos aus der Romandie und dem Tessin.

## Aktivitäten

Hauptaufgabe der Stiftung ist das Zuteilen von Forschungsstipendien und die finanzielle Unterstützung von Seminaren. Dank der im Wesentlichen ehrenamtlichen Tätigkeit konnten die Verwaltungsspesen mit ungefähr 7% sehr tief gehalten werden.

## Stipendien

Seit ihrer Gründung hat die SSEM 66 Forscher aller medizinischen Fakultäten unseres Landes für einen Gesamtbetrag von 22 Millionen CHF unterstützt. Ende 2012 hat sie das 128. Stipendium zugeteilt. Das Verzeichnis der Stipendiaten findet sich unter [www.fsrm.ch](http://www.fsrm.ch). Die wichtigsten von der SSEM unterstützten Forschungsthemen sind:

- New therapy approaches for limb-girdle muscular dystrophy 2D and 2B (groups M. Sinnreich and M. Jacon).i).
- Disease mechanisms and potential therapies for congenital muscle dystrophies (group M. Rüegg and Santhera Pharmaceuticals).
- Therapy approaches for spinal muscular atrophy (groups D. Schümperli and F. Allain).
- Potential treatments and efficacy studies for Duchenne's and Becker's Muscular dystrophies (groups T. Wallimann and U. Ruegg).
- New diagnostic tools for muscular dystrophies (group W. Z'Graggen).
- Skeletal muscle function and repair, cell therapy (groups L. Bernheim, S. Treves, C. Handschin, P. Sonderegger, N. Mermoud).

Obwohl die Finanzierung der Stiftung im Wesentlichen durch die französisch- und italienischsprachige Schweiz getragen wird, folgt die Zuteilung der Stipendien ausschliesslich Qualitätskriterien und dem Interesse, das die betreffende Universität den Myopathien entgegenbringt. Abbildung 1 illustriert dies unzweideutig.

## Aktivitäten der Stiftung auf nationaler und internationaler Ebene

### Unterstützung der Firma Santhera pharmaceutical

Die Stiftung hat in den Jahren 2002 und 2003 beschlossen, diese Start-up, die im Bereiche der seltenen Krankheiten tätig ist und durch einen ehemaligen Stipendiaten der SSEM gegründet wurde, zu fördern. Dazu hat sie einen

Betrag investiert, der 25% ihrer Reserven darstellt. Santhera ist auf folgenden Gebieten tätig: Friedreich'sche Ataxie, Duchenne Dystrophie, eine zu Sehbeeinträchtigung führende Neuropathie (Leber's Hereditary Optic Neuropathy) und eine Dyskinesie bei Patienten mit Parkinson'scher Krankheit.

### Schaffung eines Lehrstuhles für Myologie

In allen schweizerischen Abteilungen für Neurologie beschäftigt man sich mit neuromuskulären Krankheiten, jedoch ohne entsprechenden Lehrstuhl. Unter dem Impuls von Myosuisse, die zwei schweizerische Myopathievereinigungen und die SSEM zusammenfasst, hat die Universität Basel 2009 einen Lehrstuhl geschaffen, dessen Inhaber Michael Sinnreich ist. Myosuisse beschloss deshalb, der Universität Basel während drei Jahren eine jährliche Summe von CHF 200'000.- zuzuteilen.

### Organisation von Seminarien

Es ist wichtig, dass die durch die Stiftung unterstützten Forscher sich treffen und Forschungsergebnisse austauschen können. Die Stiftung veranstaltet denn auch alle zwei Jahre in Magglingen ein zweitägiges Seminar, das jeweils an die 60 Forscher vereint. Die Stiftung unterstützt auch nationale und internationale Seminare, die durch die schweizerischen medizinischen Fakultäten veranstaltet werden. Seit ihrer Gründung hat die SSEM CHF 246'000.- für Seminare aufgewendet. Das Verzeichnis dieser Seminare finden Sie ebenfalls auf der Website [www.fsrmm.ch](http://www.fsrmm.ch).

### Beteiligung an der Schaffung eines Patientenregisters

In seiner letzten Entwicklungsphase muss ein Medikament klinischen Tests unterzogen werden. Im Falle seltener Krankheiten ist die Rekrutierung von freiwilligen Patienten eine schwierige Aufgabe, die nur in internationaler Zusammenarbeit gelöst werden kann. Patientenregister wurden in Europa im Rahmen des Programmes TREAT-NMD erstellt, das von 2007 bis 2011 durch europäische Fonds finanziert wurde. Die beiden ersten Register betreffen die Duchenne/Becker Dystrophie und die spinale Amyotrophie. Die Schweiz beteiligt sich an der Erstellung dieser Register, verantwortlich zeichnen P.-Y. Jeannot und C. Blotzer, Lausanne und A. Klein, Zürich.

Um das Fortdauern der beiden Register in der Schweiz zu garantieren und neue Register von Myopathien zu schaffen, hat Myosuisse die SSEM mit dieser Aufgabe beauftragt.

### Beteiligung am European Neuro Muscular Centre (ENMC)

Dieses Zentrum in Holland organisiert jährlich ein Dutzend Seminare für Spezialisten aus ganz Europa, die auf dem Gebiet der neuromuskulären Krankheiten forschen. Das Zentrum nimmt ebenfalls an europäischen Forschungsprogrammen teil. Die SSEM beteiligt sich an den Aktivitäten des Zentrums und hat das ENMC mit einem Betrag in der Höhe von CHF 716'000.- finanziert.

### Zukunft der Stiftung

Die Finanzierung des SSEM ist insofern gefährdet, als sie zu 75% von einer einzigen Quelle abhängt: dem Telethon. Zudem sind die finanziellen Reserven der SSEM in Hinblick auf die mittelfristig eingegangenen Verpflichtungen bescheiden. Es ist zu befürchten, dass der Elan des Telethon nach 26 Jahren einbricht. Die Kontakte mit den zahlreichen Telethonorganisatoren müssen intensiviert werden, damit diese wichtige finanzielle Ressource nicht versiegt. Es müssen jedoch auch neue Quellen gefunden werden, insbesondere in der deutschsprachigen Schweiz, wo Telethon wenig oder nicht bekannt ist (Schenkungen, Vermögensverwaltung, Stiftungen usw.). Wir stellen fest, dass es immer schwieriger wird, Sponsoren für Aktivitäten zu finden, die nicht medienträchtig sind, und das Mäzenatentum stirbt aus!

Nachwuchs zu finden, sei es für den Stiftungsrat als auch den wissenschaftlichen Rat ist nicht ganz einfach. Es ist heutzutage schwierig, Persönlichkeiten zu finden, die sich ehrenamtlich engagieren, damit Institutionen wie z. B. Stiftungen ihre Tätigkeit ausüben können. Die 2010 gegründete Schweizerische Allianz für seltene Krankheiten (ProRaris) sollte dazu beitragen, die seltenen Krankheiten in politischen Kreisen besser bekannt zu machen.

### Was braucht es, um eine Stiftung zu gründen?

Nach 28 Jahren Bestehen der SSEM kann es sinnvoll sein, zu analysieren, welche Zutaten notwendig sind, um das Funktionieren einer Stiftung zu garantieren, die tagtäglich ihre finanziellen Mittel sichern muss.

- Zuallererst muss man persönlich durch die Problematik betroffen sein.
- Die Mitglieder des Stiftungsrates müssen sorgfältig ausgewählt werden. In unserem Fall haben wir Persönlichkeiten aus Wissenschaft, Wirtschaft und Politik aus den drei Sprachregionen gefunden, die uns viele Türen öffnen.
- Es muss ein reiches Netzwerk an Beziehungen unterhalten und jede Gelegenheit genutzt werden, um die Stiftung bekannt zu machen.
- Um die Finanzierung zu garantieren, braucht es Kreativität und die Fähigkeit, sich den Bedürfnissen der Marktwirtschaft anzupassen. Das Mäzenatentum wird immer seltener und der Markt immer anspruchsvoller.

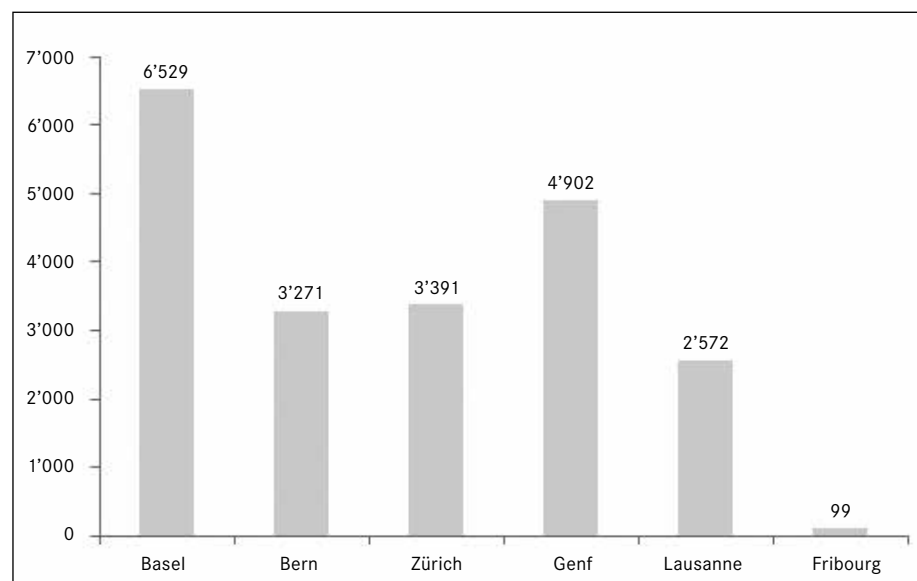


Abbildung 1: Verteilung der Stipendien an Schweizer Universitäten in Tausen CHF, Stand Dez. 2012

- Man muss Ausdauer haben und darf mit seiner Zeit nicht sparen!

### Schlussfolgerung

Seit 28 Jahren gibt die SSEM der medizinischen Forschung im Bereiche der neuromuskulären Krankheiten in der Schweiz wichtige Impulse. Sie förderte die Schaffung einer Forschergemeinde in diesem Spezialgebiet. Die Medizinische Fakultät der Universität Bern hat 2011 dem Gründer und Präsidenten der SSEM den Titel eines Doktors honoris causa verliehen, und damit der Anerkennung der akademischen Welt für die geleistete Arbeit Ausdruck gegeben.

Vor 28 Jahren beschränkte sich die Forschung im Wesentlichen auf Grundlagenforschung. Die Fortschritte von Genetik und Molekularbiologie erlaubten eine bessere Kenntnis dieser Krankheiten und öffneten therapeutische Möglichkeiten, die zu klinischen Versuchen führten. Diese Fortschritte erlaubten es auch, die Diagnostik wesentlich zu verfeinern. Diese Entwicklung führt aber auch zu einem steigenden Bedarf an Geldmitteln.

Anlässlich der Feier zum 25-jährigen Bestehen der SSEM am 13 Januar 2011 an der Eidgenössischen Technischen Hochschule in Lausanne unterstrich deren Präsident, Patrick Aebischer, die Bedeutung der privaten Stiftungen für die Förderung der Forschung im Bereiche der seltenen Krankheiten und wies auch auf die Motivation der Gründer der SSEM hin.

### Korrespondenzadresse

Dr. h.c. Jacques Rognon  
Président de la FSRMM  
Chemin des Jordils 4  
2016 Cortaillod/NE