

**Rede
von Frau Eva Luise Köhler
zur Verleihung des
Eva Luise Köhler Forschungspreises
für Seltene Erkrankungen
am 1. März 2010 in Berlin**

Sehr geehrter Herr Bundespräsident.

Königliche Hoheit,

sehr geehrte Gäste,

im Jahr 2006 wurde die Eva Luise und Horst Köhler Stiftung für Menschen mit Seltenen Erkrankungen ins Leben gerufen. Seit 2008 wird nun jährlich ein Preis verliehen, um die Erforschung eines innovativen, am Patientennutzen orientierten Projektes voranzutreiben. Das Preisgeld soll dabei den Preisträgern helfen, ein Forschungsvorhaben durchzuführen oder eine Anschubfinanzierung zu ermöglichen.

Königliche Hoheit, dass Sie heute an diesem Festakt teilnehmen, ist eine wunderbare Geste, und ich bedanke mich für Ihren Besuch. Mit Ihrer Anwesenheit an der heutigen Preisverleihung in Berlin bereiten Sie meinem Mann und mir eine besondere Freude. Ihre Rede hat uns allen Mut gemacht - allen voran den betroffenen Menschen. Ihre Worte zeigen, dass wir gemeinsam auf dem richtigen Weg sind: nämlich über Grenzen hinweg auf die Situation von Menschen aufmerksam zu machen, die von einer seltenen Erkrankung betroffen sind und diese Menschen zu unterstützen. Haben Sie herzlichen Dank für Ihr großes Engagement und dieses wichtige Signal.

Ich freue mich, dass in diesem Jahr die Ausschreibung auf besonders große Resonanz gestoßen ist – 60 Bewerbungen sind eingegangen – viele von ihnen mit förderungswürdigen Forschungsvorhaben. Diese Bewerbungen zeigen, wie dringend der Bedarf an Forschungsförderung ist, um ein besseres Verständnis von einzelnen seltenen Erkrankungen und deren Behandlungsmöglichkeiten entwickeln zu können.

Meine sehr geehrten Damen und Herren, im Mittelpunkt dieses Forschungspreises und der Entscheidung für den oder die Preisträger sollen die Patienten stehen: Welchen Nutzen können sie kurz-, mittel- und langfristig aus dem geförderten Projekt für die Behandlung ihres Leidens und für den Alltag mit ihrer Erkrankung ziehen? Wie nachhaltig sind die erwarteten Ergebnisse des Forschungsprojektes? Sind die Forscher national und international vernetzt, um bestehendes Wissen optimal zu nutzen, und neu gewonnenes mit Kollegen zu teilen? Gibt es krankheitsübergreifende Aspekte, die die Nutzung der Forschungsergebnisse für mehr als eine seltene Erkrankung ermöglichen?

Das Forschungsprojekt der diesjährigen Preisträger zeichnet sich insbesondere dadurch aus, dass es bei Erfolg zu einer schnellen Umsetzung im therapeuti-

schen Bereich kommen kann und damit für die Betroffenen ein unmittelbarer Nutzen besteht.

Sehr geehrte Frau Dr. Jurkat-Rott, sehr geehrter Herr Dr. Weber,
Ihr Forschungsprojekt ist der hypokaliämischen periodischen Paralyse gewidmet, einer Krankheit, zu deren Symptomen Muskellähmung gehört. Zwar ist die hypokaliämische periodische Paralyse die häufigste der primären periodischen Lähmungen – dennoch ist sie eine seltene Erkrankung.

Die Betroffenen leiden episodisch an Muskellähmungsattacken. Häufig treten diese Attacken in der zweiten Nachthälfte auf, so dass Arme und Beine am Morgen nicht bewegt werden können – der Erkrankte wacht auf und kann das Bett nicht verlassen. Im günstigen Fall dauert dieser Zustand ein paar Minuten oder Stunden – im ungünstigen deutlich länger. Mit zunehmendem Alter kann sich aus der vorübergehenden Muskelschwäche eine Dauerschwäche entwickeln. Dies durch Medikamentengabe zu verhindern, ist das Anliegen des in diesem Jahr ausgezeichneten Forschungsprojektes.

Frau Dr. Jurkat-Rott, Herr Dr. Weber, Sie wollen in Ihrem Projekt bereits zugelassene Medikamente einsetzen, die bei ähnlichen Krankheitsbildern erfolgreich angewendet werden. Ziel ist bei erfolgreicher Testung der zeitnahe sogenannte off-label-use, zu Deutsch, die zulassungsüberschreitende Anwendung von Arzneimitteln.

Dieses Verfahren hat im Bereich der Therapie seltener Erkrankungen einen enormen praktischen Vorteil, da insbesondere für seltene Indikationen häufig keine zugelassenen Medikamente verfügbar sind. Auch in Gebieten mit erfolgreicher Forschung hinkt der Zulassungsstatus der Präparate weit hinter den Therapiemöglichkeiten hinterher – für Betroffene ist das eine schlimme und aus der Perspektive ihres Leidens kaum zu begreifende Verzögerung: Ein Medikament existiert, es kann ihre Leiden lindern – aber sie können es nicht bekommen.

„Dieses ist meines Erachtens das Projekt, das im Rahmen der Möglichkeiten des Eva Luise Köhler Forschungspreises den höchsten Patientennutzen hat“ schreibt ein Gutachter ihres Projektantrages,

„Ausgezeichnete Vorarbeiten, sehr guter Antrag, innovativer Ansatz, optimale Verknüpfung von Ursachenforschung und Therapieentwicklung“ ein anderer,

„Gezielte Pathogeneseforschung mit guten Chancen für klinisch-therapeutische Konsequenzen“ ein Dritter.

Frau Dr. Jurkat-Rott, Herr Dr. Weber, man traut Ihnen also Einiges zu, und Sie machen den Menschen, die von hypokaliämischer periodischer Paralyse betroffen sind, Hoffnung.

Sehr geehrte Frau Dr. Jurkat-Rott, sehr geehrter Herr Dr. Weber, ich freue mich, Ihnen den Eva Luise Köhler Forschungspreis 2010 für Seltene Erkrankungen zu überreichen!

Herzlichen Glückwunsch!