

Die **NCL**-Stiftung

Forschung · Förderung · Fortbildung · Fundraising



Für eine Zukunft  
**ohne Kinderdemenz**

# SIE spenden, WIR helfen!



## Ihr Einsatz gegen die Kinderdemenz.

Rund 700 Kinder in Deutschland, weltweit ca. 70.000, leiden an der seltenen und unheilbaren Kinderdemenz NCL. Jedes Jahr gibt es mindestens 20 Neuerkrankungen allein in Deutschland.



## Sicherheit gewährleistet durch das Spendensiegel.

Seit 2006 ist die NCL-Stiftung Trägerin des DZI-Spendensiegels, dem Gütesiegel für seriöse Spendenorganisationen mit hohen Qualitätsstandards.



## Sie helfen weltweit.

Die NCL-Stiftung fördert nationale Forschungsprojekte und ist außerdem im Ausland aktiv, wie u.a. in Großbritannien, Luxemburg, Israel und den USA.



## Sie investieren in die Zukunft.

Seit 2002 setzt sich die NCL-Stiftung für Forschung und Aufklärung ein, um den betroffenen Kindern und ihren Familien eine Aussicht auf Therapien und Heilung zu geben. Wirtschaftspartner sowie zahlreiche internationale Mediziner\*innen und Wissenschaftler\*innen unterstützen uns dabei. Unterstützen auch Sie!



## Jede Spende hilft. Sofort.

Mit Ihrer Spende können Sie einen unmittelbaren Beitrag zur Forschungsförderung und Fortbildung leisten.



## Das NCL-Spendenkonto:

NCL-Stiftung  
IBAN: DE50 2005 0550 1059 2230 30  
BIC: HASPDEHHXXX (Hamburger Sparkasse)



## Die Onlinespende:

Online spenden können Sie sicher und unkompliziert auf der Internetseite [www.ncl-stiftung.de](http://www.ncl-stiftung.de).



## NCL-Stiftung

Holstenwall 10  
20355 Hamburg  
Telefon: +49 (0) 40 69 666 74-0  
Fax: +49 (0) 40 69 666 74-69  
E-Mail: [contact@ncl-stiftung.de](mailto:contact@ncl-stiftung.de)  
Internet: [www.ncl-stiftung.de](http://www.ncl-stiftung.de)  
[www.ncl-foundation.com](http://www.ncl-foundation.com)

# Inhaltsverzeichnis

<b>Vorwort des Stiftungsgründers</b>	<b>3</b>
<b>Grußworte</b>	<b>4</b>
<b>Leben mit Kinderdemenz</b>	<b>5</b>
<b>Was bedeutet NCL?</b>	<b>6</b>
<b>Die NCL-Stiftung</b>	<b>8</b>
<b>Forschung und Förderung</b>	<b>10</b>
Stand der Forschung	10
Fördermaßnahmen	11
Förderprojekte weltweit	13
Die NCL-Stiftung als Wissenszentrum	14
Indikations-übergreifende Forschung	16
<b>Fortbildung</b>	<b>18</b>
Für Mediziner*innen	18
NCL macht Schule	20
<b>Fundraising</b>	<b>22</b>
Aufklärungskampagnen	22
Benefizveranstaltungen	24
<b>Beratung und Ansprechpartner</b>	<b>26</b>

## Vorwort des Stiftungsgründers

*Menschen setzen sich vor allem dann für eine Sache ein, wenn sie persönlich betroffen sind. So geht es auch mir. Als Vater eines an NCL erkrankten Sohnes konnte und wollte ich nicht tatenlos zusehen, wie mir mein Kind von einer grausamen Laune der Natur von Tag zu Tag ein wenig mehr genommen wird. Ich wollte mich engagieren. Nicht nur für mein Kind, sondern auch für die anderen rund 700 NCL-Kinder in Deutschland und ihre Familien. Mithilfe einer Vielzahl von Unterstützern wollte ich eine Plattform für die Erforschung von NCL schaffen, die einen Austausch von Forschern, Ärzten und Laboren ermöglicht. Deshalb habe ich im August 2002 die NCL-Stiftung für eine Zukunft ohne Kinderdemenz ins Leben gerufen, deren Anliegen es ist, die breite Öffentlichkeit aufzuklären und aktiv Forschungsarbeiten auf dem NCL-Gebiet zu initiieren. Dies ist notwendig, da die „Kinderdemenz“ bis heute tödlich verläuft und für die meisten NCL-Formen keine konkreten Therapie- und Heilungsansätze vorliegen.*

*Das Team der NCL-Stiftung arbeitet täglich daran, eine Heilung von NCL möglich zu machen – ein Ziel, das in den vergangenen Jahren dank neuer Forschungsansätze und Studien in greifbare Nähe gerückt ist. Der Schwerpunkt der Stiftungsarbeit liegt auf der Initiierung und Co-Finanzierung von nationalen und internationalen Forschungsprojekten zusammen mit Universitäten und Forschungszentren. Der Ausbau des wissenschaftlichen Netzwerkes und Know-how-Transfers wird durch die Ausrichtung von NCL-Forschungskongressen forciert. Die NCL-Stiftung publiziert in Fachzeitschriften, hält Vorträge, richtet ärztliche Fortbildungen aus, entwickelt Schulungskonzepte und liefert Beiträge in Print-, TV- und Online-Medien.*

*Ohne den selbstlosen Einsatz aller Beteiligten und Spender wäre die Stiftung jedoch nicht in der Lage, diese wichtige Arbeit zu leisten. Daher möchte ich an dieser Stelle allen danken, die sich durch jede Form von Mithilfe, von finanzieller Zuwendung über tatkräftige Unterstützung vor Ort bis hin zur initiativen Berichterstattung in den Medien für die Stiftung eingesetzt haben. Dieses Engagement macht mir Hoffnung, das NCL in naher Zukunft geheilt werden kann.*

*Auf den folgenden Seiten möchten wir Ihnen die NCL-Stiftung näher vorstellen. Dafür haben wir für Sie Informationen über die Krankheit NCL, die Aufgabenbereiche der NCL-Stiftung sowie zu geförderten Forschungsprojekten zusammengestellt.*

**Dr. Frank Husemann**  
(Stiftungsgründer, Vorsitzender des Stiftungsrats)



©Ein Herz für Kinder



*Liebe Leserinnen und Leser,*

*die Krankheit NCL nimmt jungen Patientinnen und Patienten schleichend alles, was jedem von uns als selbstverständlich erscheint: die Fähigkeit zu sehen, zu sprechen, zu gehen, zu essen und zu denken. NCL lähmt langsam Geist und Körper.*

*Leider erhalten seltene chronische Erkrankungen – wie die Kinderdemenz NCL – bis heute noch zu wenig Aufmerksamkeit. Dies gilt sowohl für die direkte Unterstützung der Betroffenen als auch für die Finanzierung von Forschungsvorhaben. Um diese Anliegen voranzutreiben, habe ich die Schirmherrschaft über die ACHSE, der Allianz von Menschen mit chronischen seltenen Erkrankungen, übernommen. Denn die Betroffenen und ihre Familien brauchen dringend unsere Unterstützung. Das Ziel der gemeinnützigen NCL Stiftung, eine Zukunft ohne Kinderdemenz zu erreichen, steht beispielhaft für ehrenamtliches Engagement gegen seltene Erkrankungen.*

*Ich hoffe sehr, dass Kinder, die an NCL leiden, bald eine realistische Chance auf Heilung erhalten werden.*

*Der NCL-Stiftung wünsche ich für ihren Weg alles Gute und viel Erfolg!*

*Ihre*

**Eva Luise Köhler**  
(Schirmherrin der ACHSE e. V.)



©Joachim Gern

*Liebe Leserinnen und Leser,*

*Demenz ist heutzutage jedem ein Begriff. Die meisten verknüpfen die Krankheit mit Menschen im hohen Alter. Dass auch Kinder vom Schicksal des Vergessens nicht gefeit sind, wissen die Wenigsten.*

*Auch mir war Kinderdemenz kein Begriff. Dann lernte ich Tim und seinen Vater Dr. Frank Husemann kennen. Als Elternteil erfahren zu müssen, dass kein Heilmittel für sein krankes Kind existiert, ist ein für mich unvorstellbares Schicksal. Meine Kinder sind alle gesund und seitdem ich mich für die NCL-Stiftung einsetze, bin ich mir jeden Tag aufs Neue bewusst, was das bedeutet.*

*Ich freue mich, wie viel sich seitdem in der NCL-Forschung getan hat. Nicht nur wurde für eine der 13 NCL-Formen, CLN2, eine Behandlungsmöglichkeit gefunden, es laufen auch viele Forschungsprojekte und klinische Studien, die betroffenen Familien Hoffnung schenken. Erfolge wie die Enzyersatztherapie zeigen, dass es Sinn ergibt, die Forschung voranzutreiben und die NCL-Stiftung zu unterstützen.*

*Ich wünsche mir für alle, die dieser Krankheit hilflos gegenüberstehen, dass es bald eine Heilung gibt und danke jedem, der sich für die Erforschung von Kinderdemenz einsetzt und somit die Hoffnung auf eine Zukunft ohne Kinderdemenz aufrechterhält.*

*Ihr*

**Jan Josef Liefers**  
(Schirmherr der NCL-Stiftung)



Mit der aktiven Mitgliedschaft in dem ACHSE e. V., der Allianz Chronischer Seltener Erkrankungen, möchte die NCL-Stiftung als erstes Stiftungsmitglied auch bei der Aufklärung anderer seltener Krankheiten mithelfen.

# Leben mit Kinderdemenz

## Tim ist eines von 700 NCL-Kindern in Deutschland

### 2001

Frühling: Mit 6 Jahren war Tim ein gesundes Kind und spielte unbeschwert. Er hatte nur eine leichte Sehschwäche.

Herbst: Ein Blut- und ein Gentest brachten die traurige Gewissheit. Nach mehreren Untersuchungen und einer **Fehldiagnose** der Augenkrankheit **Retinopathia pigmentosa** wurde bei Tim (s. Bild 1) die **tödliche Stoffwechselkrankheit NCL**, kurz **Kinderdemenz**, diagnostiziert.

### 2002

Ein Wettlauf gegen die Zeit begann. Mit der Unterstützung von **Round Table Deutschland** gründete Tims Vater die **NCL-Stiftung**, für eine Zukunft ohne Kinderdemenz. Zu diesem Zeitpunkt hatte Tim bereits 90% seiner **Sehfähigkeit verloren**. Und das war erst der Anfang. Manchmal fragte Tim: „Papa, hast Du schon eine Medizin gefunden?“.

### 2003

Mit gerade einmal 8 Jahren tastete sich Tim durch die Wohnung, denn es war dunkel um ihn geworden. In weniger als zwei Jahren verlor er sein Augenlicht. Tim besuchte erstmalig eine **Blindenschule** in Hamburg. Es gab bereits erste Anzeichen, dass seine **Gedächtnisleistung abnahm**.

### 2006

Tims Schritte wurden immer kürzer. Das Gehen fiel ihm zunehmend schwerer. Auch die **Sprache litt** unter der Krankheit.

### 2008

**Erste epileptische Krampfanfälle** traten auf. Tim konnte nicht mehr alleine gehen, immer öfter musste er im Rollstuhl sitzen. Auch das Sprachzentrum wurde durch NCL zunehmend geschädigt. Selbst engste Vertraute konnten Tim nur noch schwer verstehen.

### 2009

Beim Spielen verschluckte Tim drei Magnete. Es folgten drei schwere Operationen und viele Wochen Krankenhaus. Tim litt physisch und psychisch, doch er überlebte. Sein enormer Lebenswille verhalf ihm langsam wieder zu Kräften. Was blieb, war die **Angst**.

### 2010

Tim kam in die Pubertät. Seine vielfältigen Empfindungen konnte er jedoch nicht mehr ausdrücken. **Permanente Unruhe, Nervosität und Stimmungsschwankungen** isolierten ihn zudem immer weiter und stellten sein Umfeld vor große Herausforderungen.

### 2011

Tim war inzwischen **auf den Rollstuhl angewiesen**. Nur mit Unterstützung konnte er noch ein paar Minuten stehen. Auch fiel es ihm schwer, zu schlucken. NCL beeinträchtigte nun auch seine Ernährung.

### 2012

Im **Liege-Tandem** konnte Tim viele Stunden an der frischen Luft verbringen (s. Bild 2), auch musste er nicht künstlich ernährt werden. Tim nahm an vielen familiären und auch schulischen Aktivitäten teil. Doch Tims Vater wusste, dass die Krankheit nicht Halt gemacht hatte.

### 2013

Das 18. Lebensjahr war der Zeitpunkt, an dem für Tim die häusliche **24-Stunden-Pflege** begann.

### 2016

Das Liege-Tandem konnte jetzt nur noch sehr selten benutzt werden, denn die **überlebensnotwendigen Pflegeleistungen** waren eng getaktet.

### 2020

Tim ist lange schon an das Bett gefesselt - unfähig zu sehen, lautierend statt sprechen zu können, schwer schluckend und zusätzlich künstlich ernährt. Die Krankenhausaufenthalte nehmen zu.

### TIMS ZUKUNFT

Tim wird den Kampf gegen die Kinderdemenz verlieren. Wahrscheinlich wird er im Alter von etwa 30 Jahren nicht mehr in der Lage sein, atmen zu können.

Sein Schicksal teilt Tim mit rund 700 anderen NCL-Kindern in Deutschland. Und es werden weitere folgen. Die NCL-Stiftung tut alles dafür, Therapiemöglichkeiten zu finden, kann Erfolge jedoch nur mit materieller und finanzieller Unterstützung erzielen.

*Sie können helfen, Schicksale wie das von Tim in Zukunft zu verhindern. Begleiten Sie uns dabei, der Forschung zum Durchbruch zu verhelfen.*



Bild 1 links: Tim im Jahr 2004. Mit 6 Jahren wurde bei ihm NCL festgestellt.  
Bild 2: Tim und sein Vater Dr. Frank Husemann im Herbst 2012.

# Was bedeutet NCL?

**Neuronale Ceroid Lipofuszinose (NCL)** ist die häufigste Form von **Kinderdemenz**. Sie zählt zu den seltenen Erkrankungen, die auch die „**Waisenkinder**“ der Medizin genannt werden. In Deutschland leiden rund 700 Kinder an NCL, weltweit geht man von 70.000 NCL-Betroffenen aus. Jedes Jahr erkranken allein in Deutschland mindestens 20 weitere Kinder. Der tödliche Verlauf der Krankheit führt zu einem sukzessiven Absterben von Nervenzellen des zentralen Nervensystems.

Bisher sind **13 verschiedene NCL-Formen** bekannt, bei denen ein Defekt jeweils in einem anderen Gen vorliegt. Allen Formen gemeinsam sind die Symptome Erblindung, Demenz, motorischer Abbau sowie Epilepsie. Die Reihenfolge und das Alter bei Krankheitsbeginn sowie der Verlauf der Erkrankung sind jedoch unterschiedlich. Allen Formen gemein ist, dass sie derzeit **unheilbar** sind.

Die häufigsten Kinderdemenz-Formen in Deutschland sind die infantile Form (CLN1, Beginn mit 6-12 Monaten), die spät-infantile (CLN2, Beginn mit 2-4 Jahren) und die juvenile NCL (CLN3, Beginn mit 4-7 Jahren). Die NCL-Stiftung konzentriert sich auf die Erforschung der **juvenilen NCL (jNCL) CLN3**.

*„Um die NCL-Forschung voranzutreiben, brauchen wir einen größeren Bekanntheitsgrad und ein öffentliches Bewusstsein für diese Erkrankungen.“*

*Prof. Robert Steinfeld (Vorsitzender des wissenschaftlichen Beirats der NCL-Stiftung)*

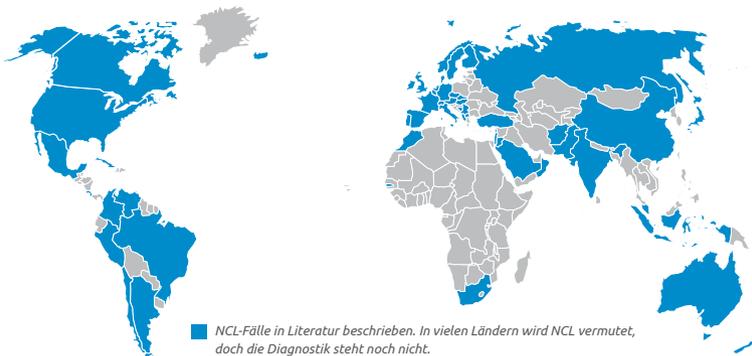


Abb. 1: Die Weltkarte zeigt, NCL ist ein weltweites Problem.

## Symptome und Krankheitsverlauf bei CLN3

Bei der juvenilen NCL CLN3 entwickeln sich die betroffenen Kinder zunächst völlig normal. Die ersten Symptome zeigen sich meist im Einschulungsalter mit dem Beginn einer Sehschwäche (s. Abb. 2). Da es sich um eine **Degeneration der Netzhaut** handelt, ist eine Brille zur Korrektur erfolglos. Der Sehverlust schreitet rasch voran und führt nach ein bis drei Jahren zu einer vollständigen **Erblindung**. Im Alter von ca. 8 Jahren treten die ersten Anzeichen eines **geistigen Abbaus** auf. Die Kinder zeigen zunächst unerwartete Schwierigkeiten bei abstrakteren Denkleistungen wie dem Rechnen. Da die Kinder das Ausmaß der Krankheit bewusst miterleben, kommt es zu **Persönlichkeitsveränderungen**. Mit ca. 10 Jahren folgen erste Symptome eines **Beweglichkeitsverlusts**. Darüber hinaus treten zunehmend **epileptische Anfälle** von unterschiedlicher Häufigkeit und Stärke auf. Später kommen **Sprach- und Artikulationsdefizite** hinzu.

Im Teenageralter können sich die Jugendlichen nur noch sehr begrenzt sprachlich äußern. Zusätzlich können **kardiologische Probleme** auftreten. Das Fortschreiten der Krankheit führt dazu, dass sie an den **Rollstuhl** gefesselt sind. Im weiter fortgeschrittenen Stadium werden die Jugendlichen **bettlägerig**. Noch vor dem 20. Lebensjahr hat die Krankheit ein Stadium erreicht, in dem die erkrankten jungen Erwachsenen jegliche Kontrolle über ihre Körperfunktionen (Muskulatur, Blase, Darm) verloren haben. Es kommt zu **Schluckstörungen** und sie müssen künstlich ernährt werden. Überwiegend im Alter von 20 bis 30 Jahren **versterben** die NCL-Patienten, meist durch **Austrocknung** oder **Atemlähmung**.

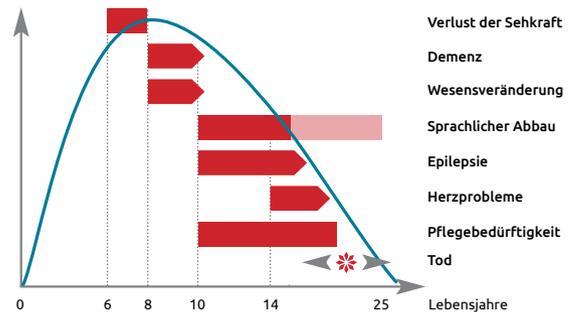


Abb. 2: Krankheitsverlauf der juvenilen NCL (CLN3).

## Ursachen

Die Kinderdemenz NCL ist eine seltene Stoffwechselerkrankung. Sie gehört zu den lysosomalen Speicherkrankheiten und beruht auf einem Fehler im Erbmateriale. Alle NCL-Formen des Kindes- und Jugendalters werden **autosomal** (geschlechtsunabhängig) **rezessiv** vererbt (s. Abb. 3). In Deutschland besitzt schätzungsweise jeder **200. Erwachsene** ein fehlerhaftes NCL-Allel. Ein Allel ist die Ausprägung eines Gens, welches sich auf einem bestimmten Chromosom befindet.

CLN3, die juvenile NCL-Form, wird durch eine **Genmutation** auf Chromosom 16 verursacht. Hierdurch ist das für den natürlichen Stoffwechsel erforderliche sogenannte **CLN3-Protein** defekt. In der Folge häufen sich in den Nervenzellen ungewöhnliche, fettähnliche Substanzen an (sog. „Ceroid Lipofuszin“). Das **Lysosom**, der Recyclinghof der Zelle, funktioniert nicht mehr einwandfrei (s. Abb. 4), so dass die Zelle nicht mehr von den Schadstoffen der alltäglichen Energieproduktion gereinigt werden kann und abstirbt. Zunächst sind die Augen betroffen – die Kinder erblinden – und kurze Zeit später das gesamte Gehirn.

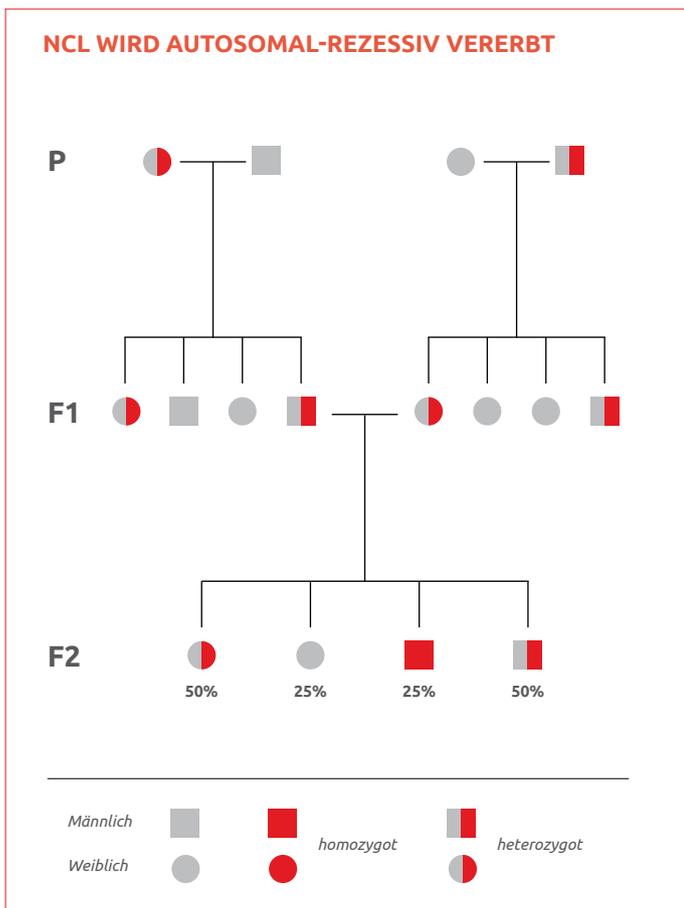


Abb. 3: Wie NCL vererbt wird.

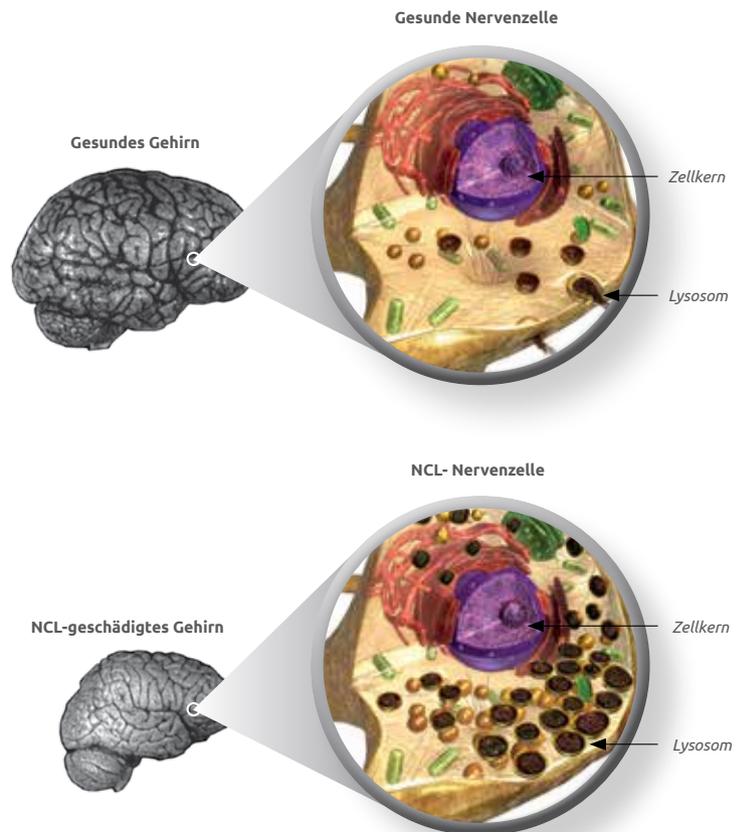


Abb. 4: Vergleich der Nervenzellen eines gesunden Gehirns mit denen eines von NCL geschädigten Gehirns.

# Die NCL-Stiftung

Am 7. August 2002 wurde die NCL-Stiftung gegründet, um mit gezielter nationaler und internationaler Forschungsförderung den von der tödlichen Kinderdemenz **Neuronale Ceroid Lipofuszinose (NCL)** betroffenen Kindern eine Aussicht auf bislang fehlende Therapie- und Heilungsansätze zu geben. **Die Vision der Stiftung: Eine Zukunft ohne Kinderdemenz.**



©Marc Darchinger

*Bild 3: Für sein Engagement erhält Stiftungsgründer Dr. Frank Husemann (re.) 2015 das Bundesverdienstkreuz von dem damaligen Bundespräsidenten Joachim Gauck.*

## Die Herausforderung

Die Kinderdemenz NCL gehört zu den seltenen Erkrankungen, den sogenannten „Waisenkindern“ der Medizin. Ihnen wird kaum Aufmerksamkeit geschenkt, so dass die betroffenen Kinder und deren Familien weitestgehend auf sich alleine gestellt sind. Die Pharmaindustrie investiert aufgrund der geringen Anzahl an Patienten kaum in die Entwicklung von Medikamenten gegen NCL. Ebenso wenig fließen öffentliche Gelder in NCL-Forschungsprojekte.

## Aufgabenbereiche der NCL-Stiftung

Die NCL-Stiftung engagiert sich in ihren Aufgabenbereichen Forschung, Förderung, Fortbildung und Fundraising dafür, die Situation der betroffenen Familien nachhaltig zu verbessern (s. Abb. 5).



Abb. 5: Im Kampf gegen NCL engagiert sich die Stiftung in den Bereichen Forschung, Förderung, Fortbildung und Fundraising.

## FORSCHUNG

Die NCL-Stiftung setzt sich aktiv für die Erforschung der biochemischen und physiologischen Grundlagen der Krankheitsentstehung bei NCL ein, was essenziell für das **Entwickeln von Therapien ist**. Zudem fungiert die NCL-Stiftung als **Wissenszentrum, um Forscher\*innen aktiv zu vernetzen**. Hierbei werden internationale Spezialisten verschiedener Disziplinen erfolgreich zusammengeführt, um Wissen und Kompetenzen zu bündeln. Dies verhindert „doppelte“ Forschung und vermittelt **neue Kooperationen**. Hierzu organisiert die Stiftung regelmäßig ein **internationales Nachwuchswissenschaftlertreffen** sowie den jährlichen **nationalen NCL-Kongress**.

► Weitere Informationen zum Aufgabenbereich der Forschung finden Sie ab [Seite 10](#).

## FÖRDERUNG

Die Bereiche Forschung und Förderung sind eng miteinander verknüpft. Die Stiftung initiiert konkrete NCL-Forschungsprojekte über die **Vergabe von Doktorandenstipendien** oder die Vermittlung von erfahrenen Partnern für neue **Kooperationen**. Im Jahr 2009 vergab die Stiftung erstmalig den **NCL-Forschungspreis**: Es ist der weltweit höchstdotierte Forschungspreis auf dem Gebiet der NCL-Forschung. Der Preis prämiert eine vielversprechende Forschungs idee, die mit dem Preisgeld umgesetzt werden soll.

► Weitere Informationen zu den Fördermaßnahmen finden Sie ab [Seite 11](#).

## FORTBILDUNG

Die Früherkennung der Krankheit ist entscheidend, um Familien eine leidvolle Ärzteodyssee zu ersparen und frühzeitig symptomverzögernde Maßnahmen einleiten zu können. Da die Kinderdemenz NCL so selten ist, (er)kennen auch viele Mediziner die Erkrankung nicht. Daher bietet die Stiftung **NCL-Fortbildungen** und Vorträge **für verschiedene Ärzteguppen** und medizinische Spezialisten an. Hierzu zählen auch bundesweite **Fachkongresse**, auf denen sich die NCL-Stiftung mit eigenen Referenten präsentiert. Das Ziel ist, eine verkürzte Diagnosezeit für die Krankheit zu erreichen. Mit dem **Schulprojekt „NCL macht Schule“** sensibilisiert die NCL-Stiftung Schüler\*innen und Lehrer\*innen für seltene Erkrankungen und klärt über NCL auf.

► Alle Fortbildungsangebote haben wir ab [Seite 18](#) für Sie zusammengestellt.

## FUNDRAISING

Um für die seltene Erkrankung NCL ein **breites Bewusstsein** zu schaffen, erhöht die NCL-Stiftung mit abwechslungsreichen und regelmäßig stattfindenden **Benefizaktionen** und **Medienkooperationen** den Bekanntheitsgrad der Kinderdemenz. Die Stiftung initiiert u. a. **Golfturniere** und **Kunstauktionen** und klärt durch Zeitungsartikel, gesponserte Plakatflächen oder Aktionen im Fernsehen auf. Die Stiftung wird dabei durch eine Vielzahl von engagierten Einzelpersonen, Firmen, anderen Stiftungen und prominenten Fürsprechern aus Politik, Wirtschaft und Fernsehen unterstützt, so von Eva Luise Köhler, Jan Josef Liefers oder Joss Stone.

► *Erfahren Sie mehr über viele weitere Aktionen und Unterstützer ab [Seite 23](#).*

## Alleinstellungsmerkmale der NCL-Stiftung

- Älteste Stiftung in Europa, die sich dem Thema „Kinderdemenz“ widmet.
- Seit 2006 durchgängig und in der Stiftungshochburg Hamburg längste (Stiftungs-) Trägerin des DZI-Spendensiegels.
- Bei der Vergabe von Doktorandenstipendien im NCL-Forschungsbereich ist die Stiftung weltweit der größte Einzelförderer.

## Ehrungen für die NCL-Stiftung

- 2006:** Ehrung von Stiftungsgründer Dr. Frank Husemann als „Hamburger des Jahres“.
- 2012:** 2. Platz beim Hamburgischen Stifterpreis.
- 2015:** Das Schulprojekt der NCL-Stiftung wird mit dem 2. Platz des Aspirin Sozialpreises geehrt.
- 2015:** Frank Husemann wird für sein soziales Engagement mit dem Bundesverdienstkreuz ausgezeichnet.
- 2016:** Sieger der Google Impact Challenge (lokale Projekte).
- 2017:** Auszeichnung des Schulprojekts mit dem Hertie-Preis.
- 2017:** HanseMercur Anerkennungspreis für die Erfolge im Bereich Forschung.

## Stiftungsorgane

Die NCL-Stiftung besitzt drei Stiftungsorgane: den **Stiftungsrat**, den **wissenschaftlichen Beirat** sowie das **Kuratorium**. Alle Mitglieder der Organe agieren ehrenamtlich, um die Stiftung bei ihrer Vision „eine Zukunft ohne Kinderdemenz“ zu unterstützen.

Der **Stiftungsrat** begleitet den Stiftungsvorstand, der **wissenschaftliche Beirat** hilft bei allen fachlichen Fragen zu Wissenschaft und Forschung und die Mitglieder des **Kuratoriums** tragen das Thema NCL verstärkt in die Öffentlichkeit.

## EHRENAMTLICHER STIFTUNGSRAT



Bild 4, v.li.: Alexander Rößler (Recht), Martin Hartleif (Finanzen), Dr. Frank Husemann (Vorsitz), Dr. Rainer Kuhn (Forschung).

## EHRENAMTLICHER WISSENSCHAFTLICHER BEIRAT



Bild 5, v.li.: Prof. Dirk Isbrandt, Prof. Beverly Davidson, Prof. Robert Steinfeld, Dr. Angela Schulz, Prof. Rudolf Martini.

## EHRENAMTLICHES KURATORIUM



Bild 6, v.li.: Ralf Sigrist, Sigrid Bauschert, Hubert Neubacher, Birgit Saatrübe-Möllers, Olaf Rotax, Dr. Christian Borchard.



Melden Sie sich online für den Forschungsnewsletter an und bleiben Sie auf dem neuesten Forschungsstand.

# Forschung und Förderung

## Stand der Forschung

### Gibt es schon eine Therapie?

Bisher gibt es nur für die CLN2-Form eine zugelassene Enzymersatztherapie als kausale Behandlung. Für die anderen NCL-Formen gibt es noch keine heilende Therapie.

### Warum kann die Enzymersatztherapie nicht bei CLN3 angewandt werden?

Bei CLN3 ist ein anderes Protein defekt als bei CLN2. Es handelt sich um ein wasserunlösliches Membranprotein, das nicht von außen zugeführt werden kann. Zudem ist es in seiner Funktion noch nicht vollständig aufgeklärt.

### Welche Ansätze sind vielversprechend?

Da es sich bei fast allen NCL-Formen um autosomal-rezessiv vererbte, monogene Erkrankungen handelt, wäre eine Gentherapie eine mögliche ursächliche Therapieform. Hierbei wird den Zellen ein intaktes, vollständiges NCL-Gen zugeführt. An diesem Ansatz forschen viele Wissenschaftler.

### Wie lange wird es dauern, ein NCL-Medikament zu entwickeln?

Der Zeitrahmen hängt von vielen Faktoren ab. Forschung ist sehr kostenintensiv, daher hängt die Entwicklungszeit auch von den finanziellen Investitionen ab. Die NCL-Stiftung geht davon aus, dass innerhalb der nächsten 5-8 Jahre ein erstes Medikament für CLN3 entwickelt werden könnte. Bis zu einer ersten Testung am Menschen wird mit einem Investitionsbedarf von 8-10 Mio. EUR gerechnet.

### In welcher Phase befindet sich die derzeitige Forschung?

Die CLN3-Forschung befindet sich in der präklinischen Phase. Die Forschungsansätze befinden sich somit in den Startlöchern, um klinisch getestet zu werden.

## ÜBERSICHT ZUR ENTWICKLUNG VON THERAPIEANSÄTZEN



Abb. 6: Auflistung der Therapieentwicklungen bei verschiedenen NCL-Formen.

## FORSCHUNGSWEGE ZUR THERAPIE

Im Rahmen der **Grundlagenforschung** werden Erkenntnisse über den Krankheitsmechanismus gewonnen. Aus diesem Verständnis können **Zielstrukturen** für eine Therapie identifiziert werden. Hierfür gilt es **neue Wirkstoffe** zu entwickeln, die z.B. die kontinuierliche Zerstörung der Seh- und Nervenzellen eindämmen oder verhindern können (s. Abb. 6). In der **präklinischen Phase** werden dann potenzielle Wirkstoffe gezielt an verschiedenen Modellen, z.B. Zellkulturen, und auch im Tierversuch getestet. Das Ziel ist es, die biologischen Eigenschaften der Wirkstoff-Kandidaten und ihre Unbedenklichkeit zu prüfen. Von einigen Tausend untersuchten Wirkstoffen erreicht jedoch nur ein Bruchteil die **klinische Phase**, um am Menschen getestet zu werden. **Zu den ursächlichen Therapieansätzen** bei NCL zählt die **Gentherapie**. Erste klinische Untersuchungen werden hierzu aktuell durchgeführt.

Als vielversprechende Option könnten zudem bereits **zugelassene Medikamente** gegen verwandte Krankheiten wie Alzheimer oder Parkinson auch bei NCL angewendet werden. Für diesen Einsatz sind jedoch weitere Untersuchungen sowie klinische Prüfungen erforderlich.

## FORSCHUNG & ENTWICKLUNG



Abb. 7: Die Förderung der NCL-Stiftung greift mit spezifischen Maßnahmen innerhalb des Prozesses der Arzneimittel-Forschung- und Entwicklung.

## Fördermaßnahmen

Die NCL-Stiftung setzt sich **aktiv für die Förderung der nationalen und internationalen Forschung** ein, um so neue wissenschaftliche Erkenntnisse zu gewinnen. Das Ziel ist es, die Krankheitsursachen besser zu verstehen und darauf basierend Therapien entwickeln zu können, um die Kinderdemenz NCL in Zukunft bestmöglich behandeln oder sogar heilen zu können.

### (POST-)DOKTORAND\*INNENFÖRDERUNG

Insgesamt konnte die NCL-Stiftung bereits 33 (**Post-**)**Doktorand\*innen** in 5 Ländern fördern. In dem Bereich der Doktorandenstipendien ist die NCL-Stiftung weltweit der größte Einzelförderer. Die Doktorandenförderung erfolgt in der Regel für eine Dauer von bis zu drei Jahren. Kandidaten\*innen können von ihren Betreuern vorgeschlagen werden. Bei einer bewilligten Förderung wird das Projekt intensiv von der Stiftung begleitet. Die unterschiedlichen Schwerpunkte der Projektarbeiten sollen Neuerkenntnisse auf dem Gebiet der NCL gewährleisten und Forschungslücken schließen. Inzwischen haben die ersten Projekte die präklinische Phase erreicht. Hierbei werden dann gezielt Postdoktorand\*innen gefördert.

Um auf neue Entwicklungen flexibel reagieren zu können, werden auch kurzfristige „Starthilfen“ vergeben. Diese **Kurzprojekte** können dann in umfassendere Projekte ausgeweitet werden.

Regelmäßige **Berichterstattungen** und **Laborbesuche** sind wesentliche Bestandteile aller Förderprojekte.

Satzungsgemäß fördert die NCL-Stiftung nicht: Projekte ohne CLN3-Bezug, Publikationskosten, Karitative Zwecke / mildtätige Zwecke / Einzelfallhilfe.

### FÖRDERUNG



**Doktorand\*innen**  
Grundlagenforschung



**Postdoktorand\*innen**  
Präklinische Forschung



**Firmen-Kooperationen**  
Klinische Entwicklung

### BEISPIELE FÜR GEFÖRDERTE PROJEKTE

**Doktorandin Daniela Borchert** erforscht in Kooperation mit der Biotechfirma Evotec in unterschiedlichen Zellmodellen mit CLN3-Defekt die betroffene Autophagie. Hierfür untersucht sie die Konzentration und Kinetik spezieller Marker zu unterschiedlichen Zeitpunkten des simulierten Krankheitsverlaufs, um neue Systeme zur Wirkstofftestung zu entwickeln (Betreuer: Dr. Guido Hermey, Universität Hamburg).



© NCL-Stiftung

Bild 7: Daniela Borchert.

**Dr. Sukanya Arcot Kannabiran** wird als **Postdoktorandin** an den Ursachen der Entstehung von Kinder- und Altersdemenzen forschen. Im Mittelpunkt stehen hierbei Untersuchungen von Ionenkanälen und ihre Funktion im lysosomalen System. Das Ziel ist es, potenzielle Zielstrukturen für eine zukünftige Therapie zu identifizieren (Betreuer: Prof. Andreas Guse, UKE Hamburg).



© A.Kirchhof/ UKE

Bild 8: Dr. Sukanya Arcot Kannabiran.

In einem **Kurzprojekt** arbeitete **Katharina Jungnickel** daran, die Struktur des CLN3-Proteins mittels moderner Proteinkristallisationsmethoden zu entschlüsseln. Im ersten Schritt wurde ein Protokoll zur Expression und Aufreinigung des Membranproteins entwickelt, um über die Struktur Rückschlüsse auf die Funktion ziehen zu können. (Betreuer: Prof. Henning Tidow, Universität Hamburg).



© Mathias Baustian

Bild 9: Katharina Jungnickel.

## NCL-FORSCHUNGSPREISE

Die NCL-Stiftung lobt regelmäßig den **NCL-Forschungspreis** aus. Er ist weltweit der höchstdotierte Preis auf dem Forschungsgebiet der Kinderdemenz. Forscher\*innen werden aufgefordert, Projekte einzureichen, um zu einer Therapie-Entwicklung bei CLN3 beizutragen.

Die eingereichten Anträge werden vom wissenschaftlichen Beirat der NCL-Stiftung begutachtet. Der Preis ehrt eine vielversprechende Forschungs-idee, die mit dem Preisgeld umgesetzt werden soll. Besonders preiswürdig sind innovative **klinisch-orientierte Projekte**.

Dank der großzügigen Unterstützung der Joachim Herz Stiftung vergab die NCL-Stiftung 2018 erstmalig den **Neurodegeneration Research Award**.

Das Ziel dieses Preises ist es, die Forschungssynergien zwischen der Kinderdemenz und den altersbedingten neurodegenerativen Erkrankungen zu fördern. Mit dem Preisgeld wurde eine Post-doktorandenstelle für zwei Jahre finanziert.

Voraussetzung für diesen Preis ist eine gemeinsame Bewerbung von zwei Laboren aus den genannten Gebieten, um den Austausch der jeweiligen Kompetenzen zu gewährleisten. Hiermit soll gezielt die **Indikations-übergreifende Forschung** unterstützt werden (s. S.16).

## BISHERIGE NCL-FORSCHUNGSPREISTRÄGER\*INNEN

**2021: An Dang Do / Forbes D. Porter**, NICHD / NIH, Bethesda, USA;  
**David Sleat**, Rutgers, The State University of New Jersey, USA

**2020: Prof. Monther Abu-Remaileh**, Stanford University, USA

**2019: Dr. Elisabeth Butz, Ass. Prof. Susan Cotman**,  
Massachusetts General Hospital, Boston, USA

**2018: Rebecca Ahrens-Nicklas, Dr. Eric Marsh**,  
The Children's Hospital of Philadelphia, Philadelphia, USA

**2017: Maica Llavero Hurtado, Prof. Thomas Wishart**,  
The University of Edinburgh, Edinburgh, UK

**2016: Prof Dr. Dr. Christian Michael Grimm**, LMU München

**2014: Ass. Prof. Marco Sardiello**, Baylor College of Medicine,  
Houston, Texas, USA

**2012: Prof. Jonathan Cooper, Dr. Brenda Williams**,  
King's College London, London, UK

**2011: Dr. Sara Mole**, University College London, London, UK

**2010: Matthew Micsenyi**, Albert Einstein College of Medicine,  
New York, USA

**2009: Dr. Vydehi Kanneganti**, Weizmann Institute of Science,  
Rehovot, Israel



*Bild 10: Vergabe des Neurodegeneration Research Award (v.li.n.re.): Dr. Frank Stehr, Vorstand der NCL-Stiftung, die Preisträgerinnen Prof. Susan Cotman und Dr. Sabina Tahirovic sowie Dr. Henneke Lütgerath, Vorstandsvorsitzender der Joachim Herz Stiftung.*



*Bild 11: Stiftungsgründer Dr. Frank Husemann überreichte 2009 den 1. NCL-Forschungspreis an Preisträgerin Dr. Vydehi Kanneganti. Die prämierte Forschungs-idee entstammte dem Labor von Prof. Jeffrey Gerst aus Rehovot in Israel.*

## Förderprojekte weltweit\*

**7** Projekte

Gesamtdauer der Förderprojekte:

**168** Monate

**18** Projekte

Gesamtdauer der Förderprojekte:

**383** Monate

**2** Projekte

Gesamtdauer der Förderprojekte:

**87** Monate

**6** Projekte

Gesamtdauer der Förderprojekte:

**108** Monate

**50** Publikationen

Anzahl der aus der Förderung entstandenen Fachpublikationen

Mehr als

**5,4** Mio. EUR

Bisherige Gesamt-Fördersumme für die Investition in die Forschung

## Die NCL-Stiftung als Wissenszentrum

Die Wissenschaft steht weiterhin vor der Herausforderung, die Kinderdemenz NCL ursächlich zu verstehen und Therapie- und Heilungsoptionen zu entwickeln. Ein Großteil der Arbeit der NCL-Stiftung beruht auf der **Zusammenarbeit** mit Forscher\*innen und universitären Forschungsgruppen weltweit. Hierbei agiert die Stiftung als Wissensvermittler und Impulsgeber und vergibt darüber hinaus Anschubfinanzierungen, um den Erkenntnisgewinn kontinuierlich zu erweitern. In diesem Rahmen organisiert die Stiftung internationale Wissenschaftlertreffen und fungiert so als **neutrales Wissenszentrum** für das Bilden eines globalen Kompetenz-Netzwerks. Zudem initiiert und begleitet die Stiftung **Forschungsk Kooperationen** durch das Vermitteln und Vernetzen von Experten.



Bild 12: Engagierte Diskussionen anlässlich des NCL-Kongresses 2019: Stiftungsvorstand Dr. Frank Stehr mit Teilnehmern.

### FORSCHUNGSVERNETZUNG

Der Schwerpunkt bei den vermittelten **Kooperationen** liegt in der Vernetzung universitärer Gruppen. So wurden z.B. neue Labore und Experten für das Gebiet NCL gewonnen, die mit etablierten Gruppen kooperieren.

Die NCL-Stiftung steht weiterhin in engem Kontakt und Austausch mit anderen **Stiftungen, Verbänden und Selbsthilfegruppen**. In regelmäßigen sowohl persönlichen als auch virtuellen Treffen werden **gemeinsame Strategien** besprochen und Projekte geplant. Darüber hinaus berät die NCL-Stiftung andere gemeinnützige Einrichtungen im wissenschaftlichen Bereich mit dem Ziel, Doppelungen bei den Forschungsansätzen zu vermeiden und den Wirkungsgrad zu erhöhen. Dazu zählen u.a. die Beyond Batten Disease Foundation (USA), Beat Batten Stichting (Niederlande), Batten Research Fonds (Niederlande), ContactPunt NCL (Belgien) und die NCL-Gruppe Deutschland.

Neben den Stiftungsk Kooperationen ist der Austausch mit Unternehmen aus der **Pharma- und Biotechbranche** für die NCL-Stiftung essenziell. Denn tatsächlich ein Medikament zu entwickeln und auf den Markt bringen zu können, wird nur in Kooperation mit solchen Partnern möglich sein.

### NCL-KONGRESS

Die NCL-Stiftung organisiert jährlich den **nationalen NCL-Kongress**, der als Plattform für den Austausch von aktuellen Ergebnissen und innovativen Forschungsideen dient. Auch das Entstehen neuer Kollaborationen und Vernetzungen zwischen Forscher\*innen unterschiedlicher Disziplinen wird hierbei gefördert. Im Fokus stehen dabei sowohl nationale als auch internationale NCL-Projekte. Der Kongress bietet darüber hinaus auch die Gelegenheit, wissenschaftliche „NCL-Neulinge“ aus verwandten Gebieten für dieses Thema zu gewinnen.

### NACHWUCHSWISSENSCHAFTLERTREFFEN

Um den **wissenschaftlichen Nachwuchs** zu stärken, richtet die NCL-Stiftung regelmäßig ein internationales Nachwuchswissenschaftlertreffen aus, das „**JNCL Young Investigator Symposium**“. Dabei kommen Doktorand\*innen, Postdoktorand\*innen und andere Nachwuchswissenschaftler\*innen zusammen, die an CLN3 forschen. Auch dieses Symposium bietet ein Forum für den internationalen Wissensaustausch. Im Jahr 2020 wurde hierbei erstmalig der **Best Presentation Award** für den besten Vortrag vergeben.



Bild 13: Nachwuchswissenschaftler\*innen aus 9 Ländern beim Symposium 2013 in Frankfurt.

### STIFTUNGSPARTNERSCHAFTEN

Viele der Wissenschaftsvorhaben führt die NCL-Stiftung gemeinsam mit anderen Stiftungen durch. Hierfür schlägt sie jeweils ein konkretes Projekt vor, das dann in Kooperation gefördert wird.

Zu den **Stiftungspartnern** gehören u.a.: Joachim Herz Stiftung, Bijou Brigitte Stiftung, BILD hilft – Ein Herz für Kinder, HAORI Stiftung, Joss Stone Foundation, Merck Family Foundation, Scheck-Stiftung, Town & Country Stiftung, Hauschildt Stiftung, Heinrich Hartmann Stiftung, Helga und Alfred Buchwald Stiftung, Lieselotte Paulsen Stiftung, Reinhard-Frank Stiftung, Stiftung Kindness for Kids, Werner Reichenberger Stiftung.

Die NCL-Stiftung ist fest davon überzeugt, dass der wissenschaftliche Austausch die Grundlage für jeden Fortschritt darstellt. Daher ist es zu einer der wichtigsten Aufgaben geworden, Forschende national und international zu vernetzen. Seit 2002 hat die Stiftung mehr als 60 Forschungsk Kooperationen auf den Weg gebracht: Hierzu gehören hauptsächlich universitäre Gruppen, aber auch andere Forschungsinstitute sowie forschende Unternehmen. Zum Austausch gehören regelmäßige vor-Ort-Besuche und auch das Ausrichten themenbezogener Workshops.



Bild 14: Dr. Herman van der Putten (li.), Forschungsleiter der NCL-Stiftung mit Stiftungsvorstand Dr. Frank Stehr im Planungsgespräch.

Universität Universität

Universität Forschungsinstitut

Universität Firma

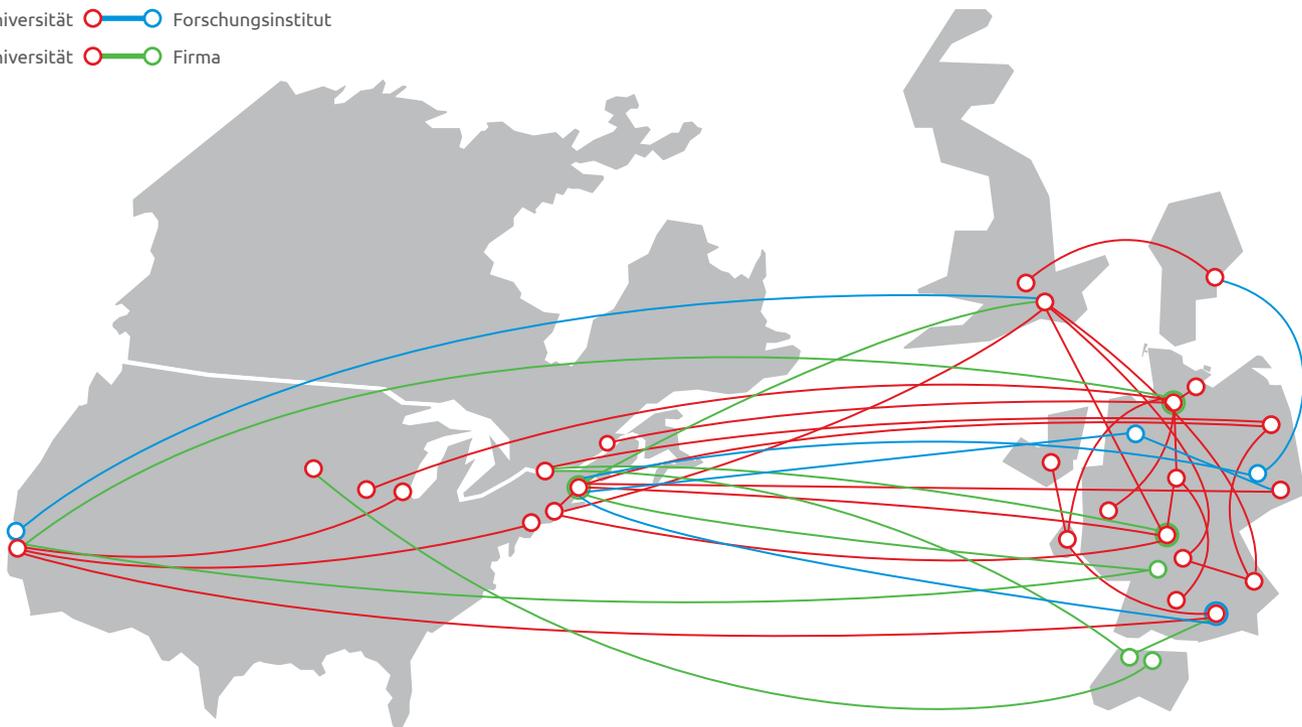


Abb. 8: Die NCL-Stiftung initiiert länderübergreifende Kooperationen, schwerpunktmäßig zwischen akademischen Forschungsgruppen.

## INDIKATIONS-ÜBERGREIFENDE FORSCHUNG

Auch die Indikations-übergreifende Forschung ist ein zentrales Anliegen der NCL-Stiftung: Ein vertieftes Verständnis der zellspezifischen Krankheitsmechanismen bei der Kinderdemenz kann dazu beitragen, neue Zielstrukturen für eine Therapie zu identifizieren, die auch bei anderen häufig vorkommenden neurodegenerativen Erkrankungen wie Alzheimer-Demenz oder auch Frontotemporaler Demenz relevant sind.

**Gemeinsamkeiten** der Kinderdemenz mit anderen neurodegenerativen Erkrankungen des Erwachsenenalters, besonders der Alzheimer-Demenz, sind offensichtlich: Im Verlauf der Erkrankungen kommt es zu einem Verlust von Nervenzellen, es zeigt sich eine Demenz und weitere neurologische Symptome treten auf. Auffallend sind die pathologischen Ablagerungen von charakteristischen Proteinen, die bei den einzelnen Erkrankungen zu beobachten sind: Bei der **Kinderdemenz** das Ceroid-Lipofuszin innerhalb des Lysosoms; bei **Parkinson (PD)** die extrazellulären Lewy-Körperchen; bei der **Huntington-Krankheit** Inklusionen von mutiertem Huntington-Protein; bei der **Alzheimer-Demenz (AD)** und bei der **Frontotemporalen Demenz (FTD)** sog. Fibrillen oder „Neurofibrilläre Tangles“.

Diese Befunde legen nahe, dass in allen Fällen die **Autophagie**, also das »Recyclingprogramm« der Zelle, gestört ist. Die Autophagie ermöglicht es einer Zelle, beschädigte und fehlgefaltete Proteine oder sogar ganze Organellen abzubauen und anschließend wieder zu verwerten.

Eine fehlregulierte autophagische Aktivität führt u.a. zu einem gestörten intrazellulären Proteinabbau und zur **Ansammlung zelltoxischer Plaques**.

Somit könnte die lysosomale Dysfunktion und Störung der Autophagie eine primäre und frühe Ursache für eine neurodegenerative Erkrankung und deren Fortschreiten sein und damit ein **grundsätzliches Merkmal der Neurodegeneration**.

Die aktuelle Forschung beschäftigt sich darüber hinaus ebenfalls mit der Rolle der **Mikroglia** als den Immunzellen des Gehirns bei der Pathogenese von neurodegenerativen Erkrankungen wie NCL, AD, der lysosomalen Speicherkrankheit Niemann-Pick Typ C (NPC) und FTD.



Abb. 9: Die Kinderdemenz NCL weist Schnittmengen zu folgenden Krankheiten auf: Alzheimer-Demenz, Parkinson-Demenz, Frontotemporale Demenz, Niemann-Pick Typ C und altersbedingte Makuladegeneration.

PD: Parkinson-Demenz  
 FTD: Frontotemporale Demenz  
 NPC: Niemann-Pick Typ C  
 AMD: Altersbedingte Makuladegeneration  
 AD: Alzheimer-Demenz  
 NCL: Neuronale Ceroid Lipofuszinose

Bei der Indikations-übergreifenden Forschung darf beim zentralen Nervensystem die Netzhaut nicht vergessen werden. Denn möglicherweise könnte die juvenile NCL (CLN3) als Modell für die **altersbedingte Makuladegeneration (AMD)** dienen.

Untersuchungen von seltenen monogenetisch bedingten Erkrankungen tragen zudem dazu bei, **grundlegende biochemische Prozesse** aufzuklären und neue Erkenntnisse über Krankheitsmechanismen bei einem weiten Spektrum an Erkrankungen zu erwerben.

## BIOMARKER IM FOKUS

Biomarker für NCL und besonders für die mit am häufigsten auftretende Form CLN3 zur Verfügung zu haben, ist bis heute ein ungedeckter medizinischer Bedarf. Biomarker sind jedoch von grundlegender Bedeutung, um als **Indikatoren** den Verlauf und den Erfolg von Therapien während der Medikamentenentwicklung, und hier besonders in klinischen Studien, beurteilen zu können.

**Biomarker sind objektiv messbare Parameter**, die ihrer Anwendung entsprechend eingeteilt werden: So dienen sie sowohl der Diagnostik als auch dazu, das Fortschreiten einer Erkrankung zu beurteilen, Prognosen zu erstellen oder die Sicherheit medizinischer Produkte zu überprüfen. Im besten Fall sind sie leicht zugänglich, z.B. über eine Blutentnahme, spiegeln den Verlauf der Krankheit wider und reagieren auf Therapien, die den Krankheitsverlauf stoppen oder verzögern.



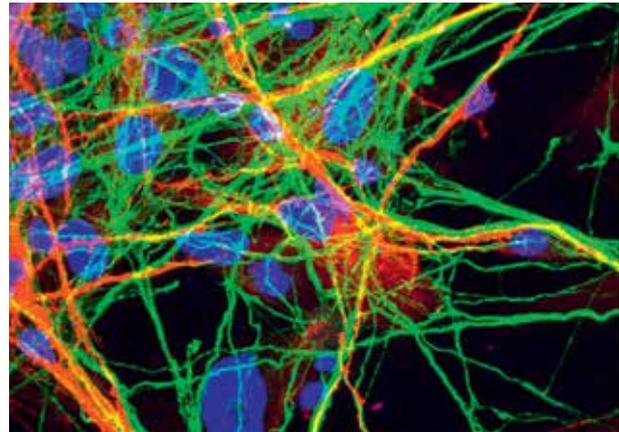
© Prof. Monther Abu-Remalleh

Bild 15: Mit dem 10. NCL-Forschungspreis wurde Prof. Monther Abu-Remalleh ausgezeichnet. Sein Projekt hat zum Ziel, Biomarker zu entwickeln zur Unterstützung von Diagnose und Therapie von CLN3.

Da bisher für CLN3 keine Biomarker zur Verfügung stehen, müssen sich klinische Studien für das Prüfen neuer Therapien vorerst ausschließlich auf klinische Ergebnismessungen verlassen. Eine bereits bestehende und weiter wachsende Datenbank zum natürlichen Krankheitsverlauf, in der immer mehr krankheitsassoziierte Parameter erfasst werden, ist zwar von großem Vorteil. Dennoch bleibt bei CLN3 die große Bandbreite und die Variabilität von Patient zu Patient in Bezug auf Beginn, Schweregrad und Verlauf der meisten krankheitsassoziierten Parameter eine große Herausforderung, um **klinische Endpunkte** für Studien definieren zu können.

Sich verändernde Werte von entsprechend **korrelierenden Biomarkern** könnte wesentlich schneller eine direkte Auskunft darüber geben, ob eine angewandte Therapie wirksam ist.

So wurde kürzlich das **Neurofilament-L (NF-L)** als Biomarker bei **CLN2-Patienten** eingesetzt: NF-L wird bei einer Schädigung der Nervenfortsätze freigesetzt. Die Menge kann analytisch bestimmt werden.



© Prof. Henrik Zetterberg, University of Gothenburg

Bild 16: Ein neurales Netzwerk. Bei einer Schädigung der Nervenzellfortsätze (Axone) kann der Biomarker NF-L freigesetzt werden, der dann auf eine Neurodegeneration hinweist.

Eine **Reduktion von NF-L bei Patienten** deutet auf eine Abnahme der Neurodegeneration hin. So kann mittels dieses Biomarkers der Erfolg der Enzyersatztherapie frühzeitig sichtbar gemacht werden, noch bevor er klinisch feststellbar ist (s. Abb. 10).

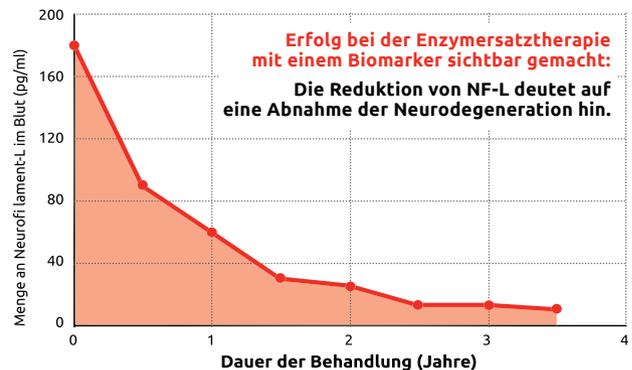


Abb. 10: Die Grafik zeigt die Abnahme der Konzentration des Biomarkers NF-L (ab dem Zeitpunkt der Behandlung mit der Enzyersatztherapie) bei einem fiktiven Patienten.

Die NCL-Stiftung setzt sich intensiv für die **Biomarker-Forschung** ein, indem sie z.B. Experten-Treffen organisiert und entsprechende Forschungsprojekte gezielt fördert.

# Fortbildung

Im Bereich Fortbildung richtet sich die Stiftung an Mediziner\*innen, Lehrer\*innen, Schüler\*innen und Studierende, um über die Kinderdemenz NCL aufzuklären. Hierzu werden zielgruppengerechte **Schulungs- und Fortbildungsmaßnahmen** durchgeführt. Eine **Früherkennung von NCL** ist entscheidend, um rechtzeitig symptomverzögernde Maßnahmen einleiten zu können und den betroffenen Familien eine jahrelange Ärzteodyssee zu ersparen. Daher ist das Sensibilisieren für die Erkrankung so wichtig. Dabei helfen über Spenden finanzierte Maßnahmen wie Ärzte-Merkblätter, Lehrfilme, Fortbildungen und Fachvorträge. Kinder- und Augenärzt\*innen, Humangenetiker\*innen, Neurolog\*innen und Neuropädiater\*innen zählen hierbei zu den Hauptansprechpartnern der Stiftung. Vor allem **Kinder- und Augenärzt\*innen** sind von Bedeutung, da sie als Hauptanlaufstelle für Eltern eine zentrale Rolle bei der Diagnose von NCL einnehmen. Ebenso sind die für Diagnostik und Beratung zuständigen **humangenetischen Labore** wichtige Partner der NCL-Stiftung.

## Wann sollte man an Kinderdemenz denken?

Bei der **Kombination** von **mindestens zwei dieser Symptome** sollte an die Kinderdemenz NCL gedacht werden: **Visusverlust (unklare Retinopathie), Sprachentwicklungsverzögerung, Entwicklungsrückschritt (inkl. Demenz)** und / oder **Epilepsie**.

Die Entwicklung der Kinder ist zunächst meist völlig altersgerecht. Erste Krampfanfälle, ein Stillstand der psychomotorischen Entwicklung und bei der juvenilen NCL CLN3 eine zunehmende Sehschwäche im Schulalter machen den Ausbruch der Erkrankung deutlich.

## MEDIZINER\*INNEN

Da die **Kinderdemenz NCL** so selten ist, kennen auch viele Mediziner\*innen die Erkrankung nicht. Die Folgen sind zahlreiche Fehldiagnosen und eine **Diagnosezeit von zwei bis vier Jahren**. Eine quälende Zeit der Ungewissheit für die Kinder und Familien. Zudem ist eine frühe Diagnose von hoher Bedeutung für die weitere Familienplanung, da es sich bei NCL um eine genetisch bedingte Erkrankung handelt. Daher klärt die NCL-Stiftung mit verschiedenen Maßnahmen gezielt Mediziner\*innen auf. Jedes Jahr initiiert und veranstaltet die Stiftung Fortbildungen und Vorträge für verschiedene Ärzteguppen und medizinische Spezialisten. So ist die Stiftung mit eigenen Referent\*innen u.a. auf bundesweiten **Fachkongressen** präsent. Bei **Ärztetagekongressen** werden z.B. gemeinsam mit NCL-Experten Symposien veranstaltet und es werden Vorträge an Kliniken und in Fachkreisen gehalten. Des Weiteren verteilt die Stiftung **NCL-Merkblätter** an Augen- und Kinderärzt\*innen und bietet **Differentialdiagnostikposter** für Augenkliniken an.

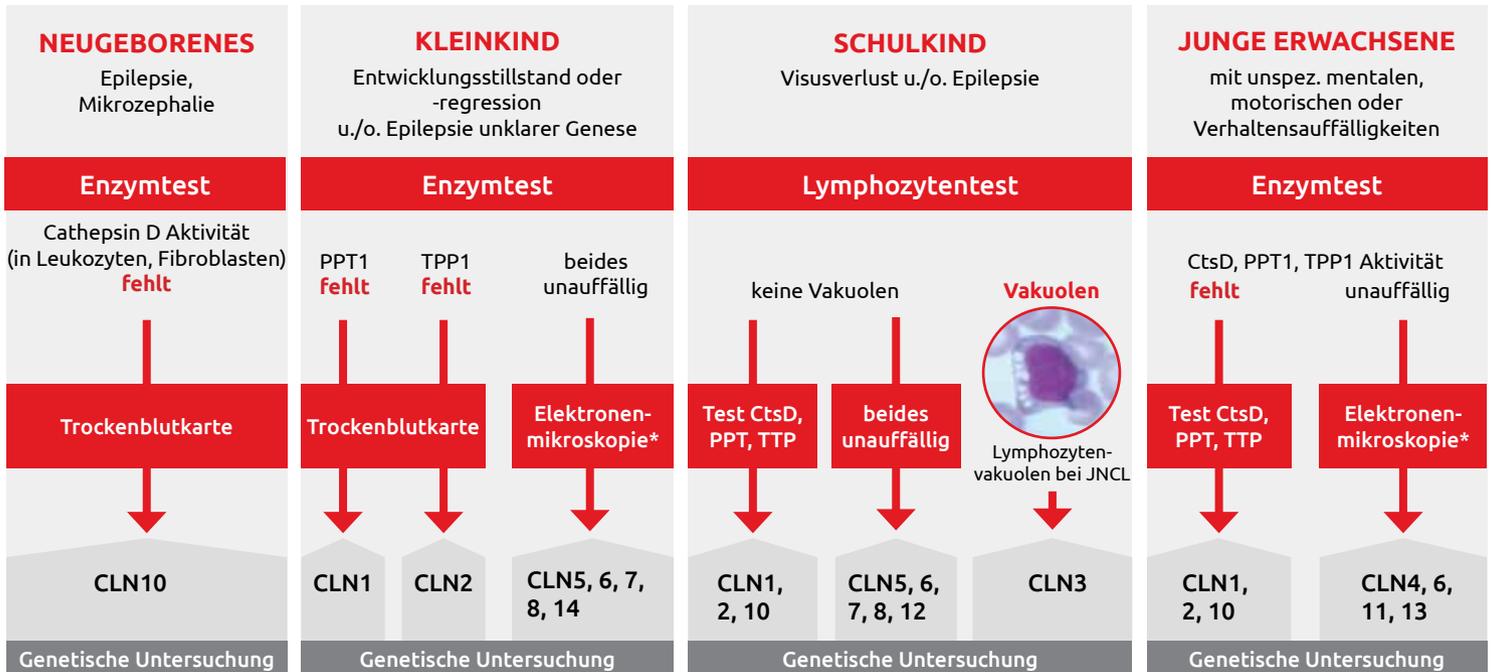
## AUGENÄRZT\*INNEN

Augenärzt\*innen sind oft die ersten Mediziner\*innen, denen betroffene Kinder vorgestellt werden. Daher ist es wichtig, gerade diese gezielt aufzuklären. So lassen sich **häufige Fehldiagnosen** wie Retinopathia pigmentosa vermeiden. Maßnahmen sind hier das Initiieren von klinik-internen **Fortbildungen** und das Verteilen von **Merkblättern** und **Postern** zur Differentialdiagnose. Zudem werden **Artikel in Fachmagazinen** platziert wie dem „Augenspiegel“, dem „Ophthalmologen“ oder den „Ophthalmologischen Nachrichten“.

Partner	Wie wurden die Partner erreicht?	Durch Vorträge erreichte Personen
Augenärzte*innen	<ul style="list-style-type: none"> <li>Vorträge in Deutschland, Österreich und der Schweiz</li> <li>Fachpublikationen mit einer Auflage von bis zu 6.500</li> <li>10.240 Merkblätter</li> </ul>	1.730
Kinderärzte*innen	<ul style="list-style-type: none"> <li>bundesweite Vorträge</li> <li>Fachpublikationen mit einer Auflage von bis zu 20.000</li> <li>17.920 Merkblätter</li> </ul>	878
Pädagogen*innen	<ul style="list-style-type: none"> <li>bundesweite Fortbildungen</li> </ul>	323
Schüler*innen	<ul style="list-style-type: none"> <li>„Biologie-up-to-date“ und „Lernpartnerschaft für das Profilabitur“ an 70 Schulen</li> </ul>	6.226
Studierende	<ul style="list-style-type: none"> <li>bundesweite Vorträge und Publikationen</li> </ul>	997

Abb. 11: Mit verschiedenen Fortbildungsinitiativen klärt die NCL-Stiftung Ärzt\*innen, Lehrer\*innen, Schüler\*innen und Studierende über die Krankheit auf.

## Wie kann NCL diagnostiziert werden?



\*Alternativ Panel-Diagnostik aller Gene

Abb. 12: Der NCL-Diagnosebaum.

### KINDERÄRZT\*INNEN

Bei der Betreuung von jungen NCL-Patienten sind Kinderärzt\*innen eine wichtige Unterstützung für die betroffenen Familien. Um diese regelmäßig über die Kinderdemenz zu informieren, bietet die Stiftung **Vortragsreihen und Fortbildungen** an.

Gemeinsam mit Experten werden zudem verschiedene **Informationsblätter** ausgegeben. Auch in verschiedenen **Fachmedien** wie „pädiatrische praxis“, „ProPraxis Pädiatrie“ oder „Kinder- und Jugendarzt“ konnten Artikel über die Krankheit veröffentlicht werden.

**Fachtagungen** werden als Plattform genutzt, um fortlaufend über NCL zu berichten. So hat die Stiftung bei der „**Jahrestagung der Deutschen Gesellschaft für Kinder- und Jugendmedizin**“ bereits mehrfach verschiedene Vortragsreihen zur Thematik angeboten.

### NEUROPÄDIATER\*INNEN

Vor allem die Neuropädiater\*innen stellen eine wichtige Anlaufstelle sowohl für Verdachtsfälle als auch für Patient\*innen dar. Um die Ärzt\*innen über neue Erkenntnisse im Bereich der Kinderdemenz auf dem Laufenden zu halten, richtet die NCL-Stiftung themenbezogene Fortbildungen aus. So waren in den letzten Jahren regelmäßig Referenten der Stiftung auf der **Jahrestagung der Gesellschaft für Neuropädiatrie** vertreten.

### ONLINE-FORTBILDUNG

In Kooperation mit Prof. Steinfeld (Zürich) und Dr. Miriam Nickel (Hamburg) ist auf dem Portal „Medlearning“ die zertifizierte Online-Fortbildung „**KINDERDEMENZ NCL: Diagnostik und Therapie der Neuronalen Ceroid Lipofuszinosen**“ entstanden. Die Fortbildung richtet sich insbesondere an Kinder- und Augenärzt\*innen sowie Neuropädiater\*innen und wird mit **2 CME-Fortbildungspunkten** bewertet. Der Link ist auf der Homepage der NCL-Stiftung hinterlegt ([www.nclstiftung.de](http://www.nclstiftung.de)).

## NCL macht Schule

„**NCL macht Schule**“ ist ein Herzensprojekt der NCL-Stiftung. Es richtet sich an die **gymnasiale Oberstufe** und hat zum Ziel, Schüler\*innen für seltene Erkrankungen zu sensibilisieren, ihnen abiturrelevantes Wissen praxisnah zu vermitteln, bioethische Themen zu diskutieren, einen Einblick in verschiedene medizinische Berufsfelder zu geben und die Begeisterung für soziales Engagement zu wecken. In einem mehrstufigen Modell wird hierbei das Krankheitsbild der **Kinderdemenz NCL** vorgestellt. Dieses setzt sich aus einer interaktiven Präsentation, einem Tag im Labor, einer Konsensus-Konferenz und einem abschließenden Charity-Modul zusammen.

Mit „**NCL macht Schule**“ kann die NCL-Stiftung den Schüler\*innen sehr greifbar die medizinische Tragweite des erlernten Wissens verdeutlichen. Zusätzlich bietet das Projekt einen Einblick in verschiedene naturwissenschaftliche Berufe, um sie für ihre Berufswahl zu inspirieren und für die Naturwissenschaften zu begeistern. Des Weiteren werden Schüler\*innen für das Thema „seltene Erkrankungen“ sensibilisiert, an denen 4 Mio. Menschen in Deutschland leiden. Denn alle seltenen Erkrankungen haben ein Problem: **Es fehlt die Aufmerksamkeit**. Die NCL-Stiftung konnte bisher mehr als 200 Schulbesuche wahrnehmen. Neben dem Schwerpunkt Hamburg wurde „**NCL macht Schule**“ auch in Jena, Köln, Wuppertal, Nürnberg, Würzburg, Zürich, Gettorf, Kiel und Bochum durchgeführt.



©Bayer Aspirin Sozialpreis

Bild 17: Die Schüler\*innen führen in einem Schülerlabor selbstständig eine PCR zur Gendiagnostik durch.

### Die Module

#### Modul 1: Fachliche Vorbereitung

Am Beispiel der Kinderdemenz NCL wird abiturrelevantes Wissen wiederholt und anhand eines an Kinderdemenz NCL erkrankten Kindes verdeutlicht. Die Schüler\*innen werden zusätzlich für die **Problematik seltener Erkrankungen** sensibilisiert.

#### Modul 2: Gendiagnostik

In einem Schülerlabor führen die Schüler\*innen selbstständig eine klassische Diagnostikmethode mittels **PCR und anschließender Gelelektrophorese** mit Proben einer fiktiven NCL-Familie durch.

#### Modul 3: Konsensus-Konferenz

Die Schüler\*innen setzen sich in einer Diskussion kritisch mit wissenschaftlichem Fortschritt auseinander. In **Interessensgruppen** aufgeteilt, diskutieren sie die verschiedenen Positionen zu einer bioethischen Fragestellung. Die Schüler\*innen lernen unterschiedliche Standpunkte zu erarbeiten und diese im konstruktiven Austausch zu vertreten.

#### Modul 4: Eigenes Charity-Projekt

Mit der Organisation und Durchführung einer eigenen Informations- und / oder Benefizveranstaltung werden die Schüler\*innen selber aktiv. So wird das erlernte Wissen **nachhaltig gefestigt** und die Schüler\*innen betätigen sich im **sozialen Engagement**.



©Alexander Tempel

Bild 18: Abiturrelevantes Wissen wird anhand der Kinderdemenz NCL verdeutlicht.



© Bayer Aspirin Sozialpreis

Bild 19: Gemeinsam erarbeiten die Schüler\*innen Positionen zu bioethischen Fragestellungen.

## Was macht „NCL macht Schule“ besonders?

Dieses Schulprojekt ist einzigartig: Es ist eine Zusammenarbeit zwischen Schulen, einer gemeinnützigen Stiftung und Schülerlaboren, die sich dem Thema NCL bzw. seltenen Erkrankungen widmen. Dank dieser Konstellation hat die Stiftung die Möglichkeit, die Schüler\*innen auf verschiedenen Wegen zu erreichen und bietet ihnen sowohl einen emotionalen Zugang zu der Erkrankung als auch einen direkten Zugang zur Forschung und ihren Herausforderungen. Die Kombination aus Wissenschaft, sozialem Engagement und dem Kennenlernen persönlicher Schicksale macht das Projekt besonders.

## Wichtige Kooperationspartner

Wichtige Kooperationspartner sind die Schulen, die Lehrkräfte und natürlich die Schüler\*innen. Ohne engagierte und interessierte Lehrer\*innen wäre das Durchführen des Projektes nicht möglich. Ein weiterer wichtiger Kooperationspartner sind die Schülerlabore: Dort können die Schüler\*innen eine Labormethode eigenständig durchführen, die zur Diagnostik der seltenen Kinderdemenz NCL eingesetzt wird, die sogenannte PCR. So arbeitet die Stiftung in

Hamburg mit dem MINTarium und in Wuppertal mit dem „Baylab“ der Bayer AG zusammen. Weitere Schülerlabore sollen folgen. Die Schüler\*innen erhalten einen Einblick in das Arbeiten in einem realen wissenschaftlichen Labor und dabei auch in die verschiedenen naturwissenschaftlichen Berufsfelder. Weitere wichtige Kooperationspartner sind Förderer des Schulprojektes wie die Stiftung „Kinderförderung“ von PLAYMOBIL, die „Manni-die-Maus“-Stiftung oder die Bayer-Stiftung. Ohne diese Förderungen wäre eine bundesweite Durchführung nicht möglich.

## Feedback und Auszeichnungen

Bei einer Befragung gaben 100% der Lehrer\*innen an, dass ihrer Einschätzung nach das Projekt einen Mehrwert für die Schüler\*innen bedeutet und 96% würden es weiterempfehlen. Gerade die Emotionalität und die Erfahrungen, die von den betroffenen Familien weitergeben werden, macht es für die Schüler\*innen realitätsnah und greifbar. Die Lehrer\*innen schätzen das Projekt, da sowohl abiturrelevantes Wissen wiederholt als auch ein Einblick in die unheilbare Erkrankung Kinderdemenz gegeben wird. Das Schulprojekt wurde mit dem **Hertie-Preis für Engagement und Selbsthilfe** und dem **Aspirin Sozialpreis** der Bayer AG ausgezeichnet.

# Fundraising

Um die Vision auf eine Zukunft ohne Kinderdemenz umsetzen zu können, bedarf es eines breiten Bewusstseins für die Erkrankung in der Gesellschaft. Hierzu veranstaltet die NCL-Stiftung regelmäßig Aufklärungskampagnen, Benefizveranstaltungen sowie langfristige Spendenaktionen. Darüber hinaus wird die Stiftung von prominenten Botschaftern unterstützt, die sich für eine Zukunft ohne Kinderdemenz einsetzen. Die Öffentlichkeits- und Aufklärungsarbeit dient auch dazu, neue Unterstützer zu gewinnen.

## Aufklärungskampagnen

Ein Beispiel für derartige Kampagnen sind **Plakat-Aktionen** in Fußgängerzonen, um bei Passant\*innen ein Bewusstsein für die Krankheit Kinderdemenz zu schaffen. Dank der großzügigen Unterstützung der Wall GmbH, die Flächen für City Light Poster zur Verfügung stellte, konnte in Städten wie Berlin, Dortmund, Hamburg und Düsseldorf auf die Kinderdemenz NCL aufmerksam gemacht werden.

Die **Sozialen Netzwerke** der Stiftung dienen ebenfalls dazu, die Öffentlichkeit regelmäßig über NCL zu informieren. Gezielte Kampagnen wie „Erinnern gegen #Kinderdemenz“ soll die Reichweite der Stiftung erhöhen.

Beim Design von Homepage, Kampagnen, Werbeflächen und Imageaktionen wird die Stiftung dankenswerterweise durch die pro-bono-Arbeit der Agentur **KREATIVKONFEKT**, des Grafikbüros **FIETE DEICHGRAPH** sowie beim Jahresbericht von der **tilly & unger Werbeagentur** unterstützt.

## Medienpräsenz schafft Aufmerksamkeit

Die Stiftung richtet sich weiterhin sowohl an Allgemein- als auch an Fachmedien, um die Reichweite ihrer Botschaften zu erhöhen. Seit der Stiftungsgründung wurden vielfältige Beiträge in Print- und TV-Medien erfolgreich platziert. So berichteten bereits **DIE ZEIT**, die **Welt am Sonntag** und das **Hamburger Abendblatt** über das Schicksal von Tim, stellvertretend für alle NCL-Kinder und die Arbeit der NCL-Stiftung. Die **FAZ** schrieb u.a. über das NCL-Fortbildungsprojekt „NCL macht Schule“ und auch **Spiegel Online** und das **Manager Magazin** publizierten Artikel über die Kinderdemenz.

Im Interview mit dem **STERN** und bei **Beckmann** in der **ARD** berichtete Dr. Frank Husemann über das Schicksal seines Sohnes und das Engagement der NCL-Stiftung. Bei der TV-Gala „**Ein Herz für Kinder**“ im **ZDF** hat Schirmherr **Jan Josef Liefers** den Zuschauern die Krankheit und die Stiftungsarbeit näher gebracht und auch bei der **NDR-Gala „Hand in Hand für Norddeutschland“** war die Stiftung vertreten. Ebenfalls bei **CNN** und **n-tv** wurden Spendenaufrufe geschaltet und im Jahr 2006 verlieh der TV-Sender **Hamburg 1** dem Stiftungsgründer Dr. Frank Husemann wegen seines sozialen Engagements die Auszeichnung „**Hamburger des Jahres**“.

Der **NCL Social Spot** wird dank eines Sponsorings auf mehr als 30 Fernsehsendern bundesweit und in der Schweiz ausgestrahlt und auch auf der Kinoleinwand ist er zu sehen.



©Wall GmbH

Bild 20: Einweihung der ersten Plakatwand in Hamburg (v.li.n.re.): Birgit Saatrübe, Frauke Bank von der Wall GmbH, Dr. Frank Stehr, Katharina Fegebank, die Zweite Bürgermeisterin und Senatorin der Behörde für Wissenschaft, Forschung und Gleichstellung sowie Tagesschausprecher und Stiftungs-Botschafter Thorsten Schröder.



Bleiben Sie immer auf dem aktuellen Stand – melden Sie sich für den vierteljährlichen Newsletter der Stiftung auf der Homepage an ([www.ncl-stiftung.de](http://www.ncl-stiftung.de)).

## Aufmerksamkeit durch prominente Botschafter\*innen

Neben Schirmherrn **Jan Josef Liefers** hat die Stiftung weitere prominente Botschafter\*innen, die sich für die Ziele der Stiftung einsetzen. Zu diesen zählen u.a. **Ralf Zacherl, Volkan Baydar, Joss Stone, Zodwa Selele** und **Thorsten Schröder**.

### JOSS STONE

**Soulsängerin und Schauspielerin**

*Rare diseases like NCL rarely get funded because they are not widespread enough or the number of people affected seems to be too small. The result? Only the most common illnesses get financed and families hit by an orphan disease are left alone, which I find very upsetting. They must not be ignored. These people need a voice so I am here to help give them one. Currently there is no cure for NCL or Batten Disease. However, there is a way we can help these children. The NCL Foundation has been working tirelessly for many years trying to find a cure for the disease. I am proud to be the foundation's official international ambassador because although NCL is rare it can strike down any child. Even if only one child was affected, it would still be one too many. Everyone deserves to have a voice, a life, a future. So please spread the word and donate if you can. Help the foundation to continue their mission to put an end to the suffering of tens of thousands children and their families worldwide.*



### THORSTEN SCHRÖDER

**Journalist und Extremsportler**

*Als Extremsportler weiß ich, wieviel Geduld und Kraft es kosten kann, seine Ziele zu erreichen. Deshalb helfe ich der NCL-Stiftung im Rahmen meiner Möglichkeiten, das große Ziel einer Zukunft ohne Kinderdemenz zu erreichen.*



© Henning Scheffert Photography



© Frank Stefan Kimmel

### ZODWA SELELE

**Musicalstar**

*Ich bin über einen Freund, der selbst Botschafter ist, auf die NCL-Stiftung aufmerksam geworden. Ich bin aus allen Wolken gefallen, als ich von dieser tödlichen und tückischen Krankheit gehört habe [...] Viele Menschen haben noch nie von dieser Erbkrankheit gehört und die richtige Diagnose wird oft zu spät festgestellt. Ich möchte mein Möglichstes tun, darüber aufzuklären und die Anonymität dieser Krankheit zu beenden. Mit meinen Mitteln und Möglichkeiten [...] unterstütze ich die Forschung der NCL-Stiftung. Als Botschafterin des Herzens!*

## Benefizveranstaltungen

Nur in der Gemeinschaft mit vielen kann das Ziel erreicht werden, eine Therapie gegen die Kinderdemenz zu entwickeln. Im Rahmen des Fundraising sind besonders Benefizveranstaltungen wichtig, um die für die Forschung so dringend benötigten finanziellen Mittel einzuwerben.

### BENEFIZ-KUNSTAUKTION LEBENSKÜNSTLER

Die NCL-Stiftung richtet seit vielen Jahren die Benefiz-Kunstauktion „LebensKünstler“ aus, bei der Werke von namhaften Künstlern und Galerien zur Auktion bereitgestellt werden. Die Kunstauktion ist das größte und medial bekannteste Event der Stiftung, das seit einigen Jahren in JENSENs Lagerhaus in Hamburg stattfindet: Jedes Jahr kommen hierbei Unterstützer\*innen, Sponsoren und Kunstinteressierte zusammen, um sich im Rahmen einer kurzweiligen Veranstaltung mit Auktionatorin Eva-Maria Uebach-Kendzia und Moderatorin und Mit-Organisatorin Birgit Saatrübe-Möllers von Kunst begeistern zu lassen. Als Künstler\*innen und Gäste konnten u.a. bisher bereits begrüßt werden: Udo Lindenberg, Heinke Böhnert, Jens Rausch, Paul Schrader und Juliane Golbs sowie Dagmar Berghoff, Saskia Fischer, Susanne Daubner und Farhad Vladi. Verlässlicher Partner bei der Veranstaltung ist das Hamburg Marriot Hotel.

### MÜNSTERANER KRIMI-CUP

Die NCL-Stiftung ist sehr dankbar, beim „Münsteraner Eagles Krimi-Cup“ begünstigt zu werden. Das Benefiz-Golfturnier lockt für den guten Zweck viel Prominenz aus Funk- und Fernsehen nach Münster, wo im Golf-Club Aldrupe Heide ein Wochenende mit Golf, Charity und Unterhaltung geboten wird. Neben dem Golfturnier gehört die **Abendgala** im Mövenpick Hotel mit Tombola und Musik zum Höhepunkt der Veranstaltung. Organisiert wird sie von Moderator **Werner Schulze-Erdel** und dem Schirmherrn der NCL-Stiftung **Jan Josef Liefers**.



Bild 21: Krimi-Cup mit prominenter Beteiligung u.a. mit Jan Josef Liefers, Werner Schulze-Erdel, Anna Loos und Wolfgang Kubicki.

©Joachim Busch



Bild 23: Bei der „LebensKünstler“ Kunstauktion der NCL-Stiftung werden jedes Jahr Werke namhafter Künstler versteigert.



Bild 22: Die Initiatoren des Krimi-Cups: Jan Josef Liefers und Werner Schulze-Erdel - hier gemeinsam mit Anna Loos.

©Joachim Busch



Bild 24: Prominente Teilnehmer bei der Kunstauktion (v.li.n.re.): Nachrichtensprecherin Susanne Daubner, Unternehmer Farhad Vladi, Schauspielerin Saskia Fischer und ehemalige Nachrichtensprecherin Dagmar Berghoff.

©Thommy Willkowi Fotografie

©Thomas Meyer

## NCL-GOLF-TROPHY

Jedes Jahr im Frühling laden das Golf Resort Adendorf und die NCL-Stiftung zur „**NCL-Golf-Trophy**“ ein. Auf der schönen Anlage in der Lüneburger Heide können Groß und Klein einen abwechslungsreichen Golftag erleben und dabei zur Erforschung der seltenen Kinderdemenz NCL beitragen. Im Rahmen der Veranstaltung wird ein Turnier gespielt, Schnupper-Golfkurse werden angeboten und es wird eine Tombola mit vielen Preisen ausgerichtet. Für alle Spieler\*innen und Interessierte ein absolutes Muss im Golf-Kalender!



©Kristen Köhler

Bild 25: Schauspieler Gerry Hungbauer beim Adendorfer Golfturnier.

## SERVICE-ORGANISATIONEN, UNTERNEHMEN & EHRENAMTLICHE HELFER

Die Stiftung wird von Service-Organisationen wie Round Table Deutschland, Old Table und Ladies Circle tatkräftig unterstützt und ebenfalls bei deren eigenen Veranstaltungen begünstigt. Auch weitere Service-Clubs wie Lions und Rotary sowie deren Jugendorganisationen, die Leos und die Rotaracter, engagieren sich für NCL. Seit vielen Jahren richtet die NCL-Stiftung z.B. gemeinsam mit Old Table 300 das Oldtimerfest aus, bei dem viele Sammler\*innen ihre Oldtimer Schmuckstücke ausstellen. Die Budnieraner Hilfe unterstützt die Stiftung zweimal jährlich mit dem Budni-Patentag. Und auch bei der Tombola des Sommerfestes der Mitarbeiter\*innen der von Poll Immobilien GmbH und deren Golfturnier konnte die Stiftung bereits auf Unterstützung zählen. Darüber hinaus wird die Stiftung von zahlreichen Kleinunternehmen oder großen Konzernen unterstützt, so von Marriott und Telefónica, weiterhin von Einzelpersonen, prominenten NCL-Botschaftern, mittels Schirmherrschaften sowie vieler ehrenamtlicher Helfer\*innen.

## Die Kraft des Einzelnen

Hervorzuheben ist auch das große Engagement individueller Unterstützer\*innen, die aus eigenem Antrieb Spendeninitiativen zu Gunsten der Stiftung durchführen. So z.B. **Jan Hähnlein**: Er organisierte bereits zahlreiche Spendenaktionen, die der Stiftung neben wertvollen Spendenbeträgen auch viel Aufmerksamkeit einbrachten. Neben seinen Mega-Märschen, der Aktion „Jan Hähnlein fährt“, seiner Kajak-Tour von Erfurt nach Cuxhaven organisiert er auch den Charity-Marsch „Heros“. Zu nennen ist zudem **Martin Hengesbach**, der innerhalb von 14 Tagen von Oslo nach Trondheim wanderte und dabei fleißig für die NCL-Forschung sammelte. Und auch die Winzerin **Janine Reichert** ist aktiv - so veranstaltet sie Charity -Weinproben und verkauft exklusiven „NCL-Wein“, bei dessen Kauf jeweils 1 EUR an die Stiftung geht.

## Wie Sie helfen können

Es gibt vielfältige Möglichkeiten, Spenden zu sammeln: So können Sie an Ihrem Geburtstag oder auf Feiern anstelle von Geschenken **Spenden sammeln**. Eine weitere Möglichkeit sind **Kondolenz-Spenden**. Ebenso können Sie ein „**Rolling Dinner**“ ausrichten oder eine **Spendenaktion** auf der NCL-Homepage oder über Social Media starten. Auch durch den Kauf des NCL-Weins oder des Kinderbuchs **Hummel Holly** ist der Stiftung geholfen. So können Sie aktiv einen Beitrag dazu leisten, die Lebensqualität der NCL-Kinder zu verbessern und ihnen und ihren Familien eine Aussicht auf Behandlung und Heilung zu geben.

## Möchten auch Sie helfen?

Das NCL-Spendenkonto:  
 NCL-Stiftung  
 IBAN: DE50 2005 0550 1059 2230 30  
 BIC: HASPDEHHXXX  
 (Hamburger Sparkasse)





Bild 26: Der Elternratgeber der NCL-Stiftung.

Neben dem Schwerpunkt der Forschungsförderung und der Aufklärungsarbeit für NCL ist die Stiftung auch beratend für betroffene Familien tätig.

Vor allem aus den vielen Gesprächen mit Betroffenen ist ein „Ratgeber für Eltern“ nach der Diagnose juvenile NCL entstanden. Er soll mit einem Überblick über vielfältige **Unterstützungsangebote**, **Adressen** und **Tipps** für Entlastung sorgen und in der schwierigen Zeit nach der Diagnose **Orientierung** geben.

Gerade auch beim Fortschreiten der Erkrankung, wenn die Symptome wie Sehverlust, der Abbau der kognitiven Fähigkeiten und Persönlichkeitsveränderungen deutlich werden, können Eltern viel dafür tun, um ihrem Kind die **bestmögliche Lebensqualität** zu schenken.

Der Ratgeber steht als **Download** auf der **NCL-Homepage** unter „Kinderdemenz NCL ▶ Leben mit NCL“ zur Verfügung.

## BERATUNG

Für eine Beratung stehen NCL-Experten verschiedener Einrichtungen zur Verfügung:

### Universitätsklinikum Hamburg-Eppendorf

Klinik für Kinder- und Jugendmedizin

**Dr. Angela Schulz** (Pädiatrie): [info@ncl-netz.de](mailto:info@ncl-netz.de)

**Dr. Simon Dulz** (Augenheilkunde): [s.dulz@uke.de](mailto:s.dulz@uke.de)

**Dr. med. Yevgeniya Atiskova** (Augenheilkunde):

[y.atiskova@uke.de](mailto:y.atiskova@uke.de)

Tel.: +49 (0) 40 7410 20440

[www.kinderdemenz-ncl.de](http://www.kinderdemenz-ncl.de)

### Universitäts-Kinderspital Zürich Klinik für Neurologie

**Prof. Dr. Dr. med. Robert Steinfeld**

Tel.: +41 (0) 44 266 73 30

[robert.steinfeld@kispi.uzh.ch](mailto:robert.steinfeld@kispi.uzh.ch)

### Abt. Kinderneurologie, Sozialpädiatrie und Epileptologie, Zentrum Kinderheilkunde Gießen

**Prof. Dr. Andreas Hahn**

Tel.: +49 (0) 641 985 434 81

[andreas.hahn@paediat.med.uni-giessen.de](mailto:andreas.hahn@paediat.med.uni-giessen.de)

### Augenarztpraxis Prof. Dr. Rüter, Berlin

**Prof. Dr. med. Klaus Rüter**

Tel.: +49 (0) 30 22 91 61 00

[praxis@prof-ruether.de](mailto:praxis@prof-ruether.de)

### NCL-Stiftung

**Dr. Frank Stehr**

Tel.: +49 (0) 40 69 666 7419

[frank.stehr@ncl-stiftung.de](mailto:frank.stehr@ncl-stiftung.de)

### NCL-Gruppe Deutschland e. V.

Selbsthilfegruppe

**Juliane Sasse**

Tel.: +49 (0) 30 25044916 (AB)

[Juliane.Sasse@ncl-info.de](mailto:Juliane.Sasse@ncl-info.de)

# Das Stiftungsteam

## Dr. Frank Stehr

Vorstand  
+49 (0) 40 69 666 74 11  
frank.stehr@ncl-stiftung.de

## Dr. Herman van der Putten

Forschung  
+49 (0) 163 73 830 83  
herman.vanderputten@ncl-stiftung.de

## Dr. Birgit Faßbender

Wissenschaftskommunikation  
birgit.fassbender@ncl-stiftung.de

## Josephine Rath

Unternehmenskooperationen  
+49 (0) 40 69 666 74 22  
josephine.rath@ncl-stiftung.de

## Maria Scharpff

Assistenz  
+49 (0) 40 69 666 74 33  
maria.scharpff@ncl-stiftung.de

## Tiziana Serio (in Elternzeit)

Fundraising & Fortbildung  
tiziana.serio@ncl-stiftung.de

## Michelle Bonke (in Elternzeit)

Projektkoordination  
michelle.bonke@ncl-stiftung.de

Zu unserem Team gehören zusätzlich viele **ehrenamtliche Helfer\*innen** und unsere **Praktikant\*innen** und **Werkstudent\*innen**



Bild 27: Stellvertretend für das gesamte Stiftungsteam (v.li.): Michelle Bonke, Dr. Herman van der Putten, Dr. Frank Stehr, Josephine Rath.

©Andreas Überschär

*„Man muss das Unmögliche versuchen,  
um das Mögliche zu erreichen.“*

Hermann Hesse

## DANK

Ein **besonderer Dank** gilt allen Unterstützern, die der NCL-Stiftung ihre Arbeit pro bono zur Verfügung stellen (Auszug):

A.Behrens & G.Felsch | Alarmzentrale Hamburg | Alison Fry | Alsterarkaden Apotheke | Benedikt Pfander | Bernd Husemann | Christine Burlon | Comedia. IT | Dr. Martin Wilhelmi | Edeka Struve | Eichhorn Solutions | Hamburg Airport | HanseRent | Hartleif-Kimenkowski Steuerberater | Hogan Lovells | Janbo Nörskau | Jimdo | Luther Rechtsanwälte | Martin Sommer | Matthias Niehoff | MedLearning | Michaela Jost-Lambacher | MÖHRLE HAPP LUTHER Wirtschaftsprüfungsgesellschaft | Niels Faassen | Peter Lübecke | Peter Suhren | Rapidmail | Rautenherz | SAP | SmartChecker | Springer Bio-Backwerk | StartUP Praxis | TEREK | The EAGLES Charity Golf Club | Thomas Bodenburg | von Poll Immobilien | Werum IT Solution

## NCL-Stiftung

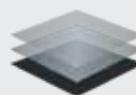
Holstenwall 10  
20355 Hamburg  
Telefon: +49 (0) 40 69 666 74-0  
Fax: +49 (0) 40 69 666 74-69  
E-Mail: [contact@ncl-stiftung.de](mailto:contact@ncl-stiftung.de)  
Internet: [www.ncl-stiftung.de](http://www.ncl-stiftung.de)  
[www.ncl-foundation.com](http://www.ncl-foundation.com)



## Das NCL-Spendenkonto:

NCL-Stiftung  
IBAN: DE50 2005 0550 1059 2230 30  
BIC: HASPDEHHXXX (Hamburger Sparkasse)

Mitglied im



Initiative  
Transparente  
Zivilgesellschaft



#### **Kontakt**

NCL-Stiftung  
Holstenwall 10  
20355 Hamburg

Telefon: +49 (0) 40 69 666 74 0  
Fax: +49 (0) 40 69 666 74 69  
E-Mail: [contact@ncl-stiftung.de](mailto:contact@ncl-stiftung.de)  
Internet: [www.ncl-stiftung.de](http://www.ncl-stiftung.de)  
[www.ncl-foundation.com](http://www.ncl-foundation.com)

#### **Druck**

ABT Print und Medien GmbH  
Bruchsaler Straße 5  
69469 Weinheim

Telefon: +49 (0) 6201 1890 0  
E-Mail: [info@abt-medien.de](mailto:info@abt-medien.de)  
Internet: [www.abt-medien.de](http://www.abt-medien.de)

#### **Layout**

Edward Koch  
Telefon: +49 (0) 160 966 047 21  
E-Mail: [e.koch@fietedeichgraph.de](mailto:e.koch@fietedeichgraph.de)  
Internet: [www.fietedeichgraph.de](http://www.fietedeichgraph.de)

Christine Burlon  
Internet: [www.burlon-design.de](http://www.burlon-design.de)

Niels Faassen  
Internet: [www.nielsfaassen.de](http://www.nielsfaassen.de)

Die Erstellung und der Druck der Stiftungsbroschüre wurden von den Grafikdesignern Edward Koch, Christine Burlon und Niels Faassen sowie der ABT Print und Medien GmbH gesponsert. Herzlichen Dank!