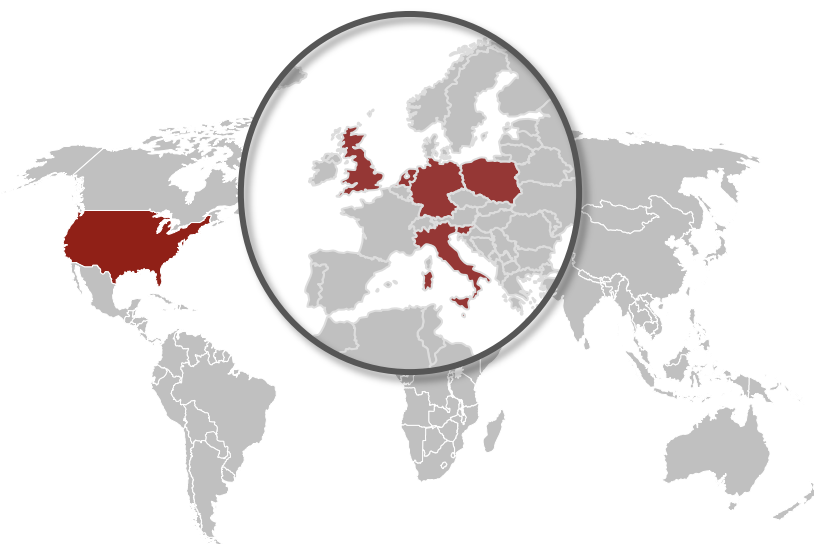


TIRCON

Treat Iron-Related Childhood-Onset Neurodegeneration



Informationsblatt von Hoffnungsbaum e.V.

www.tircon.eu

FP7 (277984-2)



TIRCON - Ein EU-gefördertes Projekt zur seltenen Erkrankung NBIA

TIRCON (“Treat Iron-Related Childhood-Onset Neurodegeneration”) ist ein Forschungskonsortium mit 13 Partnern aus 8 Ländern, das von der EU im 7. Forschungsrahmenprogramm gefördert wird. Das Konzept von TIRCON ist es, die überall in Europa und auf internationaler Ebene vorhandene herausragende, aber vereinzelte Expertise in der NBIA-Forschung und Versorgung zusammenzubringen. Ziel des Projektes ist der Aufbau eines strukturierten Netzwerkes zur Verbesserung der Diagnostik und Behandlung von NBIA.

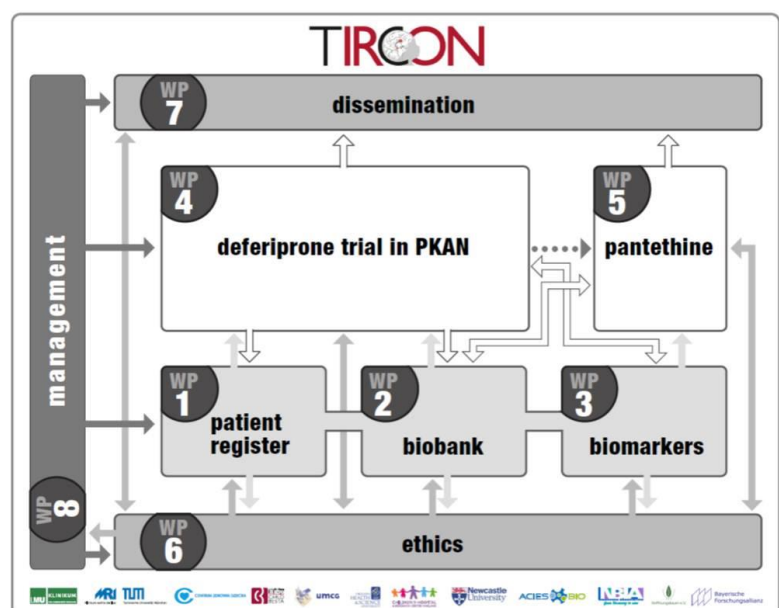
Der Fokus von TIRCON

Neurodegeneration mit Eisenspeicherung im Gehirn (Neurodegeneration with brain iron accumulation, NBIA) ist eine klinisch und genetisch heterogene Gruppe seltener, erblich bedingter, neurodegenerativer Erkrankungen, die durch abnorme Eisenablagerungen im Gehirn gekennzeichnet sind. Viele Fälle von NBIA sind gekennzeichnet durch einen Beginn im frühen Kindesalter und ein rasches Fortschreiten der Erkrankung hin zu Behinderung und Tod. Die häufigste Form von NBIA ist Pantothenatkinase Assoziierte Neurodegeneration (PKAN). Zurzeit gibt es keine erprobte Therapie, um PKAN oder jede andere Form von NBIA zu stoppen oder rückgängig zu machen. Dies ist besonders bedauerlich, da sowohl die Eisenablagerungen bei NBIA als auch der biochemische Defekt bei PKAN voraussichtlich auf eine medikamentöse Behandlung ansprechen. Daher ist das Ausbleiben angemessen durchgeführter randomisierter klinischer Studien nicht auf einen Mangel an therapeutischen Möglichkeiten, sondern auf die Seltenheit der Erkrankung, auf das Fehlen eines Patientenregisters und die weltweite Zersplitterung der therapeutischen Forschung zurückzuführen.

Bei TIRCON hat erstmalig eine internationale Gruppe von Wissenschaftlern und Klinikern ein gemeinsames Projekt mit Patientenvertretern und innovativen Unternehmen im Bereich der Produktentwicklung für seltene Erkrankungen ausgearbeitet.

Die Ziele von TIRCON sind:

1. Aufbau eines internationalen NBIA-Patientenregisters
2. Einführung einer Biobank
3. Entwicklung von Biomarkern für die Erkrankung
4. Durchführung einer randomisierten klinischen Studie bei PKAN mit der Eisen bindenden Substanz Deferiprone
5. Präklinische Studien mit Pantethin zur Behandlung von PKAN



TIRCONs Struktur: Jedes Partnerinstitut hat spezifische Aufgaben in einem oder mehreren der 8 Arbeitsbereiche zu leisten.

Die Auswirkungen von TIRCON

Eine koordinierte, internationale Initiative wie TIRCON wird einen Rahmen für Verbesserungen in der klinischen Praxis und Forschung schaffen, einschließlich folgender wichtiger Auswirkungen:

- **Strukturelle Auswirkung:** Durch den kooperativen Ansatz führender medizinischer NBIA-Zentren in Europa und den USA, NBIA-Patientenorganisationen und der Biotech-Industrie bringt TIRCON Patienten und Patientendaten, wissenschaftliche und klinische Expertise sowie die Beteiligung der Biotech-Industrie erstmalig in einer strukturierten, gut vernetzten Form zusammen.
- **Wissenschaftliche Auswirkung:** Die Strukturierung der NBIA-Forschung auf internationaler Ebene wird eine ausreichende Zahl von Patienten für statistische Nachweise und für die Erzielung verlässlicher wissenschaftlicher Ergebnisse sicherstellen, um neue Erkenntnisse über NBIA zu gewinnen, die durch enge Zusammenarbeit mit der Industrie in weitere geeignete medikamentöse Therapiestrategien überführt werden können.
- **Wirtschaftliche Auswirkung:** Die Beteiligung eines mittelständischen Unternehmens an TIRCON wird die Innovationskraft und Wettbewerbsfähigkeit der europäischen, im Gesundheitssektor tätigen Unternehmen erhöhen.
- **Auswirkung im Gesundheitswesen:** Die Dialogführung mit öffentlichen und privaten Einrichtungen des Gesundheitssystems wird die wissenschaftlichen Ergebnisse in Strategien der klinischen Therapie und der Gesundheitsfürsorge übertragen.
- **Soziale Auswirkung:** TIRCON soll zur Verbesserung der therapeutischen Möglichkeiten einer fortschreitenden, beeinträchtigenden und oft lebensbedrohlichen Erkrankung und zu einer deutlichen Verbesserung der Infrastruktur für NBIA-Patienten führen.



Hoffnungsbaum e.V.

Hoffnungsbaum e.V. - Verein zur Förderung der Erforschung und Behandlung von NBIA (vormals: Hallervorden-Spatz-Syndrom) ist die bundesweit tätige deutsche NBIA-Selbsthilfegruppe. Der Verein leistet betroffenen Familien emotionalen Beistand, berät sie und fördert den

Austausch von Familien, behandelnden Ärzten und Forschern untereinander. Ein wichtiges Forum dafür sind die alle zwei Jahre stattfindenden NBIA-Familienkonferenzen in Deutschland. Hoffnungsbaum e.V. informiert über die Krankheitsgruppe, fördert die NBIA-Forschung und die Verbesserung der medizinischen Versorgungssituation finanziell und durch intensive nationale und internationale Vernetzung, auch mit Schwester- und Dachorganisationen der Selbsthilfe. Aussichtsreiche Forschung hin zu wirksamen Therapien erfordert bei einer derart seltenen Erkrankung eine über die nationalen Grenzen hinausreichende Kooperation vieler Forschungs- und Versorgungszentren in Europa und auf globaler Ebene. Deshalb markiert das von der Europäischen Union geförderte Forschungskonsortium TIRCON, dessen wissenschaftliche Partner zur Weltelite der NBIA-Forschung zählen, einen entscheidenden Schritt auf dem Weg hin zu besseren Behandlungsmöglichkeiten. Die Patientenorganisationen Hoffnungsbaum e.V. und die amerikanische NBIA Disorders Association haben als TIRCON-Partner die Gelegenheit, die Patientenperspektive aktiv in den Forschungsverbund einzubringen.

Kontakt:

Projektkoordination:
Ludwig-Maximilians-Universität
Prof. Dr. med. Thomas Klopstock
tircon@med.uni-muenchen.de
Tel. +049 (0)89-5160-7421

Projektmanagement:
Bayerische Forschungsallianz
Dr. Florence Gauzy
tircon@bayfor.org
Tel. +049 (0)89-9901-888-181

Patientenkontakt: Hoffnungsbaum e.V.
Angelika Klucken, hoffnungsbaum@aol.com
Tel. +049 (0)2051/68075

TIRCON Partner:



Ludwig-Maximilians-Universität München, Deutschland



Children's Hospital Oakland, USA



University Medical Centre Groningen, Niederlande



Klinikum rechts der Isar



Technische Universität München

Technische Universität München, Deutschland



Newcastle University, England



Oregon Health & Science University, USA



ApoPharma, Kanada



Children's Memorial Health Institute, Polen



ACIES BIO, Slowenien



Bayerische Forschungsallianz GmbH, Deutschland



Foundation Neurological Institute Besta, Italien



NBIA Disorders Association, USA



Hoffnungsbaum e.V., Deutschland