



Ein qualvoller Leidensweg hat einen Namen



Wir Morquios bedanken uns bei Bundeskanzler Dr. Wolfgang Schüssel und Bundesministerin Liese Prokop für die persönliche Unterstützung der Mukopolysaccharidose-Kranken in Österreich und auf der ganzen Welt.

In Kooperation mit der "Gesellschaft für MukoPolySaccharidosen und ähnliche Erkrankungen"



MORBUS MORQUIO

MORBUS MORQUIO INTERNATIONAL

Verein zur Förderung der Therapie von Morbus Morquio (MPS IVa)

Vereinsregisterzahl: MDS3-V1726

Präsident:
Ing. Werner Fakler

Pharmazeutischer Berater:
Mag. Dr. Robert Terkola

Vereinssitz:
A-2340 Mödling
Templergasse 9-11/4
① +43 (0)676 40 777 67
info@morbus-morquio.org
www.morbus-morquio.org

Spendenkonto:
Konto-Nr. 5238 7 500 501
BA-CA, BLZ 12000
lautend auf
Morbus Morquio International





Maria P., 12 Jahre,
Körpergröße 94 cm

„Wäre so gerne groß,
obwohl ich mir gar nicht
vorstellen kann, wie das ist.“

Maria verschlingt Bücher,
geht gerne schwimmen und
Rad fahren, und sie liebt
Latein.

Auch das Chatten im
Internet gehört zu Ihren
Lieblingsbeschäftigungen.

Einmal eine eigene Familie
und Kinder zu haben, davon
träumt Maria.

Ein Wunsch, der sich
hoffentlich erfüllen wird.



Ein qualvoller Leidensweg hat einen Namen **MORBUS MORQUIO**

- MORBUS MORQUIO ist eine sehr seltene, angeborene Stoffwechselerkrankung aus der Gruppe der Mukopolysaccharidosen (MPS).
- Ausgelöst durch einen genetischen Enzymdefekt werden Sinnesorgane, innere Organe und Gelenke zerstört und Knochen deformiert.
- Die Erkrankung ist durch einen extremen Minderwuchs (ca. 100 cm!) und durch geringe Lebenserwartung gekennzeichnet.
- Schmerzen und Leid sind die ständigen Begleiter der Betroffenen.
- Intelligente junge Menschen erleben täglich ihren körperlichen Verfall.
- MORBUS MORQUIO macht aus fröhlichen Kindern verkrüppelte Menschen ... und ist – **vielleicht war** – bis heute unheilbar.

Denn: Jetzt gibt es erstmals eine ganz konkrete Chance auf Therapie und die reale Hoffnung, dem leidvollen Prozess grundlegend entgegen zu wirken!

Prof. Dr. Shunji Tomatsu

ist nach 20jähriger Forschung der

Die Abfallprodukte des Stoff-
wechsels können bei Menschen,
die an MORBUS MORQUIO
erkrankt sind, durch ein fehlen-
der Enzym nicht abtranspor-
tiert werden und verursachen



von der University of St. Louis (USA)
entscheidende Durchbruch gelungen:

wechsels können bei Menschen,
die oben beschriebenen körperlichen Zerstörungen.

Durch eine nun in Entwicklung befindliche **Enzymersatztherapie** sollte es künftig gelingen, das fehlende Enzym mit Hilfe einer Trägersubstanz in die betroffenen Körperregionen einzuschleusen und so für den notwendigen Abtransport der schädlichen Abfallprodukte des Stoffwechsels zu sorgen.



Benedikt „Beny“ L., 23 Jahre

„Ich wünsche allen
Morquio-Kindern, dass
sie jene Medizin erhalten,
die Ihnen hilft ... vor allem
aber, dass sie ein gesundes
Selbstbewusstsein und ein
starkes Selbstvertrauen
entwickeln.“

Beny studiert Musikwissen-
schaften und möchte
Kulturmanager oder
Theaterintendant werden.

Er hat seinen Lebenssinn
im Glauben und seine
Lebensfreude in der Musik
gefunden. Hat gelernt, sich
so zu akzeptieren wie er ist
... sein großer Freundeskreis
tut dies ebenso.





Dr. Shunji
Tomatsu M.D.
Associate Professor

Department of Pediatrics
Saint Louis University School
of Medicine
Pediatric Research Institute
3662 Park Ave
St. Louis MO 63104, USA
① 001 314 577 5623 - 6213
tomatsus@slu.edu



Univ. Prof. Dr.
Olaf Bodamer

Zentrum für angeborene
Stoffwechselstörungen und
pädiatrische Genetik
Österreichisches
NeugeborenenScreening
Universitäts-Kinderklinik Wien
Währinger Gürtel 18-20
A-1090 Wien
① +43 (0)1 40 400 - 3210
olaf.bodamer@
meduniwien.ac.at

Unsere Hoffnung

Prof. Dr. Tomatsu und Ihre Spende

Aufgrund des seltenen Auftretens dieser Erkrankung liegt der Schwerpunkt der Erforschung neuer Therapien nicht bei MORBUS MORQUIO. Deshalb ist die Entwicklung eines rettenden Medikaments ohne Sponsoren und großzügige Unterstützung durch Spendengelder unmöglich.

Für die Durchführung der erforderlichen **Klinischen Prüfung** konnte das „Zentrum für angeborene Stoffwechselstörungen und pädiatrische Genetik“ an der Universitäts-Kinderklinik Wien (AKH) unter der Leitung von Prof. Dr. Olaf Bodamer gewonnen werden. Nach neuester Kostenberechnung werden neben der Unterstützung durch das AKH Wien zusätzlich **€ 5.500.000,-** für die Durchführung der Klinischen Prüfung der Entdeckung von Prof. Dr. Tomatsu erforderlich sein.

Diese dringend nötigen Geldmittel trennen tausende Morquios auf der ganzen Welt vom Beginn der rettenden Therapie. Prof. Dr. Tomatsu und Ihre Spende sind unsere Hoffnung.

Die Schnelligkeit der Klinischen Prüfung an der Universitäts-Kinderklinik Wien ist für uns entscheidend. **Jeder Tag zählt.**

Wir Morquios bedanken uns schon jetzt bei allen, die uns bei der Verwirklichung der ersehnten Therapie unterstützen.

Jede noch so kleine Hilfe bringt uns der **Chance auf Zukunft** ein Stück näher. Danke!



MORBUS MORQUIO INTERNATIONAL

Verein zur Förderung
der Therapie von
Morbus Morquio (MPS IVa)

Vereinsregisterzahl: MDS3-V1726

Präsident:
Ing. Werner Fakler

Pharmazeutischer Berater:
Mag. Dr. Robert Terkola

Vereinssitz:
A-2340 Mödling
Templergasse 9-11/4
① +43 (0)676 40 777 67
info@morbus-morquio.org
www.morbus-morquio.org

Spendenkonto:
Konto-Nr. 5238 7 500 501
BA-CA, BLZ 12000
lautend auf
Morbus Morquio International

Danke!