



Titelbild: www.imagesource.de

Editorial Editorial

- J. Schmidtke · R. E. Schmidt
Seltene Krankheiten als Modelle klinischer Forschung – von der genetischen Aufklärung zur besseren Versorgung 1475
 Rare diseases as models in clinical research – from genetics to better medical care

Leitthema: Seltene Krankheiten Leading theme

- S. Aymé · J. Schmidtke
Networking for rare diseases: a necessity for Europe 1477
 Netzwerke für seltene Krankheiten in Europa
- A. Reimann · J. Bend · B. Dembski
Patientenzentrierte Versorgung bei seltenen Erkrankungen. Perspektive von Patientenorganisationen 1484
 Patient-centred care in rare diseases. A patient organisations' perspective
- F. Brunsmann · R. von Gizycki · A. Rybalko · A. G. Hildebrandt · K. Rütter
Patientenselbsthilfe und seltene Erkrankungen. Mitgestaltung der Versorgungsrealität am Beispiel seltener Netzhautdegenerationen 1494
 Patient participation in medical care, taking rare retinal degenerations as examples
- R. E. Schmidt
Primäre Immundefekte. Ergebnisse einer europäischen Public-Health-Konsensuskonferenz 1502
 Primary immunodeficiencies. Results of an European public health consensus conference
- C. Baum · A. Schambach · U. Modlich · A. Thrasher
Gentherapie der SCID-X1 1507
 Gene therapy of SCID-X1
- H. Lochmüller · V. Straub
Das Muskeldystrophie-Netzwerk MD-NET 1518
 MD-NET – Muscular Dystrophy Network
- J. B. Schulz
Hereditäre Bewegungsstörungen 1524
 Hereditary movement disorders
- J. Gärtner · A. Kohlschütter · V. Gieselmann
Netzwerkprojekte für die Erforschung von Leukodystrophien, einer Gruppe seltener Erkrankungen der weißen Substanz des Nervensystems 1531
 Leukodystrophies: diseases of white matter of the nervous system
- L. Bruckner-Tuderman · H. Traupe · T. Krieg
Die Situation seltener Hautkrankheiten in Deutschland 1541
 The situation of rare skin diseases in Germany
- S. Després · M.W. Engel · B. Zabel
Skelettdysplasien. Das Netzwerk SKELNET 1548
 Skeletal dysplasias. The network SKELNET
- U. Wendel · P. Burgard
Seltene genetische Stoffwechselstörungen 1556
 Rare metabolic diseases
- C. Zeidler · K. Welte
Angeborene Störungen der Blutbildung. Die Entwicklung der letzten 20 Jahre am Beispiel der kongenitalen Neutropenie 1564
 Congenital bone marrow failure syndromes. The last 20 years by the example of congenital neutropenia
- U. Thyen · E. Hampel · O. Hiort
Störungen der Geschlechtsentwicklung 1569
 Disorders of sex development