

Ärzte Zeitung, 29.07.2014 08:12

Bayern

Allianz forscht gegen seltenen Kinderkrankheiten

Eine neue Allianz von Bayerischer Forschungstiftung, privaten Spenden und der Biotech-Industrie ermöglicht die Entwicklung neuer Medikamente zur Behandlung von Kindern mit seltenen Erkrankungen.



Die Bekämpfung seltener Erkrankungen ist für Forscher eine besondere Herausforderung.

© Gina Sanders/fotolia.com

MÜNCHEN. Gemeinsam mit Biotech-Firmen wollen Wissenschaftler am Dr. von Haunerschen Kinderspital des Klinikums der LMU München dringend nötige medikamentöse Therapien zur Behandlung von Kindern mit seltenen Erkrankungen entwickeln.

Möglich wird dieses von Dr. Søren Gersting und Professor Ania Muntau geleitete Projekt nach Angaben der Universität durch eine Förderung der Bayerischen Forschungstiftung sowie eine großzügige Spende einer Münchner Familie.

Mit einem Gesamtvolumen von 1,9 Millionen Euro könnten die Wissenschaftler in Kooperation mit den Firmen Crelux aus Martinsried und Nanotemper aus München nach neuen Wirkstoffen fahnden und gleichzeitig die notwendigen Technologien weiterentwickeln.

Bei einer Vielzahl genetischer Erkrankungen führen den Angaben zufolge Mutationen zu Veränderungen von Eiweißstoffen, die wichtige Funktionen im Körper übernehmen. Eiweiße bestehen bekanntlich aus langen Ketten, die sich aus unterschiedlichen Kombinationen von nur 20 verschiedenen Aminosäuren zusammensetzen. In der Zelle werden diese Ketten in eine dreidimensionale Struktur gefaltet.

"Die Form und Beweglichkeit der Eiweiße bestimmen ihre Funktion", erklärt Gersting. "Durch Mutationen werden einzelne Aminosäuren in der Kette ausgetauscht, es kommt zu einer veränderten Faltung und dadurch zu einem Verlust der Stabilität und der Funktion. Letztlich werden diese instabilen und funktionslosen Eiweiße von der Zelle erkannt und abgebaut."

Bei den seltenen Krankheiten Phenylketonurie und MCAD-Mangel seien Eiweiße betroffen, die für den Abbau von Stoffwechselprodukten in der Zelle zuständig sind. Durch den Funktionsverlust stauten sich Stoffwechselprodukte im Körper an und die Patienten erlitten unbehandelt schwere neurologische Schäden.

Fehlfaltung soll verhindert werden

Die Forscher wollen mittels neuester Methoden von Hochdurchsatzverfahren und hochauflösender Röntgentechnik Medikamente finden, die die krankhafte Fehlfaltung der Eiweißstoffe verhindern. Damit könnte nach Forscheraussagen 15.000 Kindern mit Phenylketonurie und MCAD-Mangel in Europa geholfen werden.

"Das Prinzip ist zwar noch sehr neu", räumt Muntau ein, "wir konnten aber bereits die Entwicklung eines solchen Faltungshelfers zum Medikament begleiten, das heute zur Behandlung der seltenen Stoffwechselerkrankung Phenylketonurie eingesetzt wird.

Dieses Prinzip möchten wir nun technologisch verbessern und auch auf andere Erkrankungen übertragen, um den betroffenen Kindern eine wenig belastende Behandlung zu ermöglichen."

Die Wissenschaftler wollen nach eigenem Bekunden innerhalb der dreijährigen Laufzeit des Projekts Faltungshelfer identifizieren, die schließlich von der Pharmaindustrie zu Medikamenten weiterentwickelt werden.

"Es gibt erst wenige Beispiele solcher interdisziplinärer Forschungsprojekte für seltene Erkrankungen an der Schnittstelle von Klinik, Grundlagenforschung und Industrie", ergänzt Professor Christoph Klein, Direktor am Dr. von Haunerschen Kinderspital und Sprecher der deutschen Netzwerke für Seltene Erkrankungen.

Es gibt mehr als 7000 bekannte seltene Erkrankungen, aber nur rund 100 zugelassene Medikamente für die Orphan Diseases. Es sei deklariertes Ziel der internationalen Forschergemeinde, bis zum Jahr 2020 mindestens 200 neue Medikamente für seltene Erkrankungen zu entwickeln. (*maw*)

Copyright © 1997-2014 by Ärzte Zeitung Verlags-GmbH