

Ausgezeichnet: Forschungspreis für die Gentherapie seltener Erkrankungen

Die Eva Luise und Horst Köhler Stiftung für Menschen mit seltenen Erkrankungen hat ihren mit 50.000 Euro dotierten Forschungspreis 2011 an ein interdisziplinäres Team verliehen: Professor Dr. Christoph Klein, Klinik für Pädiatrische Hämatologie und Onkologie der Medizinischen Hochschule Hannover (MHH), Professor Dr. Christopher Baum, MHH-Abteilung für Experimentelle Hämatologie, Professor Dr. Christoph von Kalle, Nationales Zentrum für Tumorerkrankungen (NCT) Heidelberg und Dr. Kaan Boztug, Medizinische Universität Wien, bis Januar 2011 wissenschaftlicher Mitarbeiter in der MHH-Klinik für Pädiatrische Hämatologie und Onkologie.

"Wir freuen uns sehr, dass uns die Eva Luise und Horst Köhler Stiftung ihren renommierten Preis zuerkennt. Wir wollen diese Mittel zu einer Etablierung einer interdisziplinären Plattform für die Gentherapie seltener Erkrankungen einsetzen", erklärte Professor Christoph Klein. Die Preisträger haben in Deutschland auf dem Gebiet der seltenen Erkrankungen Pionierarbeit geleistet. Das Team um Professor Christoph Klein hat nach jahrelangen Vorarbeiten eine Gentherapie für Kinder mit Wiskott-Aldrich Syndrom (WAS) entwickelt. Die betroffenen Kinder leiden aufgrund eines Gendefektes an schweren Infektionen, Blutungen, Autoimmunerkrankungen und einer Neigung zu Leukämien und Lymphomen. Das Prinzip der Behandlung besteht darin, dass Blutstammzellen der Patienten entnommen, aufgereinigt und mit Genfähen behandelt werden, die eine gesunde Version des WAS-Gens in die Zellen transportieren. Die genetisch korrigierten Zellen werden zurückgegeben, aus ihnen differenzieren sich gesunde Blutzellen. Eine tödlich verlaufende Erkrankung konnte auf diese Weise geheilt werden.

"Die Gentherapie ist dabei oft weniger belastend als die Fremdspendertransplantation von Blutstammzellen, nach der schwere Komplikationen durch Unverträglichkeiten des Immunsystems auftreten können", betont Dr. Kaan Boztug. Allerdings ist die aktuell verfügbare Technologie des Gentransfers auch nicht ohne Risiken. Einer der zehn behandelten Patienten hat als Nebenwirkung eine Leukämie entwickelt, die glücklicherweise erfolgreich durch Chemotherapie behandelt werden konnte. Gemeinsam mit der Arbeitsgruppe um Professor Christof von Kalle vom Nationalen Centrum für Tumorerkrankungen (NCT) Heidelberg, der auch beim Deutschen Krebsforschungszentrum in Heidelberg tätig ist, untersuchen die Ärzte daher die genetischen Landeplätze, die sogenannten Insertionsstellen, der Genfähen in den Chromosomen. "Diese Untersuchungen werden uns helfen, in zukünftigen Anwendungen Risiken weiter zu verringern und die Wirksamkeit zu steigern", erklärt Professor von Kalle.

Die Arbeitsgruppe um Professor Christopher Baum von der MHH entwickelt neue sicherheitsoptimierte Genfähen, die solche Risiken reduzieren sollen, ohne dass dadurch die therapeutische Wirksamkeit der klinischen Therapie beeinträchtigt wird. Mit Hilfe des Eva Luise Köhler Forschungspreises wollen die Wissenschaftler eine moderne interdisziplinäre Plattform zur Behandlung von Kindern mit genetischen Erkrankungen des Blutes und Immunsystems etablieren.

Pressemitteilung

05.03.2011

Quelle: NCT Heidelberg, 01.03.2011

Weitere Informationen

Medizinische Hochschule Hannover Stefan Zorn Leiter Presse- und Öffentlichkeitsarbeit Carl-Neuberg-Straße 130625 Hannover Telefon +49 511 532-6772 Fax +49 511 532-3852 E-Mail: [zorn.stefan\(at\)mh-hannover.de](mailto:zorn.stefan(at)mh-hannover.de) Nationales Centrum für Tumorerkrankungen (NCT) Heidelberg Alenka Tschischka Presse- und Öffentlichkeitsarbeit Im Neuenheimer Feld 46069120 Heidelberg Tel.: +49 6221 42-2254 Fax: +49 6221 42-2968 E-Mail: [Alenka.Tschischka\(at\)nct-heidelberg.de](mailto:Alenka.Tschischka(at)nct-heidelberg.de)

- ▶ [Nationale Centrum für Tumorerkrankungen \(NCT\) Heidelberg](#)
- ▶ [Medizinische Hochschule Hannover](#)

