

## Presseinformation

21. Juni 2016

# Medikamente gegen Mukoviszidose: MHH-Forscher koordinieren europäisches Netzwerk

Europäische Union fördert Netzwerk für seltene Erkrankungen mit 1,2 Millionen Euro

Jedes 3000. Neugeborene in Deutschland ist an Mukoviszidose erkrankt, auch Cystische Fibrose genannt. Das europäische Netzwerk für seltene Erkrankungen INSTINCT (Induced pluripotent stem cells for identification of novel drug combinations targeting cystic fibrosis lung and liver disease) widmet sich der Suche nach neuen Wirkstoffen für diese seltene Erkrankung. Seit dem 1. Juni 2016 forschen acht Partner aus Deutschland, Italien, Kanada, den Niederlanden und Portugal im sogenannten E-Rare-Netzwerk für seltene Erkrankungen nach neuen Wirkstoffkombinationen. Koordiniert wird das Projekt von Professor Dr. Ulrich Martin, Leibniz Forschungslaboratorien für Biotechnologie und künstliche Organe (LEBAO) und Klinik für Herz-, Thorax-, Transplantations- und Gefäßchirurgie der Medizinischen Hochschule Hannover (MHH). Die Europäische Union (EU) fördert das Projekt mit 1,2 Millionen Euro. Für ihre Forschungsarbeiten erhält die MHH davon 300.000 Euro. „Wir wollen mit Hilfe von Stammzellen betroffener Patienten nach neuen Wirkstoffen suchen und in personalisierten Zellkulturmodellen für Mukoviszidose-Erkrankungen der Lunge und der Leber bis zur präklinischen Phase testen – insbesondere für die häufigste Mutation im Ionenkanal CFTR (Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator), aber auch für bestimmte seltene Mutationen“, sagt Professor Martin.

### **Mukoviszidose – eine Multiorganerkrankung**

Mukoviszidose ist eine schwere Störung mehrerer Organe des Menschen. Betroffen sind neben der Lunge vor allem die Bauchspeicheldrüse, die Leber und der Verdauungstrakt. Der angeborene Defekt im Salz- und Wassertransport führt vor allem zu zähflüssigem Schleim in den Atemwegen und der Lunge, der chronisch bakterielle Infektionen fördert. Auch Verdauungsstörungen und damit verbundenes Untergewicht gehören zu den Symptomen der Erkrankung. Die Behandlung der Mukoviszidose ist eine der größten Erfolgsgeschichten der modernen Medizin. Vor 50 Jahren starben die meisten Patienten bereits im Säuglings- und Kleinkindalter und noch Anfang der achtziger Jahre erreichte nur eine Minderheit der Patienten das Erwachsenenalter. Den heute geborenen Patienten wird eine mittlere Lebenserwartung von mehr als 40 Jahren vorhergesagt. Die Lebensqualität und Lebenserwartung sind vor allem deshalb gestiegen, weil die Therapien kontinuierlich verbessert wurden. Doch auch heutzutage ist im Endstadium der Erkrankung eine Lungentransplantation als einzige lebenserhaltende Maßnahme erforderlich. In jüngster Zeit konnten zwar einige wirkungsvolle Medikamente für die Behandlung von Patienten mit bestimmten selten auftretenden Mutationen entwickelt werden, für die meisten Patienten sind solche Wirkstoffe jedoch bisher nicht verfügbar.

### **Wirkstoffe funktionell testen und in die Klinik überführen**

Ziel des europäischen Netzwerks INSTINCT ist es, neue Verbindungen zu identifizieren, diese sinnvoll zu kombinieren und schließlich an verschiedenen Geweben zu testen, die auf einzelne Patienten zugeschnitten sind. Als personalisiertes Modell für Mukoviszidose setzen die Forscher induzierte

#### **MHH Presse- und Öffentlichkeitsarbeit**

Stefan Zorn, Leiter

Telefon: 0511 532-6772, Fax: 0511 532-3852,

[pressestelle@mh-hannover.de](mailto:pressestelle@mh-hannover.de), Carl-Neuberg-Straße 1, 30625 Hannover

Weitere Informationen aus der MHH erhalten Sie unter [www.mh-hannover.de](http://www.mh-hannover.de)

pluripotente Stammzellen (iPS-Zellen) ein. Forscher verwendeten bisher „unsterbliche“ Zelllinien, um Wirkstoffe im sogenannten Hochdurchsatzscreening zu testen. Diese Zelllinien stammen meist aus Tumoren, an denen sich die klinische Wirksamkeit jedoch nur schlecht voraussagen ließ. Die gefundenen Wirkstoffe konnten sich in klinischen Tests häufig nicht bewähren. „Wir setzen nun insbesondere auf Zellen der Gallengänge und Atemwege, die aus iPS-Zellen von Mukoviszidose-Patienten hergestellt werden und die die spezifischen Eigenschaften der klinisch betroffenen Organe widerspiegeln. Diese Zellen tragen die Mutationen von Mukoviszidose-Patienten und werden für das Screening entsprechend markiert“, erklärt Professor Martin, dessen Team dank der Unterstützung des Mukoviszidose e. V. dazu bereits wichtige Vorarbeiten durchführen konnte. Die identifizierten Verbindungen wollen die Forscher dann mit Hilfe unterschiedlicher Testsysteme auf ihre Wirkung untersuchen und anschließend deren Wirkmechanismus aufklären.

An dem Projekt beteiligt sind die MHH, der Exzellenzcluster REBIRTH (Von Regenerativer Biologie zu Rekonstruktiver Therapie) sowie der Standort Hannover des Deutschen Zentrums für Lungenforschung BREATH, die Universität Lissabon in Portugal, das italienische Institut Giannina Gaslini in Genua, das niederländische Erasmus MC in Rotterdam sowie das Hospital for Sick Children in Toronto und die McGill Universität in Montreal, Kanada.

**Weitere Informationen erhalten** Sie bei Professor Dr. Ulrich Martin, Telefon (0511) 532-8821, [Martin.Ulrich@mh-hannover.de](mailto:Martin.Ulrich@mh-hannover.de) und unter folgendem Link [www.lebao.de/forschungsverbuende/instinct/](http://www.lebao.de/forschungsverbuende/instinct/).

**MHH Presse- und Öffentlichkeitsarbeit**

Stefan Zorn, Leiter

Telefon: 0511 532-6772, Fax: 0511 532-3852,

[pressestelle@mh-hannover.de](mailto:pressestelle@mh-hannover.de), Carl-Neuberg-Straße 1, 30625 Hannover

Weitere Informationen aus der MHH erhalten Sie unter [www.mh-hannover.de](http://www.mh-hannover.de)