

Press release**Paul-Martini-Stiftung (PMS)****Dr. Rolf Hömke**

05/02/2011

<http://idw-online.de/en/news420792>Contests / awards, Personnel announcements
Medicine
transregional, national**Paul-Martini-Preis 2011: Auszeichnung für Gentherapie, die Kindern mit seltener Krankheit hilft**

Wiesbaden, 02.05.2011 (PMS). Für die Entwicklung einer Gentherapie zur Behandlung der seltenen Immunkrankheit Wiskott-Aldrich-Syndrom wurden heute die Kinderärzte Privatdozent Dr. med. Kaan Boztug (Wien, zuvor Hannover) und Prof. Dr. med. Christoph Klein (München, zuvor Hannover) mit dem Paul-Martini-Preis geehrt. Die Verleihung fand im Rahmen der Jahrestagung der Deutschen Gesellschaft für Innere Medizin (DGIM) in Wiesbaden statt. Der mit 25.000 Euro dotierte Preis wird jährlich von der Paul-Martini-Stiftung, Berlin, für herausragende Leistungen in der klinisch-therapeutischen Arzneimittelforschung verliehen.

So alt wie die Gentechnik ist die Hoffnung, Erbkrankheiten durch Gentherapie zu heilen: Erbkrankte Körperzellen entnehmen, im Labor mit einem intakten Gen ausstatten, sie wieder in den Körper zurückbringen, wo sie nun korrekt funktionieren – so das Konzept! Viele Versuche dieser Art blieben jedoch ohne Erfolg, so dass noch keine einzige Gentherapie außerhalb von Studien zugelassen werden konnte. Nun ist es den Preisträgern jedoch gelungen, eine wirksame Gentherapie für eine Erbkrankheit, das Wiskott-Aldrich-Syndrom, zu entwickeln.

Das seltene Wiskott-Aldrich-Syndrom (WAS) ist eine schwere Störung des Immunsystems, verursacht durch ein defektes Gen auf dem X-Chromosom. Die Patienten – fast immer Jungen – leiden an Infektionen, Hautkrankheiten, Blutgerinnungsstörungen, Gelenkentzündungen und weiteren Autoimmunreaktionen, und sie sterben oft schon nach wenigen Lebensjahren. Die bisherige Behandlung durch Transplantation von Blut-Stammzellen von fremden Spendern birgt beträchtliche Risiken, wenn kein Stammzellspender mit bester Gewebsübereinstimmung mit dem Patienten gefunden werden kann.

PD Dr. Boztug und Prof. Klein haben nun mit weiteren Kollegen eine neue Gentherapie für dieses Syndrom entwickelt und angewendet (publiziert 2010 im New England Journal of Medicine): Zwei Jungen entnahmen sie Knochenmark-Stammzellen, statteten diese im Labor mit funktionstüchtigen Genen aus und siedelten sie wieder im Knochenmark ihrer Patienten an, wo sie sich gut vermehrten. Beide Patienten erlebten daraufhin, dass ihre Autoimmunreaktionen aufhörten, sie nicht länger an Blutungen litten und Infektionen seltener auftraten.

Seither haben die Ärzte mit der gleichen Methode noch acht weitere Patienten behandelt. Bei sieben von diesen wurde eine andauernde Besserung beobachtet. Ein Patient entwickelte eine Leukämie, die aber erfolgreich behandelt werden konnte.

Die klinische Studie konnte dank finanzieller Unterstützung durch die Deutsche Forschungsgemeinschaft, das Bundesministerium für Bildung und Forschung und die internationale Care-for-Rare Foundation – Stiftung für Kinder mit seltenen Erkrankungen durchgeführt werden.

Der neue Ansatz sei, wie Professor Dr. Peter C. Scriba (München) in seiner Laudatio betonte, auch noch bei weiteren Erbkrankheiten anwendbar. Diese Leistung dokumentiere die hohe Qualität der klinischen Forschung in Deutschland.

Die Paul-Martini-Stiftung

Die gemeinnützige Paul-Martini-Stiftung, Berlin, fördert die Arzneimittelforschung sowie die Forschung über Arzneimitteltherapie und intensiviert den wissenschaftlichen Dialog zwischen medizinischen Wissenschaftlern in Universitäten, Krankenhäusern, der forschenden Pharmaindustrie, anderen Forschungseinrichtungen und Vertretern der Gesundheitspolitik und der Behörden. Träger der Stiftung ist der vfa, Berlin, mit seinen derzeit 44 Mitgliedsunternehmen.

Die Pressemitteilung, Lebensläufe und Fotos der Preisträger abgerufen werden unter:
www.paul-martini-stiftung.de/de/paulmartinipreis/2011.html