

Revolutionäre Therapie: Forscherinnen geben Muskeln die Kraft zurück!

Zwei Berliner Forscherinnen arbeiten an einer bahnbrechenden Gen-Therapie zur Behandlung von Muskeldystrophie.



In einem bedeutenden Durchbruch bei der Bekämpfung von Muskelschwund haben zwei Berliner Forscherinnen, Professorin Simone Spuler und Dr. Helena Escobar Fernandez, vielversprechende Fortschritte erzielt. Aktuell sind über 1100 Menschen in Berlin von Muskeldystrophie betroffen, einer Erkrankung, die zu fortschreitendem Verlust der Muskelkraft führt. Anfänglich verläuft die Krankheit schleichend, doch viele Betroffene verlieren schon in jungen Jahren die Fähigkeit, sich normal zu bewegen und sind mit 40 Jahren auf einen Rollstuhl angewiesen.

Der entscheidende Faktor bei der Therapie ist das Protein Dysferlin, das bei den Patienten nicht richtig funktioniert und für

die Reparatur von Zellmembranen verantwortlich ist. Durch das innovative CRISPR-Cas9-Verfahren, das 2020 mit dem Nobelpreis ausgezeichnet wurde, gelang es den Wissenschaftlerinnen, das defekte Gen im Labor zu reparieren und somit das Wachstum des Gewebes zu stimulieren. Zwei Patienten konnten so erfolgreich mit genetisch korrigierten Muskelstammzellen behandelt werden. Diese Methode könnte schon bald auch beim Menschen Anwendung finden, wie die Forscherinnen in ihrem Bericht erklärten, da erste klinische Studien im Jahr 2025 starten könnten.

Erste Erfolge und künftige Studien

Die Experimente lieferten nicht nur im Labor vielversprechende Ergebnisse: Mithilfe des CRISPR-Cas9-Verfahrens konnten auch bei Mäusen erfolgreich Muskelstammzellen entnommen, genetisch bearbeitet und transplantiert werden. Die positive Entwicklung weckt Hoffnungen, dass es bald Therapien geben könnte, die nicht nur die Funktion der Muskeln wiederherstellen, sondern auch das Fortschreiten der Krankheit aufhalten. Dies wäre ein revolutionärer Fortschritt für viele Betroffene, die unter den Auswirkungen von Muskeldystrophie leiden, so Spuler. Die Forschung befinde sich jedoch noch in den frühen Phasen, und die Komplexität des menschlichen Körpers erfordere sorgfältige Planung und Durchführung der ersten klinischen Studien, um die Sicherheit und Effektivität der neuen Behandlungsmethoden zu gewährleisten. "Wir fangen ganz bescheiden mit ein oder zwei Muskeln an, aber wenn diese Therapie funktioniert, könnte sie helfen, diese Muskeln zu heilen", unterstreicht Spuler den ambitionierten Ansatz ihres Teams, das sich weiterhin auf die Entwicklung effektiver Therapien konzentriert.

Diese Ergebnisse und die anstehenden klinischen Studien zeigen nicht nur die beeindruckenden Fortschritte in der Genforschung, sondern bestätigen auch die Bedeutung von Experten wie Spuler und Fernandez, die unermüdlich an Lösungen für diese verheerende Krankheit arbeiten. Für weitere Details über das Team und ihre Projekte können interessierte Leser die

Informationen auf der Webseite des Max-Delbrück-Centrums einsehen, die umfassende Einblicke in diese aufregende Forschung bietet.

Weitere Informationen finden Sie auf **BZ Berlin** und auf der offiziellen Seite des **Max-Delbrück-Centrums**.

BZ Berlin

Details	
Quellen	<ul style="list-style-type: none">• www.bz-berlin.de• www.mdc-berlin.de

Besuchen Sie uns auf: n-ag.de