

NCL-Stiftung ehrt amerikanischen Nachwuchs-Forscher

24.08.2010, 14:35 | Industrie, Bau & Immobilien

Pressemitteilung von: *NCL-Stiftung*



Dr. Frank Husemann (re) überreicht Matthew Micsenyi den mit 750.000 dotierten NCL-Forschungspreis.

Auszeichnung für neuen Denkansatz in der Ursachenforschung
Ausschreibung für 3. Forschungspreis jetzt im Netz

Um seine herausragenden medizinischen Forschungen weiter voranzutreiben, hat die NCL-Stiftung Matthew Micsenyi vom Albert Einstein College of Medicine in Bronx im Staat New York/USA mit dem mit 50.000 € dotierten NCL-Forschungspreis ausgezeichnet. Die Arbeit des 22-Jährigen ist ein wichtiger Baustein für die Erforschung von Therapiemöglichkeiten der seltenen Stoffwechselkrankheit juvenile NCL (Neuronale Ceroid Lipofuszinose). Stiftungsgründer Dr. Frank Husemann zeichnete den Doktoranden gestern im Rahmen des 9. NCL-Kongresses in Hamburg aus.

„Wir würdigen mit der Auszeichnung Matthew Micsenyis innovatives, klinisch orientiertes Projekt. Gelingt es ihm, seine Hypothese zu beweisen oder zu widerlegen, ergäben sich mannigfaltige Therapiemöglichkeiten“, so Dr. Frank Husemann. Die NCL-Stiftung setzt damit außerdem ein Zeichen, um gezielt wissenschaftlichen Nachwuchs zu fördern.

Die Ursache für die Neuronale Ceroid Lipofuszinose (NCL) ist Wissenschaftlern bis heute ein Rätsel. Matthew Micsenyi hat sich mit der Pathogenese, dem Krankheitsverlauf auf molekularer Ebene in der Zelle, auseinander gesetzt. „Dabei präsentiert er einen neuen Ansatz und - was noch viel wichtiger ist - einen neuen Denkansatz. Typisch und bisher angenommen war, dass primär die Funktion des Lysosoms außer Kraft gesetzt wird und es damit so zur Ansammlung von „Müll“ in der Zelle kommt und diese dann daran quasi ersticken. Matthew sieht das Ganze in einem größeren Rahmen und bezieht zwei andere Systeme zum Abbau mit ein, die Autophagocytose und das Ubiquitin Proteasom System (UPS), was er das „greater lysosomal system“ nennt“, erklärt Dr. Frank Stehr, Forschungsleiter der NCL-Stiftung. Entscheidend dabei sei das Protein p62. Es stellt die Verbindung zwischen Autophagocytose und UPS dar. p62 wird eigentlich über Autophagocytose abgebaut. Wird jetzt durch die Krankheit auf eine irgendwie geartete Weise

Autophagocytose blockiert, wird p62 nicht abgebaut und inhibitiert gleichzeitig das UPS, also den anderen Abbauweg. Das erklärt die massiven Ablagerungen in der Zelle, die typisch für NCL und andere lysosomale Speicherkrankheiten (LSDs) sind.

Ein weiterer interessanter Punkt in Matthews Forschungen: p62 fördert die Aggregation der caspase 8, diese wird dadurch aktiv und zwingt die Zelle zum Selbstmord (Apoptose). Im Falle von Neuronen ist das fatal. Damit ist die Neurodegeneration mit den anderen Syptomen kausal verknüpft.

Ziel von Matthew Micsenyis künftiger Arbeit ist, diesen Zusammenhang den er hypothetisch aufgestellt hat, zu beweisen oder zu widerlegen. Falls sich die Hypothese als richtig erweist, ergeben sich mannigfaltige Möglichkeiten der Therapie.

Derzeit wird der 3. NCL-Forschungspreis ausgeschrieben, der weitere Bewegung in die Erforschung von NCL bringen soll. Es werden weltweit Forscher/innen aufgefordert, Projekte einzureichen, um zur Heilung der juvenilen NCL beizutragen. Wissenschaftler/innen aus verwandten Gebieten wie Alzheimer, Altern und lysosomale Speicherkrankheiten werden ermutigt, einen Antrag zu stellen. Der Preisträger wird Ende des Jahres vom wissenschaftlichen Beirat der Stiftung ausgewählt. Das Antragsformular und weitere Informationen unter:

<http://www.ncl-stiftung.de/deutsch/kooperationen/nclforschungspreis/index.php>

Was ist NCL – Neuronale Ceroid Lipofuszinose (NCL) ?

Die Neuronalen Ceroid Lipofuszinosen (NCL) sind eine Gruppe seltener, autosomal-rezessiv vererbter und bislang unheilbarer Stoffwechselkrankheiten, die in unterschiedlichen Formen auftreten können. Die Neuronalen Ceroid Lipofuszinosen gehören zu den lysosomalen Speicherkrankheiten. Die Krankheit bricht meist im Alter von ein bis acht Jahren mit einer maximalen Häufigkeit von 1:12.500 Lebendgeborenen aus. Wenn beide Elternteile Träger des Gendefektes sind, wird ihr Säugling mit einer Wahrscheinlichkeit von 1:4 ein NCL-Kind und mit einer Wahrscheinlichkeit von 1:2 Träger des Gendefektes sein. Laut Statistik ist einer von 200 Erwachsenen heterozygot – er besitzt also eine gesunde und eine defekte Genkopie – für dieses Gen. Eines von 40.000 Neugeborenen ist somit homozygot für den Gendefekt und erkrankt an NCL. Von den insgesamt ca. 400 NCL-Fällen in Deutschland gibt es etwa 150 Kinder, die an jNCL leiden. Mittlerweile sind zehn NCL-Typen (CLN1-CLN10) bekannt. Die NCL-Stiftung setzt sich zurzeit für die Erforschung der juvenilen Form (CLN3-Typ) ein.

NCL führt in vielen, qualvollen Jahren zum Tod. Aufgrund eines Gendefekts ist der Stoffwechsel in den Nervenzellen gestört; die Zellen können sich nicht reinigen und sterben allmählich ab. Die Kinder entwickeln sich erst normal. Im Vorschulalter bemerken die Eltern Sehschwierigkeiten. Bald können die Kinder nicht mehr so gut laufen und toben wie ihre Altersgenossen. Nach einer – oft jahrelangen Ärzte-Odyssee – steht dann die Diagnose fest: Erblindung, Verlust der Sprachfähigkeit, Rollstuhl, epileptische Anfälle, ein früher Tod – oft zwischen dem 20. und dem 30. Lebensjahr – aufgrund von NCL.

Die zurzeit rund 400 in Deutschland betroffenen Kinder (weltweit rund 50.000) haben nicht viel Zeit. Die Forschung ist ihre einzige Hoffnung. Für die Industrie verspricht der Markt aber keinen Gewinn – NCL gehört zu den seltenen Erkrankungen, den Waisenkindern der Medizin. Die Kinder sind auf private Initiativen angewiesen. Und auf Geld.

Portrait

Die NCL-Stiftung

Die gemeinnützige NCL-Stiftung wurde am 7. August 2002 von Dr. Frank Husemann gegründet, nachdem bei seinem

Sohn Tim 2001 im Alter von sechs Jahren NCL diagnostiziert worden war. Zweck der Stiftung ist es, die tödliche Kinderkrankheit NCL mit gezielter Forschungsarbeit zu bekämpfen. Neben der Forschungsförderung und Forschungsinittierung liegt ein weiterer Schwerpunkt der Stiftungstätigkeit in der Aufklärung von relevanten Ärztegruppen, betroffenen Eltern und der Öffentlichkeit.

Auf medizinischer Seite fehlt bisher das koordinierende Netzwerk, um weltweit vorhandenes Wissen zu bündeln. Das zentrale Anliegen der NCL-Stiftung ist es daher, ein Netzwerk zur Koordination der Wissenschaftler und Mediziner zu bilden. Mit den jährlich von der NCL-Stiftung organisierten NCL-Kongressen ist eine Plattform für Wissenschaftler entstanden, auf der sie sich austauschen und neue Kooperationen schließen können. Gestern richtete die Stiftung den 9. nationalen NCL-Kongress aus. Der diesjährige Schwerpunkt des Treffens lag in dem Vergleich von viralen und nicht-viralen gentherapeutischen Ansätzen in Bezug auf die juvenile NCL. Internationale Experten wie Robin Ali, Timothy Cox, Ron Crystal, Jörg Kreuter, Beverly Davidson, David Begley, Robert Steinfeld und Jon Cooper waren dabei.

Die NCL-Stiftung übernimmt hierbei eine koordinierende, übergeordnete Funktion, die neue Erkenntnisse aus der internationalen Forschung sammelt, Kontakt und Austausch zwischen den Wissenschaftlern herstellt und somit als Knotenpunkt sämtlicher NCL-Betroffener fungiert. Das vorhandene Wissen muss vereint werden, um Synergieeffekte zu erzielen.

Trotz realistischer Therapiechancen ist NCL bisher nicht heilbar. Denn die Betroffenen haben kaum Fürsprecher auf Seiten des Staates, der Industrie oder privater Förderer. Um in naher Zukunft ein wirksames Medikament bzw. eine wirksame Therapie zu entwickeln, muss die Entstehung und Entwicklung der Krankheit verstanden werden.

Neue Therapieansätze sind nur auf dem Weg der Grundlagenforschung möglich, die mit verschiedenen Zellkulturen und Modellsystemen den Krankheitsverlauf simulieren und auf molekularer Ebene die verantwortlichen Mechanismen untersuchen kann.

Viele Medikamente, die bereits zur Verfügung stehen, können zumindest palliative Effekte bei NCL erzielen. Das heißt, dass sie die Krankheit nicht heilen können, aber eine lindernde Wirkung erzielen. Das gilt vor allem für viele Alzheimer und Parkinson-Medikamente; doch für diese gibt es keine Studien und Informationen über ihre Wirkung bei Kindern. Deshalb sind klinische Studien und weitere Tests dringend notwendig, um bereits bekannte Wirksubstanzen auf ihre Anwendbarkeit bei NCL zu überprüfen.

Weitere Informationen: <http://www.ncl-stiftung.de/deutsch/home/index.php>

News-ID: 459510 • Views: 1777 (Stand: 02.06.2026)

Link zur Pressemitteilung:

<https://www.openpr.de/news/459510/NCL-Stiftung-ehrt-amerikanischen-Nachwuchs-Forscher.html>