

HORIZON
2020

Development of an innovative gene therapy platform to cure rare hereditary muscle disorders

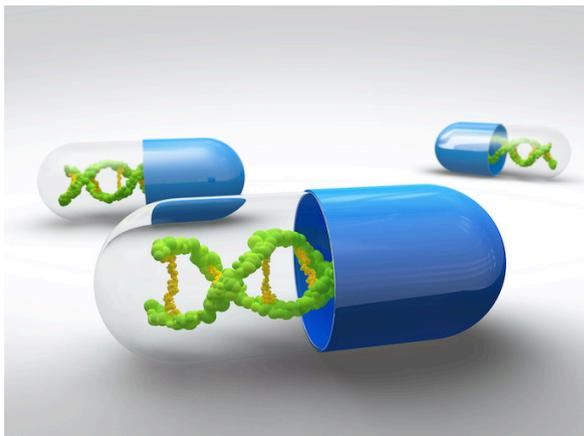
Ergebnisse in Kürze

Mit innovativer Gentherapie-Plattform seltene erbliche Muskelkrankheiten heilen

Anstatt eine Erkrankung medikamentös oder operativ zu behandeln, wird die Medizin der Zukunft einfach ein Gen in die Zellen des betroffenen Menschen einsetzen können. Gegenwärtig entwickelt eine EU-Forschungsgruppe die Plattform, die diese Zukunft Wirklichkeit werden lassen könnte.



GESUNDHEIT



© Festa, Shutterstock

Unter erblichen Muskelerkrankungen ist eine ganze Familie seltener genetischer Krankheiten zu verstehen, die typischerweise durch einen einzelnen Defekt in einem Gen ausgelöst werden. Als Ursache für eine ganze Reihe von Funktionsstörungen in Skelett, Muskeln, Herz und Zwerchfell sind diese Erkrankungen meist durch eine hohe Morbiditäts- und Mortalitätsrate gekennzeichnet.

In Ermangelung wirksamer Heilmittel wendet sich die Wissenschaft zunehmend der Gentherapie zu, um Therapien für erbliche Muskelerkrankungen zu finden. Gentherapie ist eine in der Entwicklung begriffene Methode, bei der Gene zur Behandlung oder Vorbeugung von Krankheiten eingesetzt werden. In der Zukunft könnte eine Erkrankung medizinisch behandelt werden, indem anstelle der Verabreichung von Arzneimitteln oder chirurgischen

Eingriffen einfach ein Gen in die Zellen der Betroffenen eingesetzt wird.

Das EU-finanzierte Projekt MYOCURE soll diese Zukunft Realität werden lassen, indem es eine innovative Gentherapie-Plattform für einmalige Behandlungen zur Heilung seltener erblicher Muskelkrankheiten entwickelt.

Konkret konzentriert sich das Projekt auf die Behandlung der [myotubulären Myopathie](#) und der [Glykogenspeicherkrankheit](#) Typ II. Bei beiden handelt es sich um schwere, potenziell lebensbedrohliche seltene Muskelerkrankungen, für die es derzeit weder eine endgültige Heilung noch eine optimale Behandlung gibt.

„Mit der Einrichtung einer klinisch übertragbaren Plattform für Einmalbehandlungen wird die Lebensqualität der Patientinnen und Patienten erheblich verbessert werden“, sagt Marinee Chuah, Professorin an der [Vrije Universiteit Brussel](#) (VUB) und MYOCURE-Projekt Koordinatorin voraus.

„Eine solche Plattform wird außerdem bedeutende soziale Auswirkungen haben und den Familien und Angehörigen der Betroffenen zugute kommen, da der Bedarf an häuslicher oder stationärer Pflege sinkt.“

Sichere Gentherapie im Aufwind

Das Projekt MYOCURE hat eine ganze Reihe wichtiger Erkenntnisse zu verzeichnen. Um zum Beispiel jene Engpässe zu überwinden, welche die Entwicklung einer auf die Muskeln ausgerichteten Gentherapie behindert haben, konzentrierte sich die Forschungsgruppe darauf, Gentransfer und Genexpression zu verstärken.

„In unserer Forschung konnten wir mit Erfolg die Wirksamkeit der auf die Muskeln ausgerichteten Gentransplantation mittels neuartiger Adeno-assoziiertes viraler Vektoren steigern“, erklärt Chuah. Dabei handelt es sich um ein unbehülltes Virus, das auf eine Weise manipuliert werden kann, dass es DNA an Zielzellen abgibt.

„Wir steigerten außerdem die muskelbezogene Genexpression in den gewünschten Zielgeweben unter Einsatz neuartiger Transkriptionselemente, die durch genomweites Data Mining bestimmt wurden.“

Laut Chuah hatten erste präklinische Validierungstests der Adeno-assoziierten viralen Vektoren in Tiermodellen ermutigende Ergebnisse. Adeno-assoziierte virale Vektoren sind die führende Gentransfer-Plattform zur Behandlung verschiedener Krankheiten des Menschen.

Weitere wichtige Errungenschaften waren die Minimierung unerwünschter

Immunantworten und die Schaffung eines skalierbaren Verfahrens zur Herstellung der Adeno-assoziierten viralen Vektoren. „All diese Errungenschaften sind grundlegend wichtig, um Wirksamkeit und Sicherheit des Gentherapieeinsatzes bei der Behandlung der myotubulären Myopathie und Glykogenspeicherkrankheit zu verbessern“, fügt Chuah hinzu.

Eine nächste Generation der Gentherapien

MYOCURE hat mit diesen Ergebnissen, verbunden mit den umfangreichen Verbreitungsaktivitäten des Projekts, die Grundlage für die Entwicklung neuer Therapien für seltene Muskelkrankheiten gelegt.

Das Projekt lieferte neue Behandlungsoptionen, die den von myotubulärer Myopathie und Glykogenspeicherkrankheit Typ II Betroffenen sichere, langfristige Gentherapielösungen bieten werden.

„MYOCURE leistet einen Beitrag dazu, den Weg zur Entwicklung der nächsten Generation von Gentherapien zu bereiten, welche die Lebensqualität der betroffenen Personen drastisch verbessern werden“, bekräftigt Chuah. „Hier wiederum sind erhebliche positive Auswirkungen auf die Kosten im Gesundheitswesen zu erwarten, da sich eine nachhaltige therapeutische Lösung zur Behandlung erblicher Muskelkrankheiten bietet.“

Schlüsselbegriffe

MYOCURE, Gentherapie, erbliche muskuläre Erkrankungen, genetische Krankheiten, myotubuläre Myopathie, Glykogenspeicherkrankheit, Gesundheitsversorgung

Entdecken Sie Artikel in demselben Anwendungsbereich



[Bahnbrechende Therapie chronisch-entzündlicher Erkrankungen](#)





Erster oraler Impfstoff gegen Durchfall



Ein oraler Film zur schnellen Hilfe bei Migräne



Massenkultivierung von Stammzellen zur Regeneration von Blut



Projektinformationen

MYOCURE

ID Finanzhilfvereinbarung: 667751

[Projektwebsite](#) 

DOI

[10.3030/667751](https://doi.org/10.3030/667751) 

Projekt abgeschlossen

Finanziert unter

SOCIETAL CHALLENGES - Health, demographic change and well-being

Gesamtkosten

€ 5 998 937,50

EU-Beitrag

€ 5 998 937,50

Koordiniert durch

EK-Unterschriftsdatum

1 Dezember 2015

VRIJE UNIVERSITEIT BRUSSEL

 Belgium

Startdatum

1 Januar 2016

Enddatum

31 Dezember 2019

Verwandte Artikel



NACHRICHTEN

WISSENSCHAFTLICHE FORTSCHRITTE

Bekämpfung seltener Krankheiten durch genetisches Screening bei Geburt



23 Juli 2024

Letzte Aktualisierung: 23 Mai 2020

Permalink: <https://cordis.europa.eu/article/id/418118-innovative-gene-therapy-platform-could-cure-rare-hereditary-muscle-disorders/de>

European Union, 2025