

## **Hoffnung bei Progeria - Die bei Mäusen erfolgreiche Behandlung könnte in Kürze auch an Kindern getestet werden**

30.06.2008 09:20

Paris (ots/PRNewswire) - Fünf Jahre nach der Identifizierung des für Progeria (eine seltene, schnelles und frühzeitiges Altern hervorrufende Krankheit) verantwortlichen Gens, hat ein spanisch-französisches Forschungsteam (Carlos Lopez-Otin und Koll. - Universität Oviedo - und Nicolas Levy und Koll. - Inserm/AP-HM, Marseille, Frankreich) eine erfolgreiche Behandlung der Krankheit bei Mäusen nachweisen können. Diese, zwei bereits existierende pharmakologische Moleküle vereinende Behandlung sollte das Fortschreiten der bisher unheilbaren Krankheit verlangsamen.

Die Zulassung der Gesundheitsbehörden vorausgesetzt, könnte die Behandlung in Kürze an 15 Kindern in Europa getestet werden. Dies stellt für die von dieser Krankheit betroffenen Familien - und ganz allgemein für das Verständnis des normalen Alterungsprozesses - einen bedeutenden Fortschritt dar.

Von der Identifizierung des Gens bis zur Entwicklung der Behandlung und dem geplanten klinischen Protokoll wurde die in der Zeitschrift Nature Medicine veröffentlichte Arbeit finanziell von der Association Française contre les Myopathies (Französische Myopathie-Gesellschaft) und dank der französischen Telethon-Spenden finanziert.

Die kürzlich an Mäusen belegte Behandlung beruht auf der Kombination zweier existierender pharmakologischer Moleküle, nämlich eines Statins (zur Behandlung und Vorsorge der Arteriosklerose und kardiovaskulärer Risiken indiziert) und eines Aminobisphosphonats (indiziert bei Osteoporose). Die französisch-spanischen Wissenschaftler zeigten, dass die Behandlung die Auswirkungen der Krankheit lindern und die Lebenserwartung signifikant erhöhen kann.

Wie bereits zuvor von Nicolas Levys Team, das das Gen im Jahre 2003 erstmals identifizierte, nachgewiesen, ist Progeria auf die Ansammlung eines verkürzten Proteins, des Progerins, in der Zelle zurückzuführen, dessen Toxizität mit der Anwesenheit einer Fettsäure einhergeht, die an dem Protein gebunden bleibt (während sie aus normalen Zellen entfernt wird). Um die Toxizität des Progerins zu verhindern untersuchten die Wissenschaftler den Syntheseweg der Fettsäure. Und in der Tat weiss man von bestimmten pharmakologischen Molekülen, dass sie bestimmte Etappen dieser Synthese blockieren.

Nach mehreren Versuchen stellten die Forscher fest, dass eine Kombination eines bestimmten Statins und eines Aminobisphosphonats die Bindung der Fettsäure an das Progerin behindert und somit dessen Toxizität verringert. Da das Progerin infolgedessen weniger toxisch ist, entwickelt sich die Krankheit langsamer.

Nach diesen ermutigenden Ergebnissen wurde auf der Grundlage dieser Behandlung unter der Leitung von Nicolas Levy in Marseille (Frankreich) ein klinisches Protokoll erstellt, das demnächst umgesetzt werden soll. Es wird 3 Jahre dauern und betrifft 15 der 25 an Progeria erkrankten Kinder in Europa. Ziel des Protokolls ist es, den Ablauf der Krankheit zu verlangsamen und, soweit möglich, die Lebenserwartung, die bei den betroffenen Kindern derzeit sehr begrenzt ist, zu verlängern.

Der in Nature Medicine veröffentlichte Artikel steht unter <http://dx.doi.org/10.1038/nm1786> zur Verfügung.

---