

29 November 2014

Große Fortschritte bei Entwicklung von Haut-Stammzell-Therapie für Schmetterlingskinder

Wissenschaftlern am IMBA – Institut für Molekulare Biotechnologie der ÖAW in Wien ist ein großer Schritt für eine zukünftige Behandlung von Schmetterlingskindern gelungen: eine Therapie mit Fibroblasten aus induzierten pluripotenten Stammzellen zeigte bei der Maus großen Erfolg. Der nächste Schritt ist die Etablierung der Methode beim Menschen.

„Schmetterlingskinder“ leiden an einer folgenschweren Hautkrankheit, der sogenannten Epidermolysis Bullosa (EB). Die Ursache ist ein Gendefekt, der zu einem Fehlen oder Mangel von verschiedenen Struktureiweißen führt. Bei einer besonders schweren Form ist das Protein Kollagen 7 nicht oder zu wenig vorhanden. Fehlt diese Verbindung zwischen den Schichten der Haut, reißt diese bei geringster mechanischer Belastung oder bildet Blasen. Das führt zu Entzündungen und Wunden, die aufwändig mit Verbänden und Cremes versorgt werden müssen. Sehr oft kommt es durch die ständigen Läsionen auch zu aggressiven Formen von Hautkrebs.

Derzeit kann die Krankheit nicht geheilt werden. Allerdings gibt es vielversprechende Ansätze, die in Zukunft zu einer erfolgreichen Behandlung führen könnten. Einer davon ist die Methode der sogenannten „Fibroblasteninjektion“. Bei diesem Verfahren werden Fibroblasten zwischen die Hautschichten gespritzt, wo sie das notwendige Kollagen 7 produzieren sollen.

Forschern am IMBA unter der Leitung von Arabella Meixner ist es gelungen, diese Methode auszubauen und die an EB erkrankten Mäuse damit zu behandeln. In jahrelanger Laborarbeit wurden die einzelnen Schritte der Therapie ausgetüftelt und sorgfältig getestet, die Ergebnisse werden nun im wissenschaftlichen Magazin „Science Translational Medicine“ veröffentlicht.

Zunächst führten die Wissenschaftler Hautzellen der erkrankten Mäuse in das Stadium von Stammzellen zurück. In diesen wurde der genetische Defekt, die Kernursache der Krankheit, repariert. Anschließend wurden die reparierten Stammzellen wieder zu Fibroblasten differenziert.

Bevor die reparierten Fibroblasten in den Organismus zurückgeschleust werden konnten, musste sichergestellt sein, dass es zu keinen Entzündungs- oder Abstoßungsreaktionen kommt. Nach Beobachtung über mehrere Monate konnten keine unerwünschten Immunreaktionen beobachtet werden und auch das Hautkrebsrisiko erhöhte sich nicht. Da bei „Schmetterlingskindern“ dieses Risiko ohnehin stark erhöht ist, ist das ein wichtiger Faktor.

Der größte Erfolg für die Wissenschaftler war schließlich die deutlich erhöhte Reißfestigkeit der Haut. Forschungsleiterin Arabella Meixner freut sich sehr über die guten Ergebnisse: „Unser mechanischer Belastungstest mit einem weichen Radiergummipinsel zeigte, dass die Haut der mit Stammzell-Therapie behandelten Mäuse stabil war und keine Wunden mehr entstanden.“



ÖAW

Österreichische Akademie
der Wissenschaften

IMBA Presseinformation

Es war also genug Kollagen 7 zwischen den Hautschichten vorhanden, um diese auch wirklich ordentlich zusammenzuhalten. Somit zeigt unsere Studie eindeutig, dass die vorliegende Methode für eine zukünftige Therapie von „Schmetterlingskindern“ geeignet ist.“

Der nächste Schritt ist somit die Etablierung der Haut-Stammzell-Therapie im Menschen. Dafür wollen sich die IMBA Wissenschaftler Partner mit Erfahrung im klinischen Bereich suchen. Für schwere Formen der Epidermolysis Bullosa muss zudem noch eine systemische Applikation entwickelt werden, bei der die Zellen über die Blutbahn in den gesamten Körper geschleust werden. Hier sind nämlich auch schwer zugängliche Epithelien betroffen, wie Schleimhäute in Mund oder Darm. Bei „Schmetterlingskindern“ mit leichteren Formen der Erkrankung sind oft nur einzelne Hautareale betroffen. Hier könnte die an den Mäusen erfolgreich getestete Haut-Stammzell-Therapie mit lokalen Injektionen sehr bald zu einer wertvollen Behandlungsmethode werden.

Das von den IMBA Wissenschaftlern durchgeführte Projekt wurde von der Patientenorganisation DEBRA Austria initiiert und wird seit 2009 vom Verein und großzügigen Förderpartnern finanziell unterstützt. DEBRA sorgt dafür, dass „Schmetterlingskinder“ kompetente und spezialisierte medizinische Versorgung bekommen und treibt die Forschung nach Linderungs- und Heilungsmöglichkeiten für EB voran. Weiterer Dank geht an den Förderpartner „Österreichische Lotterien“, sowie an den FK Austria Wien für seine Unterstützung im Rahmen des Projektes „Fußball kann heilen“.

Originalpublikation:

Wenzel et. al., iPSC-based cell therapy for Recessive Dystrophic Epidermolysis Bullosa. Science Translational Medicine. 2014.

Rückfragehinweis:

IMBA – Institut für Molekulare Biotechnologie GmbH
Vienna Biocenter (VBC)
Mag. Evelyn Devuyst, Pressesprecherin IMBA
Tel. +43 1 797 30 - 3626
evelyn.devuyst@imba.oeaw.ac.at

Wissenschaftlicher Kontakt:

Dr. Arabella Meixner, Projektleitung
Tel. +43 1 79730 4300
arabella.meixner@imba.oeaw.ac.at

IMBA:

Das IMBA – Institut für Molekulare Biotechnologie ist ein international anerkanntes Forschungsinstitut mit dem Ziel, molekulare Prozesse in Zellen und Organismen zu erforschen und Ursachen für die Entstehung humaner Erkrankungen aufzuklären. Unabhängige wissenschaftliche Arbeitsgruppen arbeiten an biologischen Fragestellungen aus den Bereichen Zellteilung, Zellbewegung, RNA-Interferenz und Epigenetik, ebenso wie an unmittelbaren medizinischen Fragestellungen aus den Gebieten Onkologie, Stammzellforschung und Immunologie. Das IMBA ist eine 100% Tochtergesellschaft der ÖAW. www.imba.oeaw.ac.at

ÖAW:

Die Österreichische Akademie der Wissenschaften (ÖAW) ist die führende Trägerin außeruniversitärer akademischer Forschung in Österreich. Die mehr als 60 Forschungseinrichtungen betreiben anwendungsorientierte Grundlagenforschung in gesellschaftlich relevanten Gebieten der Natur-, Lebens- und Technikwissenschaften sowie der Geistes-, Sozial- und Kulturwissenschaften. www.oeaw.ac.at



ÖAW

Österreichische Akademie
der Wissenschaften

