

# Pressemitteilung



für Fachmedien

## Paul-Martini-Preis 2011 verliehen

### Auszeichnung für wirksame Gentherapie

**Wiesbaden, 02.05.2011 (PMS).** Für die Entwicklung einer erfolgreichen Gentherapie für den erblichen Immundefekt Wiskott-Aldrich-Syndrom wurden heute die Pädiater PD Dr. med. Kaan Boztug (Wien, zuvor Hannover) und Prof. Dr. med. Christoph Klein (München, zuvor Hannover) mit dem Paul-Martini-Preis geehrt. Die Verleihung fand im Rahmen der Jahrestagung der Deutschen Gesellschaft für Innere Medizin (DGIM) in Wiesbaden statt. Der mit 25.000 Euro dotierte Preis wird jährlich von der Paul-Martini-Stiftung, Berlin, für herausragende Leistungen in der klinisch-therapeutischen Arzneimittelforschung verliehen.

So alt wie die Gentechnik ist die Hoffnung, Erbkrankheiten gentherapeutisch zu heilen. Das gilt insbesondere für Erbkrankheiten des hämatopoetischen Systems, weil sich hier gentechnisch „korrigierte“ Stammzellen leichter einschleusen lassen als in parenchymale Gewebe. Dennoch sahen sich Forscher bei früheren Versuchen immer wieder mit großen Schwierigkeiten einschließlich problematischer Nebenwirkungen konfrontiert, so dass bisher noch keine einzige Gentherapie außerhalb von Studien zugelassen wurde. Nun ist es den Preisträgern jedoch gelungen, eine wirksame Gentherapie für eine solche Krankheit, das Wiskott-Aldrich-Syndrom, zu etablieren.

Das seltene Wiskott-Aldrich-Syndrom (WAS) wird durch einen X-chromosomal rezessiv vererbten Gendefekt verursacht. Das Unvermögen zur normalen Bildung von Wiskott-Aldrich-Protein führt zu Funktionsstörungen im hämatopoetischen System und in der Folge zu Infektionen, Thrombozytopenie, Ekzemen und Autoimmunreaktionen. Die bisherige Behandlung mittels allogener Stammzelltransplantation birgt beträchtliche Risiken, wenn Stammzellen ohne vollständigen HLA Match verwendet werden müssen.

Seite 1/2

#### Kontakt:

Dr. Rolf Hömke  
Pressereferent  
Telefon 030 20604-204  
Telefax 030 20604-209  
rolf.hoemke@paul-martini-stiftung.de

Hausvogteiplatz 13  
10117 Berlin  
www.paul-martini-stiftung.de

# Pressemitteilung

Im Rahmen der prämierten Arbeit (publiziert im *New England Journal of Medicine* 2010;363:1918-27) wurde nach langjährigen präklinischen Studien das erste klinische Studienprotokoll zur Gentherapie dieses Syndroms entwickelt und angewendet: Zwei Jungen wurden autologe hämatopoetische Stammzellen transfundiert, die zuvor mit einem inaktiven Gen für das Wiskott-Aldrich-Protein modifiziert worden waren. Dies führte bei den Patienten zur weitgehenden Normalisierung wichtiger Komponenten des Immunsystems und einer deutlichen Verbesserung des klinischen Bildes, die über 2,5 Jahre dokumentiert werden konnte.

Seither wurden mit der gleichen Methode noch acht weitere Patienten behandelt. Bei sieben von diesen wurde eine andauernde Besserung der klinischen Symptome beobachtet; bei einem Patienten reichte die Zahl der übertragenen Zellen nicht aus. Ein Patient entwickelte eine Leukämie, die aber erfolgreich behandelt werden konnte.

Seite 2/2

Die klinische Studie konnte dank finanzieller Unterstützung durch die *Deutsche Forschungsgemeinschaft*, das *Bundesministerium für Bildung und Forschung* und die internationale *Care-for-Rare Foundation – Stiftung für Kinder mit seltenen Erkrankungen* durchgeführt werden.

Der Ansatz, so betonte Professor Scriba in seiner Laudatio, gehe in seiner Bedeutung und seiner Perspektive weit über die spezielle Problematik WAS hinaus, da er auch auf die Behandlung anderer Krankheiten anwendbar ist. Diese Leistung dokumentiere die hohe Qualität der klinischen Forschung in Deutschland.

## Die Paul-Martini-Stiftung

*Die gemeinnützige Paul-Martini-Stiftung, Berlin, fördert die Arzneimittelforschung sowie die Forschung über Arzneimitteltherapie und intensiviert den wissenschaftlichen Dialog zwischen medizinischen Wissenschaftlern in Universitäten, Krankenhäusern, der forschenden Pharmaindustrie, anderen Forschungseinrichtungen und Vertretern der Gesundheitspolitik und der Behörden. Träger der Stiftung ist der vfa, Berlin, mit seinen derzeit 44 Mitgliedsunternehmen.*

*Die Stiftung ist benannt nach dem herausragenden Bonner Wissenschaftler und Arzt Professor Paul Martini (1889 - 1964), in Würdigung seiner besonderen Verdienste um die Förderung und Weiterentwicklung der klinisch-therapeutischen Forschung, die er mit seiner 1932 veröffentlichten „Methodenlehre der therapeutischen Untersuchung“ über Jahrzehnte wesentlich geprägt hat.*

**Die Pressemitteilung, Lebensläufe und Fotos der Preisträger können abgerufen werden unter:**

<http://www.paul-martini-stiftung.de/de/paulmartinipreis/2011.html>