

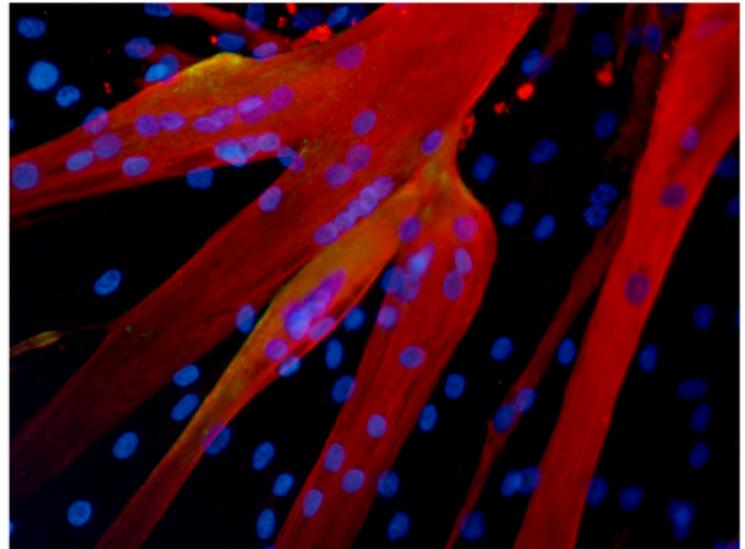
Muskeldystrophie: Wie könnten Stammzellen helfen?

Was wissen wir?

Muskeldystrophien sind eine Gruppe genetischer Erkrankungen, die zu Schwäche und zunehmendem Schwund der Herz- und Skelettmuskulatur führen.

Menschen mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) fehlt ein Protein namens Dystrophin, weshalb ihre Muskeln sehr empfindlich gegenüber Schäden sind. Muskelschäden können zu Entzündungen führen, die weitere Schäden am Muskelgewebe hervorrufen.

Normalerweise bilden Muskelstammzellen, die sogenannten Satellitenzellen, Myoblasten, die geschädigte Muskelfasern reparieren. Doch bei DMD-Patienten schaffen es die Satellitenzellen nicht, Myoblasten in ausreichender Zahl zu bilden, und sie sind rasch erschöpft.



Muskelfasern, die im Labor von humanen Mesoangioblasten gebildet wurden.

Bild: als freundliche Leihgabe von OptiStem und von Giulio Cossu.

Was untersuchen Forscher?

Die Forscher untersuchen viele Aspekte zu Satellitenzellen, die Ursachen von Muskelschäden sowie Behandlungen, die den Muskelschaden eindämmen könnten, wie z. B. entzündungshemmende Therapien.

In Studien wird erforscht, wie die Muskelfunktion durch die Transplantation Dystrophin-produzierender Zellen erhalten bleiben und möglicherweise sogar wiederhergestellt werden könnte. Diese Zellen könnten von gesunden Spendern stammen oder patienteneigene Zellen sein, die genetisch modifiziert wurden.

An induzierten pluripotenten Stammzellen (iPS) wird als eine Option zur Gewinnung großer Mengen von Zellen mit gesunden Dystrophin-Genen geforscht.

Was sind die Herausforderungen?

Die größte Herausforderung bei der Behandlung mit Spenderzelltransplantaten ist die Gefahr einer Transplantatabstoßung durch das Immunsystem des Patienten. Werden Patienten mit ihren eigenen Zellen (entweder genetisch modifizierten Zellen oder iPS) therapiert, kann die Transplantatabstoßung zwar größtenteils umgangen werden, doch es bestehen andere Risiken.

Alle Muskeln des Patienten sind geschwächt und müssen behandelt werden. Die gleichmäßige Verteilung der Zellen in der Muskulatur des gesamten Körpers ist eine große Herausforderung bei Zelltherapien.

Außerdem ist die Quote des erfolgreichen Einbringens therapeutischer Zellen in geschädigte Muskel bei Zelltherapien relativ gering (was als „low engraftment“ bezeichnet wird).