

Chorea Huntington: Hilfe durch Stammzellen?

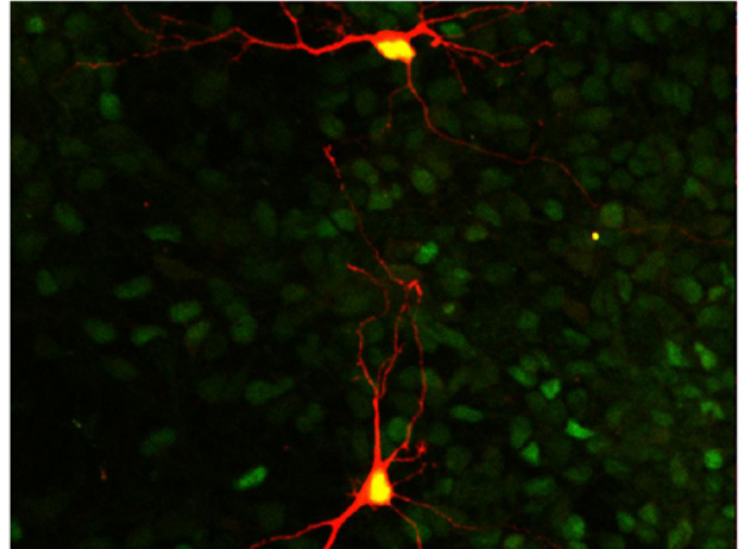
Was wissen wir?

Die Chorea Huntington (Huntington-Krankheit) ist eine Erbkrankheit, bei der die striatalen Projektionsneuronen (im Englischen bezeichnet als „Medium Spiny Neurons“ bzw. MSN) im Gehirn zerstört werden, was zu emotionalen Veränderungen, geistigem Verfall und Bewegungsstörungen führt.

Die Symptome treten häufig im Alter von 35 bis 50 Jahren auf, können aber auch schon früher beginnen.

Chorea Huntington wird von einer CAG-Sequenz der DNA verursacht, die im Huntington-Gen über 40 Mal wiederholt wird. Bei Menschen mit mehr als 35 Wiederholungen besteht ein erhöhtes Erkrankungsrisiko.

Es gibt derzeit keine Therapien der Chorea Huntington. Stammzellen haben als Mittel zur Erforschung vieler Aspekte der Chorea Huntington einen unschätzbaren Wert. Dies reicht von der Untersuchung, warum bei Chorea Huntington MSN zugrunde gehen, bis zur Testung neuer Behandlungsformen.



Im Labor aus embryonalen Stammzellen gezüchtete menschliche mittlere stachelige Neurone (MSN, engl. Medium Spiny Neurons, Zellen mit dornenbesetzten dendritischen Endverzweigungen, den Spines).

Bild: Charles Arber, University College London

Was untersuchen Forscher?

Das Huntington-Gen bildet ein Protein, das wichtig für Neuronen ist. Doch die Wissenschaftler versuchen immer noch zu verstehen, was dieses Protein in Zellen tut und warum zu viele CAG-Wiederholungen dazu führen, dass MSN absterben.

Die Forscher verwenden aus induzierten pluripotenten Stammzellen (iPS) gezüchtete MSN als Modell der Chorea Huntington und beobachten daran das Fortschreiten der Erkrankung. iPS werden auch zum raschen Testen von neuen Arzneimitteln, Gentherapien und anderen Behandlungen von Chorea Huntington verwendet. Das geht schneller als zu der Zeit, in der iPS noch nicht verfügbar waren.

In Studien wird untersucht, wie neurale Stammzellen (eine im Gehirn vorkommende Stammzellart) ins Gehirn von Patienten transplantiert werden könnten, um das Gehirn zu reparieren und möglicherweise MSN und andere benötigte Gehirnzellen nachzuzüchten.

Was sind die Herausforderungen?

Gegenwärtig gibt es keine zugelassenen Stammzelltherapien für Chorea Huntington. Die Transplantation neuraler Stammzellen wurde in mehreren wissenschaftlichen Studien zur Behandlung von Patienten mit Chorea Huntington untersucht, doch diese Therapien müssen noch strenge klinische Studien durchlaufen, um ihre Sicherheit und Wirksamkeit unter Beweis zu stellen.

Ethische und zuverlässige Quellen für neurale Stammzellen müssen erschlossen werden. iPS und embryonale Stammzellen sind unter Umständen in der Lage, große Mengen an neuralen Stammzellen hervorzubringen. Doch diese Zellen müssen identisch, berechenbar und sicher sein. Ohne ausreichende Tests könnten pluripotente Stammzellen Krebs oder andere lebensbedrohliche Komplikationen hervorrufen.