

An die Medien

Kommunikation UKBBlic. phil. Viviane Gutzwiller,
Kommunikationsbeauftragte UKBB
T +41 61 704 17 11, viviane.gutzwiller@ukbb.ch

Basel, 11. August 2015

Muskelschwund: Zukunftsweisende Forschung am UKBB

Die Forschungsgruppe um PD Dr. med. Dirk Fischer, Leitender Arzt in der Abteilung Neuro- und Entwicklungspädiatrie am UKBB, berichtet über erste erfreuliche Resultate bei der Behandlung von Kindern mit Muskeldystrophie Typ Duchenne, der häufigsten Form des Muskelschwundes. Die am UKBB weiterentwickelten Analysemethoden sind den bisherigen deutlich überlegen. Die Thomi-Hopf-Stiftung unterstützt diese zukunftsweisende Forschung für die kommenden drei Jahre mit insgesamt CHF 780'000.

Man geht davon aus, dass mehr als 800 genetisch verschiedene Formen von neuromuskulären Erkrankungen - oder Muskeldystrophien - existieren. Der Volksmund nennt diese Erkrankungen „Muskelschwund“ und beschreibt damit das wesentliche Krankheitszeichen, das bei diesen unterschiedlich verlaufenden Erkrankungen auftritt. In der Schweiz leiden etwa 250 bis 350 Betroffene an der häufigsten Form, der Muskeldystrophie Typ Duchenne, jährlich kommen etwa zehn bis 15 Neuerkrankungen dazu. Die Jungen - Mädchen sind von dieser Muskeldystrophie normalerweise nicht betroffen - werden mit acht bis zwölf Jahren gehunfähig und sind dann auf den Rollstuhl angewiesen. Auch der Herzmuskel und die Atemmuskulatur sind betroffen, wodurch die Lebenserwartung erheblich eingeschränkt ist.

Beurteilung von Medikamenten-Wirksamkeit: Vielversprechende Resultate bereits mit wenigen Patienten

„Aufgrund der Seltenheit von neuromuskulären Erkrankungen ist es extrem schwierig, klinische Studien durchzuführen, mit denen sich die Wirksamkeit der Behandlungen wissenschaftlich eindeutig nachweisen lassen“, erklärt Prof. Dr. med. Daniela Finke, Leiterin der Forschung am UKBB. Für Studien mit etablierten klinischen Endpunkten (physiotherapeutische Muskelfunktionsteste) benötigt man oft über hundert Patienten. PD Dr. med. Dirk Fischer hat deshalb mit seiner Forschungsgruppe – die eingebettet ist in die Abteilung Neuro- und Entwicklungspädiatrie unter Leitung von Prof. Dr. med. Peter Weber – die Analyse- und Beurteilungsmethoden verbessert. Zudem haben die Forscher MRI-Sequenzen entwickelt, mit denen der Anteil des kranken Muskelgewebes objektiv quantitativ gemessen werden kann. Die Genauigkeit dieser Methoden ist den klinischen Methoden deutlich überlegen, weshalb die Wirksamkeit von neuen Medikamenten in Studien mit viel weniger Patienten beurteilt werden kann. In einer anschliessenden klinischen Pilotstudie mit Metformin und L-Arginin bei fünf Patienten mit Muskeldystrophie Duchenne konnte erfreulicherweise eine signifikante Zunahme der mitochondrialen Eiweisse, die die Muskelzellen mit Energie beliefern, und eine Verbesserung der Gehstrecke beobachtet werden.

In den kommenden drei Jahren sollen dank der Förderung der Forschungsgruppe durch die Thomi-Hopf-Stiftung die MRI-Sequenzen weiter optimiert werden. Zudem soll der Behandlungsansatz weiterverfolgt und ggf. auf

andere Muskelkrankheiten ausgedehnt werden. Sollten diese Studien erfolgreich sein, würde eine neue Behandlung zur Verfügung stehen, welche die Symptome der Muskeldystrophie Duchenne und anderer Myopathien günstig beeinflussen könnte.

PD Dr. med. Dirk Fischer, Leitender Arzt in der Abteilung für Neuro- und Entwicklungspädiatrie am UKBB

PD Dr. med. Dirk Fischer ist Facharzt und Privatdozent für Neurologie. Er hat an der Freien Universität Berlin Medizin studiert, in zahlreichen Auslandsaufenthalten in Madrid, Dublin, Buenos Aires, Paris und London wissenschaftliche Expertise auf dem Gebiet Muskeldystrophie erworben und 2009 im Fach Neurologie habilitiert. Seine klinischen Schwerpunkte liegen im Bereich peripher neurologischen Erkrankungen, speziell neuromuskulärer Erkrankungen und neurophysiologischer Diagnostik.

Die THOMI-HOPF-STIFTUNG

Die THOMI-HOPF-STIFTUNG ist eine gemeinnützige Organisation mit Sitz in Allschwil. Sie verfolgt den Stiftungszweck, Institutionen und Organisationen gemeinnütziger und wohltätiger Art finanziell zu unterstützen. Dazu gehören insbesondere Heil- und Pflegeanstalten sowie Kinder-, Waisen- und Altersheime.

Auskünfte

Kommunikation UKBB, lic. phil. Viviane Gutzwiller, T +41 61 704 17 11, viviane.gutzwiller@ukbb.ch