



# Aktuell

HAUSANSCHRIFT Hannoversche Straße 28-30, 10115 Berlin  
POSTANSCHRIFT 11055 Berlin

TEL 01888 57-50 50

FAX 01888 57-55 51

E-MAIL [presse@bmbf.bund.de](mailto:presse@bmbf.bund.de)

HOME PAGE [www.bmbf.de](http://www.bmbf.de)

20. November 2006

207/2006

## **Seltene Krankheiten besser verstehen**

### **BMBF finanziert Forschungsnetzwerke mit 15 Millionen Euro**

Seltene Erkrankungen sind gar nicht so selten, wie der Name sagt. Allein in Deutschland gibt es mehrere Millionen Betroffene. Eine Erkrankung gilt als selten, wenn weniger als einer von 2000 Menschen unter einem spezifischen Krankheitsbild leidet. Um die Erforschung dieser Krankheiten weiter zu fördern, unterstützt das Bundesministerium für Bildung und Forschung (BMBF) neun krankheitsspezifische Netzwerke für zwei weitere Jahre mit rund 15 Millionen Euro. Mit dieser Förderinitiative soll ein besseres Verständnis der Erkrankungen und eine Optimierung der Patientenversorgung gewährleistet werden.

Die Netzwerke befassen sich mit einem weiten Spektrum an seltenen Erkrankungen, das von schwersten Hauterkrankungen über Muskeldystrophien bis zu neurologischen Krankheiten reicht. Im Zentrum der Förderung des BMBF steht die Kooperation zwischen Grundlagenforschung und klinischer Forschung: So können Krankheitsursachen und -verläufe systematisch erforscht, spezifische Diagnosen gestellt, der Informationstransfer verbessert und eine kompetente Patientenversorgung gesichert werden. Selbsthilfegruppen der Patienten sind eng in die Zusammenarbeit eingebunden. Zudem hat die nationale Förderung die Grundlage für eine verstärkte internationale Vernetzung dieser Forschungsrichtung gelegt.

Wie effektiv die Kooperation zwischen Grundlagenforschung und klinischer Anwendung ist, zeigt beispielsweise das Forschungsnetzwerk Leukonet. Wissenschaftlerinnen und Wissenschaftler untersuchen hier das Krankheitsbild der Leukodystrophien. Darunter versteht man eine Reihe seltener neurologischer Erkrankungen, die zu einem fortschreitenden Verlust körperlicher und geistiger Fähigkeiten führen, da die

Nervenleitfähigkeit zunehmend gestört ist. Den Forscherinnen und Forschern ist es gelungen, neue und verbesserte Tiermodelle zu erzeugen. Dabei handelt es sich um Mäuse, deren Gene künstlich verändert wurden, so dass sie die klinischen und biochemischen Erscheinungen von Leukodystrophien verkörpern. An solchen Tieren können dann Forscher die Mechanismen der Krankheiten studieren und neue Therapieverfahren erproben.

Ein aktuelles Beispiel ist das Mausmodell einer besonderen Untergruppe der Leukodystrophien („metachromatische Leukodystrophien“). Den davon betroffenen Patienten fehlt ein Enzym. Dadurch wird der Zerfall der Markscheiden der Nervenzellen verursacht und so die Funktion dieser Zellen gestört. Das Institut für physiologische Chemie der Universität Bonn unter Leitung von Prof. Gieselmann und die Firma Zymenex A/S haben gemeinsam mit Hilfe des Mausmodells eine viel versprechende Enzyersatztherapie entwickelt. Durch das wiederholte Einspritzen des künstlich hergestellten Enzyms hat sich der Zustand der kranken Mäuse gebessert. Jetzt steht die klinische Erprobung dieser Therapie an Patienten mit der betreffenden Leukodystrophie bevor.

**Weitere Informationen zur BMBF-Förderung erhalten Sie im Internet unter:**

[www.gesundheitsforschung-bmbf.de/de/131.php](http://www.gesundheitsforschung-bmbf.de/de/131.php)