

NCL-Forschungsprojekt Münster



Herstellung, Differenzierung und Untersuchung von isogenen hiPS-Zellen mit CLN3 Mutation

NCL ist die Abkürzung für Neuronale Ceroid Lipofuszinose, eine Stoffwechselkrankheit, die das zunehmende Absterben von Nervenzellen zur Folge hat. Die Zerstörung der Neuronen führt bei den Betroffenen zu Erblindung, geistigem Abbau, motorischen Störungen, Epilepsie und einem vorzeitigen Tod.

Da es bislang keine Therapie gegen NCL gibt, setzt sich die NCL-Stiftung für eine kooperative Forschungsförderung ein. Teil dessen ist die Förderung junger Wissenschaftler durch die Vergabe von Doktorandenstipendien, um Forschungslücken zu schließen.

WER IST AM PROJEKT BETEILIGT?

Das Projekt ist Teil der Dissertation von Gemma Gómez Giró und wird von Prof. Dr. Hans Schöler des **Max Planck Instituts für molekulare Biomedizin** in Münster (MPI) betreut. Es handelt sich um ein Kooperationsprojekt zwischen dem MPI und der **Universität Luxemburg**, das die Expertise beider Forschungsgruppen zusammenbringt, um gemeinsam am Thema zu forschen.

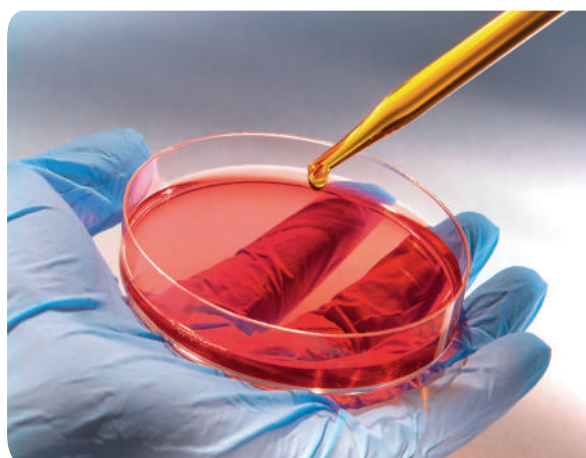
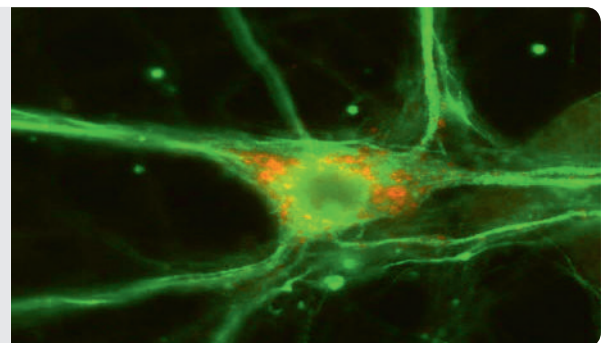


WORAN WIRD GEFORSCHT?

Das Forschungsprojekt beschäftigt sich mit **humanen induzierten pluripotenten Stammzellen** (hiPS-Zellen), die spätestens seit dem Nobelpreis 2012 in aller Munde sind. Diese Zellen werden aus menschlichen Zellen erzeugt und können sich zu einem gewünschten, spezialisierten Zelltyp entwickeln. Da hiPS-Zellen menschlichen Ursprungs sind, kann man die erzielten Forschungsergebnisse besser auf den NCL-Patienten übertragen.

WAS IST DAS ZIEL DES PROJEKTS?

Um diese Technik für NCL nutzen zu können, müssen die für juvenile NCL typischen Mutationen des CLN3 Gens künstlich im Labor erzeugt werden. Die genetisch veränderten hiPS-Zellen sind ansonsten genetisch identisch (isogen) und entwickeln sich nach Zugabe bestimmter Stoffe zu Nervenzellen. Diese NCL-Nervenzellen ermöglichen die **Untersuchung zellulärer Prozesse** wie Überlebensrate, Stressresistenz und Entwicklung von Synapsen. Im letzten Schritt können verschiedene Medikamente auf eine Verbesserung der NCL-Symptome getestet werden.



WARUM IST DAS PROJEKT WICHTIG?

Die Zahl der an NCL Erkrankten ist zu gering, als dass Pharmaunternehmen in kostspielige Medikamentenforschung investieren würden. Durch die Herstellung von isogenen hiPS-Zellen mit CLN3 Mutation, schafft unser Projekt die benötigte **Grundlage für Wissenschaftler und Pharmaunternehmen**, effiziente Medikamententests durchzuführen. Dies erhöht die Chance, in Zukunft eine wirksame Therapie für NCL-Patienten zu entwickeln.

Auch aus **ethischen Gründen** ist die Verwendung von hiPS-Zellen ein großer Fortschritt. Oft ist es unausweichlich im Labor an Tieren zu forschen, da die Alternativen fehlen. Die hiPS-Zellen, die in unserem Projekt erzeugt werden, stammen von Zelllinien aus dem Labor und machen die Testergebnisse nicht nur genauer, sondern bieten eine gute Alternative zu Tiermodellen.

- Das NCL-Forschungsprojekt in Münster ist eines von bisher 19 geförderten Forschungsprojekten der NCL-Stiftung und wird vom Münsteraner Krimi-Cup und dem Batten Research Fund unterstützt
- In den letzten 11 Jahren hat die NCL-Stiftung über 2,5 Mio. EUR an Forschungsgeldern bewegt