

Medienmitteilung vom 25. Juni 2010

Neue Methode gibt Sehvermögen zurück

Forschende am Friedrich Miescher Institute for Biomedical Research (FMI), einem Teil der Novartis Forschungsstiftung, haben eine bahnbrechende gentherapeutische Methode entwickelt, die es ihnen erlaubt, das Sehvermögen in blinden Mäusen wiederherzustellen. Mit Hilfe eines lichtsensitiven Proteins aus Archaeobakterien können die Forschenden nicht nur Zapfenfotorezeptoren in der Netzhaut reaktivieren, die so behandelten Mäuse können danach auch Aufgaben lösen, für die sie ihr Sehvermögen benötigen. Wie die Neurobiologen ausserdem heute in der Wissenschaftszeitschrift *Science* publizieren, lässt sich die Methode auch in kultivierten, menschlichen Netzhäuten anwenden.

Wie Forschende vom Friedrich Miescher Institute for Biomedical Research (FMI) heute in *Science* publizieren, haben sie eine bahnbrechende gentherapeutische Methode entwickelt, die es ihnen erlaubt, das Sehvermögen in blinden, *Retinitis pigmentosa* Mäusen wiederherzustellen.

Unter dem Begriff *Retinitis pigmentosa* wird eine Gruppe von vererbaren Krankheiten zusammengefasst, die alle unwiederbringlich zu Blindheit führen und weltweit rund 2 Millionen Menschen betreffen. Obwohl die Ursachen für die Krankheiten vielfältig sind, werden sie unter einem gemeinsamen Begriff geführt, da der Krankheitsverlauf identisch ist: In einer ersten Phase sterben die hochsensitiven Fotorezeptoren in der Netzhaut ab, die für das Sehen bei schwacher Beleuchtung verantwortlich sind — die Stäbchen. Der zweite Fotorezeptorzell-Typ, die sogenannten Zapfen, welche für das Sehen bei Tageslicht und unter anderem für das Farbsehen verantwortlich sind, bleiben länger erhalten. Sie verlieren aber zunehmend ihre Funktion. Die FMI Neurobiologen um Botond Roska testeten jetzt, ob diese Zapfen für eine therapeutische Intervention zugänglich sind.

Die Forschenden konnten mittels eines lichtempfindlichen Proteins aus Archaeobakterien das Sehvermögen von *Retinitis pigmentosa* Mäusen wiederherstellen. Die neuartige Methode erlaubt es ihnen nicht nur das lichtempfindliche Protein gezielt in den defekten Zapfenfotorezeptoren zu produzieren; die so behandelten Zapfen waren danach auch in der Lage, richtig mit den anderen Nervenzellen in der Netzhaut zu interagieren und die molekularen Sehprozesse nachzubilden, die Licht in ein Nervensignal umwandeln. Darüber hinaus konnten die Forschenden mittels Verhaltenstests zeigen, dass die Mäuse wieder einfache Aufgaben ausführen können, für die sie ihre Sehfähigkeit benötigen.

Die verbleibenden Zapfenfotorezeptoren sind also in der Tat ein optimaler Ausgangspunkt für eine therapeutische Intervention bei Krankheiten, bei denen die Funktion der Fotorezeptoren verloren geht.

Damit diese Erkenntnisse auch *Retinitis pigmentosa* Patientinnen und Patienten zu Gute kommt, untersuchten die FMI-Forschenden zusammen mit Kollegen des Vision Institute in Paris, ob sich dieser Ansatz auch in menschlichen Retinas anwenden lässt. In einer ersten Serie von Experimenten waren sie in der Lage das Archaeobakterienprotein in den Zapfenfotorezeptoren von licht-unempfindlichen, menschlichen Netzhäuten in Zellkultur herzustellen. Und siehe da, die behandelten Zellen reagierten plötzlich auf Licht.

„Wir sind der Meinung, dass wir mit unserer Methode einen vielversprechenden Ansatz gefunden haben, der *Retinitis pigmentosa* Patienten und Patientinnen helfen kann. Unsere

Sandra Ziegler Handschin
Communications
Maulbeerstrasse 66
CH-4058 Basel

T +41 61 696 15 39
F +41 61 697 39 76

sandra.ziegler@fmi.ch
www.fmi.ch



Kollegen in Paris sind bereits daran, Patientinnen und Patienten zu überprüfen, um zu ermitteln, wer am Besten von unserer Therapie profitieren kann," sagt Botond Roska.

Über die Netzhaut und die Sehprozesse

Die Netzhaut, auch Retina genannt, ist das lichtempfindliche Gewebe im Augenhintergrund. Sie ist aus verschiedenen Nervenzellschichten aufgebaut, wobei die einzelnen Schichten über Synapsen miteinander verbunden sind. Die oberste Schicht besteht aus Fotorezeptorzellen, den Stäbchen und den Zapfen. Nur diese sind in der Lage das Licht zu verarbeiten. Dieses Licht wird in molekulare Signale umgewandelt und über andere Nervenzellen durch den optischen Nerv ans Gehirn weitergeleitet.

Kontakt

Botond Roska, +41 61 697 85 75, botond.roska@fmi.ch

Volker Busskamp, +41 61 697 86 81, volker.busskamp@fmi.ch

Pressebilder

Zum Herunterladen auf www.fmi.ch

Verwendung nur im Zusammenhang mit einer Berichterstattung zu dieser Medieninformation honorarfrei. Keine Archivierung. © FMI.

Originalpublikation

Busskamp V, Duebel J, Balya D, Fradot M, Viney JT, Siegert S, Groner AC, Cabuy E, Forster V, Seeliger M, Biel M, Humphries P, Paques M, Mohand-Said S, Trono D, Deisseroth K, Sahel JA, Picaud S, Roska B.(2010) [Genetic Reactivation of Cone Photoreceptors Restores Visual Responses in Retinitis Pigmentosa](#). Science, DOI: 10.1126/science.1190897

Über das FMI

Das Friedrich Miescher Institute for Biomedical Research (FMI) in Basel ist ein weltweit anerkanntes Spitzenforschungsinstitut für Grundlagenforschung in den biomedizinischen Wissenschaften. Es wurde 1970 von zwei in Basel ansässigen Pharmakonzernen initiiert und ist heute ein Teil der **Novartis Forschungsstiftung**. Die Forschung am FMI fokussiert sich auf die Bereiche Neurobiologie, Wachstumskontrolle und Signalwege, sowie Epigenetik. Zurzeit arbeiten rund 320 Mitarbeitende am FMI. Das FMI leistet einen wichtigen Beitrag zur Aus- und Weiterbildung von Forschenden: Sein PhD Student Programm und sein Postdoctoral Training gehören zu den besten auf der Welt. Das FMI ist ausserdem der Universität Basel angegliedert. Seit 2004 leitet Prof. Susan Gasser das Institut. In diesem Jahr feiert das FMI sein 40-jähriges Bestehen.