

Fragen an Dr. Petra Wendler, Genzentrum München Gewinnerin des Care-for-Rare Science Award 2014

Können Sie allgemeinverständlich kurz schildern, woran Sie gerade forschen? Was genau ist das Zellweger-Syndrom?

Wir sind generell daran interessiert zu verstehen wie molekulare Maschinen funktionieren, die chemische Energie in der Zelle nutzen um sie in Arbeit, also mechanische Energie, umzuwandeln. Diese Maschinen sind in der Regel dafür zuständig in der Zelle Ordnung zu halten, d.h. sie helfen nicht mehr funktionierende Zellbestandteile zu recyceln, sie bewegen Zellbestandteile von A nach B oder sie gestalten Zellbestandteile um, um die Zelle äußeren Einflüssen besser anzupassen. Sie sind oft die treibende Kraft von grundlegenden zellulären Prozessen und müssen einwandfrei funktionieren, damit der Organismus überlebt.

Insbesondere interessieren wir uns für molekulare Maschinen, die die Funktion von sogenannten Peroxisomen regulieren. Das sind kleine Zellkompartimente, in denen Fettsäuren und Alkohole abgebaut werden. Peroxisomen sind außerdem sehr wichtig, um Fette der Myelinschicht herzustellen, die die Nervenzellen isoliert. Funktionieren Peroxisomen aufgrund einer Genmutation in den für die molekularen Maschinen zuständigen Genen nicht richtig, entwickeln Säuglinge das Zellweger Syndrom. Das ist eine seltene genetische Krankheit, bei der schwere Ausprägungen schon im ersten Lebensjahr zum Tod führen. Die Kinder leiden u.a. unter starken neurologischen Schäden, Herzschäden und niedriger Muskelspannung. Es gibt bisher keine Heilung für diese Krankheit.

Steht es in Aussicht, dass das Zellweger-Syndrom irgendwann heilbar ist?

Im Moment werden bei Zellweger Patienten vornehmlich die Symptome der Krankheit behandelt, da die Ursache nicht gut genug erforscht ist. Es gibt Hinweise darauf, dass die fehlerhaft funktionierende molekulare Maschine mit bestimmten Medikamenten stabilisiert werden kann. Im Moment werden diese Medikamente ausgetestet ohne zu wissen, wie sie genau wirken. Ich möchte die Struktur der zellulären Maschinen aufklären, um die Wirkungsweise der Medikamente nachvollziehen zu können. Auf diese Weise kann gezielter nach einem guten Medikament gesucht werden. Ich finde es schwer vorherzusagen, ob diese Krankheit heilbar ist. Ich denke allerdings, dass es möglich ist, ein Medikament zu finden, dass zu einer deutlichen Verbesserung der Lebensqualität und Lebensdauer der Patienten führt. Vielleicht für die weniger schweren Fälle sogar zur Heilung.

Wo und wie sind Ihre Forschungsergebnisse im klinischen Alltag zu finden?

Ich habe ein sehr junges Team und wir forschen noch nicht lange an diesem Thema, daher gibt es noch keine klinische Anwendung. Ich hoffe allerdings, dass unsere Arbeit dazu beiträgt, dass sehr bald gezielt neue Medikamente klinisch getestet werden können.

Was macht dieses Feld der Forschung für Sie so spannend?

Mich fasziniert herauszufinden, wie mechanische Probleme von der Zelle gelöst werden. Wir helfen uns im Alltag auch mit Maschinen, um uns Arbeit abzunehmen und ich finde es spannend zu erforschen, welche Maschinen in der Zelle wie Arbeit verrichten. Als Strukturbiologin bin ich immer wieder beeindruckt davon, winzig kleine Zellbestandteile in 3D zu sehen und ihre Funktion zu erkunden. Mir ist es ein großes Bedürfnis dieses erworbene Wissen auch sinnvoll anzuwenden und zu erforschen, wie Krankheiten entstehen, wie sie verhindert oder geheilt werden können. Die Forschung an den molekularen Maschinen des Peroxisoms verbindet beide Aspekte für mich.

Was bedeutet diese Forschung über die Behandlung von seltenen Erkrankungen hinaus?

Da die molekularen Maschinen der Peroxisomen einer großen Gruppe von ähnlichen Maschinen angehören, erhoffen wir uns, dass ihr Funktionsprinzip auf andere Maschinen übertragbar ist. Bisher weiß man sehr wenig darüber wie diese Maschinen funktionieren oder reguliert werden können. Da sie oft an lebenswichtigen zellulären Prozessen beteiligt sind, könnten unsere Ergebnisse auch für andere Erkrankungen relevant sein oder zumindest Forschung auf anderen Gebieten beschleunigen.

Was bedeutet der Care-for-Rare Science Award für Sie?

Der Care-For-Rare Science Award ist eine großartige Anerkennung meiner Forschung und hilft mir dabei, weiterhin auf hohem Niveau meinen wissenschaftlichen Zielen nachzugehen. Die Finanzierung erlaubt mir diesen wichtigen Forschungsbereich schneller anzugehen, als es über "klassische" Bewerbungsverfahren möglich gewesen wäre.