

PRESSEMITTEILUNG

LANGENNEUFNACH TRIFFT AUF NOBELPREIS

Aussitzen geht nicht! Familie Wagner, Inhaber der Topstar GmbH, unterstützt aktiv die Forschung zur Heilung Muskelerkrankter.



Michael Wagner, CEO Topstar GmbH



Prof. Dr. Simone Spuler, MDC Berlin

Familienmitglieder der Familie Wagner, Inhaber der Topstar GmbH, spenden 40.000 Euro an SFCM e.V, strong for cured muscles. Ein gemeinnütziger Verein von Muskelschwund Patienten, der aktiv die Forschung unterstützt.

DIE ERKRANKUNG MUSKELSCHWUND



*„Ausgehend von der Muskel-
erkrankung meiner Nichte,
Christina Walz und dem Wissen
um die hohe Kompetenz und internationale
Anerkennung von Frau Prof. Dr. Spuler und
ihrem Team haben wir uns entschlossen, diese
Forschungsarbeit mit einem Sponsorenbeitrag
von € 40.000 zu sponsern.*

*Wir wünschen Frau Prof. Spuler und ihrem
Team weiterhin viel Erfolg!“*

Michael Wagner, CEO Topstar GmbH



Symbolbild, unsplash

Allein in Deutschland leiden über 300.000 Menschen unter Muskelschwund

Doch es ist der deutschen Wissenschaftlerin Simone Spuler und ihrem Team am Max Dellbrück Center der Charité Berlin gelungen, eine Gentherapie zu entwickeln, die bei den Betroffenen Hoffnung weckt.

Möglich geworden ist Frau Prof. Spulers Arbeit durch vor allem durch die Forschung der beiden Molekularbiologinnen und Nobelpreisträgerinnen Emmanuelle Charpentier und Jennifer Doudna.

Nun haben sich Betroffene zusammengetan und einen Verein gegründet. Zum einen wollen sie auf ihre Situation aufmerksam machen, zum anderen

wollen sie durch Spenden die Forschungen in Berlin finanziell unterstützen. Denn Forschungsgelder, öffentliche Mittel oder eine gezielte Unterstützung durch Stiftungen oder die Pharmaindustrie gibt es kaum.

Firmengründer Michael Wagner und seine Frau Christine, deren eigene Nichte von der Krankheit betroffen ist, hatten die Idee für den Verein und möchten diesen nun tatkräftig unterstützen.

Ob wir einen Hundert-Meter-Lauf machen oder Gegenstände aufheben – alle Handlungen sind nur möglich, weil unsere Muskeln mit unserem

FAKTEN ZUR KRANKHEIT UND ZUR THERAPIE



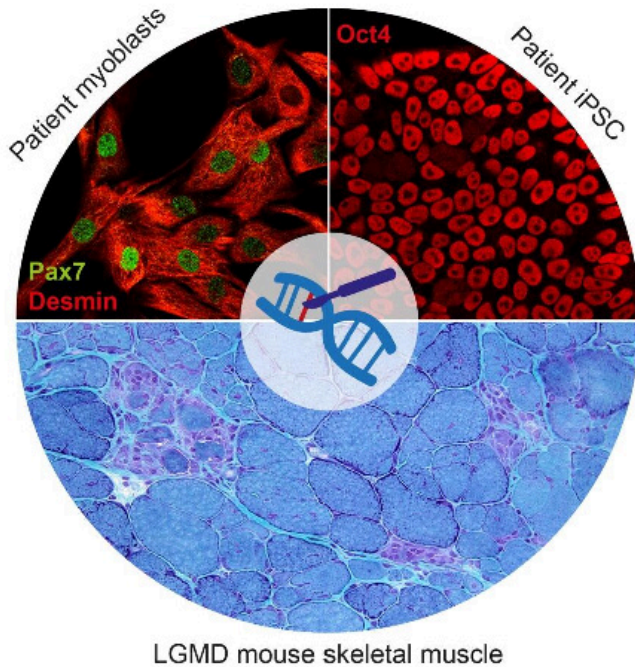
Im kommenden Jahr nun werden die ersten fünf Patient*innen an der Charité in Berlin mit dieser weltweit neuartigen und einzigartigen Methode behandelt. Der Ausgang ist ungewiss – die Hoffnung ist einzigartig.

Forscher*innen eine Gentherapie, bei der sie das defekte Gen in körpereigenen Muskelstammzellen, außerhalb des Körpers reparieren

Nervensystem zusammenarbeiten. Ist die Muskel-tätigkeit geschwächt, kommt dieser ausgeklügelte Bewegungsapparat buchstäblich ins Wanken. Was im Volksmund schlicht Muskelschwund genannt wird, tritt in rund 800 verschiedenen Formen auf und ist nicht immer, aber häufig, erblich bedingt. Die Krankheit nimmt den gleichen Verlauf, unterscheidet sich jedoch durch Mutation verschiedener Gene. Und an diesen Genen können wiederum verschiedene Stellen mutiert sein. Darum kommt es zu dieser Vielzahl von Varianten. Erkranktes Muskelgewebe lässt sich nicht durch eine Transplantation austauschen, wie bei Niere,

Lunge oder Herz. Wer es heilen will, muss die mutierten Gene reparieren, die es schwächen. Doch es gibt Hoffnung: Am MDC und an der Charité in Berlin entwickeln Forscher*innen eine Gentherapie, bei der sie das defekte Gen in körpereigenen Muskelstammzellen, außerhalb des Körpers reparieren. Die reparierten Stammzellen sollen den Patient*innen zurückgegeben werden und vor Ort neue Muskelfasern bilden.

FAKTEN ZUR KRANKHEIT UND ZUR THERAPIE



© Dr. Helena Escobar Fernández

Forscher*innen eine Gentherapie, bei der sie das defekte Gen in körpereigenen Muskelstammzellen, außerhalb des Körpers reparieren

Laborversuche und Tests an Mäusen zeigten einen Erfolg – der Durchbruch ist geschafft. Zwar kann man die entstandenen Schäden nicht rückgängig machen, aber man kann die Krankheit stoppen. Ein Riesen-Hoffnungsschimmer für alle Betroffenen – vor allem, wenn die Krankheit früh genug diagnostiziert wird.

In einer Studie mit einem Mausmodell konnten die Wissenschaftler*innen die Machbarkeit ihrer möglichen Therapiestrategie demonstrieren. Sie entnahmen einem zehnjährigen Muskeldystrophie-Patienten Muskelgewebe und gewannen daraus

Stammzellen. Diese wurden dann im Labor vermehrt. Schließlich tauschten die Expert*innen genau an der Mutation ein Basenpaar aus. Möglich geworden ist das Ganze vor allem durch die Entwicklung der CRISPR/Cas 9 Methode – besser bekannt unter dem Namen Genschere.

Für die Entwicklung der CRISPR/Cas9-Technologie haben die beiden Biochemikerinnen Emmanuelle Charpentier, Frankreich, und Jennifer Doudna, USA, im Jahr 2020 den Chemie-Nobelpreis erhalten



Spendengelder für Forschungsprojekte, die zur Heilung von Gliedergürtel Muskeldystrophien (LGMD) führen.

Strong for cured muscles ist ein gemeinnütziger, eingetragener Verein. Er versucht Spendengelder zu sammeln, damit Forschungsprojekte, die zur Heilung von Gliedergürtel Muskeldystrophien (LGMD) führen, realisiert werden können. Der Verein wurde auf Initiative von Christina Walz gegründet, die selbst Betroffene ist. Rasch schlossen sich andere Betroffene und Angehörige von Patient*innen zusammen und bilden heute ein schlagkräftiges und hoch motiviertes Team. Recht schnell wurde klar, dass dieser Verein sich für konkrete Forschungsprojekte, die eine Linderung oder Heilung von LGMD versprechen und in na-

her Zukunft in die klinische Entwicklung gelangen werden, verschreiben will. Insofern wurde von Anfang an nach Forschungsprojekte Ausschau gehalten, die dieses Ziel verfolgen. In Frau Prof. Spuler und ihrem Team wurden kompetente Ansprechpartner gefunden, die genau solche Forschungsprojekte verfolgen und schon bald mit Studien an Patient*innen starten werden. Aus diesem Grund wurde von Seiten des Vereines beschlossen, diese Projekte mit ganzer Kraft und Idealismus zu unterstützen.

www.sfcm.info

FAKTEN ZU TOPSTAR GMBH



Über 450 Mitarbeiter entwickeln und produzieren heute am Standort in Langenneufnach weit über eine Million Stühle pro Jahr.

1976 ist das Geburtsjahr von Apple. In diesem Jahr wurden aber auch andere erfolgreiche Marken gegründet. Während Steve Jobs und Stephen Wozniak in einer Garage im Silicon Valley an ihrem ersten Computer tüfteln, bastelt Michael Wagner in der kleinen Stuhlfabrik seines Vaters an seinen ersten Bürostühlen und gründet im Juni zusammen mit seiner Frau Christine die TOPSTAR GmbH. Über 450 Mitarbeiter und Stuhlenthusiasten entwickeln und produzieren heute am Standort in Langenneufnach weit über eine Million Stühle pro Jahr.

TOPSTAR GMBH
AUGSBURGER STRASSE 29 / 86863 LANGEN-
NEUFNACH BEI AUGSBURG
<https://www.topstar.de>

FAKTEN ZU FRAU PROF. SPULER



die Theorie der Vorlesungen viel zu einseitig. „Ich wollte unbedingt forschen. Bei einer Max-Planck-Gruppe durfte ich dann sofort mitmachen, einen Rezeptor bei einem Rattenmuskel zu isolieren“, erinnert sich Spuler. Das Interesse wurde zu einer Leidenschaft. „Muskeln sind sehr schön, Muskelfaser-Präparate sind so gleichmäßig strukturiert und in wunderbaren Nuancen färbbar“, sagt Spuler. Als sie in den neunziger Jahren als Postdoktorandin am Max-Planck-Institut in Martinsried beschloss, sich auf erbliche Muskelerkrankungen zu spezialisieren, wurden gerade die ersten Gene entdeckt, die sie verursachen.

Frau Prof. Spuler forscht mit ihrem Team in Berlin. Exzellente und weltweit einzigartige Forschung in Deutschland.

Simone Spuler ist Expertin für erbliche Muskelkrankheiten am Experimental and Clinical Research Center (ECRC), einer gemeinsamen Einrichtung von Charité - Universitätsmedizin Berlin und dem Max-Delbrück-Centrum. In der Hochschulambulanz auf dem Campus Berlin-Buch betreut sie rund 2.000 Patient*innen mit Muskelkrankheiten. Ihr ehrgeiziges Ziel: Grundlagenforschung und Klinik eng verzahnen und so einige der schlimmsten genetisch bedingten Muskelerkrankungen heilen.

Die Muskeln traten 1982 in Spulers Leben. Als Medizinstudentin im dritten Semester war ihr

„Das war extrem spannend mitzuerleben und zu erkennen, wie viele Gene für unterschiedliche Erkrankungen verantwortlich sind“, sagt Spuler. In Minnesota, an der Mayo Clinic in Rochester, lernte sie, die molekularen Mechanismen zu durchleuchten.

2015 beschloss sie, ihr Wissen mit den Erkenntnissen aus Stammzellbiologie und Genomchirurgie zu kombinieren, um eine Therapie für erbliche Muskelerkrankungen zu entwickeln.

<https://www.mdc-berlin.de/de/spuler>

ANHANG

„CRISPR base editing gives measure of hope to people with muscular dystrophy“
leaps.org, 25.08.2022, Michaela Haas

<https://leaps.org/muscular-dystrophy/particle-1>

„Wie Gentechnik Muskeln wieder wachsen lässt“
Die Welt, 28.03.2022 , Birgit Herden

<https://www.welt.de/gesundheit/article237564031/Muskeldystrophie-Wie-Gentechnik-Muskeln-wieder-wachsen-laesst.html>

„Wie man Muskeln repariert „
SZ Magazin, 28. Oktober 2022, Michaela Haas

<https://sz-magazin.sueddeutsche.de/die-loesung-fuer-alles/muskeldystrophie-therapie-heilung-simone-spuler-charite-92048>

Eine Sache des Mitgefühls: Der Hürdenlauf in die Zukunft der Medizin
Tagesspiegel , 8.11.2022, Sascha Karberg

<https://www.tagesspiegel.de/wissen/eine-sache-des-mitgefuehls-der-hurdenlauf-in-die-zukunft-der-medicin-8849707.html>