

## Ersatz für Verlorenes: Neue Gehirnzellen entstehen lassen im Fall von Huntington

Die Zellersatztherapie macht bei anderen Krankheiten große Fortschritte. Aber was ist mit der Huntington-Krankheit?

Von Carlos Chillón Marinas 14. Januar 2025 Bearbeitet von Dr Sarah Hernandez  
Übersetzt von Rebecca Ursprünglich veröffentlicht am 13. Januar 2025

**E**s ist aufregend, über die Behandlungen nachzudenken, die derzeit erprobt werden, um die Huntington-Krankheit aufzuhalten oder zu verlangsamen. Aber können wir von großen Dingen träumen und jetzt anfangen, darüber hinaus zu denken? Könnten wir eines Tages nicht nur die Huntington-Krankheit aufhalten, sondern auch die durch sie verursachten Schäden beheben, indem wir die verlorenen Gehirnzellen erneut wachsen lassen und ersetzen?

## Können wir ersetzen, was verloren gegangen ist?

Wenn wir über ein Heilmittel für die Huntington-Krankheit (HD) nachdenken, ist die erste Idee, die uns oft in den Sinn kommt, die CAG-Expansion im Huntingtin-Gen (HTT) zu stoppen oder zu korrigieren - die genetische Mutation, von der wir wissen, dass sie diese verheerende Krankheit verursacht.



*Das Gehirn besteht aus mehr als nur Neuronen. Eine Art von Zelle, die „Glia“ genannt wird,*

*unterstützt die Neuronen. Wissenschaftler arbeiten an Experimenten, mit denen Glia in Neuronen umgewandelt werden könnten, um verlorene Gehirnzellen bei Krankheiten wie der Huntington-Krankheit zu ersetzen.*

Im Laufe der Jahrzehnte haben wir viel über die genetische Ursache der Huntington-Krankheit gelernt, aber das wirft eine wichtige Frage auf: Selbst wenn wir das Gen reparieren könnten, was ist dann mit den bereits verlorenen Nervenzellen im Gehirn und den Schäden, die durch das Fortschreiten der Krankheit verursacht werden?

Der Ersatz verloren gegangener Gehirnzellen bietet eine interessante Möglichkeit, die verlorenen Hirnfunktionen wiederherzustellen und vielleicht die verheerenden Auswirkungen der Krankheit rückgängig zu machen. Durch die Nutzung von Fortschritten im Bereich des Zellersatzes öffnen die Forscher neue Türen für potenzielle Behandlungen.

## **Die Bausteine des Gehirns**

Um diese Möglichkeit zu verstehen, ist es hilfreich, einen Blick auf die Funktionsweise des Gehirns zu werfen. Das Gehirn besteht aus vielen verschiedenen Arten von Zellen, darunter Neuronen und Gliazellen. Neuronen sind die Stars der Show - sie sind für die Übertragung von Signalen und die Bildung von Netzwerken zuständig, die alles steuern, was wir denken, fühlen und tun.

Die meisten Zelltypen sind „sich teilende Zellen“. Wenn zum Beispiel eine Haut- oder Leberzelle beschädigt wird, teilt sich eine nahe gelegene Zelle, um die beschädigte Zelle zu ersetzen. Neuronen hingegen sind „nicht teilende Zellen“. Das heißt, wenn man ein Neuron durch Alterung oder Krankheit verliert, wird sich ein nahe gelegenes Neuron nicht teilen, um es zu ersetzen.

Dies ist jedoch nicht bei allen Zelltypen im Gehirn der Fall! Das Gehirn besteht auch aus einem Zelltyp, der „Glia“ genannt wird. Glia sind Stützzellen, die Struktur und Nährstoffe für die Neuronen liefern und dazu beitragen, ein gesundes Gehirnmilieu aufrechtzuerhalten. Wichtig ist, dass sich Gliazellen teilen und ihre Zahl wieder aufstocken können. Wissenschaftler konzentrieren sich zunehmend auf Gliazellen, weil wir sie möglicherweise zur Regeneration von Neuronen nutzen können.

## **Entnehmen, umprogrammieren, ersetzen**

Dank jahrzehntelanger bahnbrechender Forschung besteht nun die Hoffnung, dass sogar die Unfähigkeit des Gehirns, verlorene Neuronen zu ersetzen, überwunden werden könnte. Ein Ansatz besteht in der Reprogrammierung von Zellen außerhalb des Körpers. Das bedeutet, dass ein bestimmter Zelltyp - häufig Zellen aus dem Knochenmark oder andere zugängliche Zelltypen - aus dem Körper entnommen, mit genetischen Werkzeugen umprogrammiert und in den gewünschten Bereich des Gehirns implantiert wird, um die Umwandlung in Ersatzneuronen abzuschließen.

**„Dank jahrzehntelanger bahnbrechender Forschung besteht nun die Hoffnung, dass sogar die Unfähigkeit des Gehirns, verlorene Neuronen zu ersetzen, überwunden werden könnte.“**

Führende Forscher auf diesem Gebiet, der so genannten regenerativen Medizin, wie Dr. Malin Parmar, setzen wissenschaftliche Entdeckungen in klinische Anwendungen um. Ihre bahnbrechende Arbeit konzentriert sich auf die Entwicklung von Techniken zur Erzeugung von Dopamin-produzierenden Neuronen, ein Ansatz, der derzeit für die Behandlung der Parkinson-Krankheit untersucht wird.

Diese Fortschritte legen nicht nur den Grundstein für die Behandlung anderer neurodegenerativer Erkrankungen, sondern zeigen auch das Potenzial für maßgeschneiderte zellbasierte Therapien auf, die eines Tages die bei der Huntington-Krankheit verlorenen Neuronen regenerieren könnten. Durch den Nachweis der Machbarkeit der Reprogrammierung und Transplantation funktioneller Neuronen in das Gehirn bringt uns ihre Forschung der Umsetzung dieser experimentellen Ansätze in die klinische Realität näher.

Obwohl die Implantation neuer Neuronen in das Gehirn mit erheblichen Herausforderungen verbunden ist - so muss z. B. sichergestellt werden, dass die neuen Zellen überleben, sich in bestehende Netzwerke integrieren und ordnungsgemäß funktionieren -, haben klinische Versuche in diesem Bereich für andere Krankheiten bereits begonnen, was sowohl die Durchführbarkeit als auch das Potenzial zeigt. Die Hoffnung ist, dass diese Fortschritte dazu beitragen könnten, die durch Krankheiten wie Chorea Huntington verursachten Schäden zu beheben und die verlorenen Gehirnfunktionen wiederherzustellen.

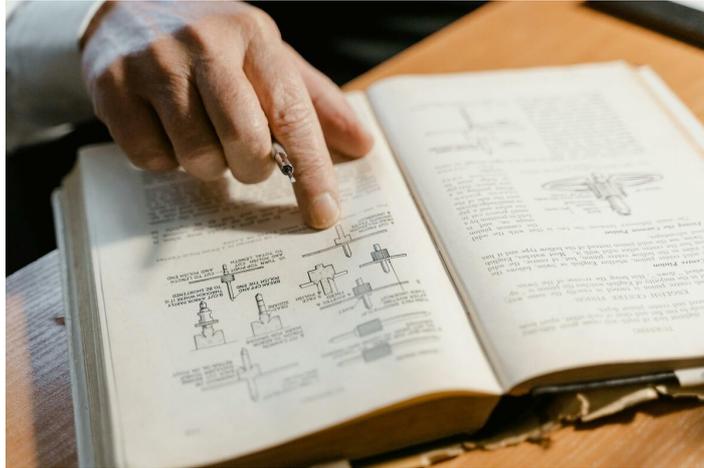
## **Konversionen im Gehirn**

Ein weiterer spannender Ansatz zur Erzeugung von Ersatzneuronen besteht darin, bereits im Gehirn vorhandene Zellen in Neuronen umzuwandeln, ohne dass irgendwelche Zellen entnommen und neu transplantiert werden müssen. Hier kommen die Gliazellen, das „Unterstützungsteam“ des Gehirns, ins Spiel. Gliazellen haben einen ähnlichen Entwicklungsursprung wie Neuronen (man könnte sie sogar als zelluläre Cousins bezeichnen!), was sie zu einer natürlichen und kompatiblen Wahl für die Reprogrammierung macht.

Bei diesem Prozess werden Gliazellen davon „überzeugt“, bestimmte genetische Programme zu aktivieren, die sie zu Neuronen werden lassen. Man kann sich das so vorstellen, als würde man einen Schalter in der genetischen Gebrauchsanweisung der Zelle umlegen, der die zuvor ruhenden Anweisungen zur Neuronenbildung aktiviert.

Wissenschaftler wie Dr. Magdalena Goetz und Dr. Benedikt Berninger (und viele andere) haben bestimmte Moleküle, so genannte Transkriptionsfaktoren, identifiziert, die wie Hauptregulatoren wirken und bestimmte genetische Pfade freischalten. Diese

Transkriptionsfaktoren leiten die Gliazellen durch eine sorgfältig choreografierte Transformation, die es ihnen ermöglicht, die Struktur und Funktion von Neuronen zu übernehmen.



*Der genetische Code ist wie eine Gebrauchsanweisung. Jede Zelle hat dieselbe Anleitung, aber die Zellen verwenden nur bestimmte Teile, so dass sie sich spezialisieren können, wie eine Herzzelle oder eine Gehirnzelle.*

*Quelle: Tima Miroshnichenko*

Dieser Ansatz ist besonders interessant, weil er einige der mit der Zelltransplantation verbundenen Probleme umgeht, wie etwa die Abstoßung durch das Immunsystem oder die Schwierigkeit, neue Zellen in bestehende Gehirnnetzwerke zu integrieren. Da die Reprogrammierung von Gliazellen direkt in der bestehenden zellulären Umgebung des Gehirns erfolgt, bietet sie eine vielversprechende, weniger invasive Alternative zur Regeneration von Neuronen, die bei neurodegenerativen Erkrankungen wie Huntington verloren gegangen sind.

## **Aber wie kann man einen Zelltyp in einen anderen verwandeln?**

Wenn Sie darüber nachdenken, hat jede Zelle in Ihrem Körper die gleiche DNA. Als du noch eine 8-zellige Blastozyste warst, teilten sich diese Zellen mit derselben DNA, bis du zu der Person wurdest, die du heute bist. Der genetische Code ist also in jeder Zelle deines Körpers identisch.

Aber warum sehen bestimmte Zellen so unterschiedlich aus? Warum werden einige zu Muskelzellen, die sich zu Fasern zusammenschließen und Ihre Muskeln bilden, während andere zu Zellen werden, die in Ihrem Herzen schlagen, und wieder andere die komplizierten Netzwerke von Neuronen in Ihrem Gehirn bilden? Die Antwort liegt darin, welche Teile ihrer DNA sie „lesen“ und verwenden.

Man kann sich den genetischen Code wie eine riesige Gebrauchsanweisung vorstellen, die alle Anweisungen enthält, die für die Bildung jedes Zelltyps in Ihrem Körper erforderlich sind. Jede Zelle hat Zugang zu diesem Handbuch, aber sie liest nur die Abschnitte, die für ihre spezifische Rolle relevant sind. Eine Nervenzelle beispielsweise liest die Anweisungen, die für die Entwicklung und Aufrechterhaltung ihrer komplexen baumartigen Struktur erforderlich sind, die es ihr ermöglicht, mit anderen Zellen zu kommunizieren. In der Zwischenzeit bleiben andere Teile des genetischen Codes ungeöffnet, wie Kapitel, die für die Aufgabe eines Neurons nicht benötigt werden.

## Zelluläre Cousins und Cousinen

Neuronen und Gliazellen stammen aus demselben Stammbaum, so dass Gliazellen bereits Zugang zu den genetischen Bauplänen für die Entwicklung von Neuronen haben - sie brauchen nur den richtigen Anstoß, um diese Kapitel des Buches zu öffnen. Wissenschaftler erforschen, wie man diesen Anstoß geben kann, indem sie Instrumente wie Antisense-Oligonukleotide (ASOs), kurze Haarnadel-RNA (shRNA) oder virale Vektoren verwenden - dieselben Technologien, die für die Behandlung von Huntington untersucht werden.

**„Obwohl dieser Ansatz noch in den Kinderschuhen steckt, haben Forscher in Tierversuchen gezeigt, dass es möglich ist, aus Gliazellen neue Neuronen im Gehirn zu erzeugen.“**

Obwohl sich dieser Ansatz noch in einem frühen Stadium befindet, haben Forscher in Tierstudien gezeigt, dass es möglich ist, aus Gliazellen neue Neuronen im Gehirn zu erzeugen. Diese Studien geben Anlass zur Hoffnung, doch die Übertragung dieser Erkenntnisse auf den Menschen bleibt eine Herausforderung.

## Auf dem Weg in die Klinik

Diese Forschungsergebnisse sind noch weit davon entfernt, von Ihrem Arzt verschrieben zu werden, aber sie machen sich auf den Weg in die Klinik. In einigen klinischen Studien wurde bereits die Rückverpflanzung von gentechnisch veränderten Zellen in Patienten mit Erkrankungen wie Rückenmarksverletzungen, HIV/AIDS und Immunkrankheiten getestet.

Diese Art von Ansatz erfordert den Einsatz von Medikamenten zur Unterdrückung des Immunsystems, um eine Abstoßung der transplantierten Zellen zu verhindern. Wenn wir Gliazellen im Gehirn selbst umprogrammieren könnten, wären wir vielleicht in der Lage, einige dieser Probleme zu umgehen und eine Behandlung zu entwickeln, die sowohl wirksamer als auch weniger invasiv ist.

Tatsächlich gibt es Arzneimittelhersteller, die beide Ansätze verfolgen und derzeit an der Entwicklung von Zellersatztherapien für Huntington arbeiten. [Sana Biotechnology](#) ist ein Unternehmen, das an der Transplantation neuer Gehirnzellen arbeitet, um die bei

Huntington verlorenen Zellen zu ersetzen. NeuExcell Therapeutics ist ein Unternehmen, das im Bereich der Huntington-Krankheit daran arbeitet, bereits im Gehirn vorhandene Gliazellen in neue Neuronen umzuwandeln.

Im Kampf gegen die Huntington-Krankheit wäre es von entscheidender Bedeutung, die Krankheit zu stoppen, aber die Vorstellung einer Zukunft, in der wir das Gehirn auch reparieren können, ist eine spannende und inspirierende Möglichkeit. Die Fähigkeit, Neuronen zu regenerieren, könnte nicht nur die Behandlung von Huntington verändern, sondern auch das Potenzial des Gehirns zur Selbstheilung freisetzen.

---

*Die Autoren haben keinen Interessenskonflikt offenzulegen. Weitere Informationen zu unserer Offenlegungsrichtlinie finden Sie in unseren FAQ ...*

---

## GLOSSAR

**Parkinson-Krankheit** Eine neurodegenerative Krankheit, die wie die Huntington-Krankheit motorische Koordinationsprobleme beinhaltet

**Knochenmark** Das weiche Zeug im Innern der Knochen, das Blutzellen erzeugt. Bei Verzehr gibt es Hunden ein glänzendes Fell und Vitalität.

**Antisense** Die Hälfte der DNA-Doppelhelix, die meist als Reservekopie dient, aber manchmal Botenmoleküle produziert

**Dopamin** Eine signalgebende Chemikalie (Neurotransmitter), die in die Kontrolle der Bewegung, Stimmung und Motivation involviert ist.

**Neuron** Hirnzellen, die Informationen speichern und übertragen.

**Chorea** Unwillkürliche, unregelmäßig ausladende Bewegungen, die bei der Huntington-Krankheit häufig auftreten

**ASOs** Eine Art von Gen-Stummschaltungs-Behandlung, in der speziell entworfene DNA-Moleküle genutzt werden, um ein Gen auszuschalten

**RNA** Die Chemikalie ähnlich der DNA, die die "Nachrichten"-Moleküle herstellt, die die Zellen als Arbeitskopien von Genen bei der Herstellung von Proteinen nutzen.

**ALS** Eine fortschreitende Nervenkrankheit, bei der Bewegungsneuronen absterben.

---

© HDBuzz 2011-2025. Die Inhalte von HDBuzz können unter der Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License frei verbreitet werden.

HDBuzz ist keine Quelle für medizinische Ratschläge. Für weiterführende Informationen siehe [hdbuzz.net](https://hdbuzz.net)

Erstellt am 22. Februar 2025 — Heruntergeladen von <https://de.hdbuzz.net/404>