

## Die tödliche Huntington-Krankheit beginnt schon in der Kindheit

**Obwohl die Symptome der tödlichen Huntington-Krankheit oftmals erst im Alter von 30 Jahren oder sogar später auftreten, wirkt das verursachende, mutierte Gen schon in der Kindheit. Diesen Rückschluss lassen neueste Forschungsergebnisse von Wissenschaftlern der Friedrich-Alexander-Universität Erlangen-Nürnberg (FAU) sowie der Universitäten Cardiff und Lund zu. Außerdem belegen die Forscher in ihren Studien, dass die Krankheit in diesem frühen Lebensabschnitt möglicherweise bereits mit Medikamenten therapiert werden könnte.**

Wie Alzheimer oder Parkinson gehört die Huntington-Krankheit zu den neurodegenerativen Krankheiten, also Krankheiten, bei denen Nervenzellen im Hirn nach und nach absterben. Allein bei der Huntington-Krankheit ist die Ursache bekannt: ein mutiertes Gen, das von einem Elternteil vererbt wird und dafür sorgt, dass ein wichtiges Eiweißmolekül, das Huntingtin-Protein, sich in eine giftige Form verwandelt, das sogenannte „mutierte Huntingtin-Protein“, und sich im Laufe des Lebens im Hirn der Erkrankten anhäuft.

Als Konsequenz sterben langsam bestimmte Gruppen von Hirnzellen ab, die für Muskelsteuerung und grundlegende mentale Funktionen wichtig sind. Die Folge: Die Patienten leiden unter Bewegungsstörungen, zeigen veränderte Verhaltensweisen und verlieren ihre geistigen Fähigkeiten. Die Huntington-Krankheit kann bereits vor Ausbrechen dieser schweren Symptome durch genetische Tests diagnostiziert werden. Die Krankheitsanzeichen zeigen sich in der Regel aber erst im Alter zwischen 30 und 50 Jahren. Über einen Zeitraum von 20 Jahren führt Huntington dazu, dass die Patienten rund um die Uhr Betreuung und Pflege benötigen, und endet schließlich immer tödlich.

„Die Medizin kennt noch immer kein Heilmittel für diese rein erbliche Form einer neurodegenerativen Erkrankung“, sagt Studienleiter und Seniorautor Prof. Dr. Stephan von Hörsten, Professor für Experimentelle Biomedizin an der FAU. „Daher ist es wichtig, dass wir verstehen, was bei Trägern des Huntington-Gens im Laufe des gesamten Lebens im Gehirn passiert, besonders auch, um möglichst früh wirksame Behandlungen einsetzen zu können.“ Speziell über den Einfluss des Gens im Säuglingsalter und in der Kindheit ist nur wenig bekannt. Deshalb wollte das internationale Team von Wissenschaftlern herausfinden, wie die Mutation das Gehirn während dieser Entwicklungsphase beeinflusst und ob bereits zu diesem Zeitpunkt der Einfluss des mutierten Huntingtin-Proteins zurückgedrängt werden kann.

„Wir haben uns Modelle der Huntington-Krankheit in frühen Lebensstadien angeschaut, um zu sehen, ob das Gen bereits zu diesen Zeitpunkten Veränderungen im Gehirn verursacht und in der Folge auch das Verhalten und die Nervenreuebildung beeinflusst“, erklärt der Molekularmediziner und Erstautor der Studie, Dr. Florian Siebzehrnühl von der Universität Cardiff.

Die Ergebnisse bestätigten die Vermutung der Wissenschaftler: Die Modelle zeigten, dass das Huntingtin-Gen bereits in der Kindheit die Gehirnentwicklung verändert und dass dies durch Medikamente, die die „Übersetzung“ des genetischen Codes in Eiweißmoleküle modulieren, aufzuhalten ist. „Im nächsten Schritt möchten wir erforschen, ob diese Beobachtung auch auf

Patienten übertragbar ist, die das Huntington-Gen tragen, aber noch nicht schwer erkrankt sind,“, sagt Professor von Hörsten. „Auf diesem Weg könnten wir in Zukunft testen, ob mögliche Therapien bereits in einem jüngeren Alter begonnen werden können, um den Ausbruch der tödlichen Krankheit zu verzögern oder ganz aufzuhalten.“