

Mukoviszidose: Studie zeigt weitreichende Effekte moderner CFTR-Therapien

Forschende der Charité, des Max Delbrück Center (MDC) und des Berlin Institute of Health (BIH) haben untersucht, wie moderne CFTR-Modulatoren bei Mukoviszidose nicht nur die Lunge, sondern auch den gesamten Proteomhaushalt des Körpers beeinflussen. Die in *Cell Systems* veröffentlichte Studie liefert neue Einblicke in die systemischen Effekte hochwirksamer Therapien.

CFTR-Modulatoren verbessern die Funktion des bei Mukoviszidose häufig mutierten CFTR-Proteins und haben die Behandlung der Erkrankung in den vergangenen Jahren grundlegend verändert. In der aktuellen Studie verglichen die Forschenden eine Zweifachtherapie (Lumacaftor/Ivacaftor) mit der heute etablierten Dreifachtherapie (Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor).

Die Ergebnisse zeigen, dass insbesondere die Dreifachtherapie deutliche Veränderungen im Blutproteom bewirkt und dieses in Richtung eines gesünderen Zustands verschiebt - vor allem bei entzündungs- und stoffwechselrelevanten Prozessen.

Durch die kombinierte Analyse von Blut- und Sputumproben konnten die Forschenden außerdem zeigen, dass lokale Veränderungen in der Lunge und systemische Effekte im Körper nur teilweise übereinstimmen. Dies liefert wichtige neue Erkenntnisse für das Verständnis molekularer Krankheitsprozesse und die Entwicklung neuer Biomarker.

Besonders hervorzuheben ist das Protein SFTPB (Surfactant Protein B), das eng mit der Lungenfunktion korreliert und sich unter Therapie reproduzierbar verändert. Die Ergebnisse konnten zusätzlich in einer unabhängigen Kohorte bestätigt werden.

Die Studie wurde von Dr. Kerstin Fentker geleitet und entstand in Zusammenarbeit mit den DZL-Wissenschaftlern und Senior-Autoren Dr. Simon Gräber und Prof. Marcus Mall sowie Dr. Philipp Mertins.

Originalpublikation: Fentker K, Kirchner M, Ziehm M, Niquet S, Popp O, Duerr J, Schaupp L, Roehmel J, Thee S, Hämmerling S, Sommerburg O, Stahl M, Graeber SY, Mall MA, Mertins P. Systemic effects of cystic fibrosis transmembrane conductance regulator modulators on the plasma and serum proteome. *Cell Syst.* 2026 May 20;17(5):101569. doi: 10.1016/j.cels.2026.101569. Epub 2026 Apr 1. PMID: 41928517.