

„Preis der Deutschen Leberstiftung“ für Publikation zur Genkorrektur als mögliche Therapie der Eisenspeicherkrankheit

Jedes Jahr wird eine wegweisende Arbeit mit dem Preis der Deutschen Leberstiftung ausgezeichnet. 2023 geht der Publikations-Preis der Deutschen Leberstiftung an eine Veröffentlichung, die sich mit dem Einsatz der CRISPR/Cas-Technologie zur Reparatur der C282Y-Mutation bei Hämochromatose beschäftigt, um die Erbkrankheit mit Hilfe einer gezielten Genkorrektur zu behandeln. Dieser Forschungsansatz könnte auch eine Behandlungsmöglichkeit für andere angeborene Erkrankungen sein, deren Ursache ein einzelnes schadhaftes Gen ist.

Die Deutsche Leberstiftung lobte auch in diesem Jahr, zum zehnten Mal, den Preis für eine herausragende Publikation im Bereich der Hepatologie aus und erhielt zahlreiche Bewerbungen und Vorschläge für die mit dem Preis auszuzeichnende Publikation. Der Preis wurde von einem Gutachterkomitee vergeben, dem Prof. Dr. Christian Lange aus München, Prof. Dr. Felix Stickel aus Bern/CH und Prof. Dr. Andrea Tannapfel aus Bochum angehören.

„Das Auswahlkomitee hatte erneut die überaus schwierige Aufgabe, aus den eingereichten, exzellenten und hochrangig publizierten Arbeiten die eine auszuwählen, die allen Begutachtenden als die beste erschien. Dies war bei der Dichte an qualitativ hervorragenden Arbeiten in diesem Jahr besonders herausfordernd, weil man zwangsläufig ohne Zweifel ebenfalls preiswürdige Arbeiten leer ausgehen lassen musste“, beschreibt Prof. Dr. Felix Stickel, einer der Gutachter, die Aufgabe des Komitees.

Nach gründlicher Prüfung und ausführlicher Diskussion der eingereichten Arbeiten beschlossen die Gutachter einstimmig, den Preis der Arbeit „In vivo adenine base editing reverts C282Y and improves iron metabolism in hemochromatosis mice“, erschienen in Nature Communications, September 2022, zuzuerkennen. Das Preisgeld in Höhe von 7.500,00 Euro erhielt die Erstautorin der Publikation, Dr. Alice Rovai von der Medizinischen Hochschule Hannover.

„In dieser Arbeit gelang es mithilfe eines hochkomplexen Screenings von gRNA-Sequenzen und Transfektion des wirksamsten Vektors mittels Genome-Editing den Hämochromatose-Phänotyp von Hfetm.1.1Nca-Mäusen in einem beachtlichen Umfang zu korrigieren und somit einen proof-of-concept zu präsentieren, der Hoffnung auf klinischen Ansatz liefert. Die Arbeit erschien uns sowohl methodisch und auch mit Blick auf die weite Verbreitung der Hämochromatose als bahnbrechend, hoch innovativ und überaus relevant. Letzteres auch mit Hinblick auf die translationale Anwendung bei anderen monogenetischen Erkrankungen und solchen, bei denen genetische Effektoren eine zentrale Rolle spielen“, erläutert Prof. Dr. Felix Stickel die Entscheidung der Gutachter.

Verliehen wurde der Preis am 1. Juli 2023 im Rahmen des 19. HepNet Symposiums durch Prof. Dr. Elke Roeb, der Vorsitzenden des Stiftungskuratoriums. Das Preisgeld wurde von der Gilead Sciences GmbH, einem Partner der Deutschen Leberstiftung, zur Verfügung gestellt.

Publikation: Alice Rovai, BoMee Chung, Qingluan Hu, Sebastian Hook, Qinggong Yuan, Tibor Kempf, Florian Schmidt, Dirk Grimm, Steven R. Talbot, Lars Steinbrück, Jasper Götting, Jens Bohne, Simon

A. Krooss, Michael Ott: "In vivo adenine base editing reverts C282Y and improves iron metabolism in hemochromatosis mice", Nature Communications, 2022 Sep. 5; 13(1):5215. doi: 10.1038/s41467-022-32906-9.