

RNA-Therapien: Hoffnung für bislang unheilbare Erkrankungen wie Chorea Huntington

Anastasia Khvorova erhält Else Kröner Fresenius Preis für Medizinische Forschung im Rahmen der Festveranstaltung zum 100. Geburtstag von Else Kröner

Bad Homburg v. d. Höhe, 16. Mai 2025 – Für ihre wegweisende Forschung zu RNA-basierten Therapien hat die Else Kröner-Fresenius-Stiftung (EKFS) gestern Abend die Wissenschaftlerin Prof. Dr. Anastasia Khvorova mit dem Else Kröner Fresenius Preis für Medizinische Forschung 2025 ausgezeichnet. Die mit 2,5 Millionen Euro dotierte Auszeichnung gehört zu den weltweit höchstdotierten Preisen in der medizinischen Forschung. Khvorova will das Preisgeld nutzen, um neue RNA-Therapien gegen genetische und neurodegenerative Krankheiten wie Chorea Huntington zu entwickeln. Die Preisverleihung fand im Rahmen einer gemeinsamen Festveranstaltung mit der Fresenius SE & Co. KGaA zum 100. Geburtstag von Stiftungsgründerin Else Kröner im Städel Museum in Frankfurt am Main statt.

Anastasia Khvorova ist Professorin am RNA Therapeutics Institute der UMass Chan Medical School in Massachusetts, USA. Seit über 20 Jahren erforscht sie, wie sich RNA-Moleküle als Medikamente einsetzen lassen, um gezielt in Krankheitsprozesse einzugreifen. Im Mittelpunkt ihrer Arbeit stehen chemische Modifikationen, die RNA-Therapeutika stabiler machen und dafür sorgen, dass sie spezifisch Organe erreichen.

Khvorovas Forschung hat es ermöglicht, dass RNA-Medikamente nicht mehr nur in der Leber verfügbar sind, sondern auch andere Organe wie das Gehirn, das Herz oder die Muskulatur erreichen können. Mit dem Preisgeld will sie nun neue RNA-Therapien gegen genetische Erkrankungen des Gehirns wie zum Beispiel Chorea Huntington entwickeln. Bei dieser erblich bedingten und bislang unheilbaren Erkrankung des Nervensystems führt eine Genmutation zur Bildung toxischer Proteine, die eine Gruppe besonderer Nervenzellen schädigen und dadurch zu Bewegungsstörungen, Lähmungen und schließlich zum Tod führen. Ziel von Khvorovas Arbeit ist es, die zugrundeliegenden Veränderungen im Erbgut zu verhindern und damit die Produktion der krankmachenden Proteine zu hemmen. Das würde erstmals einen gezielten Therapieansatz gegen die Huntington-Krankheit ermöglichen.

„Mit dem Else Kröner Fresenius Preis für Medizinische Forschung würdigen wir wissenschaftliche Leistungen, die den Weg zu medizinischen Durchbrüchen ebnen können“, sagte Prof. Dr. Michael Madeja, Vorstandsvorsitzender der Else Kröner-Fresenius-Stiftung, bei der feierlichen Preisverleihung. „Wir freuen uns, dass Prof. Khvorova das Preisgeld nutzen will, um ihre Forschung zur Therapie einer bislang unheilbaren Erkrankung voranzutreiben.“

RNA-Therapien: Schlüsseltechnologie für die Medizin der Zukunft

Die Verleihung würdigt nicht nur Khvorovas herausragende bisherigen Forschungsleistungen, sondern auch das Zukunftspotenzial ihrer Arbeit. RNA-basierte Therapien gelten als eine Schlüsseltechnologie für die Medizin der Zukunft, weil sie auf molekularer Ebene sehr gezielt in Krankheitsprozesse eingreifen und diese verändern können.

„RNA-Therapien eröffnen völlig neue Wege, um menschliche Erkrankungen an ihrer Wurzel zu bekämpfen – indem die genetischen Anweisungen, die für das Auslösen und Fortschreiten des Krankheitsbilds verantwortlich sind, korrigiert werden“, sagte Prof. Dr. Craig Mello, Nobelpreisträger für Medizin und Vorsitzender der Jury des Else Kröner Fresenius Preises für Medizinische Forschung. „Die Arbeiten von Anastasia Khvorova sind wegweisend, weil sie das Potenzial dieser Technologie auf andere Organe als die Leber ausweiten – und damit transformative Therapien für die verschiedensten Krankheitsbereiche schaffen.“

„Die Huntington-Krankheit ist eine schreckliche Diagnose – nicht nur für die Betroffenen, sondern für ganze Familien. Mit dem Preisgeld haben wir die Chance, eine neue Generation von RNA-Therapien zu entwickeln, die gezielt gegen diese Erkrankung und viele ähnliche neurodegenerative Krankheiten wirken könnten“, sagte Anastasia Khvorova in ihrer Dankesrede: „Es ist mir eine große Ehre, dass die Else Kröner-Fresenius-Stiftung mein Team und unsere Forschung mit dieser Auszeichnung würdigt und uns die Möglichkeit gibt, an einem entscheidenden Schritt weiterzuarbeiten.“

Die Preisverleihung fand im Rahmen der Festveranstaltung zum 100. Geburtstag der Unternehmerin und Stiftungsgründerin Else Kröner im Städel Museum in Frankfurt am Main statt. Neben der Würdigung der Preisträgerin stand das beeindruckende Vermächtnis von Else Kröner im Mittelpunkt. Else Kröner hat nicht nur das Unternehmen Fresenius geprägt, sondern mit der Gründung der Stiftung auch ihr Engagement für die medizinische Forschung und humanitäre Hilfe verstetigt.

Weitere Informationen

Preisträgerfilm: <https://youtu.be/A6wbdyny2Hs>

Film anlässlich des 100. Geburtstages von Else Kröner: <https://youtu.be/tlIZtWcZh1Y>

EKFS-Website: <https://ekfprize25.de>

Anastasia Khvorovas Website: <https://www.umassmed.edu/khvorovalab/>