

Stellungnahme zu den Preisträgern 2025

Laura Pfeiffer

Das Arbeitsgebiet von Laura Pfeiffer ist ähnlich dem von Dr. Paul Vogel, Preisträger 2019 und dem von Tobias Merkle, Preisträger 2021. Wie nun auch Laura arbeiteten die beiden letzteren an einer Technologie welche gezielt die Abfolge der Ribonukleide in der RNA Kette verändern, beziehungsweise korrigieren, kann. Diese Korrektur kann in der Lage sein den fehlenden Zellbaustein, dem eine Krankheit zu Grunde liegt, wieder herzustellen. Laura hat über 400 verschiedene Korrektur Reagenzien, die unter dem Namen RESTORE 2.0 Oligos bekannt sind, konzipiert und getestet. Diese sollten in Zellen von Patienten mit Lungen- oder Leberkrankheiten die Produktion des fehlenden Zellbausteins Alpha-1-Antitrypsin wiederherstellen. Der Erfolg von Lauras Design wurde in Tierversuchen in Kollaboration mit der Stanford Universität in USA bestätigt. Solche Korrektur Reagenzien werden mittlerweile weltweit benutzt. Zum Beispiel hat Simona Titoli in Palermo, Italien kürzlich RESTORE Oligonukleotide benutzt um zu zeigen, dass in Zellen von Patienten mit Cystic Fibrose, das fehlende CFTR Protein erneut produziert werden konnte.

Nitya Aravindan

Das Arbeitsthema von Dr. Nitya Aravindan befasst sich mit den Mitochondrien. Die Elisabeth und Franz Knoop Stiftung hat in der Vergangenheit mehrmals

Preise für dieses Arbeitsgebiet vergeben an Dr. Tobias Jores, Dr. Daniela Vitali, und zuletzt an Dr. Layla Drwesh, Preisträgerin im Jahr 2023. Eine Erklärung um was es sich bei Mitochondrien handelt habe ich dem Kuratorium für die letzten Preisträger zu diesem Thema gegeben und möchte dies hier nur ganz kurz wiederholen.

Mitochondrien wandeln die chemische Energie, die in unseren Nährstoffen (zum Beispiel Fettsäuren) steckt, um in Wärme und andere Energiespeicher, die für unseren Stoffwechsel wichtig sind. Ich hatte die Mitochondrien mit einem Generator für die Haustechnik verglichen, dessen Fehlfunktion zu einem Zerfall des Hauses führen kann, so wie die Zelle zerfällt wenn die Mitochondrien nicht funktionieren. Die Krankheitsbilder welche die Preisträger mit einer Fehlfunktion der Mitochondrien in Verbindung brachten sind zum Beispiel Krankheiten des Gehirns, dessen Nervenzellen eine sehr große Zahl von Mitochondrien enthalten, wobei eine Verminderung oder Fehlfunktion zum absterben betroffener Nervenzellen führen kann und dann letztendlich zu Demenz. Das gleiche gilt für Herzzellen deren Beeinträchtigung dann zu einer verminderten Herzfunktion führt.

Nitya hat in ihrem Projekt eine andere Organelle (wie man die Mitochondrien auch nennt) hinzu gezogen, die Peroxisomen. Diese stehen in enger Verbindung mit den Mitochondrien und produzieren unter anderem Wasserstoff-Peroxid, daher auch ihr Name. Die Peroxisomen helfen beim Abbau langkettiger Fettsäuren durch β -Oxidation und bilden sogenannte "Plasmalogens". Letztere

sind sehr wichtig für die normale Funktion von Gehirn und Lunge, weil sie die schützende Myelinschicht die unsere Nervenzellen umgibt regulieren. Eine Körperzelle reguliert die Anzahl und Funktion seiner Peroxisomen und Mitochondrien sehr genau mit Hilfe von Proteinen die an ihrem Ende einen Anker tragen, der sie in beiden Organellen verankert. In normalen Zellen sind diese Ankerproteine gleichmässig verteilt auf beide Organellen. Nitya hat in einem sehr arbeitsaufwendigen Experiment mit Hefezellen drei Gene identifiziert welche die Verteilung der Ankerproteine beeinflussen. Dies ist ein wichtiger Schritt zum Verständnis wie diese lebenswichtigen Organellen innerhalb der Zelle entstehen und erhalten bleiben.