

Die grausame Logik des freien Marktes

DBA ist eine extrem seltene Blutkrankheit. So selten, dass es sich für Pharmafirmen nicht rentiert, ein Medikament dagegen zu entwickeln. Das Imba in St. Marx will dennoch forschen und ist auf Privatspender angewiesen.

Von Matthias Winterer

Wien. Luis hasst Nadeln. Und Luis hasst Krankenhäuser. Sie führen bei ihm zu Heulkrämpfen. Doch heute will Luis nicht weinen. Er umklammert seinen Teddybär. Notfalls wird der ihn beschützen. Und seine Schwester gleich mit.

Alle drei Wochen müssen der sechsjährige Luis und die fünfjährige Josefine die immer gleiche Prozedur ertragen. Sie kennen sie auswendig. Sie wissen, was sie erwartet. Dr. Kager sticht eine Kanüle in die Vene in ihrem Unterarm und pumpt fremdes Blut durch ihre Kreisläufe. „Es gab Tage, an denen wir Luis zu viert festhalten mussten, damit der Arzt den Zugang legen konnte. Es ist sehr aufwühlend, sein Kind so leiden zu sehen“, sagt Marianne Marte, die Mutter der Kinder. Der Vorgang ist nicht nur quälend, er ist für Luis und Josefine auch ungesund. Über das fremde Blut gelangt Eisen in ihre Körper. Sie können es nicht abbauen. Es lagert sich in den Organen der Kinder ab – in Leber, Lunge, Hirn. Doch die Transfusionen sind notwendig. Ohne sie würden sie sterben. Denn die Geschwister leiden an einer seltenen Krankheit – der Diamond-Blackfan-Anämie (DBA).

Die DBA ist eine angeborene Form schwerer chronischer Blutarmut. „Der Körper der Patienten kann keine eigenen roten Blutkörperchen produzieren. Ihr Knochenmark ist dazu nicht – oder nur unzureichend – fähig“, erklärt Leo Kager, Leiter der Ambulanz für Hämatologie und Onkologie des St. Anna Kinderspitals. Rote Blutkörperchen haben jedoch die essenzielle Aufgabe, den Organismus mit Sauerstoff zu versorgen – vom Gehirn bis zu den Zehenspitzen. Ist dies nicht der Fall, treten eine Reihe schwerwiegender Folgen auf. „Die Kinder sind kraftlos, ihr Wachstum ist gestört, sie sind anfälliger für Infekte, das Krebsrisiko steigt massiv, ihr Herz schlägt zu schnell, im Extremfall kann es sogar stehen bleiben“, sagt Kager.

Seltene Krankheiten sind für Pharmafirmen unrentabel

Die Erkrankung beruht auf einer Mutation der Gene. Das weiß man. Sonst weiß man eigentlich nichts. Was sind die Ursachen des Gendefekts? Wie entsteht er? Warum bricht die Krankheit nur bei manchen Menschen aus? Die Antworten auf all diese Fragen liegen im Dunkeln. Der Grund für die Unwissenheit ist banal – DBA kommt extrem selten vor. Die allermeisten Ärzte werden im Laufe ihrer Karrieren nie mit ihr konfrontiert. Von einer Million lebendig geborener Babys haben etwa fünf diese Art der Anämie. In Österreich sind derzeit zehn Fälle bekannt – weltweit etwa 800.

Medikamente gibt es nicht. Es sind zu wenige, sagen die Pharmafirmen. Die Logik des freien Marktes ist klar, aber grausam: Die Nachfrage bestimmt das Angebot. Ist sie dermaßen gering, würde sich die Entwicklung eines Medikaments finanziell niemals rechnen. „Für Pharmafirmen ist DBA uninteressant. Mit ihr ist kein Geld zu verdienen“, sagt Boris Marte, der Vater von Luis und Josefine. Es sind zu wenige, sagt



Luis und Josefine sind seit ihrer Geburt auf fremde Blutkonserven angewiesen. Foto: privat

aber auch der Staat. „Weil die Krankheit so selten ist, liegt sie unter dem Radar jeglicher Forschungstöpfe und Förderungen“, ergänzt seine Frau Marte.

Die Eltern wollen sich allerdings auch nicht mit dem Status quo abfinden. „Wir können nicht einfach auf dem Sofa sitzen, Däumchen drehen und abwarten.“ Und so beschließen Frau und Herr Marte, die Initiative zu ergreifen. Sie wenden sich an Josef Penninger.

Der wissenschaftliche Leiter des Imba Wien (Instituts für Molekulare Biotechnologie) sitzt in einem Ledersessel seines Büros im schmucklosen Stadtteil St. Marx und gähnt. Wild zerzauste

Haare, Strickweste, von Jetlag müde Augen. Penninger wirkt wie der Prototyp des genial-verrückten Professors. Tatsächlich ist er eine Koryphäe, einer der weltweit anerkanntesten Genetiker. Er entdeckte das essenzielle Gen für Knochenchwund und entwickelte federführend ein Medikament dagegen.

Das Zauberwort lautet Stammzellenforschung

Heute hilft es tausenden Patienten. So ein Medikament wünscht sich auch Familie Marte. Und die Chancen dafür sind aus wissenschaftlicher Sicht durchaus berechtigt. Als Penninger von den Kindern Luis und Josefine hört,

riecht er Lunte. Wäre es vor wenigen Jahren noch völlig undenkbar gewesen, der Krankheit auf die Spur zu kommen, so eröffnet die Genetik den Wissenschaftlern nun neue Möglichkeiten. Penningers Augen strahlen, wenn er über die Fortschritte seines Fachs im vergangenen Jahrzehnt spricht. „Die Forschung hat sich rasant entwickelt. Wir haben jetzt die geeigneten Methoden, um Krankheiten wie DBA zu erkunden“, sagt er. Das Zauberwort lautet Stammzellenforschung.

Was das 20-köpfige Team um Penninger am Imba genau tut, klingt wie der Plot eines Science Fiction Films: Sie züchten Organe. „Wir entnehmen den Patienten

Zellen und programmieren sie zu Stammzellen zurück. Aus diesen machen wir wieder Gewebe. Wir können Mini-Gehirne züchten, Därme, Mägen, Bauchspeicheldrüsen, Lungen, Brustgewebe, Nieren – im Fall von Luis und Josefine eben rote Blutkörperchen“, sagt Penninger.

Und der Sinn der Übung? Die Organe im Miniaturformat dienen den Wissenschaftlern als Versuchsmaterial. „Wir können nun quasi unendlich viele Experimente durchführen. Wir können verschrobenen Ideen nachgehen, können untersuchen, wie sich die Zellen nach unterschiedlichen Behandlungen entwickeln. Das ist ein ungeheurer Vorteil.“

Neue generelle Erkenntnisse über Tumorbildung möglich

Für den Genetiker ist der Fall von Luis und Josefine in vielerlei Hinsicht interessant. Er und sein Team erhoffen sich nicht nur, die Mechanismen der DBA zu verstehen, sondern daraus auch Schlüsse auf andere Erkrankungen ziehen zu können. „Die Ribosomen in den Zellen der Kinder sind defekt. Dieser Fehler beeinflusst auch Krebserkrankungen. Das erklärt, warum DBA-Patienten anfälliger für Krebs sind. Vielleicht können wir durch die Erforschung der Krankheit auch generelle Prinzipien der Tumorbildung verstehen“, sagt Penninger.

Außerdem teilt Vater Boris Marte dasselbe genetische Bild wie seine Kinder. Er müsste die Krankheit also auch haben – hat sie aber nicht. Warum, weiß niemand. „Vielleicht hat er ein Gen, das die Anämie unterdrückt, oder ihm fehlt eines, das sie auslöst“, sagt Penninger. Sollten die Wissenschaftler in St. Marx dieses Geheimnis entschlüsseln, käme man der Entwicklung eines Medikaments damit einen großen Schritt näher.

Doch das kostet Geld. Und da es an staatlicher Förderung fehlt, hofft die Familie Marte nun auf die Gunst privater Spender. 600.000 Euro benötigt das Imba, um drei Jahre lang forschen zu können. „Aus der Literatur wissen wir, dass in sehr vielen Fällen die Erforschung von Krankheiten ihren Ausgangspunkt in der Betroffenheit Einzelner gefunden hat“, sagt Boris Marte. „Es geht nicht nur, aber natürlich auch um unsere Kinder.“

Luis und Josefine von der Abhängigkeit zu befreien, ist der Traum der Eltern. Der Abhängigkeit von fremdem Blut, der Abhängigkeit von Konserven. Ob und wann sich der Traum erfüllt, lässt sich nicht abschätzen. Der Weg von der Grundlagenforschung zum zugelassenen Medikament ist lang und steinig, aber denkbar. „Es wäre zu schön, wenn wir irgendwann nicht mehr alle drei Wochen ins St. Anna Kinderspital müssten.“ Denn Luis und Josefine hassten Krankenhäuser – und Nadeln. ■



Josef Penninger und sein Team leisten in St. Marx wichtige Grundlagenforschung. Foto: Imba/Michael Sazel

Spenden unter:
Philanthropie Österreich
Capital Bank – GRAWE Gruppe AG
IBAN: AT45 1960 0000 1505 9413
BIC: RSBUT2K
Verwendungszweck:
Diamond-Blackfan-Anämie