

„Der Weg zu wirksamen Therapien gegen Muskelschwund ist wie ein Marathon:
Es braucht viele Unterstützter, um ans Ziel zu kommen.“
Siegfried Heimer

Bielefeld im Dezember 2020

Stiftungsbrief #5: Dynamik in der Forschung - trotz Corona

Liebe Freunde & Förderer der **heimer stiftung**,

im letzten Stiftungsbrief haben wir darüber informiert, wie sich das **Heimer Institut** für Muskelforschung der Univ.-Klinik Bergmannsheil in Bochum – gefördert durch die **heimer stiftung** – personell und inhaltlich neu aufgestellt hat. Heute können wir berichten, wie die wissenschaftliche Ausrichtung des Institutes im ablaufenden Jahr trotz der erschwerten Bedingungen durch die Corona-Pandemie vorangetrieben wurde. Was leider nicht realisiert werden konnte: Das jährliche Symposium für die Freunde & Förderer der **heimer stiftung**. Wir hoffen, 2021 wieder nach Bochum einladen zu können! Außerdem werfen wir einen Blick auf die weiteren Aktivitäten der Stiftung.

Forschung braucht viele kluge Köpfe ...

Zur Erinnerung: Das Ziel des **Heimer Instituts** besteht darin, innovative Therapien zur Behandlung von Muskelerkrankungen zu entwickeln. Dies geschieht mit neuesten gentherapeutischen Verfahren zur Korrektur von erblichen Faktoren, die die Entstehung oder den Verlauf einer Muskelerkrankung beeinflussen.

Das **Heimer Institut** hat sich hierfür auch im Jahr 2020 personell verstärken können: Prof. Dr. Matthias Vorgerd, Leiter des Instituts, arbeitet mit Dr. Anne Güttsches, stellvertretende Leiterin, und dem Biochemiker Dr. Frank Jacobsen zusammen.



*Das wissenschaftliche Leitungs-Trio
M. Vorgerd, A. Güttsches, F. Jacobsen*

Unverzichtbare Teammitglieder sind außerdem die beiden Assistenz-Ärzte der Neurologischen Klinik Dominik Sellung und Karsten Krause. Außerdem verfassen die Doktorandinnen Heidi Zhuge und Anna Elfert ihre medizinischen sowie Nassam Daya, Marlena Rohm und Julienne Dietz ihre naturwissenschaftlichen Dissertationen am Institut und sind darüber eng in die laufenden Projekte eingebunden.

... ein dynamisches Netzwerk ...

Genauso wichtig wie das eigene Team ist das Forschungsnetzwerk des Instituts, das sich auch 2020 dynamisch weiterentwickelt hat: So wurden die Kooperationen mit Dr. Eric Ehrke-Schulz und Prof. Dr. Anja Ehrhardt aus der Virologie der Universität Witten-Herdecke sowie PD Dr. Holm Zähres

und Prof. Dr. Beate Brand-Saberi von der Anatomie der Medizinischen Fakultät der Ruhr-Universität vertieft. Außerdem wurden Kooperationen mit langjährigen Partnern wie Dr. Andreas Unger am Institut für Physiologie II der Universität Münster und Dr. Peter van der Ven sowie Prof. Dr. Dieter Fürst von der Zellbiologie der Universität Bonn neu belebt. Hinzu kamen Kooperationen mit Frau PD Dr. Wibke Bayer am Institut für Virologie der Universität Essen, Prof. Dr. Kristina Lorenz und Prof. Dr. Albert Sickmann vom Leibniz Institut für Analytische Wissenschaften in Dortmund sowie mit Prof. Dr. Dirk Grimm vom Deutschen Zentrum für Infektionsforschung der Universität Heidelberg. Sie alle tragen dazu bei, die Anwendung gentherapeutische Verfahren im **Heimer Institut** effizient und nachhaltig zu fördern.

... die richtigen Rahmenbedingungen ...

Die wissenschaftliche Arbeit hat sich in diesem Jahr auf die Etablierung molekularbiologischer Methoden konzentriert, die grundlegend für die Forschungsarbeit in den nächsten Jahren sein werden. Dazu gehört die Kultivierung spezifischer Zelllinien, PCR-Verfahren zur Messung der Genexpression, Western Blot zur Darstellung der Proteinexpression sowie sehr differenzierte histopathologische Analyseverfahren, um Skelettmuskeln von erblich bedingten Muskelerkrankungen bestmöglich auswerten zu können.

Mit finanzieller Unterstützung durch die **heimer stiftung** konnte in diesem Jahr ein hochmodernes Mauskäfigsystem angeschafft werden. Es verschafft dem **Heimer Institut** im Bereich der translationalen Muskelforschung ein Alleinstellungsmerkmal und bietet die Möglichkeit einer sehr genauen Vermessung des Bewegungsverhaltens der Tiere. Die Mäuse erhalten hierfür ähnlich wie bei Haustieren einen Transponder unter die Haut und können vom Gerät in all ihren Bewegungen und Aktivitäten erfasst und gemessen werden. Zudem können die Tiere individuell mit Therapeutika versorgt werden, was eine direkte Vergleichbarkeit ermöglicht. So kann in Zukunft sehr detailliert die Wirksamkeit von therapeutischen Ansätzen unter Einhaltung höchster Tierschutzstandards überprüft werden.



Das IntelligCage-System wurde im Oktober installiert

Zudem wurden in diesem Jahr mit der Unterstützung von Dr. Lara Schlaffe von der Arbeitsgruppe Neuroimaging der Neurologischen Klinik des Bergmannsheils vorbereitende Arbeiten zum Einsatz eines leistungsfähigen 7T-Kleintier-MRT-Gerätes abgeschlossen. In diesem Zusammenhang konnte ebenfalls mit den Mitteln der **heimer stiftung** Frau Marlena Rohm als Doktorandin eingebunden werden. Beide werden an der wissenschaftlichen Entwicklung von MRT-basierten Messverfahren zur Diagnostik von Muskelerkrankungen und Beurteilung von Therapie-Ansätzen arbeiten.



*Dr. Lara Schlaffe; Arbeitsgruppe für Neuroimaging
Marlena Rohm; Biochemikerin; wissenschaftliche Mitarbeiterin*

... und einen Plan!

In den nächsten 5 Jahren wird das **Heimer Institut** die drei ineinandergreifenden Projekte weiterverfolgen, die bereits 2019 definiert wurden:

Im ersten Projekt (A) geht es um die Entwicklung einer Gensatz-Therapie einer erblichen Muskeldystrophie, die im Erwachsenenalter auftritt und zu langsam fortschreitenden Lähmungen führt. Dadurch kommt es zu einer zunehmenden Bewegungseinschränkung, die bis zur Rollstuhlpflichtigkeit führen kann. Für dieses Projekt werden aktuelle die Grundbausteine der Gensatz-Therapie entwickelt und im Labor geprüft.

Das zweite Projekt (B) fokussiert sich auf die Erforschung einer Gen-Korrektur von erblichen Muskelerkrankungen, die mit einer Protein-Ansammlungen in Muskelzellen einhergehen (sog. Protein-Aggregat-Myopathien). Hierbei sollen spezifische Mutationen so korrigiert werden, dass sie sich nicht mehr krankheitsauslösend auswirken.

Im dritten Projekt (C) werden bildgebende *in vivo* Messverfahren wissenschaftlich untersucht, die sowohl an Patienten mit definierten Muskelerkrankungen wie auch an Tiermodellen von Myopathien zum Einsatz kommen. Der Schwerpunkt liegt auf vergleichenden Analysen von MRT-Messungen von Muskelabschnitten mit histologischen Befundmustern dieser Muskelregionen. Damit verbessert sich das Verständnis der im MRT sichtbaren Veränderungen der Muskulatur sowie der nicht-invasive Messverfahren, um die Wirkung neuer Therapie-Ansätze besser beurteilen zu können.

Die bereits veröffentlichten Forschungsergebnisse lassen sich in Form einer beeindruckenden Publikationsliste auf

der Internet-Seite des Instituts unter www.heimer-institut.de einsehen.

Und schließlich noch eine gute Neuigkeit: Prof. Dr. Matthias Vorgerd wird mit Mitteln der **heimer stiftung** ab Januar 2021 für die nächsten fünf Jahre zu 50 % von seinen Oberarztverpflichtungen im Bergmannsheil freigestellt, um sich noch intensiver der wissenschaftlichen Leitung des Instituts zu widmen! Damit sind die Weichen für ein erfolgreiches Forschungsjahr 2021 gestellt über das wir im nächsten Stiftungsbrief berichten können.

Weiteres aus der heimer stiftung

Fortgesetzt haben wir auch dieses Jahr neben diversen Hilfen für betroffene Familien die langjährige Förderung des Sommeraufbruch e. V. und der Deutschen Muskelschwundhilfe Hamburg e.V.. Beide Vereine sind für Muskelkranke und ihre Familien da, bieten Rat und Hilfe und machen Angebote für eine selbstbestimmte Alltagsgestaltung. Damit hilft die **heimer stiftung** nicht nur im Einzelfall, sondern stärkt die Infrastruktur für Betroffene.



Segelfreizeit des Sommeraufbruch e.V. für Jugendliche mit neuromuskulären Erkrankungen, gefördert u.a. durch die heimer stiftung

Bei all' dem sind die Spenden unserer Freunde & Förderer unverzichtbar. Dafür möchten wir uns auf diesem Wege sehr herzliche bedanken. Unser Versprechen lautet: Ob als Einzel- oder Sammelspende, zu einem besonderen Anlass, einem Geburtstag oder als Trauerspende - Die Mittel kommen ohne nennenswerten Verwaltungsabzug dem gemeinnützigen Stiftungszweck zugute.

Mit diesen Informationen verbleibe ich bis zum nächsten Stiftungsbrief auch im Namen des ehrenamtlichen Vorstands und des Kuratoriums der **heimer stiftung** mit herzlichen Grüßen und den besten Wünschen für die Weihnachtszeit und den Jahreswechsel. Bleiben Sie gesund!



Siegfried Heimer

PS: Falls nicht mehr gewünscht, kann der Stiftungsbrief durch eine Nachricht an info@heimer-stiftung.de abbestellt werden.