**Datenblatt: Beispiele für Translationale Forschung**

Im Folgenden möchten wir einige konkretere Beispiele für Translationale Forschung vorstellen und erläutern, wie diese dazu beigetragen hat, Erkenntnisse aus der Grundlagenforschung in klinische Behandlungsformen umzusetzen:

1. Die von Prof. Dr. Følling gemeinsam mit der Familie Egeland durchgeführten Forschungsarbeiten begründeten den langen Weg zur Entdeckung dessen, was wir heute über die **Phenylketonurie** (PKU) wissen. PKU ist eine Stoffwechselstörung, die zu geistiger Behinderung, Anfällen und anderen schwerwiegenden medizinischen Problemen führen kann. Diese faszinierende Geschichte, die sich ereignete, noch bevor das Konzept der Translationalen Medizin überhaupt bekannt war, führte Ärzte, Biochemiker und Genetiker zur Entdeckung weiterer angeborener Stoffwechselerkrankungen, die ebenfalls neurologische Schäden verursachen können.
2. Harry Dietz und seine Kollegen an der Johns Hopkins University behandelten Kinder mit dem **Marfan-Syndrom**. Im Rahmen ihrer Forschungen kamen sie zu der Erkenntnis, dass ein in den Vereinigten Staaten bereits zur Behandlung des hohen Blutdrucks zugelassenes Arzneimittel auch die bei Mäusen mit Marfan-Syndrom auftretenden Aortenaneurysmen verhindern konnte. Das Syndrom beeinträchtigt das Bindegewebe des Körpers, häufig auftretende Komplikationen sind Defekte der Herzklappen und der Aorta, die oftmals zu einem frühen Tod führen. Das Arzneimittel wurde in einer Gruppe von Kindern, die von diesem Syndrom betroffen waren, als Therapeutikum getestet. Dabei stellte sich heraus, dass es die Entwicklung der potenziell tödlichen Anomalien in der Aorta hemmt.
3. Anant Madabhushi und Kollegen an der Rutgers University setzten bei Patienten mit Prostatatumoren im Frühstadium ausgeklügelte Bildverarbeitungsalgorithmen ein und analysierten mit diesen die Textur in hochaufgelösten MRT-Aufnahmen (**Magnetresonanztomographie**), um die Tumoren in einem frühen Stadium zu detektieren und zu lokalisieren. Dies führte zu einer im Vergleich zu anderen bestehenden Ansätzen empfindlicheren und zuverlässigeren Technik für die klinische Anwendung.
4. Die Gruppe um James Tunnell an der University of Texas (TX, USA) entwickelte **Gold-Nanopartikel**, die gezielt gegen Krebszellen gerichtet werden können und die selbst bei vergleichsweise kleinen Tumoren den Nachweis mittels Fluoreszenzspektroskopie gestatten. Diese Partikel können anschließend mittels starken Lichts aktiviert werden, um den Tumor potenziell zu zerstören. Dieser Ansatz kombiniert Optische Bildgebung, Spektroskopie und Nanotechnologie zu einer Technik für die frühzeitige Diagnose und Behandlung von Krebs.
5. Um das Einsetzen der Erblindung zu verzögern, müssen viele Glaukom-Patienten mehrmals täglich Augentropfen anwenden. Diese anspruchsvolle Behandlungsform ist anfällig für Fehler, die eine effektive Behandlung der Erkrankung beeinträchtigen können. Die Arbeiten von Erin Lavik von der Case Western Reserve University führten zu einer Verbesserung der Darreichungsform, damit zu einer konsistenteren Dosierung des Glaukom-Arzneimittels und in der Folge schließlich zu einem besseren klinischen Ergebnis für den Patienten. Prof. Lavik entwickelte **Mikrosphären**, die ein Glaukom-Arzneimittel enthalten. Diese Mikrosphären werden einmalig in das Auge injiziert und geben dort über einen Zeitraum von einem Monat kontrollierte Mengen des Arzneimittels ab.