

FAMILIE-HANSEN-PREIS FÜR PROF. EMMANUELLE CHARPENTIER

# Genschere gegen Erbkrankheiten

*Sie ist eine der innovativsten Wissenschaftlerinnen in der Molekularbiologie: Prof. Dr. Emmanuelle Charpentier hat eine molekulare Schere entwickelt, mit der sich das Erbgut ganz gezielt editieren lässt. Dafür hat sie den Familien-Hansen-Preis 2015 erhalten.*



Revolutionärin der Biologie: Prof. Dr. Emmanuelle Charpentier hat eine Methode entwickelt, die heute in Laboren weltweit genutzt wird.

Bakterien gehen rigoros gegen Eindringlinge vor: Sie schreddern diese Bedrohung einfach. Wenn fremde Viren zum Beispiel ihr Erbgut in die Bakterien einschleusen, schlägt die Genschere sofort zu: Sie schneidet das feindliche Erbgut einfach wieder heraus, zerstückelt es und macht es so unschädlich. Dieser Abwehrmechanismus, den Bakterien entwickelt haben, heißt CRISPR-Cas9-System. Und dieses System hat es der Biologin Prof. Dr. Emmanuelle

Charpentier angetan, die nun die Details dieses Mechanismus aufgeklärt hat: „Mit meinem Team erforsche ich Infektionen aus der Sicht von Bakterien: Wie sie überleben, sich anpassen, schützen, vermehren und letztlich Krankheiten verursachen“, erklärt die gebürtige Französin. Denn die Mikroorganismen bauen auch Teile der Viren-DNA-Schnipsel ganz gezielt in ihr eigenes Erbgut ein – und stärken so ihre Immunität gegen andere Angreifer.

Schon früh erkannte Charpentier das Potenzial des Bakterien-Werkzeugs für die Molekularbiologie: Charpentier und ihr Team entschlüsselten das bakterielle Schutzsystem. Zusammen mit der Gruppe von Prof. Dr. Jennifer Doudna, die nun an der University of California forscht und lehrt, zeigte sie außerdem, dass sich der Schneidemechanismus nachahmen und anderweitig nutzen lässt – beispielsweise zur sogenannten Genomeditierung. Ein

Prozess, der zahlreiche Forscherkollegen rund um den Globus besonders interessiert: Denn sie versuchen, Erbgutstränge an genau definierten Stellen zu zerteilen, spezielle Genabschnitte zu entfernen oder neue einzufügen, zu korrigieren oder auszutauschen. So bringen sie beispielsweise neue Eigenschaften in Pflanzensorten ein oder entwickeln Gentherapien. Bislang waren das aber echte Sisyphusarbeiten – und die Wissenschaftler viele Monate beschäftigt. „Ich wollte die Genschere der Bakterien in ein Universalwerkzeug umwandeln, um damit den Kollegen die Arbeit zu erleichtern und schneller zu machen“, sagt die 46-jährige Biologin.

### Bakterien als Vorbilder für Gentechnologen weltweit

Und diese Sensation gelang der Forscherin: Sie entwickelte gemeinsam mit Doudnas Team das CRISPR-Cas9-System für die Anwendung im Labor als Instrument zur Programmierung von RNA mittels Genomeditierung. Für diese Leistungen, basierend auf Grundlagenforschung, erhielt Charpentier den Familie-Hansen-Preis 2015 der Bayer Science & Education Foundation. Die mit 75.000 Euro dotierte Auszeichnung wird für wegweisende Forschungsbeiträge auf innovativen Gebieten der Biologie und Medizin verliehen. Nach dem Vorbild der Bakterien lässt sich mit dem CRISPR-Cas9-System der Erbgutstrang gezielt an genau definierten Stellen aufschneiden. So können die Wissenschaftler zum Beispiel Gene reparieren. Denn in jedem Gen steckt der Bauplan für

Eiweißmoleküle, die jeweils eine spezielle Funktion ausüben. Wenn aber bereits der Erbgutcode fehlerhaft ist, resultiert daraus auch ein fehlerhaftes Protein – und kann zu Erkrankungen führen. Mit der neuen Technologie von Charpentier können Forscher jetzt defekte Gene gezielt herauschneiden und durch korrekte Bausteine ersetzen: „Das ist vergleichbar mit einem Text am Computer, bei dem man ein Wort austauscht“, erklärt die Französin, die sich Anwendungen in der Medizin und in anderen Forschungsbereichen vorstellen kann: „Die größte Chance ist sicherlich, dass wir die Technologie nutzen könnten, um genetische Erkrankungen zu behandeln – beispielsweise Mukoviszidose oder Sichelzellenanämie.“

Charpentier hat sich schon früh der Biologie verschrieben – bereits in der Schule war es ihr Lieblingsfach. Später studierte sie Biochemie und Mikrobiologie an der Universität Pierre und Marie Curie in Paris und forschte an verschiedenen US-amerikanischen Universitäten. 2006 habilitierte Charpentier im Fach Mikrobiologie. Heute gilt die Französin als Pionierin und eine der innovativsten Forscherinnen auf dem Gebiet der molekularbiologischen Infektionsforschung. Bislang lehrte Charpentier am Helmholtz-Zentrum für Infektionsforschung in Braunschweig sowie an der Medizinischen Hochschule in Hannover. Seit Oktober 2015 leitet sie das Max-Planck-Institut für Infektionsbiologie in Berlin als Direktorin und ist zudem Gastprofessorin an der Universität Umeå, wo sie die CRISPR-Cas-Forschung entwickelte. Mit dem von Charpentier und



Ausgezeichnet: Kemal Malik, für Innovation verantwortliches Vorstandsmitglied der Bayer AG, gratulierte Prof. Dr. Emmanuelle Charpentier zu ihrem Forschungserfolg.

ihrem Team entwickelten System haben die Forscher jetzt ein Werkzeug in der Hand, um krankhafte Gensequenzen zu finden, zu entfernen und gesunde Abschnitte einzufügen.

### Hoffnung auf neue Therapieansätze für Erbkrankheiten

„Das Besondere an CRISPR-Cas9 ist, dass es so einfach funktioniert“, beschreibt Charpentier. „Es ist sozusagen eine molekulare Schere mit Zielmechanismus.“ Die Technologie wird als molekularbiologisches Werkzeug bereits weltweit eingesetzt, um neue Therapieansätze für Erbkrankheiten oder chronische Erkrankungen zu entwickeln.

## Die Bayer-Stiftungen – seit 1897 dem Fortschritt verpflichtet

Rund um den Globus engagieren sich die Bayer-Stiftungen bereits seit 1897 für Bildung, Wissenschaft und soziale Innovation. Als Stiftungen des Innovationsunternehmens Bayer begreifen sie sich in besonderer Weise als Impulsgeber, Förderer und Partner für Fortschritt an der Schnittstelle zwischen Wirtschaft, Wissenschaft und dem sozialen Sektor. Im Mittelpunkt steht der Pionier – sein Engagement für das Allgemeinwohl, sein Ideenreichtum bei der Lösung sozialer Aufgaben, aber auch seine Schaffenskraft in Wissenschaft und Medizin. Mit Stipendien und Preisen unterstützt etwa die Bayer Science & Education Foundation weltweit Talente ebenso wie Spitzenforscher, die Herausragendes auf ihrem Gebiet leisten. Aber auch soziale Lösungen werden durch die Bayer-Stiftungen gefördert: Die Bayer Cares Foundation konzentriert sich zum Beispiel auf Bürgerprojekte und die Lösung sozialmedizinischer Fragen. Das Ziel der Stiftungen: das Leben der Menschen durch Innovation und Initiative zu verbessern.



[www.bayer-stiftungen.de](http://www.bayer-stiftungen.de)

Hier können Sie sich bewerben und finden weitere Infos

BAYER SCIENCE TEENS: WISSENSCHAFTS-CAMP IN DEN USA

# Ferienforscher auf 3.000 Metern

Die Bayer Science & Education Foundation ermöglichte naturwissenschaftlich interessierten Schülern ein Sommer-Camp im US-Bundesstaat Colorado.

Schafe sezieren ist sicher nicht jedermanns Sache – im Hochgebirge experimentieren vielleicht schon eher. Beides waren Programmpunkte beim Sommer-Camp im amerikanischen Colorado: Dort konnten 20 naturwissenschaftlich begeisterte Jugendliche aus Deutschland, Indien und den USA ihrem Forscherdrang freien Lauf lassen. So setzten sie sich beispielsweise intensiv mit der Anatomie des Körpers auseinander: „Mir wurde dabei zwar etwas schlecht. Aber ich fand es sehr interessant zu lernen, wie Herz, Lunge oder Augen wirklich aussehen“, berichtet die 14-jährige Rebecca Thielemann aus Deutschland. Die Nachwuchsforscher betätigten sich aber auch als Baumeister in Sachen Mensch: „Wir haben an menschlichen Skeletten aus Plastik die Muskeln von Wirbelsäule und Beinen mit Ton modelliert – und eine Menge über Evolution und Anatomie gelernt.“ Auch Versuche in der Natur standen auf dem Programm: Die Teilnehmer experimentierten in den Rocky Mountains in 3.000 Meter Höhe mit dem Atmosphärendruck. Alle Aktivitäten hielten Rebecca und ihre jungen Mitforscher mit einer Kamera fest: „Wir haben unsere zweiwöchige Reise als Film dokumentiert und dabei auch viel über Lernpsychologie erfahren.“ Organisiert wurde das Camp von der Bayer Science & Education Foundation gemeinsam mit der Bayer USA Foundation und dem Center für STEM Learning der University of Colorado.



Anatomie zum Begreifen: Rebecca Thielemann (li.) und Alena Hensel setzten sich im Sommer-Camp intensiv mit den menschlichen Organen auseinander. Das Hirnmodell faszinierte sie besonders.

EXPERTEN UND JUNGFORSCHER IM DIALOG

## Neue Talente für die Gesellschaft

Rund 120 Nachwuchswissenschaftler trafen sich beim Bayer Alumni Dialog 2015: Die Bayer Science & Education Foundation lud aktuelle und ehemalige Stipendiaten sowie Preisträger nach Berlin ein.

Wer sich vernetzt, forscht effektiver. Das war eine der Kernbotschaften, die Dr. Ijad Madisch, Mitbegründer und Geschäftsführer



Kreativer Kopf: Die Ärztin aus der Abteilung Medical Affairs, Pooja Merchant, referierte beim Bayer Alumni Dialog über ein Stiftungsprojekt für Tuberkulose-Patienten in Moldawien.

von ResearchGate – einer Social Community für Forscher – beim Bayer Alumni Dialog im Juni 2015 in Berlin den Stipendiaten mit auf den Weg gab. In seinem Vortrag machte der Virologe außerdem deutlich, wie wichtig es für junge Wissenschaftler ist, sich gegenseitig zu inspirieren: Die von ihm initiierte Internet-Plattform lebt von der Idee, dass Forscherinnen und Forscher mehr erreichen, wenn sie sich vernetzen. Madisch ermutigte die jungen Frauen und Männer, eigene Ideen zu entwickeln und sich damit selbstständig zu machen.

Diesen offenen Gedankenaustausch fördert auch die Bayer-Stiftung und lud deshalb die Stipendiaten aus aller Welt in die deutsche Hauptstadt: Die Nachwuchswissenschaftler konnten sich dort nicht nur untereinander vernetzen, sondern sich auch mit ehemaligen Stipendiaten und aktuellen Preisträgern wie

Dr. Markus Bender austauschen: Er erhielt für seine Arbeit zu einer seltenen Erbkrankheit der Blutgerinnung den Bayer Thrombosis Research Award 2015 (s.a. research 28, „Wenn das körpereigene Pflaster versagt“).

Talentierte Köpfe, Kreativität und leidenschaftliche Forschung sind aber auch in Unternehmen gefragt – und Innovationen, mit denen sich gesellschaftliche Herausforderungen lösen lassen. Darüber sprachen vier ausgewählte junge „Bayer-Talente“, darunter Pooja Merchant: Die Ärztin arbeitet in der Abteilung Medical Affairs bei Bayer HealthCare in Berlin. Sie war bereits an einem Stiftungsprojekt beteiligt, in dem Bayer-Mitarbeiter die Versorgung von Tuberkulosepatienten in Moldawien erleichterten. Unkonventionelles Denken und Ideen machen also einen Unterschied – wenn die kreativen Köpfe sich austauschen.

ASPIRIN SOZIALPREIS FÜR DAS PROJEKT JOURVIE

# App gegen Essstörungen

*Magersuchttherapie mit dem Smartphone: Die App Jourvie unterstützt Menschen mit Essstörungen. Ekaterina Karabasheva hat sie entwickelt, und das Team gewann damit den 1. Platz beim Aspirin Sozialpreis 2015.*

## Wie entstand die Idee zu Jourvie?

Vor einigen Jahren litt ich selbst an Magersucht. Ein wichtiger Teil meiner Therapie war, Essensprotokolle zu führen, die ich mit meiner Therapeutin durchsprach. Aber ich wollte natürlich die ausgedruckten Protokollbögen nicht in aller Öffentlichkeit ausfüllen. Das war mir zu peinlich und ich habe sie auch oft zu Hause vergessen. Vielen Betroffenen geht es genauso. Den Therapeuten fehlen dann aber wichtige Informationen, um krankheitsbedingte Verhaltens- und Denkmuster zu identifizieren. Diese sind allerdings für eine erfolgreiche Behandlung unverzichtbar. Damals gab es aber noch keine Smartphones. Deshalb habe ich meine Protokolle ins Handy getippt und als SMS abgespeichert. Erst später wurde mir bewusst, dass man das auch besser lösen könnte.

## Wie kam es dann zu der App?

Ich habe das Konzept 2013 im Rahmen meiner Masterarbeit in Kommunikationswissenschaften entwickelt. Dazu habe ich viel mit Ärzten aus der Klinik für Kinder- und Jugendpsychiatrie der Berliner Charité gesprochen. Der Konzeption lag immer die Frage zugrunde: Was brauchen die Patienten, was die Therapeuten? Technisch umgesetzt hat die App natürlich der Softwareentwickler in unserem Team. 2014 habe ich dann die gemeinnützige Unternehmersgesellschaft Jourvie gegründet, die mittlerweile ein vierköpfiges Team umfasst. Und seit Anfang 2015 ist die App kostenlos für Android-Geräte erhältlich. Damit können die Patienten ihre Essprotokolle einfach digital führen. Die App gibt ihnen aber auch zusätzliche Tipps, wie sie mit schwierigen Situationen wie Essattacken umgehen können. Die Nutzer können zudem eigene Motivationsstrategien einspeichern.

## Planen Sie bereits Weiterentwicklungen?

Ja, weil immer mehr Therapeuten und Ernährungsberater fragen, wie sie Jourvie nutzen können. Wir entwickeln jetzt nicht nur eine Version für iPhones, sondern auch eine Software, die als Plattform zum direkten Datenaustausch zwischen Patient und Therapeut dienen soll. Eine Testversion ist gerade in Arbeit. Nutzer, Interessenten und Forscher liefern außerdem ständig neue Ideen. Viele Betroffene wünschen sich zum Beispiel motivierende Bilder, Videos oder Musik.

## Wie gestaltet sich die Arbeit als gemeinnützige Initiative?

Eine wichtige Basis war unser Arbeitsplatz im Social Impact Lab in Berlin. Dort konnten wir in der Anfangsphase tätig sein und uns mit anderen Gründern und Sozialunternehmern vernetzen und austauschen. Unser Team entwickelt die Idee immer weiter – leider können wir das nicht in Vollzeit leisten. Wir sind auf Fördermittel und Unterstützungsgelder angewiesen. In Zukunft

soll die Finanzierung verstärkt über Forschungsprojekte und die Krankenkassen laufen.

## Was bedeutet die Auszeichnung für Ihr Projekt?

Das Preisgeld nutzen wir für die Weiterentwicklung der App. Aber der Preis ist auch ein Türöffner für uns: Der Name Bayer hilft enorm dabei, auch bei professionellen Institutionen das Interesse an unserem Projekt zu steigern. Im Juli haben wir zum Beispiel mit der Bayer Science & Education Foundation auf der IdeenExpo 2015 in Hannover ausgestellt. Darüber hinaus konnten wir wichtige Kontakte knüpfen, etwa mit dem Kompetenznetz Adipositas.



Digitale Essprotokolle: Ekaterina Karabasheva weiß als ehemalige Betroffene genau, was Magersuchtpatienten brauchen – und wie die neu entwickelte App sie in ihrem Alltag optimal unterstützen kann.

## Wie steht es um Kooperationspartner aus Forschung und Medizin?

Die Berliner Charité ist nach wie vor unser wichtigster Partner aus Therapie und Wissenschaft. Im Moment planen wir auch mit einer anderen Klinik ein Forschungsprojekt, um die Therapieergebnisse mit Jourvie wissenschaftlich zu überprüfen. Dabei vergleichen wir zwei Gruppen, die mit und ohne Unterstützung der App behandelt werden. Mit den Ergebnissen wollen wir Krankenkassen und weitere potenzielle Partner von Jourvie überzeugen.