

Kampf gegen die Unheilbarkeit

Alle freuen sich aufs neue Kinder-UKE. Doch auch in der jetzigen Kinderklinik wird herausragende Arbeit geleistet. Rund 700 Kinder in Deutschland leiden an der seltenen Krankheit NCL (Neuronale Ceroid-Lipofuszinose), bei der nach und nach alle motorischen und geistigen Fähigkeiten verloren gehen. Die Kinderklinik hat sich auf die Erforschung und Behandlung spezialisiert und sucht mit Hochdruck nach Therapiemöglichkeiten.



Mit viel Herz und Engagement: Schwester Waltraud (l.) und Dr. Angela Schulz betreuen in der NCL-Spezialsprechstunde betroffene Kinder und ihre Familien

Bis zu seinem vierten Lebensjahr ist Ben ein aktiver Junge, der die Gegend am liebsten im Laufschrift erkundet. Dass er spät sprechen lernt, schieben seine Eltern auf die vielen Mittelohrentzündungen. Als er auf Treppen immer öfter ins Stolpern gerät, vermuten sie eine Sehschwäche. Beim ersten epileptischen Anfall ahnen sie, dass mehr dahinterstecken

könnte und gehen zum Neurologen. Im April 2013 folgt die niederschmetternde Diagnose: Ihr Sohn leidet an spätinfantiler Neuronaler Ceroid-Lipofuszinose (NCL 2), einer unheilbaren Krankheit, bei der Kinder schrittweise ihr Augenlicht verlieren, die Fähigkeit zu sprechen, sich zu bewegen, zu schlucken und mit Krampfanfällen zu kämpfen haben. „Im

ersten Moment waren wir wie gelähmt und wollten es nicht wahrhaben“, erinnert sich Bens Mutter. Die Familie wendet sich an die Kinderklinik und findet Hilfe in der NCL-Spezialsprechstunde.

„Zu wissen, dass ihre bislang normal entwickelten Kinder unaufhaltsam alles verlieren werden, was das Leben ausmacht, und keine Heilung möglich ist,



Prof. Alfried Kohlschütter setzt sich im UKE seit 20 Jahren für NCL-krankte Kinder ein

können Familien kaum akzeptieren“, erklärt Gesundheits- und Krankenpflegerin Waltraud Hubert, die von allen liebevoll „Schwester Waltraud“ genannt wird. In der Spezialsprechstunde der Kinderklinik betreut sie seit acht Jahren Kinder mit NCL und Leukodystrophien.

Betreut wird das weltweit einzigartige Projekt von Dr. Angela Schulz, Miriam Nickel, Dr. Annette Bley und Prof. em. Alfried Kohlschütter, die hier rund 150 Patienten aus allen Erdteilen behandeln. „Wir bestimmen zunächst anhand umfassender Diagnostikmethoden die exakte Form der NCL-Erkrankung. Dann geht es darum, betroffene Familien und ihre Kinder therapeutisch zu begleiten und zu beraten“, erklärt Dr. Schulz.





Großzügige Spende

Auf dem richtigen Weg

Um der tückischen Krankheit auf die Spur zu kommen, laufen in Hamburg verschiedene Studien, bei denen klinische Forscher und Laborwissenschaftler eng zusammenarbeiten, was in dieser Form weltweit einmalig ist. Das wahrscheinlich hoffnungsvollste Programm derzeit ist die Enzyersatztherapie, an der Ben teilnimmt. Dr. Schulz leitet die internationale Phase-I/II-Studie, zwölf der 24 Patienten werden im UKE behandelt. Über eine Infusion erhalten sie im zweiwöchigen Rhythmus ein künstlich hergestelltes Enzym, das durch einen dünnen Schlauch direkt in die Hirnventrikel gegeben wird. Eine winzige Metallkapsel mit Gummimembran, die unter der Kopfhaut sitzt, stellt sicher, dass sie nichts davon spüren. „Seit Beginn der Studie vor rund einem Jahr konnten wir einen stabilen Krankheitsverlauf feststellen“, sagt Dr. Schulz und wertet dies als Hoffnungsschimmer. Die Ärztin



Einen Spendenscheck über 50 000 Euro konnten Dr. Angela Schulz (r.) und Prof. Dr. Thomas Bräulke (l.) aus der Klinik für Kinder- und Jugendmedizin von Sabine Schnau (2.v.l.), Vorsitzende

leitet auch das europäische Forschungsprojekt „DEM CHILD“ (Dementia in Childhood), in dem ein internationales Patientenregister entwickelt wurde. Die Daten sollen helfen, Krankheitsverläufe zu studieren, Mechanismen zu entschlüsseln und neue Therapien zu entwickeln. Darüber hinaus startet 2016 unter Leitung von Prof. Dr. Thomas Bräulke, Bereich Molekularbiologie der

des Patientenvereins Nächstenliebe, und ihrem betroffenen Sohn (M.) entgegennehmen. Feierlich überreicht wurde die Förderung im Rahmen des Gastvortrags von Prof. Beverly Davidson, Philadelphia (2.v.r.), über Neuronale Ceroid-Lipofuszinosen (NCL). Mit dem Geld soll die Erforschung dieser seltenen Erkrankungen, an der auch Dr. Georgia Makrypidi (3.v.r.) aus der UKE-Kinderklinik arbeitet, vorangetrieben werden.

Kinderklinik, das BMBF-geförderte Forschungskonsortium „NCL2TREAT“. Hier sollen im Labor neue Therapieansätze für bisher nicht behandelbare NCL-Formen entwickelt und in der Klinik in Zusammenarbeit mit Dr. Schulz durch Sammlung von Patientendaten auswertbar gemacht werden.

Große Unterstützung erhält die Kinderklinik im Kampf gegen Hirnkrankheiten wie NCL und Leukodystrophien seit 20 Jahren durch den „Freundeskreis der Kinderklinik e.V.“, der kranken Kindern und deren Familien finanziell und ideell helfen will. „Aus den Spenden können wir Schwester Waltrauds Stelle voll finanzieren“, freut sich Vereinsvorsitzende Marlies Paschen. Außerdem stellte der Verein die Mittel zur Einrichtung eines neuen Forschungslabors zur Verfügung. „Dank dieser wertvollen Unterstützung sind uns wichtige Schritte zum besseren Verständnis der Krankheit gelungen“, sagt Dr. Schulz.

Bens Eltern haben seit der Enzyersatztherapie Hoffnung, dass die Krankheit langsamer voranschreitet und er mit der Gehhilfe wieder laufen lernt. Erste Schritte sind ihm bereits gelungen. ■



„Ich freue mich auf die neue Kinderklinik, weil sie unserem ehrenamtlichen Engagement noch mehr Gelegenheit gibt, für junge Patienten kindgerecht zu sorgen.“

Marlies Paschen,
Vorsitzende des Vereins
Freunde der Kinderklinik e. V.

