

Presseinformation

11. September 2026 Seite 1 | 3

GSCN Publication of the Year Award 2026

Vom Zellverständnis zur Therapie: Fraunhofer-Forschende für Cell-Publikation zur Behandlung des Leigh-Syndroms ausgezeichnet

Das German Stem Cell Network (GSCN) hat die Publikation »Pluripotent stem-cell-based screening uncovers sildenafil as a mitochondrial disease therapy« mit dem GSCN Publication of the Year Award 2026 ausgezeichnet. Die Studie zeigt eindrucksvoll, wie patientenbasierte Stammzellmodelle neue Therapieoptionen für seltene Erkrankungen aufzeigen und Erkenntnisse aus dem Labor in die klinische Anwendung überführen können. Im konkreten Fall konnten die Forschenden Sildenafil als möglichen Therapieansatz zur Behandlung des Leigh-Syndroms identifizieren. Der Award ging an Dr. Ole Pless und Dr. Annika Wittich vom Fraunhofer-Institut für Translationale Medizin und Pharmakologie ITMP sowie an Prof. Dr. Alessandro Prigione und Dr. Annika Zink von der Heinrich-Heine-Universität Düsseldorf / Universitätsklinikum Düsseldorf und Prof. Dr. Markus Schuelke von der Charité – Universitätsmedizin Berlin.

Im Mittelpunkt der ausgezeichneten Studie steht das Leigh-Syndrom, eine seltene erbliche Mitochondrien-Erkrankung. Die fortschreitende Erkrankung beginnt meist im Kindesalter und kann unter anderem zu Entwicklungsstörungen, epileptischen Anfällen, Muskelschwäche und schweren Stoffwechselkrisen führen. Mit etwa einem Fall pro 36.000 Lebendgeburten zählt das Leigh-Syndrom zu den seltenen Erkrankungen. Es gibt nur wenige Modelle, an denen der menschliche Krankheitsverlauf zuverlässig dargestellt werden kann. Dem Forschungsteam gelang es nun, einen positiven Effekt des Wirkstoffs Sildenafil, auch bekannt unter dem Namen Viagra zur Behandlung von Erektionsstörungen, auf den Krankheitsverlauf nachzuweisen.

Dafür hat ein internationales Forschungskonsortium unter Beteiligung der Preisträgerinnen und Preisträger Hautzellen von Patientinnen und Patienten als Grundlage verwendet, um induzierte pluripotente Stammzellen (iPS) zu entwickeln, die die Fähigkeit besitzen, sich im Labor in verschiedene Körperzellen, zum Beispiel in Nervenzellen, zu differenzieren. Aus diesen Zellen wurden Nervenzellen sowie 3D-Modelle des Gehirns, sogenannte Hirnorganoide erzeugt, welche wichtige Merkmale der Erkrankung in der Zellkulturschale nachbildeten. An diesen patientenspezifischen Modellen testeten die Forschenden schließlich mehr als 5.500 Wirkstoffe. Dabei identifizierten sie PDE5-Hemmer und insbesondere Sildenafil als vielversprechenden Kandidaten. In den Zell- und Organoidmodellen verbesserte Sildenafil den Stoffwechsel und die Funktion der erkrankten Zellen nachweislich. Mit über 5.500 getesteten Substanzen

handelte es sich um das größte Wirkstoffscreening zum Leigh-Syndrom, das bisher durchgeführt wurde.

11. September 2026 Seite 2 | 3

Von der Stammzellforschung zur klinischen Erprobung

Im Rahmen der Begründung für die Auszeichnung hob der GSCN besonders den translationalen Ansatz der Studie hervor: Sildenafil wurde im weiteren Verlauf bei sechs Patientinnen und Patienten mit Leigh-Syndrom eingesetzt. Die Studie berichtet über Verbesserungen der motorischen und neurologischen Funktionen, eine zunehmende Muskelkraft sowie eine höhere Widerstandsfähigkeit gegenüber metabolischen Krisen. Der Wirkstoff wurde dabei gut vertragen.

Weiter stellte der GSCN heraus, dass damit eine Forschungsarbeit geehrt wird, die beispielhaft für die moderne Stammzellforschung ist. Sie belegt, dass patientenspezifische Zellmodelle die Untersuchung von Krankheitsmechanismen, die systematische Erprobung von Wirkstoffen und die Entwicklung neuer Behandlungsoptionen für bislang schwer behandelbare Erkrankungen ermöglichen. Das Paper erschien im März 2026 in der renommierten Fachzeitschrift *Cell*.

[Pluripotent stem-cell-based screening uncovers sildenafil as a mitochondrial disease therapy in *Cell* 189\(6\), 1656–1679.e42, DOI 10.1016/j.cell.2026.02.008.](#)

Über den GSCN Award

Seit 2013 vernetzt das GSCN in Deutschland tätige Stammzellforschende national und international und vermittelt ihre Ergebnisse und Forschung einer breiten Öffentlichkeit. Mit den GSCN Awards 2026 würdigt das German Stem Cell Network herausragende Forschungsleistungen und Persönlichkeiten, die die Vielfalt und Zukunftsfähigkeit der Stammzellforschung sichtbar machen. Neben dem Publication of the Year Award vergibt das Netzwerk den Young Investigator Award für Forschende in frühen Karrierephasen sowie den Hilde Mangold Award für wissenschaftliche Exzellenz und Vorbildfunktion von Frauen in der Stammzellenforschung.



Abb. 1 Von links nach rechts: Prof. Heiko Lickert (GSCN Präsident), Prof. Alessandro Prigione (HHU Düsseldorf), Dr. Ole Pless (Fraunhofer ITMP), Dr. Annika Zink (HHU Düsseldorf, Erstautorin), Prof. Sina Bartfeld (TU Berlin, Organisatorin des Meetings in Berlin) © Arne Sattler

Die Fraunhofer-Gesellschaft mit Sitz in Deutschland ist eine der führenden Organisationen für anwendungsorientierte Forschung. Im Innovationsprozess spielt sie eine zentrale Rolle – mit Forschungsschwerpunkten in zukunftsrelevanten Schlüsseltechnologien und dem Transfer von Forschungsergebnissen in die Industrie zur Stärkung unseres Wirtschaftsstandorts und zum Wohle unserer Gesellschaft. Die 1949 gegründete Organisation betreibt in Deutschland derzeit 75 Institute und Forschungseinrichtungen. Die gegenwärtig knapp 32 000 Mitarbeitenden, überwiegend mit natur- oder ingenieurwissenschaftlicher Ausbildung, erarbeiten das jährliche Finanzvolumen von 3,6 Mrd. €. Davon fallen 3,1 Mrd. € auf den Bereich Vertragsforschung.

Kontakt

Ansprechperson

Ute Fertig

Fraunhofer ITMP

Presse- und Öffentlichkeitsarbeit

Tel. +49 69 269525373

ute.fertig@itmp.fraunhofer.de

www.fraunhofer.de

