

## **Diskussionsrunde/Treffen mit Prof. Dr. Grezgorz Wegrzyn zum Thema „Genistein“ am 31.1.2009**

Bei dem Präparat Genistein handelt es sich um ein extrahiertes sogenanntes Isoflavon der Sojabohne. Dr. Wegrzyn aus Polen zeigte, dass mittels Genistein die Bildung von Mukopolysacchariden in im Labor gezüchteten Haut-Zellen gehemmt werden konnte. Diese Wirkung konnte für folgende Krankheiten gezeigt werden: MPS I, MPS II, MPS III A und MPS III B. Die Ergebnisse dieser Laboruntersuchung führten zu der Annahme, dass Genistein als potentielle Behandlungsoption nach dem Prinzip der Substratreduktion für Patienten mit MPS III geeignet sein könnte.

Nach Veröffentlichung dieser Labor-Studie entschieden sich Eltern vielerorts, ihren an MPS III erkrankten Kindern Genistein zu verabreichen. Es handelt sich bei dem Präparat Genistein um ein Nahrungsergänzungsmittel, das rezeptfrei bezogen werden kann. Informationen über die Anwendung von Genistein in der Anwendung als therapeutische Substanz am Patienten hinsichtlich der Dosierung, Wirksamkeit und potentieller Risiken sind eher gering.

### **Teilnehmer:**

#### **Informations- und Diskussionsrunde am Vormittag:**

Grezgorz Wegrzyn (Universität Danzig), Christina Lampe, Elke Miebach (beide Villa Metabolica, Universitäts-Kinderklinik Mainz), Thomas Baum, Georg Schetter (beide MPS e.V.)

#### **Nachmittagsveranstaltung:**

Grezgorz Wegrzyn, Christina Lampe, Elke Miebach, Thomas Baum, Georg Schetter und interessierte Eltern

Prof. Dr. Wegrzyn, Universität Danzig/Polen, befand sich vom 30.1.-1.2.2009 auf Einladung der MPS-Gesellschaft zu Besuch in Aschaffenburg, um über den aktuellen Stand und über Ergebnisse der Forschung sowie der klinischen Studien hinsichtlich eines potentiellen Therapieansatzes mit dem Isoflavon Genistein zu berichten. Im Anschluss an ein Treffen am Vormittag mit Mitgliedern des Vorstands sowie Frau Dr. Christina Lampe und Frau Dr. Elke Miebach von der Villa Metabolica der Universitäts-Kinderklinik Mainz, fand am Nachmittag im Rathaus der Stadt Aschaffenburg ein Treffen mit Eltern MPS-kranker Kinder statt. Vorrangiges Ziel der Nachmittagsveranstaltung war es, allen interessierten Eltern die Möglichkeit zu bieten, Prof. Wegrzyns Aufenthalt in Aschaffenburg für Fragen zu dem kontrovers diskutierten Thema Genistein zu nutzen.

#### **Informations- und Diskussionsrunde am Vormittag:**

Am Vormittag wurde Prof. Wegrzyn in o.g. kleiner Runde die Gelegenheit gegeben, einen aktuellen Bericht über den ihm bekannten Stand der Genistein-Forschung zu geben. Im Einzelnen wurden folgende Themen besprochen:

1. Abgeschlossene, laufende und geplante klinische Studien und Experimente
2. Biochemische und pharmakologische Untersuchungen zum Wirkmechanismus von Genistein
3. Genistein-Präparate
4. Untersuchungen zu Genistein-verwandten natürlichen Isoflavonen und synthetischen Genistein-Derivaten
5. Therapie mit Genistein
6. Ausblick siRNA

## 1. Überblick über abgeschlossene, laufende und geplante klinische Studien und Experimente

**Anmerkung:** Auf die bereits veröffentlichte offene klinische Studie mit Patienten in Polen wurde nicht explizit eingegangen. Gleichwohl stellt sie die Grundlage für die nachfolgenden Studien dar.

### 1.1 Placebo-kontrollierte Doppelblind-Studie mit Soyfem SE-2000 der Firma Biofarm/Polen, Dr. Frits Wijburg, Amsterdam/Niederland

Voraussichtlich im Mai 2009 startet in den Niederlanden eine Placebo-kontrollierte Doppelblind-Studie zur Behandlung von MPS III mit Genistin unter medizinischer Leitung von Dr. Frits Wijburg, Amsterdam. Die Studie mit derzeit ca. 30 MPS III Patienten erfolgt über einen Zeitraum von 13 Monaten. Die Probanden werden in zwei Gruppen aufgeteilt. Die erste Gruppe erhält ein Placebo-Präparat, die zweite Gruppe das Genistin-Präparat Soyfem SE-2000 (Fa. Biofarm, Polen – zu Soyfem: siehe auch weiter unten) mit einer Dosierung von 10 mg Genistin/kg Körpergewicht und Tag (Dosierung: siehe auch weiter unten). Nach einer Dauer von 6 Monaten wechseln die Gruppen mit einer Übergangsphase von einem Monat. Die Placebo-Gruppe erhält nun Soyfem SE-2000, die vormalige Genistin-Gruppe das Placebo-Präparat. Die Übergangsphase von einem Monat dient dem langsamen Absetzen und Ausschleichen des Genistins. Die Probanden bzw. Eltern sowie die Ärzte und medizinisches Personal wissen nicht, welcher der Gruppen ihr Kind zu welchem Zeitpunkt angehört.

Endpunkte bzw. Marker/untersuchte Parameter dieser Studie werden sein:

- Intelligenz- und Verhaltenstests
- Morphologie einzelner Haarproben
- GAG-Ausscheidungen im Urin
- subjektive Einschätzung der Eltern über den Gesundheitszustand ihres Kindes

Bezgl. der Endpunkte/Marker in dieser Studie zeigt sich die generelle Problematik bei Studien zu MPS III und möglichen Therapien. Objektive Endpunkte sind schwer bis kaum festlegbar. Dies gilt für Genistin/Genistein genauso wie für eine mögliche Enzymersatztherapie für MPS III. So mögen z.B. GAG-Ausscheidungen als auch Haarproben, etc. einen Anhaltspunkt für eine potentielle Wirkung des verabreichten therapeutischen Wirkstoffs sein, klinisch signifikant sind diese Parameter jedoch nicht, da sie keine Aussage bezüglich einer Wirksamkeit im Bereich des eigentlichen Zielorgans einer jeglichen Therapie für MPS III, dem Gehirn, ermöglichen. Intelligenz- und Verhaltenstests sind aufgrund der großen Bandbreite und Schweregrade der Krankheitsverläufe schwer bis gar nicht vergleich- oder anwendbar.

Objektive und signifikante klinische Endpunkte sind jedoch auch in Deutschland entscheidend für die Zulassung einer klinischen Studie durch die Ethik-Kommission

Dennoch sei an dieser Stelle darauf hingewiesen, dass es sich bei der geplanten Studie um die erste Placebo-kontrollierte Doppelblind Studie mit Genistin/Genistein bei MPS-Patienten handelt.

***Interessierte Eltern, die mit ihren Kindern an der Studie teilnehmen möchten, können sich mit Prof. Dr. Wegrzyn oder Dr. Wijburg in Verbindung setzen. Zwingende Voraussetzung für eine Zulassung zur Teilnahme ist die Bedingung, dass die Probanden noch nie Genistein oder ein Genistein-ähnliches Präparat erhalten haben. Über die Zulassung zur Teilnahme an der Studie entscheidet Dr. Wijburg. Der Beginn der Studie ist derzeit für Mai 2009 geplant.***

## **1.2 Offene klinische Studie mit fermentiertem Genistin, Japan**

In Japan wurde im Januar 2008 eine offene klinische Studie mit 90 Patienten verschiedener MPS-Formen begonnen und vor kurzem beendet. Ergebnisse zu dieser Studie liegen bisher nicht vor bzw. sind bisher nicht bekannt. Verabreicht wurde den Patienten ein fermentiertes Genistin-Präparat. Die nähere Bezeichnung oder der Handelsname sind nicht näher bekannt. Fermentierte Isoflavon-Präparate enthalten die aktive Form Genistein. Nur die aktive Form Genistein hemmt die GAG-Synthese. Eine Umwandlung von der inaktiven in die aktive Form im Magen-Darmtrakt entfällt bei diesen Präparaten (siehe dazu auch weiter unten: Genistin/Genistein). Unter den Teilnehmern der Studie waren auch Patienten, die neben dem fermentierten Isoflavon-Präparat ein Ersatzenzym erhielten. Offiziell wird die Studie von Shinju Tomatsu geleitet.

Die exakten Endpunkte und Ziele der Studie sind Prof. Dr. Wegrzyn nicht bekannt.

## **1.3 Offene klinische Studie mit Soyfem SE-2000, Barcelona/Spanien**

Es handelt sich um eine fortlaufende offene klinische Studie mit ca. 40 MPS-Patienten, die mit 5 mg Genistin/kg Körpergewicht und Tag begonnen wurde und inzwischen mit einer Dosierung von 10 mg Genistin/kg Körpergewicht und Tag fortgeführt wird. Verabreicht wird auch hier das Präparat Soyfem SE-2000.

Die untersuchten Parameter sind identisch mit der polnischen und der geplanten niederländischen Studie:

- Intelligenz- und Verhaltenstests
- GAG-Ausscheidungen im Urin
- Haarproben (elektronenmikroskopische Untersuchung in Danzig/Polen)
- subjektive Einschätzung durch die Eltern

Die Studie wird fortgeführt. Ergebnisse bzw. Auswertungen zur fortgeführten Studie liegen derzeit nicht vor.

## **1.4 Einzelne Patienten**

Prof. Wegrzyn sammelt Informationen und Einzelfallberichte von Patienten mit MPS III unter Genistein-Behandlung aus aller Welt.

Anmerkung Italien: hier wurde eine klinische Studie mit Genistein nicht von der Ethik-Kommission genehmigt.

## **1.5 Experimente mit Genistein am MPS IIIB – Mausmodell, Manchester/Großbritannien**

An der Universität Manchester erfolgt eine 12 monatige Untersuchung zur Behandlung von MPS IIIB Mäusen mit Genistein. Als Kontrollgruppe dienen mit einem Placebo behandelte und gesunde Mäuse.

Die detaillierten Auswertungen haben gerade erst begonnen. Erste Ergebnisse werden im März 2009 erwartet. Die endgültige Auswertung der Studie wird aber voraussichtlich nicht vor Mitte bis Ende 2009 abgeschlossen sein.

Die Experimente am MPS IIIB - Mausmodell gliederten sich in eine 8-wöchige Kurz- und eine 12-monatige Langzeitstudie.

Die 8-wöchige Kurzzeitstudie diente u.a. der Festlegung einer geeigneten Dosierung. Mäuse verfügen über eine ca. 10x höhere Metabolisierungsrate als der Mensch. Dieser erhöhte Stoffwechselumsatz erfordert nach Angaben von Prof. Wegrzyn eine Dosierung von 160 mg Genistein/kg Körpergewicht und Tag. Den Mäusen wurde das aktive Genistein verabreicht. Neben der Festlegung der Dosierung wurden nach Ablauf der Kurzzeitstudie erste histologische Untersuchungen durchgeführt: So wies z.B. das Lebergewebe

Genistein-behandelter MPS IIIB – Mäuse nach 8 Wochen weniger Glykosaminoglykan (GAG)-Einlagerungen auf als das unbehandelter MPS IIIB – Mäuse. Aussagen zu GAG-Einlagerungen im Gehirn lassen sich nach einer Lebensdauer von 8 Wochen nicht treffen, da Einlagerungen im Gehirn bis zu diesem Alter bei den betroffenen Mäusen noch nicht nachweisbar sind. Während der Kurzzeitstudie konnten keinerlei unerwünschte Wirkungen durch die Behandlung mit Genistein festgestellt werden.

Die Langzeitstudien wurden soeben abgeschlossen und werden in den kommenden Wochen und Monaten ausgewertet. Sämtliche getöteten bzw. verstorbenen Tiere bzw. deren zu untersuchenden Organe wurden entnommen und eingefroren, da alle Untersuchungen zeitgleich und unter Einhaltung einheitlicher Analyse- und Auswertrichtlinien erfolgen sollen.

Obwohl die Ergebnisse der Auswertung noch ausstehen, konnte Prof. Wegrzyn schon vorab berichten, dass sämtliche Tiere der Placebo-Gruppe nicht länger als maximal 8 Monate überlebten. Bis auf ein Tier überlebten dagegen alle mit Genistein behandelten Mäuse die Versuchslaufzeit von 12 Monaten und befanden sich am Ende der Langzeitstudie in einem guten Allgemeinzustand.

Während der Langzeitstudie wurden Verhaltenstests durchgeführt („hang-up“/ „climbing“-Test). Zwar steht auch die Auswertung dieser Tests noch aus, doch erzielten nach Angaben von Prof. Wegrzyn die mit Genistein-behandelten MPS IIIB - Mäuse in diesen Tests bessere Resultate als unbehandelte MPS IIIB – Mäuse.

**Anmerkung zum Mausmodell:**

*Bei der MPS IIIB Maus handelt es sich um ein künstlich hergestelltes Tiermodell. Die betroffenen Mäuse sind in den ersten 6 Monaten gesund und fertil und überleben für 8-12 Monate. Die Mäuse haben eine komplette Defizienz des bei MPS IIIB betroffenen Enzyms alpha-N-Acetylglucosaminidase und weisen eine massive Speicherung von GAG in Leber und Nieren auf. Die Speicherung von GAG im Gehirn unterscheidet sich allerdings nicht von der bei Kontrollmäusen. Trotzdem kommt es zu sekundären Veränderung im Gehirn der betroffenen Mäuse. Im Gegensatz zum Menschen sind die betroffenen Mäuse hypoaktiv.*

## **2. Überblick über biochemische und pharmakologische Untersuchungen zum Wirkmechanismus von Genistein**

Genistein hemmt die GAG-Synthese, indem es die EGF (epidermal growth factor)-Rezeptoren auf der Zellmembran besetzt und damit blockiert. Damit wird die Expressionskaskade, die zur Bildung der GAGs führt, unterbrochen und die GAG-Synthese in der Folge gehemmt. Mit anderen Worten verhindert Genistein die Bildung des sich bei MPS III einlagernden Speichermaterials.

Die meisten Soja-Präparate enthalten die inaktive Form des Genisteins, das Genistin. Erst im sauren pH-Milieu des Magens und vor allem durch die Bakterien im Darmtrakt wird die inaktive Form Genistin in die aktive Form Genistein umgewandelt. Nur die aktive Form Genistein hemmt die GAG-Synthese. Die Umwandlung von Genistin in Genistein durch die Darmflora ist individuell sehr unterschiedlich. Pharmakokinetische Untersuchungen bezgl. der Umsatzrate liegen bisher nicht vor. Durch Experimente an Fibroblasten wurde die vermutlich optimale Dosierung beim Menschen auf einen Wert zwischen 5 und 10mg/kg Körpergewicht und Tag festgelegt. Die geeignete Dosierung sollte nach Angaben von Prof. Wegrzyn individuell – z.B. beginnend mit 5mg/kg Körpergewicht und Tag – ermittelt werden. In laufenden bzw. anstehenden klinischen Studien wird eine Dosierung von 10mg/kg Körpergewicht und Tag verwendet. Prof. Dr. Wegrzyn empfiehlt, die Tagesdosis auf 2-3 Einzeldosen aufzuteilen (bezogen auf die Halbwertszeit von Genistein = Zeit, die verstreichen muss, bis nur noch die Hälfte der verabreichten Wirkstoffmenge im Blut

nachweisbar ist. Sie beträgt ca. 5 Stunden). Eine Aussage zu einer möglichen maximalen Tagesdosis bei hohem Körpergewicht wurde nicht getroffen. Eine effektive Aufnahme des verabreichten Genistins setzt eine intakte Darmflora voraus. Probiotische Ernährung kann die Aufnahme von Genistin und Umsetzung in die aktive Form Genistein möglicherweise deutlich verbessern. Zwar existieren auch Sojapräparate, die fermentiertes Genistin und damit die aktive Form Genistein enthalten, vermutlich wird die inaktive Form Genistin jedoch besser absorbiert als die aktive Form Genistein. Zum aktuellen Zeitpunkt ist noch nicht erforscht, ob ein Vorteil in der direkten Verabreichung der aktiven Form Genistein oder in der Verabreichung der inaktiven, aber besser löslichen Form Genistin besteht. Die Patienten in der polnischen Studie wurden mit Genistin, die Mäuse in England hingegen mit Genistein behandelt.

### **3. Genistein-/Genistin-Präparate**

Genistein bzw. Genistin ist als Nahrungsergänzungsmittel frei im Handel erhältlich. Die gesetzlichen Richtlinien bzgl. der Angaben zum tatsächlichen Wirkstoffgehalt sind bei Nahrungsergänzungsmitteln wesentlich weniger streng gefasst als bei Arzneimitteln. Mit anderen Worten, die Inhaltsangaben auf dem Beipackzettel bzw. der Verpackung können erheblich vom tatsächlichen Wirkstoffgehalt abweichen. Eine Überprüfung verschiedener Genistein/Genistin-Präparate ergab, dass in manchen Präparaten nur ein Viertel der angegebenen Wirkstoffmenge enthalten war. Auf dieser Basis ist eine korrekte Dosierung unmöglich.

Für das Präparat Soyfem SE-2000 der Fa. Biofarm (Polen) wurde dagegen in zwei Laboren in Israel bzw. Japan unabhängig nachgewiesen, dass die tatsächlichen Inhaltsmengen bzgl. Genistin/Genistein den Angaben auf der Verpackung entsprechen.

Soyfem SE-2000 wird in nahezu allen klinischen Studien verwendet. Der polnische Hersteller Biofarm hat laut Prof. Wegrzyn kürzlich die Erlaubnis für einen EU-weiten Vertrieb des Präparates erhalten.

### **4. Untersuchungen zu Genistein-verwandten natürlichen Isoflavonen und synthetischen Genistein-Derivaten**

Parallel zu den Studien und Experimenten mit Genistein untersucht Prof. Wegrzyn in seinem Labor verschiedene mit Genistein verwandte natürliche Isoflavone an Fibroblasten auf ihre Wirksamkeit hinsichtlich einer effektiveren Hemmung der GAG-Synthese. Zu den untersuchten Isoflavonen gehörten:

- Kämpferol
- Narigenin
- Daidzein
- Apigenin

Die besten Ergebnisse konnten mit Kämpferol erzielt werden, das in Versuchen an Fibroblasten eine deutlich bessere Hemmung der GAG-Synthese zeigte als Genistein. Kämpferol kommt in sehr geringen Anteilen natürlich in Pflanzen vor. Die Extraktion ist aufwendig.

Neben diesen natürlichen Isoflavonen wurden zudem ca. 20 Genistein-Derivate synthetisiert und an Fibroblastenkulturen getestet. Ziel dieser Experimente war es, durch eine geeignete Modifikation der Molekülstruktur neben einer besseren Wirkung bei der Substratreduktion die Blut-Hirn-Schranke mit einer höheren Effizienz zu überwinden. So erreichen im Fall des Genisteins nur ca. 10% der verabreichten Wirkstoffmenge tatsächlich das Gehirn. Ca. fünf dieser synthetisierten Genistein-Derivate erscheinen erfolgsversprechend. Pharmakologische und -kinetische Untersuchungen wurden bisher nicht durchgeführt, wären aber – zusammen mit Tierexperimenten – von großer Bedeutung.

## 5. Therapie mit Genistein

Bei der Behandlung von MPS Patienten mit Genistin/Genistein handelt es sich um einen experimentellen Therapieansatz. Eine ärztliche Empfehlung für eine Behandlung mit Genistein kann derzeit nicht ausgesprochen werden.

Aufgrund der Tatsache, dass es sich bei den handelsüblichen Genistin/Genistein-Präparaten um Nahrungsergänzungsmittel handelt, können diese Präparate rezeptfrei bezogen und ohne ärztliche Verschreibung verabreicht werden.

Eltern, die sich dazu entschließen, ihrem MPS-kranken Kind Genistein zu geben, sollten sich darüber bewußt sein, dass sie auf eigene Verantwortung handeln. Zwar sind in keiner der bisher durchgeführten Studien mit Genistein Nebenwirkungen nachgewiesen worden, dennoch sollten folgende Punkte bedacht werden:

- Genistein besitzt u.a. eine Östrogen-ähnliche Wirkung. Diese Östrogen-ähnliche Wirkung kann Fertilitätsstörungen zur Folge haben.
- Genistein zeigt ab einer Dosierung von ca. 1g/kg Körpergewicht und Tag mutagene Effekte. In den bisherigen klinischen Studien kamen Dosierungen im Bereich von 5-10 mg/kg Körpergewicht und Tag und damit deutlich unter dem mutagen wirkenden Wert zur Anwendung.
- Es ist bekannt, dass Soja-Proteine die Vitamin- und Mineralstoffaufnahme behindern können.

Bei einer Verabreichung von Genistein sollte auf jeden Fall der behandelnde Arzt hiervon in Kenntnis gesetzt werden. Aufgrund der Tatsache, dass es sich bei der Behandlung mit Genistein um einen rein experimentellen Therapieansatz handelt und keine bzw. nur wenige pharmakologische bzw. pharmakokinetische Untersuchungen oder Studien zu Langzeiteffekten vorliegen, sind regelmäßige Kontrolluntersuchungen – am besten durch einen MPS-erfahrenen Arzt – dringend angeraten.

Zu den empfohlenen regelmäßigen Kontrolluntersuchungen sollten gehören:

- Eine regelmäßige pädiatrische Untersuchung
- Die Bestimmung der GAG-Ausscheidungen im Urin
- Regelmäßige Blutuntersuchungen zur Kontrolle der Vitamine und Mineralstoffe
- Bestimmung der Schilddrüsenhormone
- hinsichtlich einer Entwicklungs-Diagnostik besteht noch Diskussionsbedarf

An dieser Stelle wurde ausdrücklich darauf hingewiesen, dass die Ärzte der Villa Metabolica der Universitäts-Kinderklinik Mainz sowie der Stoffwechselambulanz der Universitäts-Kinderklinik Hamburg bereit sind, diese Kontrolluntersuchungen zu übernehmen. Die Bereitschaft zur Durchführung der Kontrolluntersuchung ist allerdings nicht gleichzusetzen mit einer Empfehlung für eine Therapie mit Genistein.

Aufgrund der Tatsache, dass Genistein in der Regel in der inaktiven Form Genistin verabreicht und erst im Magen-Darmtrakt in die aktive Form umgewandelt werden muss, ist auf eine intakte Darmflora zu achten. Eine Verbesserung könnte z.B. durch die gleichzeitige Verabreichung von Genistein und probiotischen Substanzen erzielt werden.

## 6. Ausblick: siRNA

Neben einer Hemmung der GAG-Synthese mittels Genistein führt die Gruppe um Prof. Dr. Wegrzyn momentan auch Experimente zur Unterdrückung der Expression verschiedener Gene und damit der Protein-Expression mittels siRNA durch (Abfangen der mRNA). Die Synthese der GAGs kann auf diesem Weg schon an frühester enzymatischer Wirkungsstelle blockiert werden. Bisher wurden auf diesem Weg vier Gene näher

untersucht und eine Supprimierung der Protein-Expression von 50-90% erzielt.

**Anmerkung zur Rolle der GAGs im Metabolismus:**

*Glykosaminoglykane (GAGs) sind nicht nur Bestandteile der extrazellulären Matrix, sondern übernehmen darüber hinaus als Bestandteil von Proteoglykanen wichtige Funktionen im Stoffwechsel. So sind sie u.a. bei der Vermittlung und Steuerung von Zell-Zell- und Zell-Matrix-Interaktionen von Bedeutung.*

**Anmerkung zur Hemmung der Synthese von Speichermaterial:**

*Es gibt keine Langzeituntersuchungen über die Verwendung einer solchen Therapieform, insbesondere im Hinblick auf Langzeitfolgen, weshalb z.B. die Substratreduktionstherapie für Morbus Gaucher nur mit Einschränkungen zugelassen wurde:*

## 7. Überblick finanzielle Unterstützung

Die Forschungen zu Genistein am MPS IIIB - Mausmodell (Projekt No. J4G/25/04) wurden hauptsächlich durch die Society for Mucopolysaccharide Diseases, Großbritannien und finanziellen Beiträgen der nationalen MPS Gesellschaften von Österreich, Kanada, Deutschland, Japan, Irland, Polen, Spanien, Schweden, Schweiz, Niederlande und den USA finanziert. Diese Projekt läuft in Kürze aus.

Ansonsten werden Prof. Wegrzyns Forschungen durch das polnische Bildungs- und Wissenschaftsministerium sowie die Foundation for Polish Science unterstützt.

## Nachmittagsveranstaltung

Gregorz Wegrzyn (Universität Danzig), Christina Lampe, Elke Miebach (beide Villa Metabolica, Universitäts-Kinderklinik Mainz), Thomas Baum, Georg Schetter (beide MPS e.V.) und interessierte Eltern

Eröffnet wurde die Veranstaltung mit einem Statement von Thomas Baum an alle versammelten Eltern, dass es zum derzeitigen Zeitpunkt weder von der Gesellschaft für Mukopolysaccharidosen e.V. noch seitens der Ärzte eine Empfehlung für eine Therapie mit Genistein gibt.

So präsentierte Prof. Wegrzyn den Eltern zunächst in einem Vortrag den aktuellen Stand seiner Forschungen sowie abgeschlossener, laufender und geplanter klinischer Studien. Im Anschluß an diesen Vortrag wurde dann allen Eltern die Gelegenheit geboten, Prof. Wegrzyn Fragen zum Thema Genistein zu stellen, was in der insgesamt vierstündigen Veranstaltung auch intensiv genutzt wurde.

Auch, wenn viele der Fragen sehr ins Detail bezgl. der konkreten Verabreichung von Genistein gingen, stand die klare Aussage im Mittelpunkt, dass es sich bei Genistein um einen experimentellen Therapieansatz handelt, eine ärztliche Empfehlung nicht ausgesprochen werden kann und auch nicht ausgesprochen wird, sondern die Entscheidung für eine Gabe von Genistein allein bei den Eltern liegt. In diesem Zusammenhang wurden die anwesenden Eltern dazu aufgerufen, ihren behandelnden Arzt von der Entscheidung, Genistein zu verabreichen, in Kenntnis zu setzen und regelmäßige Kontrolluntersuchungen (s.o.) durchführen zu lassen. Sowohl in der Villa Metabolica der Universitäts-Kinderklinik Mainz sowie in der Stoffwechsel-Ambulanz der Universitäts-Kinderklinik in Hamburg sei man prinzipiell bereit, diese Kontrolluntersuchungen zu übernehmen.