

BioCrea und Neurowissenschaftler der TU Dresden entwickeln Screening-Plattform auf Basis humaner Nervenzellen zur Erforschung neuartiger Behandlungen für neurodegenerative Erkrankungen

Radebeul, 22. April 2013 – BioCrea GmbH, ein Spezialist für die Erforschung von „First-in-Class“-ZNS-Wirkstoffen, dessen Ansatz durch Pharmapartnerschaften validiert ist, gab heute die Unterzeichnung einer neuen Kooperation mit der Klinik und Poliklinik für Neurologie der Technischen Universität Dresden (TU Dresden) für die Erforschung neuer Behandlungsansätze für neurodegenerative Erkrankungen, wie amyotrophe Lateralsklerose (ALS, auch Lou-Gehrig-Syndrom genannt), bekannt. Im Rahmen der Vereinbarung wird BioCrea an einer Vielzahl von induzierten pluripotenten Stammzelllinien (iPS-Zellen) arbeiten, die aus Patienten gewonnen werden, bei denen genetische Mutationen vorliegen und die unlängst Anzeichen einer familiären Form von ALS gezeigt haben. Diese iPS-Zellen werden gemeinsam mit der TU Dresden entwickelt. Die Kooperation eröffnet den Zugang zu neuen phänotypischen Ansätzen in der Wirkstoffforschung, die auf die Krankheitsmechanismen abzielen, die dieser schwerwiegenden Erkrankung zugrunde liegen.

Trotz jahrzehntelanger Forschung haben Target-basierte Wirkstoffforschungsansätze bisher keine neuen Behandlungsoptionen für ALS-Patienten hervorgebracht. Für dieses Dilemma wurden zahlreiche Gründe genannt, wobei die wesentliche Ursache aber mit großer Wahrscheinlichkeit im Fehlen eines menschlichen Modells der Krankheit liegt. BioCrea wird mit dieser Kooperation einen neuen Ansatz zur Erforschung von ALS-Wirkstoffen etablieren, der auf einem neuartigen humanen Zellmodell der Erkrankung basiert und den iSP-Zell-Ansatz verwendet (siehe John B. Gurdon und Shinya Yamanaka, Nobelpreis 2012). BioCreas sogenannter „Patient-to-Screen“-Forschungsansatz wird aus diesen iSP-Zellen Nervenzellen generieren und in phänotypischen Screeningmethoden anwenden. Mit dieser Methode beabsichtigt das Unternehmen zukünftig neuartige Substanzen zu identifizieren, auf deren Basis neue Medikamente zur Behandlung von ALS entwickelt werden können, einer stark beeinträchtigen und schnell fortschreitenden Krankheit, die oft bereits innerhalb von zwei Jahren nach der Diagnose zum Tod führt.

Tom Kronbach, Geschäftsführer von BioCrea, erklärt: „Unser Fokus liegt anfänglich auf ALS. Diese Methode besitzt jedoch für weitere neurodegenerative Erkrankungen wie frontotemporale Demenz und die Parkinson-Krankheit großes Potenzial.“ Er bemerkt weiter: „Wir haben langjährige Erfahrung und ausgewiesene Expertise bei der Anwendung von phänotypischen *In-Vivo*-Screening-Methoden zur Erforschung neuer Medikamente. Zwei dieser Moleküle haben bereits die Marktzulassung erhalten. Im Laufe der vergangenen zehn Jahre haben sich diese Technologien als äußerst erfolgreich zur Erforschung von sogenannten First-in-Class-Medikamenten erwiesen (doi:10.1038/nrd3480). Unsere Strategie beruht darauf, Stammzellen, die direkt von den Patienten stammen, zu verwenden, um diesen Ansatz noch weiter voran zu bringen. Die Anwendung dieser neuen Technologien auf der *In-Vitro*-Ebene im Labor wird uns es ermöglichen, uns in unseren Wirkstoffforschungsbemühungen von Anfang an auf menschliche Krankheitsmechanismen zu konzentrieren. In Kombination mit den

modernsten Methoden der Medizinalchemie gibt uns das die Chance, den Zeitrahmen für die Entwicklung wirksamerer innovativer Medikamente insgesamt zu beschleunigen.“

Über Amyotrophe Lateralsklerose (ALS)

ALS ist eine Erkrankung des motorischen Nervensystems, die durch deutliche und fortschreitende Degeneration der oberen und unteren Motoneuronen gekennzeichnet ist. Die Erkrankung führt typischerweise innerhalb von einem bis fünf Jahren nach Auftreten der ersten Symptome zum Tod. Zu den Symptomen zählen zunehmende Schwäche, Muskelschwund und Faszikulationen (Muskelzuckungen), spastische Störungen, Sprechstörungen, Verdauungsstörungen sowie in späteren Stadien eintretendes Versagen der Atmung und Lungenentzündung. Während bei einem Großteil der Patienten, bei denen diese Erkrankung diagnostiziert wird (sporadische Form von ALS), die Ursache unklar ist, liegt bei bis zu 10% der Patienten ein bekannter genetischer Hintergrund (familiäre Form von ALS) vor. Es ist ermutigend, dass die kürzlich identifizierten Gene, die mit ALS in Verbindung stehen, einen ersten Hinweis auf die Existenz von konservierten zellulären Mechanismen geben, die den familiären und sporadischen Formen der Erkrankung zugrunde liegen könnten. Da diese Krankheitsmechanismen bisher nur unzureichend bekannt sind, gelten phänotypische Wirkstoffforschungsansätze als die beste Methode, um neue Therapien mit einem großen Nutzen für einen breiten ALS-Patientenkreis zu entwickeln.

Über BioCrea

BioCrea ist ein Spezialist für die Erforschung von „First-in-Class“-ZNS-Wirkstoffen, dessen Ansatz durch Pharmapartnerschaften validiert ist, mit Sitz in Radebeul. Die Gesellschaft besitzt langjährige Erfahrung und ausgewiesene Expertise in effektiver Wirkstoffforschung, die sie stets durch konstante Weiterentwicklung und Optimierung von selektiven Ionenkanälen und Enzymmodulatoren – Wirkstoffe, die ein großes Potenzial zur Erhöhung der Wirksamkeit und Verträglichkeit von neuen Therapeutika bieten - vorantreibt. BioCrea wurde 2012 als einer der innovativsten Mittelständler Deutschlands mit dem Gütesiegel „Top 100“ von der compamedia GmbH ausgezeichnet.

Über Klinik und Poliklinik für Neurologie, Technische Universität Dresden (TU Dresden)

An der aktuellen Kooperation sind Prof. Alexander Storch (Stellvertretender Klinikdirektor, Medizinische Fakultät, Klinik und Poliklinik für Neurologie) und Dr. Dr. Andreas Hermann der TU Dresden beteiligt, die mit ihrer exzellenten Expertise im Bereich Neurodegeneration, Stammzellen und ALS führend sind.

Die TU Dresden gehört zu den elf Universitäten Deutschlands, die als Exzellenz-Universitäten ausgewählt wurden, und ist heute die größte Universität im Freistaat Sachsen. Die Forschungsstärke der TU Dresden wird durch weitere Projekte der Spitzenforschung beispielsweise im Rahmen der Landesexzellenzinitiative, des BMBF-Spitzenclusterwettbewerbs und der BMBF-Zentren für Innovationskompetenz nachhaltig unterstrichen. Daneben belegen die Bearbeitung von DFG-Vorhaben, von Forschungsprojekten mit öffentlichen und privaten Auftraggebern sowie die damit eingeworbenen Drittmittel die Forschungskompetenz der Universität.

Kontakt

Dr. Tom Kronbach
Geschäftsführer, BioCrea GmbH

Tel.: +49 351 / 4043 3332
Fax: +49 351 / 4043 3216

tom.kronbach@biocrea.com