

Pressemeldung

LDC und europäisch-kanadisches Konsortium erhalten € 1,1 Millionen zur Entwicklung neuer Therapien gegen Antitrypsin-Mangel

08. Januar 2019, Dortmund – Das Lead Discovery Center (LDC) kooperiert mit der McGill Universität in Kanada, mit Institut National de la Santé Et de la Recherche Médicale (INSERM) in Frankreich und mit der Semmelweis Universität in Ungarn, um neue Ansätze zur Behandlung von Alpha-1-Antritrypsin-Mangel zu entwickeln. Das ist eine seltene, erbliche Erkrankung, die zu schwerwiegenden Schäden an Lunge und Leber führen kann. Die Partner erhalten dafür €1,1 Millionen an Fördermitteln im Rahmen des transnationalen E-Rare-3-Programms für seltene Erkrankungen.

Antitrypsin-Mangel wird durch genetische Veränderung des Enzyms Alpha-1-Antitrypsin (A1AT) verursacht. Es wird vorwiegend in der Leber hergestellt und normalerweise von dort zur Lunge transportiert, wo es dazu beiträgt, das Gewebe zu schützen und die Organfunktion zu erhalten. Die Mutation führt zu einer fehlerhaften Faltung des Proteins, so dass es nicht mehr ausgeschieden werden kann. In der Lunge kann der Mangel an A1AT ernsthafte Erkrankungen verursachen, z.B. chronisch obstruktive Lungenerkrankungen (COPD). In der Leber kann die Akkumulation von fehlerhaftem A1AT zu Leberfibrosen oder -zirrhosen und in der Folge zu Leberversagen führen. Bislang gibt es keine wirksamen Medikamente.

Das gemeinsame Entwicklungsprojekt nutzt wegweisende Ergebnisse von Dr. Chevet und seinem Team bei INSERM, die einen neuen Ansatz zur Bekämpfung von Antitrypsin-Mangel liefern. Sie haben gezeigt, dass durch die Aktivierung des Enzyms IRE1alpha funktionsfähiges ZA1AT aus der Leber freigesetzt werden kann. ZA1AT ist die häufigste Mutation von A1AT. Die Projektpartner werden gemeinsam chemische Substanzen identifizieren, die IRE1alpha aktivieren und dadurch funktionales ZA1AT freisetzen. Im Laufe von drei Jahren soll eine Reihe von Wirkstoffen (Leitstrukturen) entwickelt werden, die günstige pharmakologische Eigenschaften besitzen und deren Wirksamkeit in relevanten *in-vivo* Modellen nachgewiesen ist.

Mit diesem Projekt setzen die Partner ihre bestehende, sehr produktive Zusammenarbeit fort. Dabei ergänzen sie sich ideal in ihren Stärken und Fähigkeiten: Die Teams von der McGill Universität und INSERM tragen führende Expertise in Erkrankungen bei, die mit der Fehlfaltung von Proteinen im Allgemeinen und mit der Funktion von A1AT und IRE1alpha im Besonderen zu tun haben. Die Teams an der Semmelweis Universität und am LDC bringen Infrastruktur und weitreichende Kenntnisse in der Medizinalchemie und Pharmakologie ein, außerdem umfangreiche Erfahrung in der frühen Wirkstoff-Entwicklung von der Zielstruktur bis zum Nachweis der Wirksamkeit (Proof-of-Concept). Das Projekt wird zudem von führenden Klinikern und Patientenorganisationen unterstützt, die sich dafür einsetzen, Therapien für Antitrypsin-Mangel zu finden und die Lebensqualität der Betroffenen zu verbessern.

„Das ist eine einzigartige und besonders aussichtreiche Konstellation“, sagt Dr. Bert Klebl, Geschäftsführer des LDC. „Mit unseren kombinierten Fähigkeiten und unserem Engagement haben wir beste Chancen, dieses Projekt erfolgreich voranzubringen und einen deutlichen Fortschritt für Patienten zu erzielen, die unter dieser wenig beachteten, seltenen Erkrankung leiden.“

Über das Lead Discovery Center

Die Lead Discovery Center GmbH wurde 2008 von der Technologietransfer-Organisation Max-Planck-Innovation gegründet, um das Potenzial exzellenter Grundlagenforschung für die Entwicklung neuer, dringend benötigter Medikamente besser zu nutzen. Das Lead Discovery Center nimmt vielversprechende Projekte aus der akademischen Forschung auf und entwickelt sie typischerweise weiter bis zu pharmazeutischen Leitstrukturen („Proof-of-Concept in Modellsystemen). In enger Zusammenarbeit mit führenden Partnern aus der akademischen Forschung und Industrie entwickelt das Lead Discovery Center ein umfangreiches Portfolio an Projekten im Bereich niedermolekularer Wirkstoffe sowie therapeutische Antikörper mit außergewöhnlich hohem medizinischem und kommerziellem Potenzial.

Das Lead Discovery Center ist der Max-Planck-Gesellschaft langfristig verbunden und arbeitet mit Partnern wie AstraZeneca, Apeiron, Bayer, Boehringer Ingelheim, Daiichi Sankyo, Grünenthal, Johnson & Johnson Innovation, Merck KGaA, Qurient, Sotio, verschiedenen Investoren sowie führenden akademischen Drug Discovery Zentren zusammen.

Weitere Informationen: www.lead-discovery.de

Kontakt

Public Relations LDC

E.: pr@lead-discovery.de

T.: +49 231 9742 7000