

Press release**Universitätsklinikum Tübingen****Dr. Ellen Katz**

04/22/2015

<http://idw-online.de/en/news629756>Research projects, Transfer of Science or Research
Medicine
transregional, national**Hoffnung für Retinitis Pigmentosa-Patienten?**

Neue Substanzentwicklung erhält den Sonderstatus eines Arzneimittels für seltene Krankheiten. Unter Federführung des Forschungsinstituts für Augenheilkunde am Universitätsklinikum Tübingen forscht ein Zusammenschluss aus Firmen und Wissenschaftlern mit Unterstützung der Europäischen Union in dem Verbundprojekt „DRUGSFORD“*. Ziel ist es, neue Wege für die Behandlung von erblichen Seherkrankungen zu finden. Jetzt konnte für ein Präparat die „Orphan Drug Designation“ erwirkt werden. Dies ist ein wesentlicher Schritt in der Entwicklung einer Pharmakotherapie für erbliche Netzhauterkrankungen.**

Retinitis pigmentosa (RP) ist eine erblichen Erkrankung der Netzhaut von der Schätzungen zufolge alleine in Europa etwa 130 000 Personen betroffen sind. Je nach Ausprägung, leiden sie unter einer Einengung des Gesichtsfeldes und Störungen des Nacht-, Farb- und Kontrastsehens. RP lässt sich, wie andere seltene Erkrankungen der Netzhaut nicht behandeln. Sie führt schon bei jungen Menschen zu schweren Beeinträchtigungen des Sehvermögens bis hin zu vollständigem Erblinden.

Bei bestimmten seltenen Netzhauterkrankungen kommt es im Auge zum Absterben von Photorezeptoren, der sogenannten erblichen Photorezeptordegeneration. Die Ursache dafür können unterschiedliche krankheitsauslösende Mutationen sein. „Dies kann dazu führen, dass eine Therapieform für einen Patienten mit einer speziellen Mutation zwar förderlich ist, dass dieselbe Therapieform bei den meisten anderen Patienten aber versagt oder sogar schädlich ist“, erklärt Dr. François Paquet-Durand, Koordinator des EU-Projektes vom Tübinger Forschungsinstitut für Augenheilkunde. Eine weitere Herausforderung ist, dass die Netzhaut durch die sogenannte „Blut-Hirn-Schranke“ gegen die meisten Medikamente abgeschirmt ist.

Häufig kommt es bei RP zu einer Überaktivierung des cGMP-Signalweges, die aber durch synthetische cGMP-Analoga (zyklisches Guanosine-monophosphat) ausgeglichen werden kann. Dazu muss das cGMP-Analogon durch Verwendung von im DRUGSFORD Projekt speziell entwickelten Liposomen über die Blut-Hirn-Schranke hinweg zu den Photorezeptoren der Netzhaut gelangen.

DRUGSFORD konnte nach intensiven Prüfungen mit LP-DFoo3 ein cGMP-Analogon sowie eine geeignete Substanzformulierung finden, die in mehreren RP-Krankheitsmodellen zu einer erheblichen Verbesserung der Netzhautfunktion und Struktur geführt haben. Aufgrund dieser vielversprechenden Ergebnisse hat die Europäische Arzneimittel-Agentur (EMA) für LP-DFoo3 eine Orphan Drug Designation*** erteilt.

Damit hat DRUGSFORD einen wesentlichen Schritt in Richtung einer klinischen Entwicklung von neuen Behandlungsformen für RP gemacht und dabei auch die Aussichten auf eine zukünftige kommerzielle Verwertung von LP-DFoo3 verbessert.

* Das DRUGSFORD Konsortium wurde 2012 gegründet und wird für drei Jahre mit nahezu fünf Millionen Euro von der Europäischen Union gefördert. Es besteht aus zwei Biotech-Firmen und drei universitären Forschungsgruppen. Die deutsche Firma BIOLOG aus Bremen ist weltweit führend in der Entwicklung von Substanzen die mit cGMP-vermittelten Signalen wechselwirken. Die holländische Firma to-BBB aus Leiden hat ein spezielles "Drug Delivery System" entwickelt, das den Substanztransport durch die Blut-Hirn-Schranke wesentlich verbessert. Die Expertise dieser beiden Firmen erlaubt es, neuartige Substanzen zu entwickeln, die über die Blut-Hirn-Schranke hinweg die Photorezeptoren erreichen können. Die drei universitären Arbeitsgruppen um Valeria Marigo aus Modena (Italien), Per Ekström aus Lund (Schweden) und François Paquet-Durand aus Tübingen haben bereits in der Vergangenheit erfolgreich an dem Thema erbliche Photorezeptordegeneration gearbeitet. Sie werden die neu entwickelten Substanzen in Kombination mit dem "Drug Delivery System" auf schützende Effekte an kranken Photorezeptoren und Netzhaut testen.

** Die sogenannte „Orphan Drug Designation“ (ODD) bezieht sich auf eine spezielle Gesetzgebung für seltene Krankheiten in Europa, die eine klinische Prüfung erleichtert und für zehn Jahre einen exklusiven Marktzugang erlaubt.

*** Die Orphan Drug Designation für LP-DFoo3 lautet EU/3/15/1462 unter <http://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/01462.htm>

Mehr Informationen zum DRUGSFORD Konsortium unter www.drugsford.eu

Medienkontakt

Universitätsklinikum Tübingen
Forschungsinstitut für Augenheilkunde
Dr. François Paquet-Durand
Group Leader - Cell Death Mechanism Group
Röntgenweg 11, 72076 Tübingen
Tel. 07071 29-87430, Fax 07071 29-5777
E-Mail francois.paquet-durand@uni-tuebingen.de