

## Behandlung der pulmonalen arteriellen Hypertonie (PAH)

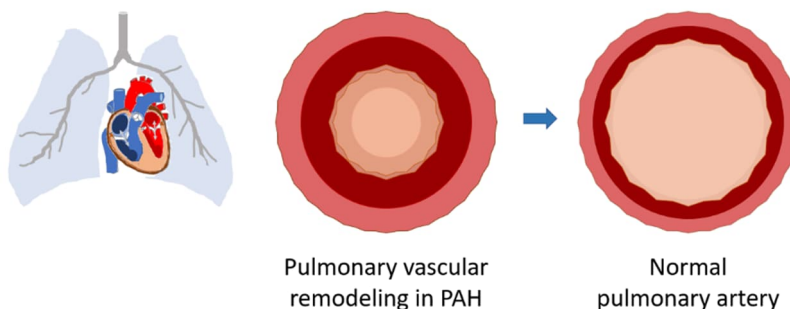
Orphan disease, seltene Krankheit, small-molecules, Wirkstoffe, pulmonale arterielle Hypertonie (PAH), Benzimidazol-Derivate, epigenetische Modulation

### BESCHREIBUNG DER TECHNOLOGIE

Die pulmonale arterielle Hypertonie (Bluthochdruck in den Lungenarterien) ist eine seltene, multifaktorielle, progressive Unterform der pulmonalen Hypertonie (PH). Unbehandelt kann sie zu rechtem Herzversagen und frühzeitigem Tod führen.

Die zentrale Strukturveränderung durch PAH ist der Gefäßwandumbau (Remodeling), welcher zu Zellproliferation und Steifheit in den Lungenarterien führt und dadurch den Blutdruck erhöht.

Unser neuer Therapieansatz nutzt die epigenetische Modulation durch die Inhibition der Histon-Acetyltransferase mit Benzimidazol-Derivaten. Dadurch wird die geschädigte Lungengefäßstruktur und -funktion wiederhergestellt, sowie der Gefäßwandumbau umgekehrt (Reverse Remodeling).



© TransMIT GmbH

Forscher des Exzellenzclusters Cardio-Pulmonary Institute (CPI) und der Justus-Liebig-Universität Gießen (JLU) untersuchten zwei verschiedene potenzielle Wirkstoffkandidaten für die Therapie von PAH, mit dem Fokus auf Reverse Remodeling. Damit soll der strukturelle Gefäßwandumbau wieder rückgängig gemacht werden.

Präklinischen Studien mit drei verschiedenen Tiermodellen *in vivo*, sowie mit menschlichen PAH-Präzisionslungenschnitten (PCLS) *ex vivo* zeigen vielversprechende therapeutische Ergebnisse. Damit ist die Wirksamkeit des neuen Therapieansatzes evaluiert.

### AUF EINEN BLICK ...

#### Anwendungsfelder

- Behandlung von PAH
- seltene Lungenerkrankungen

#### Branche

- Pharmazeutische Industrie
- Biotechnologische Industrie

#### Alleinstellungsmerkmale

- Rückgängig machen des Gefäßwandumbaus (Reverse Remodeling)
- Wiederherstellung von beschädigten Lungengefäßen und deren Funktion
- Wirksam für die PAH-Behandlung

#### Entwicklungsstand

- Präklinische Studien *in vivo* (mit drei verschiedenen PAH-Rattenmodellen)
- Evaluation der therapeutischen Wirksamkeit in menschlichen PAH-Präzisionslungenschnitten (PCLS) *ex vivo*

#### Patentstatus

Prioritätsanmeldung eingereicht am 08.04.2022 beim Europäischen Patentamt. Internationale PCT-Patentanmeldung eingereicht am 30.03.2023 beim Europäischen Patentamt. Orphan Drug Status ist möglich.

## VORTEILE GEGÜBER DEM STAND DER TECHNIK

Die Wirkstoffe zeigen vielversprechende Ergebnisse innerhalb von 14 Tage nach Behandlung, sowohl in den Tiermodellen als auch bei PCLS. Die Wirkstoffe weisen antihypertrophische, antiproliferative und antifibrotische Eigenschaften auf und verbessern dadurch die Hämodynamik bei Patienten mit PAH.

Der Fokus liegt auf der Wiederherstellung der Funktion und Struktur der geschädigten Lungengefäße sowie der Umkehrung des Lungengefäßwandumbaus (Reverse Remodeling).

Dieser grundlegend neue Therapieansatz nutzt die Möglichkeit der epigenetischen Modifikation und ermöglicht erstmalig die Umkehrung des Gefäßwandumbaus.

## STAND DER PRODUKTENTWICKLUNG

Die Ergebnisse der präklinischen Studien *in vivo* (drei verschiedene PAH-Rattenmodelle) und der Evaluation der therapeutischen Wirksamkeit in menschlichen PAH-PCLS *ex vivo* sind verfügbar.

Die Wirkstoffe sind frei erhältlich. Ein Wirkstoff ist zurzeit als orale Formulierung Teil einer onkologischen klinischen Phase-II-Studie. Andere Darreichungsformen der Wirkstoffe sind möglich und ermöglichen eine effektivere und gezieltere Therapie bei Lungenerkrankungen.

Wir bieten medizinische und wissenschaftliche Expertise im Bereich Lungenforschung an, mit den etablierten Institutionen Deutsches Exzellenzcluster Cardio-Pulmonary Institute (CPI), Universities of Giessen and Marburg Lung Centre (UGMLC) und Schwerpunktzentrum Kerckhoff Klinik. Wir haben einen großen Pool an potenziellen klinischen Studienteilnehmern und können klinische Studien bis Phase-III vor Ort durchführen.

## MARKTPOTENTIAL

Für den globalen PAH-Therapiemarkt wird in Zukunft ein Zuwachs erwartet. Zum einem durch zunehmende Risikofaktoren wie HIV, Drogen, Lebensstil und alternde Bevölkerung, zum anderem durch ein verbessertes Krankheitsverständnis und diagnostische Fortschritte.

Die Prävalenz von PAH liegt in Europa bei 15-60, in den USA bei 5-50 Fällen pro Million Einwohner. Die europäische PAH-Inzidenz liegt bei 5-10 Fällen pro Million pro Jahr.

Ohne effektive Therapie liegt die durchschnittliche Überlebensrate bei 2,8 Jahren nach Diagnosestellung.

## KOOPERATIONSMÖGLICHKEITEN

Im Auftrag der Justus-Liebig-Universität Gießen sucht die TransMIT GmbH weltweit Kooperationspartner oder Lizenznehmer für klinische Studien und zur Weiterentwicklung.

## EINE TECHNOLOGIE DER



### Kontakt

TransMIT Gesellschaft  
für Technologietransfer mbH  
Kerkrader Straße 3  
35394 Gießen  
Deutschland  
[www.transmit.de](http://www.transmit.de)

### Kontaktperson

Dr. Thomas Widmann  
Tel: +49 (0) 641 9 43 64 35  
Fax: +49 (0) 641 9 43 64 55  
E-Mail: [thomas.widmann@transmit.de](mailto:thomas.widmann@transmit.de)

