

ABCA4-Knockout-Schweinemodell für die Stargardt-Krankheit und die zentrale Zapfendegeneration

Ophthalmologie, Gen- und Zelltherapie

BESCHREIBUNG DER TECHNOLOGIE

Erbliche Netzhauterkrankungen und Makuladegenerationen gehören nach wie vor zu den größten Herausforderungen für die Entwicklung translationaler Therapien in der Augenheilkunde. Trotz bedeutender Fortschritte in den Bereichen Gentherapie, Zelltherapie, Genom-Editierung und Netzhautchirurgie schränkt der Mangel an prädiktiven Großtiermodellen die erfolgreiche Übertragung von der präklinischen Forschung in die klinische Anwendung ein.

Wir haben ein neuartiges ABCA4-defizientes Schweinemodell etabliert, das die wichtigsten pathologischen Merkmale der Stargardt-Krankheit reproduziert, darunter die zentrale Zapfen-Photorezeptordegeneration im Bereich der Area centralis des Schweins, einer Netzhautregion mit anatomischen und funktionellen Ähnlichkeiten zur menschlichen Makula. Das Modell wurde durch CRISPR/Cas9-vermitteltes Genom-Engineering erzeugt und wird als Zuchtkolonie geführt, was die reproduzierbare Produktion genetisch definierter Kohorten für präklinische Studien ermöglicht. Damit können Gentherapien, Zelltherapien, Genome Editing, Drug Delivery und bildgebenden Verfahren entwickelt und geprüft werden sowie reproduzierbare präklinische Studien mit standardisierten Tierkohorten durchgeführt werden.



© TransMIT GmbH

ANWENDUNGSFELDER

Die Anwendungsfelder liegen in der ophthalmologischen Biotechnologie, der Augenheilkunde und in der Gen- und Zelltherapie.

AUF EINEN BLICK ...

Anwendungsfelder

- Augenheilkunde, Ophthalmologie
- Gentherapie
- Genomeditierung
- Zelltherapie

Branche

- Pharma
- Medizin
- Ophthalmologische Biotechnologie

Alleinstellungsmerkmale

- Vollständiger Verlust der ABCA4-Funktion in der Netzhaut
- Entwicklung einer Pathologie der zentralen Zapfen-Photorezeptoren
- Skalierbare, koloniebasierte Produktion von Versuchskohorten

Entwicklungsstand

- Zuchttiere vorhanden
- Homozygote Schweine verfügbar

Patentstatus

Prioritätsanmeldung eingereicht am 23.12.2025 beim Europäischen Patentamt. Eine internationale Patentanmeldung ist geplant.

VORTEILE GEGENÜBER DEM STAND DER TECHNIK

Das neue ABCA4-Knockout-Schweinemodell ermöglicht die standardisierte präklinische Evaluation von Gen-, Zell- und Kombinationstherapien in einem translationsrelevanten Großtiermodell. Es liegt eine stabile Zuchtlinie vor, die sich durch Robustheit und Reproduzierbarkeit auszeichnet. So können reproduzierbare präklinische Studien mit standardisierten Tierkohorten durchgeführt werden.

STAND DER PRODUKTENTWICKLUNG

Es liegt eine stabile Zuchtlinie vor. Erste Tests für Therapien sind in Vorbereitung.

MARKTPOTENTIAL

Die Stargardt-Krankheit ist die häufigste erbliche Makuladystrophie und stellt eine der Hauptursachen für irreversiblen Sehverlust bei Kindern und jungen Erwachsenen dar. Obwohl sie als seltene Krankheit gilt, sind weltweit schätzungsweise mehrere hunderttausend Patienten betroffen, und derzeit steht keine heilende Therapie zur Verfügung. Gleichzeitig fließen erhebliche Investitionen in Netzhaut-Gentherapien, Genom-Editierungen, Zellersatzstrategien und die regenerative Augenheilkunde. Die erfolgreiche Umsetzung dieser Ansätze hängt zunehmend von prädiktiven präklinischen Modellen ab, die die Anatomie der menschlichen Netzhaut und die Pathologie der Stargardt-Krankheit genau nachbilden.

Über erbliche Netzhauterkrankungen hinaus betrifft die altersbedingte Makuladegeneration (AMD) weltweit etwa 196 Millionen Menschen und bleibt einer der größten Märkte für Augenkrankheiten weltweit. Viele neue therapeutische Ansätze zielen auf gemeinsame Mechanismen der Photorezeptordegeneration, der Erhaltung der Netzhaut und der Wiederherstellung des zentralen Sehvermögens ab.

Das ABCA4-defiziente Schweinemodell bietet eine einzigartige translationale Plattform an der Schnittstelle zwischen der Forschung zu erblichen Netzhauterkrankungen und der Makuladegeneration. Durch die Reproduktion einer lokalisierten Netzhautdegeneration in einem Großtier mit einer makulaähnlichen Area centralis schließt das Modell eine kritische Lücke zwischen Studien an Nagetieren und der klinischen Entwicklung am Menschen.

KOOPERATIONSMÖGLICHKEITEN

Die TransMIT GmbH sucht im Auftrag ihrer Gesellschafterin Justus-Liebig-Universität Gießen Industriepartner für Lizenzierung, gemeinsame Entwicklungsprogramme und präklinische Therapieevaluation in Deutschland, Europa, den USA und Asien.

EINE TECHNOLOGIE DER



Kontakt

TransMIT Gesellschaft
für Technologietransfer mbH
Kerkraeder Straße 3
35394 Gießen
GERMANY
www.transmit.de

Ansprechpartner

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

