

Neuer Therapieansatz für genetische Erkrankungen

Therapie der **Aspartylglukosaminurie (AGU)** und der spätinfantilen neuronalen **Ceroid-Lipofuszinose (cLINCL)**

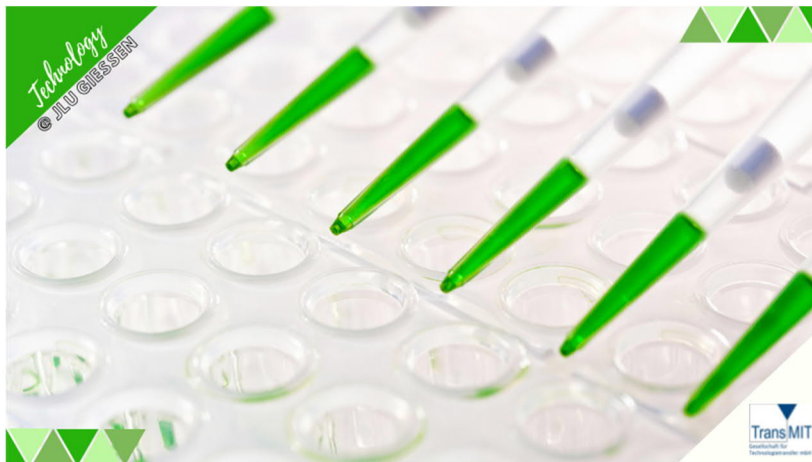


Bild © Niklas Günther/TransMIT GmbH über Canva.com

BESCHREIBUNG DER TECHNOLOGIE / DES PRODUKTES

Es wurden pflanzliche Substanzen aus dem Bereich der Methylxanthine identifiziert, welche die negativen Auswirkungen des Gendefekts korrigieren und für eine Therapie der genetisch bedingten Erkrankungen Aspartylglukosaminurie (AGU) und spätinfantile neuronale Ceroid-Lipofuszinose (cLINCL) geeignet sind.

AGU und cLINCL sind seltene Erbkrankheiten, die zu schweren Entwicklungsstörungen und kürzerer Lebenserwartung führen. Sie werden durch Mutationen in den Genen für das Enzym Aspartylglukosaminidase (AGA) bzw. Tripeptidylpeptidase 1 (TPP1) verursacht und gehören zu den lysosomalen Speicherkrankheiten.

Für AGU gibt es keine Therapie, für cLINCL nur die sehr kostenintensive Therapie basierend auf regelmäßiger intracerebroventrikuläre Infusion.

AUF EINEN BLICK ...

TECHNOLOGIE/ ANWENDUNGSFELDER

Medizin, Pharma, Therapie

MARKT / BRANCHE

- Medizin
- Pharma

ALLEINSTELLUNGSMERKMALE

- Pflanzliche Stoffe
- Therapie für Orphan disease

ENTWICKLUNGSSTAND

- ✓ Erprobung im Tiermodell
- Weitere Schritte: Validierung für die Therapie, klinische Studie und Zulassungsverfahren

PATENTSTATUS

Prioritätsanmeldung eingereicht am 12.05.2021 in EP
Weitere Anmeldungen sind bis 12.05.2022 geplant und möglich

Publikation

Cells 2021, 10(11), 2813:
Banning A, Tikkanen R: Towards Splicing Therapy for Lysosomal Storage Disorders: Methylxanthines and Luteolin Ameliorate Splicing Defects in Aspartylglucosaminuria and Classic Late Infantile Neuronal Ceroid Lipofuscinosis.

ANWENDUNGSFELDER

Therapie von seltenen genetischen Erkrankungen
AGU und cLINCL.

VORTEILE GEGENÜBER DEM STAND DER TECHNIK

Pflanzliche Substanzen aus den Klassen der Methylxanthine bzw. Flavonoide sind sehr nebenwirkungsarm und daher gut für eine Therapie geeignet.

Sie können die Prozessierung der mRNA-Vorstufen bei Gendefekten korrigieren, so dass trotz Mutation eine vollständige mRNA und aktive Enzyme entstehen. Dadurch kann die Akkumulation der nicht abgebauten Proteine aufgehoben und die Krankheiten AGU und cLINCL therapiert werden.

STAND DER PRODUKTENTWICKLUNG

Die Anwendung befindet sich noch in einem frühen Stadium der Entwicklung. Die Durchführung von klinischen Studien ist am Klinikum Gießen möglich.

MARKTPOTENTIAL

Das Marktpotential für die Erforschung und Therapie von seltenen Erkrankungen ist eher gering. Dennoch waren in 2020 bereits 41 % aller neu eingeführten Medikamente Orphan Drugs. Ihr Umsatzanteil lag in 2020 bei 6,4 Prozent, gemessen am Gesamtmarkt. Jede der seltenen Erkrankung AGU und cLINCL kommt gemäß Definition der Europäische Union (EU) bei maximal fünf von 10.000 Menschen vor.

KOOPERATIONSMÖGLICHKEITEN

Die TransMIT GmbH sucht im Auftrag ihrer Gesellschafterhochschule Justus-Liebig-Universität Gießen Kooperationspartner oder Lizenznehmer für klinische Studien, für die Zulassung, die Validierung für andere genetische Erkrankungen und die Weiterentwicklung in Deutschland, Europa, den USA und in Asien.

EINE TECHNOLOGIE DER



REFERENZ Nr.: **TM 1111**

KONTAKT:

TransMIT Gesellschaft für
Technologietransfer mbH
Kerkrader Straße 3
D-35394 Gießen

www.transmit.de

www.hipo-online.net

Ansprechpartner

Dr. Michaela Kirndörfer

Phone: +49 (0)641 94 36 4 – 16

Fax: +49 (0)641 94 36 4 – 55

E-Mail:

michaela.kirndoerfer@transmit.de



Systempartner für Innovation