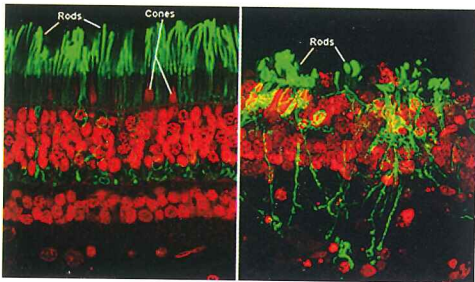


## Erbliche Netzhautdegeneration

## Neuer RP-Wirkstoff vom Start-up

Erbliche Netzhauterkrankungen, wie Retinitis pigmentosa (RP) betreffen mindestens zwei Millionen Menschen weltweit. Noch gibt es kaum Wege, die Degeneration der Stäbchenzellen in der Netzhaut und damit den fortschreitenden Sehverlust aufzuhalten. Ein Struktur analogon des Signalmoleküls cGMP bremst den Verlust der Photorezeptoren bei ganz unterschiedlichen Krankheitsformen, berichteten Mitte März



Normale Retina (links) und Netzhaut eines Patienten mit Retinitis pigmentosa (rechts)

Forscher der Mireca Medicines GmbH, einer Ausgründung der Universitätsklinik Tübingen (PNAS, doi: 10.1073/pnas.1718792115).

Dank liposomaler Formulierung überwand der Wirkstoffkandidat CN03 in drei Tiermodellen problemlos die Retina-Blut-Barriere und hemmte dort die Aktivierung der Photorezeptor-Todeswege bei durch unterschiedliche Mutationen hervorgerufenen erblichen Netzhauterkrankungen.

Die zum Patent angemeldete, in der Indikation Retinitis pigmentosa entwickelte Orphan Drug (PCTWO2016/146669A1, PCT/EP2017/066113 und PCT/EP2017/071859) soll laut dem Augenheilkundler und CSO Francois Paquet-Durand schon bald klinisch erprobt werden. Bisher wurde die Entwicklung im Rahmen des EU-geförderten Projektes Drugsford vorangetrieben.

**Antibiotikaresistenz.** Die Deutsche Forschungsgemeinschaft hat im März die Förderung einer Forschungseinheit an der Goethe-Universität Frankfurt verlängert, die sich seit 2014 mit der Identifikation von Virulenzgenen des Antibiotika-resistenten Bakteriums *Acinetobacter baumannii* beschäftigt.

**Multiple Sklerose.** Das US-Unternehmen Biogen hat sämtliche Studien mit seinem MS-Antikörper Daclizumab (Zynbri) gestoppt und auf die Zulassung verzichtet. Zuvor hatte das Paul-Ehrlich-Institut über schwere Autoimmunreaktionen nach Einnahme des IL2-Rezeptorantagonisten berichtet und die Europäische Medizin-Agentur den sofortigen Rückruf empfohlen.

## IMMUNTOLERANZ

## Transportschleuse schuld an Ataxie

Wissenschaftler der Universität Tübingen haben ein neues Medikamentenziel zur Behandlung der erblichen Hirnerkrankung Spinocerebelläre Typ3-Ataxie (SCA3) identifiziert. (PNAS, doi: 10.1073/pnas.1716071115). Bei der degenerativen Hirnerkrankung verklumpt (im Bild: Pfeil) im Zellkern eine veränderte Form des Ataxin-3-Proteins, die eine Polyglutamin-Kette enthält - allerdings nur, wenn das Protein in den Zellkern gelangt. Mittels eines RNAi-Knock-out-Screenings identifizierten die Forscher um Studienleiter Thorsten Schmidt nun in Tiermodellen das für den Ataxin-3-Transport verantwortliche Karyopherin  $\alpha$ -3-Protein. „Für unsere Arbeit ist das ein Durchbruch“, so Schmidt vom Institut für Medizinische Genetik und Angewandte Genomik. „Die Ergebnisse zeigen uns, an welcher Stelle wir ansetzen können, um endlich eine Therapie der Erkrankung zu entwickeln.“ Parallel dazu prüfen sie, ob ihre Ergebnisse ebenso relevant für weitaus häufigere degenerative Erkrankungen sind, etwa Alzheimer oder Parkinson.



**Antiinfektiva.** Eine mit zuckern funktionalisierte Polyethylenglykolmatrix bindet *in vitro* die toxischen Lectine des Bakteriums *C. difficile*. Nun wollen die Entwickler von der RWTH Aachen prüfen, ob ihr Gel *in vivo* durch Lectine verursachte Darmentzündungen ohne Antibiotikaeinsatz verhindern kann.

**Krebs.** Forscher des DKFZ Heidelberg haben erstmals mit Masernviren transfizierte Krebszellen sogenannte Bispecific T-cell Engagers (BiTEs) produzieren lassen. Die neue Strategie soll auch solide Tumore mit BiTEs therapierbar machen (CLIN. CANCER RES., doi: 10.1158/1078-0432.CCR-17-2651).