

## Gemeinsam gegen Muskelschwäche – Santhera und Biozentrum spannen zusammen

**Die Gentherapieforschung zur Behandlung der angeborenen Muskeldystrophie voranzutreiben, werden Santhera Pharmaceuticals und das Biozentrum der Universität Basel künftig zusammenarbeiten. Innosuisse - die Schweizerische Agentur für Innovationsförderung - und Santhera finanzieren dieses Forschungsprogramm mit insgesamt 1,2 Millionen Schweizer Franken.**

Das Pharmaunternehmen Santhera mit Sitz in Pratteln und Prof. Dr. Markus Rüeggs Team vom Biozentrum, das einen neuartigen gentherapeutischen Ansatz zur Behandlung der kongenitalen Muskeldystrophie Typ 1 (MDC1A) entwickelt hat, werden künftig eng zusammenarbeiten. MDC1A ist eine schwere Form der angeborenen Muskeldystrophie, die sich ab der Geburt oder im Säuglingsalter manifestiert.

Diese erbliche neuromuskuläre Erkrankung ist durch eine früh einsetzende Muskelschwäche, fortschreitenden Muskelschwund sowie Ateminsuffizienz gekennzeichnet. Die Erkrankung wird durch einen Gendefekt verursacht, der zum Verlust des Laminin- $\alpha$ 2 Proteins führt. Dieses ist ein wichtiger Bestandteil des Zellskeletts und hilft, die Muskelfasern zu stabilisieren.

### **Behandlung von angeborener Muskelschwäche**

In früheren Arbeiten konnte Rüeggs Team zeigen, dass spezifisch [designte Verbindungsstücke](#), sogenannte Linker, den Verlust an Laminin- $\alpha$ 2 ausgleichen können. Der gentherapeutische Ersatz von Laminin- $\alpha$ 2 durch diese beiden kleinen Linker soll dabei helfen, die Integrität der Muskelfasern bei den Patienten wiederherzustellen.

«Wir und andere Forscher konnten im Mausmodell zeigen, dass dieser Ansatz sich positiv auf den Krankheitsverlauf auswirkt. Die gleichzeitige Expression der beiden Linker stellt nicht nur die Struktur und Funktion der Muskelfasern wieder her, sondern verbessert sowohl die Muskelkraft und -grösse als auch die Lebenserwartung», sagt Rüegg. «Ich freue mich auf die Zusammenarbeit mit Santhera als unserem translationalen Forschungspartner, um unseren gentherapeutischen Ansatz in Richtung klinische Anwendung voranzubringen.»

In dem gemeinsamen Forschungsprojekt werden [Santhera](#) und die Gruppe von Rüegg untersuchen, ob sich der Gentransfer-Ansatz für die spätere klinische Anwendung eignet. «Santhera ist bestrebt, seine Medikamenten-Entwicklung für neuromuskuläre Erkrankungen voranzutreiben und seine führende Expertise auf diesem Gebiet auszubauen», fügt Thomas Meier, CEO von Santhera, hinzu. «Wir freuen uns darauf, mit den Experten am Biozentrum zu kooperieren, um diesen neuartigen gentherapeutischen Ansatz in die Klinik zu bringen, zu den Patienten, die an dieser tödlichen Krankheit leiden. Wie bisher werden wir dabei weiterhin eng mit Medizinern und Patienten zusammenarbeiten.»

### **Erfolgreiche erste klinische Studie**

Santhera erhielt von Novartis eine Lizenz für das Medikament Omigapil zur Weiterentwicklung für den Einsatz bei angeborenen Muskelerkrankungen. Dieses Medikament hat sich bereits in MDC1A-Mäusen bewährt und verbessert auch die Wirkung der Linker-Proteine. Eine erste von Santhera zusammen mit Klinikern in den USA durchgeführte klinische Studie mit Omigapil führte zu einem positiven Ergebnis hinsichtlich einer klinischen Studie an MDC1A-Patienten.

Die anstehende gentherapeutische Forschung wird gemeinsam von Santhera und [Innosuisse](#) finanziert. Die Schweizerische Agentur für Innovationsförderung unterstützt wissenschaftsbasierte Innovationen, insbesondere die Partnerschaft zwischen Wissenschaft und Wirtschaft im Rahmen von innovativen Projekten, fördert die Vernetzung und bietet Trainings und Coaching an. Damit schafft sie günstige Voraussetzungen für erfolgreiche Schweizer Start-ups, Produkte und Dienstleistungen.

### **Weiterführende Links**

- [Forschungsgruppe Prof. Dr. Markus Rüegg](#)