

Nanoscope Therapeutics lizenziert optogenetische Technologie

Die Technologie bietet Hoffnung auf Wiederherstellung des Sehvermögens bei genetisch bedingten Sehbehinderungen

Das US-Biotech-Unternehmen Nanoscope Therapeutics hat von Max-Planck-Innovation, der Technologietransfer-Organisation der Max-Planck-Gesellschaft, eine Lizenz für die CatCh-Technologie erworben. Basierend auf den Forschungsergebnissen des Max-Planck-Instituts für Biophysik und der Pionierarbeit von Ernst Bamberg auf dem Gebiet der Optogenetik verbessert diese patentierte Technologie die Lichtempfindlichkeit eines Opsin-Proteins (MCO-010). Dieses ist ein aus drei Proteinen bestehender Komplex einschließlich CatCh. Es ist von Nanoscope als Gentherapie zur Wiederherstellung des Sehvermögens bei Patienten mit genetisch bedingten Sehbehinderungen entwickelt worden. Die MCO-Plattform ist der erste optogenetische Ansatz, der mehrere lichtempfindliche Komponenten kombiniert. Das damit entstehende Fusionsprotein ist für Umgebungslicht bei allen sichtbaren Wellenlängen mit hoher Geschwindigkeit empfindlich. Nanoscope hat bereits mehrere klinische Studien zu MCO-010 für die beiden häufigsten vererbten degenerativen Netzhauterkrankungen Retinitis pigmentosa und Morbus Stargardt erfolgreich abgeschlossen. Das Unternehmen plant nun, die Zulassung der Therapie zu erlangen und sie auf weitere therapeutische Indikationen auszuweiten.

Genetisch bedingte Augenkrankheiten wie Retinitis pigmentosa, Morbus Stargardt und altersbedingte Makuladegeneration stellen weltweit eine große medizinische Herausforderung dar. Sie führen häufig zu einem fortschreitenden Verlust des Sehvermögens bis hin zur Erblindung und haben erhebliche Auswirkungen auf die Lebensqualität der Betroffenen.

Diese Krankheiten können in vielen Fällen nicht ausreichend behandelt werden. Durch ihre Fähigkeit, die Sehkraft durch Gentherapie teilweise wiederherzustellen, könnte die MCO-Technologieplattform von Nanoscope einen Durchbruch bei der Behandlung dieser schweren Augenkrankheiten darstellen.

Therapeutische Anwendung und klinische Erprobung

Die nun lizenzierte CatCh-Technologie wurde von Nanoscope Therapeutics als eine von drei Untereinheiten des MCO-010-Fusionsproteins integriert. Jede dieser Untereinheiten verfügt über sich ergänzende lichtaktivierende Eigenschaften. Auf diese Weise wird die Technik zu einem Behandlungsansatz, mit dem sich das Sehvermögen in Alltagssituationen wiederherstellen lassen könnte. Nanoscopes neuartiger MCO-010-Therapieansatz wurde bereits in mehreren klinischen Studien für Retinitis pigmentosa und Morbus Stargardt erfolgreich getestet. Darüber hinaus wurde die MCO-Plattform bereits bei nicht-menschlichen Primaten mit geografischer Atrophie als Folge fortgeschrittener altersbedingter Makuladegeneration getestet und hat sich als wirksam erwiesen.

Der weitere Entwicklungs- und Zulassungspfad für MCO-010 wird derzeit intensiv geprüft. Nanoscope Therapeutics strebt eine Zulassung an und befindet sich in Gesprächen mit der US-amerikanischen Food and Drug Administration, um mögliche beschleunigte Wege zur Marktreife auszuloten. Diese Bemühungen könnten dazu beitragen, die Therapie schneller für Patienten

verfügbar zu machen, die dringend neue Behandlungsmöglichkeiten benötigen.

Von der Grundlagenforschung zur Anwendung

Die CatCh (calcium-transporting channelrhodopsin)-Technologie wurde von Ernst Bamberg, einem der Pioniere auf dem Gebiet der Optogenetik, und seinen Kollegen am Max-Planck-Institut für Biophysik entwickelt. CatCh, eine Mutante von Channelrhodopsin-2 mit verbesserten Eigenschaften, bietet wesentliche Vorteile wie eine höhere Geschwindigkeit und eine höhere Empfindlichkeit gegenüber blauem Licht.

„Wir sind begeistert von den verbesserten Vorteilen der MCO-Plattform, die die CatCh-Technologie des Max-Planck-Instituts für Biophysik beinhaltet. Sie bietet neue Hoffnung für die Wiederherstellung des Sehvermögens bei Menschen, die an schweren degenerativen Netzhauterkrankungen leiden“, sagte Samarendra Mohanty, Mitgründer und Präsident von Nanoscope Therapeutics. Das Unternehmen ist ein in der klinischen Erprobung tätiges Biotechnologieunternehmen, das Gentherapien für vererbte Netzhauterkrankungen und geografische Atrophie infolge von Makuladegeneration entwickelt. „Unsere Vereinbarung mit Max-Planck-Innovation ermöglicht es uns, wissenschaftliche Entdeckungen in wirksame therapeutische Lösungen umzusetzen. Das MCO-010 Fusionsprotein wird biotechnisch hergestellt und mittels Genfähren zur Therapie von Patienten mit schweren degenerativen Netzhauterkrankungen verabreicht. Damit stehen wir an der Schwelle zur Behandlung von Patienten mit hohem ungedecktem Bedarf und zur nachhaltigen Verbesserung ihrer Lebensqualität.“

Mareike Göritz, Patent- und Lizenzmanagerin bei Max-Planck-Innovation, fügte hinzu: „Die Eigenschaften von CatCh in Kombination mit Nanoscope's firmeneigener Technologie machen dies zu einem sehr vielversprechenden Ansatz für die gentherapeutische Behandlung von Retinitis-bedingten Sehbehinderungen. Wir sind gespannt auf die weitere Entwicklung und würden uns freuen, wenn Patienten letztendlich von diesem innovativen Ansatz profitieren würden.“

Nanoscope gab vor kurzem die [100-Wochen-Daten](#) der multizentrischen, randomisierten, doppel-maskierten, scheinkontrollierten klinischen Phase-2b/3-Studie RESTORE für Retinitis pigmentosa ([NCT04945772](#)) in den USA bekannt. Das Unternehmen hat außerdem vor kurzem die Phase-2-Studie STARLIGHT zur Behandlung von MCO-010 bei Patienten mit Morbus Stargardt abgeschlossen ([NCT05417126](#)). MCO-010 hat von der FDA den Fast-Track-Status und den Orphan-Drug-Status sowohl für Retinitis pigmentosa als auch für Morbus Stargardt erhalten. Zu den präklinischen Produkten gehört die nicht-virale Laser-Gentherapie MCO-020 zur Behandlung von GA als Folge von altersabhängiger Makuladegeneration.