

## Neuronale Entwicklungsstörungen besser verstehen und behandeln

**Das Universitätsklinikum Frankfurt und die Neurolentech GmbH haben eine Zusammenarbeit bekanntgegeben, um patientenspezifische zelluläre Modelle zur Untersuchung neuronaler Entwicklungsstörungen wie Autismus-Spektrum-Störungen (ASS) herzustellen. Ziel ist es, Krankheitsmechanismen auf zellulärer, funktioneller und molekularer Ebene zu untersuchen, um Werkzeuge zu entwickeln und Daten zu gewinnen, welche die Entwicklung von therapeutischen Medikamenten ermöglichen.**

Bei ASS handelt es sich um genetische Störungen, die sich auf die Expression und Funktion von Hunderten von Genen auswirken, die die Entwicklung und Leistung neuronaler Schaltkreise beeinflussen. Derzeit gibt es keine Medikamente, die auf die Kernsymptome von ASS abzielen. Die Erforschung der molekularen und zellulären Mechanismen von ASS ist daher notwendig, um Therapien zu entwickeln, die den Patientinnen und Patienten und deren Familien helfen.

### **Genetische Forschung zu ASS**

Die Klinik für Psychiatrie, Psychosomatik und Psychotherapie des Kindes- und Jugendalters (KJPPP) am Zentrum für Psychische Gesundheit des Universitätsklinikum Frankfurt ist auf die Diagnose und Behandlung von Menschen mit psychiatrischen Erkrankungen, insbesondere mit ASS, spezialisiert mit dem Ziel, Patienten und Ärzten einen Mehrwert zu bieten. Die Forschung konzentriert sich auf die Verbesserung der Diagnose, das Verständnis der Prognose und die Identifizierung neuer Behandlungsmöglichkeiten. Das Labor für Molekulare Genetik an der KJPPP hat es sich insbesondere zur Aufgabe gemacht, die genetischen Faktoren und ihre zellulären, pathogenen Mechanismen hinter den neuronalen Entwicklungsstörungen aufzuklären und dieses Wissen in klinische Anwendungen umzusetzen. Um der Komplexität des Ziels gerecht zu werden und personalisierte Ansätze zu entwickeln, arbeitet die KJPPP nun mit dem Start-up-Unternehmen Neurolentech zusammen.

### **Erste Schritte zur Entwicklung von ASS-Medikamenten**

Neurolentech hat sich auf die schnelle und kosteneffiziente Generierung und Charakterisierung von patientenspezifischen zellulären Krankheitsmodellen für neuronale Entwicklungsstörungen spezialisiert und schließt damit die Lücke zwischen klinischer Forschung und Arzneimittelentwicklung. Im Rahmen der Kooperationsvereinbarung wird Neurolentech primäre ASS-Patientenzellen erhalten, um patientenspezifische neuronale Kulturen zu entwickeln und diese mit Hilfe von Omics-Ansätzen sowie funktionellen Assays zu charakterisieren. Das Ziel ist, Biomarker, biochemische Signalwege und Zielmoleküle zu identifizieren, die die präklinische Entdeckung von Medikamenten für ASS erleichtern.

### **Klinische Kooperation mit dem Ziel einer personalisierten Therapie**

Prof. Christine M. Freitag, Direktorin der Klinik für Psychiatrie, Psychosomatik und Psychotherapie des Kindes- und Jugendalters, ist überzeugt, „dass die Kombination der ausgezeichneten klinischen Charakterisierung mit hochentwickelten zellulären Modellen und Methoden die Identifizierung und

Charakterisierung der zugrunde liegenden Pathologie erheblich beschleunigen wird. Die Zusammenarbeit mit Partnern aus der Wirtschaft wird die Verbindung zwischen Patientenversorgung, pharmakologischer Intervention und Grundlagenforschung verstärken.“ Prof. Andreas Geburtig-Chiocchetti, Leiter des Labors für Molekulare Genetik, ergänzt: „Der Schwerpunkt wird darauf liegen, unser Verständnis für die Vielfalt der Ätiologie zu verbessern, die einer komplexen Störung wie der ASS zugrunde liegt. Es gibt nicht die eine ASS, und daher gibt es auch keine Einheitslösung für alle. Wir sind überzeugt, dass die Zusammenarbeit mit dem hochinnovativen Unternehmen Neurolentech den Weg zu einem biologischen und datengesteuerten, personalisierten Behandlungsansatz ebnet.“

„Wir freuen uns, diese Zusammenarbeit mit Prof. Freitag und Prof. Chiocchetti am Zentrum für Psychische Gesundheit des Universitätsklinikum Frankfurt zu beginnen. Unser gemeinsames Ziel, Behandlungen für Patienten mit neurologischen Entwicklungsstörungen zu entwickeln, wird den Menschen in den Mittelpunkt von Forschung und Entwicklung stellen. Die Charakterisierung der Krankheit in zellulären Modellen sowie eine hochwertige klinische und genetische Diagnostik sind die Grundlage für das Verständnis der Krankheitspathologie und die ersten Schritte zur Entwicklung von Medikamenten. Diese langfristige Zusammenarbeit wird sowohl die akademische Forschung als auch die wirtschaftliche Arzneimittelentwicklung zum Nutzen der Patienten und ihrer Familien in einem Krankheitsbereich mit hohem medizinischem Bedarf vorantreiben“, sagt Dr. Carsten Pfeffer, Mitbegründer und CEO von Neurolentech. Dr. Gaia Novarino, ebenfalls Neurolentech-Mitbegründerin und Professorin für Neurowissenschaften am Institute of Science and Technology Austria (IST Austria), fügt hinzu: „Die Forschung zu den Mechanismen von neurologischen Entwicklungsstörungen wie Autismus-Spektrum-Störungen wird den vielversprechendsten Ansatz bieten, um Patienten zu helfen. Wir freuen uns, mit starken und gut vernetzten klinischen Partnern zusammenzuarbeiten, um die beste Forschung für ASS voranzutreiben.“