

Schnellstart für neue Muskeltherapie

Die Stammzelltherapie von MyoPax, einer Ausgründung aus dem Max Delbrück Center und der Charité, könnte mit einem beschleunigten Zulassungsverfahren schon bald Kindern mit bislang unheilbaren Muskelkrankheiten helfen. Die dafür notwendige klinische Studie startet im Herbst.

Um Therapien für seltene Muskelkrankheiten von Kindern schneller auf den Markt zu bringen, bekommt das Berliner Start-up MyoPax – eine Ausgründung aus dem Max Delbrück Center und der Charité – Universitätsmedizin Berlin – nun Unterstützung der US-amerikanischen Zulassungsbehörde. Die Zuerkennung der „Orphan Drug Designation“ (ODD) und der „Rare Pediatric Disease Designation“ (RPDD) bietet dem Unternehmen viele regulatorische und finanzielle Vorteile, unter anderem beschleunigte Zulassungsverfahren und spätere Marktexklusivität.

Zunächst müssen die Forschenden ihren neuen Therapieansatz unter Schirmherrschaft der Charité erstmals in einer klinischen Studie erproben. Das Bundesforschungsministerium und die ForTra GmbH der Else-Kröner-Fresenius-Stiftung finanzieren die Studie, die im Herbst mit den ersten Patienten startet und vor 2026 abgeschlossen sein soll.

Das Ergebnis jahrelanger Forschungsarbeit

Die innovative Muskelstammzelltechnologie, die von der US-amerikanischen Food and Drug Administration (FDA) ausgewählt wurde, beruht auf jahrelanger Forschungsarbeit von Professorin Simone Spuler und ihrer Arbeitsgruppe „Myologie“ am Experimental and Clinical Research Center (ECRC), einer gemeinsamen Einrichtung des Max Delbrück Center und der Charité. Im vergangenen Jahr hat Simone Spuler gemeinsam mit Dr. Verena Schöwel-Wolf MyoPax gegründet. Ihr Ziel: Therapien für lokale Muskeldefekte, akuten Muskelschwund und genetisch bedingte Muskeldystrophien entwickeln, die bisher nicht heilbar oder nicht ausreichend behandelbar sind.

Mit ihrer Stammzelltherapie will das Team Kindern helfen, die an dem Ekstrophie-Epispadie-Komplex (EEC) leiden. Dabei handelt es sich um ein seltenes angeborenes Krankheitsspektrum, bei dem die Blase nicht hohl ist, sondern als Platte offen an der Bauchwand liegt. Neben Bauchmuskulatur, Beckenknochen, Harnröhre und äußeren Genitalien ist auch der Blasenschließmuskel nur unvollständig ausgebildet. Dieser Muskeldefekt beruht auf einer verzögerten Zellmigration in der embryonalen Entwicklung und bewirkt eine lebenslange Inkontinenz. Etwa eins von 11.000 Kindern kommt damit auf die Welt. Die Fehlbildungen werden chirurgisch korrigiert. Häufig sind weitere Eingriffe erforderlich, um die Blasenfunktion zu verbessern. Mithilfe der neuen Stammzelltherapie ist es möglich, den Blasenschließmuskel langfristig wiederaufzubauen.

„Die Anerkennung der FDA ist ein wichtiger Meilenstein für unsere Arbeit“, sagt Simone Spuler. „Sie bestätigt, dass in unserem neuen Therapieansatz das Potenzial steckt, das Leben von jungen Patienten mit EEC und anderen Muskelerkrankungen sowie ihrer Eltern zu verbessern.“

Mit ihrer zweiten Firma MyoPax Denmark ApS hat Spuler die Aufnahme in den Inkubator der Stiftung BioInnovation Institute (BII) in Kopenhagen geschafft, die dem Unternehmen finanziell und strategisch hilft, im internationalen Wettbewerb mithalten zu können. Mittlerweile plant MyoPaxvin

die USA zu expandieren.

Text: Jana Ehrhardt-Joswig

Weiterführende Informationen

- [Mit Expertise und Mut: MyoPax startet in Berlin](#)
- [Homepage von MyoPax](#)