## MedWiss.Online

## Vielversprechende Substanz gegen seltene Krebserkrankung auslizenziert

Rund 1.200 Menschen erhalten in Deutschland jährlich die Diagnose "Gastrointestinaler Stromatumor", kurz GIST - eine seltene Krebsart, bei der die Tumoren in den Wänden der Verdauungsorgane entstehen und die schnell Resistenzen gegen gängige Präzisionsmedikamente entwickelt. Wissenschaftler:innen der TU Dortmund, des Westdeutschen Tumorzentrums am Universitätsklinikum Essen und des Dortmunder Max-Planck-Instituts für molekulare Physiologie haben einen vielversprechenden Wirkstoff gegen GIST identifiziert, zum Patent angemeldet und an ein US-amerikanisches Pharmaunternehmen lizenziert, das ihn nun bis zur Marktreife weiterentwickeln will - ein wichtiger Schritt auf dem Weg von der Grundlagenforschung zur klinischen Anwendung.

Die Teams um Prof. Dr. Daniel Rauh von der Fakultät für Chemie und Chemische Biologie der TU Dortmund, Prof. Dr. Sebastian Bauer von der Medizinischen Fakultät der Universität Duisburg-Essen (UDE) und Dr. Sonja Sievers, Leiterin des Compound Management and Screening Center am Max-Planck-Institut (MPI), identifizierten eine chemische Substanz, die sich in präklinischen Laborversuchen hochwirksam gegen arzneimittelresistente GIST-Zellen zeigte. Die Universitäten und das MPI meldeten den Wirkstoff zum Patent an und mithilfe von PROvendis, der Verwertungsgesellschaft von 29 NRW-Hochschulen, wurde er unmittelbar an ein US-amerikanisches Pharmaunternehmen auslizenziert, das die klinische Weiterentwicklung vorantreiben wird.

"Dieser Erfolg zeigt das enorme Potenzial der Wirkstoffforschung innerhalb der Universitätsallianz Ruhr", sagt Prof. Dr. Daniel Rauh. "Die Entwicklung eines neuen Medikaments dauert in der Regel zehn Jahre oder länger. Das Besondere an diesem Erfolg ist, dass die Verbindung bereits vor Jahren mit einem anderen Fokus getestet wurde. Damals konnte sie jedoch nicht überzeugen. Jetzt hatten wir das Glück, diese Substanz wiederentdeckt zu haben."

Die Zellkulturen für die präklinische Testung der potenziellen Wirkstoffe wurden am Westdeutschen Tumorzentrum aufgebaut: "Moderne molekularbiologische Methoden wie die Genschere ermöglichen es uns, molekulare Varianten der Tumore unserer GIST-Patient:innen in kürzester Zeit im Labor nachzubauen. Wir haben so eine dynamisch wachsende Modellbibliothek etabliert, die in dieser Form weltweit einzigartig ist", sagt Prof. Dr. Sebastian Bauer. "Die Identifikation unserer Substanz ist daher das Ergebnis über Jahre gewachsener, integrierter Innovationskreisläufe innerhalb der UA Ruhr."

Da GIST eine sehr dynamische Erkrankung ist, werden vermutlich auch gegen die wiederentdeckte Substanz Resistenzen entstehen. Daher arbeitet das interdisziplinäre Team aus den Bereichen molekulare Genetik, Zellbiologie, Hochdurchsatz-Screening, Strukturbiologie und organische Synthese bereits an Nachfolgesubstanzen.

Die gemeinsame Forschung wurde durch die Deutsche Forschungsgemeinschaft (DFG), den Drug Discovery Hub Dortmund (DDHD), das vom Land NRW geförderte Forschungsnetzwerk CANTAR, das vom Mercator Research Center Ruhr geförderte Projekt IGNITE sowie aus Mitteln der Sarkomtour und der David Foundation unterstützt.