

Pressemitteilung



29. November 2024

Symposium der Paul-Martini-Stiftung in Verbindung mit der Nationalen Akademie der Wissenschaften Leopoldina

RNA-basierte Medikamente greifen ein, wo das bisher nicht möglich war

Berlin, 29. November 2024 (PMS). „RNA-basierte Therapien: Neue Wirkstoffklasse, neue Wirkprinzipien“ – damit befasst sich das diesjährige Herbstsymposium der Paul-Martini-Stiftung am 29./30. November in Berlin. „RNA-basierte Medikamente bieten eine großartige Möglichkeit, an Stellen im Körper therapeutisch einzugreifen, die für bisherige Medikamente nicht erreichbar waren. Damit wächst eine neue Generation von Arzneimitteln heran, die Krankheiten Mechanismusorientiert und weniger symptomatisch angeht.“ Das erklärte Prof. Dr. Dr. Thomas Thum (Medizinische Hochschule Hannover), der die Veranstaltung zusammen mit Prof. Dr. Stefan Endres vom Klinikum der LMU München leitet. Veranstalter ist die Paul-Martini-Stiftung (PMS) in Verbindung mit der Nationalen Akademie der Wissenschaften Leopoldina.

Die Stiftung konnte für das Symposium führende Expertinnen und Experten aus der Grundlagenforschung, der Arzneimittelentwicklung und dem Zulassungswesen gewinnen. Medizinisch ist der Bogen von der Onkologie über die Kardiologie und Infektiologie bis zur Neurologie weit gespannt. Auch die anspruchsvolle Produktion RNA-basierter Medikamente und die Möglichkeiten, ihre Wirksamkeit auf einzelne Organe zu fokussieren, werden diskutiert.

RNA-Moleküle werden (in der Natur wie im Labor) durch das Aneinanderreihen kleinerer Moleküle gebildet, die Nukleotide heißen. Zu den längsten RNAs (mit einigen Tausend Nukleotiden) gehören die Messenger-RNA-Moleküle (mRNA); in ihnen ist die Anleitung zur Herstellung von Proteinen kodiert. Einige andere RNA-Typen sind Teil der zellulären Maschinerie, die diese mRNAs „abliest“ und mit dieser Information die Proteine produziert. Wieder andere Typen von RNA greifen in die Aktivität von Genen ein – wie etwa die aus nur rund 22 Nukleotiden gebildeten microRNAs, die ihren Entdeckern in diesem Jahr den Nobelpreis für Physiologie und Medizin einbrachten.

Ähnlich vielseitig sind auch die medizinischen Anwendungen für RNA-Moleküle: Künstliche mRNA-Moleküle sind in einigen zugelassenen

Seite 1/3

Kontakt:

Dr. Rolf Hömke
Pressereferent
Telefon 030 20604-204
Telefax 030 20604-209
rolf.hoemke@paul-martini-stiftung.de

Hausvogteiplatz 13
10117 Berlin
www.paul-martini-stiftung.de

Pressemitteilung



Impfstoffen enthalten, die vor Covid-19 oder dem Atemwegsvirus RSV schützen; weitere Impfstoffe gegen mehr als 30 Infektionskrankheiten sind in Entwicklung. Unternehmen und Forschungsgruppen arbeiten aber auch an therapeutischen mRNA-Impfstoffen für die Tumorthherapie, als hoffnungsvolle Innovation im Kampf gegen Krebs. Sie sollen dazu beitragen, dass das Immunsystem die Tumorzellen besser erkennt und angreift. Positive Ergebnisse aus klinischen Studien mit Patientinnen und Patienten liegen vor; doch bis zur Zulassung hat es noch kein therapeutischer Impfstoff geschafft. Auf dem Symposium wird es unter anderem darum gehen, wie solche Impfstoffe patientenindividuell hergestellt werden können.

mRNA-haltige Medikamente werden auch für Patient:innen mit angeborenen Gendefekten entwickelt. Sie sollen für Ersatz für das Protein sorgen, das aufgrund des Defekts nicht oder nur fehlerhaft gebildet wird. Die Überlegung: So kann ohne aufwendigere Arten von Gentherapie der Defekt ausgeglichen werden; allerdings muss das Medikament dafür wieder und wieder verabreicht werden.

Kürzere synthetische RNA-Moleküle (sogenannte Antisense-RNA oder small interfering RNA siRNA; manchmal auch zusammen mit synthetischen DNA-Molekülen als „Oligonukleotide“ bezeichnet) finden sich als Wirkstoffe in mittlerweile neun Medikamenten mit EU-Zulassung; sie drosseln die übermäßige Aktivität bestimmter Gene, indem sie sich gezielt an bestimmte natürliche mRNA-Moleküle heften und so ihren Abbau veranlassen. Mit ihnen werden unter anderem Patient:innen mit bestimmten Stoffwechselkrankheiten oder der Herzkrankheit Transthyretin-Amyloidose behandelt. Weitere Medikamente dieser Art sind in Entwicklung. Darunter sind auch solche, die statt mRNA bestimmte microRNAs abfangen; damit sollen unter anderem fibrotische Erkrankungen und chronische Herzinsuffizienz besser behandelbar werden. Darum wird es im Symposium ebenso gehen wie um antibakterielle Antisense-Oligonukleotide. Anders als konventionelle Antibiotika lassen sie sich so designen, dass sie nur bestimmte Erreger angreifen, aber kommensalische und symbiotische Bakterien im Körper verschonen. Eine Erprobung mit Menschen steht hier allerdings noch aus.

Lange Vorarbeiten waren nötig

„Wer heute RNA-basierte Medikamente entwickelt, kann auf jahrzehntelangen Vorarbeiten aufbauen“, so Co-Symposiumsleiter Professor Endres. „Als die Paul-Martini-Stiftung 2003 das Thema erstmals in einer Veranstaltung aufgriff, gab es nur ein einziges zugelassenes Medikament. Die Entwickler von damals beklagten, wie wenig der Wirkstoff-RNA in Studien mit Menschen die Zielzellen erreichte, und wie

Pressemitteilung



schiefer unbezahlbar die Synthese von RNA-Wirkstoffen war. Für beide Herausforderungen sind mittlerweile smarte Lösungen gefunden worden, so dass sie dem Fortschritt keine Grenzen mehr setzen.“

Standort Deutschland

Seit der Zulassung der ersten beiden mRNA-basierten Schutzimpfungen im Jahr 2020 hat sich das Feld der mRNA-haltigen Medikamente – für Impfschutz und Therapie – weltweit stürmisch entwickelt. Deutschland ist mit einigen akademischen und industriellen Forschungsaktivitäten vertreten, aber trotzdem nur noch ein Land unter vielen. „Führend ist Deutschland aber derzeit bei der Entwicklung nicht-kodierender RNA-Medikamente“, so die Einschätzung von Professor Thum.

Wesentlich ausgeweitet wurden in den letzten Jahren auch die deutschen Kapazitäten zur Herstellung von RNA-basierten Medikamenten. Auch viele Zulieferer für Hilfsstoffe und Produktionstechnik sowie Dienstleister für einzelne Produktionsschritte finden sich in Deutschland und in den Nachbarländern Schweiz und Österreich.

Weitere Informationen

- Programm des Symposiums und Abstracts
<https://www.paul-martini-stiftung.de/symposium/2024/material.html>
- Standort Deutschland: www.vfa.de/rna-land

Die Paul-Martini-Stiftung

Die gemeinnützige Paul-Martini-Stiftung, Berlin, fördert die Arzneimittelforschung sowie die Forschung über Arzneimitteltherapie. Die Stiftung intensiviert den wissenschaftlichen Dialog zwischen medizinischen Wissenschaftlern und Wissenschaftlerinnen in Universitäten, Krankenhäusern, der forschenden Pharmaindustrie und anderen Forschungseinrichtungen sowie Vertretern und Vertreterinnen der Gesundheitspolitik und der Behörden. Dazu dienen die jährlich ausgerichteten Symposien und Workshops und die Verleihung des „Paul-Martini-Preises“ sowie der „Paul Martini Nachwuchspreise Klinische Forschung“. Träger der Stiftung ist der vfa, Berlin, der als Verband derzeit 48 forschende Pharma-Unternehmen vertritt.

Pressemitteilung



Die Stiftung ist benannt nach dem Bonner Wissenschaftler und Arzt Professor Paul Martini (1889 - 1964), in Würdigung seiner besonderen Verdienste um die klinisch-therapeutische Forschung.

Nationale Akademie der Wissenschaften Leopoldina

Als Nationale Akademie der Wissenschaften leistet die Leopoldina unabhängige wissenschaftsbasierte Politikberatung zu gesellschaftlich relevanten Fragen. Dazu erarbeitet die Akademie interdisziplinäre Stellungnahmen auf der Grundlage wissenschaftlicher Erkenntnisse. In diesen Veröffentlichungen werden Handlungsoptionen aufgezeigt, zu entscheiden ist Aufgabe der demokratisch legitimierten Politik. Die Expertinnen und Experten, die Stellungnahmen verfassen, arbeiten ehrenamtlich und ergebnisoffen. Die Leopoldina vertritt die deutsche Wissenschaft in internationalen Gremien, unter anderem bei der wissenschaftsbasierten Beratung der jährlichen G7- und G20-Gipfel. Sie hat rund 1.700 Mitglieder aus mehr als 30 Ländern und vereint Expertise aus nahezu allen Forschungsbereichen. Sie wurde 1652 gegründet und 2008 zur Nationalen Akademie der Wissenschaften Deutschlands ernannt. Die Leopoldina ist als unabhängige Wissenschaftsakademie dem Gemeinwohl verpflichtet.

Die Pressemitteilung kann unter <https://www.paul-martini-stiftung.de/s23pm> abgerufen werden.