

Journal für Kardiologie

Austrian Journal of Cardiology

Österreichische Zeitschrift für Herz-Kreislaufferkrankungen

Interview: Genstilllegung als innovative Therapieform

Edel R

Journal für Kardiologie - Austrian

Journal of Cardiology 2019; 26

(5-6), 150

Homepage:

www.kup.at/kardiologie

Online-Datenbank
mit Autoren-
und Stichwortsuche



Offizielles
Partnerjournal der ÖKG



Member of the ESC-Editor's Club



Offizielles Organ des
Österreichischen Herzfonds



ACVC
Association for
Acute CardioVascular Care

In Kooperation
mit der ACVC

Indexed in ESCI
part of Web of Science

Indexed in EMBASE

Krause & Pachernegg GmbH • Verlag für Medizin und Wirtschaft • A-3003 Gablitz

P.b.b. 02Z031105M,

Verlagsort: 3003 Gablitz, Linzerstraße 177A/21

Preis: EUR 10,-

Datenschutz:

Ihre Daten unterliegen dem Datenschutzgesetz und werden nicht an Dritte weitergegeben. Die Daten werden vom Verlag ausschließlich für den Versand der PDF-Files des Journals für Kardiologie und eventueller weiterer Informationen das Journal betreffend genutzt.

Lieferung:

Die Lieferung umfasst die jeweils aktuelle Ausgabe des Journals für Kardiologie. Sie werden per E-Mail informiert, durch Klick auf den gesendeten Link erhalten Sie die komplette Ausgabe als PDF (Umfang ca. 5–10 MB). Außerhalb dieses Angebots ist keine Lieferung möglich.

Abbestellen:

Das Gratis-Online-Abonnement kann jederzeit per Mausklick wieder abbestellt werden. In jeder Benachrichtigung finden Sie die Information, wie das Abo abbestellt werden kann.

Das e-Journal

Journal für Kardiologie

- ✓ steht als PDF-Datei (ca. 5–10 MB) stets internetunabhängig zur Verfügung
- ✓ kann bei geringem Platzaufwand gespeichert werden
- ✓ ist jederzeit abrufbar
- ✓ bietet einen direkten, ortsunabhängigen Zugriff
- ✓ ist funktionsfähig auf Tablets, iPads und den meisten marktüblichen e-Book-Readern
- ✓ ist leicht im Volltext durchsuchbar
- ✓ umfasst neben Texten und Bildern ggf. auch eingebettete Videosequenzen.

Genstilllegung als innovative Therapieform

R. Edel

Seit 2006 forscht und arbeitet Dr. Martin Maier, Vice President Research am Hauptsitz von Alnylam Pharmaceuticals in Cambridge im US-Bundesstaat Massachusetts, an der praktischen Umsetzung der RNA-Interferenz für Medikamente. Ein Blick hinter die Kulissen.

Therapieansätze, die auf Erkenntnissen der Genforschung basieren, gelten derzeit als großes Hoffungsgebiet bei der Behandlung von Krankheiten, denen man bisher nur symptomatisch zu Leibe rücken konnte. Mit Onpattro® wurde das erste Medikament zugelassen, das die RNA-Interferenz als Wirkmechanismus nützt.

Das gilt als Durchbruch in der Behandlung von Erkrankungen, die ihre Ursache in einem Gendefekt haben.

Welches Ziel hat sich Alnylam gesetzt?

Dr. Maier: Seit über 15 Jahren arbeitet und forscht das Unternehmen an der Umsetzung des wissenschaftlichen Potenzials der RNAi in reale Arzneimittel. Getragen wird das Unternehmen von dem Leitgedanken, dass ihre Entwicklungen das Potenzial haben, das Leben von Patienten weltweit zu verbessern, die auf neue therapeutische Optionen warten.

Dieses Forschungsgebiet ist recht weitläufig. Worauf konzentriert sich Alnylam?

Dr. Maier: Der Schwerpunkt von Alnylam im Bereich der RNAi-Therapeutika liegt bei Krankheiten ohne zufriedenstellende Therapieoptionen, die in vier strategische Therapiebereiche fallen: genetische Krankheiten, Herz- und Stoffwechselkrankheiten, Infektionskrankheiten der Leber und Erkrankungen des zentralen Nervensystems (ZNS) und Augenerkrankungen.

Eine lange Forschungs- und Entwicklungszeit ist auch ein selektives Marktkriterium. Wie hat sich der Markt entwickelt?

Dr. Maier: Während das Interesse anfangs sehr groß war, sind viele Pharmafirmen zwischen 2010 und 2013 aus der Forschung und Entwicklung rund um die RNAi-Technologie wieder ausgestie-



Dr. Martin Maier
© Peter Provaznik

gen. Die wenigen verbleibenden Firmen, unter anderem Alnylam, mussten den Gürtel enger schnallen, um weiterzumachen. Der Hauptgrund für den Rückzug war, dass zunächst die technologischen Herausforderungen, die mit der Entwicklung dieser neuen Klasse von Medikamenten einhergingen, unterschätzt wurden. Hier war eine lange

und ressourcenintensive Forschungsarbeit notwendig, um eine Plattform zu entwickeln, die das Potenzial zu einer vollständigen klinischen Entwicklung hatte. Dies erforderte nicht nur Durchhaltevermögen, sondern auch Kapital.

Der Effekt des Gen-Silencing wurde 2006 mit einem Nobelpreis ausgezeichnet. Bis das erste Medikament marktreif war, dauerte es über zehn Jahre. Was waren die Gründe für die lange Entwicklungszeit?

Dr. Maier: Eine der größten Herausforderungen bei der Umsetzung der RNAi-Technologie in eine neue Klasse von Medikamenten bestand darin, die Moleküle in die Zielzellen, konkret in deren Zytoplasma, einzubringen, wo sie mit dem RNAi-Enzymkomplex RISC wechselwirken und damit ihre Wirksamkeit entfalten können. Um diesen zielgerichteten Transport zu bewerkstelligen, mussten neue Technologien entwickelt werden.

Das Wissen um seltene Erkrankungen ist oft Diskussionsstoff auf fach einschlägigen Kongressen. Sollte in der Ausbildung mehr auf diese Krankheitsbilder eingegangen werden?

Dr. Maier: Während sich eine mangelnde Therapiemöglichkeit negativ auf das Interesse an einer seltenen Erkrankung auswirken kann, steigt in der Regel das Interesse von Patientinnen und Patienten sowie Medizinerinnen und Medizinern durch eine neue und viel-

versprechende Therapieoption deutlich an. Häufig damit einhergehend, tragen eine bessere Aufklärung und Diagnose zu einem größeren Bewusstsein für die seltene Erkrankung bei.

Alnylam ist zwar im Moment führend in seinem Bereich, dennoch gilt die Pharmabranche als umkämpfter Verdrängungsmarkt. Fürchten Sie die Konkurrenz?

Dr. Maier: Konkurrenz und Mitbewerber im Bereich der RNAi-Anwendung wirken sich meiner Meinung nach vorteilhaft auf die Technologie aus. Es ermutigt Firmen wie Alnylam, die sich als technologische Wegbereiter verstehen, sich nicht auf ihren Lorbeeren auszuruhen, sondern intensiv an der Weiterentwicklung und Verbesserung der Technologie zu arbeiten. Ein gutes Beispiel ist dazu die Smartphone-Entwicklung. Hätte Apple nach dem ersten iPhone aufgehört die Technologie immer weiter zu optimieren und weiterzuentwickeln, wären sie heute sehr wahrscheinlich nicht mehr am Markt.

Danke für das Gespräch!

Alnylam ist ein 2002 in Cambridge im US-Bundesstaat Massachusetts gegründetes biopharmazeutisches Unternehmen mit der Vision, die mit dem Nobelpreis ausgezeichnete Entdeckung, die RNA-Interferenz (RNAi), in eine völlig neue Arzneimittelklasse für die Behandlung von Patientinnen und Patienten mit schwerwiegenden, lebensbedrohlichen, seltenen Erkrankungen, für die derzeit keine oder nur unzureichende therapeutische Optionen zur Verfügung stehen, umzuwandeln.

Alnylam ist derzeit in Europa mit Büros in Großbritannien, Deutschland, Frankreich, Spanien (das auch Portugal mitbetreut), Österreich, Niederlande, Italien und Schweden (das alle fünf nordischen Staaten betreut) vertreten.

Korrespondenzadresse:

Rainald Edel, MBA
PR-Consultant
E-Mail: r.edel@welldone.at

Mitteilungen aus der Redaktion

Besuchen Sie unsere Rubrik

[Medizintechnik-Produkte](#)



Neues CRTD Implantat
Intica 7 HF-T QP von Biotronik



Artis pheno
Siemens Healthcare Diagnostics GmbH



Philips Azurion:
Innovative Bildgebungslösung

Aspirator 3
Labotect GmbH



InControl 1050
Labotect GmbH

e-Journal-Abo

Beziehen Sie die elektronischen Ausgaben dieser Zeitschrift hier.

Die Lieferung umfasst 4–5 Ausgaben pro Jahr zzgl. allfälliger Sonderhefte.

Unsere e-Journale stehen als PDF-Datei zur Verfügung und sind auf den meisten der marktüblichen e-Book-Readern, Tablets sowie auf iPad funktionsfähig.

[Bestellung e-Journal-Abo](#)

Haftungsausschluss

Die in unseren Webseiten publizierten Informationen richten sich **ausschließlich an geprüfte und autorisierte medizinische Berufsgruppen** und entbinden nicht von der ärztlichen Sorgfaltspflicht sowie von einer ausführlichen Patientenaufklärung über therapeutische Optionen und deren Wirkungen bzw. Nebenwirkungen. Die entsprechenden Angaben werden von den Autoren mit der größten Sorgfalt recherchiert und zusammengestellt. Die angegebenen Dosierungen sind im Einzelfall anhand der Fachinformationen zu überprüfen. Weder die Autoren, noch die tragenden Gesellschaften noch der Verlag übernehmen irgendwelche Haftungsansprüche.

Bitte beachten Sie auch diese Seiten:

[Impressum](#)

[Disclaimers & Copyright](#)

[Datenschutzerklärung](#)