

Hämophilie: Praxisnahe Forschung ausgezeichnet

- Günter Landbeck Excellence Award (GLEA) 2015 für Forschungen auf dem Gebiet der Hämophilie (Bluterkrankheit) im Rahmen des 46. Hämophilie-Symposium in Hamburg verliehen.
- Preis zum vierten Mal vergeben und erstmalig unterstützt von der Baxalta Deutschland GmbH.

UNTERSCHLEISSHEIM, [11. Januar 2016] – „Mit dem Günter Landbeck Excellence Award wollen wir zum einen den wissenschaftlichen Nachwuchs fördern, und zum anderen praxisnahe Forschungen unterstützen“, betonte Jury-Vorsitzender Professor Dr. Reinhard Schneppenheim, Hamburg. „Für Baxalta ist das Engagement für den GLEA ein wichtiger Schritt, die Unternehmens-Vision von einer Welt ohne Blutungen umzusetzen. Wir möchten Nachwuchsforscher aktiv bei zukunftsweisenden Forschungen unterstützen, die mittelfristig zu verbesserten oder neuen Ansätzen in der Versorgung von Patienten mit Blutungsneigung führen können. Als Unternehmen sehen wir uns in der Verantwortung, Forschung auf diesem Gebiet für junge Forscher und Kliniker attraktiver zu machen. Davon profitieren langfristig vor allem die Patienten“, so Dr. Anja Reichert, Medical Lead Central Europe der Baxalta Deutschland GmbH. Das Preisgeld von insgesamt 50.000 € verteilt sich mit je 25.000 Euro auf die zwei Kategorien „Experimentelle Arbeiten“ und „Klinische Arbeiten“.

Prämierte Projekte: Perspektiven für Diagnostik und Therapie von Gerinnungsstörungen

Den Preis für „Klinische Arbeiten“ 2015 erhielt Professorin Dr. Barbara Zieger vom Zentrum für Kinder- und Jugendmedizin, Klinik IV des Universitätsklinikums Freiburg. Zieger hat mit ihrem Team eine neue fehlerhafte Rezeptor-Variante für das Protein P2Y12 identifiziert, die sich negativ auf die Aggregation der Thrombozyten (Blutplättchen) auswirkt. Folge für die Betroffenen: eine höhere Neigung zu Blutungen. Der Rezeptor P2Y12 ist ein wichtiger Regulator der Blutgerinnung, der sich vor allem auf der Zelloberfläche der Thrombozyten befindet, wo er Adenosindiphosphat (ADP) bindet. Zieger hat damit eine neue fehlerhafte

P2Y12-Rezeptor-Variante beschrieben, die zwar eine normale Zahl an ADP-Bindungsstellen hat, deren Bindungsfähigkeit (Affinität) für ADP aber herabgesetzt ist – mit der Folge einer verminderten Blutgerinnung. Die Erkenntnisse liefern einen neuen Ansatz in der Differential-Diagnostik von Patienten mit verstärkter Blutungsneigung.¹

Der Preis für „Experimentelle Arbeiten“ ging an Dr. Joachim Schwäble vom Institut für Transfusionsmedizin und Immunhämatologie am Klinikum der Johann Wolfgang Goethe-Universität Frankfurt. Schwäble erforscht neue gentherapeutische Ansätze zur Behandlung von Hämophilie A mit Vektoren auf Basis adeno-assoziiierter Viren (AAV). Hämophilie A-Patienten können den Blutgerinnungsfaktor FVIII nicht in normalen Mengen bilden. FVIII ist ein sehr großes, komplexes Molekül, was es sehr schwer macht, Vektoren mit Genkopien von FVIII in Zellen einzubringen. Schwäble hat diese Klippe über einen Umweg umschifft, in dem er einen AAV mit einer Genkopie für einen FVIII umgehenden Gerinnungsfaktor FIX entwickelt hat. Der Trick dabei: Dieser FIX ist aufgrund seiner verglichen mit FVIII geringeren Größe besser für einen Gentransfer geeignet – und besitzt eine teilweise Gerinnungsaktivität auch ohne FVIII. Der gentechnisch optimierte AAV-Vektor ist so konstruiert, dass die FIX-Genkopien, spezifischer und effizienter in Leberzellen eingeschleust und besser abgelesen werden, so dass eine für den therapeutischen Einsatz ausreichende Menge veränderten FIX produziert wird. Die Arbeiten könnten ein wichtiger Schritt zu einer gentherapeutischen Behandlung von Hämophilie A Patienten sein.²

Über den Günter Landbeck Excellence Award

Professor Günter Landbeck (1925–1992), Namensgeber der Auszeichnung, war Direktor der Abteilung für Blutgerinnungsforschung und Onkologie der Kinderklinik des Universitätsklinikums Hamburg-Eppendorf. Der von der Baxalta Deutschland GmbH unterstützte Preis ist mit insgesamt 50.000 Euro pro Jahr dotiert und wird jährlich in zwei Kategorien „Experimentelle Arbeiten“ (25.000 Euro) und „Klinische Arbeiten“ (25.000 Euro) vergeben. Die zweckgebundene Auszeichnung soll als Zusatzfinanzierung der Nachwuchsförderung auf dem Gebiet der Hämophilie dienen. Über die Auswahl der Preisträger entscheidet ein siebenköpfiges Gremium aus renommierten Hämophilie-Experten unter Vorsitz von Prof. Reinhard Schneppenheim, ehemals Universitätsklinikum Hamburg-Eppendorf (die übrigen Mitglieder sind: Prof. Andreas Tiede, Medizinische Hochschule Hannover; PD Dr. Björn Habermann, Universitätsmedizin Mainz; Prof. Johannes Oldenburg, Universitätsklinikum Bonn; Prof. Dimitrios Tsakiris, Universitätsspital Basel; Prof. Ingrid Pabinger, Medizinische Universität Wien; PD Dr. Birgit Reipert, Baxalta Österreich GmbH.)

Über Baxalta

Baxalta Incorporated (NYSE: BXL) ist ein führendes, global agierendes Biopharmazeutika-Unternehmen mit einem Marktwert von 6 Milliarden US-Dollar, das Therapien für seltene Krankheiten („Orphan Diseases“) und bisher wenig beachtete Erkrankungen in den Bereichen Hämatologie, Onkologie und Immunologie entwickelt, herstellt und vermarktet. Angetrieben von seiner Leidenschaft, Patienten ein besseres Leben zu ermöglichen, arbeitet Baxalta stetig an seiner breit gefächerten und vielseitig aufgestellten Pipeline, die biologische Präparate mit neuartigen Mechanismen sowie hoch moderne Technologie-Plattformen wie Gentherapie enthält. Das globale Innovations- und F&E-Zentrum von Baxalta befindet sich in Cambridge im US-Bundesstaat Massachusetts. Gegründet nach seiner Abspaltung von Baxter International im Jahr 2015 kann Baxalta auf eine jahrzehntelange Tradition im Bereich der Biopharmazeutika zurückblicken. Das Unternehmen verfügt über 12 fortschrittliche Anlagen zur Produktion von Biopharmazeutika, darunter auch hoch moderne Anlagen für rekombinante Produkte und zur Plasmafraktionierung. Die Therapien des Unternehmens sind in mehr als 100 Ländern erhältlich. Der Hauptsitz von Baxalta befindet sich im Norden des US-Bundesstaats Illinois. Weltweit beschäftigt das Unternehmen 16.000 Mitarbeiter. Die Baxalta Deutschland GmbH mit Sitz in Unterschleißheim bei München beschäftigt derzeit 130 Mitarbeiter.

LITERATURHINWEISE

1. Zieger B, Cattaneo M et al. Identification of a new dysfunctional platelet P2Y12 receptor variant associated with bleeding diathesis. *Blood*. 2015 Feb 5;125(6):1006–13. doi: 10.1182/blood-2013-07-517896
2. Schwäble J, Meumann N et al. AAV basierter Gentransfer von FIX Varianten mit FVIII bypassing Aktivität zur Behandlung der Hämophilie A / Abstract-Band 46. Hämophilie Symposium, 13. Und 14. November 2015, Hamburg

###

Medienkontakt

Cornelia Kurtz

Manager International Communications

Central Europe Cluster

Baxalta Deutschland GmbH

T: 089 2620 77 131

M: cornelia.kurtz@baxalta.com