

haplogen

CeMM und Haplogen stellen weltweit größte Sammlung humaner Knock-out Zellen zur Verfügung

Wissenschaftler aus aller Welt können von der größten haploiden menschlichen Zellkollektion profitieren.

Wien, 26. August 2013. Haplogen, ein österreichisches Biotechnologieunternehmen, das antivirale Medikamente entwickelt, und das CeMM Forschungszentrum für Molekulare Medizin der Österreichischen Akademie der Wissenschaften, machen ihre Sammlung humaner Knock-out-Zellen der Forschung zugänglich. Die Sammlung umfasst Zelllinien, in denen jeweils ein einziges Gen inaktiviert ist. Mit 3.000 verschiedenen menschlichen Genen repräsentiert die Sammlung ungefähr ein Drittel aller Gene, die in diesen Zellen aktiv sind. Sie wurde in den letzten drei Jahren von CeMM und Haplogen im Rahmen einer Public-Private-Partnerschaft entwickelt und ist die weltweit größte ihrer Art. Die Sammlung wird von den Partnern weiter ausgebaut, bis alle menschlichen Gene erfasst sind. Sie selbst und die neuen technologischen Verfahren, die ihre Entwicklung möglich gemacht haben, wurden der internationalen wissenschaftlichen Gemeinschaft am 25. August im renommierten Fachjournal *Nature Methods* vorgestellt.

Zelllinien humaner Herkunft stehen schon seit vielen Jahren zur Verfügung. Durch erhebliche Unterschiede innerhalb und zwischen verschiedenen Zelllinien waren diese nur sehr bedingt für Projekte der Medikamentenforschung, und kaum zur Entschlüsselung der Funktionen einzelner Gene geeignet. Außerdem war es schwierig und sehr aufwändig, menschliche Zellkulturen zu erzeugen, in denen ein bestimmtes Gen inaktiviert wurde. Die neue Sammlung von Haplogen und CeMM umgeht die Schwierigkeit, indem sie Mutationen an einzelnen Genen in Zelllinien bietet, die ansonsten genetisch ident sind.

“Wir konnten die Mutationen so präzise erzeugen, weil wir überhaploide Zelllinien verfügen. Diese verfügen nur über einen Chromosomensatz. Wird in solchen Zellen ein Gen ausgeschaltet, so werden die Auswirkungen sofort nachweisbar – im Gegensatz zu natürlichen, diploiden Zellen, die immer zwei Kopien für jedes Gen tragen“, erklärt Thijn Brummelkamp, der Erfinder der haploiden genetischen Technologie in humanen Zellen, mit der diese Sammlung hergestellt wurde, und Gründer von Haplogen.

Die Sammlung kann einen wichtigen Beitrag dazu leisten, die molekularmedizinische Forschung voranzutreiben. Giulio Superti-Furga, Wissenschaftlicher Direktor des CeMM und Initiator des Projektes: „Die Rolle der großen Mehrzahl der menschlichen Gene wurde bisher nur kaum

verstanden und wartet auf Aufklärung. Mit dieser zurzeit größten humanen Zelliniensammlung erwarten wir unzählige wissenschaftliche Entdeckungen in der Forschergemeinschaft.“

Georg Casari, Geschäftsführer von Haplogen: “In dieser Veröffentlichung zeigen wir, dass die Zelllinien tatsächlich so funktionieren, als ob nur das ausgewählte Gen nicht vorhanden wäre. Wir haben mit großer Sorgfalt dokumentiert, dass das Genprodukt fehlt und diese Klone neue Eigenschaften im Vergleich zur unveränderten Mutterzelllinie haben. Es ist uns ein Anliegen, dieses neue Werkzeug Forschern weltweit zur Verfügung zu stellen, um zum Fortschritt der medizinischen Forschung beizutragen.“ Haplogen selbst setzt diese Sammlung als unverzichtbare Komponente bei der Forschung zur Entwicklung antiviraler Medikamente zur Behandlung eines breiten Spektrums an Infektionskrankheiten ein.

Die Finanzierung der Sammlung wurde durch die Partnerschaft zwischen akademischer Forschung am CeMM und der Firma Haplogen ermöglicht. Die Partner konnten damit eine Ressource schaffen, die über die beiden Institutionen hinaus Wissenschaftler in der ganzen Welt unterstützt.

Die Zelliniensammlung entstand mit finanzieller Unterstützung des ZIT (der Technologieagentur der Stadt Wien) und ist auf <http://clones.haplogen.org> zugänglich.

***Publikation:**

Bürckstümmer T, Banning C, Hainzl P, Schobesberger R, Kerzendorfer C, Pauler FM, Chen D, Them N, Schischlik F, Rebsamen M, Smida M, Fece de la Cruz F, Lapao A, Liszt M, Eizinger B, Guenzl PM, Blumen VA, Konopka T, Gapp B, Parapatics K, Maier B, Stöckl J, Fischl W, Salic S, Taba R, Knapp S, Bennett KL, Bock C, Colinge J, Kralovics R, Ammerer G, Casari G, Brummelkamp TR, Superti-Furga G & SM Nijman. Areversible gene trap collection empowers haploid genetics in human cells. Nat Methods. 2013 Aug 25. doi: doi:10.1038/nmeth.2609. [Epub ahead of print]

Haplogen GmbH ist eine Biotechnologiefirma mit Sitz in Wien, Österreich, mit aktiven Programmen zur Entwicklung antiviraler Therapeutika. Haplogen benutzt eine neuartige genetische Technologie zur Entdeckung neuer Wirtsfaktoren. Diese sind Ansatzpunkte (targets) für innovative Medikamente, die Virusinfektionen bekämpfen können. Dieser neue Ansatz erschwert die Entstehung resistenter Virusstämme, die eine massive Herausforderung der Virustherapien darstellen. Haplogen hat vor allem antivirale Programme für Infektionen in seiner Pipeline, für die es derzeit keine Behandlungsoptionen gibt.

Infektionskrankheiten bleiben trotz verbesserter Hygiene und erfolgreicher Impfprogramme eine der weltweit wichtigsten Todesursachen. Das Fehlen geeigneter wissenschaftlicher Ansätze und Methoden sowie die Resistenzentwicklung verstärken dieses immense medizinische und sozioökonomische Problem.

Haplogen wurde 2010 von Thijn Brummelkamp, dem Erfinder der haploiden genetischen Screens in humanen Zellen, sowie von Wissenschaftlern des CeMM gegründet.

Das CeMM Forschungszentrum für Molekulare Medizin der Österreichischen Akademie der Wissenschaften arbeitet an einer patientengerechteren, personalisierten Medizin der Zukunft und an einer zielgerechteren klinischen Wertschöpfung der Grundlagenforschung. Es verfolgt eine anwendungsorientierte Forschung auf dem Gebiet der Molekularmedizin durch die

Zusammenführung und gegenseitige Stärkung von Grundlagen- und klinischer Forschung, wobei Krebs, Entzündungsprozesse und immunologische Krankheiten zu den wichtigsten Forschungsgebieten zählen. Durch seine Lage am Campus der Medizinischen Universität Wien und des Allgemeinen Krankenhauses Wien (AKH), Österreichs größtem medizinischem Forschungskomplex, wirkt das CeMM als Vermittler zwischen Grundlagenforschung und klinischer Anwendung. CeMM bietet der biomedizinischen Gemeinschaft einen Zugang zu post-genomischen Technologien. Das CeMM ist Lehr- und Trainingszentrum für eine neue Forschergeneration in der molekularen Medizin.

Rückfragen:

Eva Schweng,
CeMM Forschungszentrum für Molekulare
Medizin der Österreichischen Akademie
der Wissenschaften,
Telefon: 1/40160-70051,
E-Mail: eschweng@cemm.oeaw.ac.at
www.cemm.at

Georg Casari, Geschäftsführer
Haplogen GmbH
Campus Vienna Biocenter 5
1030 Wien, Österreich
Tel: +43 (1) 916 5522 10
office@haplogen.com
www.haplogen.com