

Pressemitteilung

Kommunikation und Medien
Philipp Kressirer

Pettenkoferstr. 8a
80336 München

Tel: +49 (0)89 4400-58070
Fax: +49 (0)89 4400-58072

E-Mail: philipp.kressirer@
med.uni-muenchen.de

www.lmu-klinikum.de

Medizin

Neue Therapien zur Behandlung lebensbedrohlicher Herz-Kreislauf-Erkrankungen

Das ICON bietet bestmögliche Voraussetzungen für eine translationale Medizin

Am ICON – dem neuen „Interfaculty Center for Endocrine and Cardiovascular Disease Network Modelling and Clinical Transfer“ in München-Großhadern – bündeln Ärztinnen und Ärzte, Wissenschaftlerinnen und Wissenschaftler der LMU Medizin modernste Großtiermodelle, hochauflösende Bildgebung und klinische Testverfahren an einem Standort. So werden präklinische Innovationen in Zell- und Gentherapie, minimalinvasive Interventionen und diagnostische Verfahren in Rekordzeit zu Patientennutzen geführt.

Am ICON vereinen sich tierexperimentelle Forschung und Klinik unter einem Dach: High-Tech-MRT, Herzkatheter, 3-D-Echokardiographie und invasive Monitoring-Systeme stehen direkt neben den OP-Sälen und der Early Clinical Trial Unit. So lassen sich Therapieansätze nicht nur validieren, sondern sofort in klinische Studien überführen – zum schnelleren Nutzen für die betroffenen Patientinnen und Patienten.

Wer profitiert?

Diabetes und Stoffwechselerkrankungen

Menschen mit Typ-1- oder Typ-2-Diabetes, für die künftig xenogene Inselzell-Transplantationen oder neuartige Stoffwechseleingriffe erprobt werden. Auch Patientinnen und Patienten mit Adipositas, metabolischem Syndrom oder nicht-alkoholischer Fettleber können von wegweisenden Ansätzen der Zelltherapie und Immun-Metabolik profitieren.

•

Gefäß- und Herz-Kreislauf-Leiden

Betroffene mit Arteriosklerose, koronarer Herzkrankheit oder peripherer arterieller Verschlusskrankheit erhalten Zugang zu neuen entzündungs-



www.instagram.com/klinikum_lmu



www.youtube.com/c/LMUKlinikum



www.facebook.com/LMU.Klinikum



<https://lmu-klinikum.bsky.social/>

Gemeinsam. Fürsorglich. Wegweisend.

hemmenden Wirkstoffen und innovativen Bildgebungsverfahren (etwa PET-CT, optische Fluoreszenz), die frühe Plaquebildung sichtbar machen und Thromboserisiken minimieren.

•

Herzinsuffizienz, Rhythmusstörungen und Klappenerkrankungen

Patientinnen und Patienten mit Herzinsuffizienz (insbesondere HFpEF) profitieren von mechanischen Unterstützungssystemen und Biomarkern, die den Krankheitsverlauf präziser vorhersagen. Für Menschen mit Vorhofflimmern oder anderen Arrhythmien werden 3-D-Mappings und RNA-basierte Therapien entwickelt. Und Patienten mit Herzklappenfehlern oder Prothesen-Thrombosen können von optimierten TAVI-Verfahren und Thrombose-Detektionstechnologien profitieren.

Mit der offiziellen Eröffnung des ICON startet in München-Großhadern ein neues Kapitel der translationalen Medizin: Hier wird der Sprung „vom Labor zum Menschen“ nicht nur geplant, sondern tagtäglich praktisch realisiert.

AKTUELLE PROJEKTE

CRISPR/Cas9-basierte Gentherapie für erbliche Kardiomyopathien

Die Arbeitsgruppe um Prof. Steffen Massberg, Direktor der Medizinischen Klinik I am LMU Klinikum, hat einen vielversprechenden CRISPR/Cas9-Ansatz entwickelt, um krankheitsverursachende Genmutationen bei hypertropher Kardiomyopathie bereits präklinisch in Schweinemodellen zu korrigieren. Im ICON können diese Gentherapieprotokolle erstmals in genetisch veränderten Großtieren unter realitätsnahen Bedingungen (AAV9-vermittelter, kardiospezifischer Gentransfer, präzises Monitoring via Herzkatheter und MRT) auf Sicherheit und Effizienz getestet werden. Damit wird ein entscheidender Schritt unternommen, um die Therapie „vom Labor auf den Patienten“ zu bringen und die Grundlage für erste klinische Prüfungen an kleinen Patient*innen zu legen.

Ausgewählte Publikationen:

- Flisikowska T, Petersen B, Mearini G et al. Perinatal death in pig models of hypertrophic cardiomyopathy carrying sarcomere pathogenic variants. *bioRxiv* (2025).
- Mosqueira D, Mannhardt I, Bhagwan JR et al. CRISPR/Cas9 editing in human pluripotent stem cell–cardiomyocytes highlights arrhythmias, hypocontractility, and energy depletion as potential therapeutic targets for hypertrophic cardiomyopathy. *Eur Heart J* 39(43):3879–3892 (2018).
- Zou X, Ouyang H, Lin F et al. MYBPC3 deficiency in cardiac fibroblasts drives their activation and contributes to fibrosis. *Cell Mol Life Sci* (2024).

dRNP-Technologie zur sicheren, virenfreien Genmodulation

Prof. Stefan Stricker vom Lehrstuhl Physiologische Genomik am Biomedizinischen Centrum der LMU und sein Team haben mit dCas9-VPR-Ribonukleoprotein-Komplexen (dRNPs) eine neuartige, vollständig DNA- und virenfreie Methode zur gezielten Genaktivierung etabliert. Schon wenige Stunden nach Injektion lassen sich selbst schwer zugängliche Zielgene in Stamm- und Primärzellen präzise und temporär aktivieren – ohne das Risiko unerwünschter Integrationsmutationen oder Immunreaktionen. Im ICON kann dieses dRNP-System künftig in Großtiermodellen auf Wirksamkeit, Biosicherheit und zeitliche Steuerbarkeit hin validiert werden, um den Weg für sicherere Gentherapien bei Herz-Kreislauf- und Stoffwechselerkrankungen zu ebnen.

Ausgewählte Publikationen:

- Schmidt M, Baretto D, Stricker SH et al. Efficient DNA- and virus-free engineering of cellular transcriptomic states using dCas9 ribonucleoprotein (dRNP) complexes. *Nucleic Acids Res* (2025).
- Breunig CT, Koferle A, Neuner AM, Wiesbeck MF, Baumann V, Stricker SH. CRISPR tools for physiology and cell state changes: potential of transcriptional engineering and epigenome editing. *Physiol Rev* 101:177–211 (2021).
- Baumann V, Wiesbeck M, Breunig CT, Braun JM, Köferle A, Ninkovic J, Götz M, Stricker SH. Targeted removal of epigenetic barriers during transcriptional reprogramming. *Nat Commun* 10(1):2119 (2019).

Exzellenzcluster NUCLEATE

Auch die im neuen Exzellenzcluster NUCLEATE entwickelten RNA- und DNA-basierten Therapien kardiovaskulärer Erkrankungen sollen im ICON in Richtung klinische Anwendung weiterentwickelt werden.

<https://www.lmu.de/de/newsroom/newsuebersicht/news/exzellenzcluster-nucleate-leuchtturm-der-nukleinsaeure-forschung.html>

LMU Klinikum München

Das LMU Klinikum zählt zu den größten Universitätsklinika in Deutschland und Europa. Jährlich vertrauen über 500.000 Patientinnen und Patienten der Kompetenz, Fürsorge und dem Engagement unserer 11.600 Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter in 48 Fachkliniken, Instituten und Abteilungen sowie 80 interdisziplinären Zentren.

Herausragende Einrichtungen am LMU Klinikum sind unter anderem das onkologische Spitzenzentrum CCC-M und Bayerns größtes Transplantationszentrum TxM.

Das LMU Klinikum ist als einziges Klinikum an allen acht Deutschen Zentren der Gesundheitsforschung beteiligt.

Die Medizinische Fakultät und das LMU Klinikum leisten einen maßgeblichen Beitrag zur Exzellenzstrategie der Ludwig-Maximilians-Universität München.

Weitere Informationen finden Sie im Internet unter www.lmu-klinikum.de

Gemeinsam. Fürsorglich. Wegweisend.