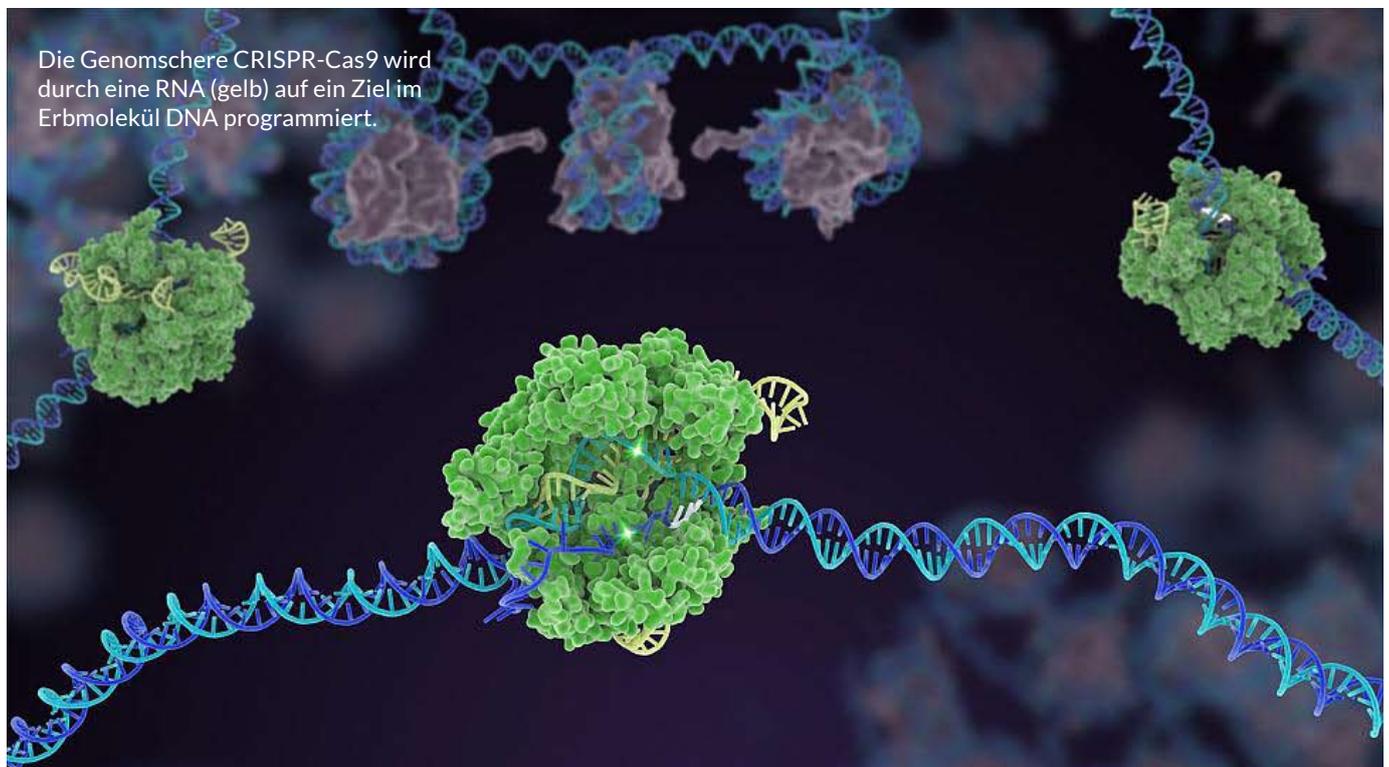


AMPTEC

# RÜSTEN FÜR DIE RNA-WELLE

Seit 14 Jahren stellt die Hamburger AmpTec GmbH synthetische Ribonukleinsäuren in hoher Qualität her. In den vergangenen Jahren sind mRNAs zu den Stars der Molekularen Medizin avanciert. Der mRNA-Boom ist ein Glücksfall für AmpTec: Der Auftragshersteller wächst kräftig, um die enorme Nachfrage zu bedienen.



Die Boten-Ribonukleinsäure (mRNA) galt unter Biotechnologen lange als die Mimose unter den Biomolekülen. In der Zelle ist die mRNA eine Abschrift des Erbmoleküls DNA, die Instruktionen für die Proteinherstellung enthält und diese an die zellulären Proteinfabriken übermittelt. Die mRNA ist ein sehr flüchtiges Molekül: Außerhalb von Zellen wird sie sehr schnell zersetzt. Und innerhalb von Zellen werden fremde RNA-Moleküle rasch abgebaut. Lange Zeit galt es daher als völlig aussichtslos, RNA als Arzneiwirkstoff zu nutzen. Das hat sich geändert. Dank neuer Technologien birgt die mRNA für viele Biotechnologen das Potenzial für eine Revolution in der Arzneimitteltherapie.

## RNA made in Hamburg

„Eigentlich ist die RNA ein sehr stabiles Molekül, man muss nur richtig mit ihr umgehen“, sagt Peter Scheinert, Gründer und Geschäftsführer der AmpTec GmbH. Da überall in der Umwelt, in Räumen und auf der Haut des Experimentators RNA-zersetzende Enzyme lauern, sei ein hochreiner Herstellungsprozess unabdingbar, durchgeführt von gut geschultem Personal. Dieses Know-how hat AmpTec in den vergangenen 14 Jahren perfektioniert. Nun sind die Hamburger mit ihrem zentralen Firmensitz in St. Pauli gerüstet für die große RNA-Welle, die derzeit auf die Pharmawelt zurollt.

Gegründet wurde das Unternehmen im Jahr 2005 von Scheinert und seinem Kollegen Guido Krupp. Die beiden zählten sieben Jahre zuvor auch zu den Gründern der einstigen artus GmbH. Als das PCR-Geschäft des Unternehmens 2005 von Qiagen übernommen wurde, entschlossen sich Scheinert und Krupp dazu, die Nukleinsäure-Produktionspartie auszugründen, die AmpTec GmbH war geboren. Bis heute finanziert sich das Unternehmen selbst.

Zunächst ging es vor allem um Nukleinsäuren für diagnostische Anwendungen, wie sie etwa als Kontrollreagenzien in Realtime-PCR-Assays benötigt werden. Typische Kunden waren und sind bis heute die Hersteller

von molekulardiagnostischen Laborkits. „Wir haben früh angefangen, ein Qualitätsmanagement-System aufzubauen“, sagt Scheinert. 2008 und 2010 wurden wichtige internationale ISO-Standards eingeführt. Ein weiterer Meilenstein war die Umsetzung der Anforderungen einer Richtlinie zur guten Herstellungspraxis (GMP) der FDA im Jahr 2012, die für die Herstellung von Diagnostikprodukten der höchsten Qualitätsstufe wichtig ist. Für das heutige Wachstum von AmpTec entscheidend war jedoch der Beginn der Umsetzung von GMP-Anforderungen für den Einsatz in Klinischen Studien im Jahr 2016. „Das hat uns einen starken Push gebracht, denn nun können wir im Auftrag mRNAs als Wirkstoffe für die Pharmaindustrie herstellen“, sagt Scheinert.

### Therapeutische mRNA-Produktion

Somit können die Hamburger eines der derzeit begehrtesten Biomoleküle der Molekularmedizin maßgeschneidert und in Spitzenqualität liefern. In den vergangenen Jahren ist um die mRNAs ein regelrechter Hype auf dem Biopharmazeutika-Markt entstanden. Die Trendwende brachten neue technologische Entwicklungen, mit denen sich die mRNAs sicher in die Zellen bugsieren lässt, ohne dass sie zerstört werden.

Befeuert wird der Run auf die Ribonukleinsäuren durch den vielbeachteten Börsengang des US-Unternehmens Moderna Therapeutics. Der RNA-Spezialist aus Boston legte 2018 mit einem Emissionsvolumen von 604 Mio. US-Dollar den größten Börsengang der Biotech-Geschichte hin. Und auch in Deutschland zählen mit der CureVac AG in Tübingen und der BioNTech-Gruppe in Mainz zwei Biotech-Unternehmen zu den weltweiten Vorreitern des neuen mRNA-Booms. Kaum ein großes Pharmaunternehmen, das sich derzeit nicht mit Innovationen auf der Basis der Boten-Moleküle beschäftigt. „Sie alle haben das Ziel, therapeutische mRNAs als neue Wirkstoffklasse zu etablieren“, sagt Scheinert. Das Konzept: Wird eine synthetische mRNA erfolgreich in Zellen eingeschleust, werden diese darauf programmiert, ein gewünschtes Eiweißmolekül herzustellen. „Der Clou ist, dass die Körperzellen eines Patienten die Impfstoffe oder Enzyme selbst herstellen“, erläutert Scheinert. Die mRNA-Therapie ist damit eine echte Alternative zur herkömmlichen Gentherapie zur Behandlung von seltenen Erkrankungen, die durch Mutationen in einem Gen verursacht werden. Solche Protein-Ersatztherapien rücken zur Behandlung von Stoffwechselerkrankungen oder Herzkreislauftherapien ins Visier der Pharmaunternehmen. Ein

weiteres großes Einsatzfeld sind die sogenannten Krebsimpfstoffe. Etwa individualisierte, an das genetische Profil eines Tumors angepasste Krebsvakzine. Die mRNAs lassen sich auch als Impfstoffe gegen Infektionskrankheiten einsetzen.

### Schlüsselrolle beim Genome Editing

Zudem sind sie Schlüsselkomponenten in weiteren bahnbrechenden Entwicklungen in der Biotechnologie, von der Zellreprogrammierung in der Stammzellforschung bis zum Genome Editing. Die populäre Designernuklease CRISPR-Cas lässt sich mittels einer sogenannten Guide-RNA darauf programmieren, eine Zielregion in der DNA anzusteuern und hier Schnitte zu setzen. „Zu unseren Kunden zählen aber auch Genome-Editing-Firmen, die wir mit mRNA für das Schneidenzym Cas beliefern“, sagt Scheinert.

Die große Expertise und die Vielfalt der Anwendungsfelder für die mRNAs made in Hamburg bescheren AmpTec derzeit volle Auftragsbücher. In der Pipeline des Unternehmens sind viele Projekte mit Biotech-Unternehmen. „Es kommen viele nationale und internationale Unternehmen und Forschungsinstitute auf uns zu, um ihre Projekte mit therapeutischen mRNAs in Präklinik oder Klinik zu starten“, so Scheinert. Nahezu ständig gebe es neue Anfragen, sagt der AmpTec-Geschäftsführer. Die Mitarbeiterzahl hat sich seit 2016 denn auch mehr als verdoppelt, bis Ende 2019 will das Unternehmen 38 Mitarbeiter beschäftigen. Stolz ist er auf

den standardisierten AmpTec-Workflow für die Synthese und Handhabung der mRNA-Moleküle. „Das führt zu einer extrem hohen Vergleichbarkeit unserer Produktchargen.“ Eines der firmeninternen Topthemen ist derzeit die Herstellung größerer Produktmengen. Derzeit liegen diese bei AmpTec im 200-Milligramm-Bereich bis Gramm-Bereich. Wie schnell sich der RNA-Markt entwickelt, spiegelt sich auch in Anfragen etwa aus den USA wider, bei den es bereits um mRNA-Produktionen im hohen zweistelligen Gramm-Bereich ging. AmpTec investiert daher bereits kräftig in den Ausbau der Produktionskapazitäten. Ende dieses Jahres wird eine zweite GMP-Produktionsanlage errichtet und eine weitere Etage am Hamburger Standort bezogen.

### Erste klinische Studie gestartet

In diesem Jahr wurden von AmpTec hergestellte mRNAs in einer ersten klinischen Studie der Phase I bei Patienten eingesetzt. „Die klinischen Daten von experimentellen mRNA-Therapien weltweit müssen jetzt überzeugen, dann wird es einen weiteren massiven Schub in der Nachfrage geben“, ist sich Scheinert sicher. Die Hamburger sind für den möglichen Boom jedenfalls gut gerüstet. „Wenn sich die mRNA-Technologie in der Klinik durchsetzt, haben wir eine sensationell gute Ausgangslage“, so Scheinert. **pg**

Weitere Informationen:  
[www.amp-tec.com](http://www.amp-tec.com)

**Vielseitige mRNA**  
Wo die synthetischen RNA-Moleküle der AmpTec GmbH eingesetzt werden

- Genome Editing
- Reprogrammieren
- Krebsimmuntherapie
- Impfstoffe
- Protein-Ersatztherapie