

## PRESSEMITTEILUNG

### Neues interdisziplinäres Zentrum für Amyloidose-Patienten

**Berlin, 14. Oktober 2020 – Die Charité – Universitätsmedizin Berlin und das biopharmazeutische Unternehmen Anylam etablieren das Amyloidosis Center Charité Berlin (ACCB) zur Behandlung der Stoffwechselerkrankung Amyloidose. Ziel ist die bestmögliche und interdisziplinäre Versorgung von Amyloidose-Patienten.**

Weltweit sind schätzungsweise 50.000 Menschen von Amyloidose betroffen. Weil das Krankheitsbild so komplex und auch selten ist, bleibt es oft unerkannt. Hereditäre Transthyretin (TTR)-vermittelte Amyloidose (hATTR) ist eine erbliche, fortschreitend beeinträchtigende und oft tödlich verlaufende Erkrankung, die durch Mutationen im sogenannten TTR-Gen ausgelöst wird. Das TTR-Protein wird hauptsächlich in der Leber gebildet und ist normalerweise Transportprotein von unter anderem Vitamin A. Mutationen im TTR-Gen führen zur Ablagerung von abnormen Amyloid-Proteinen. Dadurch kann es zu Schädigungen von Körperorganen und Geweben kommen, beispielsweise in den peripheren Nerven und im Herzen, die entsprechende Folgen mit sich bringen.

**Privatdozentin Dr. Katrin Hahn, Fachärztin für Neurologie an der Charité und Sprecherin des ACCB:** „Die Einrichtung des ACCB ist ein wichtiger Schritt für die Amyloidose-Patientenversorgung in Deutschland. Die Kooperation mit Anylam hilft uns dabei, die Charité als führendes Zentrum zur Behandlung und Erforschung von Amyloidose zu etablieren. Voraussetzung dafür ist die starke Vernetzung mit der Forschung sowie eine interdisziplinäre Zusammenarbeit von Expertinnen und Experten. Unser Ziel ist, Patienten, die an dieser zerstörerischen Erkrankung leiden, bestmöglich zu behandeln und das ACCB langfristig als Exzellenzzentrum zu etablieren.“

Durch die Kooperation sollen Patienten am ACCB zukünftig noch direkter von neuen wissenschaftlichen Erkenntnissen und innovativen Patienten-Management-Infrastrukturen profitieren. Die Kooperation umfasst dabei auch gemeinsame wissenschaftliche Studien und Publikationen. Außerdem plant das ACCB, Fachkonferenzen auszurichten und eine interdisziplinäre Datenbank bzw. ein Register aufzubauen, um Patientendaten kontinuierlich zu erfassen und auszuwerten. Zudem ist geplant, eine Patienten-fokussierte App zu entwickeln sowie Fortbildungs- und Aufklärungsveranstaltungen für Patienten, Ärzte und klinische

Einrichtung zu organisieren. Mit Hilfe dieser Maßnahmen will das ACCB sicherstellen, dass Amyloidose-Patienten gemäß dem aktuellen Stand der Medizin behandelt und therapeutische Leitlinien kontinuierlich weiterentwickelt werden.

**Prof. Dr. Fabian Knebel, Leitender Oberarzt Kardiologie und Angiologie an der Charité und Sprecher des ACCB:** „Bisher ist die Versorgung von Amyloidose-Patienten in Deutschland sehr dezentral organisiert. Es existieren nur wenige auf ihre Bedürfnisse ausgerichtete Strukturen. Mit dem ACCB bündeln wir Expertisen, um verstärkt gemeinsam an dem besten Outcome für Amyloidose-Patienten zu arbeiten. Sei es in der Neurologie, Hämatologie, Nephrologie, Gastroenterologie, Schmerzmedizin, Ophthalmologie, Chirurgie oder eben auch in der Kardiologie – die bestmögliche Versorgung von Amyloidose-Patienten bietet immer der multidisziplinäre Ansatz.“

In den letzten Jahren hat sich die Ausgangslage zur Behandlung der Erkrankung durch neue therapeutische Möglichkeiten weiterentwickelt. Dazu zählt auch die von Alnylam zur Anwendungsreife entwickelte Technologie der RNA-Interferenz (RNAi) zur Behandlung der genetisch-bedingten Amyloidose.

**Hannes Schmeil, Geschäftsführer von Alnylam Germany:** „Für Alnylam ist es eine inspirierende Herausforderung, die Charité beim Aufbau eines Exzellenzzentrums zur Behandlung und Erforschung der Amyloidose zu unterstützen. Die Amyloidose wird auch heute noch häufig erst in fortgeschrittenen Stadien diagnostiziert. Das ist vielfach zu spät bei einer Krankheit, deren Behandlung sehr herausfordernd ist. In letzter Zeit hat es bei der Behandlung von vielen seltenen und komplexen Erkrankungen große Fortschritte gegeben, wie auch bei der hereditären ATTR-Amyloidose. Damit Patienten von medizinischen Fortschritten profitieren können, müssen auch die Versorgungsstrukturen mit diesen Entwicklungen Schritt halten. Spezialisierte Zentren wie das ACCB sind hierfür der richtige Ansatz. Nur so lässt sich gewährleisten, dass Patientinnen und Patienten vom medizinischen Fortschritt profitieren können.“

**Website ACCB:**

<https://amyloidosis-center.charite.de/>

**Kontakte:**

**Dr. Katrin Hahn**

Sprecherin des ACCB

Klinik für Neurologie mit Experimenteller Neurologie

Charité - Universitätsmedizin Berlin

T: +49 30 450 660 049

[katrin.hahn@charite.de](mailto:katrin.hahn@charite.de)

## **Prof. Dr. Fabian Knebel**

Sprecher des ACCB

Medizinische Klinik m.S. Kardiologie und Angiologie

Campus Charité Mitte

Charité - Universitätsmedizin Berlin

T: +49 30 450 513 143

[fabian.knebel@charite.de](mailto:fabian.knebel@charite.de)

## **Über die Charité – Universitätsmedizin Berlin**

Die Charité – Universitätsmedizin Berlin ([www.charite.de](http://www.charite.de)) ist mit rund 100 Kliniken und Instituten an vier Campi sowie 3.001 Betten eine der größten Universitätskliniken Europas. Forschung, Lehre und Krankenversorgung sind hier eng miteinander vernetzt. Mit Charité-weit durchschnittlich rund 15.500 und konzernweit 18.700 Beschäftigten aus über 100 Nationen gehört die Berliner Universitätsmedizin zu den größten Arbeitgeberinnen der Hauptstadt. Dabei waren 4.553 der Beschäftigten im Pflegebereich und 4.454 im wissenschaftlichen und ärztlichen Bereich tätig. An der Charité wurden im vergangenen Jahr 154.261 voll- und teilstationäre Fälle sowie 700.819 ambulante Fälle behandelt. An der medizinischen Fakultät, die zu den größten in Deutschland gehört, werden mehr als 8.000 Studierende in Humanmedizin, Zahnmedizin sowie Gesundheitswissenschaften ausgebildet. Darüber hinaus gibt es 644 Ausbildungsplätze in neun Gesundheitsberufen.

## **Über Alnylam**

Alnylam (Nasdaq: ALNY) ist führend bei der Translation der RNA-Interferenz (RNAi) in eine neue Klasse innovativer Medikamente, die das Potenzial haben, das Leben von Menschen, die an seltenen genetischen, kardiometabolischen, hepatischen, infektiösen und Erkrankungen des zentralen Nervensystems/ der Augen leiden, grundlegend zu verändern. Basierend auf wissenschaftlichen Erkenntnissen, die mit dem Nobelpreis ausgezeichneten wurden, stellen RNAi-Therapeutika einen starken, klinisch validierten Ansatz für die Behandlung von Erkrankungen mit einem hohen unerfüllten medizinischen Bedarf dar. Alnylam wurde 2002 gegründet und verwirklicht mit einer starken Plattform für RNAi-Therapeutika eine mutige Vision, um wissenschaftliche Möglichkeiten in die Realität umzusetzen. Die kommerziellen RNAi-Therapeutika von Alnylam sind ONPATTRO® (Patisiran), das in den USA, der EU, Kanada, Japan, der Schweiz und Brasilien zugelassen ist, und GIVLAARI® (Givosiran), das in den USA, der EU und Brasilien zugelassen ist. Alnylam verfügt über eine umfangreiche Pipeline von Prüfpräparaten, darunter sechs Produktkandidaten, die sich in der späten Entwicklungsphase befinden.

Alnylam hat sich zum Ziel gesetzt in den nächsten Jahren zu einem weltweit führenden biopharmazeutischen Unternehmen zu werden. Dazu gehört es eine nachhaltige Pipeline von Medikamenten auf RNAi-Basis aufzubauen, um die Bedürfnisse von Patienten mit begrenzten

oder ungenügenden Behandlungsmöglichkeiten zu erfüllen. Alnylam hat seinen Hauptsitz in Cambridge, Massachusetts (USA). Für weitere Informationen über unsere Mitarbeiter, Forschungstätigkeit und Produktpipeline besuchen Sie bitte [www.alnylam.de](http://www.alnylam.de) und folgen Sie uns auf Twitter unter [@Alnylam](https://twitter.com/Alnylam) oder auf [LinkedIn](https://www.linkedin.com/company/alnylam).