

Gefördert durch:



Bundesministerium  
für Forschung, Technologie  
und Raumfahrt

**Max-Delbrück-Center Berlin**

**GBi5S: Entwicklung einer human-  
spezifischen Plattform für  
Wirkstoffscreening und  
Toxizitätsstudien für  
neuromuskuläre Systeme (NMJCare)**

**Dr. Ines Lahmann**

**03LW0604**

„Das diesem Bericht zugrundeliegende Vorhaben wurde mit Mitteln des  
Bundesministeriums für Forschung, Technologie und Raumfahrt unter dem  
Förderkennzeichen 03LW0604 gefördert. Die Verantwortung für den Inhalt dieser  
Veröffentlichung liegt bei den Autoren.“

# Sachbericht – GBi5S: Entwicklung einer human-spezifischen Plattform für Wirkstoffscreening und Toxizitätsstudien für neuromuskuläre Systeme (NMJCare)

## I. Kurzbericht

Das Vorhaben NMJCare adressiert den hohen medizinischen und technologischen Bedarf an physiologisch relevanten humanen Modellen für die Erforschung neuromuskulärer Erkrankungen und die präklinische Wirkstoffentwicklung. Ausgangspunkt ist eine am Projektstandort entwickelte humane neuromuskuläre Junction-(hNMJ)-Plattform, die sowohl ein 2D-High-Throughput-Screening-System als auch ein 3D-Organoidmodell auf Basis patientenspezifischer induzierter pluripotenter Stammzellen (iPSCs) umfasst (Faustino Martins, J. M. et al. (2020): *Cell Stem Cell*, 26, 172–186. DOI: 10.1016/j.stem.2019.12.007; Urzi, A. et al. (2023): *Nature Communications*, 14, 8043. DOI: 10.1038/s41467-023-43781-3). Beide Systeme gehen aus einem gemeinsamen Vorläuferzustand hervor und organisieren sich zu funktionellen neuromuskulären Verbindungen. Damit eröffnet die Plattform die Möglichkeit, krankheitsspezifische Zellmodelle, humanrelevante Toxizitätsbewertungen und perspektivisch personalisierte Entwicklungsansätze in einem integrierten Setting zusammenzuführen.

In der ersten Phase von GO-BIO initial stand die Sondierung der wirtschaftlichen und verwertungsbezogenen Machbarkeit des Projektes im Vordergrund. Zu den Kernaufgaben gehörten die Durchführung einer Markt- und Wettbewerbsanalyse, die Prüfung der Freedom-to-Operate-(FTO)-Situation, die Schärfung des Geschäfts- und Verwertungsmodells sowie die gezielte Ansprache von Stakeholdern aus Wissenschaft, Industrie und Förderumfeld. Ziel war es, die Positionierung von NMJCare als translational relevante Plattformlösung zu validieren und eine belastbare Grundlage für eine mögliche Ausgründung beziehungsweise für weiterführende Transfer- und Förderaktivitäten zu schaffen.

Im Berichtszeitraum wurde die Innovationsidee sowohl inhaltlich als auch in ihrer Verwertungslogik deutlich geschärft. Die beauftragte Markt- und Wettbewerbsanalyse sowie ergänzende projektinterne Auswertungen lieferten eine fundierte Grundlage zur Einordnung des adressierten Bedarfs und zur Priorisierung geeigneter Anwendungsfelder. Die FTO-Bewertung unterstützte die strukturierte Einordnung der IP- und Schutzrechtslage für die geplante Verwertung des 2D-/3D-hNMJ-Ansatzes. Auf dieser Basis konnten kritische Fragestellungen für die weitere Entwicklung frühzeitig identifiziert und in die Transferstrategie integriert werden.

Parallel dazu wurde das Projektteam in unternehmerischen und transferrelevanten Fragestellungen gezielt qualifiziert. Dies umfasste unter anderem Entrepreneur Coaching, die Teilnahme an einschlägigen Qualifizierungsformaten sowie die Erstellung eines Pitch Decks und die Präsentation des Vorhabens auf Pitch-Events. Auf dieser Basis konnten erste Kontakte zu potenziellen Investoren sowie zu Industriekontakten angebahnt und die Verwertungs-idee, aufbauend auf GO-BIO initial, gezielt in Richtung Ausgründung geschärft werden. Ergänzt wurde dies durch projektbezogene Reisen und Vernetzungstermine, darunter auch die Vorstellung von NMJCare auf der BioVaria in München, sowie durch die Vorbereitung und Durchführung eines Workshops mit Business Experten. Die in der Einzelpostenliste ausgewiesenen Aufwendungen spiegeln diese Schwerpunkte nachvollziehbar wider.

Zusammenfassend konnte in der Sondierungsphase gezeigt werden, dass NMJCare nicht nur wissenschaftlich anschlussfähig, sondern auch aus Transfer- und Verwertungssicht ein tragfähiges Entwicklungsprofil besitzt. Die Projektidee wurde in ihren Zielmärkten, Kooperationsoptionen und nächsten Umsetzungsschritten konkretisiert und durch externe Sichtbarkeit zusätzlich validiert. Hierzu zählen die Platzierung als Top-10-Vorhaben im Science4Life Venture Cup, die Aufnahme als Member of the CLIC Incubator Charité sowie die Vorbereitung weiterer Anschlussaktivitäten. Damit wurden die Voraussetzungen geschaffen, um in einer nachfolgenden Phase Pilotierungen, Partnerschaften, die weitere Kommerzialisierung und eine mögliche Ausgründung systematisch voranzutreiben.