Hoffnung auf Heilung

Mandy Boontanrart und ihr Team wollen eine Therapie für Hämoglobinopathien auf den Markt bringen, die auf Genom-Editierung basiert.
© ETH Foundation / Daniel Winkler 7. Juni 2022

Mit ihrem Start-up Ariya Bio will Mandy Boontanrart eine Therapie für schwere Blutkrankheiten entwickeln. Dank bahnbrechenden Entdeckungen in der Genforschung könnte dies schon in naher Zukunft Realität werden.

Wissenschaftlerinnen und Wissenschaftler können oft eine persönliche Geschichte zu ihrem Forschungsfeld erzählen. So auch die Molekularbiologin Mandy Boontanrart. 2015, zu Beginn ihres Doktorats, stiess sie auf das Lab

von Professor Jacob Corn, damals noch an der University of California, Berkeley. Er erforscht, wie die neue CRISPR/Cas9-Methode für Genom-Editierung zur Therapie der Sichelzellkrankheit, einer schweren genetischen Blutkrankheit, genutzt werden kann. Die CRISPR/Cas9-Methode wurde 2012 von Jennifer Doudna und Emmanuelle Charpentier entdeckt, wofür sie 2020 den Chemienobelpreis erhielten. Die Methode ermöglicht es, einzelne DNA-Bausteine im Erbgut zu verändern, und eröffnet neue Wege bei der Behandlung von Erbkrankheiten wie Hämoglobinopathien, die weltweit stark verbreitet sind.

Für Mandy Boontanrart war sofort klar, dass sie sich in dieses Feld vertiefen wollte. Die Amerikanerin mit thailändischen Wurzeln erfuhr mit 14 durch einen Routinebluttest, dass sie Trägerin der Thalassämie ist, einer Hämoglobinopathie aus derselben Gruppe wie die Sichelzellkrankheit. Dabei ist die Bildung der roten Blutzellen gestört. Je nach Schweregrad entwickeln Betroffene bereits im Mutterleib eine schwere Anämie und benötigen ein Leben lang Bluttransfusionen. Mandy Boontanrart lebt glücklicherweise ohne Symptome. «Der Arzt erklärte mir damals, dass die Thalassämie sehr verbreitet sei bei Menschen mit südostasiatischen Wurzeln und einzig durch Transplantation fremder Stammzellen behandelt werden könne. Die Forschung von Jacob Corn stellte dies infrage und ich wollte unbedingt mehr über die CRISPR/Cas9-Methode erfahren.»

Vom Labor zum Patienten

Im Rahmen ihres Doktorats forschte Mandy Boontanrart an Möglichkeiten zur Behandlung der Blutkrankheit. Ihr Ansatz sieht vor, eigene Stammzellen zu entnehmen, das Erbgut mithilfe von CRISPR/Cas9 zu editieren und die veränderten Zellen wieder ins Knochenmark der Patientin zu verpflanzen.

Die modifizierten Zellen können sich anschliessend im Körper vermehren. Keimzellen werden dabei keine verändert, das heisst, die Veränderung wird nicht an zukünftige Generationen weitergegeben. Inzwischen forscht Mandy Boontanrart mit Jacob Corn und seinem Team an der ETH Zürich.

Als sie auf das Pioneer-Fellowship-Programm stiess, packte sie die Chance: «Mit meinem Start-up Ariya Bio kann ich fokussiert auf mein Ziel hinarbeiten: diese hochpersonalisierte Therapie zu den Patientinnen und Patienten zu bringen und so zur Heilung dieser Krankheit beizutragen.» Dank der Unterstützung durch das Pioneer Fellowship wagte sie den Schritt zur Unternehmerin und lernte, stärker aus einer wirtschaftlichen Perspektive zu denken. «Mein Mentor hilft mir, klare Businessziele zu setzen, und ich knüpfe viele hilfreiche Kontakte.»

Gemeinsamer Effort für neue Therapien

Mit Ariya Bio steht Mandy Boontanrart noch am Anfang. Gemeinsam mit zwei Studierenden arbeitet sie an Machbarkeitsstudien. Ende 2022 sollen In-vivo-Studien starten, und für 2023 sucht sie Investitionen für klinische Studien. Diese würden wiederum einige Jahre dauern. Dass jemand anderes vor ihr eine zugelassene Therapie für Hämoglobinopathien entwickeln könnte, bereitet ihr keine Sorgen: «Ich wünsche mir in erster Linie eine wirksame Therapie. Ausserdem gibt es Platz für verschiedene Heilungsansätze», erklärt Mandy Boontanrart. Überhaupt hebt die Forscherin im Gespräch stets positive Aspekte hervor. Ihre optimistische Grundhaltung sieht sie neben ihrem Durchhaltevermögen denn auch als wichtige Ressource für ihre unternehmerischen Pläne: «Als Forscherin sowie als Jungunternehmerin muss ich mit Rückschlägen umgehen können, Fehler nicht persönlich nehmen und immer das Ziel im Auge behalten: das Leben von Patientinnen und Patienten nachhaltig zu verbessern.»

«Das Pioneer-Fellowship-Programm ermöglicht mir, meine Forschung zur wirksamen Therapie weiterzuentwickeln.»

Mandy Boontanrart

mehr über das Programm

https://ethz-foundation.ch/fokus/uplift_nr10_pioneer-fellow/

PDF exportiert am 07.12.2025 03:13
© 2025 ETH Zürich Foundation