

Gentherapie: Schritt für Schritt vorwärts

Die Gentherapie macht weitere Fortschritte und könnte in den nächsten Jahren für positive Nachrichten sorgen. Gemäss dem amerikanischen Register für klinische Studien (www.clinicaltrials.gov) sind derzeit weltweit ungefähr 100 Studien zur Gentherapie am Laufen oder in Vorbereitung. Dabei soll untersucht werden, was die Gentherapie zur Behandlung verschiedener Krankheiten beitragen kann. Im Fokus stehen unterschiedliche Krankheiten: verschiedene Krebsarten wie Hirntumore, Leukämien oder Lymphome, aber auch Parkinson, HIV/Aids, Alzheimer, Herzerkrankungen oder Arthritis.

Auch auf seltene Erkrankungen richtet sich das Interesse der Forscher: Etwa auf den schweren kombinierten Immundefekt SCID, eine angeborene Störung des Immunsystems, die unbehandelt tödlich verläuft, oder auf die kongenitale Amaurose, eine angeborene, seltene Augenerkrankung.

Qualität verbessern und Quantität erhöhen

Eines der Probleme besteht für die Mediziner derzeit darin, so genannte Genfähren in genügend grossen Mengen und in guter Qualität herzustellen. Genfähren sind winzige DNA-Stücke, die benötigt werden, um «gesunde Gene» in den Körper der Patienten einzuschleusen. Diese Genfähren sollen den Gendefekt des Patienten beheben.

Genfähren für kleine Patientenzahlen zu produzieren, ist heute meist kein Problem. Schwieriger wird es aber, wenn es darum geht, Genfähren für Hunderte von Patienten zu produzieren, für Patientenzahlen, wie sie oft in Phase III-Studien vorkommen (Phase III ist die letzte Stufe vor dem Antrag auf Marktzulassung). Etwa 40 der aktuellen Gentherapie-Studien könnten diese Schwelle bald erreichen, sie sind derzeit in Phase II.

Die Menge ist das eine, die Qualität das andere. Je besser die Qualität der produzierten Genfähren, umso eher werden die «gesunden Gene» auch in das Erbgut der Patienten eingebaut, wo sie ihre Reparaturfunktion ausüben können. Auch hier braucht es noch einiges an Forschung, um die Qualität weiter zu verbessern.

Quelle: Nature Biotechnology, Band 29, Seite 121