

Gentherapie

Gentherapie hilft blinden Kindern zu sehen

Nach einigen Rückschlägen gibt es nun wieder positive Meldungen aus dem Forschungsgebiet der Gentherapie. In einer Studie an 12 Patienten mit einer seltenen, vererbten Augenerkrankung erzielte der gentherapeutische Ansatz hoffnungsvolle Resultate. Insbesondere die jüngeren Patienten profitierten von der Behandlung.

Die Patienten im Alter zwischen 8 und 44 Jahren litten an einer bestimmten Form von Leberscher kongenitaler Amaurose, einer Erbkrankheit, die im Normalfall für die Patienten bedeutet, dass sie spätestens im Alter von 40 Jahren komplett blind sind. Verantwortlich dafür ist ein Defekt im Gen RPE65. Dieses Gen wird benötigt, um Rhodopsin herzustellen, ein wichtiges Sehpigment in der Netzhaut.

Der Ansatz der Mediziner bestand darin, die betroffenen Patienten mit dem fehlenden Gen zu behandeln. Dazu wurde DNA direkt in die Augen der Patienten injiziert. Behandelt wurde jeweils nur das schlechtere Auge.

Jean Bennett, Professorin an der Penn Universität und Mitautorin der Studie erklärte, dies sei das Resultat von annähernd 20 Jahren Forschung auf dem Gebiet der Augenerkrankungen, zunächst mit Versuchen an Mäusen und Hunden.

Die Gentherapie zur Behandlung von vererbten Augenerkrankungen ist noch nicht breit anwendbar, es handelte sich um einen Phase 1-Versuch. Der Erfolg und die Sicherheit der Methode müssen daher noch in weiteren, jahrelangen Studien bestätigt werden.

Quelle: The Lancet, Band 374, Seite 1597