

Erfolgreiche Gentherapie: Hoffnung für schwerkrankes Baby KJ!

Erstmals erhielt ein schwerkrankes Baby in den USA eine personalisierte Gentherapie, die Hoffnung auf innovative Behandlungen weckt.



Children’s Hospital of Philadelphia, Philadelphia, PA, USA - In einem wegweisenden medizinischen Fortschritt wurde ein schwerkrankes Baby, KJ, erstmals mit einer individualisierten Gentherapie behandelt. Die Behandlung fand im Februar 2025 im Children’s Hospital of Philadelphia in den USA statt und ist ein vielversprechendes Beispiel für den Einsatz moderner Technologien in der Therapie seltener Erkrankungen. KJ litt an einem angeborenen Enzymmangel, der zu einer gefährlichen Anreicherung von Ammoniak im Blut führen kann. Diese Stoffwechselstörung ist lebensbedrohlich und kann zu schweren neurologischen Schäden führen.

Etwa sieben Monate nach seiner Geburt erhielt KJ seine erste

Gentherapie. Die Therapie basiert auf der innovativen Base-Editing-Technologie, die eine Weiterentwicklung der bekannten CRISPR/Cas9-Technologie darstellt. Der Einsatz dieser neuen Methode könnte einen Durchbruch in der Behandlung von seltenen Erbkrankheiten darstellen. Erstmals wurde der Gendefekt, der für KJs Zustand verantwortlich war, gezielt in der Leber korrigiert. KJ erhielt insgesamt drei Dosen der Gentherapie, die diesen Frühling ohne ernsthafte Nebenwirkungen verabreicht wurden.

Erste Erfolge der Therapie

Die Ergebnisse der Behandlung sind ermutigend. Nach der Therapie konnte KJ mehr Eiweiß in seiner Ernährung vertragen und benötigte weniger Medikamente zur Kontrolle seiner Erkrankung. Vor der Behandlung hatte er in den ersten Monaten häufig im Krankenhaus verbracht und war auf eine eingeschränkte Ernährung angewiesen, während er symptomlindernde Medikamente erhielt. Nun zeigt er Zeichen der Besserung und hat sogar normale Kinderkrankheiten, wie Erkältungen, gut überstanden. Kiran Musunuru, der Erstautor der Studie, sieht in dieser individualisierten Therapie ein großes Potenzial, auch andere Patienten mit ähnlichen Erkrankungen zu helfen.

Die Gentherapie wurde im „New England Journal of Medicine“ veröffentlicht und auf dem Jahreskongress der American Society of Gene & Cell Therapy vorgestellt. Experten warnen jedoch vor überzogenen Hoffnungen, da noch längere Nachbeobachtungen erforderlich sind, um die Sicherheit und Wirksamkeit der Methode umfassend zu beurteilen. Trotz dieser Reserven ist die individualisierte Gentherapie ein Schritt in die richtige Richtung, vor allem für die rund 4 Millionen Menschen in Deutschland, die von seltenen Erkrankungen betroffen sind.

Herausforderungen und Ausblicke

Die bislang so erfolgreichen Reaktionen des Körpers auf die

Therapie lassen auf eine breitere Anwendung hoffen. Der Korrekturprozess der genetischen Mutation galt allerdings als herausfordernd, da er nur in der Leber stattfand. Dies könnte die Ausweitung auf andere Gewebe und die Entwicklung weiterer Therapien erschweren. Derzeit gibt es in der Europäischen Union rund 8.000 Krankheiten, die als selten definiert sind, da sie höchstens fünf von 10.000 Menschen betreffen. Die vorliegenden Fortschritte in der Gentherapie könnten zukünftige Behandlungsansätze für viele dieser Erkrankungen revolutionieren.

Zusätzlich zur Base-Editing-Technologie werden in der Forschung verschiedene CRISPR-basierte Therapien entwickelt, die darauf abzielen, genetisch bedingte Krankheiten nachhaltig zu behandeln. Verfahren zur Behandlung von Krankheiten wie Beta-Thalassämie und Sichelzellerkrankung zeigen das Potenzial, blutbildende Zellen im Knochenmark zu ändern, um fetales Hämoglobin zu produzieren. Diese Entwicklungen können ebenfalls zur Verbesserung der Lebensqualität vieler Betroffener führen. Mit der zukunftsweisenden individualisierten Gentherapie gibt es neue Hoffnung auf innovative Behandlungsmöglichkeiten, die das Leben von Millionen verändern könnten.

Details	
Vorfall	Sonstiges
Ort	Children's Hospital of Philadelphia, Philadelphia, PA, USA
Quellen	• www.vol.at • www.geo.de • www.vfa.de

Besuchen Sie uns auf: die-nachrichten.at