

Babyleben gerettet: Erste personalisierte Gentherapie in den USA!

Ein Baby in den USA erhielt erstmals eine personalisierte Gentherapie gegen die seltene Erbkrankheit CPS1-Defizit. Entdecken Sie die Details.



USA - In den USA wurde ein wegweisender Schritt in der Behandlung seltener Erbkrankheiten vollzogen. Zum ersten Mal erhielt ein neuneinhalb Monate altes Baby, KJ Muldoon, eine personalisierte Genom-Editierung aufgrund seines lebensbedrohlichen Zustands, bekannt als CPS1-Defizit. Diese seltene genetische Erkrankung betrifft ein lebenswichtiges Leberenzym, das für den Abbau toxischer Stoffwechselprodukte verantwortlich ist, was ohne Behandlung zu heftigen gesundheitlichen Problemen führen kann. Die Therapie, die auf den genetischen Varianten von KJ abgestimmt wurde, könnte sein Leben retten, nachdem die Eltern nach der Diagnose kurz nach seiner Geburt über die düstere Prognose informiert wurden, wie **Kosmo** berichtet.

Die innovative Behandlung nutzt die CRISPR-Cas9-Technik, die 2020 mit dem Chemie-Nobelpreis ausgezeichnet wurde. Bei dieser Methode handelt es sich um eine Gen-Schere, die das Potenzial hat, genetische Krankheiten zu heilen, indem sie präzise DNA-Modifikationen vornimmt. Die behandelnden Ärzte, darunter die Ärztin Rebecca Ahrens-Nicklas, waren überzeugt, dass diese noch nie zuvor angewandte Therapie eine Hoffnung für KJ darstellen könnte. Im Februar 2025 erhielt das Baby die erste Infusion des maßgeschneiderten Medikaments, gefolgt von zwei weiteren Behandlungen. Nach der Therapie hat KJ bereits Fortschritte gemacht; er kann nun proteinreichere Nahrung zu sich nehmen und benötigt weniger Medikamente, wie **t-online** ergänzt.

Fortschritte und Herausforderungen in der Gen-Therapie

Die Anwendung von CRISPR-Cas9 stellt einen bedeutenden Fortschritt in der gezielten Behandlung genetischer Störungen dar. Diese Technologie, die ursprünglich aus bakteriellen Abwehrmechanismen hervorgegangen ist, erlaubt präzise Modifikationen des Erbguts und hat bereits in anderen Bereichen, wie etwa der Behandlung von Blutkrankheiten oder Mukoviszidose, Erfolge gezeigt. Jedoch sind die langfristige Sicherheit und Wirksamkeit dieser Therapien noch immer Gegenstand laufender Forschung. Eine umfassende Nachbeobachtung von KJ und ähnlichen Patienten wird notwendig sein, um konkrete Aussagen über die Behandlungsergebnisse zu treffen.

Im Zusammenhang mit der Entwicklung solcher personalisierter Therapien gibt es auch ethische Überlegungen. Die Kosten für solche Behandlungen liegen im mehrstelligen Millionenbereich, was den Zugang stark einschränkt. In der Europäischen Union ist bislang keine vergleichbare personalisierte Gentherapie zugelassen, und Experten in Österreich fordern dringend eine Debatte über den Zugang zu diesen innovativen Behandlungen und die ethischen Fragen, die damit verbunden sind. Dies zeigt

sich besonders in der Diskussion um die Verantwortung, die mit der Anwendung von CRISPR-Technologien verbunden ist, wie in einer Übersicht über die Herausforderungen und zukünftigen Perspektiven der CRISPR-Cas9-Technologie erwähnt wird (**PMC**).

Die Behandlung von KJ Muldoon könnte möglicherweise den Weg für weitere innovative Therapien ebnen und gibt Hoffnung, nicht nur für betroffene Familien, sondern auch für die medizinische Forschung insgesamt. Die kommende Zeit wird zeigen, wie sich die Ergebnisse dieser ersten personalisierten Gen-Therapie entwickeln und welche Auswirkungen sie auf zukünftige Behandlungsoptionen haben werden.

Details	
Ort	USA
Quellen	<ul style="list-style-type: none">• www.kosmo.at• www.t-online.de• pmc.ncbi.nlm.nih.gov

Besuchen Sie uns auf: die-nachrichten.at