

Studie untersucht innovative Technologie zur Gentherapie bei schwerer Form einer angeborenen Bluterkrankung

Neue Studie zur Gen-Editierung als therapeutische Perspektive für schwere Beta-Thalassämie in der Klinik für Kinder-Onkologie, -Hämatologie und Klinische Immunologie

23.02.2021 - Im vergangenen Jahr wurden die beiden Erfinderinnen des als „präzise Genschere“ beschriebenen Verfahrens der CRISPR/Cas9-basierten Gen-Editierung mit dem Nobelpreis ausgezeichnet. In einer weltweit an lediglich elf Zentren durchgeführten Studie wird nun untersucht, ob eine Behandlung mit Patienten-eigenen Blutstammzellen, die mit dem CRISPR/Cas9-Verfahren genetisch verändert werden, Jugendlichen und jungen Erwachsenen mit angeborenen Bildungsstörungen des roten Blutfarbstoffs Hämoglobin helfen kann. Im Fokus steht die Beta-Thalassämie, eine schwere Form der Blutarmut. Patienten, die an dieser Erkrankung leiden, sind auf lebenslange Bluttransfusionen angewiesen.

Am Universitätsklinikum Düsseldorf wird sich das Team um Prof. Dr. Roland Meisel aus dem Bereich Pädiatrische Stammzelltherapie der Klinik für Kinder-Onkologie, -Hämatologie und Klinische Immunologie als spezialisiertes Zentrum, an dem auch Kinder, Jugendliche und junge Erwachsene mit Thalassämie behandelt werden, an der CLIMB THAL-111-Studie beteiligen.

Zielgruppe sind Patienten mit transfusionspflichtiger Beta-Thalassämie. Das zu Grunde liegende **Verfahren** (CRISPR/Cas9-basierte Gen-Editierung) ermöglicht erstmals die zielgenaue genetische Veränderung von blutbildenden Stammzellen mit der Perspektive auf Heilung angeborener Störungen der Blutbildung wie der Beta-Thalassämie und der Sichelzellerkrankung.

Kennzeichen der Thalassämie ist eine Blutarmut durch Bildung von zu wenig „erwachsenem“ Hämoglobin. Die Stammzellveränderung durch die „Genschere“ zielt nun auf die Steigerung der Bildung einer Form von Hämoglobin ab, die normalerweise im Fötus gebildet und nach der Geburt zu Gunsten von erwachsenem Hämoglobin abgeschaltet wird. Erste klinische Ergebnisse weisen darauf hin, dass dieses Wirkprinzip bei Thalassämie-Patienten tatsächlich die lebenslang notwendigen, regelmäßigen Bluttransfusionen und die damit verbundenen schweren, teils lebensbedrohlichen Nebenwirkungen verhindern kann. Dies bedarf jedoch der weiteren sorgfältigen Prüfung im Rahmen wissenschaftlicher Studien wie der CLIMB THAL-111-Studie.

Studientitel:

CLIMB THAL-111: „Eine Phase 1/2 Studie zur Sicherheit und Wirksamkeit einer einmaligen Verabreichung von autologen CRISPR-Cas9-modifizierten menschlichen CD34+ hämatopoetischen Stamm- und Progenitor-Zellen bei Patienten mit transfusionsabhängiger β -Thalassämie“

Kontakt: Prof. Dr. Roland Meisel, Pädiatrische Stammzelltherapie, Klinik für Kinder-Onkologie, -Hämatologie und Klinische Immunologie, Zentrum für Kinder- und Jugendmedizin, Tel. +49 (0)211-811-9297, meisel@med.uni-duesseldorf.de