

Personalisierte Medizin für kranke Gene ^[1]

Entdecken ^[2]

Stellen Sie sich vor, unheilbare Erkrankungen mit nur einer einzigen Behandlung zu therapieren. Klingt nach Zukunftsmusik? Durch rasante Fortschritte im Bereich der Zell- und Gentherapie ist das für einige bisher als unheilbar geltende Krankheiten bereits Realität.

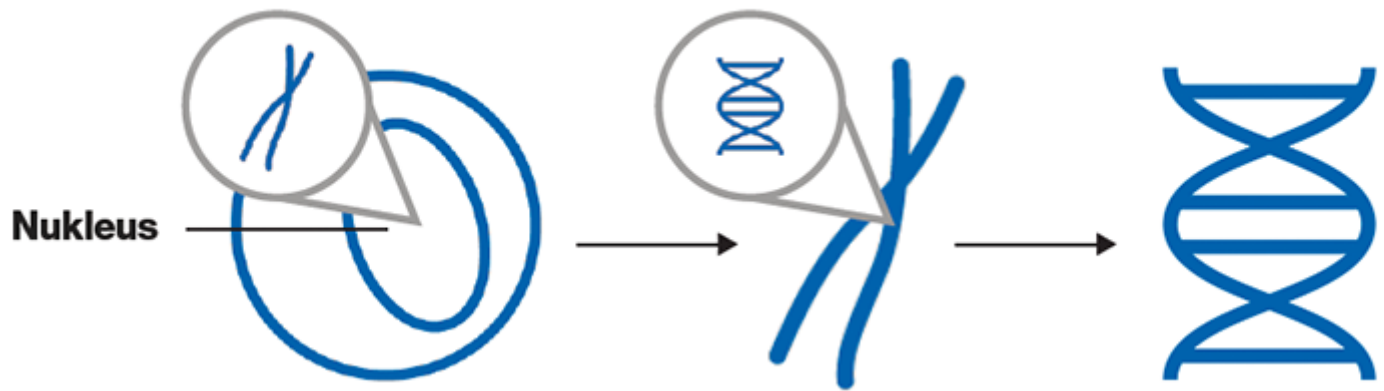
Warum werden Zell- und Gentherapie dringend benötigt?

Patientinnen und Patienten mit seltenen Erkrankungen leiden oft enorm unter ihrer Krankheit, da viele der seltenen Erkrankung nur schlecht oder gar nicht therapiert werden können. Beispielsweise kann sich als Folge einer dieser Erkrankungen eine Form von Blutkrebs (akute lymphatische Leukämie) bilden, die besonders häufig bei kleinen Kindern auftritt¹ und mit großem Leidensdruck für Patienten und Angehörige verbunden ist.

Mehr als 10.000 dieser seltenen Erkrankungen werden durch Mutationen bestimmter Gene verursacht, weshalb die Zell- und Gentherapie speziell Betroffene von seltenen Erkrankungen neue Behandlungsmöglichkeiten eröffnet.

Gene – darum können sie auch krank machen

Der menschliche Körper besteht aus etwa 100 Billionen Zellen – aneinander gereiht würden sie etwa 60 Mal um die Erde reichen². Im Kern (Nukleus) jeder dieser Zellen befinden sich Chromosomen, die aus einer dicht gepackten DNA-Struktur bestehen. Auf dieser DNA wiederum sind alle vererbaren Informationen eines Organismus in bestimmten Abschnitten gespeichert – den Genen³.



Zelle

Der Nukleus kontrolliert die Prozesse der Zelle

Chromosom

Chromosomen sind fadenähnliche Strukturen, die aus DNA bestehen, die viele Male eng um Proteine, sogenannte Histone, gewickelt sind

DNA

Diese Gene bestimmen einerseits unser Aussehen - etwa ob wir blaue oder braune Augen haben – andererseits können Genveränderungen krankmachen: Wenn Gene krankhaft verändert (mutiert) sind, kann die Geninformation nicht korrekt vom Gen abgelesen werden und der Körper produziert fehlerhafte Proteine und Zellen, die zu schweren Erkrankungen führen können⁴. Diese Veränderung können angeboren sein oder an späteren Zeitpunkten im Leben spontan auftreten.

Was ist Gentherapie?

Um krankmachende Gene zu behandeln, werden bei der Gentherapie Gene ersetzt, verändert oder inaktiviert. Das neue Gen wird in einem Vektor – meist ein inaktiver, nicht-krankheitserregender Virus – in die Zelle zu der DNA im Zellkern transportiert. Dafür gibt es zwei Möglichkeiten:

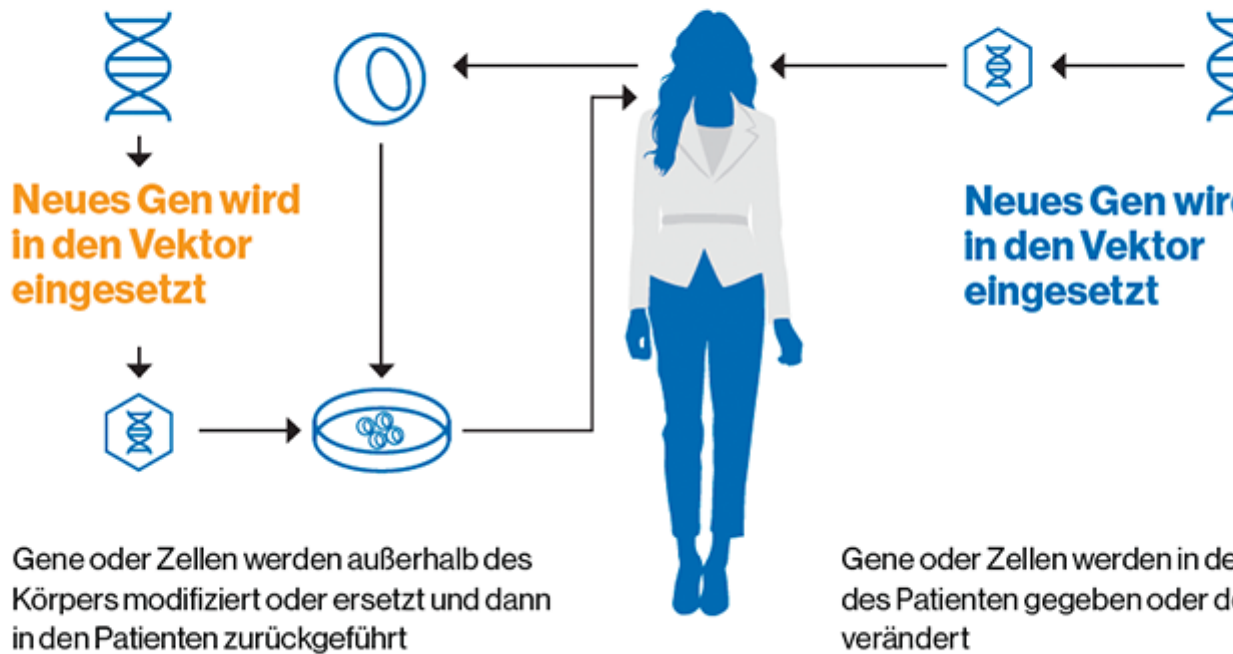
- **Ex Vivo:** Nach der Entnahme von Zellen **aus dem Körper** in Form von Blut oder Gewebe wird der Vektor mit dem Zielgen in bestimmte Zelltypen eingebracht und anschließend in den Körper des Patienten überführt.
- **In Vivo:** Das Zielgen wird direkt **im Körper** des Patienten in die Zellen eingebracht⁵.

EX VIVO

außerhalb des Körpers

IN VIVO

innerhalb des Körpers



Was ist Zelltherapie?

Im Gegensatz zur Gentherapie werden bei der Zelltherapie Zellen verändert oder für den Transport einer Therapie verwendet. Dabei werden Zellen außerhalb des Körpers gezüchtet oder verändert, bevor sie wieder in den Körper des Patienten zurückgeführt werden. Dabei können die Zellen entweder direkt vom Patienten (autologe Zellen) oder von einem Spender (allogene Zellen) stammen⁵. Ein Beispiel für routinemäßig angewandte Zelltherapien ist die Bluttransfusion, bei der unveränderte Zellen von einem Spender auf einen Patienten übertragen werden. Zu den besonders innovativen Methoden der Zelltherapie zählt die CAR-T-Zelltherapie zur Behandlung von Krebserkrankungen⁵.

Was ist die CAR-T-Zelltherapie?

Die CAR-T-Zelltherapie nutzt Techniken der Zell- und der Gentherapie um mit Hilfe des körpereigenen Immunsystems bestimmte Krebsarten zu bekämpfen. Der Name CAR-T-Zelltherapie setzt sich aus den Begriffen **chimäre Antigenrezeptor (CAR)** und **T-Zellen** des Immunsystems zusammen.

Bei dieser Methode werden dem Patienten T-Zellen entnommen, um in diese Zellen mittels eines Vektors ein umprogrammiertes Gen einzubringen. Dieses Gen der T-Zellen wird außerhalb des Körpers so umprogrammiert, dass die T-Zellen nun spezielle Krankheitsmarker (Antigen) an der Zelloberfläche erkennen und so Krebszellen identifizieren können. Diese veränderten T-Zellen (CAR-T-Zellen) werden in den Blutkreislauf des Menschen rückgeführt, wo sie Krebszellen mit dem spezifischen Oberflächenmarker aufspüren und unschädlich

machen können.

Da CAR-T-Zelltherapien für jeden Patienten individuell hergestellt werden, ist die Methode sehr komplex und mit hohem Aufwand verbunden.

Novartis: Pioniere der Zell- und Gentherapie

Novartis hat sich schon frühzeitig im Bereich der Zell- und Gentherapien und insbesondere im Bereich der CAR-T-Zelltherapie engagiert. Das Unternehmen kooperiert seit vielen Jahren mit renommierten Universitäten im Bereich der Grundlagen- und der klinischen Forschung. Vor Kurzem wurde in der Schweiz eine moderne Produktionsanlage für Zell- und Gentherapien wie CAR-T-Zelltherapien und für andere hochkomplexe, schwierig herzustellende Medikamenten und personalisierte, innovative Therapien und Darreichungsformen eröffnet. Damit sichert Novartis auch den Bedarf für Patienten in Europa, die diese komplexen Therapien benötigen.

Referenzen

1. Onkopedia. Akute Lymphatische Leukämie (ALL). <https://www.onkopedia.com/de/onkopedia/guidelines/akute-lymphatische-leukaemie-all/@@guideline/html/index.html> [3] letzter Zugriff am 12.03.2020
2. Spektrum. Wie viele Zellen hat der Mensch? <https://www.spektrum.de/frage/wie-viele-zellen-hat-der-mensch/620672> [4] letzter Zugriff am 21.03.2020
3. National Institutes of Health (NIH) U.S. National library of medicine. What is a gene? <https://ghr.nlm.nih.gov/primer/basics/gene> [5] letzter Zugriff am 15.1.2020
4. World Health Organization. Genes and human diseases. <http://www.who.int/genomics/public/geneticdiseases/en/index2.html> [6] letzter Zugriff am 21.03.2020
5. American Society of Gene & Cell Therapy. Different approaches. <https://www.asgct.org/education/different-approaches> [7] letzter Zugriff am 16.1.2020

Source URL: <https://www.novartis.at/stories/entdecken/personalisierte-medizin-fuer-krank-gene>

Links

- [1] <https://www.novartis.at/stories/entdecken/personalisierte-medizin-fuer-krank-gene>
- [2] <https://www.novartis.at/stories/entdecken>
- [3] <https://www.onkopedia.com/de/onkopedia/guidelines/akute-lymphatische-leukaemie-all/@@guideline/html/index.html>
- [4] <https://www.spektrum.de/frage/wie-viele-zellen-hat-der-mensch/620672>
- [5] <https://ghr.nlm.nih.gov/primer/basics/gene>
- [6] <http://www.who.int/genomics/public/geneticdiseases/en/index2.html>
- [7] <https://www.asgct.org/education/different-approaches>