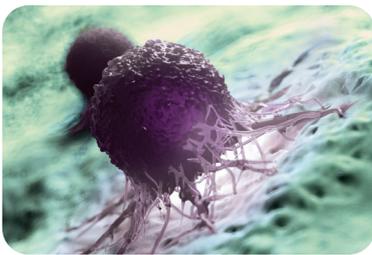


# Hintergrundinformationen zu **Gentherapien**

## Gene: Der **Bauplan** für den menschlichen Körper



Gene weisen die Körperzellen dazu an, die nötigen Bestandteile des Lebens zu bauen, damit unser Körper richtig funktioniert. Unsere DNA, die aus unseren Genen besteht, kann man mit einem Buch vergleichen, das nur Wörter mit vier Buchstaben enthält: A, C, G und T. In der richtigen Reihenfolge liefern sie die Bauanleitung für Proteine. Die Gentherapie spricht die Sprache des Körpers, deren Schrift die Gene sind, und liefert so der Zelle bestimmte Anweisungen, dort, wo der Körper es braucht, bestimmte Behandlungen vorzunehmen.



## Was ist Gentherapie und wie **funktioniert** sie?

Kurz gesagt wird bei der Gentherapie genetisches Material zur Behandlung eingesetzt. Dies kann bedeuten, dass man genetisches Material in die Zellen einer Patientin oder eines Patienten einschleust (siehe Beispiel unten), entnimmt oder verändert, um eine vererbte oder erworbene Krankheit zu behandeln. Eine erfolgreiche Gentherapie basiert auf drei wesentlichen Komponenten: einem optimierten Vektor, einem Promotor und einem krankheitsspezifischen therapeutischen Transgen.

### Liefert das Transgen an die Zielzellen

Stellen Sie sich den Vektor wie einen Shuttle vor, der das gewünschte Gen in die Körperzellen transportiert, um die Funktion des defekten Gens wiederherzustellen. Aktuell sind virale Vektoren die Transportwege, die in den von der FDA zugelassenen Gentherapien am häufigsten verwendet werden. Diese Viren sind in der Regel unbedenklich, was das Auslösen von Krankheiten betrifft.

**VEKTOR**



**PROMOTOR**

**Fördert die Expression des Transgens im Zielgewebe**

Der Promotor ist ein Teil der DNA, der vor dem therapeutischen Transgen platziert ist. Er initiiert dessen Transkription und führt letztendlich zur Entstehung eines Proteins. Promotoren können durch rationales Design wie ein Schalter funktionieren, der die Aktivität eines Gens reguliert.

**TRANSGEN**

**Enthält alle genetischen Informationen, damit die Zellen die therapeutische Wirkung entfalten**

Über virale Vektoren hinaus werden nichtvirale Transportwege auf ihre Sicherheit und Wirksamkeit untersucht. Dazu gehören beispielsweise Lipid-Nanopartikel.



Die dritte Komponente ist eine funktionale Version des therapeutischen Gens, das man Transgen nennt. Es wird in den Vektor eingeschleust, gelangt so in die Zielzelle und liefert die korrekten Anweisungen.

## Erfolgsgeschichten in der **Gentherapie**

Mehrere Gentherapien wurden zur Behandlung verschiedener Erkrankungen zugelassen, darunter einige Arten von Augenkrankheiten, spinale Muskelatrophie und Beta-Thalassämie, eine Blutkrankheit.<sup>3</sup>

## Gentherapien **Wirklichkeit** werden lassen

Gesundheit beginnt mit Wissen, und in den letzten Jahrzehnten hat die Wissenschaft viel über den menschlichen Körper in Erfahrung gebracht, insbesondere in Bezug auf unsere Genetik. Dadurch stehen ärztlichem Personal und Betroffenen jetzt vielversprechende Optionen zur Behandlung einiger der belastendsten Erkrankungen zur Verfügung.

Mit Hunderten von laufenden klinischen Studien und mehreren Zulassungen in den vergangenen Jahren ist die Gentherapie schon heute Realität. Die Gentherapie ist deshalb so wirksam, weil sie viele Krankheiten an der Wurzel angreifen kann – oft ein defektes Gen – und so die Chance bietet, die Standardversorgung von kranken Menschen zu transformieren, die aktuell nur begrenzte oder gar keine Behandlungsoptionen haben.

Es gibt Tausende bekannter genetischer Erkrankungen. Sie betreffen Kinder überproportional, und 95 Prozent sind nicht behandelbar.<sup>1,2</sup> Viele dieser genetischen Erkrankungen werden von einem einzigen Gen ausgelöst und sind somit perfekte Kandidaten für eine Gentherapie.<sup>4</sup>



## Für eine gesündere **Zukunft**

Weltweit befinden sich mehr als **3.800** Zell- und Gentherapien in der Entwicklung.

Zell- und Gentherapien gehören zu den am schnellsten wachsenden Feldern im modernen Gesundheitswesen und haben das Potenzial, Patientinnen und Patienten gezielte und personalisierte Behandlungen zur Verfügung zu stellen.

Zell- und Gentherapien stellen eine wichtige Möglichkeit dar, Krankheiten anders zu behandeln, indem sie die zugrundeliegende Krankheitsursache adressieren oder den Körper in die Lage versetzen, lebenswichtige Funktionen wiederherzustellen.



<sup>1</sup> Global Data Access for Solving Rare Disease: A Health Economic Value Framework\*. World Economic Forum, Februar 2020. [www.weforum.org/docs/WEF\\_Global\\_Data\\_Access\\_for\\_Solving\\_Rare\\_Disease\\_Report\\_2020.pdf](https://www.weforum.org/docs/WEF_Global_Data_Access_for_Solving_Rare_Disease_Report_2020.pdf)

<sup>2</sup> Editorial: Spotlight on rare diseases, The Lancet Diabetes & Endocrinology 2019; 7(2): 75

<sup>3</sup> Gene, Cell, & RNA Therapy Landscape, Q2 2022 Quarterly Data Report, ASCGT

<sup>4</sup> [https://www3.weforum.org/docs/WEF\\_Global\\_Data\\_Access\\_for\\_Solving\\_Rare\\_Disease\\_Report\\_2020.pdf](https://www3.weforum.org/docs/WEF_Global_Data_Access_for_Solving_Rare_Disease_Report_2020.pdf)

# Hintergrundinformationen zu Zelltherapien

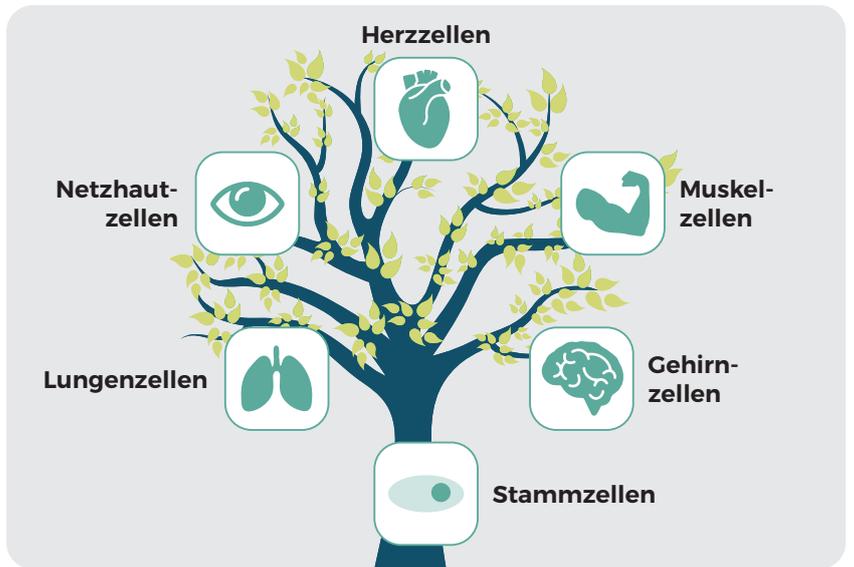


## Was sind Zelltherapien?

Viele Krankheiten werden dadurch ausgelöst, dass Zellen nicht richtig funktionieren oder beschädigt sind. Stellen Sie sich vor, Ärztinnen und Ärzte könnten die Funktionalität und die Gesundheit wiederherstellen, indem sie die durch die Krankheit zerstörten oder beschädigten Zellen ersetzen, anstatt nur die Symptome zu behandeln.

Alle spezialisierten Zellen in unserem Körper, ob Gehirn- oder Herzzelle, sind zu Beginn an winzige, unbeschriebene Blätter voller Potenzial und Möglichkeiten. Diese Zellen, auch Stammzellen genannt, können sich verändern und reifen und dabei eine bestimmte Form und Funktion annehmen.

Vereinfacht gesagt bedeutet eine Zelltherapie, Krankheiten mit lebenden Zellen zu behandeln: Veränderte und gezüchtete Zellen werden auf die Patientin bzw. den Patienten übertragen, um beschädigte Zellen zu reparieren oder zu ersetzen, oder es werden umfunktionierte Zellen transferiert, um deren Funktion zu erweitern. Dies ist ein komplexes Unterfangen und kann auf zwei verschiedenen Wegen erreicht werden:



Im menschlichen Körper gibt es etwa **200 verschiedene Zelltypen**, die jeweils darauf spezialisiert sind, eine bestimmte Funktion zu erfüllen.

### Autologe Zelltherapie

Die transplantierten Zellen stammen von der jeweiligen Patientin bzw. dem jeweiligen Patienten selbst. Durch diesen Behandlungsansatz reduziert sich die Gefahr, dass das Transplantat abgestoßen wird, was einen Vorteil für die betroffene Person darstellt. Allerdings ist es schwierig, große Chargen in kontrollierter Qualität herzustellen.

**Gen-Korrektur von Patientenzellen**

### Allogene Zelltherapie

Die transplantierten Zellen stammen von einer gesunden Spenderin bzw. einem gesunden Spender. Sie werden auf viele erkrankte Personen übertragen. Dieser Ansatz ist vielversprechend, weil spenderbasierte Therapien die Grundlage für Produkte „von der Stange“ bilden können. Der Nachteil ist, dass die „fremden“ Zellen eher von der Empfängerin bzw. dem Empfänger abgestoßen werden.

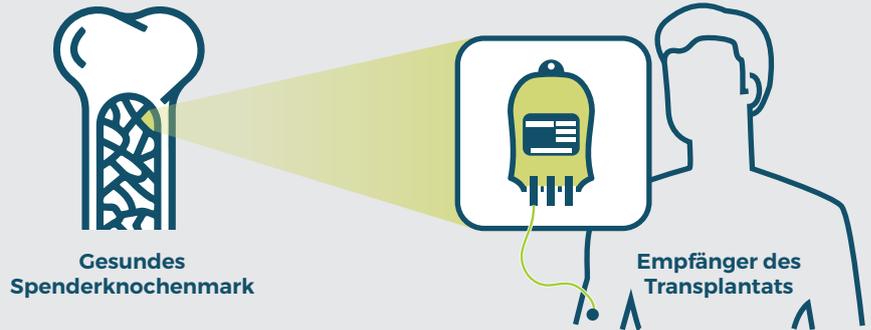
**Ein Spender**

**Viele Empfänger**

# Erfolgsgeschichten in der Zelltherapie

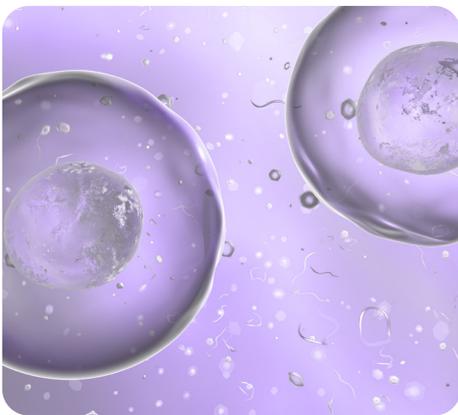
Zelltherapien der ersten Generation verbessern bereits das Leben von Patientinnen und Patienten in aller Welt. Der Einsatz fortgeschrittener Technologien ermöglicht die Entwicklung von Therapien gegen Blutkrankheiten einschließlich einiger Arten von Leukämie und Lymphomen. Tatsächlich gibt es bereits mehrere zugelassene Zelltherapien gegen Krebs, mit denen Betroffene aktuell behandelt werden.

## Beispiel: Knochenmarkstransplantation

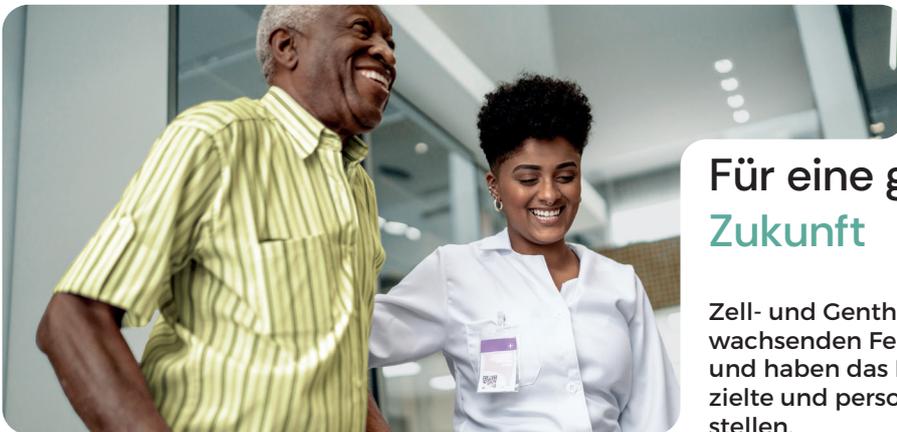
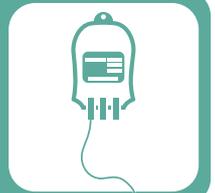


Viele Patientinnen und Patienten haben mittlerweile Stammzellentransplantate erhalten, beispielsweise die Transplantation gesunden Knochenmarks von einer Spenderin bzw. einem Spender.

Diese Stammzellen helfen krebserkrankten Menschen dabei, neue Blutzellen zu produzieren, nachdem ihre eigenen Stammzellen beispielsweise nach einer Chemotherapie die Fähigkeit dazu verloren haben.



Wussten Sie, dass die Knochenmarkstransplantation eine der etabliertesten Zelltherapien ist, die im Einsatz sind, um Erkrankungen wirksam zu behandeln? Tatsächlich finden weltweit jedes Jahr **50.000** solcher Transplantationen statt.<sup>1</sup>



## Für eine gesündere Zukunft

Weltweit befinden sich mehr als **3.800** Zell- und Gentherapien in der Entwicklung.

Zell- und Gentherapien gehören zu den am schnellsten wachsenden Feldern im modernen Gesundheitswesen und haben das Potenzial, Patientinnen und Patienten gezielte und personalisierte Behandlungen zur Verfügung zu stellen.

Zell- und Gentherapien stellen eine wichtige Möglichkeit dar, Krankheiten anders zu behandeln, indem sie die zugrundeliegende Krankheitsursache adressieren oder den Körper in die Lage versetzen, lebenswichtige Funktionen wiederherzustellen.