

frühjahrstagung ÖGDV

## Heilung durch umprogrammierte Gene

Hoffnung für Menschen mit Epidermolysis bullosa und Psoriasis.

**Bei „Schmetterlingskindern“ wurden erste Erfolge mit der innovativen Gentherapie erzielt. Auch für Patienten mit Psoriasis ist der neue Ansatz eine Option.**

Völlig neue Therapiestrategien, mit denen direkt bei den für bestimmte Hautkrankheiten verantwortlichen geschädigten Genen angesetzt wird, könnten Patienten mit der bisher unheilbaren Epidermolysis bullosa, aber auch zahlreichen Psoriasis-Patienten helfen, berichtete Prof. Dr. Johann Bauer bei der ÖGDV-Frühjahrstagung.

### Trans-splicing

„Das menschliche Genom ist vor Eindringen gut geschützt. Spezielle Schutz-Eiweiße und eine effiziente Verpackungsstruktur verhindern, dass Bakterien und

Viren ihre Fremd-DNA in die menschliche Erbsubstanz einbringen können“, erklärte Bauer wichtige Voraussetzungen des neuen Behandlungsansatzes. Nur in ganz bestimmten Momenten wird diese Barriere aufgehoben: Unter anderem im „Spleiß“-Prozess, in welchem die „unreife“ RNA in „reife“ RNA überschrieben wird.

Diese „Schwäche“-Phase wird nun gezielt genutzt, indem in den Spleiß-Vorgang eingegriffen wird. Diese Methode wird als „Trans-splicing“ oder „Trans-Spleißen“ bezeichnet. „Wir untersuchen derzeit zwei Möglichkeiten des Trans-Spleißens“, erklärte Bauer. „Beim ersten Ansatz werden schadhafte Bereiche der reifen RNA eines Patienten durch korrigiertes Material ersetzt.“ Hoffnung bringt dieser Ansatz Patienten mit Epidermolysis bullosa (EB). „Bei EB-Patienten sind Abschnitte in jenem Gen,



Foto: R. Hamelner

### Prof. Dr. Johann Bauer

Universitätsklinik für Dermatologie, Paracelsus Medizinische Privatuniversität, Salzburg

das für die Produktion bestimmter Eiweiße zuständig ist, krankhaft verändert“, erklärte Bauer. „Mit Hilfe der neuen Technologie werden die korrigierten RNA-Abschnitte durch Gen-Schiffe in schadhafte Körperzellen eingebracht, und so können diese Zellen fehlende Proteine wieder produzieren.“

Ein weiteres Einsatzgebiet sind Erkrankungen des Immunsystems wie die Psoriasis. „Hier werden bestimmte Proteine der Hautgefäße, die bei dieser Erkrankung vermehrt produziert werden, durch Zytokine ersetzt“, erklärte Bauer. **B&K/PH ■**