



**World Ophthalmology Congress 2010
(incl. AAD und DOG-Kongress), 3. bis 9. Juni 2010, ICC Berlin**

**Gentherapie gegen Erblindung:
Erste Erfolge bei erblichen Netzhauterkrankungen**

**Berlin, April 2010 – Menschen mit seltenen erblichen Augen-
erkrankungen wie der Leberschen kongenitalen Amaurose
leiden von Geburt an unter schweren Sehstörungen. Oft
erblinden sie noch vor dem Erwachsenenalter vollständig.
Gentherapeutische Ansätze können helfen, die Sehleistung zu
verbessern und eine Erblindung zu verhindern. Erste Studien-
ergebnisse diskutieren Augenärzte aus 120 Ländern auf dem
World Ophthalmology Congress (WOC® 2010), der im Juni in
Berlin stattfindet.**

Für zwei erbliche Netzhauterkrankungen erzielten Ärzte mithilfe der Gentherapie erste Erfolge: Einerseits bei einer seltenen Form der Leberschen kongenitalen Amaurose (LCA), an der etwa 200 Patienten in Deutschland leiden. Durch einen Defekt im sogenannten RPE65-Gen ist bei ihnen die Bildung des Sehpigments gestört. „Betroffene haben bereits in den ersten beiden Lebensjahren schwere Sehstörungen. Nach und nach verlieren sie ihre Sehkraft und erblinden häufig noch vor Erreichen des 20. Lebensjahres vollständig“, berichtet Professor Dr. med. Birgit Lorenz, Direktorin der Klinik und Poliklinik für Augenheilkunde am Universitätsklinikum Gießen und Marburg.

Im Rahmen der Gentherapie injizieren die Ärzte den Patienten virale Vektoren, die sie zuvor mit einer korrekten Version von RPE65 bestücken, unter die Netzhaut des Auges. Virale Vektoren, auch „Genfähren“ genannt, sind Transportvehikel zur Übertragung von Fremdgenen in eine lebende Empfängerzelle. Die Vektoren legen das Gen in den Pigmentzellen der Netzhaut ab, die daraufhin das korrekte Protein herstellen. Danach setzt die Bildung des funktionellen Sehpigments wieder ein. „Eine erste Anwendung dieser Therapie an 18 Patienten in England und den USA hat gezeigt, dass sich die Sehleistung – vor allem bei jungen Patienten – langfristig bessert“, berichtet Lorenz im Vorfeld des WOC® 2010. Derzeit laufen insgesamt sechs Studien oder sind in der Vorbereitung.

Press Office WOC® 2010
Silke Stark
P.O.B. 30 11 20
70451 Stuttgart
Phone: +49 (0)711 8931-572
Fax: +49 (0)711 8931-167
stark@medizinkommunikation.org

www.woc2010.de



Auch Menschen mit der ebenfalls erblichen Retinitis pigmentosa (RP) kann eine Gentherapie helfen. Die Erkrankung führt zu einer Zerstörung der Netzhaut und in späteren Stadien ebenfalls zur Erblindung. Anders als bei der LCA versuchen die Ärzte hier jedoch nicht, den Gendefekt direkt zu beheben. Sie setzen den Patienten vielmehr eine kleine Kapsel ins Auge. Diese enthält gentechnisch veränderte Zellen, die das Protein CNTF, den „ciliary neurotrophic factor“, bilden. In der Netzhaut soll CNTF den Zelluntergang verhindern. „Auch hier sind die ersten Ergebnisse vielversprechend. Bei den zehn Studienteilnehmern stabilisierte oder verbesserte sich die Sehfähigkeit“, erklärt Lorenz, die die Möglichkeiten der Gentherapie in der Augenheilkunde auch mit ihren Kollegen auf dem WOC® 2010 diskutieren wird.

Eine weitere Studie mit diesen CNTF produzierenden Kapseln wurde mittlerweile an Patienten mit der trockenen Form der altersabhängigen Makuladegeneration (AMD) durchgeführt. Die Veröffentlichung der Ergebnisse steht noch aus. Sollte die Gentherapie hier erfolgreich sein, könnte sie für eine große Zahl von Patienten infrage kommen. In den Industrieländern ist die AMD die häufigste Ursache für schwere Sehbehinderungen und Blindheit.

Bei Veröffentlichung Beleg erbeten.

Terminhinweis:

WOC-Symposium: Leber Congenital Amaurosis: Classification and Treatment of Childhood Onset Severe Retinal Dystrophies

Dienstag, 8. Juni 2010, 16.00 bis 17.30 Uhr, Raum 014, ICC Berlin, Neue Kantstraße/Ecke Messedamm, 14057 Berlin

Mit dem World Ophthalmology Congress (WOC® 2010) richtet Deutschland 2010 den größten internationalen Fachkongress zum Thema Augenheilkunde aus. Neben dem 32. International Congress of Ophthalmology (ICO) finden auch der 108. Kongress der Deutschen Ophthalmologischen Gesellschaft (DOG) und die Augenärztliche Akademie Deutschland (AAD) unter dem Dach des WOC® 2010 statt. Die AAD-Kurse werden vom 3. bis zum 6. Juni 2010 in deutscher Sprache abgehalten. Vom 5. bis zum 9. Juni schließt sich das internationale Programm in englischer Sprache an. Die Veranstalter erwarten mehr als 8 000 Teilnehmer aus etwa 120 Ländern.