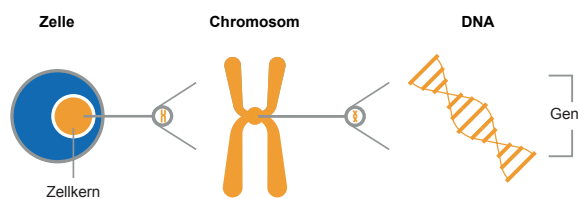


Was sind Gentherapien?

Neue Hoffnung bei bisher nicht behandelbaren genetischen Erkrankungen – das versprechen sich viele Menschen von Gentherapien. Doch was ist eine Gentherapie und wie funktioniert sie? Die Antwort liegt in den kleinsten Funktionseinheiten des Körpers: den Zellen.

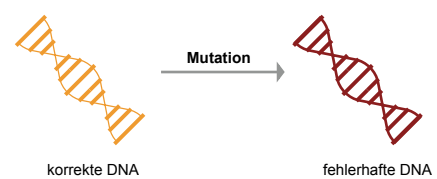
Welche Aufgaben haben Gene?

Gene sind Abschnitte innerhalb der Erbsubstanz (DNA). Die darin gespeicherten Informationen bilden als Baupläne die Grundlage für alle Vorgänge im Körper. Jede Zelle enthält einen doppelten Satz genetischer Information – jeweils ein Satz kommt von jedem Elternteil.¹



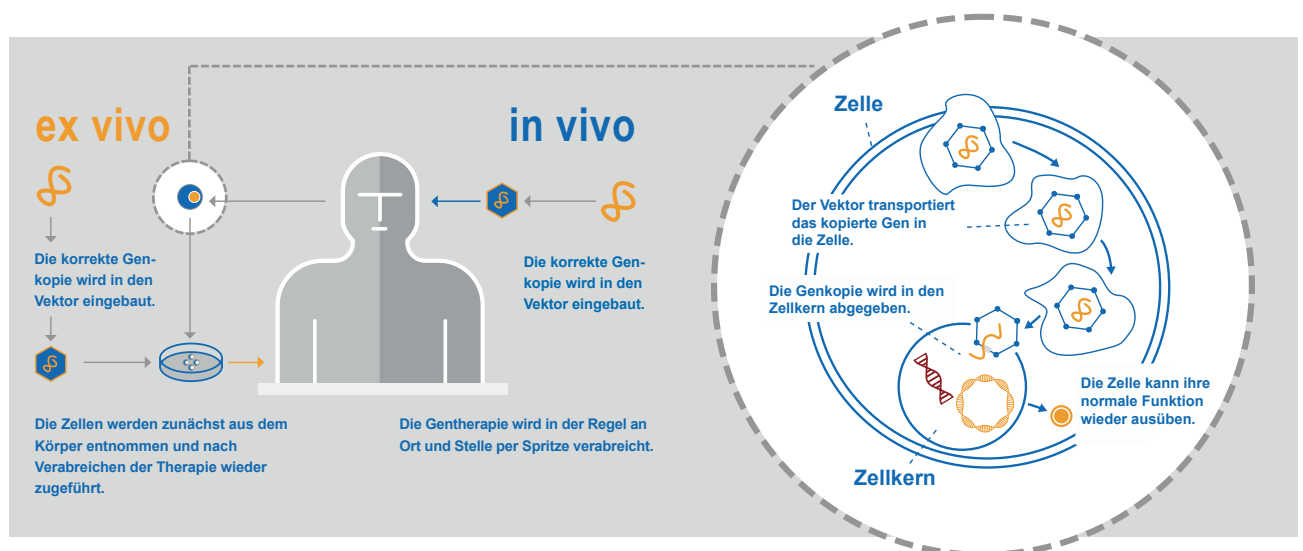
Was sind genetisch bedingte Krankheiten?

Bei der Vervielfältigung von Genen während der Fortpflanzung können Fehler auftreten: Man spricht von genetischen Mutationen. In der Folge können Körperzellen ihre Funktion nicht mehr ausführen und genetisch bedingte Krankheiten können entstehen.^{2, 3}



Wie funktionieren Zell- und Gentherapien?

Zell- oder Gentherapien zielen darauf ab, genetische Erkrankungen zu behandeln, indem sie zum Beispiel ein oder mehrere mutierte Gene durch korrekte Versionen ersetzen. Diese können dazu in spezielle Transporter verpackt werden, sogenannte Vektoren. Sie können in Körperzellen eindringen und die korrekte Genkopie in den Zellkern entladen.⁴ Dieser Vorgang kann außerhalb des Körpers geschehen (*ex vivo*) wie z.B. bei den Zelltherapien, oder innerhalb (*in vivo*).⁴ Sobald den Zellen wieder eine intakte Genkopie zur Verfügung steht, können diese ihre normale Funktion wieder ausüben.⁴



Referenzen:

1. NIH. U.S. National library of medicine. What is a gene? Verfügbar unter: <https://ghr.nlm.nih.gov/primer/basics/gene>. Letzter Zugriff: Mai 2019.
2. NIH. U.S. National library of medicine. What is a gene mutation and how do mutations occur? Verfügbar unter: <https://ghr.nlm.nih.gov/primer/mutationsanddisorders/genemutation>. Letzter Zugriff: Mai 2019.
3. NIH. U.S. National library of medicine. What kinds of gene mutations are possible? Verfügbar unter: <https://ghr.nlm.nih.gov/primer/mutationsanddisorders/possiblemutations>. Letzter Zugriff: Mai 2019.
4. High KA. The Jeremiah Metzger Lecture: Gene Therapy for Inherited Disorders: From Christmas Disease to Leber's Amaurosis. Transactions of the American Clinical and Climatological Association. 2009;120:331–359.