



DOG
Deutsche Ophthalmologische
Gesellschaft

Gesellschaft
für Augenheilkunde

DOG 2017
28. September bis 1. Oktober 2017, Estrel Berlin

DOG 2017
28.9.-1.10.2017
Estrel, Berlin

Präsident der DOG
Prof. Dr. Thomas Kohnen
Frankfurt am Main

Erfolgreiche Therapie eines Enzymmangels Erste Gentherapie am Auge vor der Zulassung

Berlin, September 2017 – In den USA ist kürzlich erstmals eine Gentherapie gegen Krebs zugelassen worden. Jetzt rechnen deutsche Augenexperten mit einem baldigen Start der ersten Gentherapie auch am Auge. Welchen Patienten hierzulande diese und weitere Behandlungen nützen könnten, erläutern Experten der DOG Deutsche Ophthalmologische Gesellschaft auf einer Pressekonferenz am 21. September 2017 in Berlin, die im Vorfeld der DOG 2017 stattfindet.

Der komplexe Lichtsensor der menschlichen „Augenkamera“ namens Retina oder Netzhaut ist anfällig für Erbkrankheiten. „Mehr als 250 verschiedene genetische Sehstörungen sind bekannt, die meisten davon glücklicherweise selten“, erläutert DOG-Präsident Professor Dr. med. Thomas Kohnen. Ein Beispiel sind Mutationen im Gen RPE65. Es enthält die Information für ein Enzym, das zur Reaktivierung des Sehpigments nach Bleichung benötigt wird – ein Ausfall führt zu einer allmählichen Zerstörung der Sinneszellen in der Netzhaut. Deutschlandweit sind etwa 150 bis 200 Patienten betroffen. Allein 25 kindliche und jugendliche Patienten werden von Professorin Dr. med. Birgit Lorenz an der Justus-Liebig-Universität Gießen betreut.

Die Expertin hofft jetzt auf die baldige Zulassung einer Gentherapie, die in den vergangenen zehn Jahren international an 137 Patienten erprobt worden ist. Bei der Behandlung werden intakte Versionen des RPE65-Gens in Virenhüllen verpackt und über eine Kanüle unter die Netzhaut injiziert. „Die Virenhüllen dienen als Genfähren“, erläutert Birgit Lorenz, Direktorin der Klinik und Poliklinik für Augenheilkunde am Universitätsklinikum Gießen. „Nach der Infektion werden sie im Zellinneren abgeladen. Dort stehen sie dann zur Produktion des fehlenden Enzyms zur Verfügung.“

Die bisherigen Ergebnisse sind vielversprechend. „Die Behandlung hat sich in allen publizierten Studien als sicher erwiesen“, berichtet die DOG-Expertin, operationsbedingte Komplikationen seien sehr selten aufgetreten. Eine einmalige Injektion reicht vermutlich aus, um die Proteinfunktion lebenslang wiederherzustellen.

Die Therapie kann bereits abgestorbene Sinneszellen nicht wiederbeleben. Sie kann jedoch das weitere Fortschreiten der

Pressestelle der DOG
Kerstin Ullrich
Postfach 30 11 20, 70451 Stuttgart
Tel.: +49 711 8931 641
Fax: +49 711 8931 167
ullrich@medizinkommunikation.org

DOG
Deutsche Ophthalmologische
Gesellschaft e.V.
Geschäftsstelle:
Platenstraße 1
80336 München
geschaeftsstelle@dog.org

www.dog-kongress.de
www.dog.org



Erkrankung verlangsamen. „In den Studien kam es vor allem bei schlechten Lichtverhältnissen zu einer Verbesserung des Sehens“, erklärt Lorenz. Die Sehschärfe insgesamt konnte zwar nicht sicher verbessert werden. Bei einigen Patienten komme es jedoch zu einer Vergrößerung des Gesichtsfeldes. In den USA hat der Hersteller bereits die Zulassung bei der dortigen Behörde FDA beantragt. „Parallel dazu wird der Antrag bei der Europäische Arzneimittel-Agentur EMA vorbereitet“, so Lorenz. Damit steht die Entwicklung von Gentherapien für angeborene Augenkrankheiten, die vor zehn Jahren begonnen wurde und mittlerweile auch in Deutschland vorangetrieben wird, vor einem ersten Erfolg.

Eine weitere Gentherapie wird derzeit bei der Chorioideremie erprobt. Ursache sind Mutationen im CHM-Gen auf dem X-Chromosom. Die betroffenen Patienten, alle männlich, leiden an einer angeborenen Nachtblindheit und einer Gesichtsfeldeinschränkung, die von außen nach innen fortschreitet. „Die Gentherapie zielt darauf ab, die Makula zu erhalten“, erklärt Lorenz. Die Makula ist im Zentrum der Netzhaut der Ort des schärfsten Sehens. Ohne sie können Patienten keine Details erkennen und nicht lesen. Bisher wurden 44 Patienten jeweils an einem Auge behandelt, darunter sechs in Tübingen. „Die ersten Langzeitergebnisse sind günstig“, fügt die Gießener Ophthalmologin hinzu. Nach dreieinhalb Jahren hat sich bei zwei von sechs in Oxford behandelten Patienten das Sehvermögen verbessert, während die Erkrankung im unbehandelten Auge weiter fortschritt.

Darüber hinaus blicken Experten mit Spannung auf den Verlauf einer Gentherapie zur Farbenblindheit. Seit 2015 werden in Tübingen, München und New York Patienten behandelt, bei denen es aufgrund von Mutationen im Gen CNGA3 zum Ausfall der Zapfen kommt, die in der Netzhaut für das Farbsehen zuständig sind. Die Folge ist Achromatopsie, eine extreme Farbenblindheit. „Da die Stäbchen für das Schwarzweißsehen im Hellen nicht funktionieren, sind die Patienten bei Tag quasi blind, wenn sie nicht die Augen zukneifen, um möglichst wenig Licht in die Augen fallen zu lassen“, beschreibt Lorenz das Krankheitsbild. Auch hier könnte eine Gentherapie helfen, die Zapfen wieder funktionstüchtig zu machen. Die ersten Ergebnisse der Studie, die in Deutschland initiiert wurde, werden für das Frühjahr 2018 erwartet.

In Gießen wird derzeit an einer grundsätzlichen Verbesserung der Gentherapie gearbeitet. „Statt mit Genfähren zusätzliche DNA in die Zellen zu schleusen, sollen moderne Genom-Editoren die mutierten Gene gleich vor Ort reparieren“, erklärt Professor Lorenz. Ob dies gelingt, lässt sich derzeit nicht absehen. Die Experimente befinden sich noch im Laborstadium.

Bei Veröffentlichung Beleg erbeten.



DOG 2017
28.9.-1.10.2017
Estrel, Berlin

Terminhinweis:

Kongress-Pressekonferenz im Rahmen der DOG 2017

Termin: Donnerstag, 28. September 2017, 12:30 bis 13:30 Uhr

Ort: Estrel Congress & Messe Center Berlin, Raum Paris (Erdgeschoss)

DOG: Forschung – Lehre – Krankenversorgung

Die DOG ist die medizinisch-wissenschaftliche Fachgesellschaft für Augenheilkunde in Deutschland. Sie vereint unter ihrem Dach mehr als 7200 Ärzte und Wissenschaftler, die augenheilkundlich forschen, lehren und behandeln. Wesentliches Anliegen der DOG ist es, die Forschung in der Augenheilkunde zu fördern: Sie unterstützt wissenschaftliche Projekte und Studien, veranstaltet Kongresse und gibt wissenschaftliche Fachzeitschriften heraus. Darüber hinaus setzt sich die DOG für den wissenschaftlichen Nachwuchs in der Augenheilkunde ein, indem sie zum Beispiel Stipendien vor allem für junge Forscher vergibt. Gegründet im Jahr 1857 in Heidelberg, ist die DOG die älteste medizinisch-wissenschaftliche Fachgesellschaft der Welt.