

# Gentherapie

Gentherapie ist eine Methode, die Funktion von Zellen wiederherzustellen, denen Gene fehlen oder deren Gene nicht wie vorgesehen funktionieren. Gene enthalten all die für den Aufbau und den Erhalt von Zellen benötigten Informationen und werden durch DNS (Desoxyribonukleinsäure) kodiert. Der Kern jeder einzelnen Zelle enthält 23 Chromosomenpaare, deren jedes wiederum Tausende von Genen enthält. Bestimmte Krankheiten werden durch als „genetische Abweichungen“ bezeichnete kleine Veränderungen der DNS unserer Gene verursacht. Derartige Abweichungen treten auf, wenn die durch unsere Gene kodierten Informationen fehlerhaft kopiert werden, was zur Produktion fehlerhafter Proteine führen kann, die wiederum Krankheiten verursachen. Gentherapien werden eingesetzt, um das Problem an der Wurzel zu behandeln. Das bedeutet, dass erkrankte Gewebe und Organe anschließend einwandfrei arbeiten können.

Die Gentherapie ist eine hochgradig experimentelle Technik, die in einigen klinischen Studien am Menschen bei Erkrankungen wie Immunschwächen (bei denen das Immunsystem nicht einwandfrei funktioniert), Muskeldystrophie (fortschreitender Abbau der Skelettmuskulatur) und Anämie (Schwund oder Funktionsverlust der roten Blutkörperchen) vielversprechende Ergebnisse gezeigt hat. Seit 1990 wurden weltweit über 1700 klinische Studien durchgeführt.

Der Gentherapie-Ansatz eignet sich für Erkrankungen, bei denen ein einzelnes Gen entweder durch eine einzelne Variante oder durch multiple Variationen im selben Gen betroffen ist. Bei Erkrankungen, an denen mehrere Gene beteiligt sind, ist dieser Ansatz deutlich komplizierter, und es ist unwahrscheinlich, dass er zum Erfolg führt.

# Weitergehende Informationen

- European Society of Gene and Cell Therapy. (2011). *Introduction to Gene Therapy*. <https://web.archive.org/web/20170130082943/http://www.esgct.eu/useful-information/introduction-to-gene-therapy.aspx> (Stand: 17. Juni 2015)

# Quellenangaben

1. U.S. National Library of Medicine. (2015). *Genetics Home Reference*. Retrieved June 17, 2015, from <http://ghr.nlm.nih.gov/>

A2-1.06.6V1.1