

# Groß im Kommen: Gen- und Zelltherapie

Fortschritte in der Zell- und Gentherapie könnten die Medizin revolutionieren – und viele Patienten mit bisher nicht oder kaum zu behandelnden Erkrankungen könnten in Zukunft therapiert oder geheilt werden.

Mai 23, 2019

In der Zell- und Gentherapie leistet Novartis Pionierarbeit. Ständig treibt das Unternehmen die Entwicklung innovativer Verfahren und Techniken in diesem Forschungsfeld voran. So verschiebt Novartis Grenzen hin zu neuen Möglichkeiten der Behandlung von Patienten mit schwersten Erkrankungen – inklusive genetisch bedingter Leiden und bestimmter aggressiver Krebsarten.

Zell- und Gentherapien können nicht nur Symptome dieser Erkrankungen lindern. Sie können sie an ihrer Wurzel fassen, ihren Ursachen. Und es sind oft Behandlungen, die nur ein einziges Mal verabreicht werden. Die genutzten Werkzeuge und Techniken der Gen- und Zelltherapie wurden von unzähligen Experten weltweit getestet und immer wieder verfeinert – zuerst im Labor, dann in der Klinik mit Patienten.

## CAR-T als Türöffner zu einer neuen Therapie-Welt

Die CAR-T-Technologie – eine Art kombinierte Zell- und Gentherapie – ist das erste zugelassene Verfahren seiner Art. Das heißt: Abwehrzellen aus dem Blut des Patienten werden entnommen, außerhalb des Körpers gentechnisch so verändert, dass sie die Krebszellen erkennen und vernichten können, und dann als CAR-T-Zellen in den Körper zurückinfundiert. Dort vermehren sie sich und entfalten ihre Wirkung als eine Art „lebendes Medikament“. Novartis arbeitet bereits an der Weiterentwicklung der CAR-T-Therapie für verschiedene bösartige Tumoren.

## Im Visier der Gentherapie: Erberkrankungen

Die „klassische“ Gentherapie hingegen zielt auf Krankheiten ab, die jeweils von defekten oder fehlenden Genen (meist) schon von Geburt an verursacht werden. Dann fehlt dem Körper ein wichtiges Protein oder Enzym. Das Ergebnis: Im Stoffwechsel funktioniert etwas nicht richtig.

Die Gentherapie versucht, dieses fundamentale Problem zu lösen. Sie schleust eine gesunde Kopie des jeweils defekten oder fehlenden Gens in den Körper ein. Dafür kann diese Kopie z.B. in einen sogenannten viralen Vektor eingebaut werden – eine Art Genfähre. Der Vektor wird integriert und bringt das gesunde Gen zu den Zellen, die es brauchen. Die Zellen produzieren dann das wichtige Protein oder Enzym.

## Schwerpunkt der Gentherapie: Gehirn, Augen, Blutssystem

Novartis konzentriert sich dabei zunächst auf erbliche Erkrankungen des zentralen Nervensystems, der Augen und des Blutsystems – auch aufgrund der großen Expertise des Unternehmens in diesen Bereichen. Hinzu kommt: In die jeweiligen Gewebe lassen sich die gesunden Gene relativ leicht und zielgenau einbringen.

## Blind durch ein defektes Gen

Ein Beispiel: Jahr für Jahr kommen Kinder mit Mutationen im sogenannten RPE65-Gen zur Welt. Mit der Zeit können diese Patienten vollständig erblinden. Dagegen hat die Firma „Spark Therapeutics“ eine Gentherapie

entwickelt. Novartis hat die Rechte für diese Behandlung außerhalb der Vereinigten Staaten erworben und macht sie den Patienten zugänglich.

□

## **Zell- und Gentherapie bei Novartis**

Wir arbeiten daran, die Möglichkeiten von Zell- und Gentherapien zu reellen Chancen für Patienten zu machen. Hier lesen Sie [mehr](#).

---

**Source URL:** <https://dev1.novartis.de/geschichten/gross-im-kommen-gen-und-zelltherapie>

### **List of links present in page**

1. <https://dev1.novartis.de/geschichten/gross-im-kommen-gen-und-zelltherapie>
2. <https://dev1.novartis.de/stories/entdecken>
3. <https://dev1.novartis.de/geschichten/wie-die-car-t-zell-therapie-funktioniert>
4. <https://www.novartis.com/about/innovative-medicines/novartis-pharmaceuticals/novartis-gene-therapies>