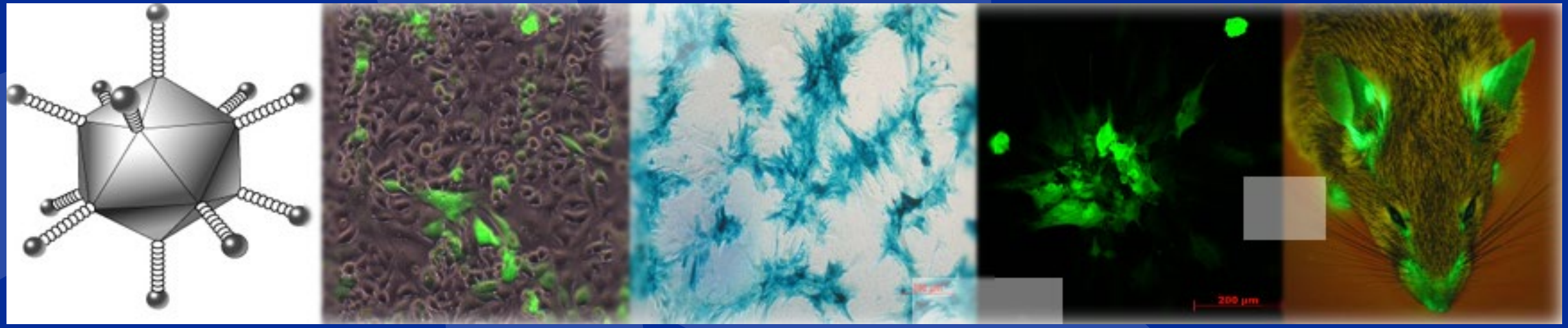
AO
Research Institute Davos

Gentherapie – Grundlagen, Anwendungen und Forschung



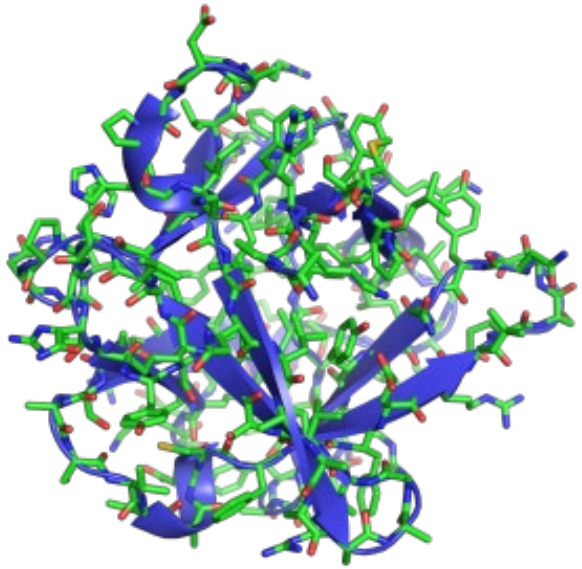
Sibylle Grad
AO Forschungsinstitut Davos

Davos Weiss Mehr
24. Februar 2022

Regulatorische Proteine

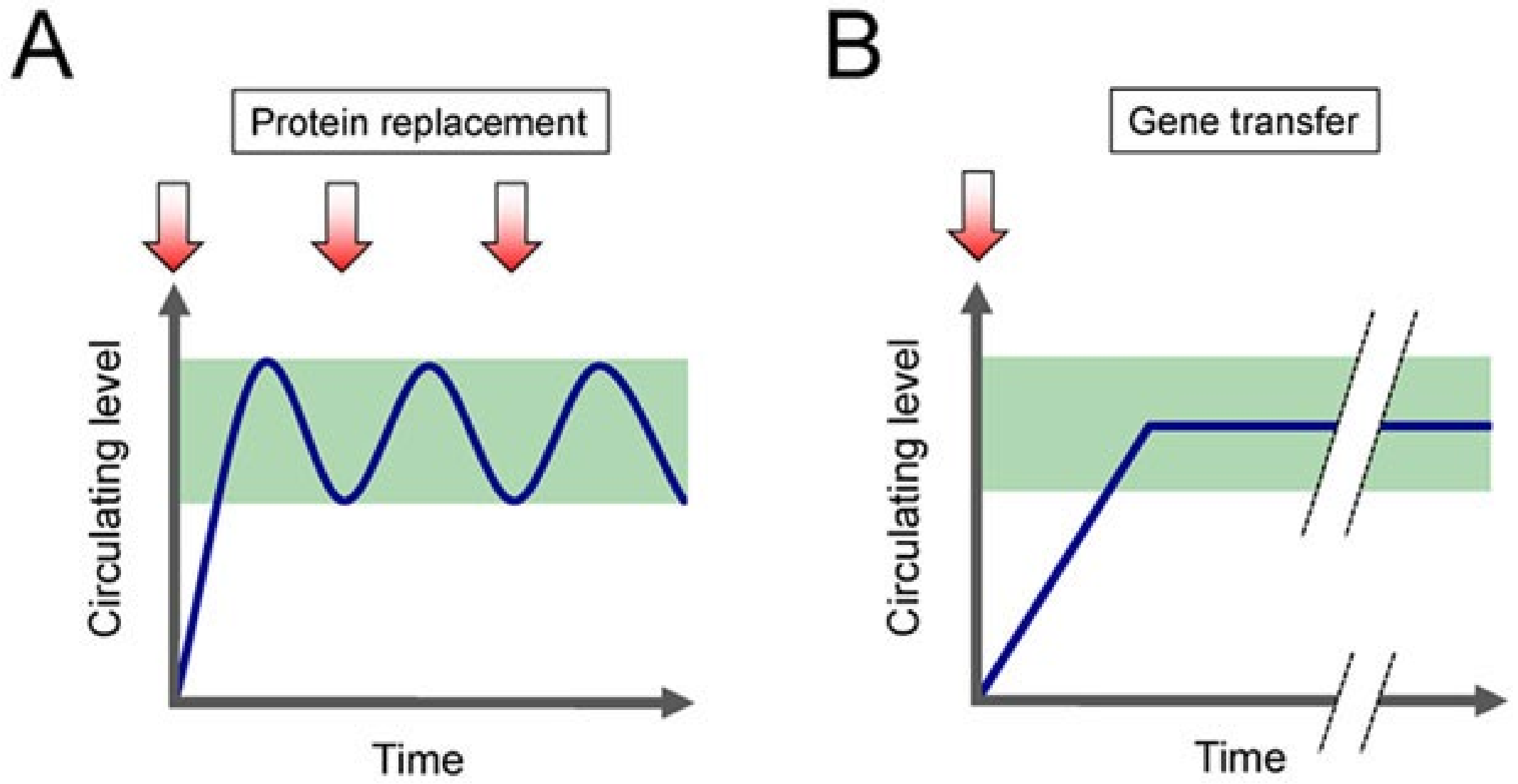
Natürlich vorkommende Proteine
z.B. Wachstumsfaktoren, Hormone

Regulation von:
Zellwachstum,
Stoffwechsel,
Gewebe-Heilung etc.



Fibroblast Growth Factor 2

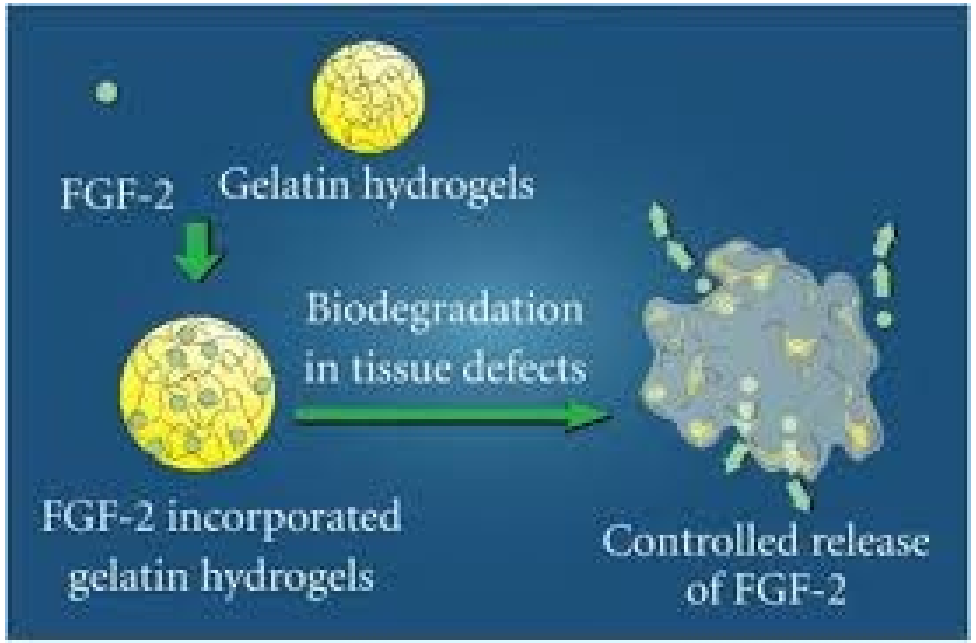
Protein-Therapie



Verabreichung von Proteinen

Wiederholte Injektion

Kontinuierliche Freisetzung



Gentherapie

- Nicht - Viral
- Viral

Was bedeutet Gentherapie bzw. mRNA-Therapie?

Transfer von DNA oder mRNA
in die Zelle

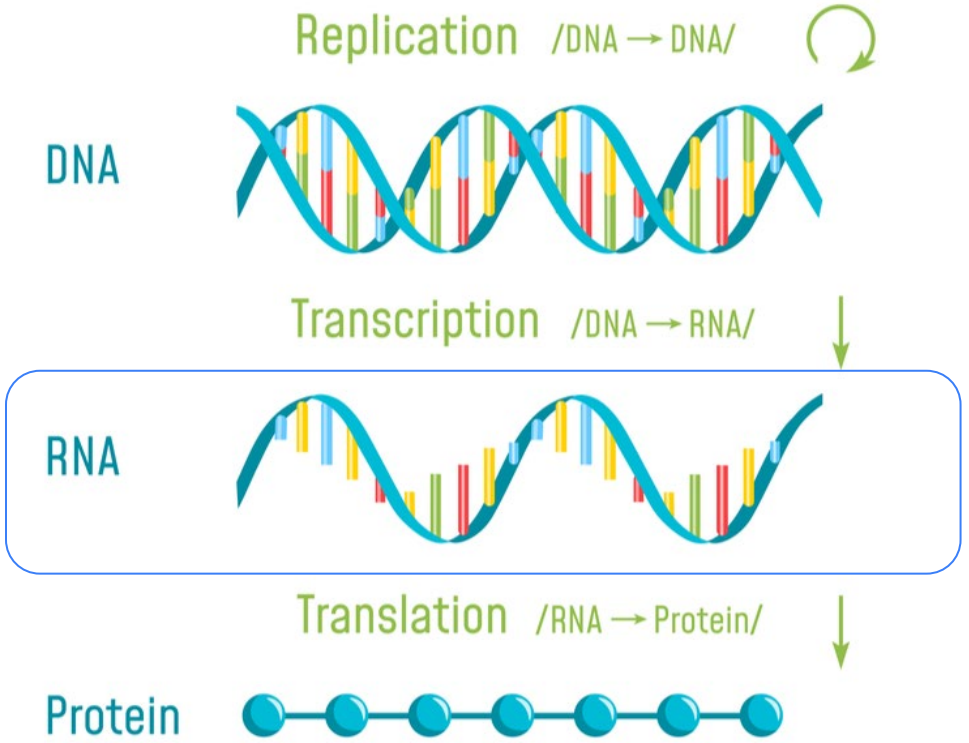
Anwendung:
Korrektur von Gendefekten
Produktion eines (fehlenden) Proteins

mRNA Therapie

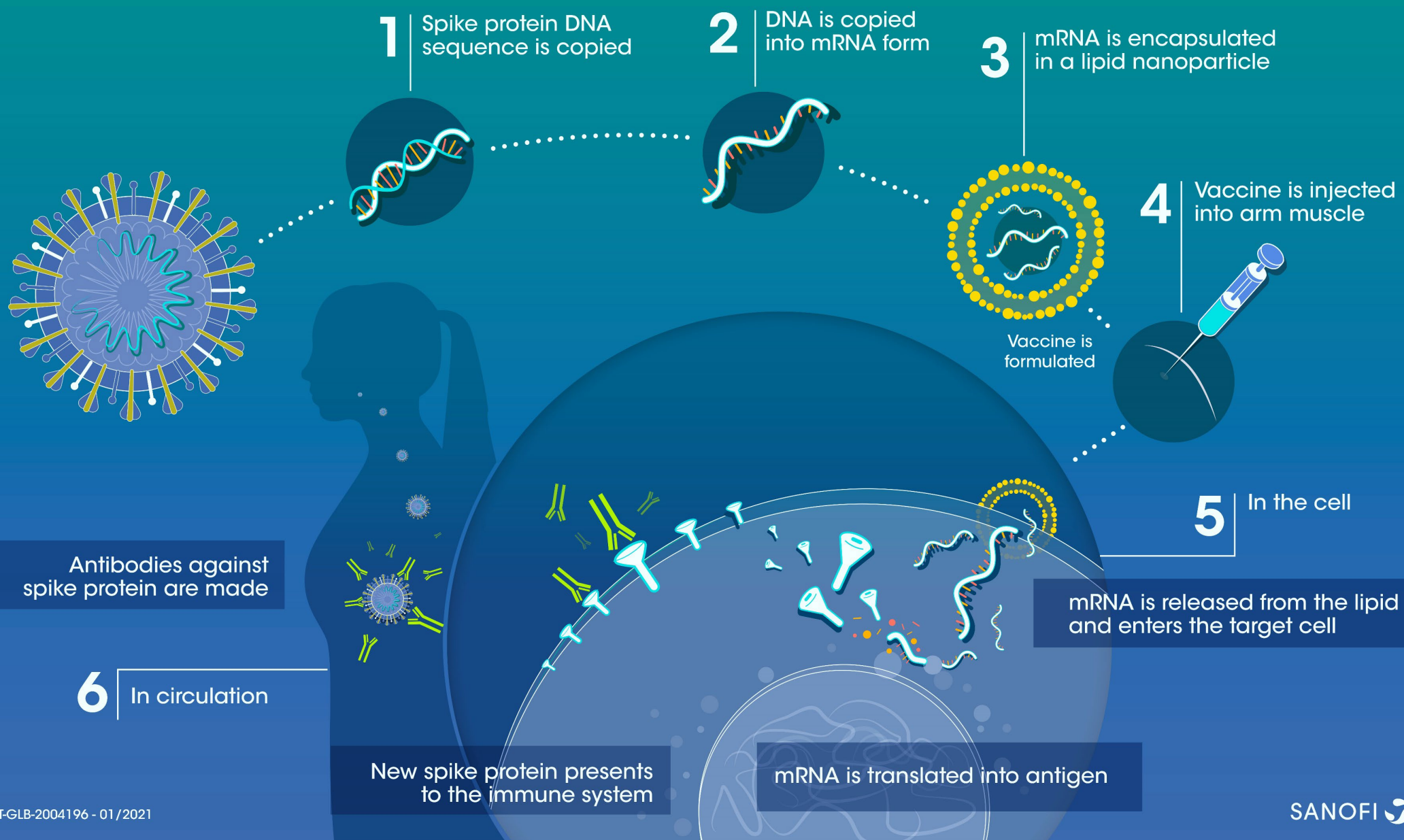
mRNA muss nicht in den Zellkern gelangen

Für kurzzeitige Proteinproduktion

mRNA wird chemisch modifiziert zur Verbesserung der Stabilität



HOW IS AN mRNA VACCINE DESIGNED TO WORK?



MAT-GLB-2004196 - 01/2021

SANOFI

Vor- und Nachteile von viralen Vektoren

Vorteile

Hohe Effizienz

Breites Spektrum

Lang anhaltende Proteinproduktion

Nachteile

Sicherheit

Immunreaktion

Mutationsrisiko

(bei DNA, die ins Genom integriert wird)

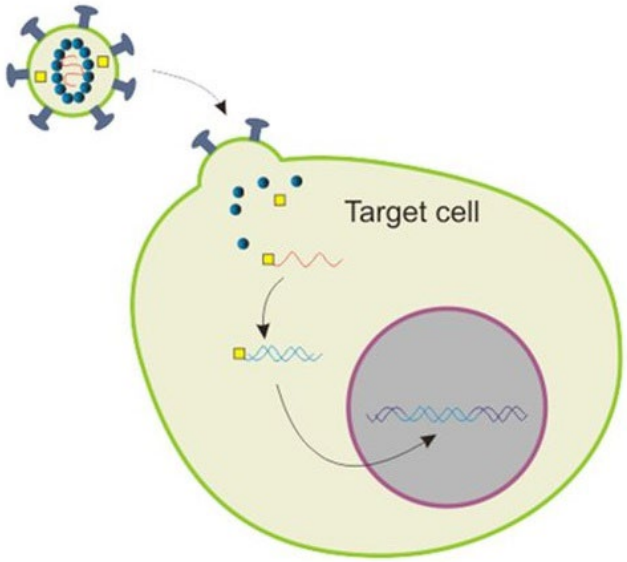
Ins Genom integrierende / nicht integrierende Viren

Integrierend

- DNA wird Teil des Genoms
- Verändert die Zelle
- Wird bei Zellteilung weitergegeben

Nicht-integrierend

- DNA verbleibt im Zellkern aber nicht im Genom
- Wird bei Zellteilung nicht immer weitergegeben
- Vorübergehend



https://slideplayer.com/slide/10146463/

Typen von viralen Vektoren

Adenovirus (NI)

Adeno-assoziiertes Virus (NI)

Retrovirus (I)

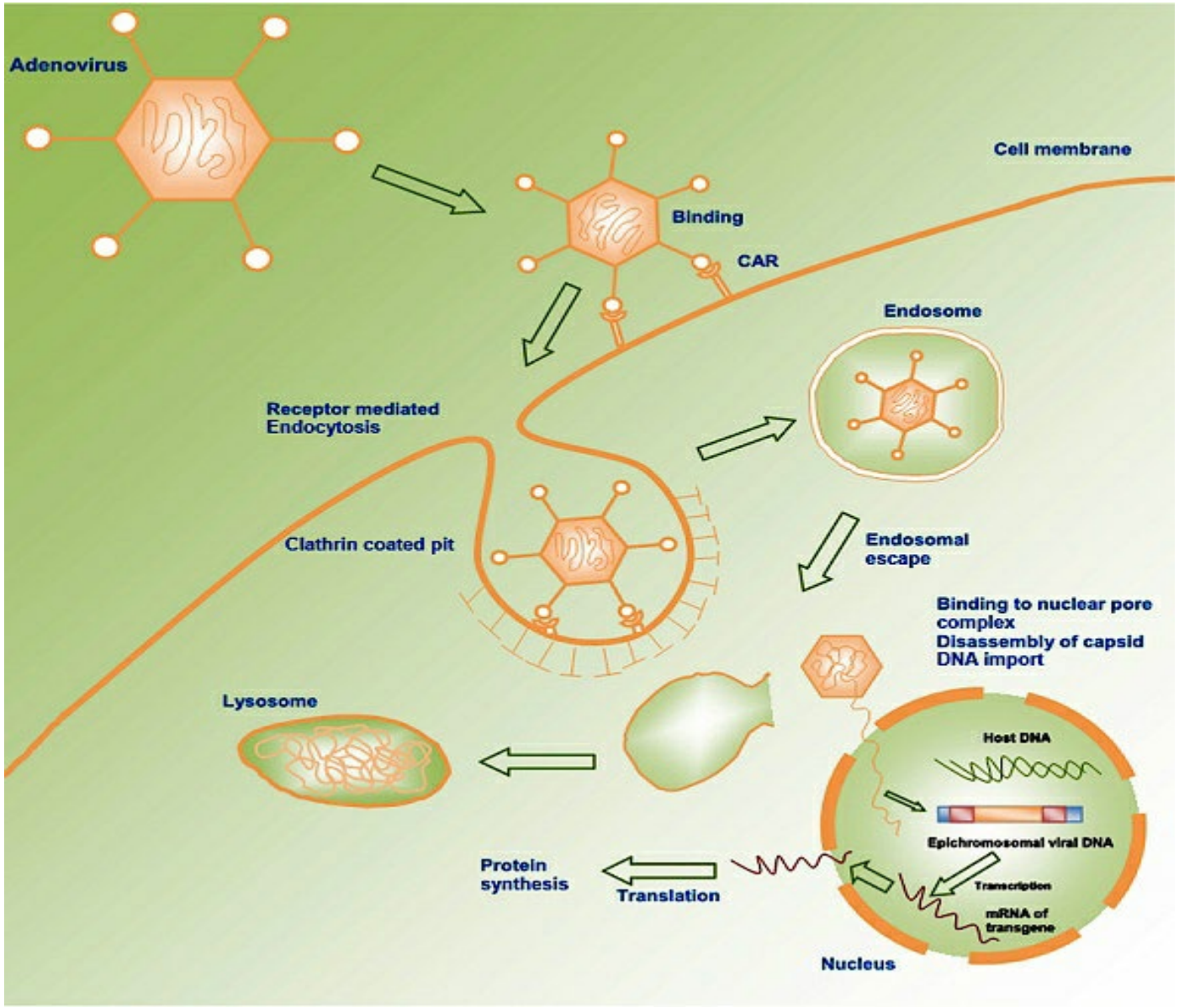
Lentivirus (I)

Andere

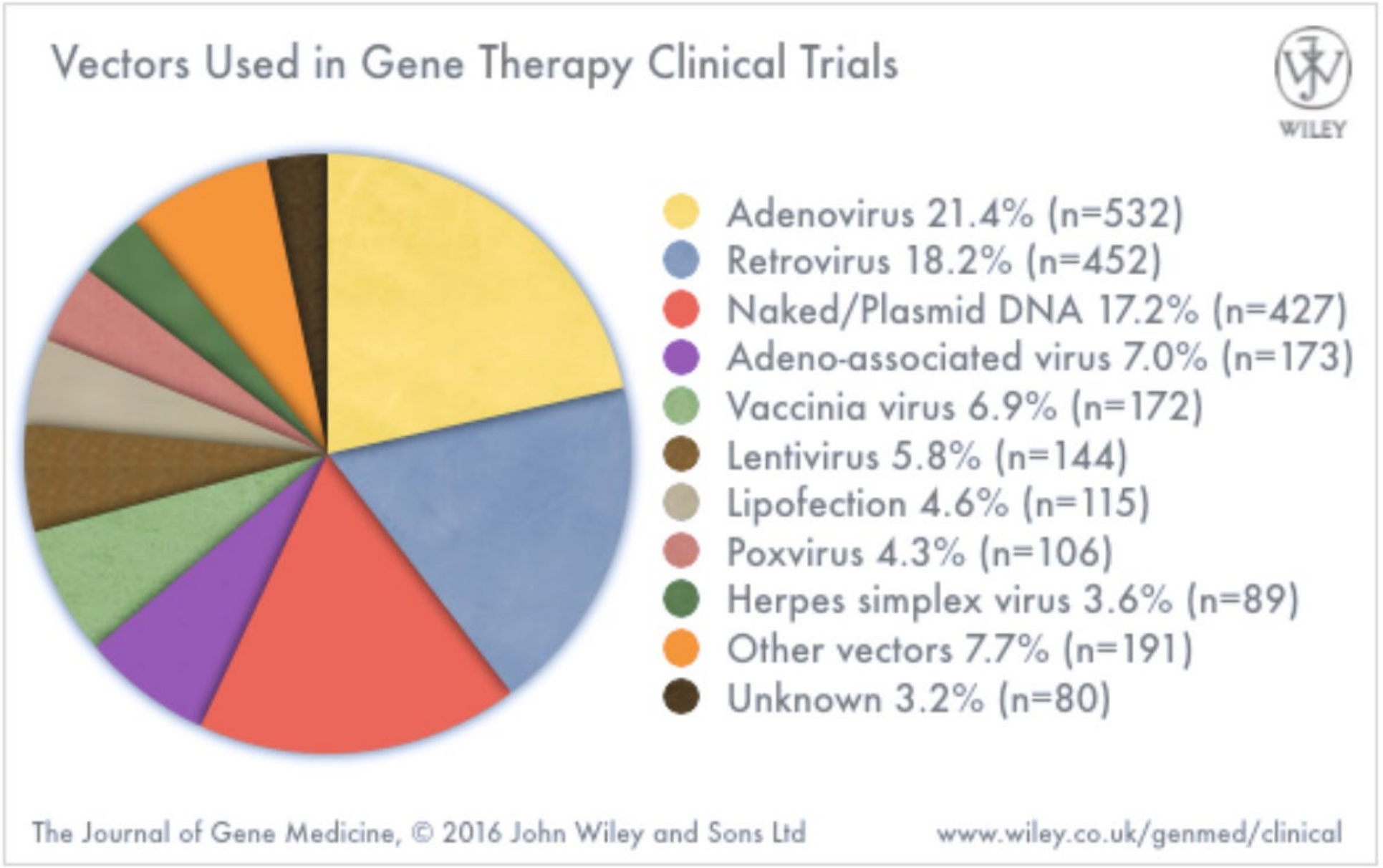
- Bacculovirus etc

NI= Nicht integriert
I= Integriert

Adenovirus transduction



http://www.intechopen.com/books/current-issues-in-molecular-virology-viral-genetics-and-biotechnological-applications/gene-delivery-systems



http://www.wiley.com//legacy/wileychi/genmed/clinical/

Fazit

mRNA Therapie ≠ Genmodifikation

Verschiedene Methoden, Nukleinsäuren (RNA/DNA) in die Zelle zu bringen

Virale Vektoren und Nanopartikel werden angewendet und weiter erforscht