1,2 Millionen Euro Förderung für die Herstellung von "Gen Taxis"

Die Dietmar Hopp Stiftung unterstützt den Aufbau einer experimentellen Produktionseinheit für Gentherapien des Herzens an der Medizinischen Fakultät Heidelberg der Universität Heidelberg, in der Abteilung für Kardiologie, Angiologie und Pneumologie des Universitätsklinikums Heidelberg (UKHD). Die neuen Produktionskapazitäten für therapeutische Viren, den „Gen-Taxis" zum erkrankten Herzen, stärken die Vorreiterrolle des Medizincampus Heidelberg in der Entwicklung neuer Gentherapien. Gleichzeitig kommt die Gentherapie gegen chronische Herzschwäche einen großen Schritt weiter in Richtung klinischer Anwendung.

Der Weg zur angewandten Gentherapie ist lang: Nicht nur muss ein genetisches „Reparatur-Kit" für den krankmachenden Defekt im Patientengenom entwickelt und dieses – in künstlich erzeugte Viren verpackt – sicher zum Behandlungsort im Körper geschleust werden. Auch müssen die beladenen Viren in ausreichender Menge hergestellt werden können. Diesem wichtigen Schritt ist das Team um Patrick Most, Professor für „Molekulare und Translationale Kardiologie" der Medizinischen Fakultät Heidelberg der Universität Heidelberg, dank einer großzügigen Spende der Dietmar Hopp Stiftung nun bedeutend nähergekommen: Die Stiftung fördert mit 1,2 Millionen Euro den Aufbau und Betrieb einer hochkomplexen Produktionseinheit für therapeutische Viren. Mit der neuen Ausrüstung können diese in der Abteilung für Kardiologie, Angiologie und Pneumologie des UKHD in größeren Mengen als bisher hergestellt, aufgereinigt und auf ihre Qualität hin überprüft werden.

Gentherapien haben das Potential, bisher unheilbare Erkrankungen behandelbar zu machen, indem krankheitsverursachende genetische Veränderung korrigiert werden. Dazu werden intakte Kopien der beschädigten oder blockierten Gene in die betroffenen Zellen eingeschleust. Dank der „Reparatur-Gene" können die Zellen ihre gestörten Funktionen wenigstens zum Teil wieder aufnehmen. Als Transporter der Reparatur-Gene dienen Viren: Diese „Gen-Taxis" docken an die Zellen an und übertragen das genetische Material. Dazu werden sogenannte Adeno-assozierten Viren (AAV) verwendet, die schon lange in der medizinischen Forschung zum Einsatz kommen.

Mehr als 15 Jahre Forschung an Gentherapie der chronischen Herzschwäche

AAV-basierte Gentherapien kommen bereits erfolgreich bei einzelnen Erkrankungen des Zentralen Nervensystems, des Auges oder der Leber zum Einsatz. Damit bald auch Patientinnen und Patienten mit chronischer Herzschwäche von dieser Therapieform profitieren können, forscht die Arbeitsgruppe um Dr. Julia Ritterhoff und Prof. Dr. Patrick Most, Sektion Molekulare und Translationale Kardiologie des UKHD, seit mehr als 15 Jahren intensiv an passenden „Reparatur-Genen" nebst Gen-Taxis und testete das Verfahren erfolgreich an Mäusen. Vor der ersten Anwendung am Menschen muss die neue Gentherapie sich jedoch noch am Großtiermodell, dem Schwein, als sicher und wirksam erweisen.

Dazu reichten die bisherigen Produktionskapazitäten für die Viren jedoch nicht aus, denn nun wird ein Vielfaches der bisherigen Menge benötigt. Mit dem neuen Equipment gelingt die Herstellung unter Beachtung regulatorischer Anforderungen und Entwicklungsprozesse. Zur Produktionseinheit gehören beheizbare Fermenter, die bis zu 200 Liter Nährmedium für die Zell- und Virenanzucht fassen, eine Aufreinigungsanlage sowie Geräte, die messen, ob ausreichend viele Viren die therapeutische Gene aufgenommen haben.

Vorarbeiten für die industrielle Herstellung sollen Schritt in die Anwendung beschleunigen

„Solche Produktionseinheiten für Gentherapien gibt es bislang im universitären Bereich in Deutschland noch nicht. Damit können wir die optimalen Produktionsbedingungen ausarbeiten und so die Vorarbeiten für die industrielle Herstellung leisten", sagt Prof. Most. In den kommenden zwei bis drei Jahren wolle man qualitativ an biotechnologische Herstellungsverfahren heranreichen. „Wir hoffen, so den Schritt in die klinische Anwendung deutlich beschleunigen und einen nahtlosen Translationsprozess einleiten zu können", so Dr. Ritterhoff, Co-Leiterin der Arbeitsgruppe. Anschließend soll die AAV-Produktionseinheit auch anderen Arbeitsgruppen der Medizinischen Fakultät Heidelberg für die Entwicklung neuer Gentherapien zur Verfügung stehen.

Forschung zu Gentherapien ist seit vielen Jahren ein Schwerpunkt der Abteilung für Kardiologie, Angiologie und Pneumologie

des UKHD und des vom Bund geförderten Deutschen Zentrums für Herz- und Kreislaufforschung (DZHK). „Dank der großzügigen Förderung der Dietmar Hopp Stiftung können wir unsere Vorreiterrolle im Bereich Gentherapien, zum Beispiel im Rahmen der Nationalen Initiative für Gen- und Zelltherapien, weiter ausbauen“, sagt Prof. Norbert Frey, Ärztlicher Direktor der Abteilung.

Meilenstein auf dem Weg zur sicheren Gentherapie: therapeutische Viren mit Versandadresse

Zeitlich passend erschien jüngst ein Artikel des Autorenteams Most, Ritterhoff und Frey in der renommierten Fachzeitschrift „Circulation“. Darin beschreiben die Wissenschaftlerinnen und Wissenschaftler einen neuartigen, herzspezifischen AA-Virus, der hoch präzise Herzmuskelzellen erkennt. Dadurch können die Viren intravenös in die Blutbahn verabreicht werden und finden trotzdem sicher ans Ziel. Das kann unerwünschte Wirkungen in anderen Organen reduzieren. „Der neue Viren-Prototyp ist mit seiner Herzspezifität den bisher klinisch getesteten AAV-Vektoren weit überlegen und bildet die Grundlage für eine neue Generation von Gentherapien“, so Prof. Most.

Publikation:
Zeissler D, Busch M, Grieskamp S, et al. Novel Human Heart-Derived Natural Adeno-Associated Virus Capsid Combines Cardiospecificity With Cardiotropism In Vivo. Circulation. 2025;152(6):416-419, doi:10.1161/CIRCULATIONAHA.124.070236.

Pressemitteilung

21.08.2025
Quelle: Universitätsklinikum Heidelberg (UKHD)

Weitere Informationen

- Universitätsklinikum Heidelberg (UKHD)