Genscheren zeigen Potenzial bei seltener Immunkrankheit

Universitätsklinikum Freiburg weist im Mausmodell einen grundsätzlichen Therapieansatz für erbliche Defekte im Immunsystem nach. Sicherheitsprofil der Genomeditierung unterscheidet sich je nach Methode und Zelltyp deutlich.

Forschende der Medizinischen Fakultät der Universität Freiburg haben im Labor gezeigt, dass sich ein erblicher Fehler im Immunsystem gezielt mit Hilfe von Genscheren verändern lässt. Im Mausmodell einer seltenen Immunkrankheit stellte der Ansatz die Funktion wichtiger Abwehrzellen wieder her und schützte vor einer lebensgefährlichen Entzündungsreaktion. Gleichzeitig zeigen die Wissenschaftler*innen, dass die Sicherheit von Genscheren von deren Typ und Einsatzort abhängt. Die Ergebnisse wurden am 13. Mai 2026 im Fachmagazin Cell Stem Cell veröffentlicht.

„Unsere Ergebnisse zeigen, dass die Genomeditierung ein vielversprechender Ansatz für die Korrektur seltener erblicher Erkrankungen sein kann“, sagt Prof. Dr. Toni Cathomen, Letztautor der Studie und Direktor des Instituts für Transfusionsmedizin und Gentherapie am Universitätsklinikum Freiburg.

Wie Genscheren im Erbgut arbeiten

Genscheren sind molekularbiologische Werkzeuge, mit denen Forschende gezielt einzelne Stellen im Erbgut verändern können. Sie erkennen eine bestimmte DNA-Sequenz und schneiden den DNA-Strang oder verändern gezielt einzelne Bausteine der Erbinformation. Die Zelle repariert diese Stelle anschließend selbst. So lassen sich krankheitsverursachende genetische Fehler direkt im Erbgut gezielt verändern.

Fehlerhafte Immunreaktion kann durch Genscheren korrigiert werden

Untersucht wurde die familiäre hämophagozytische Lymphohistiozytose. Bei dieser seltenen Erbkrankheit können bestimmte Abwehrzellen infizierte Körperzellen nicht mehr wirksam beseitigen. Dadurch kann das Immunsystem außer Kontrolle geraten. Die Freiburger Forschenden veränderten mit Hilfe von Genscheren gezielt den krankheitsverursachenden Fehler im Erbgut von Mäusen. Dadurch konnten die Zellen wieder korrekt arbeiten und die Tiere waren vor der schweren Entzündungsreaktion geschützt.

Sicherheit muss genau zum Verfahren passen

Zugleich verglich das Team verschiedene Verfahren der Genomeditierung in unterschiedlichen Zelltypen. Dabei zeigte sich, dass sich unerwünschte Veränderungen im Erbgut je nach Methode und Zelltyp deutlich unterscheiden. Für die Entwicklung neuer Therapien ist das eine zentrale Erkenntnis. „Die Sicherheit von Verfahren zur Genomeditierung muss immer im konkreten klinischen Zusammenhang bewertet werden“, sagt Cathomen.

Publikation:
Genotoxicity profiling reveals distinct platform- and cell type–specific effects in therapeutic gene editing for genetic hyperinflammation
DOI: 10.1016/j.stem.2026.04.014

Pressemitteilung

18.05.2026
Quelle: Universitätsklinikum Freiburg

Weitere Informationen

- Universitätsklinikum Freiburg