

PRAME-spezifische T-Zelltherapie bei Jugendlichem mit metastasiertem Nierentumor

Forschende und Ärzte des Hopp-Kindertumorzentrums Heidelberg (KiTZ) und anderer führender Krebszentren berichten über einen außergewöhnlichen Behandlungserfolg bei einem Jugendlichen mit weit fortgeschrittenem, therapieresistentem Nierentumor. Mithilfe einer neuartigen, personalisierten T-Zelltherapie gelang es, trotz multipler Metastasen die Tumorerkrankung vollständig zurückzudrängen. Der individuelle Heilversuch wurde nun im New England Journal of Medicine veröffentlicht und unterstreicht das Potenzial zellulärer Immuntherapien auch für Kinder und Jugendliche mit soliden Tumoren. Die darauf aufbauende, für das Jahr 2027 geplante klinische Studie wird von der Dietmar Hopp Stiftung mit rund 1,8 Millionen Euro über eine Laufzeit von vier Jahren am KiTZ gefördert.

Das „Hopp-Kindertumorzentrum Heidelberg“ (KiTZ) ist eine gemeinsame Einrichtung des Deutschen Krebsforschungszentrums (DKFZ), des Universitätsklinikums Heidelberg (UKHD) und der Universität Heidelberg (Uni HD).

Der damals 17-jährige Mailo erhält im Juli 2025 eine T-Zelltherapie gegen PRAME mit seinen gentechnisch veränderten Immunzellen.

Der Patient war im Alter von sieben Jahren an einem Nierentumor (Nephroblastom) erkrankt und erlitt über zehn Jahre hinweg zahlreiche Rückfälle mit Metastasen. Zum Zeitpunkt der Behandlung war die Erkrankung weit fortgeschritten: Große Tumorherde im Bauchraum, zahlreiche Metastasen in Lunge, Leber, Becken sowie eine Hirnmetastase bestimmten das Krankheitsbild. Heilende Therapieoptionen oder passende klinische Studien standen nicht mehr zur Verfügung.

Molekulare Tumoranalysen im Rahmen des Tumorsequenzierungsprogramms INFORM zeigten, dass die Krebszellen das Tumorantigen PRAME („Preferentially Expressed Antigen in Melanoma“) produzierten. „PRAME ist als Zielstruktur für Immuntherapien bei Krebserkrankungen von Erwachsenen, beispielsweise dem schwarzen Hautkrebs, gut beschrieben. Unsere Entscheidung, trotz weit fortgeschrittener Erkrankung den Therapieversuch anzubieten, beruhte insbesondere auf sehr vielversprechenden klinischen Daten unseres Kooperationspartners Immatix, einem Biotechnologieunternehmen aus Tübingen. Im Rahmen klinischer Studien bei Erwachsenen konnten bereits beeindruckende Therapieerfolge mit PRAME-spezifischen T-Zellen erzielt werden“, berichtet Christian Seitz, behandelnder Arzt und ärztlicher Leiter der Stammzelltransplantation, Zell- und Gentherapie am Hopp-Kindertumorzentrum Heidelberg (KiTZ) und dem Universitätsklinikum Heidelberg (UKHD) sowie Wissenschaftler am Deutschen Krebsforschungszentrum (DKFZ).

Für die Therapie wurden die patienteneigenen T-Zellen durch das Team um Patrick Schmidt im Labor am Nationalen Centrum für Tumorerkrankungen (NCT) Heidelberg genetisch so verändert, dass sie PRAME erkennen und die Krebszellen gezielt angreifen können. Den hierfür benötigten Vektor mit der genetischen Bauanleitung zur Umprogrammierung der T-Zellen stellte der Tübinger Kooperationspartner Immatix zur Verfügung. Der Patient erhielt die vor Ort hergestellten Zellen im Juli 2025 nach einem siebentägigen Herstellungsprozess als Infusion.

Bereits neun Tage später zeigte eine Tumorbiopsie eine massive Einwanderung der T-Zellen in das Tumorgewebe sowie ein Absterben der Tumorzellen. In den folgenden Wochen und Monaten kam es zu einer kontinuierlichen Rückbildung der Tumorerkrankung an sämtlichen betroffenen Organen. In einer weiteren Biopsie, drei Monate nach der Behandlung, konnten keine lebenden Tumorzellen mehr nachgewiesen werden. Ergänzende bildgebende Untersuchungen und Bluttests zeigen derzeit keinen Hinweis auf eine aktive Krebserkrankung. „Zum aktuellen Zeitpunkt, also fast ein Jahr nach der Infusion der T-Zellen, ist unser Patient in einer ausgezeichneten Verfassung. Er trainiert regelmäßig, nimmt an Radrennen teil, konnte erfolgreich seine Ausbildung abschließen und plant nun, sein Abitur nachzuholen“, bestätigt Christian Seitz. „Der Fall zeigt eindrucksvoll, welches Potenzial innovative Immuntherapien für Kinder und Jugendliche mit bislang unheilbaren Tumorerkrankungen entfalten können. Gleichzeitig verdeutlicht er die Bedeutung einer partnerschaftlichen Zusammenarbeit zwischen biotechnologischer Industrie und akademischer Translation für die Entwicklung neuer Therapieansätze. Unser herzlicher Dank gilt Immatix, die durch die Bereitstellung des Vektors die Realisierung dieses individuellen Heilversuchs ermöglicht haben.“

Am KiTZ Heidelberg wird derzeit unter dem Namen „PRAMetime“ eine erste klinische Phase-I/II-Studie für Kinder und Jugendliche mit PRAME-positiven soliden Tumoren vorbereitet. Die patienteneigenen gentechnisch veränderten Immunzellen

werden von Immatix produziert und zur Verfügung gestellt.

Insgesamt sollen bis zu 18 Kinder und Jugendliche im Alter von acht bis 17 Jahren in „PRAMetime“ eingeschlossen werden. Der Start der Studie ist für das Jahr 2027 geplant. „Tumordaten von mehr als 2.500 Patientinnen und Patienten aus unserer INFORM-Studie zeigen, dass dieses Eiweiß in vielen Hochrisiko-Tumoren bei Kindern und Jugendlichen vorkommt und somit ein vielversprechendes Angriffsziel für neue Therapien darstellt“, erklärt Olaf Witt, Co-Leiter der klinischen Studie und Direktor des KITZ. Olaf Witt ist zudem Professor an der Medizinischen Fakultät Heidelberg der Universität Heidelberg, leitet die Klinische Kooperationseinheit Pädiatrische Onkologie am DKFZ und ist leitender Oberarzt am UKHD.

Gefördert wird die Studie „PRAMetime“ von der Dietmar Hopp Stiftung mit rund 1,8 Millionen Euro über eine Laufzeit von vier Jahren an der Medizinischen Fakultät Heidelberg der Universität Heidelberg. „Aufgrund der kleinen Patientenzahlen werden neue Behandlungsansätze für krebskranke Kinder in erster Linie durch akademische Forschungseinrichtungen in frühe klinische Studien gebracht. Ohne private Forschungsförderung ist dies oft nicht möglich und wir sind der Dietmar Hopp Stiftung daher zutiefst dankbar, dass sie unsere Arbeit unterstützt“, sagt Studienleiter Christian Seitz.

Publikation:

K. Mair *et al.*: PRAME-Specific T-Cell Therapy in Advanced Pediatric Nephroblastoma. In: New England Journal of Medicine. (Online Publikation 13. August 2026). DOI: 10.1056/NEJMc2605154

Pressemitteilung

13.08.2026

Quelle: Deutsches Krebsforschungszentrum (DKFZ)

Weitere Informationen

- ▶ Deutsches Krebsforschungszentrum (DKFZ)
- ▶ Hopp Kindertumorzentrum (KITZ)
- ▶ Universitätsklinikum Heidelberg
- ▶ Universität Heidelberg