



Stiftung Auge
weil Sehen wichtig ist

Stiftung der DOG
Deutsche Ophthalmologische
Gesellschaft e.V.
Gesellschaft für Augenheilkunde

Platenstraße 1
80336 München
Telefon: +49 89 5505 768 28
Telefax: +49 89 5505 768 11
info@stiftung-auge.de
www.stiftung-auge.de

Heilung bei lange unheilbaren Augenerkrankungen? Wie weit ist die Gentherapie bei Netzhauterkrankungen?

München, Mai 2021 – Eines von rund 33.000 bis 50.000 Neugeborenen kommt statistisch gesehen mit einer sogenannten Leber'schen kongenitalen Amaurose auf die Welt. Bei dieser erblich bedingten Netzhauterkrankung können Betroffene teilweise schon ab der Geburt nur sehr eingeschränkt sehen. Wie eine moderne Gentherapie Betroffenen helfen und Erblindung vermeiden kann und welche Voraussetzungen dafür erfüllt sein müssen, ist ein Thema der Online-Presskonferenz der Stiftung Auge, die am Mittwoch, den 19. Mai 2021 von 12.00 bis 13.00 Uhr stattfindet.

Ursache der Leber'schen kongenitalen Amaurose ist der Defekt eines Gens namens RPE65. „Dieser Gendefekt führt dazu, dass sich der Sehfärbstoff in den lichtempfindlichen Zellen der Augennetzhaut nicht ausreichend regeneriert“, erklärt Professor Dr. med. Frank G. Holz, Direktor der Universitäts-Augenklinik Bonn und Vorsitzender der Stiftung Auge. „Dieser Prozess ist jedoch die Grundlage dafür, dass wir scharf und Farben sehen können“, so der Netzhautspezialist. Betroffene sind daher oft schon früh sehbehindert und können im weiteren Verlauf erblinden. Die Leber'sche kongenitale Amaurose tritt häufig mit Begleitsymptomen wie etwa einem Schielen, Augenzittern (Nystagmus) oder auch einer Linsentrübung, dem sogenannten Grauen Star, auf.

Bis vor Kurzem galt die Leber'sche kongenitale Amaurose als unheilbar. 2018 hat die Europäische Arzneimittelagentur (EMA) jedoch zur Behandlung dieser seltenen Netzhauterkrankung eine Gentherapie namens Voretigene Neparvovec (Luxturna®) zugelassen. „Bevor ein Patient diese Therapie erhalten kann, muss eine gezielte molekulargenetische Diagnostik und eine gründliche klinische Untersuchung erfolgen“, so Experte Holz. Sind alle Voraussetzungen erfüllt, wird das

Pressestelle Stiftung Auge
Sabrina Hartmann
Postfach 30 11 20, 70451 Stuttgart
Tel.: +49 711 8931 649
Fax: +49 711 8931 167
hartmann@medizinkommunikation.org



Gentherapeutikum in einem einmalig durchgeführten mikrochirurgischen Verfahren nach Entfernung des Glaskörpers unter die Netzhaut am Augenhintergrund injiziert. „Bundesweit führen nur drei Behandlungszentren – die Universitäts-Augenkliniken in Bonn, München und Tübingen – diese hochspezialisierte Operation durch“, erklärt Holz.

Verläuft der Eingriff erfolgreich, können die defekten Netzhautzellen ihre Funktion zurückgewinnen. Dadurch verbessert sich das Sehvermögen der Patienten zum Teil. „Vor allem bei Dunkelheit und schlechten Lichtverhältnissen können sich die Patienten nach der Operation besser orientieren. Insgesamt gewinnen sie durch die Therapie ein großes Stück Lebensqualität“, berichtet Holz. Nach dem Eingriff werden die Patienten 15 Jahre lang von Augenärzten nachbetreut, um den Effekt der Therapie zu überwachen und mögliche Nebenwirkungen frühzeitig zu erkennen. „Nach derzeitigem Kenntnisstand hält der Therapieeffekt mindestens vier Jahre lang an – solange wurden bisher Patienten nachuntersucht - ohne dass Nebenwirkungen oder Komplikationen auftreten“, so Holz. Die Kosten für einen solchen Eingriff sind erheblich – bereits das Medikament kostet für beide Augen circa 600 000 Euro –, werden aber von den Krankenkassen übernommen. Weitere Gentherapien für andere Netzhauterkrankungen finden sich bereits in klinischer Erprobung. „Gentherapien eröffnen die Aussicht, bislang unheilbare Augenerkrankungen zu therapieren und so zu verhindern, dass Menschen erblinden“, sagt Netzhautexperte Holz abschließend.

*** Bei Abdruck, Beleg erbeten. ***