

## Analyse klonaler Hämatopoese nach Transfer genetisch modifizierter Stammzellen (Abstract 5)

<https://ash.confex.com/ash/2014/webprogram/Paper70008.html>

### Fragestellung

Wie entwickelt sich die Hämatopoese nach Transfer genetisch veränderter Stammzellen bei Patienten mit schwerem, hereditärem Immundefekt?

### Hintergrund

Bei Patienten mit Wiskott-Aldrich-Syndrom und Severe Combined Immunodeficiency (SCID) kann der Immundefekt mittels Transfers genetisch modifizierter hämatopoetischer Stammzellen korrigiert werden (Aiuti et al., Science 2013). Diese Vektor-markierten Stammzellen bieten eine exzellente Möglichkeit zur Verfolgung hämatopoetischer Rekonstitution. Die Autoren haben die klonale Entwicklung markierter Stammzellen bei Patienten mit Wiskott-Aldrich-Syndrom bis zu 36 Monate verfolgt.

### Ergebnisse

Einige Ergebnisse der bisherigen Analysen sind:

- In der frühen Phase der Rekonstitution steht die Produktion myeloischer Zellen im Vordergrund.
- Innerhalb der ersten 6-9 Monate erfolgt die Rekonstitution in den verschiedenen Zellreihen wellenförmig, ein Gleichgewicht wird erst nach etwa 1 Jahr erreicht.
- Innerhalb der lymphatischen Zellreihe haben NK Zellen andere Progenitoren als B- und T- Zellen.
- CD34+ Klone, die 3-6 Monate nach Gentransfer aktiv waren, waren später nicht mehr nachweisbar.
- Die Hämatopoese der gentransfizierten Patienten besteht aus etwa 2.000 Klonen.
- Bisher gibt es keine Hinweise auf selektive klonale Expansion aufgrund des Gentransfers.

### Zusammenfassung der Autoren

Die klinischen Studien zur Genterapie schwerer Immundefekte bieten die einmalige Gelegenheit zur Untersuchung hämatologischer Rekonstitution in den verschiedenen Zellreihen.