

## Hämophilie B

### Gentransfer zum Erreichen stabiler Faktor IX-Spiegel (Abstract 3)

<https://ash.confex.com/ash/2016/webprogram/Paper91358.html>

#### Fragestellung

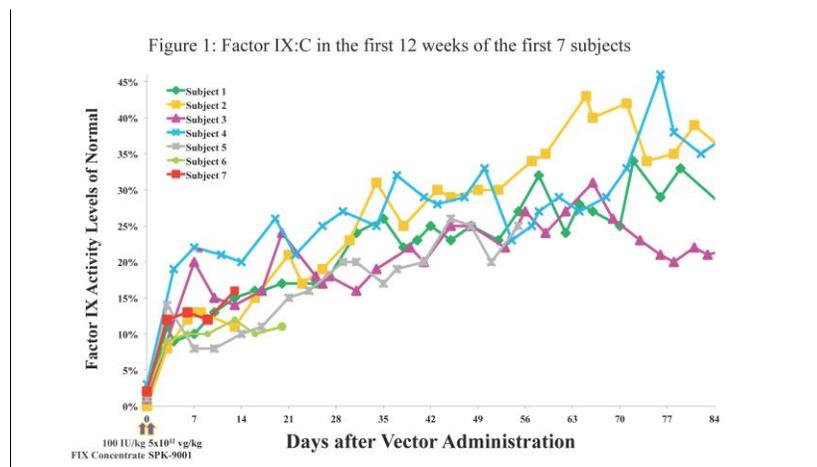
Kann der Gentransfer von Faktor IX verbessert werden, um langfristig ausreichend hohe Aktivitätsspiegel zu erreichen?

#### Hintergrund

Der erfolgreiche Transfer von Faktor IX mittels Adeno-Associated Virus (AAV) wurde schon beschrieben, die Aktivitätsspiegel von FIX:C lagen aber niedriger als bei Verwendung einer prophylaktischen FIX-Gabe. In dieser Studie wurde SPK-9001, ein AAV-Capsid mit hohem Hepatotropismus verwendet. Transferiert wurde FIX Padua, eine natürlich vorkommende FIX-Variante mit einer Aminosäuresubstitution und bis zu 8fach höherer FIX-Aktivität in vivo.

#### Ergebnisse

Vorgestellt wurde die Ergebnisse bei 7 Patienten im Alter zwischen 18 und 52 Jahren. Der Verlauf der Faktor IX Aktivität im Blut ist in der Abbildung dargestellt.



#### Zusammenfassung der Autoren

Der hier verwandte Vektor und der Transfer der höher aktiven FIX-Variante führt ab Woche 12 zu stabiler FIX-Aktivität von über 30%.

#### Kommentar

Die Daten sind vielversprechend. Begrenzend ist die ausschließliche Anwendbarkeit des Vektors bei Personen ohne präformierte adenovirale Antikörper.