

Hämophilie B

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

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

Fragestellung

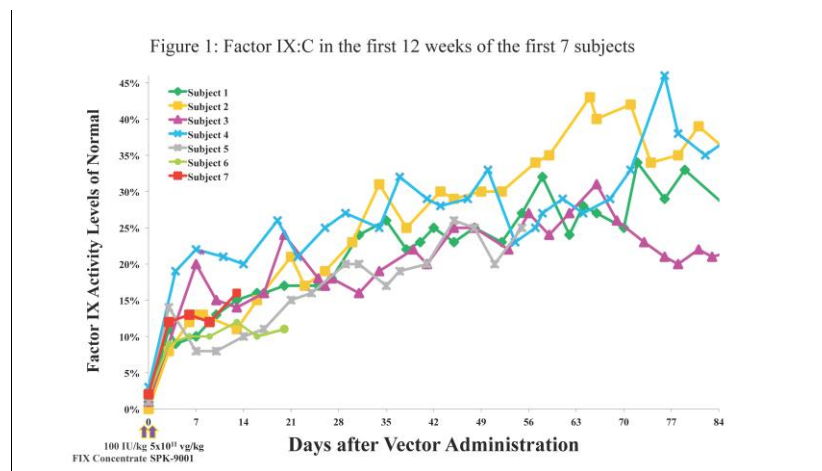
Kann der Gentransfer von Faktor IX verbessert werden, um langfristig ausreichend hohe Aktivitätsspiegel zu erreichen?

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.