

Hämophilie A

Adenoviraler Gentransfer (AAV) zum Erreichen stabiler Faktor VIII-Spiegel (Abstract 603)

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

Fragestellung

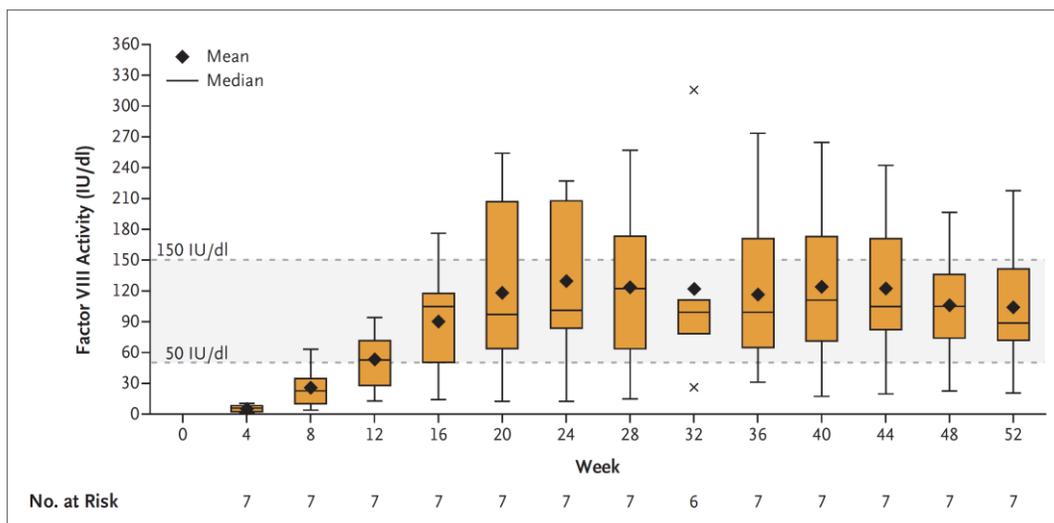
Kann der Gentransfer von Faktor VIII verbessert werden, um langfristig ausreichend hohe Aktivitätsspiegel zu erreichen?

Hintergrund

Standard in der Betreuung von Patienten mit Hämophilie A ist die regelmäßige Gabe von plasmatischem oder rekombinantem Faktor VIII. Bei der Hämophilie B wurde im letzten Jahr ein erfolgreicher Gentransfer beschrieben. Getestet wurde jetzt ein Adeno-assoziiierter Vektor (AAV) Serotyp 5 mit einer Kodon-optimierten Expressionskassette für die SQ-Variante von Faktor VIII, in der die B-Domäne des Gens deletiert ist.

Ergebnisse

Vorgestellt wurden die Ergebnisse einer Phase I/II Studie mit einer einzigen intravenösen Gabe von AAV5-HfVIII-SQ in drei Dosierungen bei 9 Männern im Alter zwischen 23 und 43 Jahren. Der Verlauf der Faktor VIII-Aktivität im Blut bei den 7 Männern der höchsten Dosisstufe ist in der Abbildung dargestellt.



Zusammenfassung der Autoren

Der hier verwandte Vektor führt zu nachhaltiger Normalisierung der VIII-Aktivität über 1 Jahr.

Kommentar

Die Daten sind vielversprechend, aber nicht ausreichend für eine abschließende Bewertung der Sicherheit dieser Therapie.