

## Sichelzellkrankheiten und Beta-Thalassämie

**Gentherapie mit CTX001 bei Patient\*innen mit transfusionsabhängiger Beta-Thalassämie oder Sichelzellkrankheit (Climb Thal-111 und Climb SCD-121, Abstract LB23674); [https://s3.eu-central-1.amazonaws.com/m-anage.com.storage.eha/temp/eha22\\_abstract\\_bodies/LB2367.html.pdf](https://s3.eu-central-1.amazonaws.com/m-anage.com.storage.eha/temp/eha22_abstract_bodies/LB2367.html.pdf)**

### Fragestellung

Für die einmalige Behandlung von Patient\*innen mit transfusionsabhängiger Beta-Thalassämie bzw. Sichelzellkrankheit durch Myeloablation und Gabe von CTX001<sup>TM</sup> behandelten, hämatopoetischen Stamm- und Progenitorzellen zur Vermeidung der Transfusionsbedürftigkeit und zur Verhinderung venookklusiver Krisen?

### Hintergrund

Patienten mit transfusionsbedürftiger Beta-Thalassämie und Patienten mit Sichelzellkrankheiten haben eine hohe krankheitsbedingte Morbidität. Ein Pathomechanismus bei diesen Krankheiten ist die Suppression von HbF, u. a. reguliert durch *BCL11A*. CTX001<sup>TM</sup> ist eine zelluläre Therapie, bei der die Produktion von HbF mittels CRISPR/Cas9-Gen-Editing in der Enhancer-Region von *BCL11A* in autologen, hämatopoetischen Stamm- oder Progenitorzellen aktiviert wird.

### Ergebnisse

Diagnose	N <sup>1</sup>	Transfusions-unabhängigkeit	Venookklusive Krisen
Beta Thalassämie	44	42 (95%)	-
Sichelzellkrankheit	31	-	31 (100%)

<sup>1</sup> N - Anzahl Patient\*innen;

### Zusammenfassung der Autoren

Diese Therapie mit autologen Stammzellen, die mittels der CRISPR-CAS9-Technologie modifiziert wurden, hat das Potenzial einer einmaligen, funktionalen Heilung. Die Nebenwirkungen sind vor allem durch die Busulfan-induzierte, myeloablativ Therapie und die autologe Stammzelltransplantation bedingt.

### Kommentar

Diese Daten sind beeindruckend und bestätigen die vielversprechenden Erstergebnisse. Bisher sind keine neuen Sicherheitssignale aufgetaucht.