



11.06.2021 - 09:00 Uhr

European Hematology Association - Genetische Modifikation von autologen hämatopoetischen Stammzellen: Eine mögliche Behandlung für Mukopolysaccharidose Typ I Hurler

Den Haag, Niederlande (ots/PRNewswire) -

Mukopolysaccharidose Typ I Hurler (MPS-IH) wird durch einen Mangel an alpha-L-Iduronidase (IDUA) verursacht und wird typischerweise durch eine allogene hämatopoetische Stammzellentransplantation (HSC) behandelt, die hohe Erfolgsraten gezeigt hat, wenn die Patienten in einem jungen Alter behandelt werden. Die Skelettanomalien bleiben jedoch bestehen und die fortschreitende neurokognitive Verschlechterung im Laufe der Zeit beeinträchtigt die Lebensqualität der Patienten erheblich. In dieser ersten klinischen Phase-I/II-Studie am Menschen wollten wir die Wirksamkeit der Behandlung mit autologen HSC, die genetisch so modifiziert wurden, dass sie humanes IDUA überexprimieren, bei 8 Patienten mit MPS-IH untersuchen.

Alle Patienten zeigten eine schnelle hämatologische Erholung und alle IDUA-Antikörper waren innerhalb von 3 Monaten nach der Transplantation verschwunden. Unerwünschte Ereignisse waren im Allgemeinen leicht und vergleichbar mit anderen autologen HSC-Transplantationsverfahren. Wichtig ist, dass alle Patienten bereits am 30. Tag das Vorhandensein von transplantierten Zellen im Knochenmark und im peripheren Blut zeigten und eine hohe IDUA-Aktivität im Blut und in der Liquorflüssigkeit aufwiesen, die bei der 12-monatigen Nachuntersuchung erhalten blieb. Diese Ergebnisse waren gepaart mit stabilen kognitiven und sprachlichen Leistungen, fortschreitender motorischer Entwicklung und verbesserten klinischen und Laborparametern. Zusammenfassend unterstreichen diese Daten das therapeutische Potenzial der gentechnisch veränderten autologen HSZ-Transplantation bei Patienten mit MPS-IH, die potenziell die klinischen Ergebnisse bei einem günstigen Sicherheitsprofil verbessern kann.

Die Ergebnisse dieser Studie werden von Professor Maria Ester Bernardo im Rahmen des Präsidentensymposiums vorgestellt.

Vortragende: Professor Maria Ester Bernardo

Zugehörigkeit: Ospedale San Raffaele, Mailand, Italien

Kurzdarstellung: #S102 HÄMATOPOETISCHE STAMMZELL-GENTHERAPIE FÜR MUKOPOLYSACCHARIDOSE TYP I, HURLER: NACHWEIS EINER UMFASSENDEN METABOLISCHEN KORREKTUR UND EINES FRÜHEN KLINISCHEN ANSPRECHENS

Informationen zum EHA Jahreskongress: Jedes Jahr im Juni veranstaltet die EHA ihren Jahreskongress in einer europäischen Großstadt. Aufgrund der anhaltenden COVID19-Pandemie organisiert die EHA in diesem Jahr zum zweiten Mal einen virtuellen Kongress. Der Kongress richtet sich an medizinisches Fachpersonal, das auf dem Gebiet der Hämatologie arbeitet oder daran interessiert ist. Die Themen des wissenschaftlichen Programms reichen von der Stammzellphysiologie und -entwicklung über Leukämie, Lymphome, Diagnose und Behandlung, rote Blutkörperchen, weiße Blutkörperchen und Thrombozytenstörungen, Hämophilie und Myelom, Thrombose und Blutungsstörungen bis hin zu Transfusion und Stammzelltransplantation.

Website: www.ehaweb.org

Logo - http://mma.prnewswire.com/media/622259/EHA_Logo.jpg

Pressekontakt:

+31 (0) 6 2011 1055

E-Mail: communication@ehaweb.org

Diese Meldung kann unter <https://www.presseportal.ch/de/pm/100010412/100872441> abgerufen werden.