



## **Modifiziertes Virus als „trojanisches Pferd“ für Reparatur-Gene bei genetisch bedingtem Hördefekt**

**Utl.: Degenerierende Haarzellen im Innenohr können wieder funktionsfähig gemacht werden**

(Wien, 06-04-2017) Es gibt mehr als 300 nachgewiesene genetische Defekte, die dazu führen können, dass die Haarzellen im menschlichen Innenohr, sozusagen die Sinneszellen des Ohres, nicht richtig funktionieren. Das kann schwere Hörschäden und sogar den Verlust des Hörsinns zur Folge haben. Lukas Landegger von der Universitätsklinik für Hals-, Nasen- und Ohrenerkrankungen der MedUni Wien ist es nun gemeinsam mit ForscherInnen an der Medical School in Harvard, Boston, weltweit erstmals gelungen, im Tiermodell diesen Defekt zu beheben – und zwar durch ein modifiziertes, nicht-pathogenes Adeno-assoziiertes Virus (Anc80L65), das wie ein „trojanisches Pferd“ ins Ohr eingeschleust wird und mit Hilfe von Reparatur-Genen die beeinträchtigten Haarzellen wieder funktionsfähig macht.

Die Studie wurde nun im Top-Journal Nature Biotechnology publiziert. Lukas Landegger absolviert an der MedUni Wien sein PhD-Programm und ist im Rahmen dessen derzeit in Harvard beschäftigt.

Aktuell ist es den HNO-Experten mit Hilfe von Cochlea-Prothesen möglich, Menschen mit einem genetischen Hördefekt technisch zu helfen, wieder gut zu hören. Bei der Entwicklung und beim Einsatz von Cochlea-Implantaten ist die Medizinische Universität Wien seit 1977 – als in Wien das weltweit erste Mehrkanal-Cochlea-Implantat eingesetzt wurde – auch international führend. „Allerdings können diese elektronischen Prothesen mit ihren zwölf Elektroden die mehr als 3.000 Haarzellen im Innenohr, mit denen wir viel feiner hören, nicht zu 100 Prozent ersetzen“, sagt Wolfgang Gstöttner, Leiter der HNO-Klinik an der MedUni Wien.

### **Adeno-assoziiertes Virus als Träger für die Gene**

Die häufigste Form von vererbter Taubheit im Kindesalter ist die genetische Mutation von GJB2 und GJB6. Diese Mutation verursacht, dass das Protein Connexin 26, welches für die Zellen im Zellverband des Innenohrs zuständig ist, nicht richtig arbeitet. Die Folge ist, dass die Härchen in der Schnecke nicht richtig ausgebildet werden bzw. nicht richtig funktionieren. Bisher war es aber nicht gelungen, die „Reparaturgene“ in die Haarzellen einzubringen und sie damit wieder in Gang zu setzen. Die Grundlage für die Korrektur dieser und vieler weiterer Mutationen wurde nun im Tiermodell mit dem im Labor nachgebauten und nicht-pathogenen Adeno-assoziierten Virus geschaffen, der als Vektor („Träger“) der Gene in die Haarzellen eingeschleust wird. Erstaunlich war, dass neben den für die Signaltransduktion verantwortlichen inneren Haarzellen zusätzlich an die 90% der bisher



für Gentherapie praktisch unerreichbaren äußeren Haarzellen, die eine wichtige Verstärkerfunktion im Innenohr haben, behandelt werden konnten. Auch bei der Erneuerung von Leberzellen und in der Netzhaut war dieses Adeno-assoziierte Virus bereits zum Einsatz gekommen.

Nachdem die Funktionalität des Virus initial bei der Behandlung eines Mausmodells des Usher-Syndroms, das die weltweit häufigste Ursache für Taubblindheit darstellt, bewiesen wurde (Pan et al. Nat Biotechnol 2017), müssen nun weitere Studien hinsichtlich der Verträglichkeit des Vektors durchgeführt werden, um diesen Ansatz bald auch bei Neugeborenen mit genetischem Hördefekt anzuwenden.

### **Service: Nature Biotechnology**

„A synthetic AAV vector enables safe and efficient gene transfer to the mammalian inner ear.“ L. Landegger, B. Pan, C. Askew, S. Wassmer, S. Gluck, A. Galvin, R. Taylor, A. Forge, K. Stankovic, J. Holt & L. Vandenberghe. February 2017, doi:10.1038/nbt.3781.

### **Rückfragen bitte an:**

Mag. Johannes Angerer  
**Leiter Kommunikation und Öffentlichkeitsarbeit**  
Tel.: 01/ 40 160-11501  
E-Mail: [pr@meduniwien.ac.at](mailto:pr@meduniwien.ac.at)  
Spitalgasse 23, 1090 Wien  
[www.meduniwien.ac.at/pr](http://www.meduniwien.ac.at/pr)

Mag. Thorsten Medwedeff  
**Kommunikation und Öffentlichkeitsarbeit**  
Tel.: 01/ 40 160-11505  
E-Mail: [pr@meduniwien.ac.at](mailto:pr@meduniwien.ac.at)  
Spitalgasse 23, 1090 Wien  
[www.meduniwien.ac.at/pr](http://www.meduniwien.ac.at/pr)

### **Medizinische Universität Wien – Kurzprofil**

Die Medizinische Universität Wien (kurz: MedUni Wien) ist eine der traditionsreichsten medizinischen Ausbildungs- und Forschungsstätten Europas. Mit rund 8.000 Studierenden ist sie heute die größte medizinische Ausbildungsstätte im deutschsprachigen Raum. Mit 5.500 MitarbeiterInnen, 27 Universitätskliniken und drei klinischen Instituten, 12 medizinteoretischen Zentren und zahlreichen hochspezialisierten Laboratorien zählt sie auch zu den bedeutendsten Spitzenforschungsinstitutionen Europas im biomedizinischen Bereich.