



Neue Gentherapie für Hämophilie erstmals in Österreich eingesetzt

(Wien, 09-04-2025) In Wien wurde erstmals in Österreich eine neuartige Gentherapie zur Behandlung der schweren Form der Hämophilie B durchgeführt. Die Behandlung der „Bluterkrankheit“ hat gegenüber bisherigen Therapiemethoden den Vorteil, dass sie nur einmal in Form einer intravenösen Infusion durchgeführt werden muss und auf Jahre hinaus wirkt.

Hämophilie ist eine erbliche Blutgerinnungsstörung, bei der das Blut nicht richtig gerinnt. Dies führt dazu, dass Betroffene nach Verletzungen länger bluten als gesunde Menschen oder spontane Blutungen, insbesondere in Gelenke mit schwerwiegenden Folgen, entwickeln. Die Erkrankung wird meist durch einen Mangel oder das Fehlen bestimmter Gerinnungsfaktoren (Faktor VIII bei Hämophilie A oder Faktor IX bei Hämophilie B) verursacht. Sie betrifft fast ausschließlich Männer, da sie X-chromosomal vererbt wird. Die Behandlung erfolgt in der Regel durch die Gabe der fehlenden Gerinnungsfaktoren, um Blutungen vorzubeugen.

Bei dieser Gentherapie (Wirkstoff Etranacogen-Dezaparvovec) wird ein funktionelles Gen für den fehlenden Gerinnungsfaktor mithilfe eines modifizierten viralen Vektors, hier eines Adeno-assoziierten Virus (AAV), in die Leberzellen von zu therapierenden Patient:innen eingeschleust. Die Leberzellen beginnen daraufhin, den fehlenden Gerinnungsfaktor selbst zu produzieren, was die Notwendigkeit regelmäßiger Infusionen reduziert oder sogar eliminiert. Dabei wird nicht in die Keimbahn der Zellen, die für die Weitergabe des Erbguts verantwortlich ist, eingegriffen, sondern nur direkt als Addition in die Zellen in der Leber, die für die Produktion des Gerinnungsfaktors zuständig sind.

„Die neue Therapie hat gegenüber bisherigen Behandlungsmethoden den Vorteil, dass sie relativ nebenwirkungsarm ist, nur einmal intravenös verabreicht wird und nicht wöchentlich“, erklärt der Leiter des Programms Cihan Ay von MedUni Wien und AKH Wien. „Laut Zulassungsstudien sprechen über 90 Prozent der Patient:innen gut darauf an, und die Wirkung hält auch noch nach Jahren an.“

Die Klinische Abteilung für Hämatologie und Hämostaseologie der Universitätsklinik für Innere Medizin I von MedUni Wien und AKH Wien ist international eines der wenigen Zentren, an denen diese Therapie angeboten und durchgeführt wird. Somit öffnet sich der Zugang zu dieser Therapie für Hämophilie-Betroffene in Österreich. „Es ist eine große Chance für Betroffene der Hämophilie B, auf Jahre hinaus ein beschwerdefreies Leben zu führen“, erklärt



Hämatologe Cihan Ay. Der Wirkstoff ist derzeit zur Behandlung von schweren und mittelschweren Formen der Hämophilie B zugelassen.

Rückfragen bitte an:

Mag. Johannes Angerer
Medizinische Universität Wien
Leiter Kommunikation und
Öffentlichkeitsarbeit
Tel.: 01/ 40 160 11 501
E-Mail: presse@meduniwien.ac.at
Spitalgasse 23, 1090 Wien
www.meduniwien.ac.at/pr

Karin Fehringer, MBA MSc
Universitätsklinikum AKH Wien
Leiterin Informationszentrum und PR
Wiener Gesundheitsverbund
Tel.: +43 1 404 00-12160
E-Mail: presse@akhwien.at
Währinger Gürtel 18-20, 1090 Wien
www.akhwien.at/presse

Medizinische Universität Wien – Kurzprofil

Die Medizinische Universität Wien (kurz: MedUni Wien) ist eine der traditionsreichsten medizinischen Ausbildungs- und Forschungsstätten Europas. Mit rund 8.600 Studierenden ist sie heute die größte medizinische Ausbildungsstätte im deutschsprachigen Raum. Mit mehr als 6.500 Mitarbeiter:innen, 30 Universitätskliniken und zwei klinischen Instituten, zwölf medizintheoretischen Zentren und zahlreichen hochspezialisierten Laboratorien zählt sie zu den bedeutendsten Spitzenforschungsinstitutionen Europas im biomedizinischen Bereich. Die MedUni Wien besitzt mit dem Josephinum auch ein medizinhistorisches Museum.

Universitätsklinikum AKH Wien – Kurzprofil

Im Universitätsklinikum AKH Wien des Wiener Gesundheitsverbundes werden jährlich rund 60.000 Patient:innen stationär betreut. Die Ambulanzen und Spezialambulanzen des AKH Wien werden zusätzlich etwa 1,1 Mio. Mal frequentiert. Gemeinsam mit den Ärzt:innen der MedUni Wien stehen für die Betreuung unserer Patient:innen rund 3.000 Krankenpflegepersonen, über 1.000 Angehörige der medizinischen, therapeutischen und diagnostischen Gesundheitsberufe und viele weitere Mitarbeiter:innen der verschiedensten Berufsgruppen zur Verfügung.