

Gentherapie für Herz-Kreislauf-Erkrankungen

Dr. Giulia Mearini
Universitätsklinikum Hamburg-Eppendorf,
Institut für Experimentelle Pharmakologie und Toxikologie
E-Mail: g.mearini@uke.de

Herz-Kreislauf-Erkrankungen sind weltweit die häufigste Todesursache. Die klassische medikamentöse Therapie bei erblich bedingten Formen dieser Erkrankungen erfolgt bis jetzt nur symptomatisch und zielt nicht auf die zugrunde liegende genetische Ursache der Krankheit ab. Es wird über eine Gentherapie mittels Nukleinsäure (kurzkettige DNA- oder RNA-Moleküle) und Gentransfer, sowie deren Anwendung in monogenen Erkrankungen als neuen therapeutischen Ansatz diskutiert.



Nach einer Einführung über die wichtigsten Vektoren für die Gentherapie werden Ergebnisse in einem Mausmodell der hypertrophen Kardiomyopathie präsentiert. Weiterhin werden induzierte pluripotente Stammzellen (iPSC) als Grundlage für die Krankheitsmodellierung vorgestellt, mit einem Ausblick auf die translationale Anwendung der Gentherapie für schwerwiegende Formen der Kardiomyopathie bei Kindern.