

# tRNA-basierte Gentherapie – die (einzige) Therapie gegen seltene genetische Erkrankungen

Prof. Dr. Zoya Ignatova

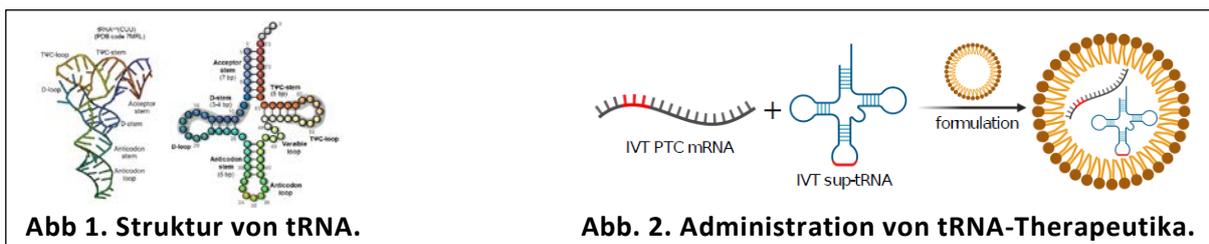
Institut für Biochemie und Molekularbiologie, Universität Hamburg

E-Mail: zoya.ignatova@uni-hamburg.de

Schätzungsweise elf Prozent aller Erbkrankheiten werden durch Nonsense-Mutationen verursacht. Vererbare Nonsense-Mutationen wandeln ein normales Codon auf der mRNA in ein Stoppcodon um, welches die Proteinsynthese dann vorzeitig stoppt. Das notwendige Protein kann nicht hergestellt werden und den betroffenen Menschen fehlt die damit verbundene biologische Funktion. Die Folgen sind verheerende und bisher unheilbare Krankheiten wie die spinale Muskelatrophie, Mukoviszidose, Muskelschwund oder auch Wachstumshormonmangel.



Dieser Vortrag gibt einen Überblick über die Prinzipien der ‚Korrektur‘ von Nonsense-Mutationen mittels synthetischer transfer-RNAs (tRNAs). Diese tRNA überlisten das vorzeitige mutationsbedingte Stoppcodon und das betroffene Protein, und die damit verbundene Funktion kann wiederhergestellt werden.



Die moderne Medizin erfährt durch die rasanten Fortschritte der RNA-basierten gentherapeutischen Verfahren einen bemerkenswerten Wandel, der besonders durch den außerordentlichen Erfolg und Einsatz der mRNA-Impfstoffe im weltweiten Kampf gegen die Corona-Pandemie vorangetrieben wird. Der Vortrag umreißt die neuesten Entwicklungen der gentherapeutischen Ansätze und der Präzisionsarzneimittel, die auf die individuellen genetischen Voraussetzungen zugeschnitten sind. Die tRNA-basierte genetische ‚Reparatur‘, die eine neue Ära in der Gentherapie kennzeichnet, wird mit der mRNA-basierten Gen-Replacement-Technologie verglichen.