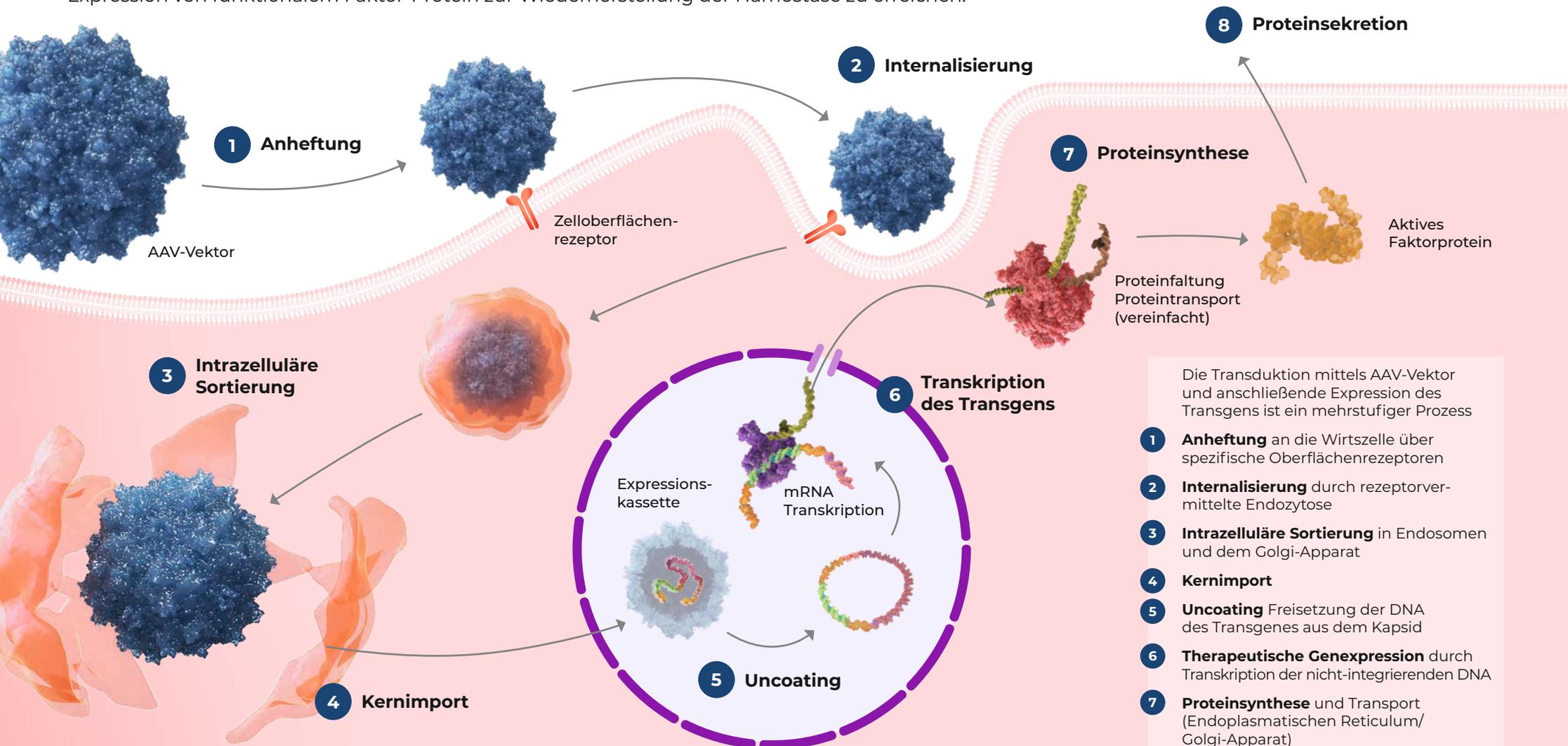


# Gentherapie bei Hämophilie

Die Gentherapien, die bei Hämophilie A und B untersucht werden, verwenden rekombinante AAV-Vektoren für den In-vivo-Gentransfer in die Leber mit dem Ziel, eine dauerhafte, endogene Expression von funktionalem Faktor-Protein zur Wiederherstellung der Hämostase zu erreichen.<sup>1</sup>

Erfahren Sie mehr über den wissenschaftlichen Fortschritt in der Gentherapie unter [HaemEvolution.de](https://www.haemevolution.de)



Die Transduktion mittels AAV-Vektor und anschließende Expression des Transgens ist ein mehrstufiger Prozess

- 1 Anheftung** an die Wirtszelle über spezifische Oberflächenrezeptoren
- 2 Internalisierung** durch rezeptorvermittelte Endozytose
- 3 Intrazelluläre Sortierung** in Endosomen und dem Golgi-Apparat
- 4 Kernimport**
- 5 Uncoating** Freisetzung der DNA des Transgens aus dem Kapsid
- 6 Therapeutische Genexpression** durch Transkription der nicht-integrierenden DNA
- 7 Proteinsynthese** und Transport (Endoplasmatischen Retikulum/ Golgi-Apparat)
- 8 Proteinsekretion** ins Blut

Abbildung adaptiert nach Wang et al.<sup>2</sup> AAV=adeno-assoziiertes Virus.  
1. Pipe S, et al. *Mol Ther Methods Clin Dev.* 2019; 15:170-178  
2. Wang D, et al. *Nat Rev Drug Discov.* 2019; 18:358-378.