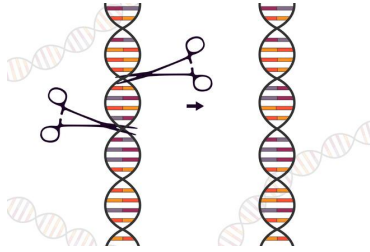


Neue Gentherapie am St. Anna Kinderspital in Wien

Open Science > Medizin - Mensch - Ernährung > Neue Gentherapie am St. Anna Kinderspital in Wien



Mittels der so genannten Genschere CRISPR/Cas9 sollen zukünftig Patient:innen mit Sichelzellanämie und Beta-Thalassämie behandelt werden, Bild: L.J.NovaScotia auf Pixabay

Das St. Anna Kinderspital erweitert sein medizinisches Angebot um eine der innovativsten Therapieformen: Künftig wird auch eine Gentherapie für Jugendliche mit schweren Formen der Sichelzellkrankheit und schwerer Beta-Thalassämien angeboten. Die ersten Patient:innen könnten bereits im Herbst behandelt werden. Die Therapie wird in Österreich nur an wenigen spezialisierten Zentren verfügbar sein – darunter Wien und Innsbruck.

Zum Einsatz kommt die Gentherapie CASGEVY®, die auf der CRISPR/Cas9-Technologie basiert. Die 2024 von der Europäischen Kommission zugelassene Therapie ist die erste Gentherapie dieser Art in Europa. Dabei werden körpereigene Stammzellen genetisch verändert, um die Bildung von gesundem Hämoglobin (rotem Blutfarbstoff) wieder zu ermöglichen.

Neue Perspektiven für schwer betroffene Patient:innen

Sichelzellkrankheit und schwere Beta-Thalassämie sind genetisch bedingte Erkrankungen der Blutbildung. Betroffene leiden unter einer deutlich eingeschränkten Lebensqualität und benötigen wiederholt Krankenhausaufenthalte. Krankhaft veränderte rote Blutkörperchen führen bei Sichelzellkrankheit zu Gefäßverschlüssen mit Schmerzkrisen, Schlaganfällen und anderen schwerwiegenden Organschäden, und ohne heilende hämatopoetische Stammzelltransplantation ist die Lebenserwartung auch in der industrialisierten Welt um etwa 20 Jahre reduziert. Patient:innen mit schwerer Beta-Thalassämie benötigen lebenslang regelmäßige Erythrozytentransfusionen (Gabe roter Blutkörperchen). Ein Hauptproblem sind dabei Organschäden durch Eisenüberladung, weshalb eine zum Teil mit Nebenwirkungen behaftete Eiseneliminationstherapie durchgeführt werden muss. Leider stehen nur bei einem Teil der Betroffenen passende Stammzellspender:innen für eine potenziell heilende Therapie zur Verfügung.

„Für Kinder und Jugendliche mit schweren Krankheitsverläufen, für die keine passende Stammzellspende verfügbar ist, eröffnet die Gentherapie erstmals eine neue heilende therapeutische Perspektive“, erklärt Prof. Dr. Leo Kager, Leiter der Ambulanz für Hämatologie und Onkologie am St. Anna Kinderspital und Diagnoseverantwortlicher für die Gentherapie.



„Für Kinder und Jugendliche mit schweren Krankheitsverläufen, für die keine passende Stammzellspende verfügbar ist, eröffnet die Gentherapie erstmals eine neue heilende therapeutische Perspektive“, so Prof. Dr. Leo Kager (St. Anna Kinderspital), Bild: St. Anna Kinderspital

Die Behandlung richtet sich an in Österreich versicherte Patient:innen ab zwölf Jahren mit schweren Krankheitsverläufen. Aufgrund der strengen medizinischen Kriterien wird die Zahl der geeigneten Patient:innen zunächst klein sein. Insgesamt leben in Österreich etwa 60 bis 80 Menschen mit schwerer Beta-Thalassämie und etwa 130 mit schwerer Sichelzellerkrankung.

Wie funktioniert die Gentherapie?

Für die Behandlung werden körpereigene Blutstammzellen entnommen und mittels CRISPR/Cas9-Technologie im Labor genetisch so verändert, dass anschließend wieder ein intaktes Hämoglobin produziert werden kann. Nach Verabreichung einer Chemotherapie, die die kranken Zellen im Körper zerstören soll, erhalten die Patient:innen ihre bearbeiteten Stammzellen über eine Infusion zurück. Die mit der CRISPR/Cas9-Technologie behandelten Zellen beginnen dann im Körper, gesundes Blut zu bilden. Insgesamt dauert der stationäre Aufenthalt mehrere Wochen.

„Die bisherigen Studienergebnisse sind sehr vielversprechend. Im Idealfall verschwinden Schmerzkrisen nahezu vollständig, was für Patient:innen mit Sichelzellerkrankung eine massive Verbesserung der Lebensqualität bedeutet. Patient:innen mit schwerer Beta-Thalassämie benötigen im Idealfall nach einer Gentherapie keine Transfusionen mehr“, so PD Dr. Herbert Pichler, Leiter der Stammzelltransplantation am St. Anna Kinderspital und verantwortlich für die Durchführung der Gentherapie.

Ein wesentlicher Vorteil gegenüber der klassischen

Stammzelltransplantation mit Spenderstammzellen besteht darin, dass durch die Verwendung körpereigener Stammzellen kein Risiko schwerer Immunreaktionen besteht (so genannter Graft-versus-Host-Erkrankung). Daher ist im Unterschied zur klassischen Stammzelltransplantation nach einer Gentherapie im Regelfall keine Immunsuppression erforderlich.

bg, 23.07.2026

Quellenangaben

[Presseaussendung des St. Anna Kinderspitals](#) vom 23.7.2026

Grössmann-Waniek, N., Wild, C., Malíková, E., Wolf, S., Fabian, D., Sehic, O. und Zechmeister-Koss, I. (2025): Exagamglogene autotemcel (Exa-cel, Casgevy®) zur Behandlung von Beta-Thalassämie und schwerer Sichelzellkrankheit. Decision Support Document for the Austrian Appraisal Board 001.