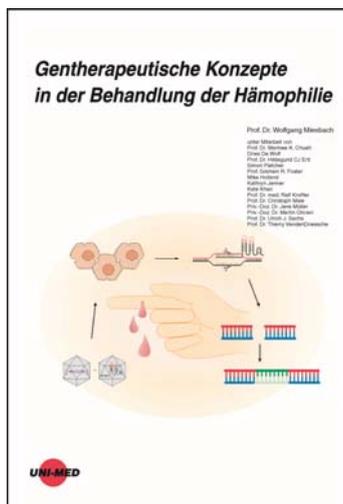


# Gentherapeutische Konzepte in der Behandlung der Hämophilie

Prof. Dr. Wolfgang Miesbach (Hrsg.), Medizinische Klinik 2, Universitätsklinikum Frankfurt

UNI-MED Science, 1. Auflage 2024, 78 Seiten, 9 Abb., Hardcover, ISBN 978-3-8374-2451-5, Euro 4,95



In den letzten zehn Jahren hat sich die Gentherapie als eine bahnbrechende neue Behandlungsoption entwickelt, insbesondere durch die Zulassung von Produkten für die Hämophilie A und B. Diese Therapieform verspricht eine weitgehende Unabhängigkeit von regelmäßiger Substitutionstherapie bei niedrigen Blutungsraten, dank der Verwendung von adeno-assoziierten Viren (AAV) als Vektoren. Das vorliegende Buch vermittelt die aktuellen Kenntnisse zum Potenzial der neuen Gentherapeutika in der Behandlung von Hämophilie A und B. Es deckt dabei ein breites Spektrum ab: von den Grundlagen der Hämophilie über die verschiedenen gentherapeutischen Ansätze (AAV, Lentivirus, Gene Editing) bis hin zu spezifischen Aspekten wie der Auswahl geeigneter Patienten für die Gentherapie, den Auswirkungen auf Gerinnungsfaktorwerte, leberbezogenen Fragestellungen und der Immunantwort auf AAV-vermittelte Gentherapie. Es erläutert außerdem die Notwendigkeit einer interdisziplinären Zusammenarbeit und diskutiert das innovative "Hub and Spoke"-Modell. Dieses Buch soll als Brücke dienen, die die Lücke zwischen dem aktuellen Wissenstand und zukünftigen Entwicklungen schließt, und es zielt darauf ab, eine umfassende Informationsquelle für Fachleute in der klinischen Praxis und Forschung zu sein.