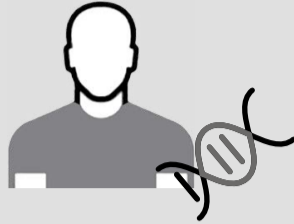
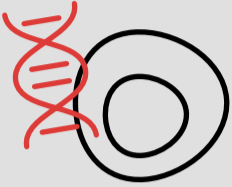


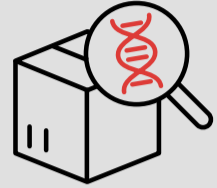
Hvad er genterapi?

Genterapi, en helt ny tilgang til sygdomsbehandling, virker ved at **introducere et nyt, fungerende gen i kroppen**, eller ved at **slukke for eller modificere det defekte gen**, som er årsag til sygdomstilstanden.¹



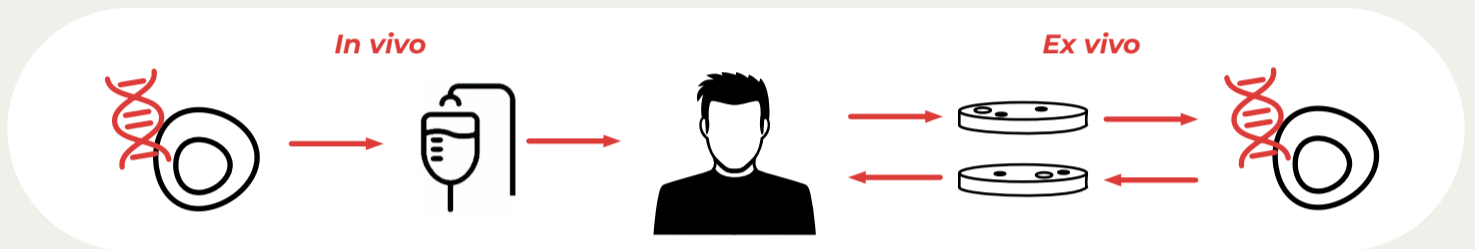
Før det fungerende gen kan afleveres til patienten, er der brug for **en metode til at transportere det ind i patientens celler**.

Fungerende gener bliver **pakket ind i modificerede vira**, benævnt 'vektorer', som skal beskytte genet under leveringen. **Disse vektorer er ikke smittefarlige.**²



Hvordan administreres genterapi?

Der findes to metoder til levering af genterapi: genet kan leveres direkte ind i personen via intravenøs infusion (*in vivo*), eller ind i celler der forud er blevet udtaget fra patienten (*ex vivo*).²



Når genet først er inde i målcellen, kan genterapien begynde at arbejde på forskellige måder:²



Målcelle med defekt gen



Gentilføjelse:

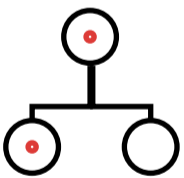
det fungerende gen indsættes i målcellen side om side med det eksisterende ikke-fungerende gen.



Genredigering:

det at indsætte, fjerne eller modificere det eksisterende gen for at få det til at fungere på korrekt vis.

Genterapi til hæmofili



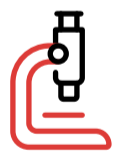
Hæmofili er en **arvelig blødersygdom** som skyldes en defekt i et enkelt gen, hvilket gør det til et godt mål for genterapi.



For hæmofili B tilføjer genterapi en fungerende kopi af FIX kodningssekvensen, som efterfølgende **fungerer som en genetisk opskrift for den manglende koagulationsfaktor.**³



Formålene med genterapi til hæmofili B er at **give langtidsfordele gennem opretholdelse af FIX aktivitet** via en enkelt administration af behandlingen, og at **reducere eller måske eliminere spontane blødningsepisoder og behov for livslange profylaktiske infusioner.**^{4,5}



Adskillige kliniske forsøg som vurderer genterapier til hæmofili B er undervejs.

References¹Miesbach W et al. How to discuss gene therapy for haemophilia? A patient and physician perspective. Haemophilia 2019;25:545 – 57. ²Prakash V et al. Current progress in therapeutic gene editing for monogenic diseases. Mol Ther 2016;24:465 – 74. ³Perrin G et al. Update on clinical gene therapy for hemophilia. Blood 2019;33(5):407 – 14. ⁴Batty and Lillicrap D. Hemophilia Gene Therapy: Approaching the First Licensed Product. Hemasphere 2021;5:e540 ⁵Doshi BS et al. Gene therapy for hemophilia: what does the future hold? Ther Adv Hematol 2018;9:273–293 ⁶Clinicaltrials.gov. Hemophilia B clinical studies. Available at: https://www.clinicaltrials.gov/ct2/results?cond=Hemophilia+B&Search=Apply&recrs=d&age_v=&gndr=&type=&rstl= [Accessed December 2022]