

Medicinsk Nyhed

Genterapi ved arvelig døvhed

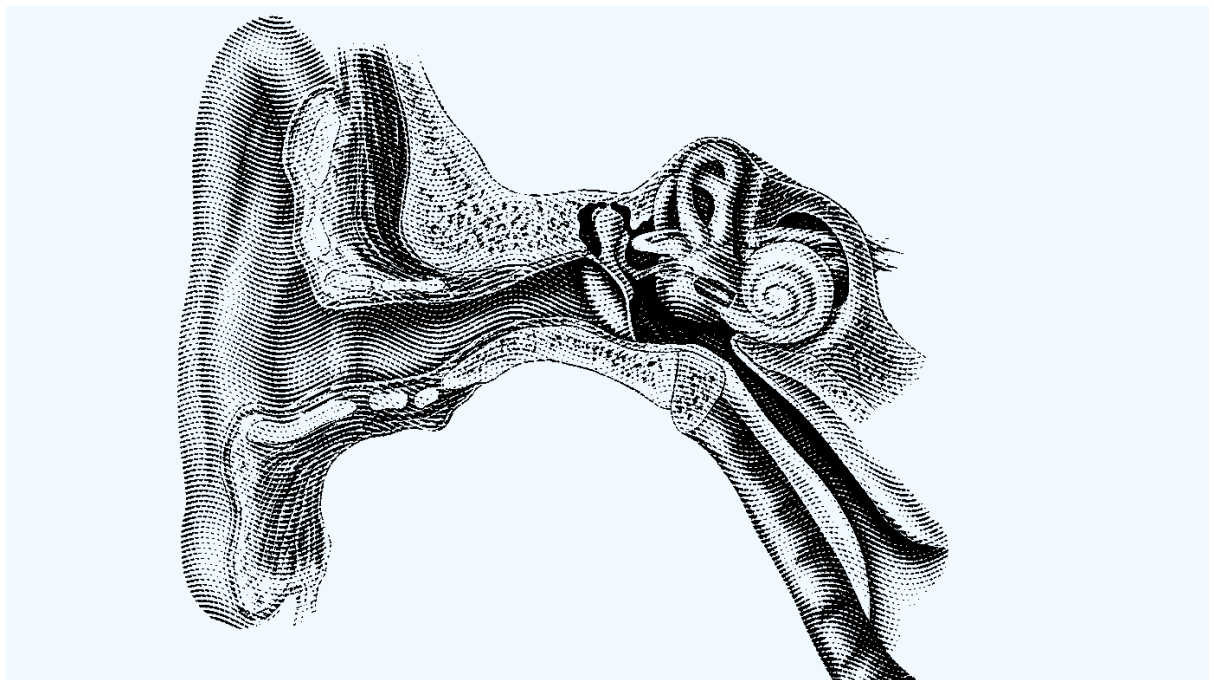
Døvhed skyldes hyppigst genetiske årsager. Et nyt studie viser, at genterapi kan gennemføres med en vis succes hos nogle få patienter.

Døvhed kan skyldes genetisk mangel på proteinet otoferlin, som er nødvendig for overførsel af signalet fra de indre hårceller til hørenerven i det indre øre. Terapi med genet otoferlin kan derfor i varierende grad bedre hørelsen hos børn med denne meget sjældne årsag til døvhed.

Professor, overlæge Per Cayé-Thomasen, Øre-Næse-Halskirurgi og Audiologi, Rigshospitalet, kommenterer: »Dette studie fra et af flere centre på verdensplan illustrerer det første genterapeutiske gennembrud til behandling af medfødt døvhed/svært høretab. En viral vektor med det intakte otoferlin-gen indføres i det indre øre ved delikat kirurgisk teknik. Resultater er foreløbig ganske varierende, formentlig på baggrund af varierende defekter i otoferlin-genet, om end overraskende gode, selv om kun en del af patienterne er fri for at anvende et konventionelt høreapparat efter behandlingen. Langtidsresultater er fortsat uafklarede, og et egentligt gennembrud i behandlingen af døvfødte patienter afventer introduktion af terapi tilsigtet de mere hyppigt forekommende gendefekter (i f.eks. *GJB2/Connexin 26*-genet). Estimeret fødes årligt omkring 50 børn med døvhed/svært høretab i Danmark – kun hvert 3. til 5. år fødes et enkelt barn med en otoferlin-gendefekt«.

Valayannopoulos V, Bance M, Carvalho DS, et al. DB-OTO Gene Therapy for Inherited Deafness. *New Engl J Med*. 2025. ; in press. <https://doi.org/10.1056/NEJMoa2400521>

Interessekonflikter ingen



Redigeret af Jens Peter Gøtze, jpg@dadlnet