

Medienmitteilung

Optogenetische Therapie ist sicher und hilft blinden Menschen, Objekte wahrzunehmen

Fünf Jahre nach dem wegweisenden Ergebnis bei einem einzelnen Patienten zeigen Daten einer behandelten Patientenkohorte nun erstmals, dass der optogenetische Ansatz auch über einen Einzelfall hinaus funktioniert.

Basel, 8. Oktober 2026 – Ein internationales Forschungsteam hat neue Ergebnisse der ersten klinischen Kohorte veröffentlicht, in der blinde Menschen mit fortgeschrittener Retinitis pigmentosa mit einer optogenetischen Therapie behandelt wurden. Der Ansatz kombiniert eine Gentherapie, die die noch vorhandenen Nervenzellen in der Netzhaut, sogenannte Ganglienzellen, lichtempfindlich macht, mit einer speziellen Brille, die diese Zellen mit Licht anregt. Die Studie wurde von José-Alain Sahel (Universität Pittsburgh) und Botond Roska (Institut für molekulare und klinische Ophthalmologie Basel, IOB) geleitet. Beteiligt waren zudem GenSight Biologics (Euronext: SIGHT) und ein internationales Forschungsteam. Dieselbe internationale Gruppe führte bereits 2021 die erste Machbarkeitsstudie zu diesem Ansatz durch.

Die wichtigsten Ergebnisse in Kürze:

- **Die Sicherheit der Behandlung war das wichtigste Ziel der Studie.** Die Behandlung wurde im Rahmen der Studie als sicher eingestuft. Unerwünschte Ereignisse am Auge waren überwiegend leicht oder mässig ausgeprägt. Lediglich ein schweres Ereignis trat unmittelbar nach der Injektion auf und klang innerhalb weniger Minuten nach der Behandlung vollständig ab.
- **Bei sieben von zehn Teilnehmenden nahm die Lichtempfindlichkeit zu.** Sechs erreichten den vorab festgelegten Schwellenwert für eine klinisch bedeutsame Verbesserung.
- **Vier von acht Teilnehmenden, die die Sehvermögenstests absolvierten, verbesserten sich** bei Aufgaben wie der Wahrnehmung oder Lokalisation von Objekten. Noch mehr Teilnehmende konnten mit der Brille eine Tür einfacher finden oder einer Linie besser folgen.

Stefan Futterknecht, Zweitautor der Studie und massgeblich an der Datenanalyse beteiligt, sagt: „Diese Studie ist ein wichtiger Meilenstein für die optogenetische Wiederherstellung des Sehvermögens. Sie zeigt, dass die zunächst bei einer einzelnen Person beobachteten Effekte auch bei weiteren Betroffenen reproduziert werden können. Damit wird eine Grundlage für die Entwicklung präziserer und wirksamerer Therapien in der Zukunft geschaffen.“

Erhaltene Ganglienzellen erhalten eine neue Aufgabe

Retinitis pigmentosa ist eine erblich bedingte Erkrankung, bei der die lichtempfindlichen Zellen der Netzhaut, die Photorezeptoren, nach und nach ihre Fähigkeit verlieren, auf Licht zu reagieren. Mutationen in mehr als 100 verschiedenen Genen können diese Erkrankung verursachen. Die optogenetische Therapie setzt nicht an einem bestimmten Gendefekt an. Stattdessen macht sie noch vorhandene Ganglienzellen der Netzhaut lichtempfindlich.

In der Studie erhielt jeder Teilnehmende eine einmalige Injektion in das schlechter sehende Auge. Dabei wurde die genetische Bauanleitung für ChrimsonR eingebracht, ein lichtempfindliches Protein, das auf orange-rotes Licht reagiert. Anschliessend nutzten die Teilnehmenden eine spezielle Brille mit eingebauter Kamera. Die Brille erfasst Veränderungen in der Umgebung und wandelt sie in Pulse aus orange-rotem Licht um. Diese aktivieren ChrimsonR in der behandelten Netzhaut.

Kurz gefasst macht die Gentherapie noch vorhandene Netzhautzellen lichtempfindlich, während die Brille das passende Lichtsignal liefert.

Der Umgang mit einem neuen visuellen Signal muss erlernt werden

Die Studie zeigt, dass mehrere Teilnehmende mit der Brille Objekte wahrnehmen oder lokalisieren, eine Türöffnung finden oder einer Linie folgen konnten. Auch Messungen der Hirnaktivität zeigten, dass visuelle Informationen das Sehzentrum des Gehirns erreichten.

Dabei spielte das Training eine wichtige Rolle. Patientinnen und Patienten, die länger mit der Brille trainierten, schnitten bei Tests zur Wahrnehmung von Objekten tendenziell besser ab. Dies deutet darauf hin, dass Rehabilitation ein wichtiger Bestandteil der optogenetischen Therapie sein könnte.

Die Studie markiert einen bedeutenden Fortschritt für die optogenetische Wiederherstellung des Sehvermögens: Mehrere Patientinnen und Patienten konnten visuelle Informationen wieder wahrnehmen und für einfache Aufgaben nutzen. Zugleich erwies sich die Kombination aus Gentherapie und lichtstimulierender Brille im Rahmen der Studie als sicher. Die Ergebnisse zeigen, dass selbst in einem sehr fortgeschrittenen Stadium der Erblindung noch vorhandene Ganglienzellen der Netzhaut lichtempfindlich gemacht werden und visuelle Informationen an das Gehirn weiterleiten können. Ein normales Sehvermögen stellte die Behandlung jedoch nicht wieder her und Lesen oder das Erkennen von Gesichtern waren weiterhin nicht möglich. Dennoch schafft diese Studie eine wichtige Grundlage für die Weiterentwicklung optogenetischer Therapien.

Der vollständige Artikel "*Optogenetic Therapy for Restoring Aspects of Visual Function*" ist erschienen im *New England Journal of Medicine (NEJM)* und abrufbar unter: <https://doi.org/10.1056/NEJMoa2602215>.

Über das IOB

Am Institut für Molekulare und Klinische Ophthalmologie Basel (IOB) arbeiten Grundlagenforscher und Kliniker Hand in Hand, um das Verständnis des Sehvorgangs und seiner Erkrankungen zu vertiefen und neue Therapien gegen Sehverlust zu entwickeln. Das IOB nahm 2018 seinen Betrieb auf. Das Institut ist als Stiftung konstituiert und gewährt seinen Wissenschaftlern somit akademische Freiheit. Gründungspartner sind das Universitätsspital Basel, die Universität Basel und Novartis. Der Kanton Basel-Stadt hat dem Institut eine erhebliche finanzielle Unterstützung gewährt.

Wissenschaftlicher Kontakt:

Botond Roska

Leiter der Forschungsgruppe "Human Retinal and Central Visual Circuits"

Institut für Molekulare und Klinische Ophthalmologie Basel (IOB)

E-Mail: headoffice_roska@iob.ch

Pressekontakt:

Elsa Sigle

Leitung Administration und Kommunikation

Institut für Molekulare und Klinische Ophthalmologie Basel (IOB)

Email: media@iob.ch | www.iob.ch

Folgen Sie uns in den sozialen Medien:

LinkedIn: [Institute of Molecular and Clinical Ophthalmology Basel \(IOB\)](https://www.linkedin.com/company/institute-of-molecular-and-clinical-ophthalmology-basel-iob/)

X (Twitter): [@IOB_ch](https://twitter.com/IOB_ch)

BlueSky: [@IOBSwiss](https://bsky.app/profile/@IOBSwiss)

YouTube: youtube.com/@iobbasel