

# REKRUTIERUNGSPROZESS GENTHERAPIE FÜR RAG1-SCID (RECOMB-KONSORTIUM)



## RECOMB-Konsortium

Das **RECOMB**-Konsortium ist ein Forschungsverbund, der im Jahr 2018 ins Leben gerufen wurde. Es vereint klinische und Forschungsprofis von 16 europäischen und einem israelischen Institut mit Erfahrung in der Behandlung angeborener Immundefekte (IEI) wie der schweren kombinierten Immunschwäche (SCID).

Das Projekt erhielt eine Finanzierung aus dem Horizon-2020-Programm der Europäischen Union.

## Klinische Studie "RECOMB"

PHASE I/II

Das Kind mit RAG1-SCID wird zur Behandlung in die Zelltherapie-Abteilung der Klinik für Kinder- und Jugendmedizin Ulm eingewiesen; damit wird einen Verlegung ins Ausland zu vermeiden.

Im Rahmen der Studie erhalten Patienten mit SCID aufgrund von RAG1-Defizienz autologe CD34+-Zellen, die mit dem RAG1-Lentivirus transduziert wurden. Es wurden bereits zwei Patienten mit zufriedenstellendem Follow-up von bis zu zwei Jahren so behandelt.

## ZIEL

Neugeborenen und Säuglingen mit einer der häufigsten Formen von SCID eine neue Therapieoption auf der Basis von Gentherapie anzubieten.


## KRITERIEN


EINSCHLUSS	AUSSCHLUSS
Genetisch bestätigtes RAG1-SCID	HLA-kompatibler Spender verfügbar
Alter unter 2 Jahren	Periphere T-Zellen >300/µl und/oder naive T-Zellen >1/µl
Kein HLA-kompatibler Spender verfügbar	Omenn-Syndrom
Periphere T-Zellen <300/µl und/oder naive T-Zellen <1/µl	Vorherige Stammzelltransplantation
Kein Omenn-Syndrom	Signifikante Organfunktionsstörung


## KONTAKT

### PROF. DR. MED. ANSGAR SCHULZ

Klinik für Kinder - und Jugendmedizin,  
Universitätsklinikum Ulm eythstr. 24, 89075 Ulm

 [ansgar.schulz@uniklinik-ulm.de](mailto:ansgar.schulz@uniklinik-ulm.de)

 0049 731 500 57193

 <http://www.recomb.eu/>

