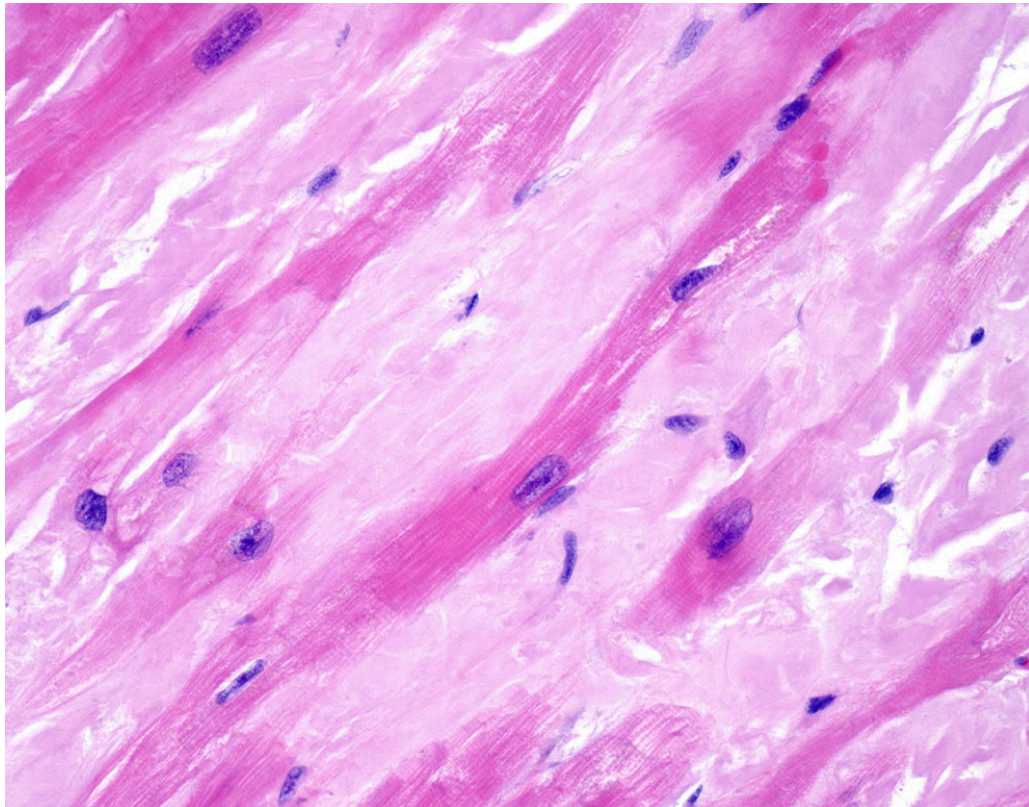

Vellykket genredigering ved arvelig amyloidose

FRA ANDRE TIDSSKRIFTER

PETTER GJERSVIK

Tidsskriftet

Én injeksjon med et CRISPR-basert legemiddel stoppet progresjonen av polyneuropati ved hereditær transtyretinamyloidose.



Amyloidose, lysmikrofotografi. Illustrasjonfoto: Science Photo Library / NTB

Hereditær transtyretinamyloidose med polyneuropati er en sjelden, progredierende og til slutt fatal sykdom som affiserer mange organer. Sykdommen er karakterisert av nedslag av feilbrettet transtyretin i perifere

nerver. Nexiguran ziclumeran – forkortet nex-z – er en *in vivo*-behandling basert på CRISPR-Cas9-teknologi for å redusere transtyretinnivået i serum gjennom selektiv inaktivering av feilbrettet transtyretin i leveren.

I en internasjonal fase 1-studie ble 36 pasienter med denne sykdommen gitt én infusjon med nex-z for å studere sikkerhet og farmakodynamikk og for å registrere kliniske effekter blant annet på polyneuropati (1). Etter 28 dager var den gjennomsnittlige reduksjonen i transtyretinnivået i serum på 90 %, og dette nivået holdt seg gjennom 24 måneder.

Bivirkninger var blant annet forbigående transfusjonsreaksjoner, redusert tyroksinnivå og hodepine hos enkelte pasienter. Én pasient døde av kardial amyloidose, og én trakk seg fra studien på grunn av sviktende motoriske funksjoner. Etter 24 måneder var sykdomsskår for polyneuropati og andre relevante funn stabilt uendret hos de fleste deltakerne.

– Denne studien viser lovende resultater av CRISPR-basert behandling ved en alvorlig genetisk sykdom som rammer få mennesker, sier Eivind Valen, som er molekylærbiolog og professor ved Universitetet i Oslo.

– Men studien er liten, ikke blindet og uten kontrollgruppe, så resultatene må følges opp med flere studier. Begrensningen ved denne typen *in vivo*-behandlinger er vel så mye å få CRISPR-Cas9 inn i de riktige cellene som å få CRISPR til å redigere gener når den først er kommet inn i cellen, sier Valen.

LITTERATUR

1. Gillmore JD, Gane E, Täubel J et al. Nexiguran Ziclumeran Gene Editing in Hereditary ATTR with Polyneuropathy. *N Engl J Med* 2025; 393: 1375–86. [PubMed][CrossRef]

Publisert: 5. desember 2025. Tidsskr Nor Legeforen. DOI: 10.4045/tidsskr.25.0634
Opphavsrett: © Tidsskriftet 2026 Lastet ned fra tidsskriftet.no 26. juni 2026.