

Gentherapie bei angeborener Schwerhörigkeit: Vom Forschungsansatz zur klinischen Realität

97. Jahresversammlung der Deutschen Gesellschaft für Hals-Nasen-Ohren-Heilkunde, Kopf- und Hals-Chirurgie | 13.-16. Mai 2026 | Ulm

Neue Einordnung und Perspektiven auf der DGHNO-KHC-Jahresversammlung

Ulm, Gentherapeutische Ansätze zur Behandlung genetisch bedingter Schwerhörigkeit werden seit rund einem Jahr auch in Deutschland klinisch untersucht. Mit der aktuellen FDA Zulassung der ersten Gentherapie gegen eine genetische Form hochgradiger Schwerhörigkeit in den USA erreicht dieses Forschungsfeld nun erstmals eine neue Stufe der klinischen Umsetzung. Die bevorstehende Jahresversammlung der Deutschen Gesellschaft für Hals-Nasen-Ohren-Heilkunde, Kopf- und Hals-Chirurgie (DGHNO-KHC) greift diese Entwicklung auf und widmet sich der wissenschaftlichen Einordnung, Erfahrungen aus den aktuellen klinischen Studien, offenen diagnostischen und therapeutischen Fragen sowie Perspektiven für weitere Entwicklungen auf diesem neuen Gebiet der „Molekularen Otologie“.

Viele Kinder, die von Geburt an schwerhörig oder taub sind, haben eine genetische Ursache für ihre Erkrankung. Besonders selten, aber gut untersucht, ist eine Veränderung im sogenannten Otoferlin Gen. Bei betroffenen Kindern funktioniert das Innenohr grundsätzlich, doch die Weiterleitung der Hörsignale an den Hörnerv ist gestört.

Bisher war für diese Kinder meist ein Cochlea-Implantat die einzige Therapiemöglichkeit. Dabei handelt es sich um ein elektronisches Hörimplantat, das den Hörnerv direkt stimuliert. Die neue Gentherapie verfolgt einen anderen Ansatz, indem eine funktionsfähige Kopie des defekten Gens direkt ins Innenohr eingebracht wird. Ziel ist es, den zugrunde liegenden Defekt zu korrigieren – also die Ursache der Schwerhörigkeit zu behandeln.

Im April 2026 hat die US amerikanische Arzneimittelbehörde FDA erstmals eine Gentherapie zur Behandlung eines genetisch bedingten Hörverlusts zugelassen. In den zugrunde liegenden klinischen Studien erreichten viele der behandelten Kinder deutliche Hörverbesserungen, ein Teil sogar ein altersentsprechendes normales Hörvermögen. Diese Zulassung wurde durch eine internationale klinische Studie unter deutscher und europäischer Beteiligung ermöglicht.

Professor Hubert Löwenheim, Ärztlicher Direktor der Universitätsklinik für Hals-, Nasen- und Ohrenheilkunde am Universitätsklinikum Tübingen und derjenige Arzt, der den Eingriff im April 2025 erstmals im deutschsprachigen Raum durchgeführt hat, erklärt: „Es eröffnet sich eine völlig neue Therapiemodalität für den Hörverlust, vergleichbar nur mit der Zulassung des Cochlea-Implantats vor über 40 Jahren. Erstmals besteht die Möglichkeit, bei einer bestimmten Form genetischer Schwerhörigkeit gezielt an der Ursache anzusetzen.“

Wichtig sei dabei: Die Gentherapie soll das Cochlea-Implantat nicht ersetzen, sondern künftig eine zusätzliche Option sein – für ausgewählte Patientinnen und Patienten. „Unser Ziel ist es, Familien den Zugang zu individuellen Therapieoptionen zu eröffnen – je nach genetischer Ursache und Situation des Kindes“, so Löwenheim.

Auf der Jahresversammlung der Deutschen Gesellschaft für Hals-Nasen-Ohren-Heilkunde, Kopf- und Hals-Chirurgie e.V. vom 13.-16. Mai 2026 steht die sachliche Diskussion im Vordergrund: Welche Chancen bietet Gentherapie? Welche Erwartungen sind realistisch? Und wie lässt sich medizinischer Fortschritt verantwortungsvoll in die Versorgung von Kindern integrieren?

Hintergrund:

Grundlage dieser Pressemitteilung ist eine klinische Gentherapiestudie zur Behandlung OTOF-bedingter Schwerhörigkeit unter Beteiligung des Universitätsklinikums Tübingen, veröffentlicht am 9. Mai 2025. Link zur Quelle: www.medizin.uni-tuebingen.de/meldung/ und publiziert am 12. Oktober 2025, Valayannopoulos et al, DB-OTO Gene Therapy for Inherited Deafness. N Engl J Med 2026; 394: 1074-1083. Link zur Quelle: www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa2400521

Aktuelle Pressemitteilung zur Zulassung durch die FDA (23. April 2026) -
Link: <https://investor.regeneron.com/news-releases/news-release-details/otarmenitm-lunsotogene-pa-rvec-cwha-approved-fda-first-and-only>