

Zelltherapie zeigt anhaltende Wirkung bei schwerer neuromuskulärer Autoimmunerkrankung

Neue Langzeitdaten: Drei Patientinnen mit der seltenen Muskelerkrankung Myasthenia gravis sind nach CAR-T-Zelltherapie auch Jahre später beschwerdefrei und benötigen keine Medikamente

Am 30. Mai 2023 gelang an der Universitätsmedizin Magdeburg ein medizinischer Meilenstein: Damals wurde weltweit erstmals eine Patientin mit schwerer, therapieresistenter Myasthenia gravis erfolgreich mit einer gegen B-Zellen gerichteten CAR-T-Zelltherapie behandelt – ein Verfahren das ursprünglich aus der Krebsmedizin stammt. Drei Jahre später hat ein interdisziplinäres Team nun die Langzeitergebnisse von drei Patientinnen im renommierten Fachjournal Cell Reports Medicine veröffentlicht – zwei von ihnen wurden in Magdeburg behandelt.

Alle drei Patientinnen waren kurz nach der Behandlung beschwerdefrei. Die zuvor notwendigen Medikamente konnten vollständig abgesetzt werden, während sich Muskelkraft, Alltagsfunktionen und Lebensqualität deutlich verbesserten. Die erste Magdeburger Patientin ist seit mehr als drei Jahren symptomfrei. Das besondere an diesen Ergebnissen ist vor allem die lange Beobachtungsdauer: Sie zeigt, dass die Wirkung der Therapie nicht nur kurzfristig, sondern über Jahre anhalten kann.

Seltene Erkrankung mit teilweise lebensbedrohlichem Verlauf

Myasthenia gravis ist eine seltene Autoimmunerkrankung, bei der Antikörper die Signalübertragung zwischen Nerven und Muskeln stören. Typische Folgen sind eine rasch zunehmende Muskelschwäche, Doppelbilder sowie Schwierigkeiten beim Sprechen und Schlucken. Ist die Atemmuskulatur betroffen, kann die Erkrankung lebensbedrohlich werden.

In Deutschland leben Schätzungen zufolge bis zu 24.000 Menschen mit einer Myasthenie. Die Erkrankung kann in jedem Lebensalter auftreten. Bei einem frühen Krankheitsbeginn sind Frauen etwa drei- bis viermal häufiger betroffen als Männer. Obwohl sich die Behandlungsmöglichkeiten in den vergangenen Jahren deutlich verbessert haben, benötigen viele Betroffene eine dauerhafte Therapie. Bei einem Teil der Patientinnen und Patienten lässt sich die Erkrankung trotz mehrerer Medikamente nicht ausreichend kontrollieren.

Gezielter Neustart des Immunsystems

Bei der CAR-T-Zelltherapie werden aus dem Blut von Betroffenen körpereigene Abwehrzellen, die sogenannten T-Zellen, entnommen. Im Labor werden sie genetisch so verändert, dass sie anschließend B-Zellen gezielt erkennen und zerstören können. Die veränderten Zellen werden der Patientin oder dem Patienten wieder zurückgegeben.

B-Zellen spielen bei Myasthenia gravis und vielen weiteren Autoimmunerkrankungen eine zentrale Rolle. Sie bilden die fehlgeleiteten Antikörper, die die Kommunikation zwischen Nerven und Muskeln beeinträchtigen. Die Idee: Werden diese Zellen vorübergehend entfernt, kann sich das Immunsystem danach möglicherweise neu ordnen.

„Unsere Daten sprechen dafür, dass diese vorübergehende B-Zell-Beseitigung dem Immunsystem die Chance auf einen sogenannten immunologischen Neustart geben kann“, erklärt Prof. Dr. Dimitrios Mougiakakos, der zu den Pionieren dieses Therapiekonzepts bei Autoimmunerkrankungen gehört und dessen klinische Entwicklung maßgeblich mit vorangetrieben hat.

Gute Verträglichkeit durch weitere Magdeburger Studie gestützt

In der aktuellen Fallserie wurde die Behandlung insgesamt gut vertragen. Auftretende Nebenwirkungen waren vorübergehend und beherrschbar. Dies deckt sich mit einer weiteren 2026 in HemaSphere veröffentlichten Magdeburger Studie: Auch dort wurden bei den untersuchten Fällen mit schweren Autoimmunerkrankungen, darunter drei mit Myasthenia gravis, keine schwerwiegenden therapiebedingten Nebenwirkungen beobachtet.

Von Einzelfällen zur internationalen Studie

Die Erfahrungen aus der Fallserie sind inzwischen in die internationale klinische Studie KYSA-6 eingeflossen. In dieser großangelegten Phase-2/3-Studie wird dasselbe CAR-T-Zellprodukt bei einer größeren Zahl von Menschen mit schwerer generalisierter Myasthenia gravis untersucht.

Auch an der Universitätsmedizin Magdeburg werden dafür Betroffene mit einer aktiven Myasthenia gravis gesucht. Interessierte können sich unter khae-studien@med.ovgu.de über die Studie informieren. Ob eine Teilnahme möglich ist, wird anschließend individuell anhand der jeweiligen Studienkriterien geprüft.

Interdisziplinäre Zelltherapieforschung in Magdeburg

Die aktuelle Publikation entstand in enger Zusammenarbeit zwischen der Universitätsmedizin Magdeburg, der Medizinischen Hochschule Hannover, der Ruhr-Universität Bochum, der Friedrich-Alexander-Universität Erlangen-Nürnberg und weiteren klinischen sowie wissenschaftlichen Partnern.

Das Magdeburger Zentrum für Zell- und Immuntherapien (MAZI) bündelt die hierfür erforderliche Expertise und verbindet experimentelle Forschung und klinische Anwendung. Mit weltweit beachteten Pionierbehandlungen hat sich Magdeburg zu einem der besonders aktiven deutschen Standorte für T-zellbasierte Immuntherapien bei schweren Autoimmunerkrankungen entwickelt.

„Der Weg von der ersten individuellen Behandlung über die wissenschaftliche Langzeitbeobachtung bis zur kontrollierten Studie zeigt, wie translationale Medizin funktionieren kann“, betont Prof. Mougiakakos. „Im MAZI schaffen wir die interdisziplinären Strukturen, um solche Ansätze gemeinsam weiterzuentwickeln.“

Originalpublikation:

A. Long-term outcomes of anti-CD19 CAR T cell therapy in refractory myasthenia gravis: A case series, in: Cell Rep Med., 2026 Aug 21, DOI: 10.1016/j.xcrm.2026.103000.

Expansion and safety profile of CD28-costimulated anti-CD19 CAR T cells in B-cell lymphoma versus autoimmune disease., in: HemaSphere, 2026 Jul 8, DOI: 10.1002/hem3.70426.