

MASTER THESIS - ab Frühjahr 2025

Strategien zur Optimierung der AAV-Produktion für therapeutische Anwendungen

Das **Ziel** des Projektes ist die Optimierung einer humanen Produktionszelllinie zur Herstellung von viralen Vektoren für die Anwendung in der Gentherapie.

Adeno-assoziierte Viren sind Einzelstrang-DNA-Viren, deren Genom von einem Kapsid aus drei verschiedenen Proteinen umhüllt wird. AAVs gehören zur Gattung *Dependoparvoviridae* und sind für ihre Replikation auf Helferviren angewiesen. Aufgrund ihrer fehlenden Pathogenität und ihres Potenzials als Transfervektoren, insbesondere bei monogenetischen Erkrankungen, werden AAVs in der Gentherapie verwendet und haben innerhalb der letzten Jahren an Bedeutung gewonnen.

Trotz intensiver Forschung und zahlreicher Fortschritte gibt es weiterhin offene Herausforderungen in der biopharmazeutischen Produktion rekombinanter AAVs (rAAVs). Eine zentrale Rolle nimmt die Optimierung der Produktionszelllinien ein, um sowohl die Ausbeute als auch die Qualität der hergestellten AAV-Partikel zu verbessern. Ein entscheidender Faktor für die rAAV-Produktion in einer Zelllinie ist die Nutzung von Genen aus sogenannten Helferviren, die maßgeblich den Herstellungsprozess beeinflussen. Im Rahmen dieser **Masterthesis** soll die Produktion von rAAVs durch die gezielte Modulation von Helfergen verbessert werden. Durch diese Ansätze soll ein Beitrag zur Steigerung der Produktivität und Qualität von rAAVs geleistet werden.

Methodisch umfasst das Projekt Techniken der Zell- und Molekularbiologie wie Kultivierung humaner Zellen, transiente Transfektion, Durchflusszytometrie, Klonierung und quantitative PCR. Zusätzlich werden virologische Methoden wie virale Transduktion und AAV-Titerassays angewandt.

Kontakt:

Prof. Dr. Kerstin Otte / Sonja Lochmüller

Institute of Applied Biotechnology (IAB), Hochschule Biberach, 88400 Biberach (RiB)

email: otte@hochschule-bc.de, lochmueller@hochschule-bc.de