

## Forschungsergebnisse der Gen- und Zelltherapie schneller in die Klinik bringen

Leibniz-Wissenschaftlerinnen und -Wissenschaftler maßgeblich an nationaler Strategie für gen- und zellbasierte Therapien beteiligt.

Die internationale Wettbewerbsfähigkeit des Forschungs- und Innovationsstandortes Deutschland auf dem Gebiet der gen- und zellbasierten Therapien (GCT) soll langfristig gestärkt und der Zugang für Patientinnen und Patienten zu diesen neuartigen Behandlungsmethoden gewährleistet werden. Das ist die Absicht der nationalen Strategie für gen- und zellbasierte Therapien, deren Strategiepapier heute im Berliner Futurium an die Bundesministerin für Bildung und Forschung, Bettina Stark-Watzinger, übergeben worden ist. An dem Papier, das im Auftrag des Bundesministeriums für Bildung und Forschung unter der Federführung des Berlin Institute of Health in der Charité (BIH) entstanden ist, haben Wissenschaftlerinnen und Wissenschaftler aus der Leibniz-Gemeinschaft maßgeblich mitgearbeitet.

Fünf Leibniz-Wissenschaftlerinnen und -Wissenschaftler waren an fünf der acht Arbeitsgruppen beteiligt – zwei als deren Sprecher – die im Zuge eines Multi-Stakeholder-Prozesses das Strategiepapier erarbeitet haben. Aus Sicht der Leibniz-Beteiligten geht es jetzt vor allem darum, die Hindernisse bei der Translation von der Forschung in die Klinik abzubauen sowie eine kontinuierliche Abstimmung und Zusammenarbeit zwischen Politik, Wissenschaft und Wirtschaft für den Bereich gen- und zellbasierter Therapien zu etablieren.

Philipp Beckhove, wissenschaftlicher Direktor des Leibniz-Instituts für Immuntherapie in Regensburg und Professor an der dortigen Universität, fungierte als Sprecher der AG I - Vernetzung und Unterstützung der Stakeholder: „Die gen- und zellbasierten Therapien ermöglichen eine fundamentale Innovation - die Umprogrammierung von Zellen zu „intelligenten“ Wirkstofffabriken - damit meinen wir Zellen, die gezielt kranke Organe ansteuern, Krankheitsaktivität erkennen und heilen können. Die gen- und zellbasierten Therapien sind noch eine junge Disziplin, aber sie haben bereits spektakuläre Erfolge vorzuweisen: von der Korrektur genetischer Erkrankungen, über die Heilung weit fortgeschrittener Tumoren bis hin zur Heilung bisher unheilbarer Autoimmunerkrankungen. Die gen- und zellbasierten Therapien stellen zweifellos die Medizin der Zukunft und eine gewaltige Quelle zukünftigen Wirtschaftswachstums und Wohlstands dar. In Deutschland wird an vorderster Front großartige Wissenschaft auf diesem Feld betrieben. Die Umsetzung in die Herstellung konkreter Therapeutika und in die klinische Praxis wird allerdings durch vielfältige Hürden besonders in Deutschland erheblich erschwert. Mit unserer Initiative haben sich die Akteure in diesem Feld zusammengeschlossen, um gemeinsam Wege aufzuzeigen, den Standort Deutschland in diesem Feld international stark aufzustellen. Wir wünschen uns von der Politik in Bund und Ländern, diese Wege gemeinsam mit uns einzuschlagen.“

Sven Stegemann, geschäftsführender Leiter des „fiT - Leibniz Joint Lab first in Translation“ am DWI – Leibniz-Institut für Interaktive Materialien in Aachen, war Sprecher der AG V - Ausbau von Qualität und Kapazitäten im Bereich der GMP-Produktion: „Mit der dynamischen Entwicklung und den Erfolgen der gen- und zellbasierten Therapien stehen wir vor dem nächsten Quantensprung in der Behandlung bisher nicht behandelbarer Erkrankungen. Die „Nationale Strategie für zell- und genbasierten Therapien“ schafft wichtige Voraussetzungen, um die Weichen für eine Wertschöpfung des in Deutschland vorhandenen Potentials zu stellen.

In Deutschland mangelt es noch an der Translation von Forschungsergebnissen zum Einsatz an Patienten. Um dem steigenden Bedarf an gen- und zellbasierten Therapien für klinische Studien und die Therapie von Patienten gerecht zu werden, müssen entsprechende Herstellungskapazitäten gemäß den Good Manufacturing Practice-Richtlinien (GMP) zur Verfügung gestellt werden. Da die Herstellung von gen- und zellbasierten Therapien produktspezifische Herstellungstechnologien benötigt und das Betreiben derartiger GMP-Einheiten sehr kostenintensiv ist, muss ein bedarfsgerechter Auf- und Ausbau von geeigneten GMP-Infrastrukturen einschließlich der Ausbildung des qualifizierten Personals vorangetrieben werden. Um dies zu erreichen empfehlen wir unter anderem die Schaffung eines zentralen GMP und Regulatorik Gremiums für gen- und zellbasierte Therapien, das kontinuierlich den Bedarf analysiert und zeit- und bedarfsgerecht vorantreibt. Nur so kann der Forschungs- und Produktionsstandort Deutschland die vorhandenen Stärken in den gen- und zellbasierten Therapien ausbauen und im internationalen Wettbewerb eine führende Rolle übernehmen.“

Eicke Latz, wissenschaftlicher Direktor des Deutschen Rheuma-Forschungszentrums Berlin sowie Professor an der Berliner Charité, war Mitglied der Arbeitsgruppe VI - Forschung und Entwicklung: „Die Forschung und Entwicklung im Bereich der gen- und zellbasierten Therapien erlebt gegenwärtig einen beispiellosen Aufschwung, der weitreichende Auswirkungen auf die Behandlung zahlreicher Krankheiten verspricht. Wir erleben gerade, wie die ersten Gen-Editing-Technologien neue spezifische genbasierte Therapien ermöglichen und wie individuelle Zelltherapien entwickelt werden, die nicht nur erfolgreich zur Behandlung von Tumoren, sondern auch zur Heilung von Autoimmunerkrankungen eingesetzt werden. Weiterhin werden neue Methoden zur effizienteren und zielgerichteten Zustellung von Genen und Zellen an spezifische Körperteile entwickelt und Fortschritte in der Stammzelltechnologie oder im Tissue Engineering könnten zur Entwicklung von Methoden führen, die beschädigtes Gewebe regenerieren oder sogar ganze Organe im Labor züchten können. Diese vielversprechenden Entwicklungen stehen teilweise noch am Anfang, aber die rapide Entwicklung in diesen Bereichen lässt auf signifikante Durchbrüche in den nächsten Jahren hoffen. Es ist wichtig, dass Deutschland in diesem Bereich eine aktive Rolle in der Translation von Forschung in die Klinik spielt. Hierzu bedarf es einer Zusammenarbeit von Wissenschaft, Politik und Industrie zur Anpassung der Voraussetzungen für eine effiziente Entwicklung neuer Medikamente in Deutschland.“

Aus der Leibniz-Gemeinschaft waren an der Entwicklung der Nationalen Strategie beteiligt:

- Sprecher der Arbeitsgruppe I - Vernetzung und Unterstützung der Stakeholder: Philipp Beckhove (Leibniz-Institut für Immuntherapie, Regensburg)
- Sprecher der Arbeitsgruppe V - Ausbau von Qualität und Kapazitäten im Bereich der GMP-Produktion: Sven Stegemann (Leibniz Joint Lab First in Translation am DWI – Leibniz-Institut für Interaktive Materialien, Aachen) sowie als Mitglied Matthias Edinger (Leibniz-Institut für Immuntherapie, Regensburg)
- Mitglied der Arbeitsgruppe III - Technologietransfer: Sven Stegemann (DWI, fiT)
- Mitglied der Arbeitsgruppe - IV Standards, Normen und regulatorische Rahmenbedingungen: Mitglied: Simone Thomas (Leibniz-Institut für Immuntherapie, Regensburg)
- Mitglied der Arbeitsgruppe VI - Forschung und Entwicklung: Eicke Latz (Deutsches Rheuma-Forschungszentrum Berlin)

Weitere Informationen zur Nationalen Strategie für gen- und zellbasierte Therapien unter [www.bihealth.org/de/aktuell/neue-perspektiven-fuer-patientinnen-nationale-strategie-fuer-gen-und-zellbasierte-therapien-an-das-bmbf-uebergeben](http://www.bihealth.org/de/aktuell/neue-perspektiven-fuer-patientinnen-nationale-strategie-fuer-gen-und-zellbasierte-therapien-an-das-bmbf-uebergeben)

**Pressekontakt für die Leibniz-Gemeinschaft:**

Christoph Herbort-von Loeper

Tel.: 030 / 20 60 49 - 471

Mobil: 0174 / 310 81 74

herbort@leibniz-gemeinschaft.de

**Die Leibniz-Gemeinschaft**

Die Leibniz-Gemeinschaft verbindet 96 eigenständige Forschungseinrichtungen. Ihre Ausrichtung reicht von den Natur-, Ingenieur- und Umweltwissenschaften über die Wirtschafts-, Raum- und Sozialwissenschaften bis zu den Geisteswissenschaften. Leibniz-Institute widmen sich gesellschaftlich, ökonomisch und ökologisch relevanten Fragen. Sie betreiben erkenntnis- und anwendungsorientierte Forschung, auch in den übergreifenden Leibniz-Forschungsverbänden, sind oder unterhalten wissenschaftliche Infrastrukturen und bieten forschungsbasierte Dienstleistungen an. Die Leibniz-Gemeinschaft setzt Schwerpunkte im Wissenstransfer, vor allem mit den Leibniz-Forschungsmuseen. Sie berät und informiert Politik, Wissenschaft, Wirtschaft und Öffentlichkeit. Leibniz-Einrichtungen pflegen enge Kooperationen mit den Hochschulen - u.a. in Form der Leibniz-WissenschaftsCampi, mit der Industrie und anderen Partnern im In- und Ausland. Sie unterliegen einem transparenten und unabhängigen Begutachtungsverfahren. Aufgrund ihrer gesamtstaatlichen Bedeutung fördern Bund und Länder die Institute der Leibniz-Gemeinschaft gemeinsam. Die Leibniz-Institute beschäftigen rund 20.500 Personen, darunter 11.500 Wissenschaftlerinnen und Wissenschaftler. Das Finanzvolumen liegt bei zwei Milliarden Euro.

[www.leibniz-gemeinschaft.de](http://www.leibniz-gemeinschaft.de)