

Innovation mit Verantwortung



GCT können langfristig Krankheitsfolgen und Behandlungskosten reduzieren und schaffen neue Arbeitsplätze in Forschung, Entwicklung und Produktion. Gleichzeitig hat Sicherheit oberste Priorität: Mögliche Risiken – etwa Immunreaktionen oder unerwünschte genetische Veränderungen – müssen sorgfältig überwacht werden.

Ebenso wichtig ist eine transparente und verständliche Information über Nutzen und Risiko. Eingriffe in Eizellen oder Spermien sorgen in vielen Ländern für kontroverse Diskussionen. In Deutschland sind Eingriffe, deren Veränderungen vererbbar wären, gesetzlich verboten. Klinisch eingesetzte Gentherapien betreffen ausschließlich spezialisierte Körperzellen – Veränderungen werden also nicht an die Nachkommen weitergegeben.

Zugang zu klinischen Studien



Viele GCT befinden sich noch in der klinischen Entwicklung. Der Zugang erfolgt meist über Studien mit engen Einschlusskriterien. Als erster Kontakt dient meist der Haus- oder Facharzt.

Informationen bieten z. B.:

- EU Clinical Trials Register
- ClinicalTrials.gov

Wichtige Anlaufstellen sind zudem:

- Hochschulambulanzen in Universitätskliniken
- Zentren für Seltene Erkrankungen
- Patient*innenorganisationen

Weichen stellen für die Zukunft



Damit GCT erfolgreich weiterentwickelt werden können, sind innovationsfreundliche Rahmenbedingungen und gezielte Förderung notwendig. Das wirtschaftliche Potenzial von GCT-Technologien ist erheblich, denn sie können langfristig Krankheitsfolgen und Behandlungskosten reduzieren, hochqualifizierte Arbeitsplätze in Forschung, Entwicklung und Produktion schaffen und die Innovationskraft der Biotechnologie in Deutschland stärken.

Entscheidend bleibt der konkrete Nutzen für Patient*innen – er ist Maßstab für medizinischen Fortschritt und für eine starke, zukunftsfähige Gesundheitsversorgung.

Nationale Strategie für gen- und zellbasierte Therapien

c/o Berlin Institute of Health at Charité (BIH)
Anna-Louisa-Karsch-Straße 2
10178 Berlin
gene-and-cell@bih-charite.de



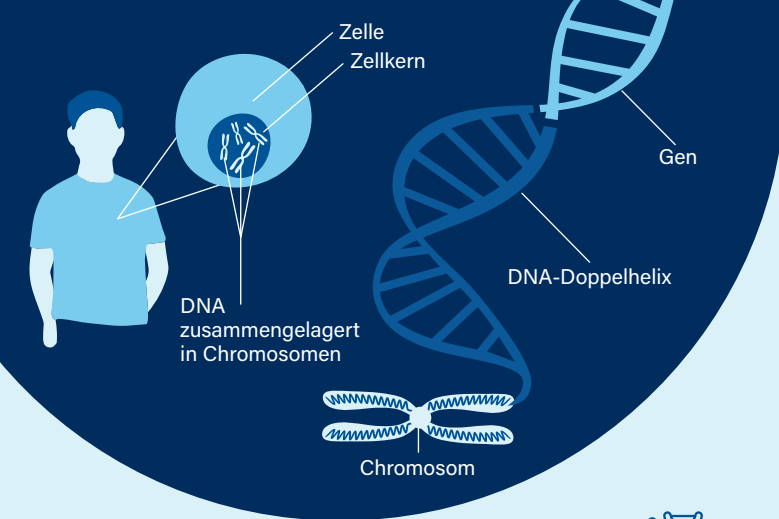
www.nationale-strategie-gct.de



Gen- und zellbasierte Therapien – die Medizin der Zukunft

Wie Medizin Krankheiten dort behandelt, wo sie entstehen

Gen- und zellbasierte Therapien (Gene- and Cell-based Therapies, GCT) setzen direkt an den Ursachen von Krankheiten an – in unseren Genen und Zellen. Sie eröffnen neue Chancen schwere, seltene und komplexe Erkrankungen zu behandeln.



Unser Körper als Bauplan



Unser Körper besteht aus vielen Billionen Zellen und rund 200 Zelltypen mit unterschiedlichen speziellen Aufgaben. Ein besonderer Zelltyp sind die sogenannten Stammzellen. Sie haben noch keine spezifischen Aufgaben, können sich aber in unterschiedliche Zelltypen entwickeln. Sie dienen als eine Art Reparaturreserve des Körpers.

Im Inneren der meisten Zellen liegt die DNA – unser „Bauplan“. Gene sind Abschnitte dieser DNA und enthalten genaue Informationen, wo und wie eine Zelle arbeiten soll. Treten genetische Veränderungen in den Zellen auf, spricht man von Mutationen, die Teil natürlicher biologischer Prozesse sind. Viele bleiben ohne Folgen, manche sind sogar nützlich – andere können Krankheiten auslösen.

Reparieren statt nur Symptome lindern



Gen- und zellbasierte Therapien (GCT) setzen an krankheitsauslösenden Mutationen an und sollen nicht nur Beschwerden lindern, sondern die Krankheitsursache selbst behandeln. Hierbei kann eine einmalige Behandlung ausreichend sein, um langfristige Effekte zu erzielen. Sie gehören zu den „Arzneimitteln für neuartige Therapien“ (ATMP).

Zu ATMPs zählen:

- Genbasierte Therapien
- Zellbasierte Therapien
- Gewebe aus dem Labor

Genbasierte Therapien versuchen, fehlerhafte Gene auszuschalten, zu reparieren oder zu ersetzen um so eine Genkorrektur zu erreichen. Hierzu werden die genetisch notwendigen Informationen mithilfe von speziellen Transportmitteln, sogenannten Vektoren in Zellen eingebracht.

Zellbasierte Therapien arbeiten mit lebenden Zellen, etwa Stamm- oder Immunzellen. Ein Beispiel sind CAR-T-Zelltherapien, bei denen körpereigene Immunzellen genetisch so ergänzt werden, dass sie Krebszellen gezielt angreifen.

Neue Hoffnung bei schweren und seltenen Erkrankungen



In Deutschland leben etwa vier Millionen Menschen mit einer seltenen Erkrankung, viele davon sind genetisch bedingt. Für die meisten dieser Krankheiten gibt es bislang keine zugelassene Therapie.

GCT eröffnen hier neue Möglichkeiten – etwa bei bestimmten Stoffwechselerkrankungen, erblichen Netzhauterkrankungen oder Blutgerinnungsstörungen wie Hämophilie A und B.

Auch an häufigen Erkrankungen, wie beispielsweise Autoimmunerkrankungen, Epilepsie, Herz-Kreislauf-Erkrankungen, Parkinson und Typ-1-Diabetes wird intensiv geforscht. In der Krebsmedizin haben sich einige dieser Therapien bereits vor allem bei Blutkrebs bewährt; bei soliden, also festen Tumoren befinden sich viele Ansätze in frühen klinischen Prüfungen.

Vom Labor in die Klinik – warum es so aufwendig ist



Die Herstellung von GCT ist hochkomplex: Es wird mit lebenden Zellen gearbeitet, die strengsten Qualitäts- und Sicherheitsstandards unterliegen. Das erfordert spezialisierte Einrichtungen, geschultes Personal und aufwendige Prozesse – mit entsprechend hohen Kosten. Zulassung und Genehmigung sind anspruchsvoll, weil Langzeitdaten zur Wirksamkeit und Sicherheit benötigt werden. Das kann den Weg von der Forschung in die Versorgung verzögern.

Wichtig sind daher:

- gut ausgebaute Infrastruktur
- auf diese Therapien zugeschnittene Zulassungsverfahren
- Unterstützung bei der Übertragung von der Forschung in die Klinik
- langfristige Datenerhebung und frühzeitige Einbindung von Patient*innen

Schritte der Genkorrektur

