

27. April 2016

Workshop der Paul-Martini-Stiftung

Seite 1/3

Gen-basierte Therapien

Kontakt:

Berlin, 27.04.2016 (PMS). „Die Idee ist fast so alt wie die Gentechnik: Erb- oder krebskranken Menschen dadurch helfen, dass man in ihre Körperzellen ein heilendes Gen einbringt. Doch Jahrzehnte Forschung waren nötig, um von der Idee zu ersten zulassungsfähigen Gentherapien zu kommen; und noch immer stellen ausreichend gute und lange Wirksamkeit und die Vermeidung problematischer Nebenwirkungen eine wesentliche Herausforderung für Fortschritte bei dieser Therapierichtung dar.“ Das sagte der Münchner Professor Dr. Stefan Endres am 27. April in Berlin. Dort leitete er den eintägigen Workshop „*Gen-basierte Therapien: endlich auf dem Weg zum Patienten?*“ der Paul-Martini-Stiftung, auf dem führende deutsche Gentherapie-Experten mit Ärzten und anderen Angehörigen des Gesundheitswesens über den aktuellen Entwicklungsstand und künftige Möglichkeiten diskutierten.

Dr. Rolf Hömke
Pressereferent
Telefon 030 20604-204
Telefax 030 20604-209
rolf.hoemke@paul-
martini-stiftung.de

Die Entwicklung einer Gentherapie kommt insbesondere bei Erbkrankheiten in Betracht, bei denen die Betroffenen ein essenzielles Enzym oder Transportprotein nicht bilden können; solche Krankheiten lassen sich bislang, wenn überhaupt, nur durch lebenslange Ersatztherapie behandeln. Aber auch gegen Krebserkrankungen werden Gen-basierte Therapien erprobt.

Gentherapeutische Heilversuche und klinische Studien mit Patienten finden seit 1990 statt. In vielen Fällen wurden dabei Knochenmark-Stammzellen des Patienten außerhalb des Körpers genetisch verändert und dann wieder in den Patienten verbracht. In anderen Fällen wurden therapeutische Gene mit Viren oder anderen Vektoren direkt in bestimmte Gewebe der Patienten eingebracht, um dort entweder zeitweilig oder aber auch dauerhaft für die Bildung fehlender Proteine zu sorgen. Dabei gab es viele Rückschläge: Oft gelang die Genkorrektur nicht bei ausreichend vielen Zellen, so dass die Therapie ungenügend wirksam war. Manchmal kam es zu starken Immunreaktionen gegen die verwendeten Vektoren, in einigen Fällen entwickelten sich nach Genkorrekturen auch lebensbedrohliche Leukämien, weil die eingebrachten Gene an ungünstigen Stellen ins Genom der Zellen integriert wurden.

Hausvogteiplatz 13
10117 Berlin
www.paul-martini-
stiftung.de

Pressemitteilung

Dass China als erstes Land weltweit bereits 2003 ein gentherapeutisches Krebsmedikament zuließ, wurde in westlichen Ländern zurückhaltend beurteilt. Erst 2012 war es auch im Westen soweit, dass ein gentherapeutisches Arzneimittel zugelassen wurde, und zwar in der EU. Mit diesem lassen sich an familiärer Lipoproteinlipasedefizienz (LPLD) Leidende behandeln – eine schwere Stoffwechselerkrankung, die häufig zu Pankreatitis führt. Mittlerweile hat die Arzneimittelbehörde der EU, die EMA, die Zulassung einer zweiten Gentherapie empfohlen: gegen die angeborene Immundefizienz ADA-SCID, auch bekannt als Bubble-Boy-Krankheit, weil davon betroffene Kinder – fast ausschließlich Jungen – nur eingeschlossen in einem weitestgehend keimfreien Zelt überleben können.

Im Workshop wurden insbesondere Projekte aus akademischer und industrieller Forschung und Entwicklung vorgestellt, mit denen die bestehenden Probleme überwunden werden sollen. Bei diesen spielen unter anderem Techniken zur genaueren Platzierung therapeutischer Gene im Genom der Empfängerzellen eine wesentliche Rolle. Parallel dazu werden Techniken zur Korrektur von in den Zellen vorhandenen Genen (gene editing) zur Therapiereife entwickelt werden. Dazu zählt das bereits vielfach prämierte sogenannte CRISPR/Cas-System der Biochemikerinnen Emmanuelle Charpentier und Jennifer Doudna. Es soll künftig beispielsweise bei der gentherapeutischen Behandlung von Hämophilien zum Einsatz kommen.

Seite 2/3

Weitere Vorträge befassten sich mit der in klinischer Erprobung befindlichen Therapie von Krebserkrankungen mittels gentechnisch veränderter T-Zellen des Patienten (CAR-T-Zellen) sowie mit bereits weit fortgeschrittenen und damit Zulassungs-nahen Gentherapie-Projekten.

Der Workshop ging aber auch auf die Herausforderungen ein, die sich auf dem Weg zur Serienproduktion gentherapeutischer Arzneimittel und bei ihrer Zulassung ergeben.

Deutschland spielt bei der Entwicklung des Felds der Gentherapie eine wesentliche Rolle: Nach den USA und Großbritannien finden die meisten klinischen Studien zur Gentherapie hierzulande statt. Für ihr Engagement bei der Entwicklung einer neuen Gentherapie für Kinder sind beispielsweise 2011 zwei deutsche Forscher mit dem Paul-Martini-Preis ausgezeichnet worden.

Die Paul-Martini-Stiftung

Die gemeinnützige Paul-Martini-Stiftung, Berlin, fördert die Arzneimittelforschung sowie die Forschung über Arzneimitteltherapie und intensiviert den wissenschaftlichen Dialog zwischen medizinischen Wissenschaftlern in Universitäten, Krankenhäusern, der forschenden Pharmaindustrie, anderen Forschungseinrichtungen und Vertretern der Gesundheitspolitik und der Behörden.

Träger der Stiftung ist der vfa, Berlin, der als Verband derzeit 45 forschende Pharma-Unternehmen vertritt.

Pressemitteilung



Die Stiftung ist benannt nach dem herausragenden Bonner Wissenschaftler und Arzt Professor Paul Martini (1889 - 1964), in Würdigung seiner besonderen Verdienste um die Förderung und Weiterentwicklung der klinisch-therapeutischen Forschung, die er mit seiner 1932 veröffentlichten „Methodenlehre der therapeutischen Untersuchung“ über Jahrzehnte wesentlich geprägt hat. Nach ihm ist auch der jährlich von der Stiftung verliehene Preis für herausragende klinische Forschung benannt.

Die Pressemitteilung kann unter www.paul-martini-stiftung.de/de/veranstaltungen/2016.html abgerufen werden.

Seite 3/3