



„Gen-basierte Therapien: endlich auf dem Weg zum Patienten?“

Workshop der Paul-Martini-Stiftung
am Mittwoch, 27. April 2016,
in der Berlin-Brandenburgischen
Akademie der Wissenschaften,
Berlin

Programm



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 46 forschende Pharma-Unternehmen vertritt.

Die Stiftung ist benannt nach dem Bonner Wissenschaftler und Arzt Professor Paul Martini (1889 - 1964) in Würdigung seiner besonderen Verdienste um die klinisch-therapeutische Forschung.

www.paul-martini-stiftung.de

Seit Jahrzehnten ist es Ziel von Grundlagenforschern und klinischen Medizinern, den Patienten statt eines Medikaments ein Gen zu verabreichen, mit dessen Hilfe sie das benötigte Protein direkt im eigenen Körper produzieren. Denn damit könnten etliche Krankheiten kausal und nachhaltig behandelt werden. Mit der ersten Zulassung eines gentherapeutischen Arzneimittels in der westlichen Welt durch die europäische Zulassungsbehörde EMA ist Ende 2012 ein wichtiger Meilenstein auf diesem Weg erreicht worden. Das rasant gewachsene Verständnis genetisch (mit)bedingter Erkrankungen auf molekularer Ebene sowie wesentliche Fortschritte bei den Vektoren zur Genübertragung lassen erwarten, dass nach der ersten Zulassung weitere Gentherapie-Medikamente den Weg zum Patienten finden werden.

Bemerkenswert ist, dass auch bei dieser neuen Therapieform Wissenschaft und Industrie in Deutschland eine bedeutende Rolle spielen: Nach den USA und UK 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.

Der Paul-Martini-Workshop 2016 wird einen aktuellen Überblick über Grundlagen und Entwicklungsstand dieser neuen Therapieform, insbesondere bei den Vektoren, geben; zudem einen Ausblick auf Therapiemöglichkeiten, die in den nächsten Jahren hinzu kommen könnten.



10:30 – 10:35 **Begrüßung**
Torsten Strohmeyer, München

10:35 – 11:05 **Einleitungsvortrag
Möglichkeiten und Grenzen
Gen-basierter Therapien**
Ernst-Ludwig Winnacker, München

**Gen-basierte Therapien – Grundlagen
und regulatorischer Rahmen**

Moderation: Stefan Frings, Grenzach-Wyhlen

11:10 – 11:30 **Herausforderungen und neue Ansätze
bei der Vektorentwicklung**
Axel Schambach, Hannover

11:40 – 12:00 **Regulatorische Aspekte der
Entwicklung von Gentherapeutika**
Klaus Cichutek, Langen

12:10 – 12:30 **Gentherapeutische Ansätze zur
Behandlung retinaler Erkrankungen**
Martin Biel, München

12:40 – 13:30 *Mittagessen*

*Im Anschluss an jeden Vortrag sind
10 Minuten zur Diskussion eingeplant*

**Gen-basierte Therapien gegen seltene
Krankheiten**

Moderation: Stefan Endres, München

- 13:30 – 13:50 **Gentherapie für Kinder mit angeborenen Immundefekt-Erkrankungen (Wiskott-Aldrich-Syndrom)**
Christoph Klein, München
- 14:00 – 14:20 **Hämatopoetische Stammzell-Gentherapie: Erfahrungen mit der Gentherapie primärer Immundefekte (CGD und SCID)**
Janine Reichenbach, Zürich
- 14:30 – 14:50 **Grundvoraussetzungen zur Entwicklung einer erfolgreichen Gentherapie – vom Produktionsprozess bis zur Zulassung**
Harald Petry, Amsterdam/Niederlande

15:00 – 15:30 Uhr Kaffeepause

**Gen-basierte Therapien gegen
Krebserkrankungen**

- Moderation: Stefan Frings, Grenzach-Wyhlen
- 15:30 – 15:50 **Zellbasierte Gentherapie gegen Krebs**
Burghardt Wittig, Berlin
- 16:00 – 16:20 **Genbasierte T-Zell-Therapie von Tumoren**
Wolfgang Uckert, Berlin
- 16:30 – 16:50 **Auf dem Weg zur Zulassung: Gentherapieprojekte der Pharmazeutischen Industrie**
Siegfried Throm, Berlin
- 17:00 **Schlusswort**
Stefan Endres, München

Prof. Dr. Martin Biel

Department Pharmazie
Zentrum für Pharmaforschung
Ludwig-Maximilians-Universität
München
81377 München

Prof. Dr. Klaus Cichutek

Präsident Paul-Ehrlich-Institut (PEI)
Bundesinstitut für Impfstoffe und
biomedizinische Arzneimittel
63225 Langen

Dr. Stefan Frings

Vorstandsmitglied
Paul-Martini-Stiftung/
Medizinischer Direktor
Roche Pharma AG
79639 Grenzach-Wyhlen

Prof. Dr. Christoph Klein

Direktor Kinderklinik und Kinderpoliklinik
Dr. von Haunersches Kinderspital
Klinikum der Universität München
80337 München

Dr. Harald Petry

Chief Scientific Officer
uniQure N.V.
Amsterdam/Niederlande

Prof. Dr. Janine Reichenbach

Co-Leitung Abteilung Immunologie
Universitäts-Kinderspital Zürich
8032 Zürich/Schweiz

Prof. Dr. Axel Schambach

Kommissarischer Direktor
Institut für Experimentelle Hämatologie
Medizinische Hochschule Hannover
30625 Hannover

Prof. Dr. Torsten Strohmeier

Sprecher des Vorstandes
Paul-Martini-Stiftung/
Geschäftsführer Forschung & Medizin
Mitglied der Geschäftsleitung
GlaxoSmithKline GmbH & Co. KG
81675 München

Dr. Siegfried Throm

Geschäftsführendes Vorstandsmitglied
Paul-Martini-Stiftung/
Geschäftsführer Forschung,
Entwicklung, Innovation
vfa
10117 Berlin

Prof. Dr. Wolfgang Uckert

Gruppenleiter Molekulare Zellbiologie
und Gentherapie
Max-Delbrück-Centrum für Molekulare
Medizin (MDC)
13125 Berlin

Prof. Dr. Ernst-Ludwig Winnacker

Professor Emeritus
Genzentrum München
Ludwig-Maximilians Universität
81377 München

Prof. Dr. Burghardt Wittig

Chairmann (Vorstand)
Foundation Institute
Molecular Biology and Bioinformatics
a non-profit foundation by Mologen AG
and Freie Universität Berlin
14195 Berlin

Veranstaltungstermin

Mittwoch, 27. April 2016

Veranstaltungsort

Berlin-Brandenburgische
Akademie der Wissenschaften
Einsteinsaal
Jägerstraße 22/23
10117 Berlin

Zertifizierung

Ist bei der Ärztekammer Berlin
beantragt

Anmeldung

[http://paul-martini-stiftung.de/
de/veranstaltungen/2016_
workshop/anmeldung.html](http://paul-martini-stiftung.de/de/veranstaltungen/2016_workshop/anmeldung.html)

Teilnahmegebühren

Keine



Wissenschaftliche Leitung

Prof. Dr. Stefan Endres

Wissenschaftlicher Berater

Paul-Martini-Stiftung

Leiter der Abteilung für Klinische Pharmakologie

Medizinische Klinik und Poliklinik IV

Klinikum der Universität München

Ziemssenstraße 1

80336 München

Telefon: +49 89 44005-7300

Telefax: +49 89 44005-7330

endres@lmu.de

Kontakt

Paul-Martini-Stiftung

Hausvogteiplatz 13, 10117 Berlin

Telefon +49 30 20604-599

Telefax +49 30 20604-598

info@paul-martini-stiftung.de

www.paul-martini-stiftung.de