

25. März 2021

Workshop der Paul-Martini-Stiftung

Die Zukunft der Gentherapien

Berlin (PMS). „Gentherapien bieten die Chance, chronisch Kranken mit einer einzigen Behandlung nachhaltig helfen zu können – anders als herkömmliche Medikationen, die meist über längere Zeiträume oder dauerhaft angewendet werden müssen. Sowohl in der Entwicklung als auch im klinischen Einsatz sind sie allerdings extrem anspruchsvoll.“ Das sagte Prof. Dr. Stefan Endres am 25.03.2021 bei dem von ihm geleiteten Workshop „Gentherapien: Aussichten für Heilung bei schweren Erkrankungen“ mit Expertinnen und Experten aus Medizin, Pharmaindustrie und Institutionen des Gesundheitswesens. Veranstalter war die Paul-Martini-Stiftung.

Unter Gentherapien werden Behandlungen verstanden, bei denen bei einigen Zellen eines Menschen vorübergehend oder dauerhaft Veränderungen der DNA vorgenommen werden, sei es durch Hinzufügen oder Entfernen von Genen oder durch gezielte Änderungen in der DNA-Sequenz. Dafür werden die Zellen, die verändert werden sollen, entweder entnommen, im Labor bearbeitet und dann zurückgeführt; oder die Gentherapie wird direkt im zu therapierenden Organ (z.B. dem Auge) angewendet.

Derzeit sind neun Gentherapien EU-weit und damit auch in Deutschland zugelassen. Vier davon dienen der Behandlung seltener angeborener monogener Erbkrankheiten. Die übrigen fünf dienen der Therapie von Krebserkrankungen. Für fünf Gentherapien laufen aktuell Zulassungsverfahren bei der europäischen Zulassungsbehörde EMA; und zahlreiche weitere Gentherapien werden derzeit mit Patientinnen und Patienten in Studien erprobt.

Auf den Entwicklungsstand in beiden Therapiefeldern gingen im Workshop Expertinnen und Experten aus Forschungsinstituten und Unternehmen ein. Der Schwerpunkt lag dabei aber auf nicht-onkologischen Gebieten wie Augenerkrankungen, Hämophilien und neuromuskulären Erkrankungen.

Seite 1/3

Kontakt:

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

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

Techniken für Gentherapien

Entscheidend für wirksame und sichere Eingriffe ins Erbgut menschlicher Zellen sind geeignete Mittel, um fremdes Genmaterial in Zellen einzuschleusen und es dort auch so ins Genom einzufügen, dass Gendefekte dauerhaft kompensiert werden, möglichst ohne Schaden an anderen Genen anzurichten. Ein Eröffnungsvortrag ging auf die hierfür zumeist verwendeten Vektorviren ein. Das sind für Menschen unschädliche Viren, deren Fähigkeit genutzt wird, genetisches Material in Zellen zu platzieren.

Zwei Vorträge befassten sich auch mit der Möglichkeit, mit Hilfe der CRISPR/Cas9-Technik – und damit ohne Viren – ins Erbgut von Zellen einzugreifen. Diese im Jahr 2020 mit dem Nobelpreis prämierte Technologie hat das Potenzial, mit weniger Aufwand und vor allem positionsgenauer die DNA von Zellen in der gewünschten Weise zu verändern, als das mit Viren möglich ist. Derzeit ist diese Technik – unter anderem am Universitätsklinikum Regensburg – noch in klinischer Erprobung gegen hämatologische Erbkrankheiten wie Beta-Thalassämie und Sichelzellerkrankungen.

Seite 2/3

Woran forscht die Industrie?

In den zwei Vorträgen wurde eine Übersicht gegeben, gegen welche Erkrankungen Pharma- und Biotech-Firmen derzeit vorrangig Gentherapien entwickeln. Krebserkrankungen zählen ebenso dazu wie Hämophilien, Muskelkrankheiten wie Duchenne Muskeldystrophie, seltene Stoffwechselkrankheiten wie Morbus Wilson sowie neurodegenerative Störungen wie die amyotrophe Lateralsklerose. Dank dieser Vielzahl an Gentherapie-Projekten und den Möglichkeiten durch CRISPR/Cas9 und dessen Weiterentwicklungen dürften Gentherapien um 2030 nicht länger nur Nischenstatus haben.

Auch dann wird es aber keine Genveränderungen an Keimbahnzellen geben (die an die nächste Generation vererbbar wären), denn das wird in Europa als ethisch nicht vertretbar angesehen.

Die Rolle Deutschlands in der Gentherapie-Entwicklung

In Deutschland, so Professor Endres, leisten Institute und Unternehmen wichtige Beiträge zur gentherapeutischen Grundlagenforschung, zur Herstellung von Gentherapeutika und zu ihrer klinischen Entwicklung. Quantitativ gesehen sei Deutschland allerdings deutlich von den führenden Nationen USA und China entfernt. Sowohl Industrievertreter als auch akademische Forscher hierzulande hoffen, dass Deutschland in den kommenden Jahren hier ein gutes Stück aufschließen kann.

Pressemitteilung

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 47 forschende Pharma-Unternehmen vertritt.

Seite 3/3

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 <https://www.paul-martini-stiftung.de/ws21pm> abgerufen werden.