



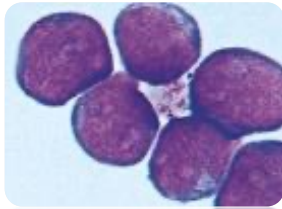
**DG-GT**

Deutsche  
Gesellschaft für  
Gentherapie e.V.

[www.dg-gt.de](http://www.dg-gt.de)



**UNIVERSITÄTS  
KLINIKUM** FREIBURG



# Gen- und Zelltherapie: Status quo und Perspektiven

Prof. Dr. Toni Cathomen

Institut für Transfusionsmedizin und Gentherapie  
Centrum für Chronische Immundefizienz

# Gentherapie

## Schöne neue Gentechnik

Therapie mit genetisch  
veränderten Zellen



Gentherapie

Genom-  
Editierung

CRISPR-Cas  
Genschere

# Zweiklang: Gentherapie & Diagnostik

Hand-in-Hand: Diagnose → Produktprüfung → Therapieerfolg



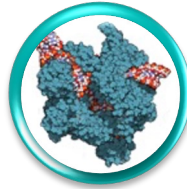
Gentherapie



Genom-Editierung



Therapie mit genetisch veränderten Zellen



CRISPR-Cas Genschere

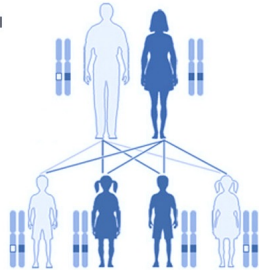
# Schöne neue Gentechnik

## Gentherapie und Genom-Editierung

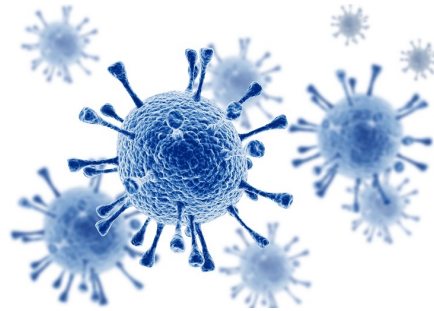


### Erbkrankheiten

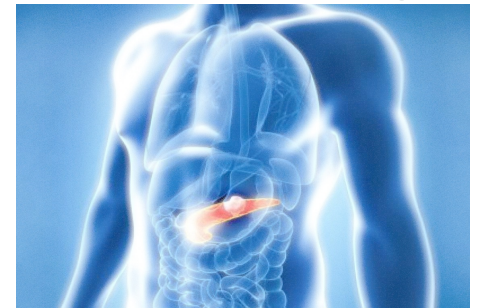
■ Unaffected  
■ Affected



### Infektionskrankheiten



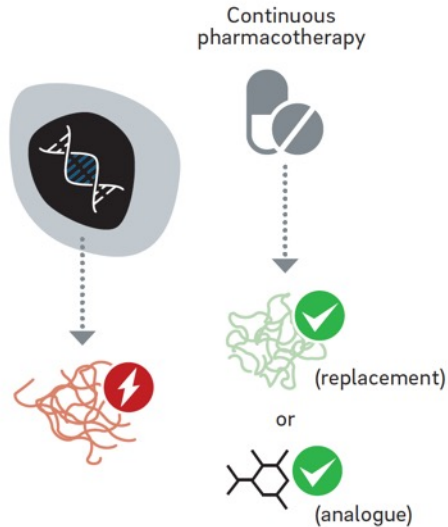
### Tumorerkrankungen



# Gentherapie ≠ Gentherapie

## Therapien im Vergleich

### konventionell

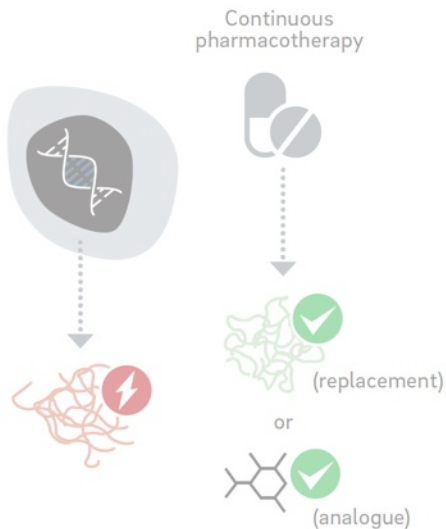


Oft: symptomatisch,  
chronische Anwend.

# Gentherapie ≠ Gentherapie

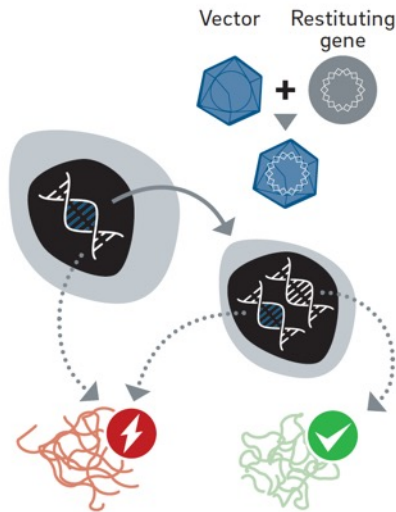
## Therapien im Vergleich

### konventionell

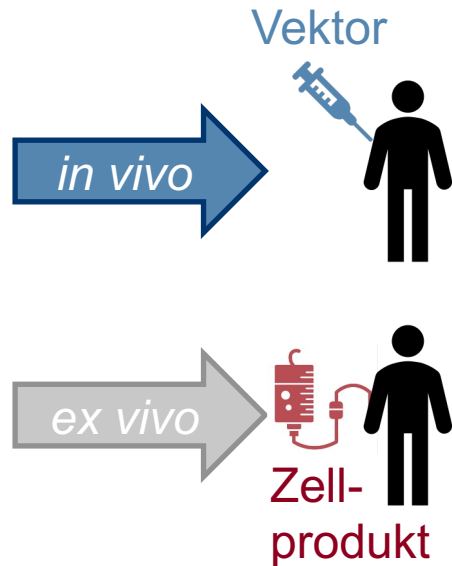


Oft: symptomatisch,  
chronische Anwend.

### Klassische Gentherapie



Oft: kurativ,  
einmalige Anwend.



# Klassische Gentherapie

## 10 zugelassene Gentherapeutika in der EU

	Klinische Anwendung	Markenname	Jahr: Inhaber
ex vivo	ADA-SCID	← Stimvelis®	2016: Orchard Therapeutics
	β-Thalassämie, Sichelzellanämie	← Zynteglo®	2019: Bluebird Bio ( <i>in EU nicht erhältlich</i> )
	Metachromat. Leukodystrophie	← Libmeldy®	2020: Orchard Therapeutics
	Adrenoleukodystrophie	← Skysona®	2021: Bluebird Bio ( <i>in EU zurückgezogen</i> )
	B-Zell-Leukämien /	← Kymriah® Yescarta®	2018: Novartis
	B-Zell-Lymphom		2018: Kite Pharma / Gilead
	Mantelzell-Lymphom	← Tecartus®	2022: Celgene / Bristol-Myers Squibb
in vivo	Multiples Myelom	← Abecma®	2020: Kite Pharma / Gilead
	Melanom	← Imlygic®	2021: Celgene / Bristol-Myers Squibb
	Frühkindliche Netzhaut-Dystrophie	← Luxturna®	2015: Amgen
	Spinale Muskelatrophie	← Zolgensma®	2018: Spark Therapeutics / Novartis
	Lipoproteinlipase-Defekt	← Glybera®	2020: AveXis / Novartis
			2012: uniQure ( <i>Zulassung erloschen</i> )

# Klassische Gentherapie

## 10 zugelassene Gentherapeutika in der EU

	Klinische Anwendung	Markenname
ex vivo	ADA-SCID	← Stimvelis®
	β-Thalassämie, Sichelzellanämie	← Zynteglo®
	Metachromat. Leukodystrophie	← Libmeldy®
	Adrenoleukodystrophie	← Skysona®
	B-Zell-Leukämien / B-Zell-Lymphom	← Kymriah® ← Yescarta® ← Breyanzi®
	Mantelzell-Lymphom	← Tecartus®
in vivo	Multiples Myelom	← Abecma®
	Melanom	← Imlygic®
	Frühkindliche Netzhaut-Dystrophie	← Luxturna®
	Spinale Muskelatrophie	← Zolgensma®
	Lipoproteinlipase-Defekt	← Glybera®



Jameson Golliday (Quelle: The Atlantic)



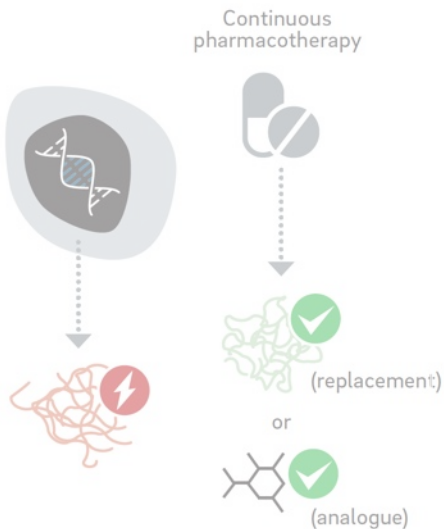
2012  
Emily Whitehead (www.emilywhitehead.com)



# Gentherapie ≠ Gentherapie

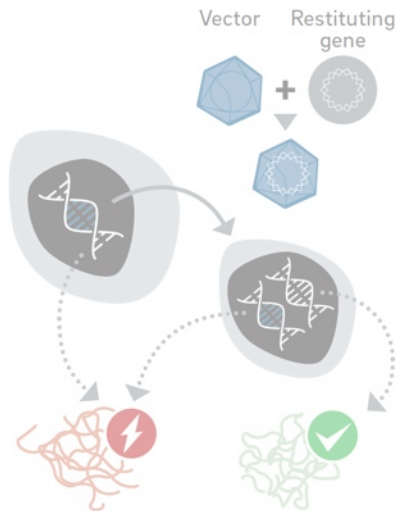
## Therapien im Vergleich

### konventionell



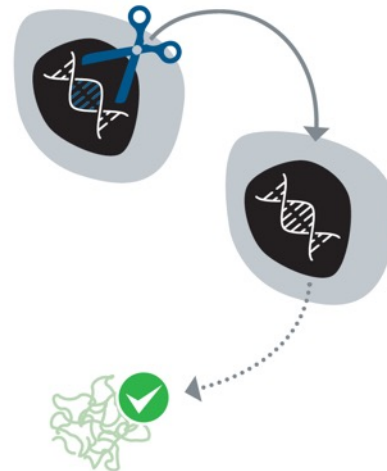
Oft: symptomatisch,  
chronische Anwend.

### Klassische Gentherapie



Oft: kurativ,  
einmalige Anwend.

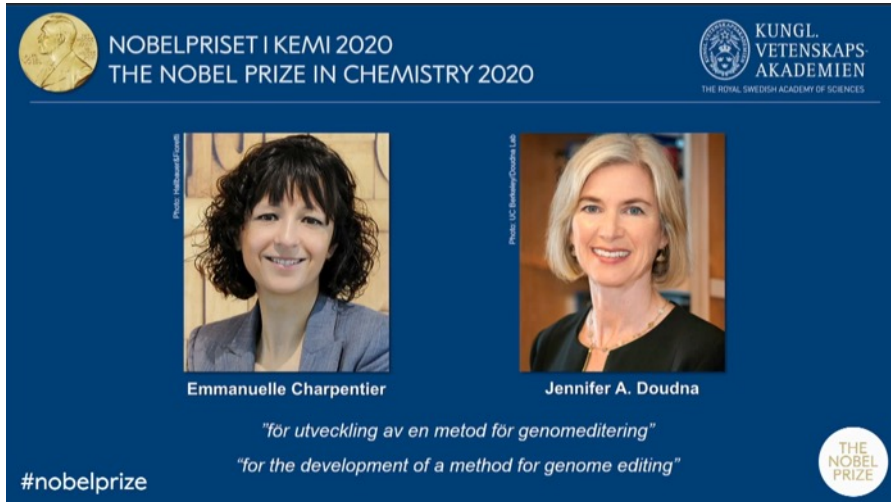
### Genom-Editierung



Oft: kurativ,  
einmalige Anwend.


# Genscheren treten ins Rampenlicht

## Zielgerichtete Modifikation des Erbguts




NOBELPRISET | KEMI 2020  
THE NOBEL PRIZE IN CHEMISTRY 2020

KUNGL. VETENSKAPS AKADEMIEN  
THE ROYAL SWEDISH ACADEMY OF SCIENCES



Emmanuelle Charpentier



Jennifer A. Doudna

*"för utveckling av en metod för genomeditering"*  
*"for the development of a method for genome editing"*

#nobelprize

THE NOBEL PRIZE

THE NOBEL PRIZE  
Nobel Prize ✓  
253.000 Abonnenten

The Nobel Prize in Chemistry 2020 was awarded jointly to Emmanuelle Charpentier and Jennifer A. Doudna "for the development of a method for genome editing."



Therapie von Krebs  
(Layla)

© www.ScienceNews.org



Therapie von Erbkrankheiten  
(Victoria Gray)

© www.NPR.org

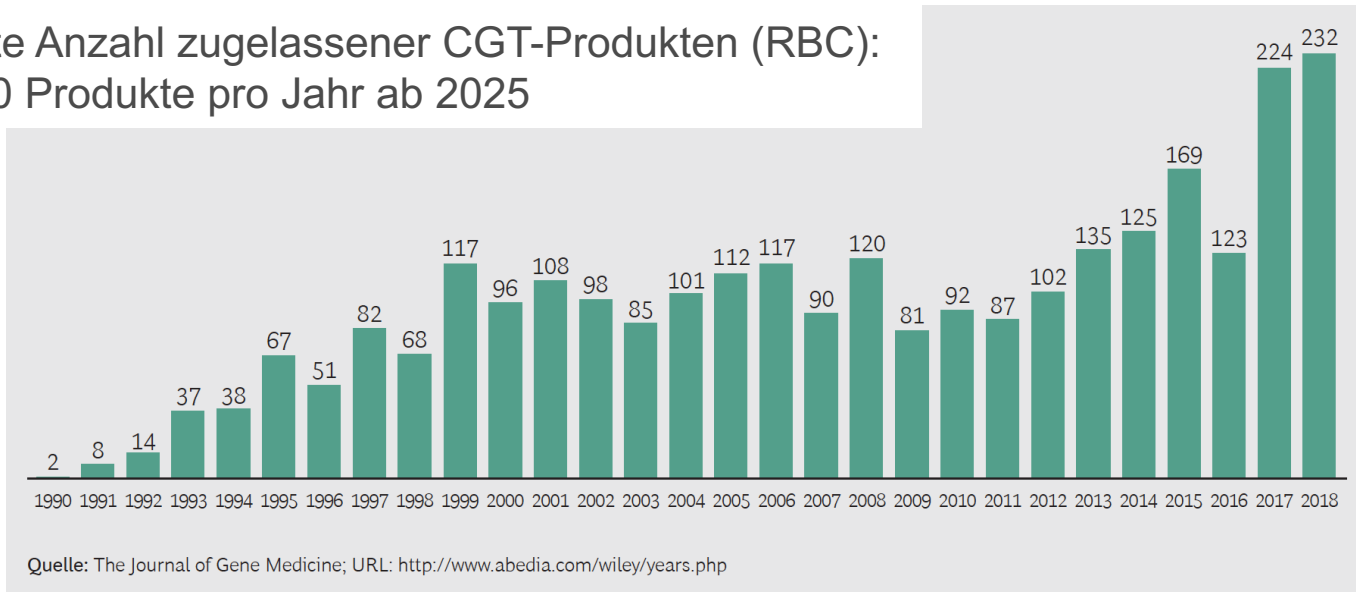
# Blick in die Zukunft

Geschätzter Umsatz von CGT-Produkten (Roland Berger Consulting)

- 2021: 1,8 Mia. EUR
- 2026: 27,9 Mia. EUR

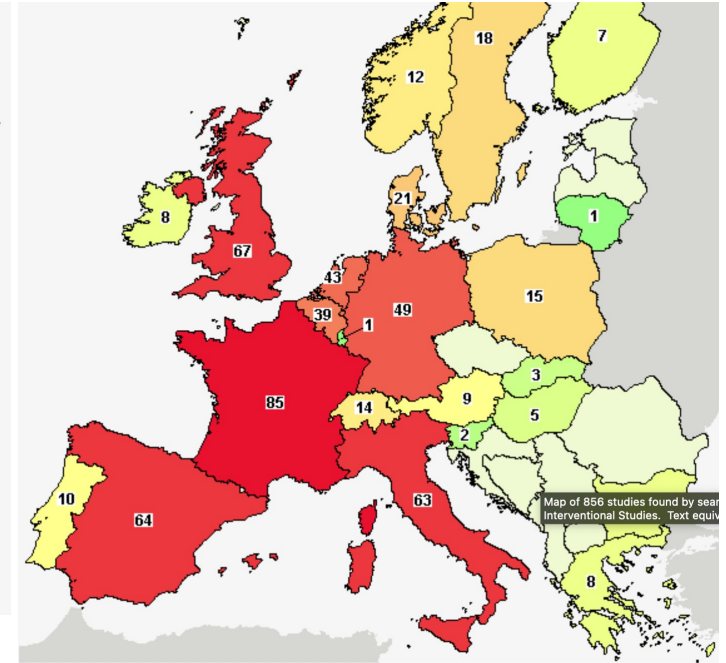
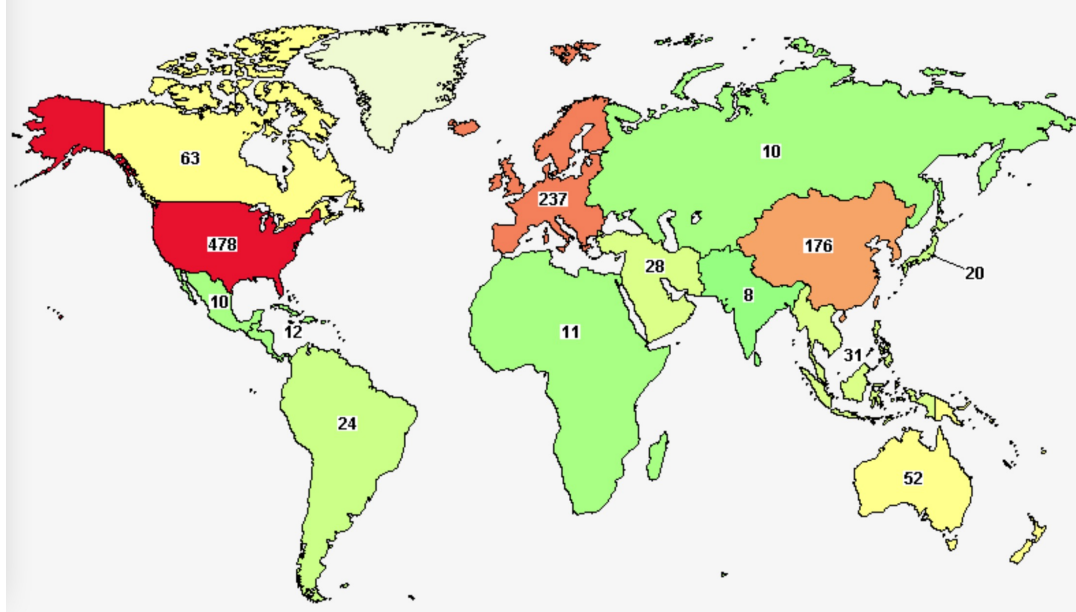
Geschätzte Anzahl zugelassener CGT-Produkten (RBC):

- 10 Produkte pro Jahr ab 2025



# Kritischer Blick auf Deutschland

## Aktive interventionelle Genterapie-Studien



© clinicaltrials.gov (Stand 11.05.2022)

# Kritischer Blick auf Deutschland

## Bürokratie abbauen / Ressourcen bündeln

### Starke Forschungslandschaft

- ✓ Publikationen, Patente – aber zu wenig Translation!

### Bürokratische Hürden abbauen

- vereinfachtes Genehmigungsverfahren von Phase I/II Studien (EthikK, RP Tü, PEI, RP Tü, RP Fr)
- Harmonisierung der Anforderungen der zuständigen Landesbehörden

### Gebündelte Ressourcen aufbauen

- BMBF-gefördertes „Zentrum für Zell- und Gentherapie“
- Vernetzung der Schlüsselakteure (Wissenschaftler, Biotech/Pharma, Behörden, Krankenkassen)



Berliner Morgenpost

Berliner Morgenpost vom 27.04.2022, S. 7 (Tageszeitung, Berlin)

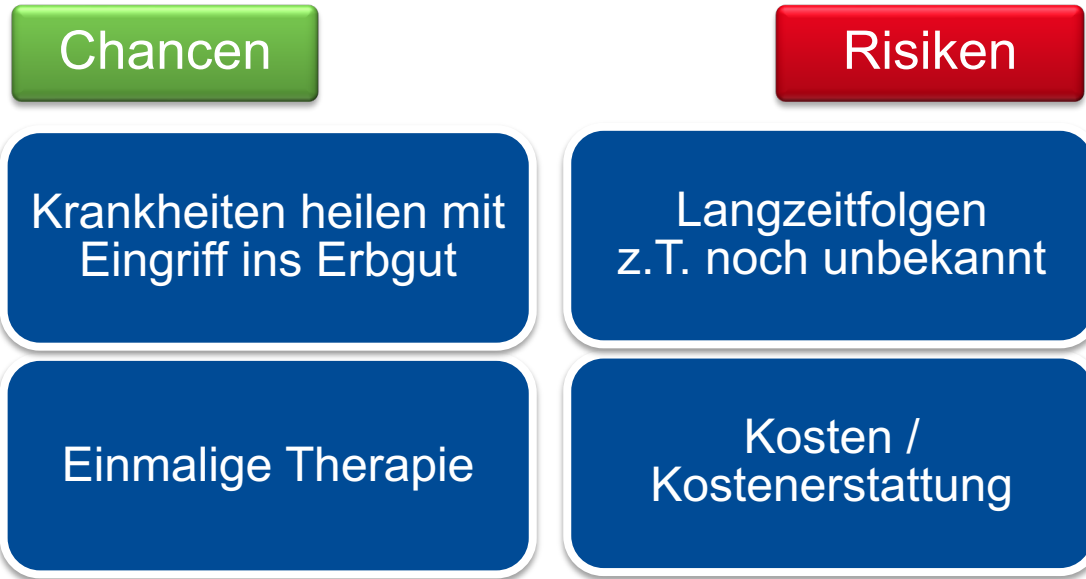
### Ein Zentrum für die Medizin der Zukunft

Charité, Bayer und Senat wollen Spitzenstellung für Berlin in der Gen- und Zelltherapie. Am Nordhafen finden Forscher und Verwerter zusammen

Von Joachim Fahrur

# Chancen & Risiken

## Gentherapie / Genom-Editierung



# Gedanken zur Weiterentwicklung

## *Diagnostica & Life Science Research Technologien*

- Krankheitsfrüherkennung / **Neugeborenen-Screening**
- Vektorisierung – Virusvektoren → **nicht-viral**: LNP, Elektroporation
- **Automatisierung** von Herstellungsprozessen
- Automatisierung der QC – Charakterisierung **Phänotyp**,  
aber auch Genotyp (**Genomanalysen**)
- **Einzelzellanalysen** – **Therapieerfolg** vorhersagen,  
autolog → **allogen** (Kostenreduzierung)
- **Digitalisierung** – Logistik, **Standards**