

Gen- und zellbasierte Therapien

Schlüsseltechnologien für Innovationen in der biomedizinischen Forschung und Krankenversorgung

1. Die Rolle von Genen und Zellen im Körper

Der erwachsene menschliche Körper besteht aus mehr als 10 Billionen Zellen und rund 200 verschiedenen Zelltypen, die jeweils unterschiedliche Funktionen übernehmen und zusammen die verschiedenen Organe bilden. Als Gewebe bezeichnet man Gruppen ähnlicher Zellen, die gemeinsam eine bestimmte Aufgabe erfüllen.

Die Erbinformation unserer Zellen ist wie bei allen zellulären Lebensformen in der DNA (Desoxyribonukleinsäure) gespeichert, die überwiegend im Zellkern verortet ist. Die DNA ist eine biochemische Struktur, die als eine Art Bauplan für den Aufbau und die Funktion der Zellen dient. Gene sind kleine Abschnitte dieser DNA, die die Information für die Herstellung von Ribonukleinsäuren (RNA) enthalten, aus denen Eiweiße (Proteine) oder auch kurzlebige Informationsträger zur Regulation des Zellverhaltens hervorgehen. Letztlich gehen alle Bausteine und Funktionskomponenten unserer Zellen auf die Erbinformation der DNA zurück.

Kernhaltige Zellen tragen die vollständige DNA (das Genom, d. h. die Gesamtheit aller Erbinformationen) eines Individuums in sich. Welche Gene in einer Zelle aktiv sind, hängt von ihrer Aufgabe im Körper ab. In verschiedenen Zelltypen werden unterschiedliche RNAs und Proteine gebildet, die ihre spezifische Funktion und ihr Verhalten steuern. Spezialisierte Zellen nutzen dabei nur denjenigen Teil ihres Genoms aktiv, der für ihre besondere Funktion notwendig ist. Das Zusammenspiel vieler spezialisierter Zellen wiederum steuert die Entwicklung und Funktion größerer Strukturen wie Organe.

Die meisten Zellen im menschlichen Körper haben in der Regel eine begrenzte Lebensdauer. Deshalb kommt Stammzellen eine besondere Bedeutung zu. Sie befinden sich

als undifferenzierte bzw. wenig spezialisierte Zellen in den entsprechenden Organen oder Geweben und reifen dort zu spezialisierten Zellen heran. Sie besitzen die Fähigkeit, eine Vielzahl von Genen zu aktivieren und sich so in unterschiedliche reife Zelltypen zu entwickeln. Sie spielen eine entscheidende Rolle beim Wachstum und der Entwicklung des Körpers sowie bei der Regeneration nach Verschleiß oder Verletzungen.

Spontan eintretende Änderungen der genetischen Information werden als Mutationen bezeichnet. Sie sind einerseits die Triebfeder der Evolution der Arten, andererseits bergen sie das Risiko der Auslösung von Erkrankungen. Man unterscheidet angeborene Mutationen, die in allen Zelltypen des Körpers vorkommen, und erworbene, die im Lauf des Lebens in einzelnen Zellen eintreten. Genetische Erkrankungen gehen auf angeborene Mutationen zurück und können durch eine Korrektur der Erbinformation der Körperzellen behandelt werden. Darüber hinaus sind viele weitere Erkrankungen durch die Änderung der Erbinformation von Körperzellen behandelbar.

2. Gen- und zellbasierte Therapien

Gen- und zellbasierte Therapien (Gene- and Cell-based Therapies, GCT) sind innovative Behandlungsformen, die Krankheiten an ihrer biologischen Ursache adressieren. Genbasierte Therapien korrigieren krankheitsauslösende Mutationen, indem sie Gene ergänzen, ausschalten oder reparieren. Alternativ können genbasierte Therapien das Zellverhalten auch durch das Hinzufügen neuer Erbinformation beeinflussen. Die Übertragung von Erbinformation bezeichnet man als Gentransfer. Hierfür verwendet man sogenannte Vektoren – chemische oder biologisch hergestellte Werkzeuge zur Übertragung von DNA in Körperzellen. Neuartige Technologien wie CRISPR/Cas erlauben dabei einen sehr spezifischen Eingriff an gezielt angesteuerten Gensequenzen.

Zellbasierte Therapien nutzen lebende Zellen – z. B. Stamm- oder Immunzellen – um geschädigtes Gewebe zu regenerieren oder krankheitsrelevante Prozesse zu beeinflussen. Beide Ansätze können kombiniert werden, etwa bei CAR-T-Zelltherapien, bei denen körpereigene Immunzellen genetisch verändert und zur Krebsbehandlung eingesetzt werden.

GCT zählen zu Arzneimitteln für neuartige Therapien (Advanced Therapy Medicinal Products, ATMP). Darunter fallen Gentherapeutika, somatische Zelltherapeutika und Produkte aus im Labor gezüchtetem Gewebe (Tissue Engineering). Ergänzend werden auch Therapien auf RNA-Basis oder Verfahren mit sehr kurzen DNA-Abschnitten (Oligonukleotide) entwickelt.

Nicht dazu zählen präventive mRNA-Impfstoffe oder klassische Medikamente, die auf chemischen Molekülen oder Eiweißen beruhen.

GCT gelten als ein zentraler Baustein zukünftiger Medizin: Sie bieten erstmals die Möglichkeit einer ursächlichen Behandlung schwerer und bislang unheilbarer Erkrankungen und haben das Potenzial, etablierte Therapien zu ergänzen oder gar zu ersetzen. Dennoch sind aktuell nur 16 dieser neuartigen Therapien in Deutschland verfügbar. Ihr Anteil an den gesamten Arzneimittelausgaben beträgt 0,7 Prozent (vfa, 2025).

3. GCT gegen schwere Erkrankungen

Vor allem bei seltenen Krankheiten haben GCT großes Potenzial. Denn rund vier Millionen Menschen in Deutschland leiden an seltenen, oft genetisch bedingten Krankheiten. Für nur etwa 200 der 6000-8000 bekannten seltenen Erkrankungen existieren auf der Welt zugelassene Therapien, sogenannte Orphan Drugs. In der EU sind Stand 2025 lediglich 151 Orphan Drugs offiziell zugelassen, von denen die meisten auch in Deutschland verfügbar sind. GCT haben daran noch einen geringen Anteil. Angeborene seltene Erkrankungen, die mit GCT behandelt werden können, bzw. bei denen GCT vielversprechende Erfolge in klinischen Studien zeigen, sind beispielsweise CPS1-Mangel (führt zu einem potenziell lebensbedrohlichen Ammoniakgehalt im Blut), RPE65-Mutation bei Netzhauterkrankungen (führt zu starker Sehinderung bis zur Erblindung) oder die Hämophilie A und B (Blutgerinnungsstörungen).

Auch bei häufig vorkommenden Krankheiten und sogenannten "Volkskrankheiten" bieten GCT große Chancen.

Durch sie könnte die Krankheitslast (Summe der Belastung der Bevölkerung aus Sterblichkeit sowie Behinderung und Krankheit) gesenkt werden. GCT werden bei Epilepsie (Anfallsleiden), Parkinson-Krankheit (Schüttellähmung), Typ-1-Diabetes (Zuckerkrankheit, Insulinmangel), Herz-Kreislauf-Erkrankungen und Autoimmunerkrankungen erforscht, um zelluläre Schäden zu verhindern, zu reparieren oder gesundmachende Funktionen wiederherzustellen.

Bei Krebserkrankungen haben sich GCT bereits bei bestimmten schweren hämatologischen Tumoren (Krebserkrankungen im blutbildenden System) als wirksam erwiesen. Bei soliden Tumoren (feste Ansammlungen von Gewebe) befinden sich Therapien in frühen Studienphasen. Sie ermöglichen neue Perspektiven für Patientinnen und Patienten mit therapieresistenten Erkrankungen oder einer erhöhten Rückfallquote.

4. Herstellung und Zulassung von GCT

Die Herstellung von GCT ist aufgrund der Besonderheiten des "lebenden" Ausgangsmaterials komplex und aufwändig – und damit eine zentrale Herausforderung. Sie erfordert erstens spezialisierte Infrastrukturen, die nach "guter Herstellungspraxis" (Good Manufacturing Practice, GMP) produzieren können, und zweitens hochqualifiziertes Personal, das diese streng kontrollierte Produktion bewerkstelligen kann. Kosten und Komplexität der Prozesse erschweren die Skalierung und damit die Wettbewerbsfähigkeit.

Auch die regulatorischen Rahmenbedingungen stellen eine Herausforderung dar. Die bestehenden Zulassungs- und Genehmigungsprozesse sind fragmentiert und oft nicht optimal auf die besonderen Eigenschaften von GCT zugeschnitten. Der Übergang von der Forschung in die klinische Anwendung kann dadurch erheblich verlangsamt werden. Gleichzeitig fehlen geeignete Vergütungsmodelle, die den Nutzen dieser Therapien und den Aufwand bei Herstellung und Anwendung angemessen abbilden.

Daher ist es nötig, Infrastrukturen für die Herstellungs- und Qualitätssicherung auszubauen, regulatorische Prozesse zu vereinheitlichen und Forschende beim Transfer ihrer Ansätze in die klinische Anwendung zu unterstützen. Ebenso wichtig ist die Erhebung und Analyse von Langzeitdaten, um Sicherheit und Wirksamkeit zu dokumentieren sowie Erstattungsmodelle für eine nachhaltige Versorgung einzuführen. Betroffene Patientinnen und Patienten müssen dabei schon frühzeitig in neue Entwicklungen einbezogen werden.

5. Chancen und Risiken von GCT

GCT eröffnen neue Möglichkeiten für die Behandlung schwerer und bislang unheilbarer Erkrankungen. Teilweise lassen sich mit einmaligen Eingriffen langfristige therapeutische Erfolge und eine nachhaltige Verbesserung der Lebensqualität erzielen.

Neben diesen medizinischen Vorteilen bieten GCT auch ökonomische und gesellschaftliche Potenziale. Langfristig können diese Behandlungen Folgekosten reduzieren und dadurch das Gesundheitssystem entlasten. Gleichzeitig stärken Investitionen in Forschung, Entwicklung und Versorgungsstrukturen die Innovationskraft und Wettbewerbsfähigkeit des Gesundheitsstandorts Deutschland. Übergeordnetes Ziel ist die Entwicklung effizienter, sicherer und ökonomisch nachhaltiger Therapieverfahren.

Mit GCT verbundene Risiken müssen sorgfältig beobachtet werden. Dazu zählen akute Nebenwirkungen wie Immunreaktionen aber auch verzögert eintretende Komplikationen wie die Auslösung von Krebs durch ungewollte Veränderung der DNA. Vorausschauende Forschung, kontinuierliche wissenschaftliche Begleitung und transparente Kommunikation von Nutzen und Risiken sind daher von großer Bedeutung. Die ethische Trennlinie zwischen therapeutischer Anwendung und sogenanntem "Enhancement" (gezielte Veränderung, Verbesserung oder Erhalt von genetisch determinierten Eigenschaften zur Stärkung subjektiver Bedarfe) bleibt bedeutsam. Keimbahntherapien, die Keimbahnzellen (Eizellen oder Spermien) betreffen und dadurch zur Weitergabe der Veränderungen an die Nachkommen führen, sind in Deutschland verboten. Die klinisch angewandte somatische Gentherapie betrifft ausschließlich Körperzellen (somatische Zellen) und führt daher nicht zu vererbten Veränderungen.

6. GCT: Zukunftstechnologie für den Innovationsstandort Deutschland

Das gesundheitswirtschaftliche Potenzial von GCT ist enorm. Analysen zufolge wird allein der deutsche Markt für GCT in den kommenden Jahren stark wachsen und könnte ein Volumen von mehreren Milliarden Euro erreichen. GCT schaffen so zahlreiche hochqualifizierte Arbeitsplätze in Forschung, klinischer Entwicklung und Produktion. Damit können sie ein Treiber für Innovation in der Biotechnologie und der Industrie sein. Gleichzeitig eröffnen sich Chancen für Zulieferer und Start-ups, die innovative Lösungen für Forschung, Entwicklung und Produktion im Bereich der Biotechnologie bereitstellen. Wenn Forschung, Entwicklung und Produktion in Deutschland gebündelt bleiben, erhöht das die Standortattraktivität, sichert Know-how und gewährleistet Technologie- und Versorgungssouveränität. Die praktische Umsetzung und wirtschaftliche Durchdringung von GCT hängen von innovationsfreundlichen Rahmenbedingungen, gezielter Förderung und erfolgreicher Translation von Forschungsergebnissen in die Anwendung ab. Für die wirtschaftliche Entwicklung ist dabei auch der medizinische Nutzen für die Patientinnen und Patienten maßgeblich.

Kontakt

Kommissarische Geschäftsstelle der Nationalen Strategie für gen- und zell-basierte Therapien (GCT)
c/o Berlin Institute of Health in der Charité (BIH)

Anna-Louisa-Karsch-Straße 2, 10178 Berlin
E-Mail: gene-and-cell@bih-charite.de

