

Wir empfehlen die Online-Version

[Online-Version](#)



13. Dezember 2024



Liebe Leserinnen und Leser,

ein ereignisreiches Jahr neigt sich dem Ende zu und wir möchten diese Gelegenheit nutzen, um über Neues und Bewährtes zu berichten. Im Januar 2024 startete unser Entrepreneurship-Programm [GeneNovate](#), die ersten 17 vielversprechenden Projekte aus der nationalen Förderung sind ausgewählt worden und in den nationalen [GCT-Atlas](#) können Sie sich nun über einen [online-Link](#) selbst eintragen.

Für Ihre Weihnachtslektüre empfehlen wir den Bericht eines Vaters, dessen Tochter an Metachromatischer Leukodystrophie (MLD) erkrankt ist, der zum Nachdenken anregt sowie mehrere Positionspapiere zum Thema GCT. Wie gewohnt finden Sie in unserem Newsletter Hinweise zu Veranstaltungen, Netzwerktipps und Ausschreibungen.

Wir wünschen Ihnen erholsame Feiertage und einen guten Rutsch ins Neue Jahr! Für Anregungen oder Beiträge kontaktieren Sie uns gerne: gct-news@bih-charite.de.

Herzliche Grüße,

Elke Luger und das gesamte Team des Netzwerkbüros

[Click here for english version](#)

Technologietransfer



**Call for Application
Now open!**

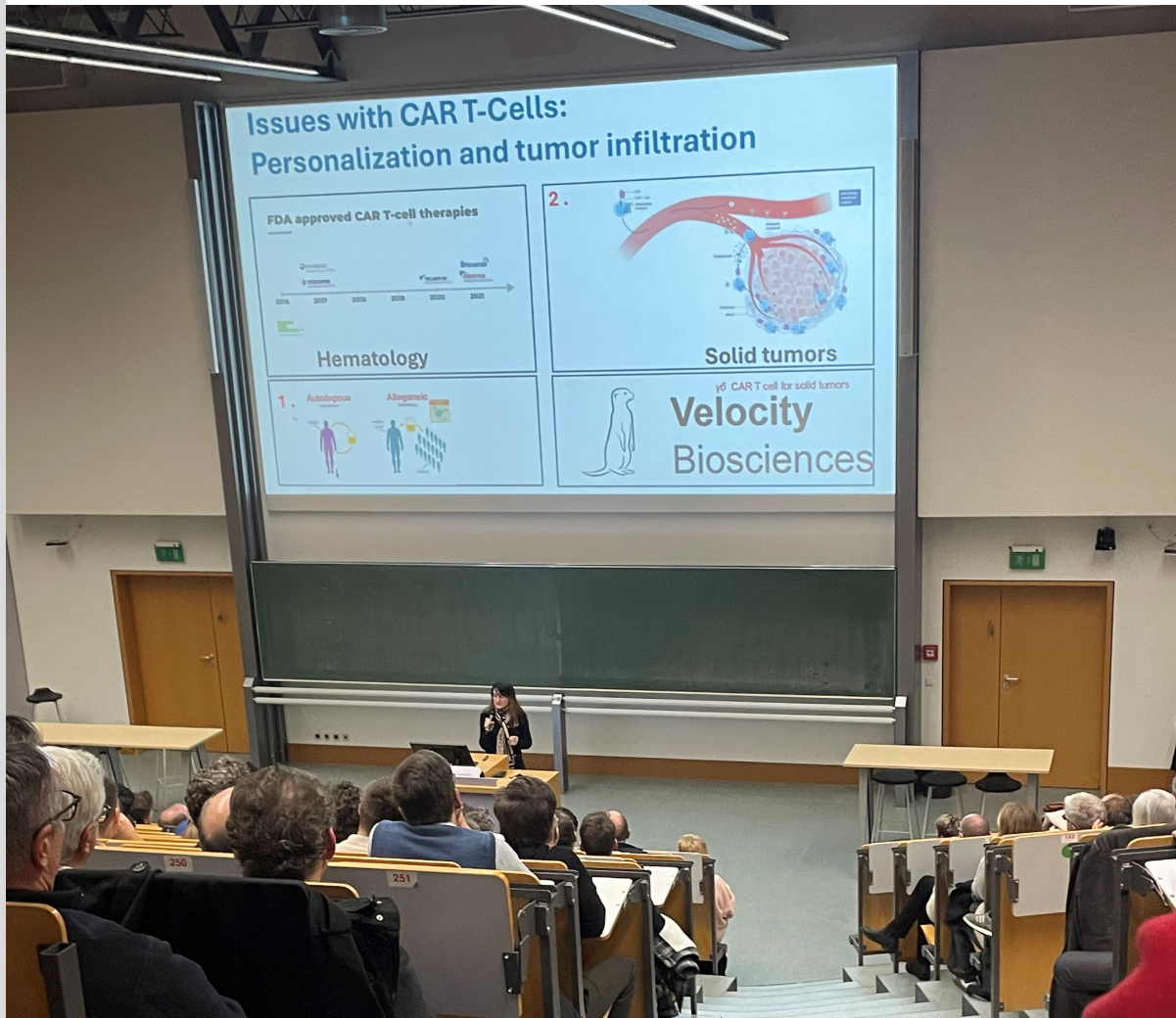
GeneNovate 2025: Call for Applications verlängert bis zum 6.1.2025

Die Deadline für den Call for Applications für die zweite GeneNovate-Runde wird bis zum 06. Januar 2025 verlängert. Die Standorte Berlin, Dresden/Leipzig, Hannover, Heidelberg, Mainz und München sind nächstes Jahr mit dabei. Interessierte

PostDocs, Ärzt*innen und PhDs haben die Möglichkeit, sich für die Teilnahme 2025 an einem der 6 Standorte [hier](#) zu bewerben. Weitere Informationen zum GeneNovate Programm finden Sie [hier](#).

Bei Fragen, wenden Sie sich gerne an: genenovate@bih-charite.de

Die Gewinner-Teams des GeneNovate-Piloten treffen Business Angels



Im Rahmen des [Business Angels Deutschland Tages \(BAND\)](#) in Mainz haben sich die GeneNovate Gewinner-Teams des Piloten 2024 am 23.11.2024 vor über 200 Business Angels aus ganz Deutschland vorgestellt. Die preisgekrönten Teams präsentierten die Pitches, die sie im Rahmen des [GeneNovate](#)-Programms gemeinsam entwickelt haben. Dazu bekamen Sie wertvolles Feedback, Kontakte und Folgegespräche mit zahlreichen Business Angels. Die Teams hatten darüber hinaus noch die Möglichkeit, am Mainzer BAND-Kongress teilzunehmen und sich dort bei verschiedenen Investor*innen vorzustellen. Ein erfolgreicher Abschluss des GeneNovate-Piloten mit tollen Chancen für unsere Teilnehmenden.

In eigener Sache



Der GCT-Atlas - die zentrale Plattform und Matchmaking-Stelle im Bereich Gen- und Zelltherapien

Gemeinsam mit allen Stakeholdern erstellen wir den nationalen [GCT-Atlas](#). So entsteht die erste zentrale Informationsplattform für Nutzer*innen aus Wissenschaft, Gesellschaft, Öffentlichkeit, Politik, Patient*innen-Organisationen, Stiftungen und vielen mehr. Der Zugang zu Fachkliniken, Forschungsnetzwerken, Family Offices, Events, Investor*innen, Bildungsangeboten wird damit ganz einfach und übersichtlich. Wir befinden uns mitten in der Recherche und freuen uns über rege Unterstützung aus der Community: [Hier](#) können Sie ihre eigene Organisation eintragen, um im GCT-Atlas dargestellt zu werden.



Positives Feedback zum Netzwerkaufbau GCT Germany vom Bundesministerium für Bildung und Forschung (BMBF)

Kürzlich konnten wir dem BMBF unsere Projekte des [Netzwerkbüros GCT Germany](#) vorstellen. Dazu zählen u.a. das nationale Entrepreneurship-Programm [GeneNovate](#), der GCT-Atlas und die Themen des [Patient Engagements](#). Danke für das positive Feedback und das gemeinsame Brainstorming Katrin Benninghoff, Dana Buyx, Dirk-Olivier Laurent und Wilhelm Wagner. Wir treiben unsere Projekte weiter tatkräftig voran und freuen uns auf den nächsten Besuch. Weil wir gemeinsam dazu beitragen können, dass Gen- und Zelltherapien eine große Chance für viele Betroffene werden.

Netzwerkbüro on tour



NWB auf der Berlin Science Week

Am 1. und 2. November nahm das Netzwerkbüro gemeinsam mit dem [German Stem Cell Network \(GSCN\)](#) an der Berlin Science Week im Naturkundemuseum teil. Über 2.000 neugierige Besucher*innen aller Altersklassen kamen an diesen Tagen in das Museum, um der Wissenschaft über die Schulter zu schauen. Mit Posterausstellung, Spielen, Quiz und persönlichen Gesprächen informierten wir zu den GCT-Projekten mit besonderem Fokus auf Betroffene und Angehörige.

Foto ©: C. Laschitzki

Nationale Strategie

**Zukunftsweisende Projekte ausgewählt:
Nationale Förderung von
Translationsprojekten zur Therapie mit gen-
und zellbasierten Produkten und assoziierter
Diagnostik**

Anfang November 2024 wurden die ersten Projekte des Förderaufrufs im Rahmen der Nationalen Strategie GCT bekanntgegeben. Erfolgreichen Anträge umfassen zukunftsorientierte Bereiche, von der Prozessentwicklung und Plattformtechnologien bis hin zu Therapien, die auf monogenetische Erkrankungen, Autoimmunerkrankungen und Krebs ausgerichtet sind. Siebzehn Projekte aus Berlin, Bonn, Frankfurt, Freiburg, Göttingen, Hamburg, Hannover, Heidelberg, Leipzig, Mainz, Mannheim, Regensburg, Tübingen und Würzburg werden durch die SPARK-Methode gefördert. Die Teams erhalten Finanzierung und Mentoring, um bahnbrechende Wissenschaft in transformative Therapien und Diagnostika zum Nutzen der Patient*innen umzusetzen. Projektträger ist das Deutsche Zentrum für Luft- und Raumfahrt (DLR). In den nächsten Newslettern werden wir Ihnen die Projekte vorstellen.

Der nächste Aufruf zur nationalen Projektförderung startet Anfang 2025, alle Informationen dazu finden Sie [hier](#).

Wissenswertes



Assessing the clinical trial ecosystem in Europe

Final Report

October 2024

© 2024. All rights reserved. IQVIA® is a registered trademark of IQVIA Inc. in the United States, the European Union, and various other countries.



Europas Anteil an globalen Studien nimmt ab

Ein Beitrag von Dr. Isabelle Stoeckert (Independent Regulatory Science Expert)

Die Hoffnungen, die in die Einführung der EU-Verordnung über klinische Prüfungen zur Förderung der klinischen Forschung in Europa gesetzt wurden, haben sich bisher nicht erfüllt. Das zeigt eine kürzlich veröffentlichte Studie, die die klinische Forschungslandschaft der EU analysiert. Einige der wichtigsten Ergebnisse:

- Europa schneidet zwar bei kommerziellen klinischen Studien mit mehreren involvierten Ländern gut ab, verliert aber weltweit Anteile, insbesondere an Asien

und andere Regionen (Reduktion von 25 % im Jahr 2013 auf 19 % im Jahr 2023).

- In Europa ist vor allem der Anteil der Phase-1-Studien zurückgegangen.
- Spanien hat sich zum führenden Land für den Start klinischer Studien in der EU entwickelt. In Deutschland ist ein Rückgang zu verzeichnen.
- Die Beteiligung Europas an globalen GCT-Studien ist seit 2013 stetig rückläufig. In dieser Zeit hat China einen dramatischen Aufstieg zur führenden Region erlebt. Die USA sind nach wie vor die zweitgrößte Region für solche Studien.

Weitere Anstrengungen zur Stärkung des Ökosystems für klinischen Studien in der EU werden gefordert. Den vollständigen Bericht finden Sie [hier](#).

Zukunftsforum des Bundesministeriums für Gesundheit (BMG): Zeitenwende in der Biotechnologie

Am 21.11.2024 folgten ca. 180 Vertretungen aus Gesundheitsversorgung, Gesundheitspolitik, Patient*innenvertretung, Wissenschaft, forschenden Unternehmen und Zulassungsbehörden der Einladung des BMG zu einem interdisziplinären Dialog. Im Fokus standen die Bereiche Gentherapie, Tumorstoffe und Antikörper-Wirkstoff-Kombinationen. Weitere Informationen zur Veranstaltung finden Sie [hier](#). [Hier](#) geht es zur Pressemitteilung des Verbandes forschender Pharmaunternehmen (vfa).



GCT

Nationale Strategie
Gen- und zellbasierte Therapien
Netzwerkbüro

Druckfrisch für Sie gelesen

Der Markt der Zukunft – Gesundheitswirtschaft.

„Deutschland kann seine Wachstumsschwäche durch die Förderung der Gesundheitswirtschaft überwinden. Das Forschungspotential

Neue Regeln braucht das Land

Gen- und Zelltherapien eröffnen vielversprechende Möglichkeiten für die Behandlung von Krankheiten, die bisher kaum oder gar nicht therapiert

dafür ist vorhanden.“ Den Aktionsplan von Otmar Wiestler, Helmholtz Präsident, und Michael Kaschke, Präsident des Stifterverbandes finden Sie [hier](#).

werden können. Allerdings bedarf das deutsche Regelwerk zur Nutzenbewertung von Arzneimitteln dringend einer Überarbeitung. Andernfalls könnten schwer kranke Menschen, beispielsweise mit Krebs oder seltenen Erkrankungen, wichtige Behandlungsoptionen verlieren. Die nächste Bundesregierung ist gefragt: Es geht hierbei auch um die Innovations- und Zukunftsfähigkeit Deutschlands. Den Beitrag der Initiative „Pharma-Fakten“ finden sie [hier](#).

Innovationsstandort Deutschland für GCT & GeneNovate-Spirit

Der Verband forschender Pharmaunternehmen (vfa) hat am 26.11.2024 sein Positionspapier „Innovationsstandort Deutschland für Gen- und Zelltherapien“ veröffentlicht. Zum Download geht es [hier](#). Auch der Spirit unseres ersten, nationalen Entrepreneurship-Programms findet sich in dem aktuelleren Positionspapier „Innovationen wachsen lassen: F&E finanzieren, Gründungen fördern, Wachstum ermöglichen“, welches am 29.10.2024 erschien. Zum Download geht es ebenfalls [hier](#).

Pharma F&E 2035 – Deutschlands Innovationsrahmen für die Zukunft

Ein Strategiepapier „Pharma F&E 2035 – Deutschlands Innovationsrahmen für die Zukunft“ von vfa und Fraunhofer Gesundheit wurde am 13.11.2024 veröffentlicht. Es beleuchtet, wie Deutschland wieder in die Topriege der Pharmaforschung aufsteigen kann. Das Medizinforschungsgesetz und das Gesundheitsdatennutzungsgesetz haben den rechtlichen Rahmen für die Pharmaforschung in Deutschland zwar in einigen Bereichen verbessert. Um das Land jedoch in die internationale Spitzengruppe der Forschungs- und Entwicklungsstandorte zu katapultieren, sind weitere Anpassungen erforderlich. Ein neues Monitoring-Tool soll über einen längeren Zeitraum hinweg überprüfen, ob Deutschland seine Leistungsfähigkeit in der Pharmaforschung tatsächlich steigern kann. Lesen Sie das Strategiepapier [hier](#).

Ausschreibungen

Ernst Schering Preis und Schering Young Investigator Award

Für das Jahr 2025 können Nominierungen und Bewerbungen für beide Preise bis zum 09.02.2025 eingereicht werden. Informationen zur Ausschreibung für den Ernst Schering Preis 2025 finden Sie [hier](#), Informationen zum Schering Young Investigator Award 2025 [hier](#).

Projektaufruf für „Einzelzellanalysen in der personalisierten Medizin“

Die Ausschreibung richtet sich an Wissenschaftler*innen von BIH, Charité und MDC und gilt für Einzelzellanalysen in der personalisierten Medizin. Antragsberechtigt sind translationale Projekte, die zentrale Fragestellungen der translationalen oder klinischen Biomedizin adressieren und der Mission des Förderschwerpunkts dienen. Die Ausschreibung ist als Serie von bis zu 3 Ausschreibungen bis November 2026 geplant. Nähere Informationen finden Sie [hier](#).

GO-Bio Initial: Das Sprungbrett für die wirtschaftliche Verwertung lebenswissenschaftlicher Ideen

Die GO-Bio Initial Sondierungsphase des Bundesministeriums für Bildung und Forschung (BMBF) unterstützt lebenswissenschaftliche Verwertungsideen mit 100.000 Euro für ein Jahr. Bewerbungen können bis zum 15.02.2025 [hier](#) eingereicht werden.

Ingrid zu Solms-Wissenschaftspreis für Medizin 2025

Ausgeschrieben von der Ingrid zu Solms-Stiftung, Frankfurt am Main, für richtungweisende wissenschaftliche Forschung auf dem Gebiet der

Grundlagenforschung in der Medizin, für die Medizin oder für die Psychotherapie, die zur Habilitation genutzt wurde oder dazu gleichrangig ist.
Bewerbungsschluss ist der 01. März 2025

Weitere Informationen finden Sie [hier](#).

GCT aus Sicht der Patientinnen und Patienten

Europäische Gesellschaft für Gen- und Zelltherapien (ESGCT)

Um die Fortschritte zu veranschaulichen, die Gen- und Zelltherapien seit der Gründung der ESGCT im Jahr 1992 gemacht haben, wurde ein Überblick über Patient*innen zusammengestellt, die mit diesen Therapien behandelt wurden und wie dies ihr Leben verändert hat. Zum Film geht es [hier](#).



ELA

**EUROPÄISCHE VEREINIGUNG
GEGEN LEUKODYSTROPHIEN**

„Was heute unmöglich scheint, kann morgen Realität sein“: Chancen der Gen- und Zelltherapien für betroffene Familien.

Ein Plädoyer von Michael Scholz, ela.eV

Michael Scholz ist ehrenamtlich im Vorstand von „ELA Deutschland e.V.“ und hat als themenbezogener Patientenvertreter beim Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) den Nutzenbewertungsprozess von Libmeldy® begleitet. Er engagiert sich für die Einführung eines Neugeborenen Screenings. www.elaev.de

Liebe Leserinnen und Leser,

Als Vater einer 13-jährigen Tochter, die an der seltenen und lebensverkürzenden Krankheit Metachromatische Leukodystrophie (MLD) leidet, habe ich die Herausforderungen, aber auch die Hoffnung, die diese neuen Therapien bieten können, hautnah miterlebt.

MLD ist eine genetische Erkrankung, bei der ein Enzymmangel zu einer fortschreitenden Zerstörung der Myelinschicht im Gehirn führt. Meine Tochter lebte bis zum Alter von fünf Jahren ein gesundes und unbeschwertes Leben. Doch dann zeigten sich erste, zunächst unspezifische Symptome, die schließlich zu der erschütternden, lebensverkürzenden Diagnose führten. Seitdem kämpft unsere Familie nicht nur gegen die Krankheit, sondern auch dafür, dass neue Therapiemöglichkeiten erforscht und zugänglich gemacht werden.

Moderne Therapien, wie Stammzell- und Gentherapien, bieten heute die Chance, Krankheitsverläufe zu verlangsamen oder sogar zu stoppen – insbesondere, wenn sie frühzeitig eingesetzt werden. Leider war dies bei meiner Tochter nicht mehr möglich, da die Symptome bereits zu weit fortgeschritten waren. Trotz allem hat die damals mögliche Stammzellentherapie ihrer Lebensqualität einen bedeutenden Schutz geboten. Auch wenn sie körperlich schwer beeinträchtigt ist, lacht sie noch viel und genießt das Leben.

Es gibt bereits beeindruckende Fortschritte Dank der jetzt verfügbaren Gentherapie für die MLD (Libmeldy®). Mit einem der aktuell teuersten Medikamente der Welt, können heute Kinder, die vor dem Auftreten der ersten Symptome behandelt werden, ein nahezu normales Leben führen. Das gibt betroffenen Familien Hoffnung, doch der Zugang zu diesen lebensrettenden Behandlungen ist oft langwierig. Familien anderer Leukodystrophieformen müssen wiederholt ins außereuropäische Ausland reisen, um an Studien teilzunehmen, da es in Deutschland zu wenig Forschungsprogramme gibt. Außerdem scheitern viele Studienmöglichkeiten an bürokratischen Hürden und fehlender Unterstützung, sowohl politisch als auch finanziell.

Ich möchte betonen, wie wichtig es ist, dass wir als Gesellschaft die Rahmenbedingungen für die Forschung und Entwicklung neuer Therapien verbessern müssen. Dies erfordert nicht nur finanzielle Mittel, sondern auch schnellere Entscheidungsprozesse, mehr Flexibilität in der Umsetzung klinischer Studien und vor allem eine stärkere Unterstützung für betroffene Familien. Wir sollten verhindern, dass innovative Therapien aus dem deutschen und europäischen Markt verschwinden, nur weil es keine Einigung zur Kostenerstattung gibt.

Ich rufe dazu auf, mehr gesellschaftliche, finanzielle und politische Unterstützung für GCT zu schaffen, um Innovationen zu fördern und die Zukunft der Medizin hier in Deutschland zu sichern. Denn für viele Patienten mit seltenen und schweren Erkrankungen ist Zeit das kostbarste Gut – und es darf nicht länger verloren gehen.

Mit Blick auf die zukünftig zu erwartenden Gentherapien für Kinder mit unterschiedlichsten Stoffwechselerkrankungen wird die frühzeitige Diagnose immer notwendiger und daher ist es wichtig, das erweiterte Neugeborenen-Screening (eNGS) perspektivisch zu ergänzen.

Es liegt an uns, diese Chancen zu nutzen und Hoffnung für zukünftige Generationen zu schaffen. Dafür ist ein breiter Diskurs zu den Chancen und Risiken in Politik und Gesellschaft gerade jetzt wichtig.

Denn was heute unmöglich scheint, kann morgen Realität sein.

Ihr Beitrag zum GCT-Newsletter

Ein bundesweiter Newsletter ist so relevant und divers wie die Community, die dazu beiträgt. Gerne berichten wir über Initiativen aus ganz Deutschland und verbreiten Ihre Neuigkeiten, Aktivitäten und Veranstaltungen. Kontaktieren Sie uns unter:

gct-news@bih-charite.de

Veranstaltungshinweise

 2025

28. Apr. -
30. Apr.

International Helmholtz Drug Discovery Conference

Alle Informationen finden Sie [hier](#).

 25. Februar 2025

Pharma 2025

Wie zukunftssicher ist der Pharma-Standort Deutschland? Handelsblatt Jahrestagung.

Wann?

Dienstag, 25.02.2025, 09:00 Uhr -
Mittwoch, 26.02.2025, 15:00 Uhr

Wo?

Pullman Berlin Schweizerhof
Budapester Str. 25 • 10787 Berlin

📅 2025

10. Mär. -
11. Mär

Genome editing towards therapies

Jahrestagung der DG-GT, 10.-11.3.2025, Dresden

Alle Infos [hier](#)

📅 2025

08. Apr. -
11. Apr.

ESGCT Spring School Deutschland

Gemeinsam organisiert mit DG-GT, vom 8.-11.4.2025, Potsdam,
Save the Date

Alle Infos [hier](#)

📅 2025

27. Feb.

RegMed Forum

Process Development and Translation of ATMP Projects,
27.2.2025, Berlin

Infos [hier](#)

📅 2025

26. Mär. -
28. Mär.

Stem Cell Models of Neurodegeneration

26-28.3.25, Edinburgh, UK

Infos [hier](#)

📅 2025

01. Apr. -
02. Apr

AAV Meeting

From Lab to Clinic, 1.-2.4.2025, Leipzig,

Infos [hier](#)



GCT

National Strategy
Gene and Cell-Based Therapies
Network Office



Dear Readers,

an eventful year is coming to an end, and we would like to take this opportunity to reflect on new developments and proven initiatives. In January 2024, we launched our entrepreneurship program [GeneNovate](#). We report on the selection of the first 17 promising projects of the national funding call. Furthermore, you can now add yourself to the national [GCT-atlas](#) via an [online-link](#).

We've also received valuable feedback from our funding body, the Federal Ministry of Education and Research (BMBF) – thank you for that! For your holiday reading, we recommend a thoughtful article by a father whose daughter suffers from Metachromatic Leukodystrophy (MLD), as well as several position papers on GCT.

As always, our newsletter includes information on events, networking tips and new calls for proposals—everything you need for a successful start to 2025.

We wish you happy holidays and a happy New Year! Feel free to reach out with suggestions or contributions at: gct-news@bih-charite.de.

Warm regards,

Elke Luger and the entire GCT-Team

Technology Transfer



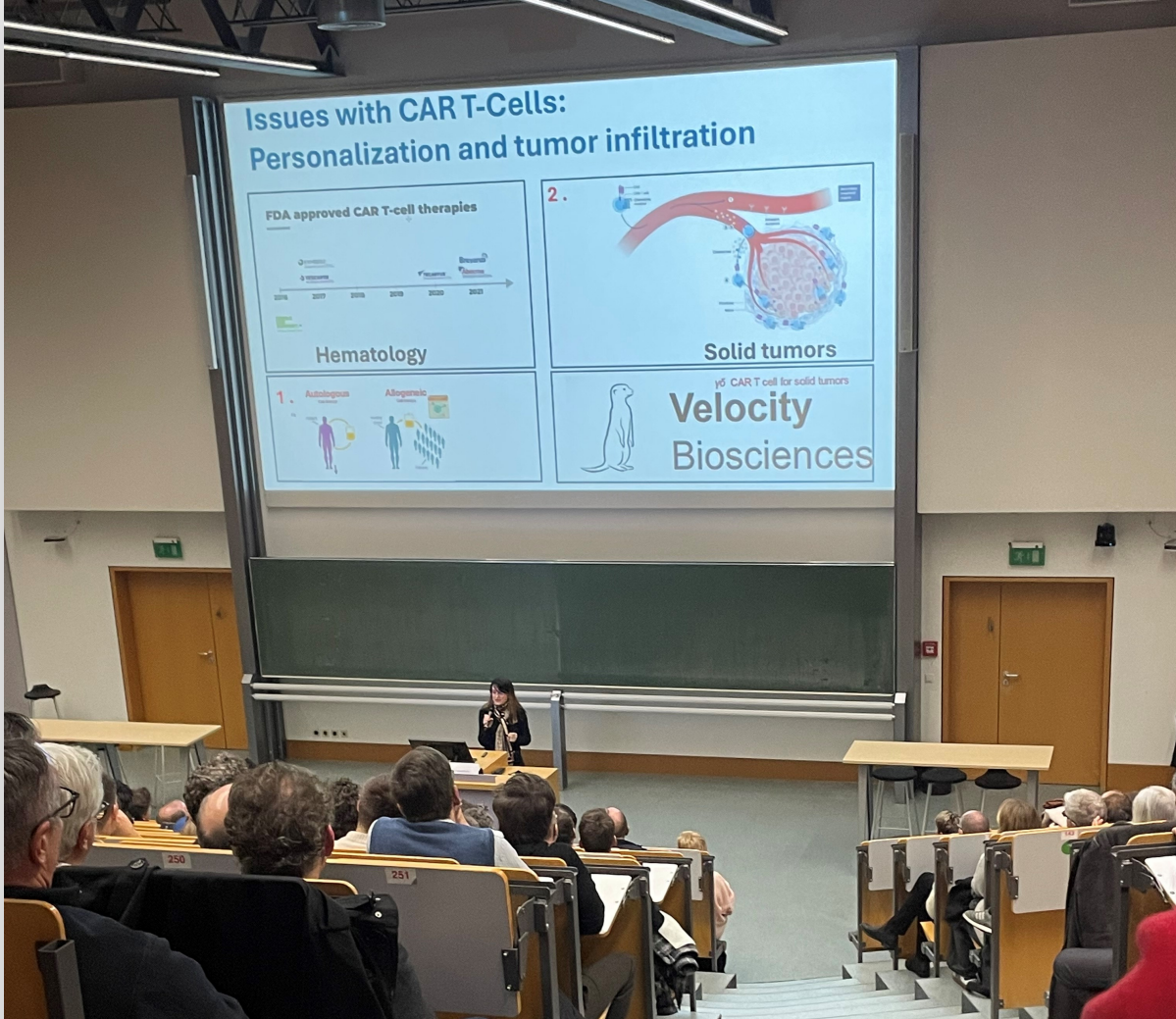
Call for Application
Now open!

GeneNovate Call for Applications at 6 Locations in 2025—Deadline Extended!

We are pleased to announce the extension of the call for applications for the second GeneNovate round until January 6, 2025. Locations include Berlin, Dresden/Leipzig, Hannover, Heidelberg, Mainz and Munich. Interested postdocs, physicians and PhDs can apply for participation in 2025 at one of the six locations [here](#). Further information about the GeneNovate program can be found [here](#).

For questions, please contact: genenovate@bih-charite.de

GeneNovate Pilot Winner Teams Meet Business Angels



On November 23, 2024, the GeneNovate pilot winner teams presented their projects to over 200 business angels at the [Business Angels Day \(BAND\)](#) in Mainz. The teams showcased pitches developed during the program, receiving valuable feedback, connections and follow-up meetings. Participants also attended the Mainz BAND Congress, connecting with various investors—a successful conclusion to the [GeneNovate](#) pilot with promising opportunities for participants.

Photo ©: Matthias Schwabe

About Us



The GCT-Atlas: The National Platform for GCT – Active registration via online link possible now!

We are building the national [GCT-Atlas](#) together with all stakeholders, creating the first centralized information platform for scientists, the public, policymakers, patient organizations to name a few. Access to specialized clinics, research networks, family offices, events, investors and educational resources will be streamlined and showcased user-friendly. We are actively seeking community support— You may contribute by displaying your organization on the GCT-Atlas. To do so, follow the questionnaire [here](#).



Positive Feedback from the Federal Ministry of Education and Research (BMBF)

We recently presented our [GCT Germany](#) network projects to the BMBF, including the [GeneNovate](#) program, the [GCT-Atlas](#) and [patient engagement](#) initiatives. Thanks to Katrin Benninghoff, Dana Buyx, Dirk-Olivier Laurent and Wilhelm Wagner for the positive feedback and brainstorming. We're excited to keep advancing these projects together.

Network Office on Tour



"Hands-On Science" at Berlin Science Week

On November 1st and 2nd, the Network Office (NWB) participated in the Berlin Science Week at the Museum of Natural History in collaboration with the German Stem Cell Network (GSCN). Over 2,000 curious visitors of all ages came to the museum to get a glimpse behind the scenes of science. In addition to games, interactive talks and "hands-on science," we provided information about our projects with a special focus on resources for patients and their families.

Photo ©: C. Laschitzki

National Strategy GCT

Promising Projects Selected: National Funding for Translational GCT Projects and companion diagnostics

In early November, the first projects of the national GCT funding call were selected. The DLR is overseeing the process. 17 projects from Berlin, Bonn, Frankfurt, Freiburg, Göttingen, Hamburg, Hannover, Heidelberg, Leipzig, Mainz, Mannheim, Regensburg, Tübingen und Würzburg were successful. These projects focus on cutting-edge areas like process development, platform technologies and therapies for monogenic diseases, autoimmune disorders and cancer. The [SPARK](#)-method is being employed to fund and mentor the teams. Stay tuned for detailed project introductions in upcoming newsletters.

The next call for national project funding will be published [here](#) late 2024/ early 2025. We also provide updates on new funding rounds in our upcoming newsletters.

Insights and Developments

Assessing the clinical trial ecosystem in Europe

Final Report

October 2024

© 2024. All rights reserved. IQVIA® is a registered trademark of IQVIA Inc. in the United States, the European Union, and various other countries.



Europe's Share of Global Clinical Studies Declines

A contribution by Dr. Isabelle Stoeckert (Independent Regulatory Science Expert)

The hopes tied to the implementation of the EU Clinical Trials Regulation to promote clinical research in Europe have so far not been fulfilled. This is highlighted by a recently published study analyzing the EU's clinical research landscape. Some of the key findings include:

- Europe performs well in multi-country commercial clinical trials but is losing global market share, particularly to Asia and other regions (a reduction from 25% in 2013 to 19% in 2023).
- Within Europe, the proportion of Phase 1 trials has notably decreased.
- Spain has emerged as the leading country for initiating clinical trials within the EU, while Germany has experienced a decline.
- Europe's participation in global GCT trials has steadily declined since 2013. During this period, China has risen dramatically to become the leading region. The United States remains the second-largest region for such trials.

Further efforts are needed to strengthen the EU's ecosystem.
The full report can be found [here](#).

“Zukunftsforum” by the German Ministry of Health (BMG): “Zeitenwende” in Biotechnology

On November 21, 2024, approximately 180 representatives from healthcare, health policy, patient representation, science, research-driven companies and regulatory

authorities gathered for an interdisciplinary dialogue on gene therapy, tumor vaccines and antibody-drug combinations. Further information on the event is available [here](#). The press release from the Association of Research-Based Pharmaceutical Companies (vfa) can be found [here](#).

Fresh Off the Press: Highlights for You

The Market of the Future – Health Economy

"Germany can overcome its growth challenges by fostering the health economy. The research potential is already there." Discover the action plan by Otmar Wiestler, President of the Helmholtz Association and Michael Kaschke, President of the Stifterverband, [here](#).

The Nation is in Need of New Regulations

Gene and cell therapies hold the potential to revolutionize treatments for diseases that have been untreatable or insufficiently treated until now. However, Germany's regulatory framework for assessing the benefits of medicines urgently needs reformation. Otherwise, the treatment of patients with cancer or rare diseases is at stake. The responsibility falls to the next federal government: this is about securing Germany's innovation capacity and future resilience. The contribution from the "Pharma-Fakten" initiative can be found [here](#).

Germany as an Innovation Hub for GCT & the GeneNovate Spirit

On November 26, 2024, the Verband forschender Pharmaunternehmen (vfa) released its position paper "*Germany as an Innovation Hub for Gene and Cell Therapies*." Access the download [here](#). The spirit of our first national entrepreneurship program also resonates in the more recent position paper "*Nurturing Innovation: Financing R&D, Promoting Startups, Enabling Growth*," published on October 29, 2024. Download it [here](#).

Pharma R&D 2035 – Germany's Framework for Future Innovation

Another strategic paper, "*Pharma R&D 2035 – Germany's Framework for Future Innovation*," jointly published by vfa and Fraunhofer Health on November 13, 2024, outlines how Germany can reclaim its position as a global leader in pharmaceutical

research. While the federal government has improved the framework for pharmaceutical research with the Medical Research Act and the Health Data Utilization Act, further enhancements are needed. A new monitoring tool will track Germany's performance in pharmaceutical research over the years. Access the strategy paper [here](#).

Calls for Proposals

Ernst Schering Prize and Schering Young Investigator Award

Nominations and applications for both awards for the year 2025 can be submitted until February 9, 2025. Information about the call for the Ernst Schering Prize 2025 can be found [here](#). Information about the Schering Young Investigator Award 2025 can be found [here](#).

Call for single-cell analyses in personalized medicine.

Eligible applicants are translational projects that address key questions in translational or clinical biomedicine and serve the mission of the funding focus. The call is planned as a series of up to 3 calls until November 2026. For more details, please visit [here](#).

GO-Bio Initial: The Launchpad for the Economic Utilization of Life Science Ideas

The GO-Bio Initial feasibility phase, supported by the Federal Ministry of Education and Research (BMBF), funds life science commercialization ideas with €100,000 for one year. Applications can be submitted until February 15, 2025, [here](#).

Ingrid zu Solms Science Award for Medicine 2025

The call for applications is aimed at female scientists who conduct pioneering scientific research in the field of basic research in medicine, for medicine or for psychotherapy and who used this research for their habilitation or for a similar purpose. Deadline: March 1, 2025.

Please find more information [here](#).

GCT from a Patients Perspective

European Society for Gene and Cell Therapy (ESGCT)

To illustrate the progress made in gene and cell therapies since the founding of the ESGCT in 1992, an overview has been compiled showcasing patients treated with these therapies and how it has transformed their lives. Watch the movie [here](#).



“What Seems Impossible Today Can Become Reality Tomorrow”: The Opportunities of Gene and Cell Therapies for

Affected Families

A Plea by Michael Scholz, ELA Germany e. V.

Michael Scholz serves as a voluntary board member of ELA Deutschland e.V. and has actively contributed as a patient representative during the Joint Federal Committee (G-BA) evaluation process for Libmeldy®. He advocates for the introduction of newborn screening programs. Visit www.elaev.de for more information.

Dear Readers,

as the father of a 13-year-old daughter suffering from the rare and life-limiting condition Metachromatic Leukodystrophy (MLD), I have experienced firsthand the challenges and hope these groundbreaking therapies can bring.

MLD is a genetic disorder caused by an enzyme deficiency that leads to the progressive destruction of the myelin sheath in the brain. My daughter lived a healthy and carefree life until the age of five. However, initial subtle and nonspecific symptoms eventually led to the devastating, life-limiting diagnosis. Since then, our family has not only battled the disease but also strived to ensure that new therapies are researched and made accessible.

Modern treatments, such as stem cell and gene therapies, now offer the possibility of slowing or even halting disease progression—particularly when administered early. Unfortunately, this was not possible for my daughter, as her symptoms had already progressed too far. Despite this, the then-available stem cell therapy provided significant protection for her quality of life. While she is severely physically impaired, she still laughs a lot and enjoys life.

Remarkable progress has been made, thanks to the currently available gene therapy for MLD (Libmeldy®). With one of the world's most expensive drugs, children treated before symptoms appear can now lead almost normal lives. This offers immense hope to affected families, but access to these life-saving treatments often remains a long and arduous journey.

Families affected by other forms of leukodystrophies frequently need to travel outside Europe to participate in studies, as research programs in Germany are insufficient. Moreover, many study opportunities are hindered by bureaucratic obstacles and lack of support—both political and financial.

I want to emphasize the urgent need for society to improve the framework for research and development of new therapies. This requires not only financial resources but also faster decision-making, more flexibility in clinical trial implementation, and above all, greater support for affected families. We must prevent innovative therapies from disappearing from the German and European markets due to unresolved reimbursement issues.

I call for increased societal, financial and political support for GCT to foster innovation and secure the future of medicine here in Germany. For many patients with rare and severe diseases, time is the most valuable asset—and it must no longer be wasted.

With the prospect of upcoming gene therapies for children with various metabolic disorders, early diagnosis becomes increasingly essential. It is therefore crucial to complement the extended newborn screening (eNGS) program.

It is up to us to seize these opportunities and create hope for future generations. A broad discourse on the benefits and risks in politics and society is urgently needed, especially now.

Because what seems impossible today can become reality tomorrow.

Your Contribution to the GCT-Newsletter

A nationwide newsletter is as relevant and diverse as the community contributing to it.

We are happy to report on initiatives from all over Germany and share your news, activities, and events. Feel free to contact us at:

gct-news@bih-charite.de

Upcoming Events

 2025

28. Apr. -
30. Apr.

International Helmholtz Drug Discovery Conference

All information [here](#).

 25. February 2025

Pharma 2025

Wie zukunftssicher ist der Pharma-Standort Deutschland? Handelsblatt Annual Meeting.

When?

Tuesday, 25.02.2025, 09:00 am -
Wednesday, 26.02.2025, 15:00 pm

Where?

Pullman Berlin Schweizerhof
Budapester Str. 25 • 10787 Berlin

All Information here

 2025

10. Mar. -
11. Mar

Genome editing towards therapies

Annual Meeting DG-GT, 10.-11.3.2025, Dresden

Information [here](#)

 2025

ESGCT Spring School Germany

08. Apr. -
11. Apr.

Jointly organized with DG-GT, 8.-11.4.2025, Potsdam
Save the Date

All information [here](#)

 2025

RegMed Forum

27. Feb.

Process Development and Translation of ATMP Projects,
27.2.2025, Berlin

Information [hier](#)

 2025

Stem Cell Models of Neurodegeneration

26. Mar. -
28. Mar.

26-28.3.25, Edinburgh, UK

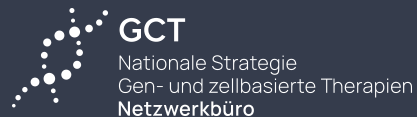
Information [hier](#)

 2025

AAV Meeting

01. Apr. -
02. Apr

From Lab to Clinic, 1.-2.4.2025, Leipzig,
Information [here](#)



Diese E-Mail wird Ihnen vom Nationalen Netzwerkbüro für Gen- und Zelltherapien geschickt, weil Sie sich für den Newsletter der GCT angemeldet haben. Für weitere Informationen über die Verarbeitung Ihrer personenbezogenen Daten lesen Sie bitte unsere Datenschutzbestimmungen. Sie können Ihre Anmeldung jederzeit für zukünftige Newsletter widerrufen, indem Sie sich hier abmelden.

[Unsubscribe](#)

