

Gen- und zellbasierte Therapien

Schlüsseltechnologien für Innovationen in der biomedizinischen Forschung und Krankenversorgung

Gen- und zellbasierte Therapien (Gene- and Cell-based Therapies, GCT) setzen direkt an den genetischen Ursachen von Erkrankungen an und eröffnen neue Therapieoptionen für Patient*innen mit schweren und seltenen Krankheiten, für die es bisher keine geeignete Therapie gibt. Auch häufige komplexe Erkrankungen sind ein vielversprechendes Anwendungsfeld. Millionen Menschen könnten von GCT profitieren – ebenso der Forschungs- und Wirtschaftsstandort Deutschland. Das GCT-Umfeld ist jedoch vielschichtig und anspruchsvoll. Damit sich das Potenzial für Patient*innen und die Wirtschaft entfalten kann, müssen eine Reihe von Aspekten betrachtet werden.

1. Die Rolle von Genen und Zellen im Körper

Um besser zu verstehen, wie gen- und zellbasierte Therapien funktionieren, ist ein Blick auf die eigentliche Rolle von Genen und Zellen im Körper hilfreich: Der erwachsene menschliche Körper besteht aus mehr als zehn Billionen Zellen, die sich in etwa 200 verschiedene Zelltypen mit jeweils speziellen Aufgaben einteilen lassen. Zellen mit ähnlicher Funktion bilden Gewebe und Organe.

Die Informationen für Aufbau und Funktion der Zellen sind in der Erbinformation gespeichert, der DNA bzw. DNS¹. Diese liegt überwiegend geschützt im Zellkern. Gene sind einzelne Abschnitte der DNA und enthalten die Anleitung zur Herstellung von RNA. Aus der RNA entstehen Eiweiße (Proteine) oder Steuerungselemente, die das Verhalten der Zellen beeinflussen. Die Gesamtheit der Erbinformation wird als Genom bezeichnet. Welche Gene in einer Zelle aktiv sind, hängt von ihrer Aufgabe im Körper ab. Obwohl fast alle Zellen das gleiche Genom besitzen, werden je nach Zelltyp nur bestimmte Gene aktiviert, die für die jeweilige Funktion notwendig sind. Dadurch entstehen spezialisierte Zellen, deren Zusammenspiel die Entwicklung und Funktion der Organe ermöglicht. Da die meisten Körperzellen nur eine begrenzte Lebensdauer haben, sind Stammzellen besonders wichtig. Sie sind wenig spezialisiert, können sich aber in verschiedene Zelltypen entwickeln. Stammzellen spielen deshalb eine zentrale Rolle für Wachstum, Entwicklung und die Erneuerung von Geweben nach Verletzungen oder durch Abnutzung.

Veränderungen der Erbinformation nennt man Mutationen. Sie entstehen ständig im Körper und können sowohl nütz-

lich sein als auch Krankheiten verursachen. Mutationen sind eine Grundlage der Evolution, bergen aber auch gesundheitliche Risiken. Man unterscheidet angeborene Mutationen, die in allen Zellen vorhanden sind, und erworbene Mutationen, die im Laufe des Lebens nur einzelne Zellen betreffen. Genetische Erkrankungen beruhen auf angeborenen Mutationen und können grundsätzlich durch eine gezielte Veränderung der Erbinformation in Körperzellen behandelt werden.

2. Gen- und zellbasierte Therapien

GCT sind neuartige Behandlungsformen, die auf die biologische Ursache der Krankheit abzielen. Sie gelten als ein zentraler Baustein zukünftiger Medizin: Sie bieten erstmals die Möglichkeit einer gezielten Behandlung schwerer und bislang unheilbarer Erkrankungen und haben das Potenzial, etablierte Therapien zu ergänzen oder gar zu ersetzen. 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 entwickelt. Nicht dazu zählen präventive mRNA-Impfstoffe oder klassische Medikamente auf Basis chemischer Moleküle oder Eiweiße.

Genbasierte Therapien korrigieren krankheitsauslösende Mutationen, indem sie betroffene Gene ausschalten, reparieren oder ergänzen. Sie können das Zellverhalten auch durch das Hinzufügen neuer Erbinformation beeinflussen. Die Übertragung von Erbinformation in die zu

¹ DNA = engl. deoxyribonucleic acid, deutsch: Desoxyribonukleinsäure, DNS

reparierenden Körperzellen bezeichnet man als Gentransfer. Hierfür verwendet man sogenannte Vektoren – chemische oder biologisch hergestellte Werkzeuge zur Übertragung von DNA in Körperzellen. Außerdem erlauben neuartige Technologien wie die CRISPR/Cas-Genschere und deren Weiterentwicklungen (Prime- und Base-Editing) einen 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 (Chimäre-Antigen-Rezeptor-T-Zelltherapie), bei denen körpereigene Immunzellen genetisch verändert und zur Krebsbehandlung eingesetzt werden.

3. GCT gegen schwere Erkrankungen

Vor allem bei seltenen Krankheiten bieten GCT große Chancen. Denn rund vier Millionen Menschen in Deutschland leben mit 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 lediglich 151 Orphan Drugs offiziell zugelassen (Stand 2025), von denen die meisten auch in Deutschland verfügbar sind. GCT haben daran noch einen geringen Anteil. Derzeit sind 16 dieser neuartigen Therapien in Deutschland zugelassen und verfügbar. Ihr Anteil an den gesamten Arzneimittel Ausgaben beträgt bisher 0,7 Prozent (vfa, 2025). 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 (Belastung der Bevölkerung durch Sterblichkeit, Behinderung sowie 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 (Krebs-

erkrankungen im blutbildenden System) als wirksam erwiesen. Bei soliden Tumoren (feste Ansammlungen von Gewebe) befinden sich Therapien in frühen Studienphasen. Sie ermöglichen neue Perspektiven für Menschen mit therapieresistenten Erkrankungen oder einer erhöhten Rückfallquote.

4. Herstellung und Zulassung von GCT

Die Herstellung von GCT ist aufgrund der Besonderheiten des "lebenden" Ausgangsmaterials vielschichtig und aufwändig – und damit eine zentrale Herausforderung. Sie erfordert erstens spezialisierte Infrastrukturen und zweitens hochqualifiziertes Personal. Die Anforderungen an die streng kontrollierte Produktion sind hoch – es muss die sogenannte „gute Herstellungspraxis“ (Good Manufacturing Practice, GMP) erfüllt werden. Kosten und Komplexität der Prozesse erschweren die Skalierung und damit die Wettbewerbsfähigkeit.

Die bestehenden Zulassungs- und Genehmigungsprozesse sind komplex 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 Patient*innen 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 (die gezielte Veränderung, Verbesserung oder der Erhalt von genetisch festgelegten Eigenschaften) 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

Die praktische Umsetzung und Marktdurchsetzung von GCT hängen von innovationsfreundlichen Rahmenbedingungen, gezielter Förderung und erfolgreicher Translation von Forschungsergebnissen in die flächendeckende Anwendung ab. Nicht zu vergessen ist dabei auch der Bedarf an zukunftsorientierten Lösungen für die speziellen Herausforderungen, denen Pharmaunternehmen und Krankenkassen im Bereich GCT begegnen - von den anspruchsvollen Studiendesigns bei kleinen Patient*innengruppen, verbunden mit den notwendigen aussagekräftigen Langzeitdaten zu Wirksamkeit und Sicherheit. Hinzu kommen die sehr hohen Einmalkosten pro Patient*in. Entsprechende Lösungsansätze finden sich vor allem in skalierten und automatisierten Herstellungsprozessen, innovativen, effizienteren Studiendesigns sowie neuen Erstattungsmodellen.

Das gesundheitswirtschaftliche Potenzial von GCT ist enorm und zeigt, dass das Engagement in diesem Bereich lohnenswert sein kann. 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.

Letztlich ist für den Erfolg von GCT entscheidend, welchen konkreten Nutzen die jeweilige Therapie für Patient*innen hat und welche neuen Behandlungsmöglichkeiten sie ihnen eröffnet – gleichzeitig stärkt gerade dies auch den wirtschaftlichen und medizinischen Standort Deutschland.

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

