

Gen- und zellbasierte Therapien

Wie Medizin Krankheiten an der Wurzel packt

Gen- und zellbasierte Therapien setzen dort an, wo viele Krankheiten ihren Ursprung haben: in den Genen und Zellen. Während herkömmliche Medikamente meist nur Beschwerden lindern, versuchen diese neuen Ansätze, die eigentliche Ursache einer Erkrankung zu beheben. Dadurch entstehen neue Behandlungsmöglichkeiten für Menschen mit schweren oder seltenen Krankheiten, für die es bislang keine geeignete Therapie gab. Auch bei weit verbreiteten Erkrankungen wie Diabetes, Herz-Kreislauf-Erkrankungen oder Krebs eröffnen sich neue Perspektiven. Millionen Patient*innen könnten zukünftig profitieren. Diese Technologien bieten also große Chancen für Forschung, Wirtschaft und Gesundheitsversorgung in Deutschland. Damit sich ihr Potenzial voll entfalten kann, müssen jedoch wichtige wissenschaftliche, regulatorische und wirtschaftliche Voraussetzungen erfüllt sein.

1. Unser Körper als Bauplan – warum Gene und Zellen so entscheidend sind

Ein Blick auf die Grundlagen unseres Körpers hilft, das Prinzip hinter gen- und zellbasierten Therapien zu verstehen. Der menschliche Körper besteht aus vielen Billionen Zellen. Es gibt etwa 200 verschiedene Zelltypen, die jeweils spezielle Aufgaben übernehmen, wie beispielsweise die Bekämpfung von Krankheiten (Immunzellen) oder die Verarbeitung und den Transport von Nährstoffen (rote Blutkörperchen). Zellen mit ähnlicher Funktion schließen sich zu Geweben zusammen, aus denen wiederum Organe entstehen.

Im Inneren der meisten Zellen befindet sich die Erbinformation, die DNA. Man kann sie sich wie einen Bauplan vorstellen. Bestimmte Abschnitte dieses Bauplans nennt man Gene. Sie enthalten die Informationen dafür, wie eine Zelle arbeiten soll. Welche Gene aktiv sind, hängt davon ab, welche Aufgabe die jeweilige Zelle erfüllt. Eine Nervenzelle benötigt beispielsweise andere Anweisungen als eine Muskelzelle.

Besonders wichtig sind in diesem Zusammenhang Stammzellen. Sie sind noch nicht auf eine bestimmte Aufgabe festgelegt und können sich in unterschiedliche Zelltypen entwickeln. Dadurch spielen sie eine zentrale Rolle bei Wachstum, Entwicklung und Erneuerung von Gewebe. Sie dienen als eine Art Reparaturreserve des Körpers.

Genetische Veränderungen in den Zellen werden Mutationen genannt. Sie entstehen fortlaufend und sind Teil natürlicher biologischer Prozesse. Manche Mutationen bleiben ohne Folgen oder können sogar Vorteile bringen, wohingegen andere wichtige Abläufe im Körper stören und zu Krankheiten führen können. Man unterscheidet

zwischen angeborenen Mutationen, die bereits von Geburt an vorhanden sind, und erworbenen Mutationen, die sich im Laufe des Lebens in einzelnen Zellen entwickeln. Genetische Erkrankungen beruhen meist auf angeborenen Veränderungen. GCT setzen genau hier an: Sie behandeln die Ursachen solcher genetischen Veränderungen – zum Beispiel indem sie ein funktionierendes Gen hinzufügen oder fehlerhafte Abschnitte der DNA gezielt korrigieren.

2. Reparieren statt nur behandeln – wie gen- und zellbasierte Therapien (GCT) funktionieren

GCT gelten als Medizin der Zukunft, weil sie direkt an der Ursache einer Krankheit ansetzen und nicht nur deren Symptome behandeln, wie viele herkömmliche Medikamente. Ziel ist es, schwere oder bisher unheilbare Erkrankungen möglichst grundlegend zu therapieren. Teilweise kann schon eine einmalige Anwendung langfristige Wirkung entfalten.

Diese Therapien gehören zu den sogenannten Arzneimitteln für neuartige Therapien (engl. Advanced Therapy Medicinal Products, ATMP). Dazu zählen Gentherapeutika, Zelltherapeutika sowie Produkte aus im Labor gezüchtetem Gewebe. Nicht dazu gehören klassische Medikamente mit chemischen Wirkstoffen oder Eiweißen. Sie verändern weder die Gene noch arbeiten sie mit lebenden Zellen oder Gewebe aus dem Labor.

Genbasierte Therapien zielen darauf ab, krankheitsauslösende Veränderungen der DNA zu korrigieren. Fehlerhafte Gene können ausgeschaltet, repariert oder ergänzt werden. Um die dafür notwendigen genetischen

schen Informationen in die Zellen zu bringen, werden spezielle Transportmittel eingesetzt, sogenannte Gentaxis. **Zellbasierte Therapien** nutzen lebende Zellen, etwa Stammzellen oder Immunzellen. Sie können geschädigtes Gewebe erneuern oder krankhafte Prozesse beeinflussen. In manchen Fällen werden beide Ansätze kombiniert. Ein bekanntes Beispiel sind CAR-T-Zelltherapien, bei denen körpereigene Immunzellen genetisch ergänzt werden, damit sie Krebszellen gezielt erkennen und bekämpfen können.

3. Neue Hoffnung bei schweren und seltenen Erkrankungen

Vor allem bei seltenen Erkrankungen bieten GCT große Hoffnung. In Deutschland leben rund vier Millionen Menschen mit einer seltenen Krankheit, ein Großteil davon ist genetisch bedingt. Von den über 6.000 bekannten seltenen Erkrankungen gibt es bislang nur für einen kleinen Teil zugelassene Therapien. Ein Teil dieser zugelassenen Behandlungen gehört bereits zu den gen- und zellbasierten Therapien.

Erste Erfolge zeigen sich beispielsweise bei bestimmten schweren Stoffwechselerkrankungen wie dem CPS1-Mangel (giftige Anhäufung von Ammoniak im Körper), bei erblich bedingten Netzhauterkrankungen durch Mutationen im RPE65 Gen (starke Sehminderung bis Erblindung) oder bei den angeborenen Blutgerinnungsstörungen Hämophilie A und B.

Auch bei häufigen Erkrankungen wird intensiv geforscht. Dazu gehören beispielsweise Autoimmunerkrankungen, Epilepsie, Herz-Kreislauf-Erkrankungen, Parkinson und Typ-1-Diabetes. Ziel ist es, geschädigte Zellen zu schützen, zu reparieren oder verloren gegangene Funktionen wiederherzustellen. Im Bereich Krebs haben sich GCT insbesondere bei bestimmten Blutkrebserkrankungen bereits als wirksam erwiesen. Bei soliden, also festen Tumoren befinden sich viele Ansätze in der frühen klinischen Prüfung.

4. Von der Idee zur Therapie – warum Herstellung und Zulassung so anspruchsvoll sind

Die Herstellung von GCT ist besonders anspruchsvoll, da mit lebenden Zellen gearbeitet wird. Dafür sind spezialisierte Einrichtungen, hochqualifiziertes Personal und streng kontrollierte Produktionsbedingungen erforderlich. Die Herstellung unterliegt klaren Qualitäts- und Sicherheitsstandards, der sogenannten guten Herstellungspraxis (engl. Good Manufacturing Practice, GMP).

Die Prozesse sind komplex und kostenintensiv. Das erschwert bisher eine breite Anwendung. Hinzu kommt, dass Zulassungs- und Genehmigungsverfahren häufig sehr aufwendig sind und noch nicht immer optimal auf die Besonderheiten dieser Therapien zugeschnitten sind. Dadurch kann sich der Übergang von der Forschung in die medizinische Praxis verzögern.

Um das Potenzial besser zu nutzen, braucht es eine gut ausgebaute Infrastruktur, abgestimmte regulatorische Prozesse und Unterstützung für Forschende bei der Übertragung ihrer Erkenntnisse in die klinische Anwendung. Ebenso wichtig ist die langfristige Erhebung von klinischen Daten, um Sicherheit und Wirksamkeit über viele Jahre hinweg zuverlässig beurteilen und somit eine bestmögliche Versorgung bieten zu können. Patient*innen sollten dabei frühzeitig einbezogen werden.

5. Große Chancen – und warum Sicherheit oberste Priorität hat

Neben dem medizinischen Nutzen ergeben sich durch GCT auch gesellschaftliche und wirtschaftliche Chancen, da langfristig Krankheitsfolgen und Behandlungskosten reduziert werden könnten. Gleichzeitig müssen mögliche Risiken sorgfältig überwacht werden.

Dazu zählen starke Reaktionen des Immunsystems oder mögliche unerwünschte Veränderungen in der DNA, die unter Umständen erst später auftreten könnten. Deshalb ist eine kontinuierliche wissenschaftliche Begleitung entscheidend. Ebenso wichtig ist eine transparente und verständliche Information über Nutzen und Risiko.

Von großer Bedeutung ist die klare Abgrenzung zwischen medizinischer Behandlung von Krankheiten und dem gezielten „Verbessern“ menschlicher Eigenschaften. In vielen Ländern gibt es diesbezüglich kontroverse Diskussionen. Ein weiterer ethischer Aspekt sind Eingriffe in Eizellen oder Spermien und somit Veränderungen der genetischen Information, die an die nächsten Generationen weitergegeben würden. In Deutschland ist dies gesetzlich verboten. Die klinisch eingesetzte Gentherapie betrifft ausschließlich spezialisierte Körperzellen und führt daher nicht zu vererbaren Veränderungen.

6. Klinische Studien – verlässliche Quellen im Überblick

Viele GCT befinden sich noch im Forschungsstadium. Eine Studienteilnahme ist häufig nicht direkt möglich, da besondere Kriterien gelten oder Studien noch nicht begonnen haben. Der Zugang zu Gentherapien in der klinischen Entwicklung erfolgt meist über laufende Studien. Daher stellt der Haus- oder Facharzt oft die erste Anlaufstelle für Patient*innen dar. Übersichten über Studien bieten das EU Clinical Trials Register oder ClinicalTrials.gov. Dort kann nach Erkrankung, Standort und Studientyp gefiltert werden. Außerdem sind Universitätskliniken und Zentren für Seltene Erkrankungen wichtige Anlaufstellen und können den Zugang zu Forschungsnetzwerken und künftigen Studien erleichtern. Zudem gibt es Patientenregister, in denen Daten von Menschen mit bestimmten Erkrankungen eingepflegt werden können, um die medizinische Versorgung zu verbessern.

7. Innovation mit Verantwortung – warum Deutschland jetzt die Weichen stellen muss

Damit GCT erfolgreich weiterentwickelt werden können, sind innovationsfreundliche Rahmenbedingungen und gezielte Förderung notwendig. Besondere Herausforderungen ergeben sich durch kleine Patientengruppen in klinischen Studien, den Bedarf an aussagekräftigen Langzeitdaten und die hohen einmaligen Behandlungskosten. Dafür existieren verschiedene Lösungsansätze, die nicht nur die medizinische Anwendung verbessern, sondern auch den Blick auf die ökonomische Bedeutung dieser Technologien lenken.

Das wirtschaftliche Potenzial von GCT-Technologien ist dabei differenziert zu betrachten: Einerseits stehen den Entwicklungen hohe einmalige Behandlungskosten sowie komplexe Forschungs- und Zulassungsprozesse gegenüber, andererseits eröffnen sie ein erhebliches wirtschaftliches Potenzial, indem sie langfristig Krankheitsfolgen und Behandlungskosten reduzieren könnten und hochqualifizierte Arbeitsplätze in Forschung, Entwicklung und Produktion schaffen. Damit kann die Innovationskraft der deutschen Biotechnologie nachhaltig gestärkt werden.

Letztlich ist jedoch entscheidend, welchen konkreten Nutzen eine Therapie für Patient*innen bringt. Dieser Nutzen bildet die Grundlage für medizinischen Fortschritt – und zugleich für eine starke und zukunftsfähige Gesundheitsversorgung.

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

