

German Stem Cell Network erstellt White Paper zu Hürden der Translation der Stammzellforschung **Der steinige Weg zur Stammzell-Therapie**

Die Stammzellforschung ist ein hochdynamisches Forschungsfeld, das weltweit mit zahlreichen technologischen Durchbrüchen und Forschungserfolgen in die klinische Anwendung strebt – der neueste Versuch ist eine aktuelle klinische Studie in Japan zu Stammzellen-Transplantation bei Parkinson. Ganz neu ist auch der Zell- und Gewebeersatz, der auf humanen pluripotenten Stammzellen basiert. Obwohl der Forschungsstand in Deutschland internationales Spitzenniveau hat, bleibt die medizinische Translation, also die Anwendung in Form von Therapien, hinter den Erwartungen zurück. Wo sind die Lücken und Hürden in der Übertragung von Ergebnissen vom Labor ans Krankenbett? Welche Verbesserungen sind notwendig, damit Patienten schneller von der Forschung profitieren? Welche neue Beratungs- und Ausbildungsprofile sind dringend notwendig? Das German Stem Cell Network (GSCN) hat nationale und internationale Stammzellexperten befragt und leitet Handlungsempfehlungen für die Politik ab.

Stammzellbasierte Therapien sind innovative, aber auch sehr komplexe Behandlungskonzepte. Sie erfordern eine enge Zusammenarbeit verschiedenster Disziplinen und Akteure. Mit einer exzellenten Hochschulmedizin, einer hochinnovativen Biotechnologiebranche, Global Player in der Pharmaindustrie sowie kompetenten Regulierungsbehörden ist Deutschland prädestiniert dafür, weltweit eine führende Rolle bei der Entwicklung von innovativen zellbasierten Behandlungsansätzen zu spielen. Warum gibt es in Deutschland dann so wenige klinische Studien mit Stammzellen? Wie können Infrastrukturen und Rahmenbedingungen gestaltet werden, um den Translationsprozess zu verbessern? Das German Stem Cell Network (GSCN) hat nationale und internationale Stammzellexperten aus akademischer Forschung und der Industrie sowie Regulierungsexperten nach ihren Einschätzungen gefragt und leitet Schlussfolgerungen und Handlungsempfehlungen zu fünf übergreifenden Aspekten der Innovationskette ab.

- **Den regulatorischen Rahmen zur Herstellung von Zelltherapeutika überblicken, ausschöpfen und kontinuierlich anpassen:** Biotechnologisch bearbeitete Zelltherapeutika sind in der EU als „Arzneimittel für neuartige Therapien“ (Advanced Therapy Medicinal Products, ATMP) eingestuft und werden zentral zugelassen. Der regulatorische Rahmen ist flexibel und risikobasiert angelegt und es wurden Formate für eine beschleunigte Zulassung geschaffen. ATMP-Entwickler aus dem akademischen Bereich sollten früh den Kontakt zu Regulierungsbehörden suchen und vorhandene Beratungsmöglichkeiten nutzen. Zudem sollten die Entwickler zellbasierter Therapien bereits früh im Entwicklungsprozess bei der aufwendigen Planung und dem Aufbau von Produktionsanlagen gemäß guter Herstellungspraxis (Good Manufacturing Practices, GMP) unterstützt werden.
- **Klinische Studien sorgfältig planen und relevante Akteure einbinden:** Zellersatztherapien sind neuartige und meist individualisierte Therapieansätze, ihre Erprobung in randomisierten kontrollierten klinischen Studien nach den Kriterien der evidenzbasierten Medizin erfordert entsprechendes Know-how in Planung, Durchführung und Auswertung. Hier kommt es auf die enge Zusammenarbeit von Stammzellforschern, Klinikern und den zuständigen Behörden an. *Es wird die Einrichtung von auf ATMP-Therapien spezialisierten „Clinical Trial Units“ an deutschen Universitätskliniken empfohlen.*
- **Das enorm gewachsene Know-how in der Stammzellforschung für die Entwicklung sicherer und effektiver Therapieansätze nutzen.** Innovative Technologien, relevantere Modelle und standardisierte Herstellungsverfahren liefern die Basis für die klinische Anwendung von

Präparaten aus adulten und pluripotenten Stammzellen. Um Translation von innovativen

Therapien mit humanen embryonalen Stammzellen (ES-Zellen) zu forcieren, plädiert das GSCN für eine Verschiebung des derzeitigen Stichtags 1. Mai 2007 im Stammzellgesetz und die Aufhebung des bestehenden Forschungsvorbehalts.

- **Verbesserung der Infrastruktur, um bestehende Lücken im Translationsprozess zu schließen:** Translationszentren für Regenerative Medizin müssen stärker auf Wertschöpfung ausgerichtet werden. Dabei könnten die Entwickler stammzellbasierter Therapien von der dynamischen Entwicklung bei den zellbasierten Gentherapien in der Krebsimmuntherapie profitieren. Für eine effizientere Translation sind neue Kooperations- und Finanzierungsmodelle von Forschungseinrichtungen und Industrie gefragt. Noch zu selten werden externe Beratungsdienstleistungen und Expertise für Projektmanagement in Anspruch genommen. Technologietransferstellen sollten besser und flexibler aufgestellt werden und Inkubator-Konzepte klug in die Innovationsförderung eingebunden werden.
- **Den medizinisch-wissenschaftlichen Nachwuchs gezielt für die Translation stammzellbasierter Therapieansätze ausbilden:** Die komplexe Translation stammzellbasierter Therapien benötigt Wissenschaftler eines neuen Typus, etwa „Clinical Translation Scientists“. An den Universitätskliniken müssen die Voraussetzungen geschaffen werden, translationsorientierte Nachwuchswissenschaftler auszubilden und diesen attraktive Berufsperspektiven zu eröffnen. Auch für die Herstellung von Zellprodukten in Reinraumlaboren gibt es einen hohen Bedarf an Fachkräften, der von Ausbildungsstätten noch unzureichend abgedeckt wird.

Das GSCN setzt sich für die Umsetzung dieser Handlungsempfehlungen ein und möchte eine Diskussion in der Politik starten, wie diese Patienten dabei unterstützen kann, zukünftig schneller und besser wissenschaftliche getestete Zelltherapien in Anspruch nehmen zu können.

Das GSCN White Paper: www.gscn.org/de/DASGSCN/GSCNWhitePaper.aspx

Kontakt und Organisation von Interviews:

Stefanie Mahler
Referentin Kommunikation
Telefon: +49-30/9406-2483
E-Mail: stefanie.mahler@mdc-berlin.de

Dr. Daniel Besser
Geschäftsführer GSCN
Telefon: +49 (0)30 9406 2487
E-Mail: d.besser@mdc-berlin.de