



**Nationale
Strategie für
gen- und
zellbasierte
Therapien (GCT)**

Offenlegung von potenziellen Interessenkonflikten

Name: Klump

Vorname: Hannes

Ich bin als Referent/in für folgende Veranstaltung tätig: Sektionssitzung der DGTI,
"Stamzelltransplantation und Zelltherapie"

Datum: 13.06.2023

Sponsoring durch folgende Firmen: -----

Ich versichere, die Darstellung meiner Beiträge
produkt- und firmenneutral zu halten.

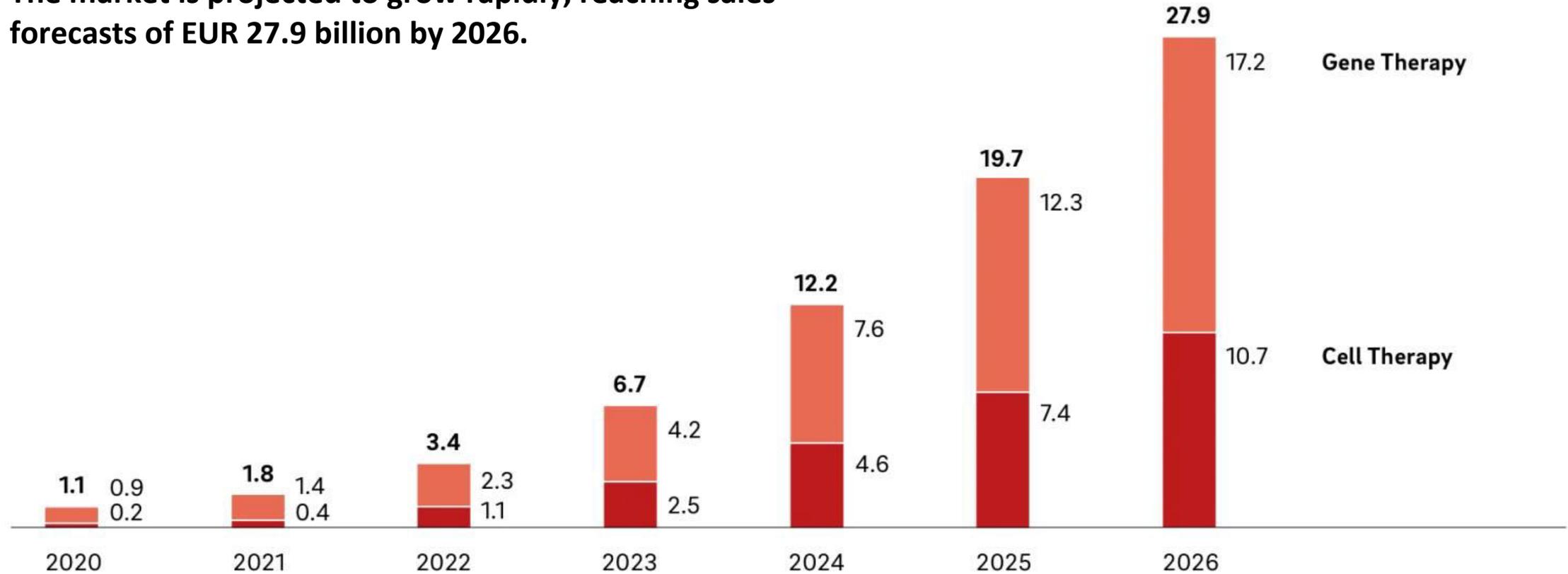
Meine Interessenkonflikte bezogen auf oben genannte Firmen innerhalb der letzten drei Jahre:

Honorar für Vortrags- und/ oder Beratertätigkeiten	ja <input type="checkbox"/>	nein <input checked="" type="checkbox"/>
Übernachtungs- und Reisekosten	ja <input type="checkbox"/>	nein <input checked="" type="checkbox"/>
Aktien oder Patente an o.g. Firmen	ja <input type="checkbox"/>	nein <input checked="" type="checkbox"/>
Forschungs- und Studiengelder	ja <input type="checkbox"/>	nein <input checked="" type="checkbox"/>
Sonstiges/ andere finanzielle Beziehungen		nein

The CGT market is set to soar in the near future

Owing to new potential blockbuster therapies, CGT sales are projected to rise significantly by 2026¹

The market is projected to grow rapidly, reaching sales forecasts of EUR 27.9 billion by 2026.



¹ Cell and gene therapy sales, including combination ATMPs

„Important Projects of Common European Interest“ (IPCEI) - Health

Wichtige Vorhaben von gemeinsamem europäischem Interesse (IPCEI) sind große grenzüberschreitende Projekte, die bahnbrechende Innovationen in Bereichen ermöglichen sollen, die der Markt allein nicht leisten kann

Das IPCEI Health soll die Widerstandsfähigkeit der Wertschöpfungsketten in Europa erhöhen und den Kontinent in die Lage versetzen, gegenüber China und Indien konkurrenzfähig zu werden und seine Importabhängigkeit bei wichtigen Medikamenten zu verringern.



03. 03. 2022: Absichtserklärung von 16 EU-Staaten Gesundheit / Biotechnologie zur Sicherung der Gesundheitsvorsorge der europäischen Bevölkerung als IPCEI einzustufen – zunächst jedoch ohne Deutschland

11. 11. 2022: Beteiligung Deutschlands mit 185 Mill. €

<https://dserver.bundestag.de/btd/20/023/2002376.pdf>

https://www.bundestag.de/ausschuesse/a09_wirtschaft/Anhoerungen/932398-932398

Nationale Strategie für gen- und zellbasierte Therapien

April 2022:

Unterzeichnung einer Absichtserklärung zur Gründung einer „Einrichtung für Gen- und Zelltherapie“ in Berlin durch Berlins (damalige) Regierende Bürgermeisterin Franziska Giffey (SPD), Charité Vorstandsvorsitzenden Heyo Kroemer Bayer, Leiter der Division Pharmaceuticals, Stefan Oelrich (auch Mitglied Aufsichtsrat der Charité)

11. 11. 2022:

Bundesmittle für Gen- und Zelltherapiezentrum in Berlin durch den Haushaltsausschuss des Bundestages genehmigt:
4 Millionen € für 2023; Verpflichtungsermächtigungen für 16 Mill. € in 2024, sowie je 12 Mill. € in 2025 und 2026. = in Summe **44 Mill. €**

Das BMBF unterstützt mit dieser Summe das Berlin Institute of Health (BIH) zum Aufbau eines **Translationszentrums für Gen- und Zelltherapie in Berlin** und die **Umsetzung einer Nationalen Strategie**

(Quelle: der Bundestag, Antwort auf eine kleine Anfrage der CDU/CSU, Drucksache 20/5376)

<https://dserver.bundestag.de/btd/20/056/2005698.pdf>

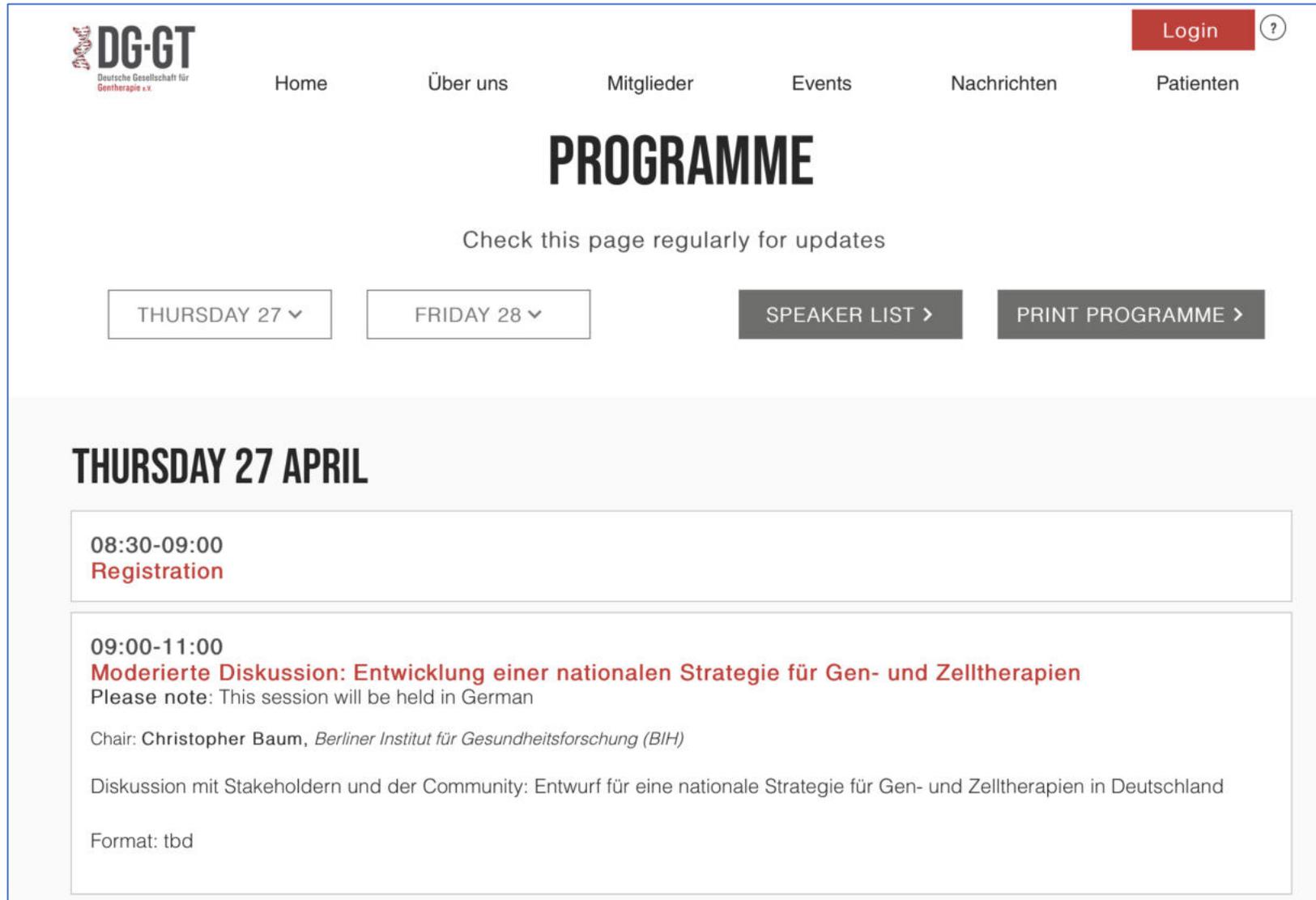
Konkret dienen die Gelder z.B. „...einer Architektenausschreibung, Workshops im Rahmen des Baus und der Planung eines Translationszentrums und Entwicklung sowie Umsetzung einer nationalen Strategie für Gen- und Zelltherapien...“
(Quelle: Website von Ruppert Stüwe, SPD Berlin Steglitz-Zehlendorf)

<https://www.ruppert-stuewe.de/pressemitteilung-bund-finanziert-translationszentrum/>

Nationale Strategie für gen- und zellbasierte Therapien

27./28. April 2023:

Kick-off Meeting in Langen im Rahmen der Konferenz „Next Frontiers in ATMP Development“ (DG-GT und PEI)



The screenshot shows the website for the kick-off meeting. At the top left is the DG-GT logo (Deutsche Gesellschaft für Gentherapie e.V.). The navigation menu includes Home, Über uns, Mitglieder, Events, Nachrichten, and Patienten. A red 'Login' button with a help icon is in the top right. The main heading is 'PROGRAMME' in large black letters. Below it, a message says 'Check this page regularly for updates'. There are four buttons: 'THURSDAY 27' with a dropdown arrow, 'FRIDAY 28' with a dropdown arrow, 'SPEAKER LIST >', and 'PRINT PROGRAMME >'. The main content area is titled 'THURSDAY 27 APRIL' and lists two sessions:

- 08:30-09:00**
Registration
- 09:00-11:00**
Moderierte Diskussion: Entwicklung einer nationalen Strategie für Gen- und Zelltherapien
Please note: This session will be held in German
Chair: Christopher Baum, Berliner Institut für Gesundheitsforschung (BIH)
Diskussion mit Stakeholdern und der Community: Entwurf für eine nationale Strategie für Gen- und Zelltherapien in Deutschland
Format: tbd

Need for a National Strategy in GCT

Vision: Strengthening **Germany** as an international player for the development of **safe, efficient and sustainably financed GCTs**

Ecosystem(s) for competitive GCT helping patients

- Highly qualified **jobs and training positions**
- **Culture of co-development**
- Launching and growing **start-ups** in Germany
- Creating **hot spots** for industry and investments

Stakeholder networking: academia, patients, regulators, economy, funders, investors, society, politics

National Training & Tech Transfer Program including GMP

International contribution



Stakeholder bei der Entwicklung einer nationalen Strategie für gen- und zellbasierte Therapien (Stand 27.04.2023)

Akademische Einrichtungen, Gesellschaften und Initiativen	<ul style="list-style-type: none"> • Deutsche Zentren der Gesundheitsforschung (DZG) • Fraunhofer Gesellschaft • Helmholtz-Gemeinschaft Deutscher Forschungszentren • Hochschulrektorenkonferenz (HRK) • Leibniz-Gemeinschaft • Max-Planck-Gesellschaft • Medizininformatik-Initiative (MII) • Medizinischer Fakultätentag (MFT) • Nationales Centrum für Tumorerkrankungen (NCT) • Netzwerk Universitätsmedizin (NUM) 	Verbände	<ul style="list-style-type: none"> • BIO Deutschland • Bundesverband der Arzneimittel-Hersteller (BAH) • Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie (BPI) • TransferAllianz • Verband Biologie, Biowissenschaften und Biomedizin in Deutschland (VBIO) • Verband der forschenden Arzneimittelhersteller (vfa)
Fachgesellschaften	<ul style="list-style-type: none"> • Arbeitsgemeinschaft der Wissenschaftlichen Medizinischen Fachgesellschaften (AWMF) • Deutsche Arbeitsgemeinschaft für Hämatopoetische Stammzelltransplantation und Zelluläre Therapie (DAG-HSZT) • Deutsche Gesellschaft für Gentherapie (DG-GT) • Deutsche Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie (DGHO) • Deutsche Gesellschaft für Regulatory Affairs (DGRA) • Deutsche Gesellschaft für Transfusionsmedizin und Immunhämatologie (DGTI) • German Stem Cell Network (GSCN) • Gesellschaft für Pädiatrische Onkologie und Hämatologie (GPOH) 	Patientenvertretungen	<ul style="list-style-type: none"> • Allianz Chronischer Seltener Erkrankungen (ACHSE)/Nationales Aktionsbündnis für Menschen mit Seltenen Erkrankungen (NAMSE) • Bundesarbeitsgemeinschaft der PatientInnenstellen und -Initiativen (BAGP) • Haus der Krebs-Selbsthilfe (HKSH)
		Ethikkommissionen	<ul style="list-style-type: none"> • Arbeitskreis Medizinischer Ethik-Kommissionen (AKEK) • Zentrale Ethikkommission (ZEKO) • Zentrale Ethik-Kommission für Stammzellenforschung (ZES)
		Bundespolitik	<ul style="list-style-type: none"> • Gemeinsamer Bundesausschuss (G-BA) • Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG)
		Regulatorische Akteure	<ul style="list-style-type: none"> • Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) • Paul-Ehrlich-Institut (PEI) • Zentralstelle der Länder für Gesundheitsschutz bei Arzneimitteln und Medizinprodukten (ZLG)

Handlungsfelder (Stand 06. Juni 2023)

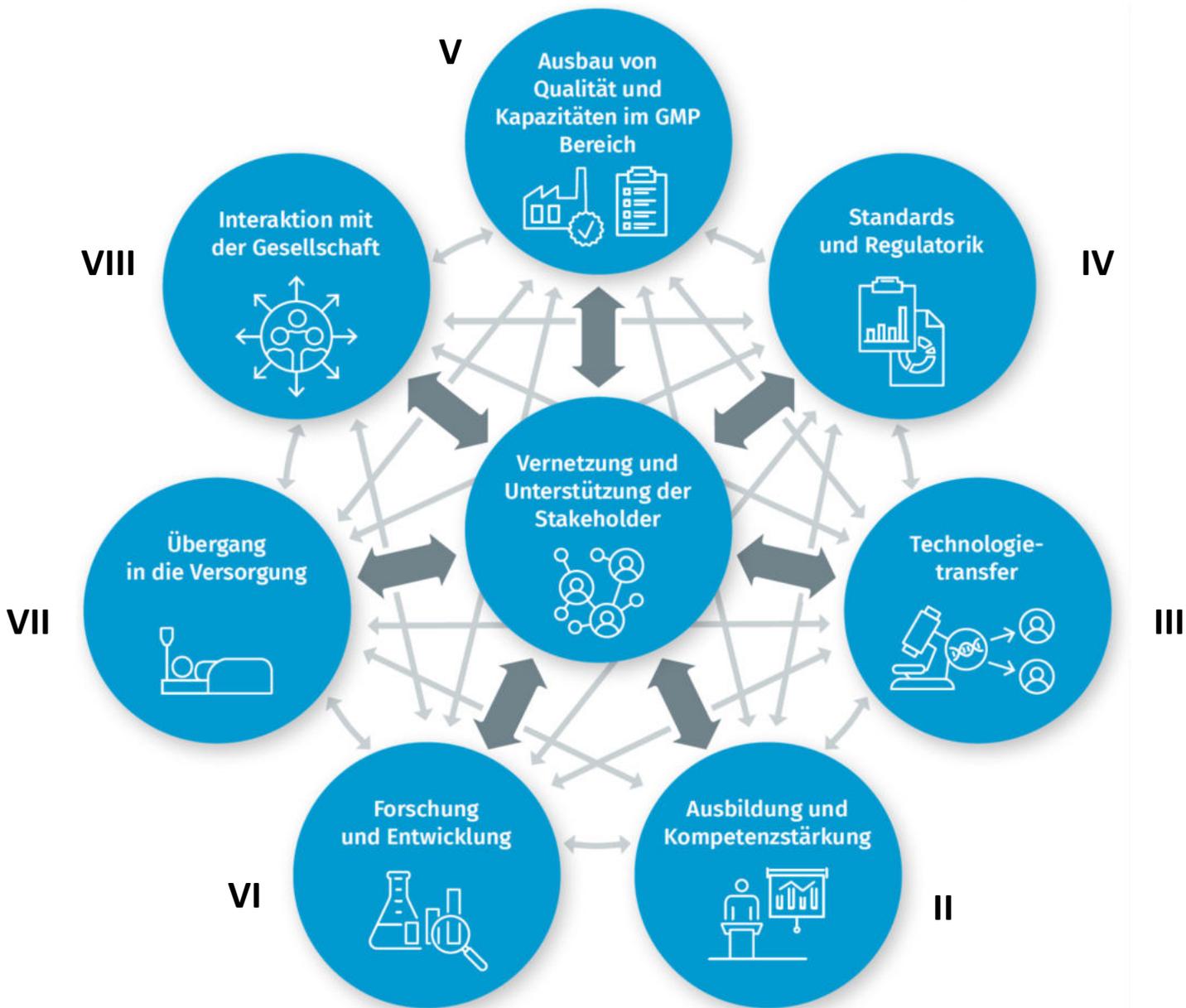


Abbildung 1: Mögliche Handlungsfelder der nationalen Strategie für GCT

Handlungsfeld II – Ausbildung und Kompetenzstärkung

a. Aufbau von Aus- und Weiterbildungsprogrammen für Nachwuchs und Fachkräfte

- Ausbau der Fachexpertise für Entwicklung, Herstellung (GMP) und Anwendung von GCT. Deren Herstellung und Produktion soll **zentral koordiniert und bundesländerübergreifend** abgestimmt werden durch **Integration relevanter Themengebiete in die Lehrpläne der universitären und technischen Aus- und Weiterbildung**. (⇒NKLM ; DGTI Kommission Transfusionsmedizinische Lehre!)
- Förderung von stärkerem interdisziplinärem Denken und Handeln, auch in Bezug auf die Schnittstelle Wissenschaft - Industrie und die berufsgruppenübergreifende Vermittlung eines wertorientierten Mindsets.
- Dimensionierung der Ausbildungszahlen im Kontext eines weltweiten Wettbewerbs um Fachkräfte

b. Entwicklung von adäquaten Karriere- und Interaktionskonzepten

Neue Formate für agile Karrieren und Co-Development sollen als wichtige Instrumente für eine intensivere Verbindung und Durchlässigkeit von Wissenschaft und Industrie entwickelt werden.

c. Attraktivität für Spitzenkräfte erhöhen

Die Verbesserung der Rahmenbedingungen für Wissenschaft, Herstellung und Verwertung soll die Attraktivität des Standortes Deutschland für Spitzenkräfte aus dem In- und Ausland verbessern.

Handlungsfeld V – Ausbau GMP-Produktion

a. Kartierung, Kapazitätserhöhung und Vernetzung von akademischen GMP-Anlagen

Erhebung des Bestands, Aufbau, Ausbau, Weiterentwicklung und Vernetzung akademischer GMP-Anlagen:

dient als Grundlage für strukturierten Informationsaustausch und Entwicklung von Synergien (z.B. mittels Durchführung Ringversuche, Austausch Protokolle, Verteilung von Kapazitäten)

b. Gewinnung und Qualifikation von Fachpersonal

GMP-Herstellungskompetenzen werden zu einer Schlüsseltechnologie der Standortentwicklung.

Nationale Vernetzung, Verbesserung der Rahmenbedingungen im internationalen Vergleich sowie auf **GMP-Herstellung zugeschnittene Ausbildungsprogramme** sollen dazu beitragen, Fachpersonal zu gewinnen und optimal zu qualifizieren.

c. Stärkung Interaktion von akademischen und privatwirtschaftlichen Produktionszentren

Neben der Entwicklung von Synergien akademischer GMP-Anlagen wird die Quantität und Qualität industrieller GMP-Herstellung eine entscheidende Rolle für die GCT-Standortentwicklung spielen; neue Formen **akademisch-industrieller Kooperation** sollen auch in diesem Bereich entwickelt werden.

d. Sicherstellung der Lieferketten für die Herstellung & Transport von Produkten für die Anwendung

Für den koordinierten Prozess der Bestellung, Produktion und Lieferung von Ausgangsstoffen sowie der hergestellten Produkte sollte der Auf- und Ausbau entsprechender Infrastrukturen forciert werden.

Handlungsfeld VII – Übergang in die Versorgung

a. Aufbau und Verbesserung von **Strukturen für therapiebegleitende Diagnostika, Monitoring und die Nachbeobachtung von Patient:innen**

- **Entwicklung und Optimierung geeigneter Begleitdiagnostik** sowie strukturiert erhobener patientenberichteter Ergebnisse (patient-reported outcome measures, PROMs) zur Erfassung von Wirksamkeit und Nebenwirkungen: Voraussetzung für aussagekräftige Nachbeobachtung.
- Aufbau und Weiterentwicklung national und international vernetzter digitaler Register
- Implementierung von Mechanismen zur systematischen Erfassung von Real-World-Evidenz

b. Verbesserung der **klinischen Anwendung von GCT**

- Aufbau und kontinuierliche Weiterentwicklung adäquater Versorgungsstrukturen. Notwendig: interdisziplinäre Expertenzentren mit entsprechender Fokussierung auf GCT, Aufbau entsprechender Zuweisungsstrukturen
Strukturen für Post-Market Surveillance und Nachsorge von Patient:innen.
- Kontinuierlicher Dialog, in welcher Form der Zugang zu Therapien vor ihrer Zulassung einheitlich erfolgen kann, um die Sicherheit, aber auch einen frühen Zugang von Patient:innen zu diesen Therapien gewährleisten zu können.

c. Erleichterung der **Überführung von GCT in die Regelversorgung & Erhöhung der Versorgungsgerechtigkeit**

- Langzeitdaten zum Zeitpunkt des Markteintritts fehlen: Anpassung und Weiterentwicklung des Health Technology Assessment (HTA) bzw. der (Zusatz-)Nutzenbewertung
- Kostenerstattungsmodelle (gesetzliche Preissetzungsregeln, „pay for performance“ etc.).
Entwicklung neuer bedarfsgerechter & nachhaltig finanzierbarer Produkte wird ein wichtiger Innovationstreiber.

Ziele

Stärkung und Vernetzung sämtlicher Glieder der translationalen Wertschöpfungskette von der Grundlagenforschung bis zur Versorgung

- Stärkung gemeinsam identifizierter Handlungsfelder
- Verminderung von Reibungsflächen an den Schnittstellen
- Optimierung von bestehenden Prozessen und Verfahren
- erhöhte Durchlässigkeit und Interaktion zwischen den an der Wertschöpfung beteiligten Sektoren untereinander sowie mit den Patient:innen unter Berücksichtigung der europäischen Perspektive.
- Minimierung eines innerdeutschen Wettbewerbs um die Ausgangslage der Bundesrepublik zu optimieren.



Nationale Strategie für gen- und zellbasierte Therapien: Ansprechpartner



Prof. Christopher Baum
Sprecher



Dr. Christian Gallus
Projektleitung



Lisa Kielholz
Projektmanagement



PD Dr. Mareen Matz
Projektmanagement

Kontakt: gene-and-cell@bih-charite.de