

**vfa / vfa bio-Positionspapier  
Advanced Therapy Medicinal Products (ATMP)**

**Zusammenfassung**

Arzneimittel für neuartige Therapien (ATMP = Advanced Therapy Medicinal Products) umfassen Gentherapeutika, Zelltherapeutika und biotechnologisch bearbeitete Gewebeprodukte. Mit ihrer Neuartigkeit gehen Besonderheiten bei ihrer Entwicklung, Produktion, Zulassung und dem Marktzugang bzw. der Erstattung einher.

ATMP eröffnen in vielen Anwendungsgebieten neue therapeutische Optionen für schwere Erkrankungen, die zuvor nicht oder kaum behandelbar waren und könnten eine lang anhaltende therapeutische Wirksamkeit, möglicherweise sogar eine Heilung, erzielen. Bisher wurden erst wenige ATMP zugelassen, aber es laufen weltweit viele klinische Studien mit ATMP, die zu weiteren Zulassungen führen könnten.

Deutschland zählte während der ersten Forschungen zu ATMP zu den Pionieren, hat jedoch den Anschluss an die USA und China verloren. Und das, obwohl es hierzulande ambitionierte Unternehmen und Forschungsinstitute gibt, die die ATMP-Entwicklung vorantreiben und diese neuartigen Produkte herstellen.

vfa und vfa bio setzen sich daher für einen Ausbau der Förderung von Forschung, Entwicklung und Produktion von ATMP in Deutschland ein. Konkret sollten zur Förderung des ATMP-Standorts Deutschland folgende Punkte umgesetzt werden:

- Einrichtung eines Deutschen Zentrums der Gesundheitsforschung für ATMP
- Gründung einer ATMP-Taskforce mit Stakeholdern aus allen relevanten Bereichen zur Harmonisierung der Anforderungen
- Personalaufstockung beim Paul-Ehrlich-Institut
- Stärkung der Produktion durch Ausbildung von Fachpersonal, Kapazitätserweiterungen, Automatisierung
- Schließung der Finanzierungslücke für ATMP im Krankenhaus.

## Inhaltsverzeichnis

Seite 2/13

Zusammenfassung .....	1
Inhaltsverzeichnis.....	2
A) Einführung .....	3
Gesetzliche Grundlagen .....	3
Geschichte .....	3
Wie viele ATMP sind in der EU bereits zugelassen? .....	4
B) Gentherapeutika .....	5
Was sind Gentherapeutika? .....	5
Spezialfall CAR-T-Zelltherapeutika .....	6
Rechtliche und ethische Aspekte .....	6
C) Zelltherapeutika und biotechnologisch bearbeitete Gewebeprodukte .....	7
Abgrenzung zu Gentherapeutika .....	7
Stammzellen .....	8
D) Ausblick .....	9
Klinische ATMP-Entwicklungspipeline .....	9
Neue Technologien.....	9
E) vfa-Position .....	10
ATMP eröffnen Chancen für Patienten .....	10
Strenge Vorgaben für Forschung und Anwendung von Gen- und Stammzelltherapien .....	10
Handlungsempfehlungen für eine "ATMP Welcome"-Kultur und - Struktur in Deutschland .....	11
F) Weiterführende Informationen .....	12

## A) Einführung

Seite 3/13

### **ATMP:**

Arzneimittel für neuartige Therapien (Advanced Therapy Medicinal Products, kurz ATMP) umfassen

- Gentherapeutika
- Zelltherapeutika
- Biotechnologisch bearbeitete Gewebeprodukte

Mit ihrer Neuartigkeit gehen Besonderheiten bei ihrer Entwicklung, Produktion, Zulassung und dem Marktzugang bzw. der Erstattung einher.

Die Entwicklung von ATMP konzentriert sich auf schwere Erkrankungen mit einem hohen medizinischen Bedarf, für die derzeit keine ausreichenden Behandlungsoptionen zur Verfügung stehen. Im Vergleich zu klassischen Arzneimitteln, bei denen der Wirkstoff aus einem chemischen Molekül oder einem Protein besteht, sind ATMP-Wirkstoffe Nukleinsäuren (wie Gene) oder sogar ganze Zellen oder Gewebe. Während klassische Arzneimittel etwa bei der Behandlung von Erbkrankheiten zumeist ein Leben lang angewendet werden müssen, könnten ATMP bei einmaliger Anwendung eine lang anhaltende therapeutische Wirksamkeit, möglicherweise sogar eine Heilung, erzielen.

### Gesetzliche Grundlagen

Der Begriff ATMP und die Besonderheiten dieser Klasse von Arzneimitteln sind durch die EU-Richtlinie 2001/83/EG und die Verordnung (EG) 1394/2007 definiert. Diese schreiben für ATMP ein EU-weit zentrales Zulassungsverfahren bei der Europäischen Arzneimittelagentur EMA vor. Bei der EMA wurde daher eigens ein Ausschuss eingesetzt, der sich mit allen regulatorischen Fragen zu ATMP befasst: das Committee for Advanced Therapies (CAT). Dazu gehören die Klassifizierung von ATMP und die Bewertung von Zulassungsanträgen. Im Falle eines positiven Votums erteilt das Zulassungskomitee (CHMP) der EMA eine entsprechende Zulassungsempfehlung. Die finale Entscheidung über eine Zulassung trifft dann die Europäische Kommission. In Deutschland ist das Paul-Ehrlich-Institut (PEI) fachlich für ATMP zuständig. Des Weiteren gelten Bestimmungen aus der Arzneimittel- (u.a. das AMG) und Gentechnikgesetzgebung (u.a. Gentechnikgesetz).

### Geschichte

Der Gedanke, Krankheiten mittels Gentherapie zu behandeln, keimte in den frühen 1970er Jahren auf. Es sollte aber noch ca. 20

Jahre dauern, bis die erste Gentherapie-Studie 1990 in den USA startete – zur Therapie der angeborenen Immunschwäche ADA-SCID. Kurze Zeit danach folgten weitere Gentherapie-Studien in anderen Anwendungsgebieten wie Krebs (1991) und kardiovaskuläre Erkrankungen (1994). Der Todesfall des Teenagers Jesse Gelsinger 1999 bei einer Gentherapiestudie in den USA und Probleme mit der Sicherheit der Vektorviren führten um die Jahrtausendwende zu einem starken Rückgang an Forschungsaktivitäten auf dem Gebiet der ATMP. Erst mit der Entwicklung verbesserter Vektoren und neuer Technologien wie CRISPR/Cas9 (s. Kapitel „Neue Technologien“) nahm die Entwicklung von ATMP wieder an Fahrt auf.

Seite 4/13

### Wie viele ATMP sind in der EU bereits zugelassen?

2012 wurde das erste Gentherapie-Präparat in der EU zugelassen, gegen eine seltene schwere Fettstoffwechselstörung (inzwischen aus wirtschaftlichen Gründen nicht mehr zugelassen). Derzeit sind zwölf ATMP in der EU zugelassen: neun Gentherapeutika, ein Zelltherapeutikum und zwei biotechnologisch bearbeitete Gewebeprodukte. Darüber hinaus waren fünf weitere ATMP zwischenzeitlich zugelassen, deren Zulassungen jedoch von den Zulassungsinhabern zurückgegeben wurden – in allen Fällen aus wirtschaftlichen Gründen. Eine laufend aktualisierte Übersicht der in der EU zentral zugelassenen ATMP stellt der vfa online zur Verfügung:

[www.vfa.de/atmp](http://www.vfa.de/atmp)

Übersicht aktuell in der EU zugelassener ATMP (Stand: Dezember 2020)

Kategorie	Produkt (INN)	Anwendungsgebiet
Gentherapeutika (einschließlich CAR-T-Zelltherapeutika)	Imlygic (Talimogen laherparepvec)	Melanom
	Strimvelis (Autologe Zellen)	ADA-SCID
	Kymriah (Tisagen lecleucel)	ALL, B-Zell-Lymphom
	Yescarta (Axicabtagen ciloleucel)	B-Zell-Lymphome
	Luxturna (Voretigen Neparvovec)	Erebrte Netzhautdystrophien
	Zynteglo (Betibeglogen autotemcel)	Beta-Thalassämie
	Zolgensma (Onasemogen abeparvovec)	Spinale Muskelatrophie
	Libmeldy (mit autologen CD34 <sup>+</sup> -Zellen)	Metachromatische Leukodystrophie

Kategorie	Produkt (INN)	Anwendungsgebiet
	angereicherte hämatopoetische Stammzellpopulation)	
	Tecartus (autologe CD19 transduzierte CD3+-Zellen)	Mantelzelllymphom (refraktär)
Zelltherapeutika	Alofisel (Darvadstrocel)	Analfisteln bei Morbus Crohn
Biotechnologisch bearbeitete Gewebeprodukte	Holoclar	Ersatz von beschädigter Hornhaut
	Spherox	Knorpeldefekte

ADA-SCID = Severe Combined Immunodeficiency durch Adenosindeaminase-Mangel; ALL = Akute lymphatische Leukämie

## B) Gentherapeutika

### Ein Gentherapeutikum ist ein biologisches Arzneimittel

- dessen Wirkstoff eine rekombinante Nukleinsäure enthält oder daraus besteht
- das eingesetzt wird, um eine Nukleinsäuresequenz zu
  - regulieren
  - reparieren
  - ersetzen
  - entfernen oder
  - hinzuzufügen
- dessen therapeutische, prophylaktische oder diagnostische Wirkung in unmittelbarem Zusammenhang mit der rekombinanten Nukleinsäuresequenz steht, die es enthält, oder mit dem Produkt, das auf Basis dieser Sequenz resultiert.

Definition gemäß EU-Richtlinie 2001/83/EG. Die Gene dienen dabei als therapeutisch wirksame Stoffe (Arzneistoffe), Impfstoffe zählen jedoch nicht dazu.

Quelle: [www.pei.de/DE/arzneimittel/atmp/atmp-node.html](http://www.pei.de/DE/arzneimittel/atmp/atmp-node.html)

### Was sind Gentherapeutika?

Gentherapie bezeichnet die gezielte Veränderung von Genen durch rekombinante Nukleinsäuren in Zellen von Kranken. So kann eine Nukleinsäuresequenz reguliert, repariert, ersetzt, hinzugefügt oder entfernt werden mit dem Ziel der Diagnose, Vorbeugung, Heilung

oder therapeutischen Besserung. Gentherapien werden anhand mehrerer Charakteristika unterteilt:

Seite 6/13

1. *Nicht-transiente* (dauerhafte) vs. *transiente* (vorübergehende) Gentherapie
2. *In vivo*- (hier findet der Gentransfer im Patienten statt) vs. *ex vivo*-Gentherapie (hier findet der Gentransfer außerhalb des Patienten statt, etwa in entnommenen Blutstammzellen)
3. *Somatische Gentherapie* (zielt auf „normale“ Körperzellen, hier wird die Veränderung nicht an die Nachkommen weitervererbt) vs. *Keimbahntherapie* (hier erfolgen Eingriffe so, dass sie auch in das Erbgut von Spermato- oder Eizellen gelangen, durch die sie an die Nachkommen weitergegeben werden). Eingriffe in die Keimbahn lehnen der vfa und seine Mitgliedsfirmen ab.

#### Spezialfall CAR-T-Zelltherapeutika

Die EMA und das CAT stufen CAR-T-Zellen (CAR = Chimärer Antigen Rezeptor) als Gentherapieprodukte ein. CAR-T-Zellen sind herkömmliche T-Zellen, deren Genom dahingehend verändert worden ist, einen Rezeptor herzustellen, den sie ansonsten nicht besitzen. Diese Rezeptoren bestehen meist aus verschiedenen Untereinheiten unterschiedlicher Herkunft, weswegen sie auch als chimäre Rezeptoren bezeichnet werden.

Drei solcher CAR-T-Zellpräparate wurden seit 2018 zur Behandlung bestimmter Blutkrebsarten zugelassen. Ziel ist es, das Immunsystem des Patienten auf die Krebszellen „scharf“ zu stellen. Dazu werden dem Patienten körpereigene T-Zellen entnommen. In deren Genom wird anschließend eine Sequenz eingefügt, die für einen Rezeptor kodiert, der für bestimmte Oberflächenproteine der Krebszellen spezifisch ist. Die veränderten T-Zellen werden anschließend wieder in den Körper des Patienten eingebracht (autologe CAR-T-Zellen) und sind nun in der Lage, Krebszellen zu erkennen und zu vernichten. In laufenden klinischen Prüfungen wird auch erforscht, ob diese Therapieform statt mit patienteneigenen mit Spender-T-Zellen möglich ist (allogene CAR-T-Zellen).

In den meisten Fällen erfolgt das Einbringen der Rezeptorgene in die T-Zellen mittels retroviraler Vektoren. In Zukunft könnte auch in diesem Bereich der Gentherapie das CRISPR/Cas9-System (s. Kapitel „Neue Technologien“) zur Anwendung kommen.

#### Rechtliche und ethische Aspekte

Für die Gentherapie gelten dieselben Kriterien wie für andere Arzneimittel: Wirksamkeit, Sicherheit und technische Qualität müssen gewährleistet sein. Bei der Zulassung erfolgt eine dem Krankheits-

bild und der Patientengruppe (Patientenkollektiv) entsprechende Nutzen/Risiko-Abschätzung.

Seite 7/13

Bei Gentherapien werden auch mehrere ethische Fragestellungen diskutiert, insbesondere mit Blick auf Keimbahn-Gentherapien. Auf diese Weise erfolgte Änderungen würden an Nachkommen weitervererbt werden. Eingriffe in die Keimbahn lehnen vfa und vfa bio jedoch ab. In Deutschland sind Keimbahntherapien durch die Gesetzgebung ausgeschlossen. Auch weltweit führende Genforscher haben in einem Moratorium ein generelles Verbot von Gene Editing an Keimzellen gefordert.<sup>1</sup>

## C) Zelltherapeutika und biotechnologisch bearbeitete Gewebeprodukte

### **Somatische Zelltherapeutika:**

Ein somatisches Zelltherapeutikum besteht aus Zellen oder Geweben, die substanziiell bearbeitet wurden, sodass biologische oder strukturelle Merkmale oder physiologische Funktionen verändert wurden. Außerdem kann es aus Zellen oder Geweben bestehen oder sie enthalten, die im Empfänger im Wesentlichen nicht dieselbe Funktion ausüben wie im Spender (auch: nicht-homologer Gebrauch). Diese Zellen oder Gewebe üben pharmakologische, immunologische oder metabolische Wirkungen aus.

Mit dem Begriff „somatisch“ wird ausgedrückt, dass sich sämtliche Therapien auf Körperzellen beziehen, die keine Keimbahnzellen sind und damit nicht an Nachkommen vererbt werden.

### **Biotechnologisch bearbeitete Gewebeprodukte:**

Ein biotechnologisch bearbeitetes Gewebeprodukt (tissue-engineered product, TEP) ist ein biologisches Arzneimittel, das biotechnologisch bearbeitete Zellen oder Gewebe enthält oder aus ihnen besteht. Es dient der Regeneration, der Wiederherstellung oder zum Ersatz menschlichen Gewebes.

Quelle: [www.pei.de/DE/arzneimittel/atmp/atmp-node.html](http://www.pei.de/DE/arzneimittel/atmp/atmp-node.html)

### Abgrenzung zu Gentherapeutika

Der Unterschied zwischen Zell- und Gentherapeutika besteht darin, dass die Wirksamkeit von Gentherapeutika auf der rekombinanten Nukleinsäure (DNA) beruht, die sie enthält. Bei Zelltherapeutika ist die Veränderung ihrer biologischen Eigenschaften oder Funktionen

<sup>1</sup> Quelle: <https://www.sciencemag.org/news/2019/03/new-call-ban-gene-edited-babies-divides-biologists>

charakteristisch. CAR-T-Zellen werden in der EU als Gentherapeutika eingestuft, da ihre therapeutische Wirkung wesentlich aufgrund des Einbaus einer genetischen Information, des chimären Antigen-Rezeptors (CAR), zustande kommt.

Seite 8/13

### Stammzellen

Resultieren aus der Forschung mit humanen Stammzellen neue Arzneimittel, die diese Stammzellen beinhalten, gehören sie zur Gruppe der Zelltherapeutika. Die Stammzelltherapien bilden innerhalb der Zelltherapeutika eine eigene Gruppe. Für die Forschung und Behandlung mit humanen Stammzellen gibt es in Deutschland sehr restriktive Regelungen.

#### **Stammzellen – adulte, embryonale und induzierte:**

Als **adulte Stammzellen** werden solche Stammzellen bezeichnet, die im Körper eines Erwachsenen zu finden sind. Dort sind sie unter anderem im Knochenmark lokalisiert und für Prozesse der Blutbildung und für das Immunsystem wichtig. Meist sind sie **multipotent** und damit in der Lage, sich zu verschiedenen Zelltypen innerhalb eines bestimmten Gewebetyps auszudifferenzieren.

Unter **embryonalen Stammzellen** versteht man Stammzellen, die vor allem in frühen Embryonalstadien auftreten. Diese Zellen sind im Allgemeinen **pluripotent**, das heißt, sie können sich zu jedem Zelltyp eines Organismus weiterentwickeln.

Zusätzlich gibt es noch **induzierte pluripotente Stammzellen (iPS)**. So werden ehemals ausdifferenzierte Körperzellen bezeichnet, die durch Gentransfers so reprogrammiert wurden, dass sie in ihren Eigenschaften **pluripotenten** Stammzellen ähneln.

Es existieren mehrere Arten humaner Stammzellen, z.B. humane adulte und humane embryonale Stammzellen (siehe Infobox). Während einige Arten humaner adulter Stammzellen bereits seit langem bei Stammzelltransplantationen zum Einsatz kommen, befindet sich die Forschung mit humanen embryonalen Stammzellen am Übergang vom Stadium der Grundlagenforschung in die klinische Erprobung. Die Forschung mit humanen embryonalen Stammzellen beinhaltet Chancen für die Therapie vieler bisher nicht oder nur unzureichend behandelbarer Krankheiten. Der vfa plädiert deshalb für die weitere Erforschung des Potenzials humaner embryonaler Stammzellen. Nach heutigem Wissensstand kann die Forschung mit adulten Stammzellen diejenige mit embryonalen Stammzellen nicht ersetzen. Daher sollte zum jetzigen Zeitpunkt die Forschung nicht ausschließlich auf adulte Stammzellen beschränkt werden.

## D) Ausblick

Seite 9/13

### Klinische ATMP-Entwicklungspipeline

Die Zahl der ATMP in der klinischen Entwicklung nimmt seit Jahren kontinuierlich zu. So verdoppelte sich die Zahl weltweit laufender klinischer Gentherapiestudien laut der Studiendatenbank des *The Journal of Gene Medicine* von 102 im Jahr 2012 auf 232 Studien in 2018.<sup>2</sup> Auch in Deutschland nimmt die Zahl der klinischen Studien für Gentherapeutika in den letzten Jahren kontinuierlich zu: Waren es 2008 bis 2012 durchschnittlich etwa sechs Studienanträge pro Jahr, waren es 2017-2019 fünfmal so viele. Der Studienstandort Deutschland für Gentherapeutika gewinnt somit langsam an Bedeutung.

Derzeit laufen weltweit mehr als 1.000 klinische ATMP-Studien. Die Mehrzahl (55 %) der ATMP wird gegenwärtig in Phase II geprüft, weniger als jedes zehnte befindet sich in Phase III.<sup>3</sup> Drei von vier ATMP im Stadium der klinischen Entwicklung sind Gentherapeutika, etwa ein Fünftel sind Zelltherapeutika und lediglich rund 4 % sind biotechnologisch bearbeitete Gewebeprodukte. Bei der EMA befinden sich aktuell sechs Gentherapeutika im Zulassungsverfahren.

### Neue Technologien

In den letzten Jahren haben Techniken vermehrt Aufsehen erregt, bei denen nicht einfach neue Gene in den Organismus eingebracht, sondern vielmehr Gene selbst zielgerichtet verändert werden. So können etwa beschädigte Gene repariert oder mutierte Gene abgeschaltet werden. Diese Technologie wird Gene Editing („Genchirurgie“) genannt; sie basiert auf der Entdeckung des CRISPR/Cas9-Systems und findet zunehmend Verbreitung. Forscher fanden heraus, dass mit Hilfe dieses Systems, das aus Bakterien stammt und dort eigentlich der Abwehr von Viren dient, sehr einfach und gezielt das Erbgut diverser Organismen verändert werden kann. Mittlerweile wurden weitere Werkzeuge für das Gene Editing entwickelt, beispielsweise das PRIME-Editing.

Das erste Arzneimittel in Europa, das auf dem CRISPR/Cas9-System basiert, wird gegenwärtig zur Behandlung der Beta-Thalassämie in klinischen Prüfungen u.a. in Tübingen und Regensburg getestet. Es beinhaltet einen ex-vivo-Ansatz. Im März 2020 ist in den USA nun auch eine klinische Studie mit einem in-vivo-Ansatz gestartet worden. Dabei geht es um eine CRISPR/Cas9-basierte Therapie gegen eine seltene, zur Erblindung führenden Augenerkrankung. Sollten diese Gene Editing-Ansätze vielversprechend verlaufen, könnte es künftig möglicherweise einen Trend weg von der

---

<sup>2</sup> Quelle: <https://www.abedia.com/wiley/years.php>

<sup>3</sup> Quelle: Biotech-Report „Medizinische Biotechnologie in Deutschland 2020“ von BCG/vfa bio (Seite 27, Abb. 14)

bisherigen Vektor-basierten Gentherapie hin zum Gene Editing geben.

Seite 10/13

## E) vfa-Position

### ATMP eröffnen Chancen für Patienten

Gerade im Hinblick auf die demografische Entwicklung mit zunehmender Lebenserwartung der Bevölkerung ist auch mit einem Anstieg von chronischen, meist im Alter auftretenden Krankheiten zu rechnen. Hinzukommt die Vielzahl schwerer und seltener Erkrankungen, inkl. bestimmter Erbkrankheiten, für die bislang keine oder nur unzureichende Therapieoptionen zur Verfügung stehen. Dafür werden neue Therapiemöglichkeiten benötigt, die auch aus dem Bereich der ATMP kommen könnten. In Deutschland sollte die Forschung in diesem Bereich daher hohe Priorität haben.

Der vfa spricht sich in diesem Zusammenhang nachdrücklich für die Weiterentwicklung und Anwendung von ATMP aus, da hiermit die Heilung oder zumindest Linderung bisher nicht oder nur schwer therapierbarer Erkrankungen inkl. bestimmter Erbkrankheiten ermöglicht werden könnte.

### Strenge Vorgaben für Forschung und Anwendung von Gen- und Stammzelltherapien

Sowohl die Forschung zu als auch die Anwendung von ATMP (insbesondere Gen- und Stammzelltherapien) unterliegen bereits strengen Richtlinien und Gesetzen, um Sicherheit und Wirksamkeit dieser Therapien zu gewährleisten. Auch ethische Erwägungen spielen hier eine wichtige Rolle. So lehnt der vfa Eingriffe in die menschliche Keimbahn insbesondere aus ethischen Gründen ab.

Auch einige Formen der Stammzellforschung stoßen in ethische und juristische Grenzbereiche vor und werden daher sowohl von Fachleuten als auch von der breiten Gesellschaft umfassend diskutiert. Global sollten einheitliche rechtliche Mindeststandards für den Umgang mit menschlichem Leben in der frühen Embryonalentwicklung festgeschrieben werden, die beispielsweise in Deutschland bereits gelten. Dazu zählen für den vfa:

- Die Gewinnung von und die Forschung mit pluripotenten embryonalen Stammzellen nur nach zustimmender Beantwortung ethischer und fachlicher Fragen durch eine kompetent besetzte Kommission.
- Das Verbot von Forschung nach dem 14. Tag der Embryonalentwicklung (dem angenommenen Tag des Abschlusses der Einnistung in die Gebärmutter; nach diesem Zeitpunkt beginnt die Entwicklung der Organe).

- Das Verbot des reproduktiven Klonens von Menschen.

Seite 11/13

Seit der Novellierung des Stammzellgesetzes im Jahr 2008 gilt in Deutschland der 1. Mai 2007 als Stichtag: Deutsche Forscher dürfen seither mit Stammzellen arbeiten, die bis zu diesem Stichtag im Ausland erstellt und importiert wurden. Damit stehen den Forschern nur veraltete Stammzelllinien zur Verfügung, die für klinische Prüfungen nicht geeignet sind. Der vfa empfiehlt deshalb in Übereinstimmung mit der Wissenschaft die komplette Streichung oder zumindest die Einführung eines nachlaufenden Stichtages.

Als Verband global tätiger Unternehmen setzt sich der vfa für die Schaffung internationaler Mindeststandards im Umgang mit und für die Gewinnung von humanen pluripotenten embryonalen Stammzellen ein. Um einen achtlosen Umgang mit embryonalen Zellen zu verhindern, muss die Zulassung von Forschungsprojekten mit embryonalen Stammzellen an das zustimmende Votum einer speziellen Ethik-Kommission gebunden sein.

#### Handlungsempfehlungen für eine "ATMP Welcome"-Kultur und -Struktur in Deutschland

Um die Translationslücke zwischen Forschung und Umsetzung in marktfähige Produkte zu schließen und in dieser Zukunftstechnologie mit ATMP eine führende Rolle zu erlangen, besteht unmittelbarer Handlungsbedarf. Für ein förderliches Kapital- und Forschungsökosystem sowie für eine innovationsoffene Kultur sind stabile und innovationsfreundliche Rahmenbedingungen notwendig. Im Folgenden werden fünf konkrete Lösungsvorschläge für eine Verbesserung des ATMP-Umfelds vorgestellt (s. auch Abb. S. 12):

1. Einrichtung eines Deutschen Zentrums der Gesundheitsforschung für ATMP, um die notwendige Infrastruktur und Vernetzung zu schaffen
2. Gründung einer ATMP-Taskforce zur Harmonisierung der Anforderungen der Landesüberwachungsbehörden bei der spezifischen Handhabung und Logistik dieser neuartigen Therapien
3. Personalaufstockung beim Paul-Ehrlich-Institut, um die Wartezeiten für Beratungsangebote und die Bearbeitungszeiten von Studienanträgen zu verkürzen und Deutschland innerhalb Europas wieder wettbewerbsfähiger zu machen
4. Ausbildung von Fachpersonal, Kapazitätserweiterung und Automatisierung in der Produktion, um Deutschland als ATMP-Produktionsstandort zu etablieren
5. Schließen der Finanzierungslücke im Krankenhaus, um den frühzeitigen Einsatz von ATMP zu gewährleisten

Werden diese Empfehlungen verwirklicht, kann Deutschland aus Innovationen im Bereich ATMP medizinische und ökonomische Vorteile generieren, statt medizinische Innovationen überwiegend zu importieren. Dies wäre nicht nur zum Vorteil für den Standort, sondern ebenso für die Gesellschaft und die Patienten, die auf neue Behandlungsoptionen warten.

### Handlungsempfehlungen für Deutschland

Um in Deutschland eine „ATMP welcome“-Kultur und -Struktur zu etablieren und dem Standort damit eine tragende Rolle bei diesen zukunftssträchtigen und innovationsstarken Technologien zu verschaffen, werden folgende Lösungsvorschläge gemacht:

 <p>Einrichtung eines Deutschen Zentrums der Gesundheitsforschung für ATMP</p> <p>Ziel: Schaffung von Infrastruktur und Vernetzung</p>	 <p>Gründung einer ATMP-Taskforce</p> <p>Ziel: Harmonisierte Anforderungen der Landesüberwachungsbehörden</p>	 <p>Personalaufstockung beim PEI</p> <p>Ziel: Kürzere Bearbeitungszeiten</p>	 <p>Produktion: Ausbildung von Fachpersonal, Kapazitätserweiterung, Automatisierung</p> <p>Ziel: Etablierung Deutschlands als ATMP-Produktionsstandort</p>	 <p>Zugang: Schließung der Finanzierungslücke im Krankenhaus</p> <p>Ziel: Sicherstellung des frühzeitigen Einsatzes von ATMP</p>
 <p>Schaffung innovationsfreundlicher Rahmenbedingungen Ziel: Förderliches Kapital- und Forschungsökosystem sowie innovationsfreundliche Kultur</p>				

Stand: Januar 2021

## F) Weiterführende Informationen

- (1) Biotech-Report „Medizinische Biotechnologie in Deutschland 2020“, [www.vfa-bio.de/biotech2020](http://www.vfa-bio.de/biotech2020)
- (2) Website des Paul-Ehrlich-Instituts zu ATMP: <https://www.pei.de/DE/arzneimittel/atmp/atmp-node.html>
- (3) Fortlaufend aktualisierte Liste in der EU zentral zugelassener ATMP: <http://www.vfa.de/atmp>
- (4) Website der EMA mit Übersicht relevanter europäischer Vorschriften zu ATMP: <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/research-development/advanced-therapies/guidelines-relevant-advanced-therapy-medicinal-products>

- (5) Website von vfa bio zu CRISPR/Cas und Gene Editing:  
<https://www.vfa-bio.de/vb-de/aktuelle-themen/forschung/von-genomchirurgie-und-genome-editing.html>
- (6) Register des Robert-Koch-Instituts für Genehmigungsverfahren für die Nutzung humaner embryonaler Stammzellen zu Forschungszwecken: [https://www.rki.de/DE/Content/Ge-sund/Stammzellen/Register/register\\_node.html](https://www.rki.de/DE/Content/Ge-sund/Stammzellen/Register/register_node.html)
- (7) Website der *Alliance for Regenerative Medicine*, die u.a. jährlich eine Statistik zu klinischen Studien mit ATMP herausgibt:  
<https://alliancerm.org>