

## Für einen schnelleren Zugang zu Gen- und Zelltherapien in Europa

### **EU-gefördertes Projekt JOIN4ATMP will regulatorische Hindernisse überwinden**

**Sie sind Hoffnung für Menschen, bei denen herkömmliche Therapien versagen oder für die es bislang keine wirksame Behandlung gibt: sogenannte ATMPs, Advanced Therapy Medicinal Products. Vor gerade einmal fünf Jahren sind erste dieser neuartigen Medikamente, entwickelt mit Gen- und Zelltechnologien, offiziell zugelassen worden. Einige von ihnen schreiben Erfolgsgeschichte. Andere haben den Markt schnell wieder verlassen. Unter Koordination der Charité - Universitätsmedizin Berlin, unterstützt durch das Berlin Institute of Health in der Charité (BIH), startet jetzt das europaweite Projekt JOIN4ATMP. Es will aufzeigen, an welchen Hürden die neuen Therapien scheitern und was notwendig ist, damit Menschen in Europa schnell, sicher und gleichberechtigt an ihnen teilhaben können.**

Gen- und Zelltherapien zählen zu den wichtigsten Innovationen im Gesundheitsbereich. Und sie sind Spiegel des wissenschaftlichen und technologischen Fortschritts. Sie haben das Potenzial, die Behandlung von Krebs, Autoimmunerkrankungen, neurodegenerativen Erkrankungen und vielen seltenen genetischen Krankheiten ganz neu aufzustellen. Doch der Weg bis zu einer Zulassung und klinischen Anwendung dieser Produkte ist lang und nicht selten mit Schwierigkeiten verbunden.

Aus diesem Grund hat die Allianz führender Europäischer Universitätskliniken EUHA vor vier Jahren EUCCAT, das Europäische Zentrum für Gen- und Zelltherapien, gegründet. Es soll die klinische Anwendung von an Hochschulen entwickelten ATMPs erleichtern und die in Europa durchgeführte Grundlagenforschung noch stärker zusammenführen. Aus dem virtuellen Institut hervorgegangen ist das jetzt gestartete Projekt JOIN4ATMP. Alle Mitglieder der EUHA, zusammen mit den bereits bestehenden EU-geförderten Netzwerken RESTORE und T2EVOLVE, Biotech-Unternehmen und die Patient:innenvertretung EURORDIS werden dazu beitragen, die Hürden aufzuzeigen und praxisnahe Lösungen vorzuschlagen - damit die neuartigen Therapien erschwinglich und für alle Patient:innen verfügbar werden.

### **„Lebende“ Arzneimittel**

ATMPs sind Arzneimittel, die auf Genen, Geweben oder Zellen basieren und daher oft lebende Bestandteile enthalten. So ist es beispielsweise möglich, Patient:innen mit Leukämie weiße Blutkörperchen zu entnehmen und diese im Labor gentechnisch so zu verändern, dass sie - zurück im Körper - die Krebszellen erkennen und zerstören. ATMPs können besser als klassische Medikamente individuell auf Patient:innen ausgerichtet werden und eignen sich besonders für die Behandlung von seltenen Erkrankungen und Krebserkrankungen, die bisher nicht oder nur unzureichend behandelt werden konnten.

Trotz einer hohen Zahl von ATMPs, die sich aktuell in der Entwicklung befinden, sind bisher nur wenige Produkte für den europäischen Markt zugelassen. Das Problem: Die regulatorischen Auflagen für die Zulassung von herkömmlichen Medikamenten, für die beispielsweise klinische Studien mit großen Patientenzahlen nötig sind, lassen sich nicht auf diese komplexen Gen- und

Zelltherapien übertragen.

## **Neue Rahmenbedingungen schaffen**

Hier setzt JOIN4ATMP an, das von der Europäischen Kommission für drei Jahre mit rund drei Millionen Euro gefördert wird. „Wir wollen konkrete Empfehlungen erarbeiten, wie Patientinnen und Patienten in Europa schneller Zugang zu neuartigen Gen- und Zelltherapien erhalten können“, sagt Prof. Annette Künkele-Langer von der Klinik für Pädiatrie mit Schwerpunkt Onkologie und Hämatologie der Charité, die das Konsortium leitet. „Dazu bringen wir europaweit Wissen und Erfahrungen in der präklinischen Entwicklung, Herstellung, klinischen Prüfung, Marktzulassung und Vergütung von ATMPs zusammen und analysieren auf medizinischer, regulatorischer und ökonomischer Ebene die Hindernisse und wie diese überwunden werden können.“

In Form von Leitlinien, Empfehlungen und Whitepapers werden die Expert:innen ihre Rückschlüsse präsentieren und damit die europäische Strategie für neuartige Therapien voranbringen. Sie werden für auf ATMPs zugeschnittene, neue Zulassungsverfahren Basis sein und sie schaffen Rahmenbedingungen für eine standardisierte, dezentrale Herstellung von Gen- und Zelltherapeutika bei gleichzeitiger Ausweitung strenger guter Herstellungspraktiken (GMP) auf europäischer Ebene.

## **Über die EUHA**

Die European University Hospital Alliance besteht aus zehn führenden europäischen Universitätskliniken mit nachgewiesener Exzellenz in Gesundheitsversorgung, Bildung und Forschung: Aarhus University Hospital, Dänemark; Assistance Publique – Hôpitaux de Paris, Frankreich; Charité – Universitätsmedizin Berlin, Deutschland; Erasmus MC, Rotterdam, Niederlande; Ospedale San Raffaele, Mailand, Italien; Universitätsklinik Karolinska, Stockholm, Schweden; King’s Health Partners, London, Vereinigtes Königreich; UZ Leuven, Löwen, Belgien; AKH Wien & MedUni Wien, Österreich; Krankenhaus Campus Vall d’Hebron Barcelona, Spanien. Die Institutionen arbeiten zusammen, um die Versorgung von Patient:innen jetzt und in Zukunft zu verbessern. Dabei haben alle Mitglieder eine Kapazität von mehr als 1.000 Krankbetten, sie sind Exzellenzzentren in der Forschung und nationale Referenzzentren. Sie decken die bestehenden europäischen Referenznetzwerke (ERNs) ab. Das Motto „Leading by Doing“ steht für die Absicht, kompetenter Berater auf europäischer Ebene zu sein und innovative Lösungen für zentrale Herausforderungen im europäischen Gesundheitswesen zu entwickeln.

## **Links:**

[Wissenschaft im Gespräch: Interview mit Prof. Annette Künkele-Langer](#) (online ab 15 Uhr)

[AG Künkele](#)

[BeCAT](#)

[EUCCAT](#)

[European University Hospital Alliance \(EUHA\)](#)

[EUHA-Aktivitäten unter Federführung der Charité](#)