BEAUFTRAGT VOM

Bundesministerium
für Bildung
und Forschung

GCT
Nationale Strategie
Gen- und zellbasierte Therapien

Nationale Strategie für gen- und zellbasierte Therapien

Eine Multi-Stakeholder-Strategie
Koordiniert vom Berlin Institute of Health at Charité
Im Auftrag des Bundesministeriums für Bildung und Forschung

Impressum

Herausgeber
Berlin Institute of Health at Charité (BIH)
Translationsforschungsbereich der Charité –
Universitätsmedizin Berlin
Anna-Louisa-Karsch-Straße 2 | 10178 Berlin
www.bihealth.org

Stand Juni 2024

Gestaltung
incorporate berlin gmbh & co. kg
Oranienburger Straße 66 | 10117 Berlin
www.incorporateberlin.de

Druck
Pinguin Druck GmbH
Marienburger Straße 16 | 10405 Berlin

Bildnachweise
Titel: skynesher/Getty Images;
kupicoo/Getty Images

Nationale Strategie für gen- und zellbasierte Therapien

Inhalt

Executive Summary 8

Einleitung 12

Handlungsfeld I: Vernetzung und Unterstützung der Stakeholder 16

Strategisches Ziel 1: Koordinierte Umsetzung der Maßnahmen der Nationalen Strategie 19
Maßnahme 1: Etablierung einer Governancestruktur zur Umsetzung der Strategie 19

Strategisches Ziel 2: Stärkung der politischen Verantwortung für das nationale Zukunftsthema GCT 20
Maßnahme 1: Jährlicher Fortschrittsbericht zur Nationalen Strategie für GCT 20
Maßnahme 2: Unterjährige Maßnahmen zur Vermittlung der Erfolge des Nationalen Netzwerks GCT gegenüber der Politik auf Bundes- und Landesebene 20
Maßnahme 3: Politische Informationsveranstaltungen an Innovationsstandorten 21
Maßnahme 4: Kontaktaufbau und -pflege mit deutschen Vertreter*innen in EU-Gremien und -Ausschüssen 21

Strategisches Ziel 3: Stärkung nationaler Vernetzungsstrukturen 22
Maßnahme 1: Etablierung einer zentralen Anlaufstelle (GCT-Website) mit strukturierten Informationen über alle Stakeholder 22
Maßnahme 2: Nationale GCT-Landkarte mit den relevanten Stakeholdern, Strukturen und sonstigen Akteuren sowie deren funktionellen Interaktionen 23
Maßnahme 3: Analyse der Netzwerkkomponenten und ihrer Vernetzung mit anschließender SWOT-Analyse 23
Maßnahme 4: Platzierung von GCT-Netzwerkanliegen in der nationalen Wissenschaftsgemeinschaft, Netzwerkveranstaltungen 24

Strategisches Ziel 4: Auf- und Ausbau nationaler und internationaler Vernetzungsaktivitäten 24
Maßnahme 1: Information von nationalen und internationalen Patientenvertretungen 25
Maßnahme 2: Information von Patient*innen 25
Maßnahme 3: Information internationaler/europäischer klinischer Forschungsgruppen 26
Maßnahme 4: Informationsaustausch mit nationalen und internationalen Regulatoren 26
Maßnahme 5: Ansprache von nationalen und internationalen Investor*innen und Geldgeber*innen 26
Maßnahme 6: Austausch und Kooperation mit Public-private Partnership (PPP)-Initiativen, insbesondere der europäischen Innovative Medicines Initiative (IMI) 27
Maßnahme 7: Gezielte Information von Wissenschaftsorganisationen und Verbänden 27
Maßnahme 8: Platzierung der GCT-Initiative auf Internationalen Wissenschaftskongressen 28
Maßnahme 9: Informationsaustausch mit Medizinischen Leistungserbringern und Krankenkassen 28
Maßnahme 10: Einbeziehung internationaler Entitäten in die GCT-Wertschöpfungskette 28

Handlungsfeld II: Ausbildung und Kompetenzstärkung 30

Strategisches Ziel 1: Aufbau von Aus- und Weiterbildungsprogrammen für Nachwuchs- und Fachkräfte sowie Verbesserung der für die Aus- und Weiterbildung notwendigen Infrastruktur 34
Maßnahme 1: Konzepterstellung und Implementierung einer mehrgliedrigen, modularen Zusatzausbildung 34

Maßnahme 2: Etablierung von berufsbegleitenden interdisziplinären Master- und Promotionsprogrammen an Universitäten und Fachhochschulen sowie von Trainingsprogrammen für alle in der GCT tätigen Berufsgruppen 36
Maßnahme 3: Einrichtung von nationalen Ausbildungs- und Trainingszentren für GCT zur Stärkung akademischer und nichtakademischer sowie industrieller Kompetenzen 38

Strategisches Ziel 2: Entwicklung von adäquaten Karriere-, Gratifikations- und Interaktionskonzepten **39**
Maßnahme 1: Schaffung von Anreiz- und Gratifikationssystemen sowie von Karrierekonzepten 39
Maßnahme 2: Entwicklung eines Interaktionskonzepts der an der Ausbildung und Karriereentwicklung beteiligten Stakeholder 40

Handlungsfeld III: Technologietransfer **42**

Strategisches Ziel 1: Verbesserung der Rahmenbedingungen zur frühen Erkennung und Umsetzung des innovativen Potenzials von wissenschaftlichen Ergebnissen **45**
Maßnahme 1: Bildung, Ausbildung und Schulung 45
Maßnahme 2: Stärkung der Technologietransferstellen (TTOs) 46
Maßnahme 3: Aufbau von Strukturen zur gezielten Umsetzung und Marktvorbereitung von GCT-Projekten 47

Strategisches Ziel 2: Ganzheitliche Beratung und Bewertung von Transferprojekten, die den gesamten Entwicklungsprozess eines innovativen Prüfpräparats (Investigational Medicinal Product, IMP) von der Produktion bis zur Anwendung am Patienten oder an der Patientin einbezieht **48**
Maßnahme 1: Aufbau einer Product Development Unit (PDU) zur Unterstützung von Projektplanung und -durchführung 49
Maßnahme 2: Schaffung und Betrieb von gemeinsam nutzbarer Infrastruktur für GCT-Entwickler*innen 50

Strategisches Ziel 3: Erleichterung der Verwertung des gesellschaftlichen und/oder wirtschaftlichen Potenzials der wissenschaftlichen Ergebnisse **51**
Maßnahme 1 (übergreifend): Erarbeitung eines nationalen Leitfadens für transparente Ausgründungsstandards, zum Beispiel auf der Basis des USIT Guides 51
Maßnahme 2 (GCT-spezifisch): Klärung und Verbesserung der Rahmenbedingungen, damit Start-ups in der Anfangsphase bestehende Infrastrukturen der (Mutter-)Forschungseinrichtung verwenden können, insbesondere teure GMP-Infrastruktur 52
Maßnahme 3 (GCT-spezifisch): Patentrecherchen und Analysen für einige wenige absolute Schlüsseltechnologien 52

Strategisches Ziel 4: Etablierung der Anerkennung von Transferleistungen und Translationserfolgen als Teil der wissenschaftlichen Reputation von Einzelpersonen und Institutionen **53**
Maßnahme 1: Optimierung der akademischen Anreizsysteme und projektspezifische Beschäftigung qualifizierter Mitarbeiter*innen 53
Maßnahme 2: Erfolgsgeschichten zum Technologietransfer kommunizieren 54
Maßnahme 3: Transferleistungen von Forschungseinrichtungen als Qualitätskriterium 54

Handlungsfeld IV: Standards, Normen und regulatorische Rahmenbedingungen 56

Strategisches Ziel 1: Defragmentierung und Vereinheitlichung von Zuständigkeiten und Prozessen in der klinischen Forschung und Entwicklung von GCT sowie Stärkung der Bundesoberbehörde und ihrer Ressourcen als Single Point of Contact **59**
Maßnahme 1: Umsetzung von einheitlichen Standards und Prozessen zur Erteilung einer Herstellungserlaubnis insbesondere im Kontext von GCT und ihren Startmaterialien und Wirkstoffen durch Anpassung der Kompetenzzuordnung zwischen lokalen Behörden und dem PEI 60
Maßnahme 2: Stärkung des PEI mit ausreichenden Ressourcen 60
Maßnahme 3: Zusammenführung und Integration der verschiedenen Genehmigungsprozesse für die Entwicklung von Medizinprodukten und *In-vitro*-Diagnostika einschließlich ihrer Software in das bestehende Antrags- und Genehmigungsverfahren für Arzneimittelstudien nach EU VO CTR 536/2014 und in den zentralen Zulassungsprozess nach Regulation (European Commission, EC) No 726/2004 61

Strategisches Ziel 2: Kontinuierliche Anpassung regulatorischer Prozesse an die Entwicklungen im GCT-Bereich **62**
Maßnahme 1: Aufbau eines zentralen GCT-GMP- und -Regulatorik-Gremiums 62
Maßnahme 2: Erweiterung von Master-File-Systemen auf GCT 63
Maßnahme 3: Entwicklung und Einführung eines „Entwicklungsfelds"/einer „Sandbox" 63
Maßnahme 4a: Ergebnisoffene Diskussion zur derzeitigen ATMP-Definition und zu den relevanten Regulationswegen für den Bereich adoptiver Zelltherapien mit genetisch veränderten Zellen (z. B. CAR-T-Zelltherapie) 64
Maßnahme 4b: Reform des deutschen Stammzellgesetzes 65
Maßnahme 5: Aufbau eines Registers für Hospital Exemptions zur Erhöhung der Transparenz und Erfolgsmessung 65

Strategisches Ziel 3: Erhöhung der Verfügbarkeit niederschwelliger regulatorischer Beratung **66**
Maßnahme 1: Aufbau eines Angebots niederschwelliger regulatorischer Beratung 66

Handlungsfeld V: Ausbau von Qualität und Kapazitäten in der GMP-Produktion 68

Strategisches Ziel 1: Bedarfsangepasster Auf- und Ausbau von qualifizierten GMP-Infrastrukturen (Herstellungs- und Qualitätskontrollkapazitäten), insbesondere für Ausgangsmaterialien und für komplexe GCT-Produkte **71**
Maßnahme 1: Schaffung eines zentralen GCT-GMP- und -Regulatorik-Gremiums 71
Maßnahme 2: Erhebung von Daten zu den vorhandenen und in Planung und im Aufbau befindlichen akademischen und industriellen GMP-Infrastrukturen in Deutschland im Vergleich zu Europa sowie Ermittlung des Bedarfs an GMP-Infrastrukturen zur Herstellung und Qualitätskontrolle von GCT 72
Maßnahme 3: Bereitstellung ausreichender Mittel von Bund, Ländern und anderen Kapitalgebern für den bedarfsgerechten Auf- und Ausbau, Erhalt sowie den Betrieb von GMP-Infrastrukturen 73
Maßnahme 4: Schaffung einer zentralen nationalen Produktionseinrichtung für die Herstellung kritischer Ausgangsstoffe für GCT 73

Strategisches Ziel 2: Sicherstellung der benötigten Personalkapazitäten und Expertise für die GCT-Herstellung und Qualitätskontrolle **74**
Maßnahme 1: Erweiterung und Professionalisierung des Angebots für Aus- und Weiterbildung von qualifiziertem Personal in allen Bereichen der GMP-Produktion von GCT 75
Maßnahme 2: Verbesserung der Arbeitsrahmenbedingungen zur Gewinnung und zum Halten qualifizierten Fachpersonals im Bereich GCT 75

Strategisches Ziel 3: Effizienzsteigerung und Beschleunigung der Prozesse in der Herstellung **76**
Maßnahme 1: Aufbau einer übersichtlichen, für alle Akteure zugänglichen Datenbank mit herstellungsrelevanten Informationen und Unterlagen 77
Maßnahme 2: Schaffung einer einheitlichen Wissens- und Kommunikationsgrundlage basierend auf Repositorien zur bzw. zum einheitlichen Datenspeicherung und -zugriff 77

Strategisches Ziel 4: Weiterentwicklung und risikobasierte Verschlankung der Rahmenbedingungen **78**
Maßnahme 1: Harmonisierung und risikobasierte Verschlankung der gesetzlichen und regulatorischen Vorgaben für die GMP-gerechte Herstellung und -Kontrolle 78

Handlungsfeld VI: Forschung und Entwicklung **80**

Strategisches Ziel 1: Verbesserung der strukturellen Voraussetzungen für translationale Forschung und Entwicklung **83**
Maßnahme 1: Etablierung eines Nationalen GCT-Netzwerks mit Knotenpunkten 83

Strategisches Ziel 2: Identifikation und Förderung von Zukunftsthemen **85**
Maßnahme 1: Etablierung neuer flexibler Förderformate mit kurzer Vorlaufzeit, die Bedarfe erfüllen, die derzeit nicht ausreichend berücksichtigt sind 87

Strategisches Ziel 3: Verbesserung der organisatorischen und regulatorischen Rahmenbedingungen für präklinische und klinische GCT-Studien **88**
Maßnahme 1: Leichtere Implementierung von GCT-Herstellung und ihrer Translation in frühe klinische Studien 89
Maßnahme 2: Akzeptanz von Tierversuchen und realistische Einschätzung der Möglichkeiten von Ersatzverfahren 89
Maßnahme 3: Erhebung und Bereitstellung von Leistungskennzahlen von Regulator*innen und Aufsichtsbehörden 90
Maßnahme 4: Optimierung und Weiterentwicklung von Ethikkommissionen 90

Strategisches Ziel 4: Gewährleistung der Einbindung von Patient*innen, Patientenfürsprecher*innen und Patientenorganisationen **91**
Maßnahme 1: Festlegung von Standards für Projektbudgets und die Vergütung von Patientenvertreter*innen 91
Maßnahme 2: Entwicklung spezifischer Interaktionskonzepte 92

Strategisches Ziel 5: Mentalitätswandel und Verstärkung des bioentrepreneurial Spirit in der deutschen GCT-Gemeinschaft **92**
Maßnahme 1: Förderung des für GCT notwendigen Mentalitätswandels 93
Maßnahme 2: Karriereaussichten und Zielpositionen für Naturwissenschaftler*innen als Bioentrepreneure im öffentlichen Sektor 94

Handlungsfeld VII: Marktzulassung und Übergang in die Versorgung **96**

Strategisches Ziel 1: Erleichterter Zugang zu und gezielte Auswahl von Patient*innen für eine GCT **99**
Maßnahme 1: Entwicklung und Umsetzung von Fort- und Weiterbildungskonzepten zur optimalen Diagnostik für das Identifizieren und Stratifizieren von Patient*innen sowie das Monitoring des Behandlungsverlaufs für Einrichtungen der Regelversorgung 100
Maßnahme 2: Verankerung interdisziplinärer Therapieentscheidungs-Boards in der GCT-Diagnostik 100
Maßnahme 3: Erstellung von bundesweit einheitlichen Qualifikationskriterien und Standards für die entsprechende GCT-Zugangs- und -Verlaufsdiagnostik 101

Strategisches Ziel 2: Flexibilisierung von Erstattungs- und Versorgungsmodellen in der Anwendung von GCT **101**
Maßnahme 1: Berücksichtigung der bestverfügbaren Evidenz im Rahmen der Zusatznutzenbewertung 102
Maßnahme 2: Anpassung der Kriterien für die Berücksichtigung versorgungsnaher Daten bei der Nutzenbewertung 102
Maßnahme 3: Konkretisierung der nutzenbasierten Preisbildung 103
Maßnahme 4: Verstärkte Nutzung von erfolgsabhängigen Erstattungsmodellen im Rahmen der zentralen Preisverhandlung 103
Maßnahme 5: Vereinheitlichung und Kostendeckung der Vergütung der Diagnostik 104
Maßnahme 6: Schaffung flexiblerer Erstattungsmodelle in der Finanzierung der Qualitätssicherung/Versorgung 104

Strategisches Ziel 3: Qualitativ hochwertige, sichere und effiziente Behandlung der Patient*innen mit innovativen Therapien durch die Etablierung von interdisziplinären GCT-Behandlungseinrichtungen **106**
Maßnahme 1: Etablierung einer engen strukturellen Interaktion von Forschung und Versorgung 106
Maßnahme 2: Verschlankung der Prozesse der für die Durchführung von GCT notwendigen Qualifizierungen und Zertifizierungen der Behandlungseinrichtungen 107
Maßnahme 3: Verschlankung der Prozesse der Vertragsgestaltung 107
Maßnahme 4: Sicherstellung einer reibungslosen Zuweisung und Kommunikation unter den an der Behandlung beteiligten Personen und Institutionen 108

Strategisches Ziel 4: Optimierung und Etablierung der Datenlandschaft zum Zwecke der vielseitigen Nutzbarkeit in der Forschung und Nachverfolgung von Langzeitdaten von GCT **109**
Maßnahme 1: Standardisierung der Erfassung und Dokumentation von Anwendungsdaten 109
Maßnahme 2: Verstetigung eines methodenspezifischen nationalen GCT-Registers 112

Handlungsfeld VIII: Interaktion mit der Gesellschaft 114

Strategisches Ziel 1: Informiertheit der Gesellschaft über GCT durch Bereitstellung verlässlicher und zielgruppenspezifischer Informationen **117**
Maßnahme 1: Aufbau einer zentralen Kommunikationsplattform mit Webpräsenz zur Bereitstellung von Informationen für die verschiedenen relevanten Zielgruppen 117
Maßnahme 2: Zielgruppenspezifische Informationsangebote für die breite Öffentlichkeit erstellen bzw. auf diese verweisen 118
Maßnahme 3: Zielgruppenspezifische Informationsangebote für Medienvertreter*innen/Journalist*innen erstellen bzw. auf diese verweisen 118
Maßnahme 4: Zielgruppenspezifische Informationsangebote für Patient*innen und Patientenorganisationen erstellen bzw. auf diese verweisen 119
Maßnahme 5: Zielgruppenspezifische Informationsangebote für Schüler*innen, Studierende und Lehrende erstellen bzw. auf diese verweisen 119
Maßnahme 6: Zielgruppenspezifische Informationsangebote für medizinische Fachgesellschaften erstellen bzw. auf diese verweisen 119
Maßnahme 7: Regelmäßigen Newsletter für einschlägige GCT-Publikationen und -Aktivitäten für Patient*innen/Organisationen/Fachgesellschaften anbieten 120

Strategisches Ziel 2: Unterstützung/Beratung der Entscheidungsträger*innen durch Stärkung der Interaktion mit der Politik sowie Herstellung/Wahrung eines ergebnisoffenen geisteswissenschaftlichen/gesellschaftlichen Diskurses **120**
Maßnahme 1: Verbesserung der zielgerichteten Übermittlung von Informationen an die Politik 121
Maßnahme 2: Herstellung/Wahrung eines ergebnisoffenen geisteswissenschaftlichen/gesellschaftlichen Diskurses 121

Strategisches Ziel 3: Gezielte Förderung des Nutzenpotenzials von GCT durch verstärkte Einbeziehung und Beteiligung von Forschungsförderorganisationen, Stiftungen und spendenbereiter Zivilgesellschaft **122**
Maßnahme 1: Identifizierung und Mapping von Förderorganisationen, Stiftungen und fördernden Privatpersonen 122
Maßnahme 2: Erstellung von spezifischem Informationsmaterial für Stiftungen und spendenbereite Einzelpersonen sowie Durchführung öffentlichkeitswirksamer Veranstaltungen zur Spendenakquise durch Einwerbung von auf den Wissenstransfer ausgerichteten Fördermitteln 123
Maßnahme 3: Verstärkung bereits etablierter bzw. geplanter Fördermaßnahmen und deren Synergieentwicklung mit Stiftungen und spendenbereiten Einzelpersonen 123

Übersicht: Strategische Ziele und Maßnahmen 124

Abkürzungsverzeichnis 128

Verzeichnis der Autor*innen 130

Executive Summary

Ausgangslage

Gen- und zellbasierte Therapien (Gene and Cell-based Therapies, GCT) sind ein zentraler Bereich für Innovationen in der biomedizinischen Forschung und klinischen Versorgung. Sie bieten vielversprechende Ansätze zur Behandlung von bisher unheilbaren Krankheiten und können regenerative Prozesse unterstützen. Zugleich besteht noch großer Forschungsbedarf zur Verbesserung von Effizienz, Sicherheit und breiter Verfügbarkeit. Obwohl Deutschland in der Grundlagenforschung und auch in einigen technologischen Entwicklungen führend ist, bestehen besondere Herausforderungen bei der Umsetzung in die medizinische Versorgung. Dies könnte dazu führen, dass Deutschland international den Anschluss in diesem Bereich verliert und die Versorgung von Patient*innen beeinträchtigt wird. Andere Länder wie die USA, China, Großbritannien, aber auch Frankreich, Italien und Spanien haben bereits effektive Ökosysteme für die Entwicklung von GCT etabliert. Deutschland hat die Chance, eine führende Rolle zu übernehmen, benötigt hierfür aber ein besseres Zusammenwirken der vielfältigen Akteure aus Wissenschaft, Wirtschaft, Politik und Gesellschaft.

Zielstellung und Vorgehensweise

Die Nationale Strategie für GCT strebt ein ganzheitliches Konzept für den Standort Deutschland an, das sämtliche Teile der Wertschöpfungskette von der Grundlagenforschung bis hin zur Versorgung integriert und vernetzt. Ihr oberstes Ziel ist das Wohl der Patient*innen, indem sie neue Perspektiven durch GCT bietet, besonders für schwer kranke Menschen ohne wirksame Behandlungsoptionen. Die Nationale Strategie für GCT wurde in einem breiten Stakeholder-Prozess erarbeitet, der verschiedene Perspektiven aus Wissenschaft, Wirtschaft, Politik und Gesellschaft sowie von Patient*innen einbezog. Mehr als 150 Expert*innen trugen zur Ausarbeitung der acht identifizierten Handlungsfelder bei, in denen jeweils detaillierte Ziele formuliert und Maßnahmen zur Umsetzung empfohlen werden. Erstellt im Auftrag des Bundesministeriums für Bildung und Forschung (BMBF) und koordiniert vom Berlin Institute of Health at Charité (BIH) betont die Strategie das enorme Potenzial von GCT für die Krankenversorgung, die Gesundheitswirtschaft und den Pharmastandort Deutschland zum Bespiel auch durch die Schaffung neuer Arbeitsplätze in einem hochinnovativen Zukunftsfeld.

Übersicht über die Handlungsfelder

Die Nationale Strategie GCT wurde in Zusammenarbeit multipler Stakeholder entwickelt. Sie umfasst die folgenden acht Handlungsfelder:

Handlungsfeld I: Vernetzung und Unterstützung der Stakeholder

Ziel ist es, die Entwicklung und Anwendung von GCT durch nationale Vernetzung, Zusammenarbeit zwischen Wissenschaft, Krankenversorgung, Industrie und Politik sowie internationale Verbindungen zu fördern. Maßnahmen umfassen die Etablierung einer Governancestruktur zur Umsetzung der Nationalen Strategie, das Aufstellen einer nationalen GCT-Landkarte, sowie den Ausbau der Kommunikation beispielsweise mit Regulator*innen, Patientenorganisationen und Investor*innen. Die Etablierung und Verstetigung der Governancestruktur zum Beispiel in Form eines Expertenrats zur Beratung der Politik sowie die Erstellung eines Jahresberichts sollen die strategische Umsetzung der Maßnahmen langfristig ermöglichen.

Handlungsfeld II: Ausbildung und Kompetenzstärkung

Für die erfolgreiche Entwicklung und Anwendung von GCT sind gut ausgebildete Fachkräfte essenziell. Maßnahmen beinhalten unter anderem die Schaffung von Ausbildungsprogrammen für akademische und nichtakademische Berufsgruppen, die Implementierung interdisziplinärer Master- und Promotionsprogramme sowie die Einrichtung nationaler Ausbildungszentren. Diese Maßnahmen sollen dazu beitragen, den Mangel an qualifiziertem Personal zu beheben und die in Deutschland dringend benötigte Translation von GCT in die medizinische Versorgung zu beschleunigen.

Handlungsfeld III: Technologietransfer

Der Technologietransfer soll sicherstellen, dass biomedizinische Forschungsergebnisse zum Nutzen von Patient*innen, Wirtschaft und Gesellschaft eingesetzt werden. Dafür ist eine durchgängige Translationskette von der Patentierung bis zum klinischen Proof-of-Concept notwendig. Maßnahmen umfassen die Verbesserung der Rahmenbedingungen zur Erkennung und Umsetzung innovativer Potenziale, die ganzheitliche Beratung und Bewertung von Transferprojekten, die Anerkennung von Transferleistungen als Teil der wissenschaftlichen Reputation sowie die erleichterte Verwertung des Potenzials von wissenschaftlichen Ergebnissen.

Handlungsfeld IV: Standards, Normen und regulatorische Rahmenbedingungen

Eine Verbesserung der regulatorischen Bedingungen zur Erhöhung der Innovationskraft ist dringend notwendig. Maßnahmen umfassen die Defragmentierung des regulatorischen Umfelds für GCT, die Stärkung der Ressourcen in der zentralen Bundesoberbehörde, die Verbesserung der EU-Gesetzgebung und den Schutz, Erhalt und Ausbau akademischer Forschungs- und Innovationsmöglichkeiten, vor allem durch die Einführung einer sogenannten „Sandbox".

Handlungsfeld V: Ausbau von Qualität und Kapazitäten im Bereich der Good Manufacturing Practice (GMP)-Produktion

Die Sicherung von Qualität und Leistungsfähigkeit der GMP-Produktionskapazitäten in Deutschland ist von höchster Relevanz, um im internationalen Umfeld wettbewerbsfähig zu bleiben. Hierzu gehören der bedarfsgerechte Auf- und Ausbau von GMP-Infrastrukturen insbesondere für Ausgangsmaterialien und für komplexe GCT-Produkte, die Sicherstellung qualifizierter Personalkapazitäten und die Effizienzsteigerung und Beschleunigung der GMP-Produktion. Darüber hinaus müssen translationale Prozesse durch Weiterentwicklung und risikobasierte Verschlankung von Strukturen und Rahmenbedingungen optimiert werden. Das Erreichen dieser Ziele soll von einem zentralen GCT-GMP- und -Regulatorik-Gremium vorangetrieben werden.

Handlungsfeld VI: Forschung und Entwicklung

Die Verbesserung der Infrastruktur für Forschung und Translation ist essenziell. Dezentrale Knotenpunkte sollen der wissenschaftlichen Gemeinschaft zugänglich gemacht und Produktionskapazitäten ausgebaut werden. Inkubatoren für Start-ups sollen Innovationen fördern und Prüfeinrichtungen die Wirksamkeit und Sicherheit der Innovationen gewährleisten. Neue Förderformate und Kooperationen zwischen Industrie und Akademie sollen die Übertragung von Forschungsergebnissen in klinische Studien beschleunigen und die Einführung von GMP-Light-Verfahren sowie allgemein schneller Genehmigungsverfahren soll den Forschungs- und Innovationsstandort Deutschland stärken. Eine frühzeitige Einbindung von Patient*innen stellt dabei sicher, dass ihre Bedürfnisse ausreichend berücksichtigt werden.

Handlungsfeld VII: Marktzulassung und Übergang in die Versorgung

Der rechtzeitige Zugang zu hochwertigen GCT kann die Überlebenschancen und die Lebensqualität schwerstkranker Patient*innen erheblich verbessern. Zur Optimierung der Zulassung und Anwendung sind Anpassungen und neue Strukturen notwendig. Die Einrichtung interdisziplinärer GCT-Behandlungseinrichtungen und eine enge Zusammenarbeit zwischen Forschung und Versorgung sind zentral. Zudem muss durch Fortbildungen und Standardisierung der Diagnostik sowie Einführung von Therapieentscheidungs-Boards die Behandlungsqualität gesichert werden. Die Vergütung der hier zu erbringenden Leistungen muss durch angepasste Vergütungsmodelle gewährleistet werden. Flexibilisierte Erstattungs- und Versorgungsmodelle sollen im AMNOG-Prozess mehr Spielräume eröffnen, um den Zugang zu neuen hochqualitativen, innovativen Therapeutika zu sichern. Schließlich ist die Optimierung der Datenlandschaft durch standardisierte Erfassung, Vernetzung vorhandener Register und Verstetigung eines nationalen GCT-Registers notwendig.

Handlungsfeld VIII: Interaktion mit der Gesellschaft

Das Feld der GCT erfordert einen intensiven Austausch mit verschiedenen Akteuren. Die Gesellschaft soll umfassend über GCT informiert und Entscheidungsträger*innen durch Stärkung der Interaktion mit der Politik unterstützt werden. Maßnahmen dieses Handlungsfeldes umfassen den Aufbau einer zentralen Kommunikationsplattform, zielgruppenspezifische Informationsangebote, regelmäßige Berichte an Ausschüsse von Bund und Ländern, die Einbindung von Förderorganisationen sowie die Identifikation und Motivation zur Spendenakquise von Stiftungen und fördernden Privatpersonen und der Zivilgesellschaft.

Prioritäre Maßnahmen der jeweiligen Handlungsfelder sind:

Handlungsfeld I: Vernetzung und Unterstützung der Stakeholder

1. Die Etablierung einer Governancestruktur unter Beteiligung der maßgeblichen Stakeholder (Bottom-up Ansatz)
2. Die Erstellung einer GCT-Netzwerklandkarte
3. Die Erstellung eines jährlichen Fortschrittsberichts zur Nationalen Strategie für GCT

Handlungsfeld II: Ausbildung und Kompetenzstärkung

4. Der Auf- und Ausbau von Aus- und Weiterbildungsprogrammen für Fachkräfte aller Berufsgruppen
5. Die Schaffung von Anreiz- und Gratifikationssystemen sowie von Karrierekonzepten – insbesondere aber nicht nur – für akademische Laufbahnen

Handlungsfeld III: Technologietransfer

6. Die Einrichtung einer auf GCT fokussierten Product Development Unit, die die Technologietransfereinrichtungen und die Akteur*innen translationaler Projekte schulen, beraten und unterstützen kann
7. Das Enabling von Start-ups durch klare, einheitliche Beteiligungs- und Lizenzierungsbedingungen sowie Ermöglichung des Zugriffs auf notwendige Infrastrukturen
8. Die Etablierung von Transferleistungen als gleichrangiges Kriterium für die Evaluation akademischer Institutionen

Handlungsfeld IV: Standards, Normen und regulatorische Rahmenbedingungen

9. Die Defragmentierung des regulatorischen Umfelds für GCT durch Konzentration der Verfahren und Verantwortlichkeiten, auch für die Herstellungserlaubnis, beim Paul-Ehrlich-Institut (PEI)
10. Die Stärkung des PEI mit mehr Ressourcen
11. Die Einführung von Sandbox-Verfahren als Innovationsraum

Handlungsfeld V: Ausbau von Qualität und Kapazitäten im Bereich der Good Manufacturing Practice (GMP)-Produktion

12. Die Schaffung eines zentralen GCT-GMP- und -Regulatorik-Gremiums, bestehend aus allen relevanten Akteuren (darunter z. B. BMG, PEI, Akademie, Industrie), das kontinuierlich den Fortschritt auf dem Weg zu den in diesem Handlungsfeld gesetzten strategischen Zielen analysiert und zeit- und bedarfsgerecht vorantreibt
13. Die zielgerichtete Bereitstellung ausreichender finanzieller Mittel von Bund, Ländern und sonstigen Kapitalgebern für den bedarfsgerechten Auf- und Ausbau sowie den Betrieb von GMP-Infrastrukturen, einschließlich einer Produktionsstätte für kritische Ausgangsstoffe für GCT

Handlungsfeld VI: Forschung und Entwicklung

14. Die Etablierung eines Nationalen GCT-Netzwerks mit Knotenpunkten
15. Die Etablierung neuer flexibler Förderformate mit kurzer Vorlaufzeit, die derzeit nicht ausreichend adressierte Bedarfe abdecken
16. Die Festlegung von Standards der Patienteneinbindung für Projektbudgets und die Vergütung von Patientenvertreter*innen für ihr Engagement in Projekten und Auswahlverfahren

Handlungsfeld VII: Marktzulassung und Übergang in die Versorgung

17. Die Gewährleistung der Qualitätssicherung inklusive der Verankerung von Therapieentscheidungs-Boards bei der Diagnostik und Behandlung von Patient*innen durch die Anpassung von Vergütungsmodellen
18. Die Aufrechterhaltung der notwendigen Flexibilität in der Nutzenbewertung und Preisbildung im AMNOG-Prozess, um den Zugang zu und die Verfügbarkeit von GCT für Patient*innen aufrecht zu erhalten
19. Die Standardisierung der Erfassung und Dokumentation von Anwendungsdaten durch Vernetzung vorhandener Register und der Verstetigung eines methodenspezifischen nationalen GCT-Registers

Handlungsfeld VIII: Interaktion mit der Gesellschaft

20. Der Aufbau einer zentralen, webbasierten Anlaufstelle zur Bereitstellung qualitätsgeprüfter Informationen
21. Das Zusammentragen oder die Erstellung zielgruppenspezifischer Informationsangebote für die verschiedenen Stakeholdergruppen

Fazit

Gen- und zellbasierte Therapien (GCT) sind eines der bedeutendsten Zukunftsthemen für die biomedizinische Forschung und die klinische Versorgung von Patient*innen. Unter den derzeitigen Bedingungen ist es am Standort Deutschland für Forschende, die Industrie und Kliniker*innen kaum möglich, in diesem Feld bei Produktentwicklungen und der Anwendung in der Versorgung international konkurrenzfähig zu bleiben. Um die Wettbewerbsfähigkeit des Forschungs- und Innovationsstandortes Deutschland langfristig zu stärken und vor allem den Zugang zu diesen neuartigen Therapien für Patient*innen gewährleisten zu können, müssen die vorgeschlagenen Maßnahmen umgehend mit den politischen Entscheider*innen diskutiert und umgesetzt werden. Dies ist nur in gemeinsamer Anstrengung und Verantwortung aller beteiligten Stakeholder zu erreichen, weshalb der hier gestartete Multi-Stakeholder-Ansatz fokussiert, entschlossen und zügig weiterverfolgt werden sollte. Dazu ist neben der Bereitschaft zur Weiterentwicklung der Rahmenbedingungen und Prozesse innerhalb der GCT-Gemeinschaft ein proaktives und konstruktives Engagement der Politik notwendig. Das übergeordnete Ziel besteht darin kausal wirkende, gesundheitsfördernde innovative Produkte und Anwendungen zu schaffen, die sicher, effizient, finanzierbar und breit verfügbar sind.

Einleitung

Ausgangslage

Gen- und zellbasierte Therapien (Gene and Cell-based Therapies, GCT) sind Kernelemente der zukünftigen Medizin, da sie einen kurativen Ansatz in der Behandlung von Patient*innen mit schweren oder lebensbedrohlichen Erkrankungen ermöglichen. Es gibt zahlreiche Varianten von GCT teils mit etablierten Verfahren, teils unter Einsatz neuartiger Materialien, Wirkprinzipien und Herstellungsprozesse. Genbasierte Therapien verwenden Nukleinsäuren als DNA oder RNA zur Regulierung oder Hinzufügung von biologischen Funktionen. Zelltherapien erzeugen und/oder transferieren Zellen zu therapeutischen Zwecken in den Organismus, oft auch genmodifizierte Zellen als Kombination beider Ansätze.

Begriffsbestimmung:
Unter gen- und zellbasierten Therapien (GCT) verstehen wir hier u. a. folgende Verfahren (nicht abschließend):

- Therapieansätze mit Arzneimitteln für neuartige Therapien (Advanced Therapy Medicinal Products, ATMPs):
  - Somatische Zelltherapeutika (zum Beispiel u. a. in Form von Stammzellen, Zellen des Immunsystems oder mesenchymalen Stromazellen)
  - Gentherapeutika in Form von Substitutions-, Additions- oder Suppressionstherapien mithilfe von viralen und nicht-viralen Vektoren oder Genom-Editierung
  - Tissue-Engineering-Produkte wie z. B. die Herstellung von Geweben zur operativen Verwendung inklusive des Einsatzes von neuartigen Biomaterialien
- Therapieansätze mit neuartigen biologischen Produkten, wie beispielsweise mRNA- und andere nukleinsäurebasierte Verfahren, extrazellulären Vesikeln oder Exosomen, die im Kontext eines gen- und zellbasierten therapeutischen Verfahrens genutzt werden
- Weitere Ansätze dieser Art im Kontext von gen- und zellbasierten Therapien

Folgende Verfahren werden dagegen nicht eingeschlossen:

- Ansätze, die für andere Zielsetzungen als gen- und zellbasierte Therapien entwickelt werden (beispielsweise mRNA-Vakzinierungen gegen Infektionserkrankungen)
- Ansätze, die **ausschließlich** auf niedermolekularen Substanzen und/oder rekombinanten Proteinen (inklusive Antikörpern) beruhen

GCT greifen nicht nur krankheitsmodulierend oder beschwerdelindernd ein, sondern adressieren direkt die genetische oder epigenetische Ursache des Krankheitsprozesses – was die Heilung einer Erkrankung ermöglicht. In einigen Fällen können GCT schwerwiegende Symptome rückgängig machen und die Entstehung, das Fortschreiten und die Komplikationen von Krankheiten verhindern. GCT können bahnbrechend wirken, da sie Perspektiven für bislang nicht therapierbare Erkrankungen schaffen, etablierte Therapien ablösen und Gewebe wiederherstellen (regenerieren) können. Zugleich sind grundlegende Fragen der Wirksamkeit und Sicherheit der GCT Gegenstand intensiver wissenschaftlicher Untersuchungen. Die potenzielle Breite möglicher Anwendungen von GCT ist hoch. Sie umfasst nicht nur seltene, genetisch bedingte Erkrankungen, sondern auch häufiger auftretende, oft komplexe erworbene und/oder degenerative Erkrankungen. Allein in Deutschland könnten Millionen von Patient*innen von der Verfügbarkeit neuartiger und sicherer GCT profitieren.

Während Grundlagenforschung und auch anwendungsorientierte Technologieentwicklung für GCT in Deutschland bereits erfolgreich betrieben wird, bleibt die Überführung vielversprechender Ansätze aus Forschung und Entwicklung in die Versorgung von Patient*innen eine besondere Herausforderung. Obwohl bereits lokale Technologiecluster aufgebaut wurden, hat eine überregionale oder nationale Vernetzung der Forschungslandschaft im Bereich GCT in Deutschland bislang noch nicht ausreichend stattgefunden, u. a. aufgrund von mangelnden Synergieimpulsen und regionalen Unterschieden hinsichtlich der Genehmigungsverfahren. Trotz bemerkenswerter positiver Beispiele erfolgreicher GCT-Anwendungen, die hierzulande entwickelt wurden und werden, droht Deutschland bei der Wertschöpfung in diesem Bereich medizinischer Schlüsseltechnologien international den Anschluss zu verlieren. Talente und Firmen wandern zunehmend ins Ausland ab und führen ihre innovative Forschung und Entwicklung dort weiter. Hierdurch leidet auch die Attraktivität des Standorts Deutschland für nationale und internationale Investor*innen. Für die Versorgung von Patient*innen entstehen Risiken des unzureichenden oder sehr kostenintensiven Zugangs zu neuartigen Therapien.

Andere Länder wie etwa die USA, China, Großbritannien, aber auch Frankreich, Italien und Spanien haben wirksame Ökosysteme bis hin zu nationalen Strategien zur systematischen Wertschöpfung bei der Entwicklung neuartiger Therapien einschließlich GCT etabliert. Da das

Feld der GCT noch großes Entwicklungspotenzial aufweist und die kritische Masse der Akteure aus Akademie und Industrie beträchtlich ist, hat Deutschland die Möglichkeit, in diesem Bereich innovativer Pharmazie und Krankenversorgung eine führende Rolle zu erlangen. Voraussetzung ist, dass notwendige Maßnahmen definiert sowie schnell und entschieden eingeleitet werden. Dies erfordert eine enge Zusammenarbeit zwischen öffentlicher Hand und Privatwirtschaft einhergehend mit optimierter Vernetzung sowie der Bildung international attraktiver Entwicklungszentren. Regionale Initiativen zur Entwicklung von Technologietransferprogrammen können einen wichtigen Beitrag leisten – im Hinblick auf den internationalen Wettbewerb und die in unserem föderalen System weit verteilten Kompetenzen ist darüber hinaus die Entwicklung und Verstetigung einer Nationalen Strategie für GCT durch alle beteiligten Stakeholder erforderlich.

Zielstellung der Nationalen Strategie

Das Ziel der Nationalen Strategie für GCT ist die Erstellung eines **integrativen und lösungsorientierten Konzepts für den Standort Deutschland**. Dabei sollen alle Teile der translationalen Wertschöpfungskette unabhängig von speziellen Indikationen gestärkt und vernetzt werden – von der Grundlagenforschung bis hin zur Versorgung. Es gilt gemeinsam identifizierte Handlungsfelder zu stärken, die Reibungsflächen an Schnittstellen zwischen unterschiedlichen Bereichen der Wertschöpfungskette zu verringern, die bestehenden Prozesse und regulatorischen Verfahren zu optimieren und zu beschleunigen und für eine höhere Durchlässigkeit und kontinuierliche Interaktion zwischen den beteiligten Akteuren zu sorgen. Die europäischen und internationalen Rahmenbedingungen sind bei allen Überlegungen zu berücksichtigen, sollten jedoch anwender- und patientenfreundlich und so wenig bürokratisch wie möglich im föderalen System Deutschlands umgesetzt werden. Insbesondere sollte das bereits vorhandene Synergiepotenzial in den betrachteten Bereichen ausgeschöpft werden, um im europäischen und globalen Kontext die Position der Bundesrepublik und Europas nachhaltig zu stärken.

Das übergreifende Ziel der Strategie besteht vor allem darin, das Wohl der Patient*innen zu verbessern. Schließlich geben GCT vielen Patient*innen neue Hoffnung und Perspektive, insbesondere denjenigen, die unter schweren und/oder lebensbedrohlichen z. T. aber sehr seltenen Krankheiten leiden, für die es noch keine wirksamen Behandlungsoptionen gibt. Zentrale Aufgabe der Wissenschaft ist die sorgfältige und verantwortungsvolle Entwicklung neuer Verfahren unter Antizipation und Vermeidung potenzieller Risiken. Im Sinne der Versorgungsgerechtigkeit sollte gewährleistet werden, dass GCT in Form von klinischen Studien und zugelassenen Therapien indikationsgerecht allen Patient*innen im deutschen Gesundheitssystem zugänglich sind, einschließlich der notwendigen Transparenz hinsichtlich allgemeinverständlicher und evidenzbasierter Informationen.

Vorgehensweise und Prozess

Die Entwicklung der Nationalen Strategie für GCT einschließlich der strategischen Ziele und Maßnahmen erfolgte in einem umfangreichen sowie offenen Beteiligungsprozess im Multi-Stakeholder-Ansatz.

Dieser integrative Prozess ermöglichte die Abbildung von zahlreichen relevanten Perspektiven und innovationsfördernden Ideen von Akteuren aus Wissenschaft, Wirtschaft, Politik und Gesellschaft sowie von Verbänden, Behörden, Stiftungen, Ethikkommissionen und Patientenorganisationen. In einem iterativen Prozess wurden gemeinsam mit der GCT-Gemeinschaft acht inhaltliche Handlungsfelder identifiziert und entsprechende Arbeitsgruppen einberufen. Diese befassten sich detailliert mit den jeweiligen Themenbereichen, legten die strategischen Ziele fest und empfahlen konkrete Maßnahmen für die Implementierung. Die Erstellung der im vorliegenden Dokument beschriebenen Strategie wurde vom Berlin Institute of Health at Charité (BIH) im Auftrag des Bundesministeriums für Bildung und Forschung (BMBF) koordiniert. Dabei agierten die Arbeitsgruppen inhaltlich souverän und stimmten ihre Beiträge final untereinander ab. Insgesamt beteiligten sich mehr als 150 ausgewiesene Expert*innen aus ganz Deutschland in den Arbeitsgruppen aktiv an der Erstellung des vorliegenden Dokuments.

Die Nationale Strategie für GCT versteht sich dem Auftrag des BMBF gemäß als **multiperspektivisch erarbeitete Initiative mit politischer Zielsetzung und Nachhaltigkeit** für die Ressorts Bildung und Forschung, Gesundheit und Wirtschaft. Sie entstand vor dem Hintergrund aktueller Strategien und Gesetzesinitiativen des Bundes, insbesondere der Pharmastrategie, Hightech-Strategie, Start-up-Strategie und Zukunftsstrategie Forschung und Innovation sowie dem Gesundheitsdatennutzungsgesetz (GDNG), dem Forschungsdatengesetz (FDNG) und dem Medizinforschungsgesetz (MFG). Dabei erhebt das vorliegende Papier weder den Anspruch ein systematischer wissenschaftlicher Review oder eine ethisch-rechtliche Stellungnahme noch von partikularinteressenfreier Objektivität zu sein. Vielmehr handelt es sich dabei um eine **Darstellung der Bedingungen und Notwendigkeiten für die erfolgreiche Entwicklung und Anwendung von GCT** auf der Basis des Wissens, der Erfahrungen und der

Meinungen von Stakeholdern, die in die Praxis eingebunden sind. Alle angesprochenen und nicht angesprochenen ethisch, rechtlich oder sozial relevanten zentralen Themen sind vor diesem Hintergrund zu verstehen. Das Papier wurde aus der Perspektive Deutschlands als einem Standort geschrieben, der föderal organisiert ist und in Zukunft hoffentlich verstärkt föderiert agieren wird – mit Blick auf und in enger Zusammenarbeit mit Patient*innen und ihren Vertretungen sowie der Wissenschaft, Wirtschaft, Gesellschaft und Einrichtungen der globalen Gesundheitsversorgung.

Einzigartig an der hier entstandenen Strategie ist die interessengruppenübergreifende Konsensfindung, die den strategischen Zielen und konkreten Maßnahmen zugrunde liegt. Die Vielfalt der vorgeschlagenen Maßnahmen ist Ansporn und Anspruch zugleich: Ansporn für wohlüberlegte konzertierte Aktionen und die kluge Setzung von Schwerpunkten sowie der Anspruch, alle relevanten Akteure einzubinden, um den Erfolg des Vorhabens zu sichern. Das gemeinsame Anliegen aller Mitwirkenden an der Nationalen Strategie für GCT ist es, gemeinsam ein Hochtechnologiefeld mit einem hohen Potenzial zu entwickeln, welches zunehmende Bedeutung für die Gesundheitsversorgung gewinnen und zugleich bedeutende wissenschaftlich-technische Weiterentwicklungen durchlaufen wird. Das übergeordnete Ziel besteht darin, kausal wirkende, gesundheitsfördernde innovative Produkte und Anwendungen zu schaffen, die sicher, effizient, finanzierbar und breit verfügbar sind.

Die hier vorgelegte Strategie besitzt neben ihrem hohen Wert für das Wohl der Patient*innen und der Gesellschaft auch ein großes Potenzial für die industrielle Gesundheitswirtschaft und den Pharmastandort Deutschland – in Bezug auf Innovation, Forschung und Wirtschaft sowie insbesondere die Möglichkeit, Arbeitsplätze in Deutschland zu schaffen.

Erstellung des Dokuments

Das BIH fungierte im Auftrag des BMBF als Moderator und Katalysator des Entwicklungsprozesses der Nationalen Strategie für GCT. Im ersten Schritt der Strategieentwicklung wurde(n) sukzessive ein Entwurf für die Zielsetzung erstellt und inhaltliche Handlungsfelder ausgearbeitet, die das Grundgerüst der Nationalen Strategie bildeten. Die Herausforderungen in den jeweiligen Handlungsfeldern wurden skizziert, um die passenden strategischen Ziele und konkreten Maßnahmen entwickeln zu können. Die Zusammenstellung der Handlungsfelder und der sie konkretisierenden Beschreibungen erfolgte gemeinsam mit den Stakeholdern aus relevanten Bereichen im Rahmen von Diskussionen bei öffentlichen Veranstaltungen sowie auf der Basis von schriftlich geleistetem Feedback.

Es folgte ein weiteres Treffen zur Abstimmung Mitte Juni 2023 im Format eines „Runden Tisches“ unter Beteiligung organisierter Verbände und Interessenvertretungen, um sicherzustellen, dass ein breites Spektrum an Personen aus der GCT-Gemeinschaft in die Konsensfindung des Grundgerüsts der Nationalen Strategie involviert ist und so die unterschiedlichen Belange aller Beteiligten berücksichtigt werden können. Bei diesem Runden Tisch wurde die finale Version des Entwurfs abgestimmt und dem BMBF nach letzten Anpassungen am 30. Juni 2023 vorgelegt.

In der nächsten Phase ab Juli 2023 erhielten die Stakeholder die Möglichkeit, Personen für die Teilnahme an Arbeitsgruppen zu nominieren, in denen innerhalb der beschriebenen Handlungsfelder strategische Ziele sowie Maßnahmen mit konkreten Lösungsvorschlägen entwickelt werden sollten. Im Zeitraum von Oktober 2023 bis Juni 2024 erarbeiteten die Arbeitsgruppen unter koordinativer und moderierender Unterstützung des BIH in einem transparenten Prozess das Strategiedokument.

Im Mai 2024 wurden bei einem zweiten Runden Tisch die Ergebnisse der Arbeitsgruppen bezüglich der jeweiligen Handlungsfelder diskutiert und das Dokument unter Aufnahme der letzten Anmerkungen finalisiert. Die Veröffentlichung und Übergabe der Strategie an das BMBF erfolgte am 12. Juni 2024 mit dem Ziel, dass die vorgeschlagenen Maßnahmen durch die jeweiligen Akteure implementiert und umgesetzt werden können.

Folgende Inhalte wurden dabei für jedes Handlungsfeld erarbeitet:

- Ausgangslage und Herausforderungen
- Konkrete Lösungsvorschläge für die jeweils genannten Aspekte
- Identifikation der für die Umsetzung notwendigen Akteure
- Abschätzung des Ressourcenbedarfs
- Definition der Zeitlinie für die Umsetzung
- Benennung von messbaren Indikatoren, auf deren Basis die erfolgreiche Umsetzung der Maßnahmen rückblickend evaluiert werden kann

Übersicht über die identifizierten Handlungsfelder

Die Nationale Strategie für GCT wurde in Synergie multipler Stakeholder entwickelt und umfasst die hier dargestellten Handlungsfelder:

Handlungsfeld I „Vernetzung und Unterstützung der Stakeholder“:
Ausbau, Verbesserung und Defragmentierung der nationalen Vernetzungsstrukturen der GCT-Forschungs- und Entwicklungslandschaft mit allen beteiligten Partnern

Handlungsfeld II „Ausbildung und Kompetenzstärkung“:
Aufbau von Aus- und Weiterbildungsprogrammen für Nachwuchs- und Fachkräfte sowie Entwicklung von Karriere-, Gratifikations- und Interaktionskonzepten

Handlungsfeld III „Technologietransfer“:
Optimierung der Voraussetzungen und der Prozesse für einen leistungsfähigen Technologietransfer sowie der Bedingungen für Ausgründungen und Start-ups

Handlungsfeld IV „Standards, Normen und regulatorische Rahmenbedingungen“:
Optimierung von Standards für verantwortungsvolle präklinische und klinische Forschung und Entwicklung sowie von regulatorischen Rahmenbedingungen und der Qualitätssicherung für die Herstellung und Entwicklung von Produkten

Handlungsfeld V „Ausbau von Qualität und Kapazitäten im Bereich der Good Manufacturing Practice (GMP)-Produktion“:
Förderung von Aufbau und Vernetzung akademischer GMP-Kapazitäten sowie Stärkung der Interaktion mit privatwirtschaftlichen Produktionszentren, Gewinnung und Qualifikation von Fachpersonal und Sicherstellung von Lieferketten

Handlungsfeld VI „Forschung und Entwicklung“:
Optimierung der Rahmenbedingungen für präklinische und klinische Studien, Verbesserung der Einbindung von Patient*innen und Patientenorganisationen, Etablierung von neuartigen Förderformaten und Identifikation und gezielte Förderung von Zukunftsfeldern

Handlungsfeld VII „Marktzulassung und Übergang in die Versorgung“:
Strukturen für die Diagnostik, Behandlung und Nachbeobachtung von Patient*innen, Verbesserung der klinischen Anwendung von GCT und Überführung von GCT in die Regelversorgung

Handlungsfeld VIII „Interaktion mit der Gesellschaft“:
Schaffung von Interesse und Bereitstellung von verlässlichen Informationen zu GCT für die Gesellschaft, Förderung des geisteswissenschaftlichen Diskurses sowie die gezielte Förderung des Nutzenpotenzials von GCT durch verstärkte Einbeziehung und Beteiligung von Forschungsförderorganisationen, Stiftungen und spendenbereiter Zivilgesellschaft

Handlungsfeld I: Vernetzung und Unterstützung der Stakeholder

Zusammenfassung

Im Handlungsfeld I werden Konzepte und Maßnahmen zur Defragmentierung der GCT-Forschung sowie zum Aufbau einer nationalen Wertschöpfungskette vorgeschlagen. Diese Maßnahmen zielen darauf ab, die Entwicklung und Anwendung dieser Therapien über alle Lebensphasen und Fachbereiche hinweg zu fördern. Sie umfassen den Ausbau nationaler Vernetzungsstrukturen, die Interaktion mit politischen Entscheidungsträger*innen, die Zusammenarbeit zwischen Wissenschaft, Klinik, Industrie und anderen Akteuren sowie die Stärkung internationaler Verbindungen.

Ziel ist es, die Sichtbarkeit der Stakeholder und des Netzwerks zu erhöhen, die interdisziplinäre Zusammenarbeit zu fördern, umfassende Informationen zu GCT-Aktivitäten bereitzustellen und Diskussionen zur Stärkung der Wertschöpfungskette anzustoßen. GCT sollen als strategischer Schwerpunkt der Innovationspolitik positioniert werden, unterstützt durch Stärken-Schwächen-Analysen und intensive Kommunikation mit verschiedenen Interessengruppen.

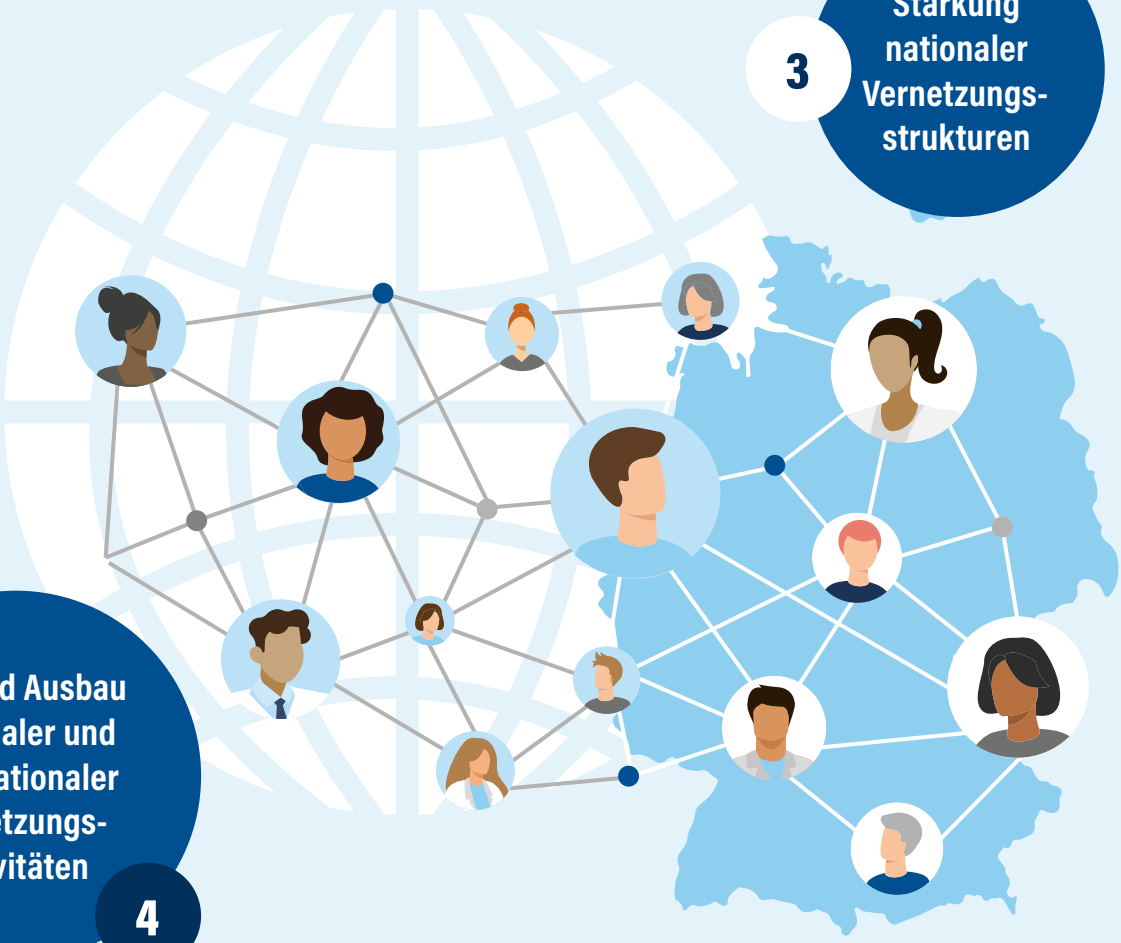
Die Umsetzung erfolgt in enger Abstimmung mit den Stakeholdern unter Begleitung der Arbeitsgruppen. Perspektivisch wird außerdem ein Vorschlag für eine Governance der Nationalen Strategie erstellt.

Die Koordinierung einiger der Maßnahmen erfolgt durch das nationale Netzwerkbüro für GCT. Meilensteine zur Zielerreichung sind unter anderem die Etablierung eines Runden Tisches der Stakeholder als offiziell eingesetztes Gremium von Expert*innen, eine nationale GCT-Landkarte, eine informative Webseite, ein klinisches Datenregister, regelmäßige Analysen, Netzwerktreffen, Fortbildungsveranstaltungen, Fortschrittsberichte und politische Informationsveranstaltungen. Zudem wird die Kommunikation mit Regulatoren, Patientenorganisationen, Kapitalgebern und anderen Akteuren auf nationaler und europäischer Ebene systematisch ausgebaut. Der Erfolg der Nationalen Strategie für GCT erfordert das Zusammenspiel vielfältiger Maßnahmen, die schrittweise implementiert werden müssen. Für das Handlungsfeld I stehen initial drei Maßnahmen im Vordergrund: 1) die Etablierung einer Governancestruktur unter Beteiligung der maßgeblichen Stakeholder (Bottom-up Ansatz), 2) die Erstellung einer GCT-Netzwerklandkarte, 3) die Erstellung eines jährlichen Fortschrittsberichts zur Nationalen Strategie GCT.

Koordinierte Umsetzung der Maßnahmen der Nationalen Strategie 1

Stärkung der politischen Verantwortung für das nationale Zukunftsthema GCT 2

3 **Stärkung nationaler Vernetzungs-strukturen**



Auf- und Ausbau nationaler und internationaler Vernetzungs-aktivitäten 4

Hintergrund

GCT besitzen als innovatives, technologisch hochkomplexes Feld der Medizin ein großes medizinisches und wirtschaftliches Potenzial. Um dieses Potenzial in Deutschland zu heben und in die breite klinische Versorgung der Bevölkerung zu überführen, müssen die vielfältigen nationalen Akteure mit ihren komplementären Expertisen auf mehreren Ebenen dieser neuen medizinischen Disziplin in einer übergeordneten Governancestruktur zusammengeführt, strategisch miteinander vernetzt und ihre Aktivitäten synergistisch verzahnt werden. Hierzu zählen u. a. die Grundlagenforschung auf dem Gebiet der genetischen Zellmanipulation, translationale Forschung zu Einsatzmöglichkeiten von GCT sowie klinische Testungen und Anwendungen. Bisher fehlt eine systematische Verzahnung der wesentlichen Akteure und Handlungsebenen.

Ein zentrales Element für die Etablierung und Finanzierung einer robusten Wertschöpfungskette für GCT-Produkte in Deutschland ist die Identifikation von Stärken und Schwächen und die Formulierung spezifischer Bedarfe. Hierzu sind eine systematische Erfassung und Darstellung der Akteure und Aktivitäten sowie bestehender Engpässe erforderlich. Unabdingbar sind darüber hinaus enge Abstimmungsprozesse zwischen akademischer und außeruniversitärer, sowie pharmazeutischer Forschung, pharmazeutischer Industrie, Wagniskapitalgeber*innen, Patientenorganisationen sowie den Kostenträgern. Sie müssen entwickelt und langfristig aufrechterhalten werden. Schließlich ist ein kontinuierlicher Austausch mit Landes- und Bundesbehörden zur Festlegung günstiger regulatorischer Rahmenbedingungen für die klinische Erprobung und Einführung innovativer GCT-Produkte notwendig.

Zur nachhaltigen Entwicklung einer innovativen, medizinisch und gesundheitsökonomisch starken GCT-Landschaft in Deutschland braucht es eine strategische Abstimmung flankierender politischer Maßnahmen des Bundes und der Länder. Hierzu gehören bundesweit einheitliche Rahmensetzungen genauso wie gezielte Maßnahmen zur Stärkung der Innovationskraft und der Wertschöpfungskette. Voraussetzung für eine erfolgreiche Innovationspolitik ist eine umfassende Information und Beratung politischer Entscheidungsträger auf Bundes- und Landesebene in den Bereichen Wissenschaft, Gesundheit und Wirtschaft.

Der Erfolg der Nationalen Strategie für GCT hängt maßgeblich von internationalen Rahmenbedingungen, insbesondere auf europäischer Ebene ab. Diese umfassen u. a. gesetzliche Regelwerke, Verfügbarkeit von Ausgangsstoffen und Herstellungskapazitäten sowie Zugang zu klinischen Kohorten und Studiengruppen. Daher muss die Nationale Strategie für GCT auf internationale Entwicklungen im Feld reagieren und Potenziale, die sich durch internationale Kooperationen bieten, konsequent nutzen.

Übergreifend wurden für das Handlungsfeld vier strategische Ziele definiert:

Strategische Ziele

1. Koordinierte Umsetzung der Maßnahmen der Nationalen Strategie
2. Stärkung der politischen Verantwortung für das nationale Zukunftsthema GCT
3. Stärkung nationaler Vernetzungsstrukturen
4. Auf- und Ausbau nationaler und internationaler Vernetzungsaktivitäten

Strategisches Ziel 1:
Koordinierte Umsetzung der Maßnahmen der Nationalen Strategie

Erläuterung Ziel:

Das Gebiet der GCT ist ein wichtiger Baustein der modernen Medizin und entwickelt sich weltweit mit sehr hoher Dynamik. Dabei werden alle Bereiche der Translation (von der Entwicklung und klinischen Erprobung bis zur Anwendung und Verwertung) vor große, häufig für das Fachgebiet spezifische, neue Herausforderungen gestellt, die im nationalen und internationalen Wettbewerb sehr unterschiedlich adressiert werden. Deutschland läuft dabei Gefahr, den Anschluss zu verlieren bzw. nicht mehr aktiv in diese Entwicklungen einbezogen zu werden. Deshalb zielt die Nationale Strategie für GCT auf die Bündelung von Kompetenzen am Standort Deutschland und damit auf die flexible Anpassung, Beschleunigung und Qualitätssteigerung von Entwicklungs- und Transferprozessen ab. Zur Behebung der in der Strategie genannten bestehenden Struktur- und Handlungsdefizite bedarf es einer zentralen Koordinierung der Umsetzung der Handlungsempfehlungen sowie der Einsetzung eines ständig aktiven Rats von Expert*innen, der alle wesentlichen Stakeholder einbezieht, um neu auftretende Hemmnisse zeitnah zu erkennen und weitere Reaktions- und Förderbedarfe aufzuzeigen. Dazu soll eine lösungsorientierte Netzwerkstruktur etabliert werden, die in der Lage ist, bislang föderal und institutionell parallel oder gar getrennt agierende Akteur*innen aus Wissenschaft und Industrie zusammenzuführen.

Maßnahme 1:
Etablierung einer Governancestruktur zur Umsetzung der Strategie

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Bundesministerium für Bildung und Forschung (BMBF), Runder Tisch der Stakeholder

Beschreibung Maßnahme:
Die am Prozess beteiligten Stakeholder entwickeln für das weitere Vorgehen eine Steuerungsstruktur zur Umsetzung der Maßnahmen der Nationalen Strategie. Als Übergangsstruktur soll hierzu der für die Strategie einberufene Runde Tisch der Stakeholder weitergeführt werden. Unter Einbeziehung aller wesentlichen Stakeholder wird eine Struktur geschaffen, die auf der Basis einer Chancen-Risiko-(Strengths, Weaknesses, Opportunities, Threats, SWOT)-Analyse geeignete Maßnahmen zur Ertüchtigung der GCT-Wertschöpfungskette (z. B. eine neue Hightech-Strategie des BMBF für Wissenschafts- und Industrieverbünde, die Ausschreibung translationaler Forschungsverbünde, den Zugang zu freien Herstellungskapazitäten und Infrastrukturen bzw. die interdisziplinäre Vernetzung über die gesamte Wertschöpfungskette hinweg) ermittelt und koordiniert. Als Teil dieser Struktur wird der Runde Tisch der Stakeholder z. B. in Form eines offiziell eingesetzten **ständigen Rats oder einer Kommission von Expert*innen für GCT** verstetigt, um die notwendige Breite und Aktualität der Strategieempfehlungen in diesem hochdynamischen und innovativen Zukunftsfeld sicherzustellen. Die Zusammensetzung des Rats von Expert*innen für GCT wird regelmäßig auf Aktualität überprüft. Die Vertreter*innen sollten ein klares Mandat ihrer entsendenden Organisationen haben und konkrete Anliegen bilateral zwischen Expertenrat und den jeweiligen Organisationen abstimmen. Eine eigene Geschäftsstelle unterstützt die Arbeit des Rats. Das Netzwerkbüro lässt den Mitgliedern des Runden Tisches sowie weiteren Interessierten über einen Newsletter regelmäßig aktuelle Informationen zukommen.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Kurzfristig (innerhalb eines Jahres): Etablierung des Rats, um wesentliche Weichenstellungen und Ressourcenzuweisungen umzusetzen
- Einrichtung einer Geschäftsstelle für die Erstellung notwendiger Arbeitspapiere sowie zur administrativen Unterstützung der Maßnahmen und Expert*innen
- Finanzielle Ausstattung für die Organisation, Durchführung und Einberufung des Rats für GCT (inklusive Reise- und Organisationsmitteln)
- Die für die Geschäftsstelle benötigten Mittel werden auf einen mittleren sechsstelligen Betrag (Personal- und Sachkosten) pro Jahr geschätzt

Erfolgsindikatoren

- Effektive Umsetzung der Maßnahmen der Nationalen Strategie für GCT

Strategisches Ziel 2:
Stärkung der politischen Verantwortung für das nationale Zukunftsthema GCT

Erläuterung Ziel:

Das Thema GCT wurde in Deutschland bisher unterschätzt, obwohl es große Bedeutung in den Bereichen Gesundheit, Forschung und Wirtschaft hat. Obwohl es Aktivitäten und Kommunikation auf verschiedenen Ebenen gibt, fehlt doch ein ganzheitlicher Blick auf die Wertschöpfungskette, was die strategische Abstimmung von politischen Maßnahmen behindert. Die Bundesregierung hat diese Notwendigkeit nun erkannt und plant, GCT als strategischen Schwerpunkt zu definieren. Ziel ist es, bundesweit einheitliche Rahmenbedingungen zu schaffen und die Innovationspolitik zu verbessern, um die Wettbewerbsfähigkeit Deutschlands zu erhöhen.

Maßnahme 1:
Jährlicher Fortschrittsbericht zur Nationalen Strategie für GCT

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
BMBF, Runder Tisch der Stakeholder, Arbeitsgruppe (AG) I, Vertreter*innen aus der GCT-Gemeinschaft

Beschreibung Maßnahme:
Aufbauend auf der Nationalen Strategie für GCT sollte die Bundesregierung einen jährlichen Fortschrittsbericht über das Technologiefeld der GCT erstellen lassen. Das GCT-Netzwerk, repräsentiert z. B. durch das nationale Netzwerkbüro, wird diesen dann entsprechend ausarbeiten. Der Bericht soll der Bundesregierung die Möglichkeit geben, ggf. Maßnahmen mit den Fachministerkonferenzen der Länder zu beraten. Der Bericht verschafft den Akteur*innen aus Forschung, Gesundheitsversorgung, Wirtschaft und Finanzen einen Überblick über die aktuellen Schwerpunkte und Entwicklungen im hoch innovativen Themenfeld der GCT. Er dokumentiert die erreichten Ziele und benennt ausstehende Maßnahmen auf Bundes- und Landesebene. Eine enge, ressortübergreifende Abstimmung auf Ebene der Staatssekretär*innen ist zwingend erforderlich, um eine zukunftsorientierte Forschungs- und Innovationspolitik zu erreichen. Idealerweise finden diese Gespräche kontinuierlich und regelmäßig als „GCT-Runde der Staatssekretär*innen“ statt.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Mittelfristig (2 Jahre)
- Die Erstellung setzt die politische Bereitschaft zur Umsetzung, das Vorhandensein von Personal im nationalen Netzwerkbüro, bei den Netzwerkpartnern und AGs sowie Abstimmungen mit Regierungsvertreter*innen voraus

Erfolgsindikatoren

- Implementierung der GCT-Thematik in den Ministerkonferenzen
- Beratung in den Plenarsitzungen von Bundestag und Landesparlamenten

Maßnahme 2:
Unterjährige Maßnahmen zur Vermittlung der Erfolge des Nationalen Netzwerks GCT gegenüber der Politik auf Bundes- und Landesebene

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Runder Tisch der Stakeholder, nationales Netzwerkbüro, Vertreter*innen aus der GCT-Gemeinschaft

Beschreibung Maßnahme:
Die Akteure der Bundes- und Landespolitik werden regelmäßig schriftlich über die erreichten Erfolge des Netzwerks informiert (z. B. über neue Forschungsansätze, klinische Studienprogramme, Ausgründungen, Clusterinitiativen, Kooperationsprojekte, Zulassungen von GCT in Deutsch-

land im Vergleich zu EU und weltweit). Die entsprechenden Berichte enthalten auch Hinweise zu notwendigen Rahmenbedingungen für die Fortführung der Projekte. Zusätzlich werden Musterpräsentationen erstellt, die regelmäßig aktualisiert und mit Informationen aus Bundesforschungsberichten, Deutsche Forschungsgemeinschaft (DFG-) Förderatlanten und Industrieberichten angereichert werden, um politische Gesprächspartner*innen und Netzwerkpartner*innen einzubeziehen.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Kurzfristig (1 Jahr)
- Die unterjährige Erstellung und Verbreitung der Unterlagen erfordert die anhaltende professionelle Redaktion und Edition durch das nationale Netzwerkbüro oder die Geschäftsstelle der Governancestruktur sowie die Beratung durch einschlägig erfahrene Netzwerkpartner*innen

Erfolgsindikatoren

- Analyse des Informationsstands der Adressaten in Bezug auf GCT-Belange (ggf. durch das nationale Netzwerkbüro zu beauftragen)

Maßnahme 3:
Politische Informationsveranstaltungen an Innovationsstandorten

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Vertreter*innen aus der GCT-Gemeinschaft, nationales Netzwerkbüro

Beschreibung Maßnahme:

Auf Bundes- und Länderebene bestehen etablierte Gesundheitsinitiativen, die Expertise aus Wissenschaft, Gesundheitswesen, Regionalpolitik und Industrie bündeln. Dazu gehören z. B. das „Forum Gesundheitsstandort Baden-Württemberg“, die „Initiative Gesundheitsindustrie Hessen“, der „Bayerische Pharmagipfel“, der „Round Table Gesundheitswirtschaft beim Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz (BMWK)“ und das „Institute for Biomedical Translation Lower Saxony“. Diese Cluster sind mit der Bundes- und Landespolitik eng verbunden. Die Nationale Strategie für GCT wird diese Strukturen nutzen, um die Potenziale von GCT in der Gesundheitsforschung zu betonen. Sie plant, ausgewählte Themenschwerpunkte beispielsweise in parlamentarischen Veranstaltungen und Fachgesprächen zu diskutieren. Die Innovationsstandorte des „Netzwerks GCT“ werden sich der Fach- und politischen Öffentlichkeit als „Schaufenster“ zur Verfügung stellen, um Anwendungsbereiche von GCT vorzustellen, die sonst zu wenig Beachtung finden. Ein Beispiel dafür ist die Diskussion über Gentherapien in der Kinder- und Jugendmedizin.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Kurzfristig (1 Jahr)
- Angebote für Veranstaltungen können zunächst von einzelnen Netzwerkpartner*innen ausgehen und von diesen eigenständig organisiert werden. Später sollten entsprechende lokale Veranstaltungen unter Einbeziehung weiterer Partner*innen im Netzwerk koordiniert und beworben werden

Erfolgsindikatoren

- Teilnahme, Rückmeldungen der eingeladenen Gesprächspartner*innen

Maßnahme 4:
Kontaktaufbau und -pflege mit deutschen Vertreter*innen in EU-Gremien und -Ausschüssen

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Runder Tisch der Stakeholder und Vertreter*innen aus der GCT-Gemeinschaft mit bestehenden Kontakten auf EU-Ebene, BMBF

Beschreibung Maßnahme:

Europa setzt den Rahmen. Daher ist ein kontinuierlicher Kontakt des nationalen Netzwerkbüros zu Vertreter*innen der Europäischen Kommission des EU-Parlaments von Bedeutung. Die Kommission regelt die EU-Zulassung und Genehmigung von Advanced Therapy Medicinal Products (ATMP), stellt Fördermittel für die Erforschung von GCT zur Verfügung und unterstützt die europäische Gesundheitsversorgung durch Programme zur Verbesserung der Versorgung mit innovativen Gesundheitsprodukten in Europa (EU-Ausschreibungsprogramme, neue Förderlinien wie Kofinanzierungen klinischer Entwicklungen durch EU und Industrie sowie Pharmafirmen). Deutsche Vertreter*innen unter Einbeziehung der Kontakte der Netzwerkpartner*innen in einschlägigen EU-Gremien und -Ausschüssen sollten hierzu gezielt angesprochen werden.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Kurzfristig (1 Jahr)
- Personelle Ressourcen im nationalen Netzwerkbüro zur Koordination (und Umsetzung) der Lobbyarbeit und Kommunikation mit den Netzwerkpartner*innen, insbesondere EU-Büros der Wissenschafts- und Pharmaorganisationen, die teilweise diese Kontakte für das GCT-Netzwerk (unter Einbeziehung der AGs) übernehmen könnten

Erfolgsindikatoren

- Berücksichtigung der GCT-Thematiken in EU-weiten Förderlinien, Ausschreibungen, Gesetzgebung etc.

Strategisches Ziel 3:
Stärkung nationaler Vernetzungs-strukturen

Erläuterung Ziel:

Die Kommunikation und Vernetzung zwischen den Stakeholdern erfolgt durch individuelle Kooperationen, temporäre Forschungsverbünde, institutionalisierte Forschungsverbünde (wie das Nationale Centrum für Tumorerkrankungen und das Bayerische Zentrum für Krebsforschung), medizinische Fachgesellschaften und wissenschaftliche Kongresse. Es gibt jedoch nur wenige systematische Vernetzungen zwischen stammzellbasierten Ansätzen (z. B. ESC-Parkinson-Therapie, iPSC-Herzpflaster), vektorbasierten Gentherapieansätzen (z. B. bei 5qSMA, Sichelzellanämie, PCSK9, DMD) und (stamm)zellbasierten Gentherapieansätzen, einschließlich neuerer Ansätze der Gen-Immuntherapie (z. B. Chimeric Antigen Receptor- (CAR-) T-Zellen). Ein regelmäßiger, institutionalisierter Austausch mit einem umfassenden Themen- und Maßnahmenkatalog findet bisher nicht statt.

Ziel: Die interdisziplinäre Vernetzung aller Stakeholder und relevanter Cluster sollte eine umfassende und schnelle Information über lokale, überregionale und nationale GCT-Aktivitäten ermöglichen, die Sichtbarkeit der Stakeholder erhöhen sowie Diskussionen und Lösungsansätze zur Verbesserung der Infrastrukturen, Produktivität und Sichtbarkeit der Stakeholder im Sinne des nationalen Interesses katalysieren.

Maßnahme 1:
Etablierung einer zentralen Anlaufstelle (GCT-Website) mit strukturierten Informationen über alle Stakeholder

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Nationales Netzwerkbüro in Abstimmung mit dem Runden Tisch der Stakeholder

Beschreibung Maßnahme:
Eine zentrale GCT-Website bietet strukturierte Informationen über relevante GCT-Stakeholder einschließlich ihrer Ziele, Leistungen und Position in der GCT-Landschaft (siehe auch Handlungsfeld VIII, strategisches Ziel 1, Maßnahme 1). Eine GCT-Landkarte, Medienbeiträge und eine Jobbörse sind ebenfalls verfügbar. Die Inhalte werden von den Arbeitsgruppen bereitgestellt und die Stakeholder sind angehalten, ähnliche Informationen auf ihren eigenen Websites im GCT-Design zu präsentieren. Ein Netzwerkkalender und ein Newsletter mit relevanten Informationen stehen ebenfalls zur Verfügung. Schlüsselinformationen zur internationalen Entwicklung des GCT-Feldes, insbesondere im EU-Raum, u. a. mit Informationen zu zugelassenen Produkten, laufenden klinischen Studien, sowie Industrieunternehmen aus dem Pharma- bzw. Biotech-Bereich werden z. T. im Rahmen anderer Initiativen bereits vorgehalten und sollten auf der GCT-Website gut sichtbar verlinkt werden.

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Kurzfristig (1–2 Jahre)
- Aufbau parallel zur GCT-Landkarte
- Erstellung erfordert zusätzliche Personalressourcen im nationalen Netzwerkbüro, die Beauftragung Dritter mit der Website-Programmierung und Designerstellung sowie die erhebliche Abstimmung mit den und Zuarbeit durch die Netzwerkpartner*innen
- Langfristige Pflege der Website erforderlich

Erfolgsindikatoren
- Freischaltung der Website (bis 2026)
- Nutzungsprofil der Website

Maßnahme 2:
Nationale GCT-Landkarte mit den relevanten Stakeholdern, Strukturen und sonstigen Akteuren sowie deren funktionellen Interaktionen

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Nationales Netzwerkbüro in Abstimmung mit dem Runden Tisch der Stakeholder

Beschreibung Maßnahme:
Die Landkarte bietet eine strukturierte Übersicht über relevante GCT-Akteure. Dazu gehören z. B. der Runde Tisch, akademische Gruppen, Forschungseinrichtungen, Produktionsstätten, klinische Behandlungseinrichtungen, Biotech- und Pharmafirmen, Regulierungsbehörden, Ethikkommissionen, Kapitalgeber und Fachverbände. Sie schließt Forschungsverbünde, Gentherapieprodukte, Zellprodukte und klinische Studien ein. Strukturierung und Qualitätssicherung erfolgen durch ein gewähltes Gremium unter Einbeziehung der AG I und des nationalen Netzwerkbüros. Die Landkarte wird vom Netzwerkbüro erstellt und gepflegt und enthält Links zu den Webseiten der Akteure.

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Kurzfristig (1 Jahr)
- Das nationale Netzwerkbüro sollte hierfür notwendiges Personal einsetzen sowie zur graphischen Gestaltung und Programmierung der Navigation und Verlinkungen externe Aufträge vergeben können
- Langfristig ist die kontinuierliche Pflege der Landkarte zu gewährleisten

Erfolgsindikatoren
- GCT-Netzwerklandkarte mit Navigationsinstrumenten und Verlinkungen ist öffentlich zugänglich
- Langfristig: Besuchsprofil der Landkarte

Maßnahme 3:
Analyse der Netzwerkkomponenten und ihrer Vernetzung mit anschließender SWOT-Analyse

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Runder Tisch der Stakeholder, nationales Netzwerkbüro

Beschreibung Maßnahme:
Die Ziele, Aufgaben und bestehenden Netzwerke der GCT-Stakeholder werden erfasst und auf Kongruenz oder potenzielle Zielkonflikte untersucht. Ansprechpartner*innen werden in allen GCT-Arbeitsgruppen identifiziert, um strategische Inkongruenzen zu minimieren. Eine SWOT-Analyse in direktem Austausch mit den jeweiligen Standorten, möglicherweise unterstützt durch externe Gutachten, bewertet das Netzwerk und ermittelt Potenziale sowie Engpässe in der nationalen GCT-Wertschöpfungskette im internationalen Vergleich. Die Analyse bildet die Grundlage für Maßnahmen zur Stärkung der Wertschöpfungskette, die alle betroffenen Fachgebiete auf Bundes- und Landesebene einbeziehen. Die Wirksamkeit der Maßnahmen wird durch kontinuierliches Monitoring überprüft.

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Die Analyse beginnt nach Festlegung der Netzwerkpartner und weiterer Komponenten
- Eine erste (Zwischen)bilanz sollte kurzfristig erarbeitet werden (1 Jahr) und als Ausgangspunkt für das weitere Vorgehen sowie die Einleitung gezielter Maßnahmen dienen
- Im ersten Schritt werden vor allem personelle Ressourcen (Arbeitszeit) der beteiligten Netzwerkpartner sowie die Dienste eines koordinierenden und moderierenden Akteurs (Netzwerkbüro) oder externen Auftragnehmers benötigt

Erfolgsindikatoren
- Zwischen- und Abschlussberichte des zuständigen Gremiums, abgeleitete Handlungsfelder zur Verbesserung der Kongruenz des Netzwerks
- SWOT-Analyse und daraus abgeleitete Maßnahmen

Maßnahme 4:
Platzierung von GCT-Netzwerkanliegen in der nationalen Wissenschaftsgemeinschaft, Netzwerkveranstaltungen

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Mitglieder des Runden Tisches der Stakeholder, Allianz der Wissenschaftsorganisationen, Fachgesellschaften, nationales Netzwerkbüro

Beschreibung Maßnahme:
Die Nationale Strategie für GCT und ihre Themen sollten in der Wissenschaftsgemeinschaft eingehend diskutiert werden. Hierzu sollte das Thema in den Kongressen der einschlägigen Fachgesellschaften, des Netzwerks Universitätsmedizin (NUM) und der Deutschen Zentren für Gesundheitsforschung (DZG), aber auch in den nationalen Wissenschaftsorganisationen wie dem Wissenschaftsrat, der Leopoldina, den Landesakademien und der DFG platziert werden. Außerdem sollten thematisch passende wissenschaftliche Förderprogramme initiiert werden. Darüber hinaus wird ein regelmäßiges GCT-Treffen organisiert, durch das der persönliche Austausch der Netzwerkpartner und ihrer Vertreter*innen gefördert werden soll.

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Kurzfristig (1 Jahr)
- Erforderlich ist geeignetes Informationsmaterial als Diskussionsgrundlage (Musterpräsentationen, Positionspapiere etc.), das in Kooperation mit dem nationalen Netzwerkbüro (für das Corporate Design) durch die Netzwerkpartner (ggf. innerhalb der AGs) zu erstellen ist

Erfolgsindikatoren
- Positionierung des GCT-Themas in den o. g. Veranstaltungen

Strategisches Ziel 4:
Auf- und Ausbau nationaler und internationaler Vernetzungsaktivitäten

Erläuterung Ziel:
Die Interaktion zwischen Wissenschaft, Klinik, Industrie, Investoren, Behörden, Patientenorganisationen und medizinischen Fachorganisationen auf nationaler und internationaler Ebene kann verbessert werden. Es gibt zwar Verbindungen zwischen den Stakeholdern, diese sind jedoch meist unregelmäßig und nicht systematisch. Die internationale Vernetzung erfolgt fragmentiert durch Fachgesellschaften, Forschungseinrichtungen, Regulierungsbehörden, Forschungsverbünde und Kooperationen sowie durch die Beteiligung von VC-Firmen und Pharmaunternehmen an nationalen Assets und klinischen Studien. Es fehlt jedoch an einer systematischen Integration und Entwicklung dieser Interaktionen.

Ziel: Der Informationsaustausch zwischen verschiedenen Akteuren soll verbessert werden, um Innovationen schneller voranzutreiben und neue Therapiemöglichkeiten sicher und effektiv einzusetzen. Für GCT ist die Zusammenarbeit verschiedener Akteure wie Patientenvertretungen, Forschungseinrichtungen, Regulierungsbehörden, Industrie und Politik entscheidend. Neben dem Runden Tisch im Rahmen des nationalen Strategieprozesses sind vertiefende Austauschformate und Partnerschaften erforderlich. Ziel ist es, die Sichtbarkeit und Relevanz deutscher GCT-Aktivitäten zu erhöhen, um u. a. Drittmittel für Forschung zu gewinnen und Deutschland als führenden Initiator von klinischen Forschungsprogrammen zu etablieren. Dies erfor-

dert eine Stärkung von Public-private Partnerships, die Nutzung internationaler Ressourcen und eine aktive Beteiligung an europäischen Zulassungs- und Gesetzgebungsverfahren.

Maßnahme 1:
Information von nationalen und internationalen Patientenvertretungen

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Nationales Netzwerkbüro, Runder Tisch der Stakeholder, Vertreter*innen aus der GCT-Gemeinschaft

Beschreibung Maßnahme:
Zwar gibt es keine spezifische Patientenorganisation für GCT, aber für immer mehr Krankheitsbilder wird dies zu einer relevanten Therapieoption. Übergeordnete Patientenvertretungen sollen weiterhin in den Strategieprozess einbezogen werden. Weitere Patientenorganisationen in verschiedenen Bereichen sollten identifiziert und angesprochen werden. Schulungsangebote zu GCT sollten für Vertreter*innen von Patientenorganisationen bereitgestellt und finanziell gefördert werden (siehe auch Handlungsfeld II, strategisches Ziel 1, Maßnahme 1). Eine speziell geschulte Referentin oder ein speziell geschulter Referent sollte niedrigschwellige Informationsangebote wie Websites, Broschüren oder Veranstaltungen erstellen. Auf EU-Ebene sollten europäische Patientenorganisationen aktiv über das Thema informiert werden, z. B. durch persönliche Kontakte, Handreichungen oder Online-Veranstaltungen (siehe auch Handlungsfeld VIII, strategisches Ziel 1, Maßnahme 4).

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Kurzfristig (1 Jahr)
- Personal für Erstellung und Verbreitung des Informationsmaterials, regelmäßige (jährliche) Crosschecks und ggf. Updates, finanzielle Ressourcen zur Durchführung von Schulungen
- Kurzfristig erforderlich ist geeignetes Informationsmaterial in den jeweiligen Landessprachen
- Hierzu sind personelle Ressourcen im Bereich Öffentlichkeitsarbeit (ggf. externe Beauftragung) sowie die Zuarbeit der Netzwerkpartner (insbesondere von klinischen Einrichtungen und Studiennetzwerken) einzuplanen
- Die Kontaktaufnahme könnte über nationale Patientenorganisationen im GCT-Netzwerk, über internationale Studiengruppen sowie über das nationale Netzwerkbüro erfolgen. Hierfür ist ggf. Personal einzuplanen

Erfolgsindikatoren
- Teilnahme an Patientenveranstaltungen
- Nachfrage nach Informationsmaterial
- Ggf. Aufrufe der spezifischen GCT-Webseiten
- Aufgreifen des GCT-Themas durch internationale Patientenverbände in deren Veranstaltungen, Positionierung dieser Verbände gegenüber eigenen Regierungen und der EU

Maßnahme 2:
Information von Patient*innen

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Nationales Netzwerkbüro

Beschreibung Maßnahme:
Es sollte ein allgemeinverständliches Informationsangebot in Form etablierter (z. B. Patientenmagazin) und/oder neuer Medienformate (Videos etc.) etabliert werden, mit dem die Bevölkerung und insbesondere auch Patient*innen über Möglichkeiten und Risiken sowie aktuelle Entwicklungen im Bereich der GCT informiert werden. Als Vorbild könnte der Newsletter der dsai.de (Patientenorganisation für angeborene Immundefekte) gelten (siehe auch Handlungsfeld VIII, strategisches Ziel 1, Maßnahme 4).

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Kurzfristig umsetzbar (1 Jahr)
- Mittelfristig (1–3 Jahre): Ausbau über die gesamte Breite der möglichen Anwendungen hinweg
- Ressourcen zur Erstellung des Informationsmaterials in Form externer Beauftragung unter Einbeziehung ausgesuchter Netzwerkpartner, Koordination durch das nationale Netzwerkbüro wäre hilfreich

Erfolgsindikatoren
- Abrufe von Informationen auf der Website des Netzwerks
- Kontaktierungen durch Patientenvertreter*innen
- Rückfragen an Kontaktpersonen

Maßnahme 3:
Information internationaler/europäischer klinischer Forschungsgruppen

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Nationales Netzwerkbüro, Vertreter*innen aus der GCT-Gemeinschaft

Beschreibung Maßnahme:
Studiengruppen und Netzwerke (European Organisation for Research and Treatment of Cancer (EORTC), European Reference Networks (ERNs) etc.) sollen auf die Aktivitäten des GCT-Netzwerks hingewiesen werden, um die deutsche Beteiligung an internationalen klinischen Studien einerseits und internationale Beteiligungen an deutschen GCT-Studien andererseits zu verstärken. Hierzu könnten u. a. die Bereitstellung krankheitsspezifischer Hyperlinks zu nationalen Studiengruppen beitragen. Gegebenenfalls sollte die internationale Kooperation bei klinischen Studien durch spezifische Ressourcen (Joint Action, Kofinanzierungen durch Deutsche Krebshilfe (DKH), BMBF, DFG etc.) unterstützt werden.

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Mittelfristig (2–3 Jahre)
- Informationen werden über in internationalen Netzwerken aktive Netzwerkpartner mit administrativer Unterstützung des nationalen Netzwerkbüros platziert
- Geringfügiger Personalaufwand im nationalen Netzwerkbüro

Erfolgsindikatoren
- Beteiligung von Standorten des GCT-Netzwerks an internationalen Studien

Maßnahme 4:
Informationsaustausch mit nationalen und internationalen Regulatoren

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Nationales Netzwerkbüro, Vertreter*innen aus der GCT-Gemeinschaft

Beschreibung Maßnahme:
Um die Anforderungen der Genehmigungsprozesse präsent und die Aufsichtsbehörden nah am Innovationsprozess zu halten, ist der Austausch mit Bundesoberbehörden (BOB) wie dem Paul-Ehrlich-Institut (PEI) wichtig. Vertreter*innen der Aufsichtsbehörden sollten regelmäßig zu Netzwerkkongressen eingeladen werden, um regulatorische Aspekte zu diskutieren. Regulator*innen sollten für gemeinsame Veranstaltungen wie die „PEI-Days“ gewonnen werden. Auch mit GCT-spezialisierten Ethikkommissionen sollte ein Austausch stattfinden, um nationale Gesetzgebung zu reflektieren und Best-Practice-Beispiele zu identifizieren.

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Kurzfristig (1 Jahr)
- Koordination der Meetings durch Netzwerkpartner (Stakeholder, Runder Tisch, AGs) in Abstimmung mit dem nationalen Netzwerkbüro
- Für größere Meetings sind zentrale Ressourcen zur Organisation und Durchführung erforderlich
- Kurzfristig (1–1,5 Jahre): Koordination und Organisation eventuell durch AG IV-Regulatorik möglich
- Die Ressourcen für Veranstaltungen (Einladung internationaler Regulatorikvertreter*innen) müssten zentral aufgebracht werden

Erfolgsindikatoren
- Anpassung/Vereinfachung von Zulassungsprozessen für GCT-Verfahren
- Erreichung durchschnittlicher Verfahrensdauern
- Erfolgsquoten, Erfahrungsberichte von GCT-Produzenten über den Zulassungsprozess
- Anpassung und Vereinfachung der nationalen Umsetzungspraxis
- Erhöhung der Anzahl von und Beschleunigung der Antragsverfahren

Maßnahme 5:
Ansprache von nationalen und internationalen Investor*innen und Geldgeber*innen

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Nationales Netzwerkbüro, Vertreter*innen aus der GCT-Gemeinschaft

Beschreibung Maßnahme:
Das Netzwerk sollte gezielt Informationen zu Technologietransfer-Richtlinien, projektfähigen Kooperationen und laufenden klinischen Studien bereitstellen, auch durch lokale Informationsangebote. Regelmäßige „Investment Days“, sowie ein regelmäßig tagender Runder Tisch könnten Wissenschaft, Pharmaunternehmen, Venture Capital (VC)-Geber und Regierungsvertreter*innen des Bundes und der Länder zusammenbringen, um präklinische Therapiekonzepte und Start-up-Ideen zu präsentieren und Finanzierungsmöglichkeiten für klinische Entwicklungen, sowie deren Unterstützung durch Bundes-, und Landesmittel zu diskutieren. Auf nationaler Ebene könnten spezielle

Veranstaltungen zur Akquise internationalen Kapitals für die Entwicklung einer GCT-Gründerszene stattfinden.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Kurzfristig (1 Jahr)
- Koordination durch spezifische AGs der Nationalen Strategie, Zuarbeit durch die Netzwerkpartner
- Zentrale Ressourcen für einheitliche Darstellung mit Corporate Design (Template)
- Investment Days könnten durch teilnehmende Investor*innen finanziert werden

Erfolgsindikatoren

- Erfolgreiche Finanzierungsrunden für GCT-Start-ups, Medikamentenentwicklungen und klinische Studien

Maßnahme 6:
Austausch und Kooperation mit Public-private Partnership (PPP)-Initiativen, insbesondere der europäischen Innovative Medicines Initiative (IMI)

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Nationales Netzwerkbüro

Beschreibung Maßnahme:

Die europäische IMI ist die weltweit größte PPP im Bereich der Biowissenschaften zwischen der Europäischen Kommission und Partnern aus Wissenschaft, Industrie und Patientenorganisationen. Die Initiative zielt darauf ab, die Entwicklung und den Zugang zu innovativen Arzneimitteln einschließlich GCT zu verbessern. Sie fördert die interdisziplinäre Zusammenarbeit zwischen allen an der Forschung beteiligten Akteuren (Universitäten, Forschungszentren, Pharma- und anderen Industrieunternehmen, kleine und mittlere Unternehmen, Patientenorganisationen und Arzneimittelregulierungsbehörden). Die Vorschläge des GCT-Netzwerks sollten hier gezielt eingebracht werden.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Kurzfristig (1 Jahr)
- Die Kontaktaufnahme könnte über Brüsseler Büros der Forschungsorganisationen oder der Pharmabranche erfolgen
- Lediglich geringer Ressourcenbedarf. Ggf. Verlinkung auf der GCT-Landkarte

Erfolgsindikatoren

- Aufnahme von GCT-Belangen in IMI-Förderprogramme

Maßnahme 7:
Gezielte Information von Wissenschaftsorganisationen und Verbänden

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Nationales Netzwerkbüro

Beschreibung Maßnahme:

Die Wissenschaftsorganisationen, Verbände und Stiftungen agieren als Forschungsträger, Förderorganisationen, Mittler und/oder Multiplikatoren. Über die Allianz der Wissenschaftsorganisationen sowie über Stiftungen und Verbänden sollte eine direkte und regelmäßige Ansprache erfolgen, soweit die betreffenden Akteure nicht schon am Runden Tisch beteiligt sind. Vertreter*innen der Leitungs- und oberen Verwaltungsebene dieser Organisationen sollten Informationsmaterial erhalten und zu spezifischen Kongressen und Netzwerkveranstaltungen eingeladen werden.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Kurzfristig (1 Jahr)
- Ressourcen zur Erstellung von Informationsmaterial
- Input von Netzwerkpartnern unter Koordination der geplanten Governancestruktur
- Für die Kommunikation mit Wissenschaftsorganisationen und Verbänden sind zentrale Personalressourcen erforderlich

Erfolgsindikatoren

- Diskussion der GCT-Agenda in den adressierten Organisationen und Verbänden, ggf. deren explizite Positionierung zum Thema

Maßnahme 8:
Platzierung der GCT-Initiative auf Internationalen Wissenschaftskongressen

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Nationales Netzwerkbüro, Vertreter*innen aus der GCT-Gemeinschaft

Beschreibung Maßnahme:
Internationale Kongresse bieten vortragenden Stakeholdern die Möglichkeit, die GCT-Strategie mit Schnittstellen und Kooperationsmöglichkeiten zu präsentieren. Hierzu hält das nationale Netzwerkbüro Inhalte zur Verwendung in Musterpräsentationen vor.

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Kurzfristig (< 1 Jahr)
- Das erforderliche Informationsmaterial ist (ggf. durch AGs der Nationalen Strategie) in Kooperation mit dem nationalen Netzwerkbüro (für das Corporate Design) durch die Netzwerkpartner zu erstellen

Erfolgsindikatoren
- Positionierung des GCT-Themas in den o. g. Veranstaltungen

Maßnahme 9:
Informationsaustausch mit Medizinischen Leistungserbringern und Krankenkassen

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Runder Tisch der Stakeholder, nationales Netzwerkbüro

Beschreibung Maßnahme:
Es wird ein regelmäßiger Informationsaustausch zwischen Gesundheitsdienstleistern und Krankenkassen angestrebt, um Herausforderungen bei der klinischen Umsetzung von GCT-Verfahren zu besprechen. Gemeinsame Lösungen, ggf. mit Einbeziehung des Bundesministeriums für Gesundheit (BMG), sollen erarbeitet werden. Klinische Leistungszahlen im GCT-Bereich werden ebenso zusammengefasst und veröffentlicht wie Ergebnisse früher klinischer Prüfungen und Zulassungsstudien.

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Kurzfristig (1 Jahr)
- Kontaktaufnahme und Koordination der Treffen durch AGs der Nationalen Strategie oder das nationale Netzwerkbüro, Ressourcenbedarf gering

Erfolgsindikatoren
- Kriterienkatalog für Kostenübernahmen
- Kostenübernahmen für spezifische Produkte und Indikationen

Maßnahme 10:
Einbeziehung internationaler Entitäten in die GCT-Wertschöpfungskette

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Nationales Netzwerkbüro

Beschreibung Maßnahme:
Aktuelle Engpässe in der GCT-Wertschöpfungskette, vor allem bei akademisch geleiteten Entwicklungsprogrammen, betreffen besonders Good Manufacturing Practice (GMP-) konforme Herstellungskapazitäten. Eine Nutzung internationaler Kapazitäten, besonders aus der EU, könnte klinische Entwicklungen beschleunigen. Solche Kapazitäten sollten zentral erfasst und den Stakeholdern bekanntgemacht werden. Flächendeckende Strukturen in Deutschland könnten durch Bund, Länder und private Partner aufgebaut werden (siehe Handlungsfeld VI, strategisches Ziel 1, Maßnahme 1). Die Zusammenarbeit mit Leistungserbringern ist für eine flächendeckende Bereitstellung von GCT wesentlich und die Einrichtung von Referenzzentren sollte in Erwägung gezogen werden.

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Kurz- bis mittelfristig (2 Jahre)
- Personal bei Netzwerkpartnern (AGs) und im nationalen Netzwerkbüro zur Erfassung strukturierter Informationen aus dem Ausland
- Unterstützung könnten Künstliche Intelligenz (KI-) basierte Informations- und Kommunikationssysteme leisten

Erfolgsindikatoren
- Erstellung einer internationalen Karte von GCT-Herstellungskapazitäten
- Nutzungsabfragen im Netzwerk

Handlungsfeld II: Ausbildung und Kompetenzstärkung

Zusammenfassung

Für die erfolgreiche Entwicklung, Herstellung und klinische Anwendung von GCT sind eine exzellente Ausbildung und nachhaltige Kompetenzstärkung eine essenzielle Voraussetzung und daher der Schwerpunkt des Handlungsfelds II. In Deutschland und darüber hinaus fehlt es häufig an qualitativ hochwertigem Personal aus verschiedenen akademischen und nichtakademischen Fachbereichen, insbesondere in Bezug auf Herstellung, Prozess- und Verfahrenstechnik, Analytik und Qualitätskontrolle und -sicherung sowie auch Schutz von geistigem Eigentum, Entrepreneurship, Behandlungsstrategien und klinischer Translatierbarkeit. Als Resultat daraus gibt es, gemessen am weltweiten Vergleich, in Deutschland eine nur unzureichende Zahl an Investigator-initiated Trials (IITs) und Start-ups, besonders im Vergleich zu den USA, China und Großbritannien.

Um dies zu ändern, empfehlen die Expert*innen des Handlungsfelds II eine deutliche Stärkung und Weiterentwicklung der nationalen Talentpipeline mit den folgenden Eckpunkten:

- Auf- und Ausbau von Aus- und Weiterbildungsprogrammen für Fachkräfte aller Berufsgruppen (akademisch und nichtakademisch und hier wissenschaftlich, wissenschaftlich-technisches und technisches Personal)
- Implementierung dieser Programme an geeigneten Standorten unter Zusammenarbeit von Akademie und Industrie (siehe Handlungsfeld VI, strategisches Ziel 1, Maßnahme 1)
- Entwicklung von adäquaten Fortbildungs-, Karriere-, Gratifikations- und Interaktionskonzepten

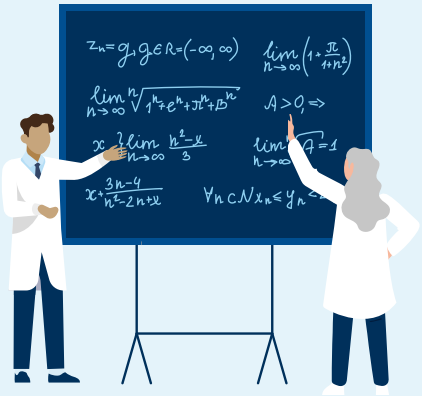
Für die Umsetzung der Maßnahmen sowie auch bezüglich der Erfolgsindikatoren, die den Umsetzungsprozess begleiten sollen, wurden dezidierte Maßnahmenpakete mit klar definierten Zielen, Zeitachsen und Ressourcenbedarfe entwickelt.

In den nachfolgend erläuterten Maßnahmen soll ein Konzept einer mehrgliedrigen, modularen Zusatzausbildung „Gen- und zellbasierte Therapien" erstellt und Vorschläge für berufsbegleitende, interdisziplinäre Master- und Promotionsprogramme sowie gezielte Trainingsprogramme implementiert werden. Hierfür schlagen wir die Etablierung von nationalen Ausbildungs- und Trainingszentren für GCT zur Stärkung akademischer und nichtakademischer sowie industrieller Kompetenzen vor. Weiterhin avisieren wir gezielte Maßnahmen zur Schaffung von Anreiz- und Gratifikationssystem und die Entwicklung von Karrierekonzepten sowie von Interaktionskonzepten zwischen den an der Ausbildung und Karriereentwicklung beteiligten Stakeholdern, wie z. B. Akademie und Industrie.

Mit dem zeitnahen Beginn der Implementierung dieser Maßnahmen und deren Umsetzungsstrategien ist zu erwarten, dass die vorhandenen Schwachstellen in diesem Bereich beseitigt werden und die in Deutschland dringend benötigte Translation von GCT in die medizinische Versorgung nachhaltig erfolgen kann.

Aufbau von Aus- und Weiterbildungsprogrammen für Nachwuchs- und Fachkräfte sowie Verbesserung der notwendigen Infrastruktur für die Aus- und Weiterbildung

1



2

Entwicklung von adäquaten Karriere-, Gratifikations- und Interaktionskonzepten

Hintergrund

Die erfolgreiche Entwicklung, Herstellung und klinische Anwendung von GCT ist das Ergebnis einer effizienten Zusammenarbeit von interdisziplinären Teams. Demnach ist für den Auf- und Ausbau sowie für die Aufrechterhaltung effizienter, international wettbewerbsfähiger Strukturen auf dem Gebiet der GCT das Vorhandensein einer dauerhaft ausreichenden Zahl von gut ausgebildeten Fachkräften aus den unterschiedlichsten Fachbereichen mit besonderer Expertise in der GCT eine Conditio sine qua non. In Deutschland fehlt sowohl in qualitativer als auch in quantitativer Hinsicht die nötige Expertise, vor allem in den Bereichen der Implementierung der Herstellungsphase (Prozessrealisierung), der Routineherstellung, der Prozess- und Verfahrenstechnik, der Analytik und der Qualitätskontrolle und -sicherung sowie im Bereich des Know-how-Schutzes (insbesondere der Patentierung). Das sind genau die Bereiche, die für die Translation, also das effektive Überführen von Ergebnissen aus der Grundlagenforschung in die klinische Anwendung, essenziell sind. Auch im Bereich der klinischen Anwendung der Produkte, v. a. in der Gentherapie, fehlt in Deutschland die erforderliche Expertise, und es gibt hierzulande weitaus weniger IITs als z. B. in Großbritannien oder in den USA (https://www.liebertpub.com/doi/10.1089/hum.2021.29178.hbu#sec-8).

Dort wurde bereits der Bedarf für innovative interdisziplinäre Ausbildungsprogramme, die sich dezidiert an akademisches sowie nichtakademisches Personal im GCT-Feld richten, erkannt und beispielsweise durch das Certified Advanced Biotherapies Professional Credential Program der Association for the Advancement of Blood and Biotherapies (AABB) (https://aabb.org/education/certified-advanced-biotherapies-professional-credential) oder das Cellular Therapies Certificate Program der AABB und George Washington University (https://www.aabb.org/education/certificate-programs/aabb-cellular-therapies-certificate-program) umgesetzt.

Deshalb müssen zügig entsprechende Programme und Qualifizierungsmaßnahmen etabliert bzw. in bestehende eingebettet oder vorhandene weiter ausgebaut werden. Zusätzlich sollte eine bundesweite, zentral koordinierte, internetbasierte Informationsplattform aufgebaut werden, die den Austausch von einschlägigem Fachwissen zwischen relevanten GCT-Standorten erleichtert (siehe auch Handlungsfeld I, strategisches Ziel 3, Maßnahme 1 und Handlungsfeld VIII, strategisches Ziel 1, Maßnahme 1).

Für die Kompetenzentwicklung und dauerhafte Vorhaltung, an die der ökonomische Erfolg unweigerlich gekoppelt ist, sind eine breite Verflechtung von interdisziplinärer Zusammenarbeit, Interaktion von privatwirtschaftlichen Unternehmen, akademischen Institutionen und Ausbildungseinrichtungen sowie intersektorales Handeln an diesen unabdingbar. Die Schaffung von Expertise und die Vernetzung von GCT-Standorten sind allein jedoch nicht ausreichend. Besonders im durch Steuergelder und Drittmittel finanzierten akademischen Umfeld, das über Forschungsleistungen eine für die Gesellschaft zentrale Innovationsfunktion innehat, fehlen de facto entsprechende Anreize, da die zeitaufwendige GMP-konforme Implementierung der Herstellungsprozesse neuartiger Therapeutika als grundlegende Voraussetzung für ihren erfolgreichen Transfer in die klinische Anwendung im akademischen Umfeld noch nicht ausreichend anerkannt wird (siehe auch Handlungsfeld VI, strategisches Ziel 5, Maßnahme 1). Die für diesen essenziellen Schritt der Translation unabdingbare nachhaltige personelle und infrastrukturelle Förderung gibt es bislang kaum. Die Errichtung, die Qualifizierung und der Betrieb von Reinräumen sowie die langwierige Etablierung, Implementierung und Skalierung von neuen Prozessen, die Erstellung und kontinuierliche Überarbeitung von Standardarbeitsanweisungen (SOPs), die Einrichtung von Qualitätssicherungssystemen sowie die aufwendigen Abläufe bei den behördlichen Genehmigungsverfahren sind personal- und zeitintensiv und nicht zuletzt auch mit enormen Kosten verbunden. Da die Herstellung von Zelltherapeutika in Reinräumen überdies als wirtschaftliche (unternehmerische) Tätigkeit mit entsprechender Umsatzsteuerpflichtigkeit angesehen wird – sogar, wenn sie nur für die klinische Prüfung mit kleinen Patientenzahlen im hochschulmedizinischen Kontext hergestellt werden – verteuert sie sich nochmals wesentlich und macht die hochschulinterne Herstellung für klinische Studien beinahe unmöglich. Als essenzielle Brücke von präklinischer Forschung zu klinischen Studien und der Krankenversorgung muss auch der Herstellungsprozess in Reinräumen als integraler Teil der Aus- und Weiterbildung von akademischem und nichtakademischem Personal, und als Teil von Forschung und Lehre somit als hoheitliche Aktivität, eingestuft werden. Akademische Karrieren in diesem Bereich sind erheblich schwieriger oder gar fast unmöglich, da die genannten – gerade für die wirtschaftliche Wertschöpfung so wichtigen – Tätigkeiten durch die üblichen Formen der internen und externen Leistungsbeurteilung nicht hinreichend oder gar nicht erfasst werden. Die „klassischen“ akademischen Karrieren auf der Basis befristeter Zeitverträge gründen sich in erster Linie auf Basis von Publikationsleistungen im Forschungsbereich innerhalb eines bestimmten Zeitraums, die wiederum Voraussetzung für eine erfolgreiche Einwerbung von Dritt-

mitteln zu deren Finanzierung sowie für Habilitationen und Professuren sind. In einem solchen System gibt es keinen Anreiz für Wissenschaftler*innen, die langwierige und aufwändige Überführung der eigenen Forschungsergebnisse in eine GMP-konforme Herstellung voranzutreiben oder bereits vorhandene translationale Expertise auf regulärer Basis auch außerhalb von singulären (Verbund-)Projekten anzubieten. Dieses Problem wird durch das Wissenschaftszeitvertragsgesetz (WissZeitVG) vermutlich noch weiter verschärft werden, da die Befristung von akademischen Stellen nach der Promotion auf derzeit höchstens vier Jahre als Qualifizierungsbefristung vorgesehen ist. Im Kontext der Translation (also der Prozessentwicklung und -implementierung als Voraussetzung für den anschließenden Transfer in die Anwendung als Arzneimittel) ist dies jedoch nicht zielführend. Grundsätzlich ist festzustellen, dass längerfristige Beschäftigungs- und Entwicklungsmöglichkeiten für (hoch)qualifiziertes Personal, das eine zeitaufwendige Qualifizierung abgeschlossen hat, fehlen.

Die Behandlung von individuellen Patient*innen mit eigenen Produktentwicklungen wird im Rahmen des Arzneimittelgesetzes (AMG-)Prozesses nach §4b (Hospital Exemption) oder von klinischen Studien (first-in-human, FIH) vor allem durch die Notwendigkeit einer langfristigen Vorhaltung von entsprechend ausgebildetem Personal und seiner Finanzierung erschwert. Die Einstellung und Bindung von qualifiziertem Personal abseits der Professur erfordert wiederum eine längerfristige Beschäftigungsperspektive, die durch die derzeitige deutsche Gesetzgebung erheblich eingeschränkt ist.

Zusammenfassend muss konstatiert werden, dass die eigene akademische Forschung somit in der Regel im präklinischen Stadium endet und dass zu wenige der für die vielfältigen Bereiche der GMP-Produktion und Analytik benötigten technischen Spezialist*innen ausgebildet werden. Dadurch kann Expertise im Bereich der Translation nur schwer bzw. gar nicht aufgebaut werden, sodass es infolge dieser Abwärtsspirale an nichtakademischen und akademischen Fachkräften mangelt. Demnach muss die Attraktivität einer beruflichen Tätigkeit und Karriere im Bereich der Translation durch alternative und innovative Maßnahmen deutlich erhöht werden. Das gilt auch für innovative Unternehmen, die im GCT-Bereich auf Fachwissen und Expertise angewiesen sind. Nicht zuletzt ist es für eine effektive Translation unerlässlich, dass in den deutschen Behörden Fachwissen vorhanden ist, damit Entscheidungen schnell und fundiert getroffen werden können. Fehlendes Wissen stellt hier einen Flaschenhals der Translation dar, wenn Entscheidungen dadurch verzögert oder gar nicht bzw. falsch getroffen werden.

Deshalb empfehlen wir die nachfolgenden Maßnahmen, damit Deutschland bei diesem Game-Changer im Bereich der Biomedizin im internationalen Wettbewerb den Anschluss halten und auf lange Sicht international eine Führungsrolle einnehmen kann. Da die zu erwartenden positiven Effekte im Bereich Ausbildung und Kompetenzstärkung naturgemäß erst nach einer Latenzphase eintreten werden, wird empfohlen, diese Maßnahmen schnellstmöglich in den parlamentarischen Entscheidungsprozess zu bringen und zeitnah umzusetzen.

Strategische Ziele

1. Aufbau von Aus- und Weiterbildungsprogrammen für Nachwuchs- und Fachkräfte sowie Verbesserung der für die Aus- und Weiterbildung notwendigen Infrastruktur
2. Entwicklung von adäquaten Karriere-, Gratifikations- und Interaktionskonzepten

Strategisches Ziel 1:
Aufbau von Aus- und Weiterbildungsprogrammen für Nachwuchs- und Fachkräfte sowie Verbesserung der für die Aus- und Weiterbildung notwendigen Infrastruktur

Erläuterung Ziel:
Die oben dargestellten Defizite in den kritischen Bereichen der Etablierung und Implementierung der Herstellungsprozesse neuartiger GCT sowie beim nachfolgenden Transfer in die klinische Anwendung können mittel- bis langfristig nur durch folgende Maßnahmen nachhaltig gedeckt werden, um Deutschland international wettbewerbsfähig zu halten: gezielte Aus- und Weiterbildung, Gewinnung von bereits entsprechend qualifizierten Fachkräften, Schaffung von Anreizen für das Einschlagen akademischer und nichtakademischer Laufbahnen sowie dauerhafte Tätigkeiten in diesem Bereich. Hierbei ist insbesondere auch auf die Einbeziehung aller relevanter Berufsgruppen zu achten, da die erfolgreiche und nachhaltige Implementierung von GCT in der Regel das Ergebnis von komplexen interdisziplinären Prozessen ist.

Maßnahme 1:
Konzepterstellung und Implementierung einer mehrgliedrigen, modularen Zusatzausbildung

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
AG II in Zusammenarbeit und in einem transparenten Prozess mit weiteren relevanten Stakeholdern/Institutionen, BMBF, Bundesärztekammer – soweit es ärztliche Fachkräfte betrifft, Fachgesellschaften, Zentralstelle der Länder für Gesundheitsschutz bei Arzneimitteln und Medizinprodukten (ZLG), evtl. Initiative Studienstandort Deutschland-Gruppe C einbinden)

Beschreibung Maßnahme:
Es soll ein zweigliedriges, modulares und dynamisches Ausbildungs- und Qualifizierungsmodell entwickelt werden, das in den regional bereits vorhandenen (bzw. zu etablierenden) Knotenpunkten (siehe Handlungsfeld VI, strategisches Ziel 1, Maßnahme 1) angeboten wird und mittel- bis langfristig mit deutschlandweit anerkannten Zertifikaten und Zusatzbezeichnungen (wie z. B. „Gen- und zellbasierte Therapien“) abgeschlossen werden kann. Zielgruppen sind alle wissenschaftlich, wissenschaftlich-technischen und technischen Berufsgruppen, die im Bereich der GCT tätig werden möchten, beispielsweise Medizinisch-technische Assistent*innen (MTAs), Biologisch-technische Assistent*innen, Chemisch-technische Assistent*innen, Pharmazeutisch-technische Assistent*innen, Beschäftigte der Industrie, Ingenieur*innen, Naturwissenschaftler*innen, Ärzt*innen, Pharmazeut*innen, Jurist*innen oder Regulator*innen aus den Regierungspräsidien, auf Landes- und Bundesebene, Mitarbeiter*innen der Zentren für Klinische Studien /Koordinierungszentren für klinische Studien, Mitglieder von Ethikkommissionen und von Selbsthilfe-/Patientenorganisationen sowie Patientenvertretende. Hierbei muss der Einbindung von Regulator*innen und Auditor*innen besondere Aufmerksamkeit gewidmet werden, um eine bundesweit einheitliche Erarbeitung und Umsetzung der gesetzlichen Vorgaben zu erreichen (siehe dazu auch Handlungsfeld IV, strategisches Ziel 2, Maßnahmen 1 und 2).

Das nachfolgend vorgeschlagene Ausbildungs- und Qualifizierungskonzept soll keineswegs für alle im Bereich der GCT tätigen Berufsgruppen verpflichtend werden. Vielmehr soll es als Möglichkeit des Erlangens eines Kompetenznachweises betrachtet und angeboten werden, der wiederum für weitere Karriereschritte förderlich ist oder auch für die nachhaltige Stabilität in einem hochdynamischen beruflichen Umfeld verwendet werden kann. Das Modell soll darüber hinaus helfen, den Fachkräftemangel im Bereich der Entwicklung und GMP-gerechten Produktion sowie klinischen Anwendung von GCT zu beheben

und der Ausbildung von Auditor*innen und Weiterbildung von Regulator*innen dienen. Die Erfahrungen von bereits existierenden, gut etablierten Curricula sollten genutzt werden, um dieses Ausbildungsmodell stetig anzupassen und zu verbessern. Dazu ist es notwendig, eine bundesweite, zentral koordinierte, internetbasierte Informationsplattform zu konzipieren und implementieren. Über diese Plattform sollen Ausbildungseinrichtungen, GMP-Herstellungsstätten, wissenschaftliche Netzwerke oder Patientennetzwerke leicht abgefragt und gepflegt werden können, was wiederum eine effiziente und schnelle Vernetzung untereinander ermöglicht (siehe auch Handlungsfeld I, strategisches Ziel 3, Maßnahme 1 und Handlungsfeld VIII, strategisches Ziel 1, Maßnahme 1).

Für das Konzept sind folgende zwei Phasen vorgesehen (siehe Abbildung 1), wobei die erste Phase von allen Teilnehmenden gemeinsam durchlaufen wird und als besondere Stärke des Ausbildungskonzepts hervorzuheben ist:

In einem Kerncurriculum werden die Mitglieder aller teilnehmender Berufsgruppen unabhängig von ihrer Vorerfahrung/Vorbildung zunächst über verschiedene (verpflichtende) Basismodule in Form einer Basisausbildung mit grundlegenden Aspekten und Kernkompetenzen der GCT vertraut gemacht. Diese Lerninhalte sollen dazu dienen, als Leitplanken der Ausbildung den Gesamtprozess der Entwicklung sowie der Herstellung, der Prüfung und des Inverkehrbringens von GCT-Produkten abzubilden und damit eine berufsgruppenübergreifende Kernkompetenz in diesen Feldern zu schaffen. Sie umfassen z. B. technisch-naturwissenschaftliche Belange sowie medizinische, ingenieurwissenschaftliche (wie z. B. Produktionstechnik oder Automatisierung), betriebs- und marktwirtschaftliche, pharmazeutische, regulatorische sowie ethische, rechtliche und soziale Aspekte (Ethical Legal and Social Aspects, ELSA).

Im zweiten Abschnitt, der elektiven Ausbildung, erfolgt eine individuell wählbare Spezialisierung für einen angestrebten Schwerpunkt (z. B. GMP-Management, Prozessrealisierung, Translation von ATMPs, Regulatorik des GMP-Umfelds und der Durchführung klinischer Studien, Marktzugang oder Patientenbeteiligung in der Forschung). Diese Spezialisierung ist normalerweise eine sinnvolle Ergänzung zur bereits vorhandenen Ausbildung – ist aber kein Muss. Dafür haben alle Teilnehmenden eine vorgegebene Anzahl an elektiven Modulen (nach einem Credit-Point-System) zu absolvieren, deren erfolgreicher Abschluss die Voraussetzung für das Erlangen eines entsprechenden Zertifikats/Nachweises ist.

Die Module in beiden Phasen, Basis- und elektive Ausbildung sollen von Universitäten, Fachhochschulen, technischen Berufsakademien, Weiterbildungseinrichtungen und der Industrie gemeinsam und koordiniert angeboten werden. In den entsprechenden Einrichtungen, die sich an der Umsetzung des Konzepts beteiligen wollen, sollten jeweils lokale Koordinationsstellen eingerichtet werden, die die fach- und institutionsübergreifenden Lehraktivitäten vor Ort im Sinne einer verstärkten Vernetzung und gemeinsamen Ressourcennutzung bei der Ausbildung vor Ort sowie nach Möglichkeit auch standortübergreifend organisieren. Nach einer gesonderten Beauftragung könnte diese Arbeitsgruppe ein detailliertes Lehrprogramm mit den zum Erreichen der jeweiligen Ziele notwendigen Inhalte und Module erstellen, das dann zu Zwecken einer Zertifikatsvergabe und -anerkennung mit den beteiligten Bildungseinrichtungen und Berufsverbänden abgestimmt werden muss. Dazu gehören z. B. Ärztekammer, Apothekerkammer, Industrie- und Handelskammer, Fachgesellschaften, relevante Interessenverbände etc.). Die Anerkennung könnte durch die Zentralstelle der Länder für Gesundheitsschutz bei Arzneimitteln und Medizinprodukten (ZLG) erfolgen.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Konzepterstellung Kerncurriculum:
  Kurzfristig (1–2 Jahre) durch die AG II in Abstimmung mit anderen AGs (z. B. AG V) und relevanten Stakeholdern aus Akademie und Industrie (z. B. einschlägigen Industrieverbänden). In die Erstellung einer Modulsammlung für die elektive Ausbildung, die zur zertifizierten Zusatzqualifikation führt, werden überdies die jeweiligen Berufsorganisationen eingebunden.
- Zeitachse Implementierung: mittel- bis langfristig (3–5 Jahre)
- Ressourcenbedarf: Eine Realisierung ist nur mit zusätzlichem Personal und (je nach Standort und Ausbildungsart) Investitionen in Lehrmittel möglich
- Personalbezogene Mindestanforderung: Pro Ausbildungsstandort eine Koordinator*in (Vorschlag: Bundesfinanzierung). Darüber hinaus (je nach Ausbildungsstätte) weitere dauerhafte akademische und nichtakademische Stellen zum Zweck der kontinuierlichen theoretischen und praktischen Ausbildung der Kandidat*innen

Dynamisches Ausbildungs- und Qualifizierungsmodell für Gen- und Zelltherapie

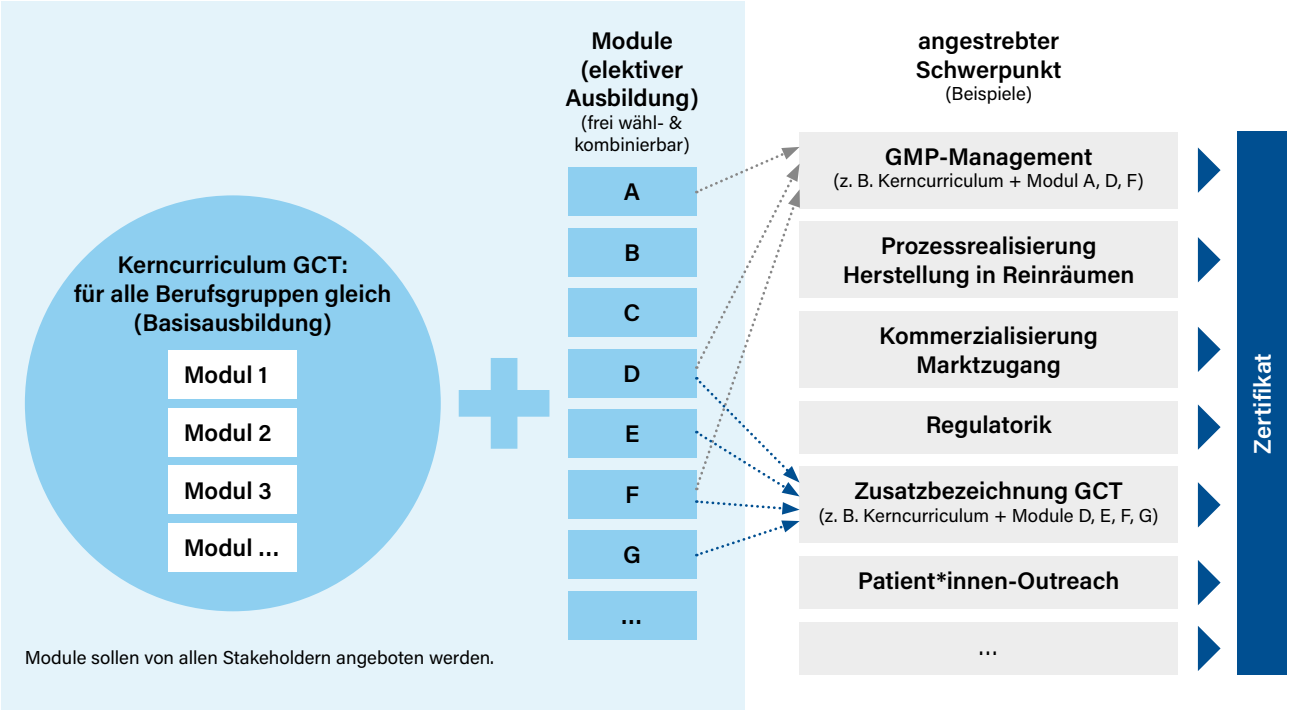


Abbildung 1: Mehrgliedrige Zusatzausbildung GCT. Alle Teilnehmenden durchlaufen zunächst gemeinsam eine Basisausbildung, in der über eine bestimmte Anzahl an zu belegenden Modulen eine Kernkompetenz für GCT vermittelt wird. Um ein Zertifikat oder eine Zusatzbezeichnung für den jeweils angestrebten Schwerpunkt zu erhalten, muss eine vorgegebene Anzahl von elektiven Modulen (nach einem Credit-Point-System) erfolgreich absolviert werden.

Erfolgsindikatoren

Qualitativ:

- Konzept wurde erstellt und bundesweit implementiert (als Indikator für Akzeptanz)
- Absolvent*innen erhalten Stellenangebote
- Evaluation der Teilnehmenden zur Zufriedenheit und Nutzen

Quantitativ:

- Anzahl der Teilnehmenden am und Bewerber*innen für das Programm
- Anzahl der Absolvent*innen nach 5 Jahren im Vergleich zum Status quo (ggf. inklusive Monitoring der Erfolgs-/Abbruchquote)
- Anteil der Absolvent*innen, die in den jeweiligen Bereichen Stellenangebote bekommen bzw. in ihrem Betrieb den Tätigkeitsschwerpunkt in den Bereich GCT verlagern
- Anzahl der Einrichtungen, die diese Form eines gegliederten Aus- und Weiterbildungsprogramms anbieten
- Anzahl von mit entsprechend qualifiziertem Personal besetzten Stellen im GCT-Bereich

Maßnahme 2:
Etablierung von berufsbegleitenden interdisziplinären Master- und Promotionsprogrammen an Universitäten und Fachhochschulen sowie von Trainingsprogrammen für alle in der GCT tätigen Berufsgruppen

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Universitäten, Fachhochschulen und nichtakademische Ausbildungseinrichtungen

Beschreibung Maßnahme:

Die Einrichtung von interdisziplinären und interfakultären Master- und Promotionsprogrammen, die (auch) berufsbegleitend absolviert werden können, ist wünschenswert, um gezielt akademischen Nachwuchs sowie sachkundige Personen (Qualified Persons, QP; EU-GMP, Annex 16) und entsprechend qualifizierte Personen für die Herstellung und Prüfung sowie den Stufenplan nach dem AMG und Arzneimittel- und Wirkstoffherstellungsverordnung (AMWHV) für das hochinnovative Feld der GCT ausbilden zu können. Der Zugang zu den Studiengängen soll auch

beruflich Qualifizierten (Personen mit entsprechender Berufserfahrung in den jeweiligen Bereichen) gewährt werden, um den Anteil der Studierenden mit einschlägiger „praxisnaher" operativer Kompetenz im Herstellungsbereich zu erhöhen. Nach Abschluss des Studiums sollen die Absolvent*innen in der Lage sein, in allen Bereichen der GCT tätig zu werden – von der Grundlagen- und präklinischen Forschung über die Entwicklung und Skalierung der Herstellungsverfahren, der Organisation und Implementierung der Abläufe in Reinräumen, der Regulatorik bis hin zur Kenntnis des Patientenrechts und klinischer Einsatzgebiete. Während des Studiums sollen interdisziplinäre Kommunikations- und Kooperationsfähigkeit bei der Lösung der vielschichtigen Aufgaben und Herausforderungen bei der Translation von Ergebnissen der Grundlagen- und präklinischen Forschung in die klinische Praxis von Anfang an gefördert werden. Die Studierenden sollen u. a. ein Verständnis für die gesetzlichen Rahmenbedingungen und deren Regelungssystematik entwickeln und dieses Wissen bei der Konzeption von Herstellungsverfahren unter GMP-Regularien anwenden können. Außerdem sollen sie später in der klinischen Produktion und Anwendung tätig werden dürfen. Insbesondere sollen sie die über den Nachweis der Qualität, Sicherheit und Wirksamkeit hinausgehenden Entwicklungswege und interdisziplinäre Marktzugangsanforderungen berücksichtigen können, wie z. B. unterschiedliche Bewertungsverfahren zum (Zusatz-) Nutzen und zur Kostenerstattung, sowie ggf. Anforderungen für eine weitergehende Evidenzgenerierung unter Anwendungsbedingungen (z. B. Registerstrategie, Registerstudien, anwendungsbegleitende Datenerhebung etc.). Es sollen Fachkräfte ausgebildet werden, die (auch) als Verbindung zwischen Forschung und Entwicklung und der Durchführung von klinischen Studien fungieren, insbesondere gemeinsam mit den pharmazeutischen Unternehmen (Industrie). Übergeordnetes Ziel der Programme ist somit die Entwicklung eines „offenen, mutigen Mindsets" einer neuen Generation von Forschenden, die die Herausforderungen der GCT unter Einhaltung der regulatorischen Vorgaben bewältigen können. Da es bereits auf internationaler Ebene etablierte Ausbildungsprogramme in diesem Bereich gibt, z. B. im englischen Sprachraum am University College Dublin (https://www.nibrt.ie) oder an der National University of Singapore (https://www.actris.sg/our-service-provision/education-and-training/overview/), könnten sich in Anlehnung daran auch hierzulande zügig geeignete Studienpläne entwickeln lassen. Aufgrund der Interdisziplinarität der Programme könnten sich allerdings studienrechtliche Hindernisse an einzelnen Studienstandorten ergeben (ggf. Notwendigkeit der Ansiedlung an einer bestimmten Fakultät). Hier müssen die Universitäten fakultätsübergreifende Regelungen finden, die diesem wichtigen Ausbildungsziel gerecht werden. Dabei sollten auch die hochschulinternen operativen Erfahrungen aus den internationalen Marie-Skłodowska-Curie-Programmen für Masterstudent*innen und Doktorand*innen genutzt werden. Durch die zusätzliche Einrichtung von regulären, zeitlich kompakten Schulungsangeboten in Form von Summer Schools für die verschiedenen in der GCT tätigen Berufsgruppen soll die Vermittlung einschlägiger Kompetenzen für die operativ tätigten Berufsgruppen unterstützt und beschleunigt werden.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Kurz- bis mittelfristig (1–5 Jahre)
- Für die Entwicklung und Durchführung der spezifischen GCT- Hochschulprogramme (Master, PhD) an Universitäten, Hochschulen für angewandte Wissenschaften und Forschungseinrichtungen (unter Annahme von 200 Studierenden pro Jahr) wird ein mittlerer einstelliger jährlicher Millionenbetrag benötigt
- Für die Trainingsprogramme in GCT-herstellenden und entwickelnden Unternehmen, Forschungseinrichtungen und bei Weiterbildungsträgern (unter Annahme von 800–1000 Teilnehmenden pro Jahr) wird ein mittlerer einstelliger jährlicher Millionenbetrag benötigt

Erfolgsindikatoren

Qualitativ:

- Stellenangebote für Absolvent*innen der Ausbildungs- und Schulungsangebote und deren erfolgreiche Integration in akademische, nichtakademische und industrielle Karrieren als Maß für die Effektivität der Ausbildungs- und Weiterbildungsprogramme der GCT-Ausbildungsstätten
- Reputation und Einfluss: Die Anerkennung von GCT-Ausbildungsstätten sowie der Zertifikate/Zusatzbezeichnungen in der nationalen und internationalen wissenschaftlichen Gemeinschaft sowie der Einfluss auf politische Entscheidungen, Fördermittelvergaben und die Gestaltung von Gesundheitspolitik können weitere Erfolgsindikatoren sein
- Evaluation der Teilnehmenden zum Weiterempfehlungsgrad, zu Zufriedenheit und Qualität

Quantitativ:

- Anzahl der Bewerber*innen für entsprechende Studiengänge und Summer Schools
- Anzahl der Absolvent*innen nach 5 Jahren im Vergleich zum Status quo (ggf. einschließlich der Überwachung der Erfolgs-/Abbruchquote)
- Anteil der Absolvent*innen, die in den jeweiligen Bereichen Stellenangebote in der Industrie bekommen bzw. akademische/ nichtakademische Laufbahnen mit dem Schwerpunkt GCT einschlagen

- Anzahl der akademischen Einrichtungen, die solche Studiengänge im Bereich der GCT etablieren/anbieten
- Anzahl der Institutionen, die Summer Schools für Akademiker*innen und technisches Laborpersonal (z. B. MTs) anbieten
- Anteil an berufserfahrenem technischen Laborpersonal (z. B. MTs) unter den Studierenden
- Anzahl der Partnerschaften von Akademie und Industrie; Kooperationsforschungsprojekte und erfolgreiche Technologietransfers können den Beitrag der GCT-Knotenpunkte zur Förderung von Innovationen und zur Kommerzialisierung von Forschungsergebnissen widerspiegeln
- Die Zahl klinischer Studien, die auf Forschungsergebnissen der GCT-Knotenpunkte bzw. den Kooperationsprojekten zwischen akademischer Forschung und Industrie basieren

Maßnahme 3:
Einrichtung von nationalen Ausbildungs- und Trainingszentren für GCT zur Stärkung akademischer und nichtakademischer sowie industrieller Kompetenzen

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
AG II, Universitäten, Wissenschaftsministerien der Länder, nichtakademische Ausbildungseinrichtungen, Industrie

Beschreibung Maßnahme:
Zur Stärkung der nationalen Talent-Pipeline sollten an verschiedenen Standorten in Knotenpunkten für GCT (siehe Handlungsfeld VI, strategisches Ziel 1, Maßnahme 1) hochmoderne Aus- und Weiterbildungsmöglichkeiten angeboten werden. Dank der dort vorhandenen exzellenten Forschungs-, Produktions- und Versorgungsinfrastrukturen können talentierte Fachkräfte aller (akademischer und nichtakademischer) Berufsgruppen optimal ausgebildet werden. Dabei sind zwei Aspekte relevant:

a. Akademische Ausbildung: Programme zur Ausbildung von Doktorand*innen, Postdoktorand*innen und anderen Fachkräften in den Bereichen GCT. Durch die enge Zusammenarbeit von Akademie und Industrie können Spitzenkräfte in theoretischen und praktischen Trainingsmodulen optimal auf eine Laufbahn in Wissenschaft oder Industrie vorbereitet werden
b. Kompetenztraining: Neben der akademischen Ausbildung werden auch Programme zur Weiterbildung und zum Kompetenztraining für Fachkräfte aus der Industrie angeboten. Dies könnte theoretische und praktische Schulungen zu speziellen Stellenprofilen wie der Prozessentwicklung, GMP-Herstellung oder Qualitätssicherung sowie regulatorischen Anforderungen umfassen

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Langfristig (5 Jahre)

Erfolgsindikatoren
- Anzahl und Qualität der ausgebildeten Fachkräfte sowie deren erfolgreiche Integration in akademische und industrielle Karrieren als Maß für die Effektivität der Ausbildungs- und Weiterbildungsprogramme

Strategisches Ziel 2:
Entwicklung von adäquaten Karriere-, Gratifikations- und Interaktionskonzepten

Erläuterung Ziel:

Um internationale Wettbewerbsfähigkeit im Bereich der GCT zu erlangen und nachhaltig zu sichern, ist es unabdingbar, adäquate Karrierekonzepte und eine langfristige Perspektive für im Bereich GCT beschäftigte Personen zu entwickeln sowie ggf. neu zu schaffende Berufsgruppen zu definieren. Hierbei ist auch darauf zu achten, den derzeit tätigen Akteuren Bestandsschutz zu gewähren, was nicht zuletzt die breite Akzeptanz des Programms fördern soll. Wie eingangs erwähnt, müssen insbesondere für den in Deutschland besonders schwachen Bereich der Translation von eigenen Forschungsergebnissen in die Herstellung und klinische Anwendung an Patient*innen bzw. die Vermarktung dringend unkomplizierte neue Modalitäten/Optionen der finanziellen Unterstützung und Karriereförderung entwickelt werden. Außerdem wird es nötig sein, die Durchlässigkeit zwischen akademischen und industriellen Bereichen zu erhöhen. Nach Schätzungen der U.S. Food and Drug Administration (FDA) (genauer gesagt des Commissioners Scott Gottlieb und des Direktors des Center for Biologics Evaluation and Research Peter Marks, https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/statement-fda-commissioner-scott-gottlieb-md-and-peter-marks-md-phd-director-center-biologics) ist davon auszugehen, dass im Jahr 2025 mit deutlich mehr als 200 Investigational New Drugs (INDs) sowie 10 bis 20 neuen Marktzulassungen von GCT/ATMPs pro Jahr zu rechnen ist. Vor diesem Hintergrund wird es immer wichtiger, schnell edukative Strategie- und Infrastrukturkonzepte zu entwickeln. Eine weitere dringende Aufgabe besteht darin, Interaktionskonzepte zu entwickeln, um die unterschiedlichen Berufsgruppen und Stakeholder zusammenzubringen und die Interaktion zwischen Industrie und Akademie durch eine konkretisierte Entwicklungs-Pipeline für GCT-Produkte zu fördern. In diesem Zusammenhang sind auch die Interaktionen mit den ELSA-Disziplinen und den regulatorischen Behörden (PEI, Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM), Landesbehörden) hervorzuheben.

Maßnahme 1:
Schaffung von Anreiz- und Gratifikationssystemen sowie von Karrierekonzepten

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Universitäten, Ärztekammern, relevante Interessenverbände, Industrie- und Handelskammer, Industrie

Beschreibung Maßnahme:
Neue Gratifikationssysteme müssen aufgebaut und die Verlässlichkeit erhöht werden, damit Positionen im Bereich der Translation (im Sinne der Überführung von Forschungsergebnissen in ein marktfähiges, anwendbares Produkt) attraktiver werden. Nachfolgend einige Beispiele für mögliche Maßnahmen:

- Anrechnung der Tätigkeiten zur Entwicklung von klinischer Translation in akademischen Laufbahnen (Habilitation, Außerplanmäßige-Professuren, Tenure-Track-Positionen) (Universitäten)
- Anerkennung und Anrechnung von entsprechenden Leistungen in der Facharztweiterbildung sowie ggf. Schaffung einer Zusatzqualifikation; längerfristige Vertragsgestaltung zur Erreichung und Konsolidierung dieser Zielpositionen (Universitäten und Ärztekammer)
- Einführung neuartiger, indikatorgestützter Mittelallokationen (IMA) an den Universitäten bei der Entwicklung von anwendbaren GCT-Produkten (Universitäten, Bund und Länder)
- Entwicklung von Rückkehrkonzepten (für eine Rückkehr aus dem Ausland) und von Transitionskonzepten an der Schnittstelle zwischen Industrie und Akademie (z. B. durch Brückenprofessuren oder Brücken-Arbeitsgruppen zwischen Akademie und Industrie)

- Durchlässigkeit zwischen Akademie und Industrie für Positionen (vor allem von der Industrie in die Akademie) und Schaffung von Möglichkeiten temporärer Arbeit in Ausgründungen
- Die Translation hochschuleigener Forschungsergebnisse darf nicht als unternehmerische Aktivität eingestuft werden. Da sie einen wesentlichen Pfeiler in der Verbindung von Krankenversorgung mit Forschung und Lehre darstellt und somit der ärztlichen Fort- und Weiterbildung sowie auch der Aus-, Fort- und Weiterbildung des Personals dient, sollte sie vielmehr als hoheitliche Aufgabe definiert werden

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Kurz- bis mittelfristig (1–5 Jahre)
- Geringer zusätzlicher Ressourcenbedarf

Erfolgsindikatoren

- Eine signifikante Steigerung der Aktivitäten im Bereich der Umsetzung von explorativer Forschung hin zu klinischen Studien
- Umsetzung von klinischen Studienergebnissen in nationale und internationale Guidelines
- Erhöhung der Anzahl von Lizenzierungen der Forschungsergebnisse an Industriepartner
- Zunahme der Anzahl von Ausgründungen

Maßnahme 2:
Entwicklung eines Interaktionskonzepts der an der Ausbildung und Karriereentwicklung beteiligten Stakeholder

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Verbände, Universitäten, nichtakademische Ausbildungseinrichtungen, Industrie

Beschreibung Maßnahme:
Um die Interaktion und Durchlässigkeit zwischen Akademie, Industrie und den weiteren Stakeholdern im Bereich GCT zu verbessern und Feedbackschleifen zu berücksichtigen, sind unterschiedliche Formate zu etablieren, die in Anlehnung an die Vernetzungsvorschläge im Handlungsfeld I gestaltet werden können. Hier sind insbesondere duale Aus- und Weiterbildungskonzepte wünschenswert, die Zeitfenster in der Graduiertenausbildungs- und Postdoc-Phase in Akademie und Industrie beinhalten. Dabei sollten neben Formaten wie Clinician Scientists und Translational Scientists, GMP-Fachpersonal (z. B. Neuschaffung „GCT-Technolog*in/Analytiker*in“) und Kliniker*innen auch die ELSA-Disziplinen und die Interaktion mit den regulatorischen Behörden berücksichtigt werden. Die Schaffung von gemeinsamen Interaktionsplattformen (zum Austausch innerhalb einer Berufsgruppe und zwischen verschiedenen Berufsgruppen) wie z. B. gemeinsamen Akademien zur Entwicklung von gemeinsam nutzbaren Ausbildungsplattformen mit sich gegenseitig ergänzenden Inhalten, Summer Schools, Kongressen und Symposien soll die Durchlässigkeit von Informations- und Dialogflüssen mit Netzwerkcharakter verbessern. Die interdisziplinäre Beteiligung von Akteuren aus den Bereichen Ethik, Recht, Regulatorik und dem Gesundheitssystem könnte langfristig im Sinne eines Feedbacksystems helfen, rechtliche Rahmenbedingungen und regulatorische Notwendigkeiten zu nivellieren und anzupassen. Brückenprofessuren zwischen Industrie und Akademie und der Aufbau gemeinsamer Strukturen (z. B. Dialogplattformen zwischen den Pharma- und Biotech-Verbänden, der Industrie und Akademie) wären diesbezüglich dringend erforderlich.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Initial kann eine Finanzierung von Interaktionsprogrammen wie Clinician Scientists und Translational Scientists sowie die Etablierung eines standortübergreifenden Entrepreneurship-Programms im Rahmen der Nationalen Strategie über das BIH erfolgen
- Zeitachse: Start der Pilotierung des Entrepreneurship-Programms Januar 2024 an drei Standorten, Ausrollen auf weitere Standorte ab 2025 denkbar
- Förderung der Clinician Scientists und Translational Scientists ab Ende 2024

Erfolgsindikatoren

- Erfolgreiche Stellenbesetzungen durch Absolvent*innen der oben beschriebenen Ausbildungsprogramme
- Erhöhte Mobilität von Absolvent*innen und Berufserfahrenen zwischen Akademie, Industrie und Regulatorik

Handlungsfeld III: Technologietransfer

Zusammenfassung

Aus Wissen wird Wirkung – der Technologietransfer soll es ermöglichen, Ergebnisse der biomedizinischen Forschung zum Nutzen von Patient*innen, Wirtschaft und Gesellschaft zu verwenden. Dabei ist es essenziell, die gesamte Translationskette im Blick zu haben – von der Patentierung neuer Ideen über die Erhebung essenzieller präklinischer Daten und die Etablierung geeigneter Produktionsprozesse bis hin zum klinischen Proof-of-Concept in geeigneten Patientenpopulationen. Nur so können wir im internationalen Wettbewerb mit anderen Nationen wie zum Beispiel den USA oder China, die bei der GCT führend sind, bestehen. Auch aus Patientensicht ist ein stringenter Wissenstransfer in Deutschland und Europa unbedingt nötig, um den schnellen Zugang zu neuen Therapien ermöglichen, Arbeitsplätze schaffen und die Preisentwicklung mitgestalten zu können. Denn nicht zuletzt trägt eine erfolgreiche Translation zur Wertschöpfung in Deutschland und Europa bei.

Hierfür ist es notwendig, das Bewusstsein für die Erfordernisse und Möglichkeiten der Translation im Bereich der GCT zu fördern, die Grundkenntnisse der Produktentwicklung in der Breite zu verbessern und Technologietransfer-Einheiten so zu gestalten, dass sie den gesamten Transferprozess vom Schutz des geistigen Eigentums bis zur Anwendung in der Klinik begleiten können. Das erfordert neben hochqualifizierten Fachkräften die Unterstützung durch eine zentrale, auf GCT spezialisierte Product-Development-Unit (PDU) und gezielt eingesetzte Berater*innen, die zu spezifischen Aspekten der Produktentwicklung, v. a. im Bereich der Produktion und Regulatorik, beraten können.

Transferleistungen einzelner Personen, aber auch akademischer Einrichtungen bzw. Universitäten, sollten bei der Leistungsbewertung eine gleichwertige Rolle spielen. Zudem erscheint es notwendig, den wissenschaftlichen Mitarbeiter*innen, die über ein spezielles Wissen verfügen, das für die Überführung eines Produktes in die klinische Anwendung unerlässlich ist, solange eine Beschäftigungsperspektive zu geben, bis sie in eine Ausgründung wechseln können. Um eine Ausgründung bzw. ein Start-up für Gründer*innen und Risikokapitalgeber attraktiv zu machen, sollten (in Anlehnung an internationale Standards wie den University Spinout Investment Terms (USIT) Guide) einheitliche Lizenzierungsbedingungen geschaffen werden und der Zugang zu öffentlich geförderten Infrastrukturen ermöglicht werden. Ein wichtiger Motivationsfaktor ist eine transparente Verteilung späterer Erlöse unter Berücksichtigung der Erfinder*innen, des Instituts bzw. der Klinik, an der die Erfindung gemacht wurde, sowie eines Fonds für künftige Transferprojekte an den Institutionen. Im Bereich des Technologietransfers haben wir daher vier konkrete Ziele formuliert und Maßnahmen zu ihrem Erreichen definiert.

1. Eine Verbesserung der Rahmenbedingungen zur frühen Erkennung und Umsetzung des innovativen Potenzials von wissenschaftlichen Ergebnissen
2. Eine ganzheitliche Beratung und Bewertung von Transferprojekten, die den gesamten Entwicklungsprozess eines innovativen Prüfpräparats (Investigational Medicinal Product, IMP) von der Produktion bis zur Anwendung am Patienten oder an der Patientin einbezieht
3. Eine Erleichterung der Verwertung des gesellschaftlichen und/oder wirtschaftlichen Potenzials von wissenschaftlichen Ergebnissen
4. Eine Etablierung der Anerkennung von Transferleistungen und Translationserfolgen als Teil der wissenschaftlichen Reputation von Einzelpersonen und Institutionen

Verbesserung der Rahmenbedingungen zur frühen Erkennung des innovativen Potenzials von wissenschaftlichen Ergebnissen

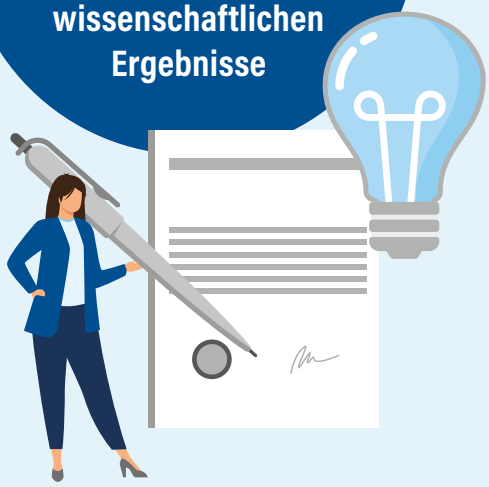
1

2

Ganzheitliche Beratung und Bewertung von Transferprojekten, die den gesamten Entwicklungsprozess eines innovativen Prüfpräparats (Investigational Medicinal Product, IMP) von der Produktion bis zur Anwendung am Patienten oder an der Patientin

3

Erleichterung der Verwertung des gesellschaftlichen und/oder wirtschaftlichen Potenzials der wissenschaftlichen Ergebnisse



Etablierung der Anerkennung von Transferleistungen und Translationserfolgen als Teil der wissenschaftlichen Reputation von Einzelpersonen und Institutionen

4

Hintergrund

Damit neuartige Therapien wie GCT in die wirtschaftliche Verwertung und damit an die betroffenen Patient*innen gelangen, bedarf es eines stringenten Technologietransfers. Dieser basiert auf einem Patentschutz, der breit genug ist, um eine längerfristige Produktentwicklung zu rechtfertigen. Er umfasst die systematische Weiterentwicklung der Forschungsergebnisse hinsichtlich der grundlegenden Voraussetzungen und Standards der Sicherheit, Qualität, Wirksamkeit, Produzierbarkeit und Wirtschaftlichkeit mit dem Ziel, GCT gezielt in die Patientenversorgung zu bringen.

Im Vergleich mit den internationalen Wettbewerbern in der GCT wie den USA oder China können wir hier derzeit nicht mithalten. Dadurch findet die Weiterentwicklung der eigenen Forschung durch erfolgreiche Translation in und aus Deutschland nur in begrenztem Umfang statt. Für viele Ergebnisse aus der deutschen Forschung finden der Technologietransfer und die daraus resultierende Wertschöpfung im Bereich GCT außerhalb Europas, d. h. in den USA und China, statt. Dieses Handlungsfeld beschäftigt sich speziell mit den Ursachen eines unzureichenden Technologietransfers der GCT in Deutschland. Daraus werden dann notwendige spezifische Maßnahmen abgeleitet, die dazu dienen, den Technologietransfer in Deutschland zu fördern.

Innovation bezeichnet die **Einführung** von neuen Prozessen, Produkten oder Dienstleistungen, die eine erhebliche **Verbesserung** darstellen – z. B. durch die Schaffung neuer Märkte oder die Optimierung bestehender Lösungen.
Eine **Erfindung** ist dagegen das erstmalige Auftreten einer **Neuheit** (Produkt, Verfahren).
Technologietransfer ist die erfolgreiche Weiterentwicklung einer Erfindung zu einem (zugelassenen) Produkt – wie z. B. eine Therapie, ein Therapieverfahren oder eine begleitende Diagnostik mit einem Zusatznutzen (Innovation) für die Patient*innen.

Neben der Forschung und Entwicklung (siehe Handlungsfeld VI) spielt der Technologietransfer für den Übergang vom Labor in die Klinik eine entscheidende Rolle. Dieser Transfer ist ein disziplinenübergreifender Prozess, der das geistige Eigentum (Intellectual Property, IP) von Forschungsergebnissen schützt, systematisch Risiken minimiert, eine Produktentwicklung absichert, qualifiziert, evaluiert, dokumentiert und nicht zuletzt ein Prüfpräparat (Investigational Medicinal Product, IMP) gemäß regulatorischer Vorgaben in die klinische Anwendung bringt. Dazu sind spezielles Know-how in der Planung und Durchführung sowie eine geeignete Infrastruktur Voraussetzungen für die Umsetzung. Aufgrund der steigenden Kosten im Verlauf des Technologietransfers ist es für den akademischen Technologietransfer von entscheidender Bedeutung, frühzeitig das IP zu sichern, die Produktionsprozesse zu etablieren und das neue GCT-Produkt unter professioneller Begleitung zeitnah in die erste klinische Prüfung zu bringen. Diese Prüfung ist ein wichtiger Meilenstein für die weiteren Investitionen durch Förderer, Investoren, Start-ups und Industriepartner. Damit können zusätzliche notwendige Ressourcen für den Technologietransfer der GCT zur klinischen Anwendung bereitgestellt und innerhalb Deutschlands umgesetzt werden (siehe hierzu auch Handlungsfelder IV, V und VII).

Strategische Ziele

1. Verbesserung der Rahmenbedingungen zur frühen Erkennung und Umsetzung des innovativen Potenzials von wissenschaftlichen Ergebnissen
2. Ganzheitliche Beratung und Bewertung von Transferprojekten, die den gesamten Entwicklungsprozess eines innovativen Prüfpräparats (Investigational Medicinal Product, IMP) von der Produktion bis zur Anwendung am Patienten oder an der Patientin einbezieht
3. Erleichterung der Verwertung des gesellschaftlichen und/oder wirtschaftlichen Potenzials der wissenschaftlichen Ergebnisse
4. Etablierung der Anerkennung von Transferleistungen und Translationserfolgen als Teil der wissenschaftlichen Reputation von Einzelpersonen und Institutionen

Strategisches Ziel 1:
Verbesserung der Rahmenbedingungen zur frühen Erkennung und Umsetzung des innovativen Potenzials von wissenschaftlichen Ergebnissen

Erläuterung Ziel:

Um das innovative Potenzial akademischer Forschungsergebnisse nutzen zu können, muss man dieses Potenzial frühzeitig erkennen und die Ergebnisse für den Markt vorbereiten, wie etwa durch den Schutz des geistigen Eigentums im Vorfeld von Veröffentlichungen.

Universitäten und Forschungseinrichtungen setzen zur Förderung des Schutzes des geistigen Eigentums auf Technologietransferstellen (Technologie Transfer Offices, TTOs), die Schulung, Beratung und Unterstützung bieten. Scouting-Programme helfen dabei, innovative Ergebnisse zu identifizieren. Im internationalen Vergleich sind Länder wie die USA oder China im Hinblick auf die Sensibilisierung und Förderung von Patentbewusstsein und Gründungskultur weiter als Deutschland. Dort werden Studierende früh an das Thema herangeführt und Kooperationen mit der Industrie gefördert. Netzwerke mit Unternehmen und Wagniskapitalgebern sind von zentraler Bedeutung dafür, den Transfer von Forschungsergebnissen in marktfähige Produkte beschleunigen und Start-up-Gründungen aus dem akademischen Umfeld heraus unterstützen zu können. Zusätzlich bedarf es neuer Programme im Sinne eines Company-Buildings, bei denen die Wissenschaftseinrichtungen selbst als Akteure tätig werden und das Start-up aufbauen. Um das innovative Potenzial wissenschaftlicher Ergebnisse besser erkennen und ein Umdenken fördern zu können, müssen deshalb in Deutschland weitere Maßnahmen ergriffen werden. Dies erfordert einen mehrschichtigen Ansatz.

Insgesamt ist es von entscheidender Bedeutung, dass Deutschland seine Anstrengungen zur Förderung des Schutzes geistigen Eigentums in der akademischen Forschung intensiviert. Dazu gehört es nicht nur sicherzustellen, dass man möglichst frei von rechtlichen Beschränkungen oder dem Risiko Rechte Dritter zu verletzen, agieren kann (Freedom-to-Operate (FTO-)Analyse), sondern auch, dass das eigene geistige Eigentum einem umfassenden internationalen Schutz unterliegt. Nur so kann sichergestellt werden, dass das Potenzial wissenschaftlicher Ergebnisse voll ausgeschöpft wird und zu Innovation und wirtschaftlicher Entwicklung beitragen kann. Hierfür müssen effektive Mechanismen gefunden, auf nationaler Ebene angepasst, getestet und bereitgestellt werden.

Maßnahme 1:
Bildung, Ausbildung und Schulung

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Leitungen der Universitäten und Hochschulen, Lehrende, Patentanwält*innen, Expert*innen für Regulatorik, Anbieter von Weiterbildungen

Beschreibung Maßnahme:
Gezielte Bildungs- und Weiterbildungsmaßnahmen zu den Themen geistiges Eigentum und Schutzrechte, Entwicklung eines Produktionsprozesses, präklinische Entwicklung, Regulatorik, Produktentwicklung und Unternehmertum müssen implementiert und ausgebaut werden, um Innovationen und den Technologietransfer an Universitäten und Forschungseinrichtungen zu stärken.

Hierfür sind eine grundlegende Ausbildung von Studierenden und eine Schulung von Wissenschaftler*innen und klinisch tätigem Personal zum Thema Schutzrechte und Ausgründungen nötig, die es ihnen ermöglichen, frühzeitig ein Bewusstsein für den Wert des geistigen Eigentums ihrer Forschung zu entwickeln und in potenziellen Produkten „zu denken“, um die kommerzielle Bedeutung ihrer Forschungsarbeit besser zu verstehen (siehe Handlungsfeld II, strategisches Ziel 1, Maßnahme 1).

Schulung von Wissenschaftler*innen: Eine grundlegende (Pflicht-)Schulung von Wissenschaftler*innen und klinisch tätigem Personal zum Thema Schutzrechte und Ausgrün-

dungen könnte zeitnah etabliert werden. Dazu sollen TTOs mit wissenschaftlichen Abteilungen zusammenarbeiten, um potenziell patentfähige Ergebnisse früh zu erkennen.

Vertiefende Weiterbildung: Eine vertiefende Weiterbildung von Doktorand*innen, Kliniker*innen und Wissenschaftler*innen zu speziellen Aspekten der Überführung von Innovationen im GCT-Bereich in klinische Anwendungen und die Marktreife muss etabliert und ausgebaut werden. Sie sollte auch spezifische Aspekte der GCT in Bezug auf Schutzrechte, präklinische und klinische Entwicklung, Regulatorik, Produktentwicklung und Entrepreneurship abdecken.

Weiterbildung und Schulung der TTO-Mitarbeiter*innen: Für Wissenschaftler*innen, die in den Bereich des Technologietransfers wechseln, sowie Mitarbeitende des Technologietransfers sollte eine gezielte Aus- und Weiterbildung entwickelt und verpflichtend eingeführt werden, um sie auf ihrem Spezialgebiet im Umgang mit Schutzrechten zu schulen – insbesondere mit Blick auf die spezifischen Aspekte von GCT-Projekten. Bei den Qualifizierungsmaßnahmen sollten u. a. Kenntnisse in den Bereichen Regulatorik, Vertragsrecht, Netzwerkbildung, Projektmanagement und Datenschutz vermittelt werden. Darüber hinaus sollte eine Ausbildung als Patentanwält*in in Universitäten und Forschungseinrichtungen mit Fokus auf GCT etabliert werden.

(Fern-)Universitäten, Forschungseinrichtungen und externe Bildungsanbieter sollten entsprechende berufsbegleitende Angebote in Form von Kursen, Workshops oder Fernstudien anbieten, die niederschwellig etabliert und akkreditiert werden. Um das dadurch gewonnene Potenzial im Anschluss nutzen zu können, muss spezifisch qualifizierten Mitarbeitenden eine längerfristige Beschäftigungsperspektive geboten werden.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Kurzfristig (1 Jahr): Eruierung der Bedarfe, Planung für die Entwicklung und Implementierung von Bildungsangeboten; Organisation erster Workshops/Kurse
- Mittelfristig (2–3 Jahre): Entwicklung eines Lehrplans (mit Modulen) und Überführung in Studiengänge; Etablierung von Pflichtschulungen; Aufbau von Kursen mit/bei externen Bildungsanbietern
- Langfristig (4–5 Jahre): Akkreditierung von neuen Bildungsangeboten und Modulen; vollständige Integration in die Studiengänge; regelmäßige Bedarfsanalyse und Anpassung der Lehrinhalte

Erfolgsindikatoren

- Anzahl der etablierten Kurse, Workshops, Studien- und Fernstudienangebote; Anzahl der Studierenden, Doktorand*innen und Wissenschaftler*innen; Anzahl der Schutzrechtsanmeldungen durch Universitäten und Forschungseinrichtungen
- Feedback der Teilnehmenden an den Bildungsangeboten

Maßnahme 2:
Stärkung der Technologietransferstellen (TTOs)

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
TTOs, Patentanwaltskanzleien, Politische Entscheidungsträger*innen, Wissenschaftler*innen/Erfinder*innen; Leitungen der Universitäten und Forschungseinrichtungen

Beschreibung Maßnahme:

TTOs an Universitäten und Forschungseinrichtungen spielen eine Schlüsselrolle bei der Identifizierung schutzfähiger Erfindungen und beim Unterstützen von Wissenschaftler*innen bei der Patentanmeldung. Diese Einrichtungen sollten personell gestärkt und finanziell gut ausgestattet werden. Dazu sollte ein fester Anteil der institutionellen Zuwendungen für den Bereich Innovation und Transfer zur Verfügung gestellt und dieses Themenfeld als eigenständige Säule neben Forschung und Lehre verankert werden. Mehr Ressourcen für die Beratung von Forschenden zu haben, kann bei der Bewertung ihrer Ergebnisse und der Anmeldung von Patenten helfen und einen effektiven Schutz sicherstellen. Eine höhere Zahl von Patentanmeldungen führt unweigerlich zu höheren Kosten für den Erhalt der Patente. Solange für den Technologietransfer nicht genügend Mittel aus den institutionellen Zuwendungen zur Verfügung stehen, bedarf es nationaler Förderprogramme, die im Gegensatz zur eingestellten WIPANO (Wissens- und Technologietransfer durch Patente und Normen)-Förderung einfache, schnelle und unbürokratische Mittelabrufe erlauben (siehe Handlungsfeld VI, strategisches Ziel 2, Maßnahme 1). Ressourcen für effektive Verwertungsanstrengungen führen gezielt in die Anwendung. Das gilt in besonderem Maße für hochinnovative Anwendungsfelder wie die GCT.

Indem sie eigene Patentanwält*innen beschäftigen, können die Technologietransferstellen beim Einreichen der Patentanmeldungen unterstützen und gemeinsam mit externen Patentanwaltskanzleien helfen, Patentanmeldestrategien zu erarbeiten. Die Mitarbeitenden der Technologietransferstellen sollten geschult werden und bei Bedarf

die Dienste von Berater*innen mit Industrieerfahrung in Anspruch nehmen, um so aktiv eine Patentverwertung betreiben und Ausgründungen bei der Suche nach potenziellen Investoren oder Lizenznehmern unterstützen zu können (Business Development).

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Kurzfristig (1 Jahr): Analyse des Istzustands der TTOs und Ableitung des Bedarfs an Personal und finanziellen Mitteln; Gespräche mit der Politik zur Bereitstellung der notwendigen Ressourcen, Zuwendungen und Förderprogramme; Aufsetzen von Förderprogrammen; Etablierung von Scouting-Prozessen; Einrichtung von industrieerfahrenen Beratungsgruppen
- Mittelfristig (2–3 Jahre): Personalakquise; Entwicklung von Weiterbildungsprogrammen für TTOs im Bereich Patentverwertung; Implementierung einfacher, unbürokratischer Prozesse für die Mitteleinwerbung, z. B. für FTO-Analysen/-Abrufe aus Förderprogrammen
- Langfristig (4–5 Jahre): Integration von Innovation, IP und Transfer als eigenständige Säule in akademischen Einrichtungen; regelmäßige Überprüfung der Effizienz des Transfers und ggf. Anpassung der Strategien im TTO

Erfolgsindikatoren

- Anzahl der durch die TTOs identifizierten und gemeldeten Erfindungen
- Anzahl der erteilten Patente im Verhältnis zu den eingereichten Patentanmeldungen
- Anzahl der erfolgreichen Verwertungsaktivitäten und (daraus abgeleitet) Höhe der erzielten Erlöse
- Zufriedenheit der Wissenschaftler*innen mit den angebotenen Services der TTOs
- Gesteigerte Effizienz der Prozesse im Technologietransfer (z. B. verkürzte Bearbeitungszeit von Erfindungsmeldungen bzw. Patentanmeldungen)
- Höhe, Eignung und Nutzbarkeit der nationalen Fördermittel für den Technologietransfer

Maßnahme 3:
Aufbau von Strukturen zur gezielten Umsetzung und Marktvorbereitung von GCT-Projekten

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
TTOs, Wissenschaftler*innen, Jurist*innen, Ökonom*innen, Clinical Trial Offices (CTO), Regulator*innen, externe Berater*innen, Marketingberater*innen, IT-Expert*innen, Industriepartner

Beschreibung Maßnahme:

Der Technologietransfer als eine frühe Anlaufstelle für GCT-Projekte ist zentral für die Schaffung und Koordinierung interner und externer Unterstützungsstrukturen. Hierfür müssen TTOs strukturell und konzeptionell gestärkt werden. Dazu gehört der Aufbau einer PDU, siehe strategisches Ziel 2, Maßnahme 1 mit interdisziplinären (Beratungs-)Teams aus Wissenschaftler*innen, Kliniker*innen, Jurist*innen, Ökonom*innen, Regulator*innen, GMP-Einrichtungen, CTOs und/oder Marketingspezialist*innen, die den gesamten Entwicklungsprozess von GCT-Therapien begleiten kann. Ein GCT-spezifischer Leitfaden und ein diesbezüglicher Maßnahmenkatalog werden entwickelt, um die notwendigen Schritte und einzubindenden Experten*innen/Strukturen klar zu definieren. Dies wird idealerweise durch eine zentrale, deutschlandweit tätige, auf GCT spezialisierte PDU koordiniert, die das Wissen der verschiedenen TTOs bündelt und Erfinder*innen in der Kommunikation mit den regulatorischen Behörden und bei der Vorbereitung der Dokumentation für einen Antrag auf klinische Prüfung unterstützt. Notwendige externe Berater*innen bzw. Firmen werden ermittelt und herangezogen, um ihr Spezialwissen für das spezifische GCT-Projekt einzubringen und regulatorische Hürden effizient zu überwinden. Zusätzlich kann eine Online-Beratungsplattform für TTOs die schnelle und unkomplizierte Kommunikation zwischen TTOs, der PDU und externen Berater*innen ermöglichen. So kann frühzeitig ein niederschwelliges Beratungsangebot zu regulatorischen Aspekten, bestehenden (zugelassenen) Technologien und Rechten Dritter unterbreitet und/oder vermittelt werden – unter Berücksichtigung der Expertise in den zu bildenden Knotenpunkten (siehe Handlungsfeld VI, strategisches Ziel 1, Maßnahme 1). Außerdem kann so sichergestellt werden, dass eine objektive Bewertung erfolgt sowie Chancen und Risiken frühzeitig erkannt und spezifische Konzepte unterstützt werden (z. B. zur dezentralisierten Herstellung (Point-of-Care-Produktion)).

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Kurzfristig (1 Jahr): Bestandsaufnahme vorhandener TTO-Strukturen und Kompetenzen (nationaler Blick); Ermittlung von notwendigen interprofessionellen Teamstrukturen innerhalb des TTO, Aufbau und Schulung von interdisziplinären Teams; Planung einer Online-Beratungsplattform für die Kommunikation zwischen TTOs, der PDU und Berater*innen
- Mittelfristig (2–3 Jahre): Entwicklung eines GCT-spezifischen Leitfadens bzw. Maßnahmenkatalogs; Etablierung eines niederschwelligen Beratungsangebots für regulatorische Aspekte eines GCT-Projektes; Aufbau von strategischen Partnerschaften mit akademischen Einrichtungen (auch als Servicepartner für kleinere Einrichtungen), externen Berater*innen und Industriepartnern
- Langfristig (5 Jahre): Implementierung von Workshops und Mentoring-Programmen für die Umsetzung von GCT; Aufbau einer Online-Beratungsplattform

Erfolgsindikatoren

- GCT-spezifischer Leitfaden/Maßnahmenkatalog wurde eingeführt und wird genutzt
- Etablierung einer Online-Plattform für spezifische Aspekte der Produktentwicklung im Bereich GCT
- Workshops wurden durchgeführt, Zahl und Zufriedenheit der Teilnehmenden, Nachfrage nach dem Angebot
- Nutzung der Online-Beratungsplattform und Zufriedenheit der Nutzenden
- Erfolgreiche Überwindung regulatorischer Hürden, u. a. zielgerichtete und schnelle Umsetzung in eine FIH-Studie
- Erste Markteinführungen neuer GCT-Produkte (u. a. auch Zeitfaktor)

Strategisches Ziel 2:
Ganzheitliche Beratung und Bewertung von Transferprojekten, die den gesamten Entwicklungsprozess eines innovativen Prüfpräparats (Investigational Medicinal Product, IMP) von der Produktion bis zur Anwendung am Patienten oder an der Patientin einbezieht

Erläuterung Ziel:
Innovationen bei GCT gehen sowohl aus neuen Technologien (z. B. Herstellungsprozessen, Transfektionsverfahren usw.) als auch aus neuen therapeutischen GCT-Ansätzen zur Behandlung von speziellen Erkrankungen hervor.

Ein erfolgreicher Technologietransfer from Bench to Bedside kann nur dann erfolgen, wenn eine GCT-Technologie zur therapeutischen Anwendung über die notwendigen Voraussetzungen für die Translation verfügt und später auch reproduzierbar, skalierbar und letztendlich auch kosteneffizient hergestellt werden kann. Insbesondere im Hinblick auf den Bereich GCT muss ein Umdenken erfolgen und die Prozessentwicklung als eigenständige essenzielle Notwendigkeit anerkannt und dementsprechend geplant, gefördert und umgesetzt werden. Diese Voraussetzungen können derzeit weder von der akademischen Forschung noch von existierenden Technologietransfereinheiten und industriellen Kooperationspartnern allein geschaffen werden. Die externen Berater*innen, die deshalb benötigt werden, verursachen meist hohe Kosten und sind oft nicht mit den Rahmenbedingungen der akademischen Landschaft vertraut. Diese Barrieren gilt es deshalb durch geeignete Maßnahmen abzubauen.

Die notwendigen Voraussetzungen sind dabei schrittweise zu berücksichtigen und bedürfen sowohl des Zugangs zu spezifischen Infrastrukturen als auch qualifizierten Personals und einer ausreichenden Finanzierung. Im Einzelnen sind folgende Bereiche für einen erfolgreichen Technologietransfer bei GCT notwendig:

a. Ökonomische Verwertbarkeit und gesellschaftlicher Nutzen: Einordnung in den derzeitigen Stand der Technik bzw. den therapeutischen Goldstandard, laufende Entwicklungen, ökonomische Rahmenbedingungen und Umsetzbarkeit in ein Produkt.
b. Definition der Technologie bzw. der therapeutischen GCT: Erstellung eines Technologie- oder Produktprofils (Target Product Profile, TPP) gemäß ICH Guidelines bzw. technischen Standards, mit den daraus resultierenden minimalen Spezifikationen und Anforderungen zur Qualifizierung der Technologie bzw. klinischen Anwendung der GCT.
c. Detaillierte Planung des Projekts (Projektplan, Personalbedarf, Infrastrukturbedarf usw.): Erstellung eines systematischen, rationalen und schrittweisen Entwicklungsplans einschließlich eines Risikomanagement-, Personal- und Finanzierungsplans.
d. Technische bzw. präklinische Evaluierung, Qualifizierung, Validierung und Dokumentation: Planung und Durchführung der notwendigen *In-vitro*, *In-vivo*, toxikologischen, pharmakologischen und experimentellen Versuche zur Qualifizierung und Validierung des Technologie- oder Produktprofils einschließlich der entsprechenden Dokumentation.
e. Entwicklung eines Herstellungsprozesses gemäß GMP, Qualifizierung und Validierung: Entwicklung von kosteneffizienten Produktionsprozessen und -technologien. Absicherung der Reproduzierbarkeit und Skalierbarkeit und damit der Herstellbarkeit der GCT-Produkte einschließlich qualifizierter und validierter analytischer Methoden zur Gewährleistung der GMP-Konformität. Kontinuierliche Weiterentwicklung des Prozesses.
f. Klinisches Studiendesign und regulatorische Genehmigungen: Planung eines aussagekräftigen Studiendesigns, Evaluation der Machbarkeit (Patientenrekrutierung, Endpunkte, Statistik), Etablierung des Studien-Monitorings, des Risikomanagements und der Biostatistik einschließlich der Genehmigungen durch eine Ethikkommission und die zuständigen Behörden.

Eine engere Vernetzung von Technologie- und GCT-Entwickler*innen und Expert*innen aus den Bereichen der Gesundheitswirtschaft, Regulatorik, Präklinik, Klinik usw. ist anzustreben. Durch eine engere Vernetzung von Wissenschaft, Regulatorik und Industrie durch eine PDU kann das Potenzial der Standardisierungen von Prozessen und Technologien stärker genutzt werden. Hierzu bedarf es folgender konkreter Maßnahmen:

Maßnahme 1:
Aufbau einer Product Development Unit (PDU) zur Unterstützung von Projektplanung und -durchführung

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Politische Entscheidungsträger*innen, PEI als zuständige regulatorische Behörde, geeignete akademische Institution

Beschreibung Maßnahme:
Mit der Schaffung einer unabhängigen, zentralen PDU, die an einer geeigneten akademischen Institution angesiedelt werden sollte, werden die Wissenschaftler*innen und Forschungsinstitutionen maßgeblich beim Technologietransfer unterstützt, indem sie bei der Erstellung und Umsetzung eines risikominimierten, produktspezifischen Projektplans professionell angeleitet werden. Ein solches PDU-Konzept hat die Transferleistungen zum Beispiel im Deutschen Zentrum für Infektionsforschung (DZIF) erheblich vorangetrieben und sollte daher auf den Bereich GCT übertragen werden. Die PDU begleitet die Entwicklung eines Projektplans, der die notwendigen Entwicklungsschritte und die einzubindenden Infrastrukturen sowie einen zeitlichen Ablaufplan beinhaltet und greift auf ein weit verzweigtes Netzwerk von erfahrenen Entwickler*innen und Spezialist*innen im Bereich Produktion und Regulatorik sowie Pharmapartnern und Behörden zurück. Dies ermöglicht den Erfinder*innen und Wissenschaftler*innen in einem Entwicklungsprojekt die systematische Abarbeitung der notwendigen Schritte: Hierzu zählen die schnelle und reibungslose technische bzw. präklinische Evaluierung (inklusive notwendiger *In-vitro*, *In-vivo*, toxikologischer und pharmakologischer Versuche), die Entwicklung eines geeigneten Produkt-Prototyps, die Etablierung eines reproduzierbaren Herstellungsprozesses für die Good Laboratory Practice (GLP-) und GMP-Herstellung der Komponenten und des klinischen Prüfproduktes und die Qualifizierung, Validierung und Dokumentation des präklinischen und klinischen Proof of Concept. Anhand

von Leitfäden erstellt die PDU dabei zusammen mit den TTO-Teams und den Wissenschaftler*innen das individuelle GCT-Technologie- oder -Produktprofil (TPP) und die spezifischen Anforderungspläne. Zudem unterstützt die PDU den Technologietransfer durch die Nutzung von SOPs für bestehende Prozesse bzw. Plattformtechnologien und durch die gemeinsame Entwicklung neuer Prozesse. Gezielt wird hierbei auch die für GCT-Projekte notwendige Interdisziplinarität durch Zusammenarbeit von medizinischen, biologischen und verfahrenstechnischen (Forschungs-)Instituten gefördert bzw. sichergestellt.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Kurzfristig (1 Jahr): Finanzielle Mittel zur Einrichtung einer zentralen PDU sowie von Beratungsgruppen, Gewinnung qualifizierter Mitarbeiter*innen
- Mittelfristig (2–3 Jahre) Aufbau eines Netzwerks aus externen Berater*innen (Regulatorik, Herstellung, Finanzierung); Anbindung an die interprofessionellen TTO-Teams aus den verschiedenen Einrichtungen zur Identifikation von Flagship-Projekten
- Langfristig (4–5 Jahre): Sicherung der längerfristigen Finanzierung der PDU mit einer Leitung mit Industrieerfahrung und 3–4 Mitarbeiter*innen

Erfolgsindikatoren

- Etablierung der PDU
- Erste Flagship-Projekte wurden identifiziert und Meilensteine definiert
- Erste Projekte wurden in die klinische Anwendung begleitet

Maßnahme 2:
Schaffung und Betrieb von gemeinsam nutzbarer Infrastruktur für GCT-Entwickler*innen

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Politische Entscheidungsträger*innen, Ministerien auf Landes- und Bundesebene, Leitung der akademischen Einrichtungen

Beschreibung Maßnahme:

Schaffung von gemeinsamen Infrastrukturen, die es GCT-Entwickler*innen aus unterschiedlichen Organisationen wie Universitäten, Forschungsgemeinschaften, Start-ups und Pharma-/Biotech-Unternehmen ermöglichen, zusammen an der Entwicklung neuer Therapien zu arbeiten. So können Kompetenzen aus verschiedenen Fachbereichen (z. B. Medizin, Biologie und Ingenieurswissenschaften) frühzeitig zusammengeführt werden, während eine Umgebung für den Austausch unter den Akteuren geschaffen wird, die eine künftige klinische Entwicklung und Kommerzialisierung erleichtern soll. Besonders hervorzuheben sind dabei die Herstellung von Material für präklinische Toxizitätsstudien und klinische Studien, die Generierung von Daten für das Einreichen eines klinischen Prüfantrags (Clinical Trial Application, CTA) in Europa oder einer IND-Studie in den USA. Hierfür werden eine GMP-Produktionsumgebung, entsprechende Datenspeichersysteme und geeignete Analytiklabore benötigt, die sich in für alle Beteiligten zugänglichen Räumlichkeiten befinden sollten. So könnte z. B. die Herstellung von Material für die Phase 1 der klinischen Studien über die gemeinsame Infrastruktur unterstützt werden. Über den Aufbau technischer Kompetenzen hinaus kann die PDU auch zur Beratung zu translationsrelevanten Themen (regulatorische Angelegenheiten, Design und Durchführung von Toxizitäts- und Phase 1-Studien) genutzt werden und hier langfristig GCT-spezifische Erfahrung aufbauen. Ein Vorteil dieser (teilweisen) öffentlichen Finanzierung solcher Knotenpunkte ist die Bezahlbarkeit für die GCT-Entwickler*innen, für die besonders die Herstellung von Material für Toxizitätsstudien meist schwer finanzierbar ist und somit einen Flaschenhals in der Entwicklung von neuen Therapien darstellt (siehe Empfehlung in Handlungsfeld V, strategisches Ziel 1, Maßnahme 4 und in Handlungsfeld VI, strategisches Ziel 1, Maßnahme 1).

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Kurzfristig (1 Jahr): Erfassung aller bestehenden (Teil)Infrastrukturkapazitäten für eine gemeinsame Nutzung für die GCT-Entwicklung
- Mittel- bis langfristig (2–5 Jahre): Kontinuierlicher Aus- und Aufbau einer flächendeckenden GCT-Entwicklungsinfrastruktur für Akademie und Start-ups

Erfolgsindikatoren

- Anzahl an geschaffenen nicht-wettbewerblichen GCT-Infrastrukturen auf Kostenbasis

Strategisches Ziel 3:
Erleichterung der Verwertung des gesellschaftlichen und/oder wirtschaftlichen Potenzials der wissenschaftlichen Ergebnisse

Erläuterung Ziel:

Verwertung zum gesellschaftlichen und (volks)wirtschaftlichen Nutzen. Der angestrebte gesellschaftliche Nutzen hat die routinemäßige Behandlung von Patient*innen mit neuen zugelassenen Produkten zum Ziel. Ein Zwischenziel auf diesem Weg ist die Behandlung einiger weniger Patient*innen in klinischen Phasen. Um die nachhaltige Bereitstellung neuer Produkte und deren Markteinführung und Vertrieb sicherzustellen, ist von Seiten der öffentlichen Forschungseinrichtungen der Transfer in ein Unternehmen notwendig, sei es nun ein neu gegründetes Start-up oder eine existierende Firma.

Prinzipiell beinhaltet eine Verwertung im Sinne der obigen Definition eine Lizenz oder eine Rechtsübertragung (Schutzrechte und/oder Know-how) sowie im Fall einer Ausgründung zusätzlich in der Regel eine (direkte oder indirekte) Beteiligung am Start-up – Letzteres insbesondere, um eine für das Start-up attraktive Lizenzstruktur (z. B. Exklusivität und trotzdem backloaded) zu ermöglichen.

Im Life-Science-Bereich tragen öffentliche Forschungsinstitutionen oft jahrelang hohe Entwicklungskosten und ermöglichen kostenintensive Validierungen. Daher ist in der Regel eine Übertragung von Patentrechten oder Virtual Shares weniger geeignet. Insbesondere im Fall der Ausgründung ist eine möglichst schnelle Einigung der Akteure – Forschungsorganisation, Gründer*innen und Investor*innen – von zentraler Bedeutung. Hierbei ist man sich international wie national einig, dass im Vorfeld transparente Ausgründungsstandards erarbeitet werden sollten, wobei Forschungsorganisationen, bereits ausgegründete Firmen sowie Investor*innen mit einbezogen werden sollten. In den USA wurde dazu unter Federführung der Columbia Universität ein entsprechender Leitfaden entwickelt, und – in der Konstellation TenU (USA, GB, BEL) als Weiterentwicklung der Empfehlungen der Columbia Universität – der USIT Guide. Auch in den Niederlanden und Belgien gibt es davon abgeleitete nationale Empfehlungen. In Deutschland orientiert sich die Transferallianz in einem Positionspapier an der Grundphilosophie der US-Empfehlungen und des USIT Guides. Letzterer ist ein hervorragend ausgearbeitetes Werk mit dem Schwerpunkt Life Sciences, das eine Vielzahl von Aspekten anspricht, die bei Ausgründungen relevant sind, und deshalb auch im Rahmen der GCT-Strategie das Referenzwerk für Spin-offs darstellen sollte.

Maßnahme 1 (übergreifend):
Erarbeitung eines nationalen Leitfadens für transparente Ausgründungsstandards, zum Beispiel auf der Basis des USIT Guides

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
VCs, außeruniversitäre Forschungseinrichtungen, Universitäten, bereits ausgegründete (erfolgreiche und gescheiterte) Firmen, Transferallianz

Beschreibung Maßnahme:
Erarbeitung eines nationalen Leitfadens unter Berücksichtigung der juristischen und strukturellen Gegebenheiten in Deutschland und der international etablierten Ansätze wie des USIT Guides und unter Einbeziehung von wichtigen Akteuren wie VCs, außeruniversitären Forschungseinrichtungen, Universitäten, bereits ausgegründeten (erfolgreichen und gescheiterten) Firmen sowie der Transferallianz. Ausgründungen könnten dadurch unterstützt werden, dass sie die Patentrechte zu Konditionen lizenzieren können, die sie leistungsfähig halten und dem Team frühzeitig bekannt sind.

Bis zur Fertigstellung des nationalen Leitfadens sollten die einzelnen Einrichtungen Leitfäden – zumindest bezüglich der Beteiligungs- und Lizenzmodalitäten der Einrichtung – erstellen, damit nicht jede*r Ausgründer*in das Gefühl hat, in einem intransparenten Umfeld „von Null anfangen zu müssen“. Um eine langfristige Vereinheitlichung der Transferbedingungen auf nationaler Ebene zu erreichen, sollten diese Leitfäden möglichst veröffentlicht, zumindest aber der Arbeitsgruppe zur Verfügung gestellt werden, die

den nationalen Leitfaden erarbeitet hat, sowie den TTOs der anderen Forschungseinrichtungen in Deutschland. Grundlage für Standards bei Termsheets kann das von der Columbia Universität entwickelte Modell sein. Auch künftig sollen Entwicklungen von Columbia oder TenU als Orientierungshilfe für nationale Standards verwendet werden.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Kurzfristig (1 Jahr): 1 Koordinator*in (Personalmittel)
- Mittelfristig (2–3 Jahre): Leitfaden erstellt

Erfolgsindikatoren

- Leitfäden bezüglich der Beteiligungs- und Lizenzmodalitäten wurden erstellt
- Fertigstellung des nationalen Leitfadens

Maßnahme 2 (GCT-spezifisch): Klärung und Verbesserung der Rahmenbedingungen, damit Start-ups in der Anfangsphase bestehende Infrastrukturen der (Mutter-) Forschungseinrichtung verwenden können, insbesondere teure GMP-Infrastruktur

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Politische Entscheidungsträger*innen, Ministerien auf Landes- und Bundesebene, Leitung der akademischen Einrichtungen

Beschreibung Maßnahme:
Erstellung eines Gutachtens dazu, welche rechtlichen, regulatorischen und organisatorischen Aspekte, insbesondere beihilferechtlicher Art, zu beachten sind, wenn Start-ups bestehende Infrastrukturen der (Mutter-)Einrichtung mitnutzen wollen. Auf der Basis eines solchen Gutachtens werden unter Mitwirkung von Transferexpert*innen ausgewählter Forschungseinrichtungen folgende Maßnahmen ergriffen:

1. Es wird ein Leitfaden mit konkreten Handlungsanweisungen für die Forschungseinrichtungen erstellt, wie sie Start-ups Zugang zur Infrastruktur gewähren sollen. Dieser Leitfaden kann den akademischen Institutionen als Anhaltspunkt dienen und etwaigen Rechtsstreitigkeiten vorbeugen;
2. Es werden diejenigen bestehenden rechtlichen, regulatorischen und organisatorischen Regelungen ermittelt, die für den Zugang von Start-ups zur bestehenden Infrastruktur das größte Risiko bzw. Problem darstellen und eine Änderung der Gesetzgebung erfordern;
3. Es werden Wege zur Anpassung des EU-Beihilferechtsrahmens und der (ausführenden bzw. ergänzenden) deutschen Regelungen eruiert.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Kurzfristig (1 Jahr): 1 Koordinator*in (Personalmittel)
- Mittelfristig (2–3 Jahre): Erstellung des Gutachtens
- Finanzielle Mittel für externe Beratungsagentur

Erfolgsindikatoren

- Gutachten wurde erstellt
- Handlungsanweisungen liegen vor

Maßnahme 3 (GCT-spezifisch): Patentrecherchen und Analysen für einige wenige absolute Schlüsseltechnologien

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
TTO, externe Patentanwaltskanzleien

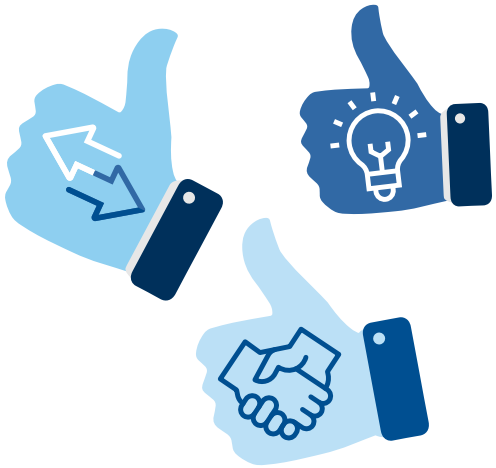
Beschreibung Maßnahme:
Die Ergebnisse von mit Bundesmitteln geförderten projektbezogenen Patentrecherchen und FTO-Analysen sollten zusammengetragen werden, sofern sie eine Schlüsseltechnologie betreffen. Daraus sollten für einige wenige absolute Schlüsseltechnologien (wie zum Beispiel CRISPR/Cas9) Patentlandschaften erstellt werden, in denen die Patentfamilien herausgehoben werden, die von besonderer Bedeutung für alle Projekte sind, die die betreffende Schlüsseltechnologie nutzen. Damit legt man für viele dieser Projekte ein robustes erstes Fundament für die Evaluierung von Rechten Dritter an diesen Technologien, was den Gesamtprozess einer späteren, tiefer gehenden Evaluierung im Rahmen einer FTO-Analyse beschleunigen wird. Darüber hinaus vermindert man so das Risiko von individuellen Fehlern bei den Patentrecherchen, die den Evaluierungen möglicher Rechte Dritter zugrunde liegen.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Kurzfristig (1 Jahr): Mittel für die Erstellung und Pflege einer Datenbank, die die gesammelten Rechercheergebnisse enthält
- Mittelfristig (2–3 Jahre): Initiale Datenbank aufgebaut
- Langfristig (4–5 Jahre): Laufende Aktualisierung der Datenbank

Erfolgsindikatoren

- Funktionale und zugängliche Datenbank ist vorhanden
- Aktualisierungsprozess ist etabliert
- Der Zugriff auf die Datenbank wird quantitativ überwacht



keine „Währung“ entwickelt. Für die Erlangung eines Doktortitels zählen z. B. in der Regel nur Publikationen, da Transferleistungen schwer zu messen sind und oft wesentlich mehr Zeit in Anspruch nehmen als eine Promotion. Die längerfristige Beschäftigung in einem Entwicklungsprojekt ist aufgrund der gesetzlichen Rahmenbedingungen kaum möglich. Selbst wenn eine Ausgründung vorbereitet wird, greift die gesetzlich beschränkte Beschäftigungsdauer. Das führt dazu, dass sich nur wenige junge Menschen solchen Projekten widmen können und dass beim Personalwechsel kontinuierlich Wissen und Erfahrung verloren gehen.

Strategisches Ziel 4:
Etablierung der Anerkennung von Transferleistungen und Translationserfolgen als Teil der wissenschaftlichen Reputation von Einzelpersonen und Institutionen

Erläuterung Ziel:

Bisher werden Transferleistungen in Deutschland nur bedingt als wissenschaftliche Leistungen anerkannt. Das unterscheidet uns z. B. von den USA, wo die Gründung eines Unternehmens nicht nur das Ansehen eines Forschenden, sondern auch das seiner Forschungseinrichtung erhöht. In Deutschland wird das von der Gesellschaft und von den akademischen Fachkräften hingegen teilweise skeptisch gesehen und als „kommerzielle Orientierung“ betrachtet.

Es muss ein kultureller Wandel stattfinden, der ein Umfeld schafft, in dem Innovation und Unternehmertum explizit geschätzt, unterstützt und honoriert werden. Erfolgreiche Beispiele von Ausgründungen und Patentanmeldungen könnten in der internen und externen Kommunikation als Erfolge hervorgehoben und die entsprechenden Wissenschaftler*innen als Vorbilder präsentiert werden. Außerdem sollte der wirkungsorientierte Umgang mit Forschungsergebnissen stärker gefördert und bewertet werden, und die Transferleistung von Universitäten und Forschungseinrichtungen sollte in Form von Qualitätskennzahlen in die Betrachtung aufgenommen werden.

Junge Wissenschaftler*innen, die in einem akademischen Umfeld aufwachsen haben zwar oft ein großes Interesse daran, nachhaltig zur Verbesserung der Gesundheit der Bevölkerung beizutragen, aber das akademische Umfeld in Deutschland hat dafür bisher

Maßnahme 1:
Optimierung der akademischen Anreizsysteme und projektspezifische Beschäftigung qualifizierter Mitarbeiter*innen

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Leitungen der akademischen Institutionen

Beschreibung Maßnahme:

Anreize für Wissenschaftler*innen, ihre Forschung in die Anwendung zu überführen, sollten durch eine finanzielle Beteiligung an den Einnahmen aus Lizenzen oder Ausgründungen (auch ohne Erfinderstatus) geschaffen werden. Eine Beschäftigung essenzieller Fachkräfte für ein Transferprojekt muss auch auf der Basis befristeter Verträge bis zum Zeitpunkt der Ausgründung oder Auslizenzierung möglich sein, um den Verlust von Wissen und Kompetenz zu vermeiden.

Zudem sollten Möglichkeiten gefunden werden, Transferleistungen für Karriereschritte anzuerkennen. So wäre es zum Beispiel möglich, für Promotionen oder Habilitationen die Beteiligung an Patentschriften oder die Initiierung einer klinischen Studie anzuerkennen. Ein genehmigtes Studienprotokoll für einen IIT oder der Erhalt einer Herstellungsgenehmigung sollten einer peer-reviewten Publikation gleichgesetzt werden.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Mittelfristig (2 Jahre)
- Keine speziellen Ressourcen benötigt

Erfolgsindikatoren

- Anpassung der tarifrechtlichen Voraussetzung für eine projektspezifische Beschäftigung in einem Transferprojekt
- Anpassung von Promotions- und Habilitationsvoraussetzungen

Maßnahme 2:
Erfolgsgeschichten zum Technologietransfer kommunizieren

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Kommunikationsabteilungen im Austausch mit TTOs, nationales Netzwerkbüro

Beschreibung Maßnahme:
Um das Ansehen von Leistungen des Transfers in die private Wirtschaft zu verbessern, sollten Imagekampagnen durchgeführt werden, die Erfolgsgeschichten im Bereich der GCT so aufarbeiten, dass sie für Studierende, Forschende und eine interessierte Öffentlichkeit verständlich sind und positiv dargestellt werden. Diese Imagekampagnen sollten die gesamte Translationskette umfassen – von Patenten, die auslizenziert werden, über Firmengründungen bis hin zur kommerziellen Nutzung von Forschungsergebnissen.

Berichte über Wissenschaftler*innen, die erfolgreich Ideen in die klinische Umsetzung gebracht oder Unternehmen gegründet haben, dienen dabei nicht nur als Präsentation von Rollenvorbildern, sondern geben auch Wissen weiter, wie aus einer Idee ein Produkt werden kann. Solche Erfolgsgeschichten haben Vorbildwirkung und erhöhen das Ansehen erfolgreicher Akteure des Transfergeschehens in der akademischen Welt.

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Mittelfristig (2 Jahre) für die Initiierung, danach Verstetigung der Maßnahmen
- Ressourcen: Ein*e Mitarbeiter*in für die Kommunikation im Netzwerkbüro

Erfolgsindikatoren
- Anzahl der online kommunizierten Transferprojekte
- Anzahl der Internetaufrufe und Anzahl der positiven Bewertungen bzw. geteilten Beiträge
- Anzahl der Pressemitteilungen
- Anzahl der Medienauftritte, die aus beworbenen Projekten hervorgegangen sind

Maßnahme 3:
Transferleistungen von Forschungseinrichtungen als Qualitätskriterium

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Wissenschaftsrat, politische Entscheidungsträger*innen, Ministerien auf Landes- und Bundesebene, Leitungen der akademischen Einrichtungen

Beschreibung Maßnahme:
Um zu erreichen, dass Forschungseinrichtungen Leistungen des Transfers in die private Wirtschaft stärker unterstützen, sollten Erfolge beim Technologietransfer und die Unterstützung von Ausgründungen als klares Ziel neben den Grundaufgaben Lehre, Forschung und Krankenversorgung in den Landeshochschulgesetzen verankert und in Kriterienkataloge bei Evaluationen aufgenommen werden. Dabei sollten erfolgreiche Transferleistungen beim „Hochschulranking“, bei Evaluationen und bei Empfehlungen des Wissenschaftsrates nicht nur quantitativ (Anzahl der Ausgründungen und Lizenzierungen), sondern auch qualitativ (Anzahl der marktreifen Produkte, Unicorns etc.) stärker berücksichtigt werden. Mitarbeitende, die Ausgründungen unterstützen wollen, sollten die Möglichkeit bekommen, entweder in Teilzeit zu arbeiten oder für einen befristeten Zeitraum freigestellt zu werden. Hierfür sollten rechtliche und tarifliche Voraussetzungen entweder geschaffen oder häufiger wahrgenommen werden.

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Kurz- bis mittelfristig (1–2 Jahre)
- Keine zusätzlichen Ressourcen erforderlich

Erfolgsindikatoren
- Definition von kurz- und mittelfristigen Zielwerten für erfolgreiche Transferleistungen durch jede akademische Institution
- Anpassung des Katalogs der Evaluationskriterien für universitäre und außeruniversitäre wissenschaftliche Einrichtungen
- Evaluation der Auswirkungen der geänderten Zielwerte/Evaluationskriterien nach 5 Jahren
- Anpassung der IMA an translationale Erfolgskriterien

Handlungsfeld IV: Standards, Normen und regulatorische Rahmenbedingungen

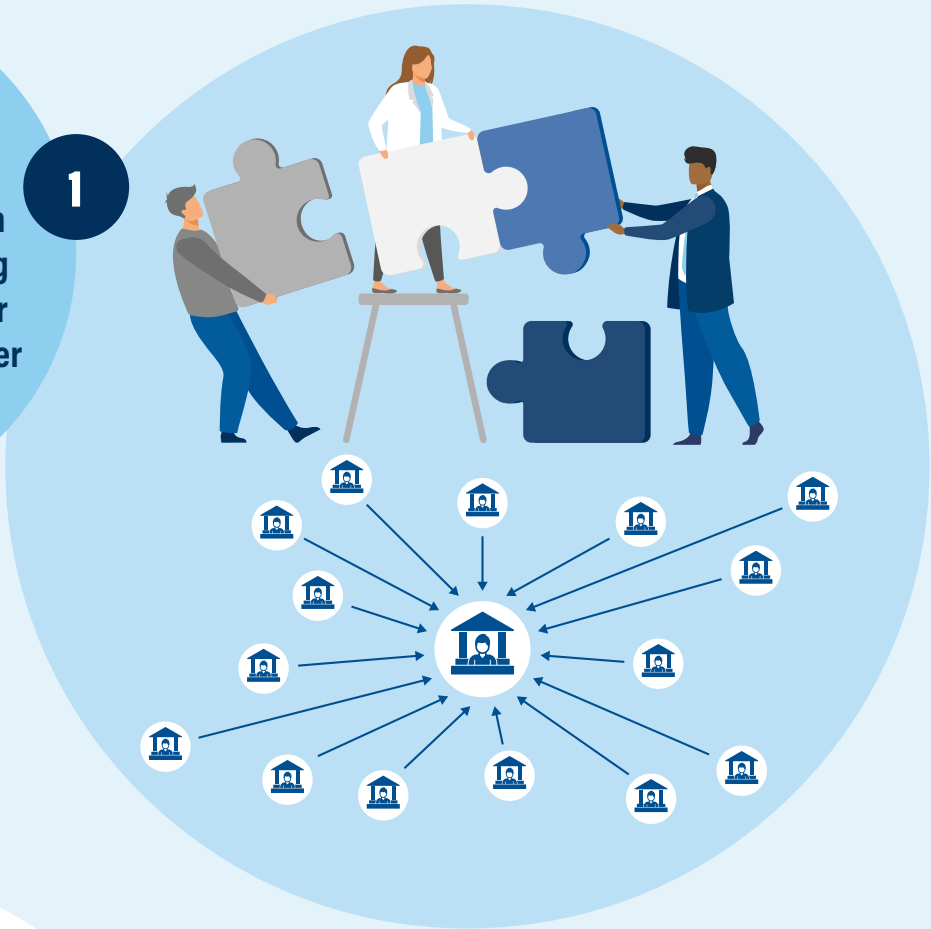
Zusammenfassung

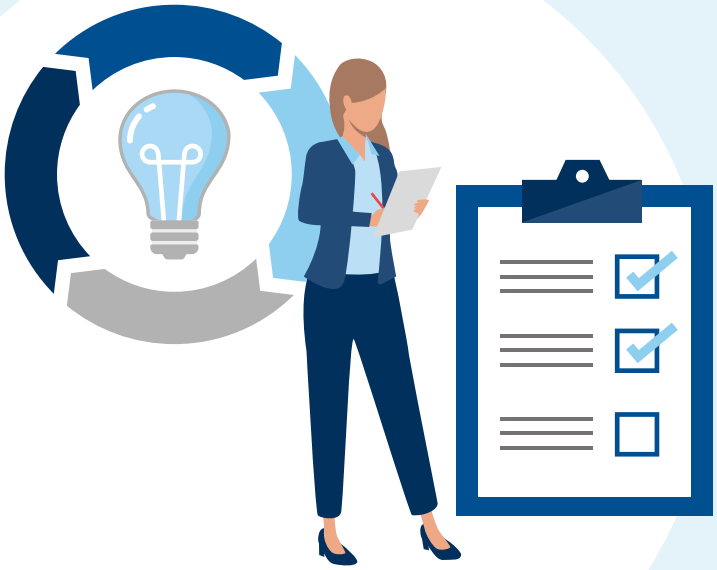
Eine Verbesserung der regulatorischen Rahmenbedingungen zur Erhöhung der Innovationskraft in Deutschland und Europa ist notwendig und möglich. Als Ansatz für konkrete Maßnahmen wurden folgende Kernelemente ermittelt:

- **Defragmentierung des regulatorischen Umfelds für GCT** durch Konzentration der Verfahren und Verantwortlichkeiten, auch für die **Herstellungserlaubnis**, beim PEI und **Stärkung des PEI mit mehr Ressourcen**
- Verbesserung der **EU-Gesetzgebung zur klinischen Prüfung** (EU Verordnung, EU VO, Clinical Trials Regulation, CTR, 536/2014) und der **besseren Abstimmung zu den Prozessen für Medizinprodukte und In-vitro-Diagnostika**
- Schutz, Erhalt und Ausbau akademischer Forschungs- und Innovationsmöglichkeiten als Motor der Entwicklung im Feld der GCT durch:
  - **Neudefinition einiger Arzneimittelbegriffe** und regulatorischer Abläufe im Feld der GCT
  - Vereinfachung von Genehmigungsprozessen für vielfach verwendete Prozesse und Ausgangsmaterialien in Form von Master-File-Systemen
  - Einführung von **Sandbox-Verfahren** als Innovationsraum
- Einführung eines **zentralen GCT-GMP- und -Regulatorik-Gremiums** als Kommunikationsplattform zur Verstetigung der Arbeit der Nationalen Strategie mit dem Arbeitskreis Blut als Modell

1

Defragmentierung und Vereinheitlichung von Zuständigkeiten und Prozessen in der klinischen Forschung und Entwicklung von GCT sowie Stärkung der Bundesoberbehörde und ihrer Ressourcen als Single Point of Contact





2

Kontinuierliche Anpassung regulatorischer Prozesse an die Entwicklungen im GCT-Bereich

3

Erhöhung der Verfügbarkeit niederschwelliger regulatorischer Beratung

Hintergrund

Die Entwicklung neuer Arzneimittel beginnt mit gut dokumentierter Forschung zur Sicherung von Wirksamkeit und Sicherheit sowie qualitätsgesicherter Herstellung, gefolgt von der ersten Anwendung am Menschen. Hier entstehen die ersten bürokratischen Hürden.

Die Herstellung, Forschung und Entwicklung in Deutschland sind aufgrund nationaler Vorgaben, die nicht EU-weit gelten, im Vergleich mit anderen europäischen Staaten teuer und ineffizient. Das gilt schon in den frühen Phasen der Entwicklung, z. B. für die Genehmigung von Tierversuchen (siehe auch Handlungsfeld VI, strategisches Ziel 3, Maßnahme 2). Die Definitionen für ATMP (und damit GCT) und deren Bestandteile, die in der neuen EU-Direktive enthalten sein sollen, sind für diese zukunftsweisenden Behandlungen eher ungeeignet. Auf europäischer Ebene wird die Einreichung eines Master Files im Vergleich mit den USA erheblich erschwert, da Wirkstoffe (z. B. Messenger-Ribonucleic acid, mRNA) und andere Ausgangsmaterialien für GCT nicht in diesem Format eingereicht werden können. Dadurch müssen Daten mehrmals eingereicht werden, und das geistige Eigentum (IP) kann nicht geschützt werden.

Clinical Trial Applications (CTA) und die Durchführung von klinischen Studien und klinischen Prüfungen mit GCT unterliegen der EU VO CTR 536/2014 und ihrer nationalen Umsetzung im deutschen AMG.

Nicht selten wirken auch Bestimmungen der Medizinprodukteverordnung (Medical Device Regulation, MDR)/ des Medizinprodukterecht-Durchführungsgesetzes und der In-Vitro Diagnostic Regulation (IVDR) erschwerend. Dieses europäische Regulations-Triumvirat ist aufgrund seiner hohen bürokratischen Komplexität und der derzeit völlig fehlenden Abstimmung der Prozesse miteinander ein enormes Hindernis für die Studienstandorte Europa und Deutschland. Außerdem ist es in vielen Aspekten realitätsfern bzw. bezüglich seiner Schutzwirkung für Patient*innen und Proband*innen evidenzarm.

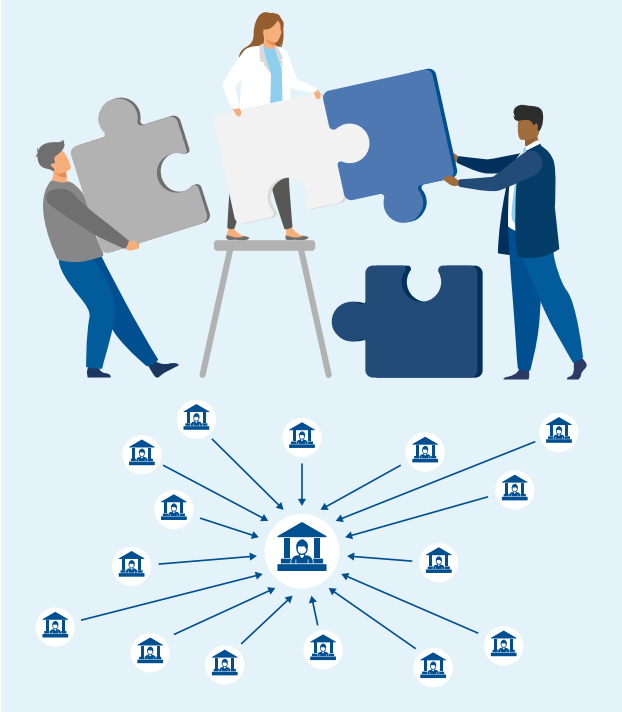
Des Weiteren geht die nationale Umsetzung oft weit über die Vorgaben der EU VO hinaus oder verkompliziert durch föderale Zersplitterung und Verantwortlichkeiten die Abläufe und Zuständigkeiten. Die grundsätzlich gute Idee eines einheitlichen europäischen Antragsstellungs- und Bewertungsverfahrens für klinische Studien wird durch die Funktionsmängel des Clinical Trials Information System (CTIS) Portals konterkariert. Mit BfArM und PEI als Bundesoberbehörden und der Vielzahl von Regierungspräsidien entsteht in Deutschland ein komplexes Umfeld, das in Europa seinesgleichen sucht. Im internationalen Vergleich hochentwickelter Standorte wie z. B. den USA wird der Zugang von Patient*innen zu Studien mit modernen Verfahren der GCT in Deutschland stärker behindert. In zentralen Bereichen, wie z. B. FIH-Studien verzeichnen wir bereits eine erhebliche Abwanderung von Studien aus Deutschland. Das Phänomen des „International Drifts“ von Arzneimittelstudien in Länder mit einfacheren regulatorischen Verfahren ist seit längerem bekannt. Derzeit werden im Hinblick auf die Studiendurchführung vermehrt die USA, Asien und Großbritannien der EU vorgezogen. Rückläufige Zahlen gerade bei akademisch initiierten Studien sind dokumentiert.

Auch was die weitere Unterstützung der Arzneimittelentwicklung durch kontinuierliche frühe wissenschaftliche Beratung und beschleunigte Zulassungsverfahren angeht, ist Deutschland und damit auch Europa aufgrund fehlender Ressourcen, geteilter Aufgabenstellungen und fehlenden Praxisbezugs weniger gut aufgestellt als andere Standorte.

Um größeren Schaden von den Studienstandorten Europa und Deutschland fernzuhalten, fordert dieses Strategiepapier eine umgehende Reform des regulatorischen Triumvirats (CTR, MDR, IVDR) mit einer vernünftigen und brauchbaren Vereinfachung bzw. Abstimmung miteinander. Die nationale Umsetzung darf dabei nicht komplizierter sein als bereits auf EU-Ebene vorgegeben. An diesem Prozess müssen im Gegensatz zum früheren Vorgehen a priori Vertreter*innen kompetenter Personengruppen, die Studien und Prüfungen durchführen oder von ihnen betroffen sind, beteiligt sein. Das sind neben den Behörden und der Pharmaindustrie insbesondere Wissenschaftler*innen, klinische Prüfer*innen, Mitglieder von Ethikkommissionen und Patientenvertretende.

Strategische Ziele

1. Defragmentierung und Vereinheitlichung von Zuständigkeiten und Prozessen in der klinischen Forschung und Entwicklung von GCT sowie Stärkung der Bundesoberbehörde und ihrer Ressourcen als Single Point of Contact
2. Kontinuierliche Anpassung regulatorischer Prozesse an die Entwicklungen im GCT-Bereich
3. Erhöhung der Verfügbarkeit niederschwelliger regulatorischer Beratung



Strategisches Ziel 1:
Defragmentierung und Vereinheitlichung von Zuständigkeiten und Prozessen in der klinischen Forschung und Entwicklung von GCT sowie Stärkung der Bundesoberbehörde und ihrer Ressourcen als Single Point of Contact

Erläuterung Ziel:

Die historisch gewachsenen administrativen und regulatorischen Anforderungen auf verschiedenen Ebenen der föderalen und europäischen Struktur sind zurzeit der stärkste Wettbewerbsnachteil für Investitionen in Forschung und Entwicklung und klinische Entwicklungen in Deutschland und der EU. Sie tragen dazu bei, dass Innovationen im GCT-Bereich Patient*innen in Deutschland und Europa nicht im selben Maße erreichen wie z. B. in den USA. Hierzu muss eine Beseitigung der Fragmentierung der Prozesse auf Länder-, Bundes- und EU-Ebene erreicht werden. Sie beinhaltet den Abbau föderaler und nationaler Hindernisse bei den Verfahren und Zuständigkeiten von Landes- und Bundesbehörden, um so eine Verschlankung der Prozesse und ein angemessenes Verhältnis von Risiken und Chancen zu erreichen.

Insbesondere bei der Entwicklung von GCT sind einheitliche regulatorische Strukturen der Prozessentwicklung und wissenschaftlichen Begleitung (mit Schwerpunkt bei der Bundesoberbehörde) der föderalen Fragmentierung vorzuziehen, zumal die Zuständigkeit der Länder für Gesundheitsschutz bei Arzneimitteln und Medizinprodukten in Deutschland zwar einzigartig, aber nicht unbedingt vorteilhaft ist, denn kein anderes EU-Land weist eine ähnlich dezentrale Struktur auf. Herstellungserlaubnisse auf Landesebene sollten daher in die Prozesse der Bundesoberbehörde bzw. der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) integriert werden, um einen Single Point of Contact zu schaffen, über den zu allen Fragen der Entwicklung neuer Arzneimittel und Therapien verbindlich kommuniziert werden kann.

Durch einen Ausbau der BOB als Single Point of Contact soll auch die Möglichkeit geschaffen werden, das Prinzip des Scientific Advice-Verfahrens auf die Themenbereiche der Landesbehörden einschließlich der benannten Stellen auszuweiten.

Wie das Beispiel USA zeigt, sind ausreichende Kapazität und Expertise in einer einheitlich auftretenden Institution, die über einen klaren Handlungsauftrag zur Innovationsförderung sowie Befugnisse für alle im Rahmen der Entwicklung von GCT anfallenden Prüfgenehmigungs- und Zulassungsprozesse verfügt, die wichtigsten Voraussetzungen für die Entstehung einer kosteneffizienten und erfolgversprechenden Innovationslandschaft in Deutschland.

Auch an die Wirkstoffe und kritischen Startmaterialien, die für GCT/ATMP erforderlich sind, werden EU-weit unterschiedliche nationale Anforderungen gestellt, vor allem im Hinblick auf die Notwendigkeit einer Herstellungserlaubnis und somit des Vorhandenseins einer sachkundigen Person. Dies führt zu einem Standortnachteil Deutschlands bezüglich der Kosten und des Zeitrahmens, und zwar sowohl gegenüber anderen EU-Staaten als auch im internationalen Vergleich. Im Zuge neuer technischer Entwicklungen wird es künftig möglich sein, einen Wirkstoff oder ein Startmaterial entweder auf biologischem oder auf chemischem Wege herzustellen. Durch die unterschiedlichen Herstellungswege ergeben sich sicherlich unterschiedliche Risiken; allerdings stellt sich die Frage, ob dies eine Herstellungserlaubnis für den biologischen Weg rechtfertigt und ob es nicht sinnvoller ist, die Risiken anhand der Art der Anwendung als Arzneimittel zu unterscheiden (z. B. transiente Wirkung der mRNA gegenüber dauerhafter Wirkung von CRISPR/Cas).

Bei allen Überlegungen zur Defragmentierung und Harmonisierung ist immer auch die Einbeziehung von Ethikkommissionen zu berücksichtigen.

Maßnahme 1:
Umsetzung von einheitlichen Standards und Prozessen zur Erteilung einer Herstellungserlaubnis insbesondere im Kontext von GCT und ihren Startmaterialien und Wirkstoffen durch Anpassung der Kompetenzzuordnung zwischen lokalen Behörden und dem PEI

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
BMG

Beschreibung Maßnahme:
Optionen für die Kompetenzzuordnung zwischen lokalen Behörden und dem PEI sind zum Beispiel:

1. Rechtliche Prüfung, ob der BOB die Befugnis zur Erteilung der Herstellungserlaubnis ganz übertragen werden kann
2. Bei klinischen Prüfungen: Integration der Entscheidung über die Herstellungserlaubnis für IMPs im Bereich von GCT in die Genehmigungsverfahren für die klinische Prüfung
3. Einrichtung einer beim PEI angesiedelten Gruppe von Expert*innen für GCT mit übergeordneten Aufgaben (siehe unten): z. B. Harmonisierung der Verfahren und Anforderungen für die Beantragung von Herstellungslaubnissen auch für kritische Startmaterialien und Wirkstoffe basierend auf geltenden EU-Richtlinien sowie deren fortlaufenden Anpassungen

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Mittelfristig (3–5 Jahre)
- Einführung einer bundesweiten Instanz für die Erteilung einer Herstellungserlaubnis für GCT und die Überwachung von GMP-Aktivitäten mit enger Anbindung an die BOB
- Ressourcenbedarf: mittlerer Personalaufwand, die GMP-spezifische Expertise muss an der BOB auf- und ausgebaut werden

Erfolgsindikatoren
- Verkürzung des Zeitraums bis zur Erteilung der Herstellungserlaubnis oder das Entfallen der Notwendigkeit einer Herstellungserlaubnis für Wirkstoffe/Startmaterialien sowie der Genehmigung von klinischen Prüfungen. Ggf. können auch über eine „Rückmeldeschleife“ die Klarheit von Anforderungen und der Nutzen von Beratungen nachgewiesen werden
- Anzahl der klinischen Studien für GCT in Deutschland 2030
- Anzahl der Contract Development and Manufacturing Organizations (CDMOs) für GCT-Rohstoffe in Deutschland 2030

Maßnahme 2:
Stärkung des PEI mit ausreichenden Ressourcen

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
PEI, BMG

Beschreibung Maßnahme:
Um eine Abwanderung der bisherigen Expertise und den Verlust der Führungsrolle in Europa zu vermeiden, empfehlen wir eine deutliche Stärkung der Ressourcen und Zuständigkeiten des PEI. Die Genehmigung von Anträgen auf klinische Prüfungen und die Bewertung von Medizinprodukten mit GCT-Bezug sowie die Expertise für Produkte aus Bioreaktorprozessen (GCT, Antikörper, mRNA, etc.) sollten von einer zentralen Anlaufstelle aus koordiniert werden.

Dabei spielt die Schaffung von ausreichenden zusätzlichen Ressourcen und Expertisen für die bisher unterversorgten wissenschaftlichen Themen (GCT, Medizinprodukte, Real-World-Evidence) eine kritische Rolle bei der Förderung von GCT in Deutschland. Die derzeitigen Ressourcen am PEI sind unzureichend, die Vorlaufzeiten z. B. für Scientific Advice sind im europäischen und internationalen Vergleich zu lang und der Beratungsbedarf ist bei GCT besonders hoch. Insbesondere für die Entwicklung von GCT ist es außerordentlich wichtig, in Beratungsverfahren auch Themen an den Schnittstellen von GMP und der Medizinprodukteentwicklung (benannte Stelle) besprechen zu können. Sponsoren wandern zunehmend zu anderen Behörden mit geringeren Vorlaufzeiten ab. Auch die beschleunigten Prüfverfahren für Marktzulassungen in Europa werden deutlich weniger genutzt als in den USA, da die Kapazitäten der nationalen Behörden zur schnellen EU-weiten Zulassung nicht ausreichen. Das PEI mit ausreichenden Ressourcen und Expertisen zu stärken kann hier, aber auch für Europa, eine entscheidende Rolle spielen.

Insgesamt soll die Interaktion zwischen PEI und Einreichenden zu einer konstruktiven Unterstützung und nicht zu einer Verzögerung von Prozessen durch Tiefenprüfung bzw. eingeschränkte Ressourcen führen. Initiale Beratung und Prüfung müssen verbindlich, transparent und rasch durchgeführt werden.

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Kurzfristig (1–2 Jahre)

Erfolgsindikatoren
- Zeitraum bis zur Verfügbarkeit eines Scientific Advice
- Anzahl der Beratungsverfahren pro Zeiteinheit

Maßnahme 3:
Zusammenführung und Integration der verschiedenen Genehmigungsprozesse für die Entwicklung von Medizinprodukten und *In-vitro*-Diagnostika einschließlich ihrer Software in das bestehende Antrags- und Genehmigungsverfahren für Arzneimittelstudien nach EU VO CTR 536/2014 und in den zentralen Zulassungsprozess nach Regulation (European Commission, EC) No 726/2004

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
BMG

Beschreibung Maßnahme:
Mit dem Geltungsbeginn der MDR und IVDR wurde in Deutschland ein sequenzielles Antragsverfahren eingeführt: Der Antrag ist zunächst an die zuständige Ethikkommission zu richten und kann erst nach deren zustimmender Bewertung an die zuständige Bundesoberbehörde übermittelt werden. Ein paralleles Bewertungsverfahren, gesteuert durch BfArM und über den Antrag auf klinische Prüfung (CTIS), würde das Verfahren enorm beschleunigen.

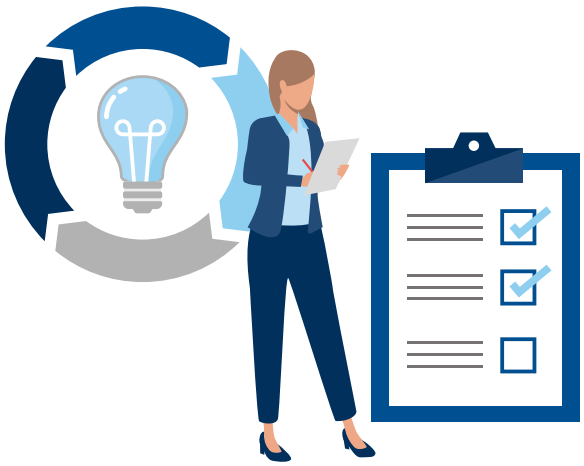
Zurzeit ist es beim Einsatz von für diese Anwendung noch nicht oder nicht vollständig zertifizierten Medizinprodukten so, dass eine Studie für das Medizinprodukt parallel zur Prüfgenehmigung für das Arzneimittel getrennt und in jedem Land einzeln anzumelden ist. Die Einführung des Europäischen Medizinproduktgesetzes hat hier signifikante administrative Hürden für die GCT-Entwicklung geschaffen, die umgehend beseitigt werden müssen. CTR, MDR und IVDR müssen baldmöglichst überholt und aufeinander abgestimmt werden. Der Bund muss sich in Brüssel für eine entsprechende Anpassung in der EU VO CTR 536/2014 und den damit zusammenhängenden Durchführungsbestimmungen zu GMP (sowie EudraLex vol.4 oder EMA-Guidelines) stark machen; analog dazu sollte der Bund auch notwendige GCT-spezifische Änderungen in der IVDR einfordern.

Falls eine Prüfgenehmigung (zum Erlangen der späteren Zertifizierung) für das Medizinprodukt selbst angestrebt wird, wäre es im Sinne der europäischen Gesetzgebung (MDR) sinnvoll, diese Prüfgenehmigung für das Medizinprodukt zu bündeln und zentral zu bewerten. Auch hier ist das BfArM bestens aufgestellt, die Bewertung in der EU zu übernehmen, falls ausreichend Kapazitäten und Expertisen zur Verfügung gestellt werden können. Die Befugnis benannter Stellen, an Beratungsprozessen des Entwicklers mit den Zulassungsbehörden teilzunehmen, würde die kombinierte Entwicklung mit GCT vereinfachen und die Markteinführung beschleunigen.

Auch die Entwicklung von Drug-Device-Combinations (DDC) ist unter den aktuellen regulatorischen Rahmenbedingungen besonders aufwendig. Eine zentrale Institution, die für Medizinprodukte im direkten Einsatz mit Arzneimitteln zuständig ist, könnte beide Anwendungen und ihr Nutzen-Risiko-Verhältnis für die Patient*innen am besten zusammen beurteilen. Dazu sollten die Prinzipien der Nutzen-Risiko-Bewertung des Arzneimittels angewendet werden, da die meisten dieser Medizinprodukte entweder nicht für eine eigenständige Markteinführung vorgesehen sind oder bereits eigenständig zu anderen Zwecken mit Konformitätserklärung in der EU im Einsatz sind.

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Zeitachse: Mittelfristig (2–3 Jahre)
- Ressourcenbedarf: Gering, Anpassung des Prozesses für IVDRs und MDRs an ein Verfahren, das für Arzneimittel heute schon existiert; parallele Bewertung durch die Ethikkommission nach Einreichung in CTIS
- Stärkung der Ressourcen einer BOB mit Expert*innen, die die Nutzen-Risiko-Bewertung der gleichzeitigen Anwendung von IVDs mit GCT durchführen können
- Anpassung der MDR/IVDR/Pharma-Regulation, um einen einheitlichen regulatorischen Prüfgenehmigungs- und Zulassungsprozess für GCT und damit verbundene Medizinprodukte und IVDRs zu schaffen

Erfolgsindikatoren
- Erhöhung der Anzahl klinischer Prüfungen in Deutschland 2030
- Verkürzung der Prüfgenehmigungs- und Zulassungszeiten für die Kombination durch parallele Einschätzung der GCT und ihrer kombinierten Medizinprodukte/IVDRs



Strategisches Ziel 2:
Kontinuierliche Anpassung regulatorischer Prozesse an die Entwicklungen im GCT-Bereich

Erläuterung Ziel:
Regulatorische Behörden müssen mit der rasanten Entwicklung der GCT Schritt halten, da das die Grundvoraussetzung dafür ist, dass sich die Sicherheit für Patient*innen erhöht und das Vertrauen in die neuen Therapien wächst. Dafür ist es auch erforderlich, dass diese Ressourcen (v. a. im klinischen Bereich) durch Einbindung von Expert*innen aus dem Forschungs-/Klinikbereich erweitert werden, so wie es in anderen EU-Staaten üblich ist. Um die Effizienz und Qualität der Prüfungen von Zulassungsanträgen sowie die Innovation zu erhöhen, sollten neue regulatorische Formate entwickelt und eingeführt werden, die den besonderen Herausforderungen bei der Entwicklung von Therapien im Bereich der GCT Rechnung tragen. Bislang gibt es auf EU-Ebene keine standardisierten Verfahren zu dem Zweck, vertrauliche Aspekte der Herstellungsverfahren von GCT (wie beispielsweise die Generierung und Qualität von Startmaterialien eines Vertragspartners) zu schützen. Gleichzeitig ist die Offenlegung dieser Aspekte im Rahmen der Prüfung zur klinischen Zulassung für den Antragsteller verpflichtend. Des Weiteren muss derselbe Antragsteller ausführliche Informationen über Produktintermediate und beispielsweise ihre Stabilität sowie analytische Methoden zu deren Bestimmung immer wieder beschreiben und mit jedem neuen Antrag behördlich einreichen, auch wenn sie mit zuvor beschriebenen und zugelassenen Bestandteilen einer GCT-Plattform identisch sind. Mit einem modularen Master-File-System, ähnlich dem Drug-Master-File-Verfahren der FDA ist es dagegen (insbesondere in der Zusammenarbeit von akademischen Gruppen mit der Industrie) möglich, sowohl die Vertraulichkeit und den Schutz geistigen Eigentums in den Herstellungsprozessen zu gewährleisten als auch die Effizienz bei der Genehmigung von klinischen Prüfungen zu steigern.

Die Geschwindigkeit, mit der im Bereich der GCT neues Wissen generiert wird und neue Technologien entwickelt werden, ist enorm hoch. Deshalb müssen die regulatorischen Anforderungen kontinuierlich weiterentwickelt werden. Um diesen Prozess zu fördern, soll ein regulatorisches „Entwicklungsfeld“ geschaffen werden, das auch als „Sandbox“ bezeichnet wird. Dies wird auch im laufenden Verfahren zur neuen EU-Gesetzgebung vorgeschlagen.

Maßnahme 1:
Aufbau eines zentralen GCT-GMP- und -Regulatorik-Gremiums

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
BMG, PEI

Beschreibung Maßnahme:
Der Austausch kann durch eine stärkere Einbindung der Expertise aus der Praxis verbessert werden, z. B. durch die Schaffung eines nationalen GCT-GMP- und -Regulatorik-Gremiums zur direkten Mitarbeit an den Nutzen-Risiko-Bewertungen von klinischen Prüfungen und Arzneimittelzulassungen nach dem Vorbild anderer EU-Staaten – ein Beispiel wäre auch ein Gremium wie etwa der Arbeitskreis Blut des Robert Koch-Instituts (RKI) (siehe auch Handlungsfeld V, strategisches Ziel 1, Maßnahme 1). Das PEI könnte durch ein solches Gremium:

1. die eigene klinische Expertise stärken und praxisorientiert gestalten und
2. die Translation in Deutschland unterstützen, da das Fehlen von regulatorischem Wissen im akademischen Forschungsbereich als eine der wichtigsten Hürden für Innovationstranslation erkannt wurde (siehe auch den Stars Report https://doi.org/10.1016/j.drudis.2020.10.017).

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Kurzfristig (1 Jahr): Abstimmung mit BMG und PEI zum Konzept
- Mittelfristig (2–3 Jahre): Etablierung des Gremiums und der Geschäftsstelle
- Mittelfristig (2–3 Jahre): Formulierung erster Stellungnahmen (ca. 1 Jahr nach Etablierung des Gremiums)
- Ressourcenbedarf: mittlerer sechsstelliger Betrag pro Jahr (Personalbedarf ca. 2–3 Stellen für die Geschäftsstelle sowie Sachmittel)

Erfolgsindikatoren

- Fertigstellung eines ersten Dokuments mit Empfehlungen zur Weiterentwicklung von GMP-Infrastrukturen sowie Harmonisierung und risikobasierter Verschlankung gesetzlicher und regulatorischer Vorgaben
- Anzahl der Anfragen an die Geschäftsstelle des GCT-GMP- und -Regulatorik-Gremiums (Nutzungsgrad)
- Anzahl der klinischen Studien für GCT in Deutschland 2030
- Zeit von der Einreichung der Prüfgenehmigung bis zum Studienbeginn

Maßnahme 2:
Erweiterung von Master-File-Systemen auf GCT

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
BMG über EU-Kommission

Beschreibung Maßnahme:
In Anlehnung an den Richtlinienvorschlag der EU-Kommission (https://health.ec.europa.eu/publications/proposal-directive-union-code-relating-medicinal-products-human-use_en) und folgendes Positionspapier (https://www.vaccineseurope.eu/news/position-papers/expanding-master-files-for-human-medicinal-products-in-the-eu-eea) unterstützen wir die Erweiterung der in der EU bestehenden Geltungsbereiche von Master-File-Systemen auf GCT. Im Speziellen soll der Wirkstoff-Master-File-Ansatz (Active Substance Master File) auf GCT angewendet werden und Rohstoffe, Startmaterialien, Hilfsstoffe, Adjuvantien, Arzneimittel und Zwischenprodukte enthalten. Analog soll das beschränkt gültige Konzept der Platform Technology Master File auf GCT angewendet werden können. Im Fall von Anträgen auf klinische Prüfungen muss es möglich sein, auf bereits behördlich geprüfte und genehmigte sowie dort abgelegte Stammdokumentation Bezug zu nehmen. Gleichzeitig wird der Schutz des geistigen Eigentums von etwaigen Vertragspartnern gewährleistet, da solche Master-File-Systeme aus „offenen" und „gesperrten" Anteilen bestehen können; letztere werden nur der Zulassungsbehörde offengelegt. Dieses Vorgehen führt zu einer Standardisierung und Verschlankung der Zulassungsdokumente unter Beibehaltung bzw. Sicherstellung der Qualität, und verringert gleichzeitig den Aufwand und die Dauer der Antragsprüfung. Wir empfehlen, die entsprechenden Vorschläge für EU- Gesetzesänderungen, die sich derzeit in der nationalen Kommentierung befinden, inhaltlich zu unterstützen und schnell zur Umsetzung zu bringen.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Zeitachse: Mittelfristig (2–3 Jahre) mit Umsetzung der Pharmagesetzgebung
- Ressourcenbedarf liegt auf Behördenseite und bezieht sich auf die Implementierung der Anwendungserweiterung von Master-File-Systemen

Erfolgsindikatoren

- Anzahl eingereichter Zulassungsanträge für klinische Studien mit GCT vor und nach Einführung der Maßnahme
- Verkürzung der Dauer der Prüfung von Zulassungsanträgen, daraus resultierend ein höherer Durchsatz an Antragsprüfungen (messbar: Anzahl abgeschlossener Antragsprüfungen vor und nach Einführung der Maßnahme)

Maßnahme 3:
Entwicklung und Einführung eines „Entwicklungsfelds"/einer „Sandbox"

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
BMG über EU-Kommission

Beschreibung Maßnahme:
Das gesetzlich festgeschriebene regulatorische Umfeld kann nicht für alle Innovationen ausgelegt werden und Innovationen sind oft in einem Bereich zu finden, in dem sich viele gesetzliche Vorschriften überschneiden. Länder mit umfangreichen gesetzlichen Vorschriften (stark regulierte Länder) haben daher einen Standortnachteil. Ein gesetzlich festgelegter und streng kontrollierter „Sandboxrahmen" gibt hier die Möglichkeit, Innovationen „auszuprobieren" bzw. zu pilotieren, bevor die Gesetzeslage aufgrund der gemachten Erfahrung angepasst wird. Für besonders innovative neue Entwicklungen, wie Gentherapien, Zelltherapien oder personalisierte Medizinansätze, die nicht vollständig in die bestehenden regulatorischen Rahmenbedingungen passen, soll ein Verfahren geschaffen werden, das schnelle und flexible Bewertungen ermöglicht. Unter Überwachung durch und Einbeziehung von Expert*innen können diese innovativen Therapien getestet und die gesammelten Erfahrungen ausgewertet werden. Ein Gesetzesentwurf dazu liegt bereits vor und sollte im weiteren Verfahren unterstützt und schnell zur Umsetzung gebracht werden. [Brussels, 26.4.2023 COM (2023) 193 final 2023/0131 (COD) Proposal for a REGULATION OF THE EUROPEAN PARLIAMENT AND OF THE COUNCIL CHAPTER IX REGULATORY SANDBOX, Article 113-115 on Regulatory sandbox]

Eine regulatorische „Sandbox“ für GCT könnte als Brücke zwischen Innovation und der Verfügbarkeit für Patient*innen dienen und die sorgfältige und kontrollierte Erforschung neuer Methoden oder Behandlungen in einem Rahmen ermöglichen, der Sicherheit und Wirksamkeit in den Vordergrund stellt.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Mittelfristig (2–3 Jahre)
- Gering bis mittel nach Inkrafttreten der EU-Gesetzgebung, erfordert aber verstärkte Zulassungsexpertise in den BOB BfArM und PEI ab 2027, da Sandboxvorschläge über zentrale EU-Verfahren über die Europäische Arzneimittelagentur EMA vereinbart und von der EU-Kommission verabschiedet werden müssten
- Stellungnahme der Bundesregierung im Rahmen der Beteiligung des Europäischen Rats an dem laufenden Gesetzgebungsverfahren zum Pharmaceutical Acquis

Erfolgsindikatoren

- Einführung und Verwendung der „Sandbox“
- Langfristig die Zahl der Therapien/Arzneimittel im Healthcare-Bereich, die nur aufgrund solcher Sandboxes entwickelt werden konnten

Maßnahme 4a:
Ergebnisoffene Diskussion zur derzeitigen ATMP-Definition und zu den relevanten Regulationswegen für den Bereich adoptiver Zelltherapien mit genetisch veränderten Zellen (z. B. CAR-T-Zelltherapie)

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
GCT-GMP- und -Regulatorik-Gremium, PEI

Beschreibung Maßnahme:

Denkbar ist eine Neudefinition, nach der das ATMP in dieser Konstellation z. B. der pharmakologisch definierbare Vektor ist und nicht das infusionsfertige Zellprodukt. Die Zusammensetzung der fertigen Zellprodukte vor ihrer Gabe ist individuell und heterogen und somit mit einem definierten IMP an sich nicht vergleichbar. Hier spielen die unterschiedlichsten Variationsgrößen (Alter, vorangegangene Infektions-Expositionen, Krankheits- und Therapievorgeschichte, Begleitmedikationen) der Donor*innen eine Rolle. Hinzu kommt die heterogene *In-vivo*-Entwicklung dieser Living Therapies nach Gabe. Es muss möglich sein, z. B. die Zusammensetzung der finalen Zellprodukte in einem unbürokratischen Verfahren wissenschaftlich zu modifizieren. Dazu gehören z. B. Modifikationen der Stimulation und Herstellungsdauer mit dem Ziel der Minimierung von Erschöpfung und damit einer längeren funktionellen Persistenz *in vivo*, An- oder Abreicherung bestimmter Zellphänotypen (CD4, CD8, Mischungsverhältnis), Beimischung anderer Zelltypen bei Benutzung bestimmter „Binder“ als Immune Contributors, Plan der Reinfusion (Anzahl, Split …) usw. Die entsprechenden Protokolle werden wissenschaftlich qualitätskontrolliert entwickelt und die GMP-Herstellung und die Verteilung der Produkte können auch dezentral auf akademischer Ebene erfolgen.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Mittelfristig (2–3 Jahre)
- Kein zusätzlicher Ressourcenbedarf

Erfolgsindikatoren:

- White Paper bzw. Positionspapier unter Beteiligung der Stakeholder und Regulator*innen

Maßnahme 4b:
Reform des deutschen Stammzellgesetzes

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
German Stem Cell Network (GSCN), BMG, PEI, Zentrale Ethikkomissionen für Stammzellforschung am RKI und in der Bundesärztekammer (BÄK)

Beschreibung Maßnahme:
Das Stammzellgesetz begrenzt die Forschung mit humanen embryonalen Stammzellen in einem eng gesteckten Rahmen (Stichtagsregelung, Forschungsvorbehalt), weshalb eine Reformierung der relevanten Aspekte vorgeschlagen wird. Diese Gesetzgebung hemmt die Forschung, Entwicklung und therapeutische Anwendung im Bereich der stammzellbasierten Zellprodukte und Medikamentenentwicklung. Es wird auf den 10. Erfahrungsbericht der Bundesregierung über die Durchführung des Stammzellgesetzes an den Deutschen Bundestag, Drucksache 20/10550 vom 04.03.24 verwiesen, die unter folgender Adresse aufrufbar ist: https://dserver.bundestag.de/btd/20/105/2010550.pdf.

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Mittelfristig (2–3 Jahre)
- Kein zusätzlicher Ressourcenbedarf

Erfolgsindikatoren
- Positive Forschungsergebnisse zu/Zulassung von Arzneimitteln, die sonst aus dem Zeitfenster herausgefallen wären

Maßnahme 5:
Aufbau eines Registers für Hospital Exemptions zur Erhöhung der Transparenz und Erfolgsmessung

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
BÄK, PEI, BMG, Gemeinsamer Bundesausschuss (G-BA)

Beschreibung Maßnahme:
Neben anderen Wegen wie Compassionate Use oder einem individuellen Therapieversuch nach Abschnitt 37 der DvH (64th WMA Fortaleza 2013) und dem „Übergesetzlichen Notstand" des § 34 StGB gibt es in der EU und in Deutschland (nach §4b AMG) für bestimmte Vorgehensweisen die Regelung einer Hospital Exemption. Diese bewahrt die therapeutische Freiheit für die „individuelle Zubereitung für einen einzelnen Patienten […] nach spezifischen Qualitätsnormen […] in einer spezialisierten Einrichtung der Krankenversorgung unter fachlicher Verantwortung eines Arztes".

Gerade im Umgang mit individuellen lebensbedrohenden Erkrankungen, wie z. B. Krebserkrankungen oder Infektionen bei immunsupprimierten Personen (etwa nach Stammzelltransplantation) sowie seltenen Erkrankungen ist die Überwindung der regulatorischen Hürden für eine CTA zu kosten- und insbesondere zeitaufwendig. Innovative Therapien können hier lebensrettend und zeitkritisch für den betroffenen Patienten oder die betroffene Patientin sein. Die regulatorische Beschränkung im Gesetzesrahmen der Hospital Exemption kann in solchen Fällen lebenserhaltend wirken. Sie sollte eher ausgebaut (Zelltherapie, RNA-Therapie, Gentherapie) als eingeschränkt werden. Es ist erfreulich, dass die entsprechende Neudefinition der Regulation im EU-Rahmen kaum einschränken, sondern sogar den grenzüberschreitenden Gebrauch der Hospital Exemption ermöglichen wird. Deshalb sollte sie baldmöglichst in deutsches Recht umgesetzt werden. Wir schlagen die Sammlung von Grunddaten zur Anwendung in einem krankheitsbezogenen Register vor. Die Daten aus diesen Anwendungen sollten von den BOB und der EMA auch als Grundlage für das Design und die Durchführung von klinischen Studien anerkannt werden. Die Sammlung dieser Daten sollte im Rahmen der in Handlungsfeld VII vorgeschlagenen Maßnahme eines nationalen GCT-Registers integriert werden (siehe Handlungsfeld VII, strategisches Ziel 4, Maßnahme 2).

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Kurz- bis mittelfristig: Siehe Handlungsfeld VII, strategisches Ziel 4, Maßnahme 2

Erfolgsindikatoren
- Transparenter Überblick über die Anwendung dieses Instruments

Strategisches Ziel 3:
Erhöhung der Verfügbarkeit niederschwelliger regulatorischer Beratung

Erläuterung Ziel:

Die Vorbereitung von akademischen Projektteams auf die Beratung durch regulatorische Behörden (PEI, BfArM und EMA) soll gestärkt werden. Insbesondere akademische Gruppen in der frühen Phase ihrer Projekte verfügen häufig nicht über die nötigen Ressourcen, um eine eigene regulatorische Strategie zu entwickeln und die Möglichkeiten von Scientific Advice-Verfahren effizient zu nutzen. Mit einer gezielten Unterstützung bei der Vor- und Nachbereitung von Scientific Advice-Verfahren soll außerdem ein „regulatorisches Gedächtnis" aufgebaut werden, das ebenfalls zu einer Verbesserung der Interaktion mit den regulatorischen Behörden beitragen könnte.

Maßnahme 1:
Aufbau eines Angebots niederschwelliger regulatorischer Beratung

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
PEI, geeignete akademische Institution

Beschreibung Maßnahme:
Es besteht Bedarf an einer bundesweiten unentgeltlichen regulatorischen Beratung und Unterstützung von akademischen Forschungsgruppen an Universitäten, Universitätskliniken und öffentlich geförderten Forschungsinstituten, die ihre Produktentwicklung im Bereich biologischer Arzneimittel mit Schwerpunkt auf GCT in klinischen Prüfungen in Deutschland testen wollen und dafür die Beratung in der Entwicklungsphase (Scientific Advice-Verfahren) des PEIs nutzen möchten. Primäre Zielgruppen sind Projektteams, die noch keine Erfahrung im Umgang mit der Behörde und in der Regel auch nicht die nötigen finanziellen Mittel haben, um diese Dienstleistung einzukaufen. Ein solches Angebot könnte durch die Etablierung einer Regulatory Support Unit (RSU) geschaffen werden. Dabei muss diese RSU organisatorisch unabhängig von wissenschaftlichen Strukturen und Arbeitsgruppen allgemein aufgesetzt werden. Eine Alternative wäre die bessere Ausstattung der BOB/des PEI für schnellere und niederschwellige wissenschaftliche Beratungen akademischer und industrieller Gruppen (siehe strategisches Ziel 1, Maßnahme 2). Diese Maßnahmen sind synergistisch zu sehen, d. h. die Vorschaltung eines Eintrittspunkts für frühe Forschungsprojekte trägt zusätzlich zur Entlastung von BOB/PEI bei und senkt die Schwelle für frühere Beratung, was wiederum Fehlinvestitionen verhindern kann. Initial wäre die Umsetzung dieser Maßnahme (Etablierung einer RSU) durch Mittel der Nationalen Strategie am BIH möglich/denkbar. Diese Maßnahme sollte mit der Schaffung einer PDU (siehe Handlungsfeld III, strategisches Ziel 2, Maßnahme 1) abgestimmt werden.

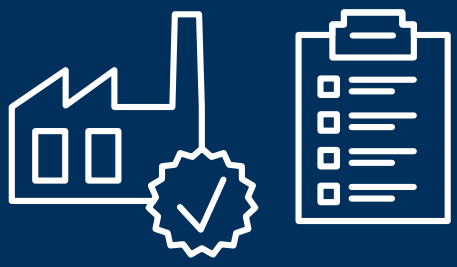
Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Kurz- bis mittelfristig (1–3 Jahre)
- Um eine niederschwellige Beratung für verschiedene Gruppen von Forschenden anbieten zu können, soll eine RSU als First Contact Point eingerichtet werden, die ggf. auch Büros/Ansprechpartner*innen an verschiedenen großen Universitätskliniken hat. Je nach der bereits vorhandenen Infrastruktur an den verschiedenen Standorten sollte die Möglichkeit einer Vernetzung geprüft werden

Erfolgsindikatoren

- Bundesweite Vernetzung und erfolgreich durchgeführte Scientific Advice-Verfahren am PEI
- Regelmäßiger Austausch zwischen RSU und BOB zur Evaluation der Performance und des Stands zeitkritischer Einreichungen (z. B. 3–4-mal pro Jahr)

Handlungsfeld V: Ausbau von Qualität und Kapazitäten in der GMP-Produktion



Zusammenfassung

Die Anforderungen an die Qualität und Sicherheit pharmazeutischer Produkte zur Anwendung am Menschen stellen grundlegende Standards dar, die sowohl für klinische Prüfmuster als auch für zugelassene und vermarktete Produkte gelten. Für den Übergang aus dem Labor in die Klinik unterliegen die GCT einer intensiven Produkt- und Prozessentwicklung sowie einer Herstellung gemäß den geltenden Richtlinien für eine „Good Manufacturing Practice (GMP)". Nach Überprüfung der Einhaltung aller GMP-Richtlinien erteilt eine zuständige Behörde eine produktspezifische und zeitlich begrenzte Herstellungserlaubnis. Der Aufbau und die durchgehende Aufrechterhaltung einer GMP-Infrastruktur sind aufgrund der notwendigen räumlichen, personellen, zeitlichen, regulatorischen, überwachungstechnischen und administrativen Aufwendungen mit erheblichen Kosten verbunden. Dieser Kostenaufwand und das Fehlen von qualifiziertem GMP-Personal für eine eigene GMP-Infrastruktur für Forschung und Entwicklung sind für akademische Institutionen oder Start-ups mit einzelnen GCT-Projekten meistens prohibitiv. Ein Ausweichen auf andere akademische oder auch nichtakademische GMP-Lohnhersteller für innovative GCT in der frühen klinischen Phase ist innerhalb Deutschlands weiterhin nur sehr begrenzt möglich, zeitaufwendig und teuer. Im europäischen und vor allem außereuropäischen Ausland erlauben verschlankte gesetzliche Vorgaben die einfachere Durchführung von frühen klinischen Studien. Das Fehlen solcher Regelungen stellt einen Standortnachteil für Deutschland dar und trägt erheblich zum Verlust der hiesigen Wertschöpfung bei. Vor diesem Hintergrund betrachten wir es als dringend notwendig, den Auf- und Ausbau von Qualität und GMP-Produktionskapazitäten in Deutschland voranzutreiben sowie die translationalen Prozesse durch Verschlankung von Strukturen und Beschleunigung von Verfahren zu optimieren. Um dies zeitgerecht, zielgerichtet und der Dynamik der GCT-Entwicklung entsprechend tun zu können, sind vier strategische Ziele zu verfolgen:

- Ein bedarfsgerechter Auf- und Ausbau von qualifizierten GMP-Infrastrukturen insbesondere für Ausgangsmaterialien und für komplexe GCT-Produkte
- Sicherstellung der benötigten Personalkapazitäten und Expertise für die GCT-Herstellung und Qualitätskontrolle
- Effizienzsteigerung und Beschleunigung der Prozesse in der Herstellung
- Weiterentwicklung und risikobasierte Verschlankung der Rahmenbedingungen

Als prioritäre Maßnahmen sehen wir:

- Die Schaffung eines zentralen GCT-GMP- und -Regulatorik-Gremiums, bestehend aus allen relevanten Akteuren (darunter z. B. BMG, PEI, Wissenschaft, Industrie usw.), das kontinuierlich den Fortschritt auf dem Weg zu den in diesem Handlungsfeld gesetzten strategischen Zielen analysiert und zeit- und bedarfsgerecht vorantreibt
- Die zielgerichtete Bereitstellung ausreichender finanzieller Mittel von Bund, Ländern und sonstigen Kapitalgebern für den bedarfsgerechten Auf- und Ausbau sowie für den Betrieb von GMP-Infrastrukturen einschließlich einer Produktionsstätte für kritische Ausgangsstoffe für GCT

1 Bedarfsangepasster Auf- und Ausbau von qualifizierten GMP-Infrastrukturen (Herstellungs- und Qualitätskontrollkapazitäten), insbesondere für Ausgangsmaterialien und für komplexe GCT-Produkte

2 Sicherstellung der benötigten Personalkapazitäten und Expertise für die GCT-Herstellung und Qualitätskontrolle

3 Erhöhung der Effizienz und Beschleunigung der Prozesse in der Herstellung

4 Weiterentwicklung und risikobasierte Verschlankung der Rahmenbedingungen

Hintergrund

Unter GMP versteht man den Prozess der Sicherstellung der reproduzierbaren Qualität und Sicherheit eines Produktes für die Anwendung am Menschen durch allgemeine und produktspezifische Maßnahmen. Die GMP-Richtlinien finden auch in der Herstellung von klinischen Prüfmustern und zugelassenen GCT-Produkten Anwendung.

„Good Manufacturing Practice“ (GMP): Nach den Vorgaben der Guten Herstellungspraxis, wie in der Arzneimittel- und Wirkstoffherstellungsverordnung, europäischen Regelwerken zur Herstellung von Arzneimitteln für Neuartige Therapien, dem Europäischen Arzneibuch und diversen Industrienormen beschrieben.

Die GMP-konforme Herstellung von klinischen Prüfmustern und Produkten unterliegt der behördlichen Aufsicht durch die Länder. Die Aufsichtsbehörden haben die Aufgabe, die Einhaltung der GMP-Richtlinien regelmäßig zu überprüfen (auditieren) und produktspezifische Herstellungserlaubnisse für GCT-Produkte zu erteilen. Eine regelkonforme GMP-Anlage muss daher durchgehend bereitgehalten und betrieben werden. Die hohen laufenden Kosten für qualifiziertes Personal, Einhaltung der Hygiene in Gebäuden und Einrichtungen sowie fortlaufendes Qualitätsmanagement sind langfristig nur durch eine ausreichende Nutzung bzw. eine bestimmte Mindestanzahl von Projekten zu decken.

Die Begriffe **„Qualitätsmanagement“**, **„Qualitätssicherung“** und **„Qualitätskontrolle“** werden mit jeweils differenzierter Bedeutung in Anlehnung an entsprechende Normen verwendet.

„Qualitätsmanagement“ umfasst alle im gesamten Entstehungsprozess notwendigen Tätigkeiten einschließlich des Festlegens der Qualitätspolitiken und der Qualitätsziele, sowie Prozesse für das Erreichen dieser Qualitätsziele durch Qualitätsplanung, Qualitätssicherung, Qualitätssteuerung und Qualitätsverbesserung.

Dabei ist **„Qualitätssicherung“** eine Teilmenge des Qualitätsmanagements und umfasst alle Maßnahmen, die Vertrauen erzeugen, dass die Qualitätsanforderungen (an das finale Produkt) erfüllt werden.

„Qualitätskontrolle“ wird synonym für die Tätigkeiten der Qualitätssteuerung im Sinne der Verifizierung durch Bereitstellung eines objektiven, evidenzbasierten Nachweises, dass festgelegte Anforderungen erfüllt wurden (z. B. durch das Ergebnis einer Prüfung oder anderer Formen der Bestimmung), und Validierung in Bezug des objektiven Nachweises, dass die Anforderungen für einen spezifischen beabsichtigten Gebrauch oder eine spezifische beabsichtigte Anwendung erfüllt worden sind, verwendet.

Die Herstellung von GCT unterscheidet sich zudem erheblich von der konventioneller therapeutischer Produkte. Deshalb müssen spezielle GMP-konforme Herstellungsprozesse etabliert werden, die das Vorhandensein entsprechender Herstellungs- und Qualitätskontrollinfrastrukturen voraussetzen. Dafür wird spezifisch geschultes GMP-Personal benötigt, das mit den angewendeten Verfahren der GCT vertraut ist. Dies gilt insbesondere für innovative und sehr komplexe Zelltherapeutika, wie z. B. CRISPR/Cas-geneditierte Zellprodukte oder Zelltherapeutika aus humanen induzierten pluripotenten Stammzellen (hiPSCs). Des Weiteren müssen die aus der Herstellung konventioneller Arzneimittel stammenden gesetzlichen und regulatorischen Rahmenbedingungen an die Anforderung der GCT-Produkte angepasst werden.

Die hohen laufenden Kosten, der Mangel an spezifisch geschultem Personal und die komplexen regulatorischen Rahmenbedingungen führen zu unzureichenden Kapazitäten für eine GMP-konforme GCT-Entwicklung und -Herstellung an deutschen Hochschulen. Dies bezieht sich sowohl auf den produktspezifischen Qualitätsbereich (z. B. Rohstoffe, Lieferketten usw.) als auch auf den allgemeinen GMP-Bereich (z. B. Infrastruktur, Personal, Rahmenbedingungen usw.). Dadurch wird der gleitende Übergang einer erfolgreichen GCT-Forschung und -Entwicklung in die erste klinische Prüfung und weitere Verwertung erheblich erschwert bzw. findet eine Abwanderung in andere Länder statt. Den bedarfsgerechten Ausbau von Qualität und Kapazitäten im GMP-Bereich zu fördern ist somit ein entscheidender Teil einer Nationalen Strategie für GCT.

Strategische Ziele:

1. Bedarfsangepasster Auf- und Ausbau von qualifizierten GMP-Infrastrukturen (Herstellungs- und Qualitätskontrollkapazitäten), insbesondere für Ausgangsmaterialien und für komplexe GCT-Produkte
2. Sicherstellung der benötigten Personalkapazitäten und Expertise für die GCT-Herstellung und Qualitätskontrolle
3. Effizienzsteigerung und Beschleunigung der Prozesse in der Herstellung
4. Weiterentwicklung und risikobasierte Verschlankung der Rahmenbedingungen

Strategisches Ziel 1:
Bedarfsangepasster Auf- und Ausbau von qualifizierten GMP-Infrastrukturen (Herstellungs- und Qualitätskontroll-kapazitäten), insbesondere für Ausgangs-materialien und für komplexe GCT-Produkte

Erläuterung Ziel:
GCT-Produkte für die Durchführung klinischer Prüfungen oder nach der Zulassung müssen unter GMP-Bedingungen hergestellt werden. Um eine ausreichende Kapazität zu erreichen, ist der Auf- und Ausbau qualifizierter, ggf. automatisierter GMP-Infrastrukturen mit ausreichenden Herstellungs- und Qualitätskontrollkapazitäten sowie ausreichender personeller Ausstattung notwendig. Dadurch wird die Zugänglichkeit zu GMP-Infrastrukturen für alle Beteiligten aus Forschung, Entwicklung und Patientenversorgung sowie aus den Reihen von Akademie, Gründer*innen und Industrie gleichermaßen sichergestellt. Der Ausbau von GMP-Infrastrukturen muss bedarfsgerecht erfolgen: Wenige größere, hochgradig professionalisierte öffentliche Auftrags-GMP-Infrastrukturen mit Zugang für akademische, industrielle und Start-up GCT-Proponenten müssen hohe Produktionszahlen für späte klinische Phasen (z. B. Zulassungsstudien) wie auch zugelassene GCT-Produkte sichern können. Dezentrale Herstellung in universitätsnahen GMP-Einrichtungen muss die Entwicklung von Produkten für frühe klinische Phasen oder für seltene Erkrankungen bzw. besonders innovative und komplexe GCT-Produkte (wie CRISPR/Cas-geneditierte Zelltherapeutika oder therapeutische hiPSC-Derivate) sicherstellen können. Hierzu gilt es auch, die bereits in Europa vorhandenen, spezialisierten GMP-Einrichtungen zu nutzen und neue GMP-Einrichtungen durch einen modularen Ansatz flexibel zu gestalten. Alternative Modelle könnten industrielle Anbieter wie CDMOs sowie Industrie-Akademie-Partnerschaften sein.

Maßnahme 1:
Schaffung eines zentralen GCT-GMP- und -Regulatorik-Gremiums

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
BMG, PEI, Akteure aus Akademie und Industrie

Beschreibung Maßnahme:
Um der dynamischen Entwicklung des GCT-Ökosystems, die dynamisch ist und wahrscheinlich auch bleiben wird, durch zeitgerechte und zielgerichtete Einleitung entsprechender Maßnahmen gerecht zu werden, muss die Entwicklung auf diesem Gebiet kontinuierlich beobachtet, analysiert und vorangetrieben werden. Dazu bedarf es der Schaffung eines zentralen GCT-GMP- und -Regulatorik-Gremiums mit einer Geschäftsstelle. Dieses Gremium könnte ähnlich aufgebaut sein wie der Arbeitskreis Blut beim RKI (https://www.rki.de/DE/Content/Kommissionen/AK_Blut/ak_blut_node.html) oder das Cellular, Tissue and Gene Therapies Advisory Committee der FDA in den USA (https://www.fda.gov/advisory-committees/cellular-tissue-and-gene-therapies-advisory-committee/roster-cellular-tissue-and-gene-therapies-advisory-committee) (diese Maßnahme wird analog im Handlungsfeld IV vorgeschlagen, siehe strategisches Ziel 2, Maßnahme 1). Wir schlagen vor, dieses Gremium z. B. am PEI anzusiedeln. Es soll unter anderem folgende Aufgaben erfüllen:

a. Harmonisierung und risikobasierte Verschlankung der gesetzlichen und regulatorischen Vorgaben für GMP-gerechte Herstellung und Kontrolle
b. Kontinuierliche Weiterentwicklung von Regularien für die GMP-Herstellung und Qualitätskontrolle sowie für klinische Studien, neue Technologien etc.
c. Evaluierung des GMP-Infrastrukturbedarfs und -angebotes (einschließlich Personal) und Abgabe einer jährlichen Empfehlung für den weiteren Ausbau und dessen Förderung
d. Unterstützung bei der Koordinierung und effizienten Nutzung vorhandener GMP-Infrastrukturen
e. Erstellung und Management einer Bestandsdatenbank von GMP-Herstellungskapazitäten in Deutschland sowie eines Repositoriums für herstellungsrelevante Informationen

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Kurzfristig (1 Jahr): Abstimmung mit BMG und PEI zum Konzept
- Mittelfristig (2–3 Jahre): Einrichtung des Gremiums und der Geschäftsstelle
- Mittelfristig (2–3 Jahre): Formulierung erster Stellungnahmen (ca. 1 Jahr nach Etablierung des Gremiums)
- Ressourcenbedarf: Mittlerer sechsstelliger Betrag pro Jahr (Personalbedarf ca. 2–3 Stellen für die Geschäftsstelle sowie Sachmittel)

Erfolgsindikatoren

- Fertigstellung eines ersten Dokuments mit Empfehlungen zur Weiterentwicklung von GMP-Infrastrukturen sowie zur Harmonisierung und risikobasierter Verschlankung gesetzlicher und regulatorischer Vorgaben
- Zahl der Anfragen an die Geschäftsstelle des GCT-GMP- und -Regulatorik-Gremiums (Nutzungsgrad)

Maßnahme 2:
Erhebung von Daten zu den vorhandenen und in Planung und im Aufbau befindlichen akademischen und industriellen GMP-Infrastrukturen in Deutschland im Vergleich zu Europa sowie Ermittlung des Bedarfs an GMP-Infrastrukturen zur Herstellung und Qualitätskontrolle von GCT

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
GCT-GMP- und -Regulatorik-Gremium, nationales Netzwerkbüro

Beschreibung Maßnahme:
Durch Analyse der vorhandenen GMP-Infrastruktur sollen die GMP-Ressourcen in Deutschland präzise und fortlaufend erfasst und eingeordnet werden – entsprechend ihrer Zugehörigkeit zu bestimmten Organisationsformen (z. B. Universität, Forschungseinrichtung, Industrie, CDMO) sowie ihrer Kapazität, Spezialisierung usw. (z. B. durch tabellarische Darstellung aller Herstellungserlaubnisse sowie der Anzahl der hergestellten Produkte pro Jahr). Durch die systematische Erfassung und Pflege der Daten lässt sich eine aktuelle Einschätzung der Herstellungskapazität, aber auch der weiteren Entwicklung und Dynamik in Deutschland, erstellen und ein Vergleich mit anderen Ländern vornehmen.

Analog dazu sollen die akademischen und industriellen Entwicklungen der GCT in Deutschland verfolgt und die Dynamik hinsichtlich des kurz-, mittel- und langfristigen Bedarfs an GMP-Infrastrukturkapazitäten beurteilt werden.

Im Routinebereich ergibt sich der Bedarf aus den aktuellen Zulassungen und der Inzidenz der betreffenden Indikationen. Der Bedarf im Bereich klinischer Studien kann zum Beispiel über wissenschaftliche Publikationen, klinische Studienregister, Wissenschaftskommunikationen (z. B. Pressemitteilungen) sowie öffentliche oder kommerzielle Datenbanken eingeschätzt und perspektivisch angepasst werden.

Die Bedarfsermittlung erstreckt sich sowohl auf den produktbasierten und medizinisch-therapeutischen Bedarf als auch auf die notwendigen globalen und individuellen strukturellen Voraussetzungen. Dadurch wird sichergestellt, dass GMP-Infrastrukturen zielgerichtet aufgebaut und betrieben werden können und es nicht zu einer regionalen Über- oder Unterversorgung kommt.

Für die erhobenen Daten soll entsprechend eine laufend aktualisierte Datenbank eingerichtet werden, die ggf. auch als Matching-Plattform zwischen den GMP-Infrastrukturen und dem Bedarf (aus der translationalen Wissenschaft, Start-ups oder der Industrie) dienen kann. Darüber hinaus müssen die Daten einen Überblick über die hergestellten Endprodukte und kritische Ausgangsprodukte geben (von iPS bis zu CAR-Effektor-Zellen, von Cas-Enzymen/Enzymvarianten, deren Single-guide RNAs und homology-directed Repair (HDR) Templates über mRNA bis hin zu lentiviralen und DNA-Vektoren).

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Kurzfristig (1 Jahr): Erstellung einer ersten Übersicht durch das nationale Netzwerkbüro
- Mittelfristig (2–3 Jahre): Eine Mitarbeiterin oder ein Mitarbeiter in der zentralen Geschäftsstelle des GCT-GMP- und -Regulatorik-Gremiums
- Mittelfristig (2–3 Jahre): Aufbau einer solchen Datenbank bis zur ersten Funktionalität

Erfolgsindikatoren

- Qualifizierung der Datenbank durch Zufallskontrollen
- Zugänglichkeit
- Anzahl der Einträge
- Überprüfung der Daten auf Aktualität einschließlich konkreter Stichproben (Abfrage)
- Quantifizierung der über die Daten entstandenen neuen Matches

Maßnahme 3:
Bereitstellung ausreichender Mittel von Bund, Ländern und anderen Kapitalgebern für den bedarfsgerechten Auf- und Ausbau, Erhalt sowie den Betrieb von GMP-Infrastrukturen

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
BMBF, BMG, BMWK sowie Landesregierungen

Beschreibung Maßnahme:
Anhand des ermittelten Bedarfs an GMP-Herstellungskapazitäten für GCT sind entsprechende Mittel für den Auf- und Ausbau sowie die Erhaltung benötigter GMP-Infrastrukturen bereitzustellen. Hierzu könnte das vorgeschlagene GCT-GMP- und -Regulatorik-Gremium Vorschläge erarbeiten. Dabei müssen die jeweiligen GMP-Infrastrukturen die verschiedenen Bedarfe abdecken und zugänglich sein.

Da die GCT-Entwicklung und -Herstellung auch weiterhin sehr stark aus den Kliniken, Universitäten und außeruniversitären Forschungseinrichtungen heraus betrieben wird, sollten bestehende Strukturen zunächst weiter ausgebaut und die Voraussetzungen dafür geschaffen werden, Kapazitäten zu etablieren, die bedarfs- und entwicklungsgerecht angepasst werden können. Darüber hinaus kann perspektivisch die Kapazität erhöht werden, indem GMP-Infrastrukturen (vor allem im akademischen Umfeld) durch gezielte Professionalisierung, Digitalisierung und Automatisierung der Prozesse (wie z. T. bereits in der Industrie vorhanden) weiterentwickelt werden. Hierfür müssen für GMP-Infrastrukturen designierte Mittel an Forschungseinrichtungen bereitgestellt werden. Ausschreibungen für GCT-Projekte von den Drittmittelgebern müssen entsprechend finanziell ausgestattet sein und speziell den Kosten für GMP-Entwicklung und -Herstellung und ggf. auch für den Ausbau der lokalen Infrastruktur adäquat und kostendeckend Rechnung tragen. Dadurch wird es den Forschungseinrichtungen ermöglicht, verstärkt nationale Gemeinschaftsforschungsprojekte voranzutreiben und auch das GMP-Personal langfristig zu binden. Außerdem muss an komplementären Konzepten bezüglich der Abstimmung zur Setzung von Technologie- und Indikationsschwerpunkten sowie der Produktion von Ausgangsmaterialien gearbeitet werden (z. B. in Form eines deutschlandweiten GMP-Netzwerks, siehe Handlungsfeld VI, strategisches Ziel 1, Maßnahme 1).

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Bereitstellung von Investitionsmitteln für die bedarfsorientierte Schaffung und den Erhalt von GMP-Infrastrukturen (dreistelliger Millionenbetrag)
- Kontinuierlich Mittel für Personal und Erhaltung/Betrieb der Infrastruktur (einstelliger Millionenbetrag pro Standort und Jahr)

Erfolgsindikatoren
- Nachhaltigkeitsnachweis durch designierte Nachhaltigkeits-/Leistungs-/Auslastungsaudits
- Anzahl der erlangten Herstellungserlaubnisse sowie der tatsächlich hergestellten Produkte

Maßnahme 4:
Schaffung einer zentralen nationalen Produktionseinrichtung für die Herstellung kritischer Ausgangsstoffe für GCT

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
BMBF, BMG, PEI, Akteure aus Akademie und Industrie

Beschreibung Maßnahme:
In Deutschland gibt es neben einigen kommerziellen Herstellungsstätten (beispielsweise CDMOs) Point-of-Care-Herstellungsbereiche in (kleinen) universitären GMP-Einrichtungen und Start-ups sowie wenige mittelgroße akademische, außeruniversitäre Herstellungskapazitäten. Die Herstellkapazität für therapeutisch wirksame Produkte von GCT für frühe klinische Studien ist nur in geringem Umfang vorhanden. Darüber hinaus ist es nach wie vor sehr schwierig, kritische Ausgangsstoffe wie lentivirale oder retrovirale Vektoren sowie Produkte für den nicht-viralen Gentransfer (z. B. Transposons, Cas-Enzyme/Enzymvarianten, deren single guide RNAs und HDR-Templates oder therapeutische mRNAs) GMP-konform in Deutschland zu produzieren oder aus dem Ausland zu beschaffen. GMP-Einrichtungen in Deutschland warten mitunter mehr als drei Jahre auf die Zulieferung dieser kritischen Ausgangsstoffe aus dem Ausland, die sie zur Herstellung der entsprechenden GCT-Produkte im Rahmen einer frühen klinischen Studie benötigen. Deshalb ist es dringend nötig, eine zentrale Produktionsstätte in Deutschland aufzubauen, in der derartige kritische Ausgangsstoffe hergestellt werden, um dann an alle beauftragenden GMP-Einrichtungen geliefert zu werden. Nur so kann Deutschland wettbewerbsfähig bleiben und die Herstellung von Produkten für klinische Studien inklusive zukünftiger direkter *In-vivo*-Therapien gewährleisten einschließlich eines schnellen Transfers zu Patient*innen. Idealerweise sollte diese Produktionsstätte in Form eines Akademie-Industrie-Partnerschaftsmodells betrieben werden. Ebenso sollten die schon vorhandenen wenigen Herstellungsstätten

miteinbezogen werden, die einzelne kritische Ausgangsstoffe herstellen. Es sollte festgelegt werden, dass diese dann deutschlandweit die Partner mit den entsprechenden kritischen Ausgangsstoffen beliefern.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Aufbauphase von bis zu 10 Jahren ab Inbetriebnahme des Gebäudes: hoher zweistelliger Millionenbetrag
- Jährliche Kosten für den Betrieb der Anlage für die verschiedenen kritischen Ausgangsstoffe: in den ersten Jahren ca. 6–7,5 Mio. Euro/ Jahr, in den Folgejahren je nach eingehenden Projektaufträgen systematische Verminderung bis die Anlage über ausreichend Aufträge in der Vollkostenrechnung ab ca. Jahr 10 kostendeckend kompensiert wird

Erfolgsindikatoren

- Anzahl der Herstellungserlaubnisse
- Anzahl der jährlich hergestellten kritischen Ausgangsstoffe für unterschiedliche Partner mit Auflistung der Gesamtanzahl
- Anzahl der klinischen Studien, an denen die GMP-Einrichtung (herstellend) teilnimmt
- Anzahl der Patient*innen, denen ein GCT-Produkt verabreicht wurde

Strategisches Ziel 2:
Sicherstellung der benötigten Personalkapazitäten und Expertise für die GCT-Herstellung und Qualitätskontrolle

Erläuterung Ziel:

Für den erfolgreichen Betrieb von GMP-Infrastrukturen ist eine ausreichende Anzahl von Fachkräften mit speziellen Kenntnissen in der Prozessentwicklung, Herstellung, Qualitätssicherung und -kontrolle sowie Regulatorik unabdingbar. In diesen Bereichen besteht in Deutschland ein erheblicher Fachkräftemangel, und zwar nicht nur, weil es an Aus- und Weiterbildungsangeboten fehlt, sondern auch weil es an der nötigen Attraktivität und finanziellen Mitteln mangelt, um qualifizierte Fachkräfte (vor allem im forschenden, universitären Umfeld) zu gewinnen und zu halten. Dieses Manko muss durch den Ausbau von Aus- und Weiterbildungsprogrammen mit gut strukturierten, anerkannten Curricula sowie durch eine deutliche Verbesserung der Arbeitsbedingungen ausgeglichen werden, um professionelle Fachkräfte dauerhaft gewinnen und halten zu können sowie einer Talentabwanderung ins Ausland vorzubeugen (siehe hierzu auch Empfehlungen im Handlungsfeld II, strategisches Ziel 1, Maßnahme 1 und Handlungsfeld III, strategisches Ziel 1, Maßnahme 1).

Maßnahme 1:
Erweiterung und Professionalisierung des Angebots für Aus- und Weiterbildung von qualifiziertem Personal in allen Bereichen der GMP-Produktion von GCT

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
GCT-GMP- und -Regulatorik-Gremium, Universitäten, Ausbildungsstätten, PEI und andere Behörden, Lehrbeauftragte und -koordinator*innen

Beschreibung Maßnahme:
Es sollte(n)

a. eine Bestandsaufnahme der bereits existierenden Programme in Deutschland durch eine Datenbank erfolgen, die für Interessierte (z. B. potenzielle Teilnehmer*innen, GMP-Produktionsstätten, Behörden) leicht zugänglich ist
b. klar strukturierte, behördlich anerkannte Curricula zur Aus- und Weiterbildung entwickelt werden
c. ein Anreiz für Bildungsstätten (Universitäten, Fachhochschulen, Ausbildungseinrichtungen) geschaffen werden, solche Programme anzubieten.

Datenbankeinrichtung (a) und -pflege können in der Geschäftsstelle des GCT-GMP- und -Regulatorik-Gremiums erfolgen. Bei der Entwicklung der Curricula (b) werden ausdrücklich die Empfehlungen im Handlungsfeld II unterstützt (Handlungsfeld II, strategisches Ziel 1, Maßnahme 1). Dabei ist es besonders wichtig, diese Curricula für alle Bereiche der GMP-Produktion von GCT zu entwickeln, einschließlich der Prozessentwicklung, Herstellung, Qualitätssicherung und -kontrolle sowie der Regulatorik. Außerdem sollte es Wege des Quereinstiegs und Bestandsschutzes geben, um die Integration einer möglichst hohen Anzahl von qualifizierten Fachkräften zu ermöglichen. Zusätzlich möchten wir das PEI und andere Behörden dazu einladen, sich an der Entwicklung der Curricula zu beteiligen und Fortbildungsworkshops zum Stand und zur Entwicklung von GCT anzubieten. Dabei könnte man sich am Angebot der FDA orientieren: https://www.fda.gov/science-research/scientific-meetings-conferences-and-workshops. Als Incentivierung (c) bedarf es spezifischer und ausreichender Fördermechanismen finanzieller oder steuerlicher Art seitens der Länder oder des Bundes für Bildungsstätten und einer angemessenen finanziellen Unterstützung für die beteiligten Behörden. Der entsprechende Finanzierungsbedarf ergibt sich aus dem ermittelten Angebot und dem Bedarf an GMP-Infrastrukturen sowie den Empfehlungen des GCT-GMP- und -Regulatorik-Gremiums.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Kurzfristig (3–4 Monate): Bestandsaufnahme der existierenden Ausbildungsprogramme durch das nationale Netzwerkbüro und Zurverfügungstellung als Datenbank auf der Webseite
- Kurzfristig (1 Jahr): Entwicklung von relevanten Programmen der Incentivierung und Mittelbereitstellung

Erfolgsindikatoren

- Pflege und Nutzung (Anzahl der Zugriffe) der Datenbank, Umfrage unter Nutzenden
- Anzahl anerkannter und akkreditierter Curricula zur Aus- und Weiterbildung
- Verstetigung der Angebote und Weiterentwicklung der Curricula gemäß dem wissenschaftlichen Fortschritt
- Anzahl der neuen Absolvent*innen mit Zertifikaten in GMP-relevanten Bereichen, getrennt nach Fachrichtung (Pharmazie, Biologie/Biochemie, Medizin, MTA, Biotechnologie etc.)

Maßnahme 2:
Verbesserung der Arbeitsrahmenbedingungen zur Gewinnung und zum Halten qualifizierten Fachpersonals im Bereich GCT

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
GCT-GMP- und -Regulatorik-Gremium, Universitäten, Universitätskliniken, zuständige Landesministerien bezüglich der Veränderung der Zuordnung von Zuschüssen für Lehre & Forschung

Beschreibung Maßnahme:
Insbesondere forschenden Hochschulen und Kliniken fehlen die benötigten finanziellen Mittel und adäquaten Rahmenbedingungen, um gut ausgebildete GMP-Fachkräfte und damit die erworbene Expertise zu gewinnen und zu halten. Um diesen Trend umzukehren, müssen spezifische Anreize für qualifizierte Fachkräfte geschaffen werden. Hierzu sollten Möglichkeiten der Entfristung für hochqualifiziertes Personal in der GMP-Herstellung von GCT entwickelt und sogar als Teil der klinischen Infrastruktur „generalisiert“ werden, um Fachkräften eine langfristige berufliche Perspektive an universitären Einrichtungen zu geben. Um die Gehaltsbedingungen zu verbessern, sollte technische Expertise in der GCT-Produktion bei der Ermittlung der Entgeltgruppe berücksichtigt werden können bzw. eine Vereinfachung dieses Prozesses erfolgen. Um mit der rasanten Entwicklung des GCT-Felds Schritt halten zu können, sollte die fachliche Weiterbildung von qualifiziertem Personal unter einem besonderen Schutz stehen, z. B. durch spezialisierte „Bildungsurlaube“ im Rahmen von Forschungsworkshops.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Schaffung von kompetitiven Anstellungsverhältnissen an akademischen Einrichtungen für Fachpersonal in den GCT-Infrastrukturen (über mindestens 5 Jahre)
- Finanzierung fachlicher Weiterbildung des Fachpersonals in GCT-Infrastrukturen nach industriellen Standards

Erfolgsindikatoren

- Anzahl der angebotenen Weiterbildungsprogramme und der Fachkräfte, die sie erfolgreich abgeschlossen haben, getrennt nach Fachrichtung (Pharmazie, Biologie/Biochemie, Medizin, MTA, Biotechnologie etc.)
- Anzahl der Absolvent*innen mit Zertifikaten in GMP-relevanten Bereichen, getrennt nach Fachrichtung (Pharmazie, Biologie/Biochemie, Medizin, MTA, Biotechnologie etc.)
- Anzahl der Neueinstellungen und Verweildauer von Fachpersonal in der GCT-GMP-Infrastruktur an universitären Einrichtungen

Strategisches Ziel 3:
Effizienzsteigerung und Beschleunigung der Prozesse in der Herstellung

Erläuterung Ziel:

Insbesondere angesichts der Komplexität der Prozesse der Rohstoffbeschaffung, Herstellung, Qualitätskontrolle, Qualitätssicherung und Logistik von GCT ist es wichtig, die Datentransparenz zu gewährleisten und sich über bewährte Vorgehensweisen und die entsprechende Dokumentation auszutauschen. Diese Transparenz und dieser Gedanken- und Erfahrungsaustausch würden helfen, die Prozessdurchführung effizienter zu machen und zu beschleunigen und so die durchgängige und zeitgerechte Herstellung von GCT-Produkten sicherzustellen.

Im Rahmen dieser Initiative möchten wir daher ausdrücklich dazu aufrufen, den Austausch und die Zusammenarbeit zwischen verschiedenen GCT-Akteuren zu intensivieren, um so den Aufbau von Produktionskapazität, Expertise und Kapazitätsauslastung zu fördern. Dafür ist es notwendig, alle relevanten Informationen, die verfügbar gemacht werden können, in einer gemeinsamen Datenbank zu sammeln und aufzubereiten, die allen Beteiligten zugänglich ist. Darüber hinaus ist die automatisierte Nutzung von großen Datenmengen anzustreben, die eine einheitliche Benennungssystematik (Ontologie) erfordert, um langfristig mit den Entwicklungen auf diesem Gebiet schritthalten zu können. Diese Datenbank(en) sollte(n) von der Geschäftsstelle des vorgeschlagenen GCT-GMP- und -Regulatorik-Gremiums in enger Abstimmung mit dem nationalen Netzwerkbüro aufgebaut und betreut werden.

Maßnahme 1:
Aufbau einer übersichtlichen, für alle Akteure zugänglichen Datenbank mit herstellungsrelevanten Informationen und Unterlagen

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
GCT-GMP- und -Regulatorik-Gremium, nationales Netzwerkbüro, GMP-Herstellungsstätten deutschlandweit, Bundesoberbehörden, optional Vertreter*innen der Regierungspräsidien

Beschreibung Maßnahme:
GCT entwickeln sich rasant und unterscheiden sich erheblich von bisherigen Therapieansätzen, da hier oftmals neuartige Herstellungs- und Qualitätskontrollmethoden zur Anwendung kommen. Deshalb ist es von entscheidender Bedeutung, die Transparenz, die Zusammenarbeit und den Austausch zwischen den Akteuren zu fördern und Synergien zu nutzen. Um den Beteiligten alle relevanten Informationen zugänglich machen zu können, müssen die herstellungsrelevanten Informationen und Unterlagen zusammengetragen, zusammengestellt und kuratiert werden. Dazu gehören zum Beispiel: zertifizierte Herstellungskomponenten, Dokumente, Zertifizierungen, Vertragsvorlagen, Auditierungen, Schulungs- und Produktionsprotokolle, Produktions- und Metadaten des Herstellungsprozesses, Dokumentationsvorlagen, eine Liste von Kliniken, die für die Entnahme von Geweben zertifiziert sind, von Behandlungseinrichtungen, die für Apheresen nach dem Transfusionsgesetz zertifiziert sind sowie verfügbare Master-Files (analog der in den USA bereits üblichen Praxis). Darüber hinaus sollte die Möglichkeit bestehen, die Einbeziehung bereits zugelassener Protokolle in die Genehmigung eines neuen Prozesses zu kennzeichnen und somit die Zulassungsbehörden beim Prüfprozess zu entlasten.

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Entsprechende Stellen in der Geschäftsstelle des GCT-GMP- und -Regulatorik-Gremiums
- Kontinuierliche Aufgabe

Erfolgsindikatoren
- Messung der Datenbanknutzung (individuelle Aufrufe, unique users, Eingaben von Dokumenten, Anzahl der Downloads)
- Ermitteln des Umfangs der Liste behördenseitig freigegebener Materialien
- Festhalten der Anzahl der Referenzierungen durch die Antragsteller*innen und Behörden

Maßnahme 2:
Schaffung einer einheitlichen Wissens- und Kommunikationsgrundlage basierend auf Repositorien zur bzw. zum einheitlichen Datenspeicherung und -zugriff

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Entsprechende fachspezifische Initiative aus dem Bereich medizinischer Datenwissenschaften, GCT-GMP- und -Regulatorik-Gremium

Beschreibung Maßnahme:
Der Ausbau von Qualität und Kapazität der GMP-Produktion erfordert die gemeinsame Entwicklung durch verschiedene Akteure. So müssen

1. Biolog*innen und Biotechnolog*innen ein grundlegendes Verständnis für die biologischen Prozesse schaffen,
2. Gerätehersteller und Anlagenbauer entsprechende Geräte und Prozesse bereitstellen,
3. Softwareentwickler*innen informationstechnische Systeme zur Datenverarbeitung programmieren,
4. Datenwissenschaftler*innen (Data Scientists) und KI-Spezialist*innen Modelle zur Prozessverbesserung entwickeln und
5. regulatorische Behörden neue Verfahren zulassen.

Für diese interdisziplinäre Zusammenarbeit bedarf es einer einheitlichen Wissens- und Kommunikationsgrundlage. Daraus leitet sich die Maßnahme ab, Repositorien zur persistenten und sicheren Speicherung und zum einheitlichen Zugriff auf Daten, Informationen und Wissen zu entwickeln. Zur Erhöhung der Qualität eines GCT-Produktes können beispielsweise Daten aus dem Zellkultivierungsprozess beitragen. Damit diese Daten ausreichend analysiert und passende datengetriebene Modelle entwickelt werden können, müssen diese Daten auch für Data Scientists ohne biologischen Hintergrund verständlich sein. Dies kann durch die strukturierte Annotation von Metadaten und den Aufbau von Informationsmodellen und Ontologien erreicht werden. Dabei kann auf bestehenden Initiativen wie der Open Biological and Biomedical Ontology Foundry (OBO Foundry) aufgebaut werden. Zusätzlich bedarf es des geschützten Austauschs von sensiblen Daten zwischen verschiedenen Akteuren wie z. B. Krankenhäusern, Patient*innen und Dienstleistern. Bestehende Initiativen zur Vereinheitlichung von Datenstrukturen nach dem FAIR-Prinzip sind die Nationale Forschungsdateninfrastruktur und der Fraunhofer Medical Data Space.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Fortlaufend, IT-Infrastruktur (z. B. IT-Center einer Hochschule), 5 Stellen (Administrator*in, 2 Wissenschaftliche Mitarbeiter*innen für Ontologieentwicklung, 1 Mathematisch-technische*r Softwareentwickler*in, 1 Helpdesk)

Erfolgsindikatoren

- Veröffentlichte und in einen Standard (Norm oder Richtlinie) überführte Ontologie der GCT-Herstellung
- Webbasierter Zugriff auf die Repositorien nach vorheriger Anmeldung
- Dokumentation der Anzahl von Zugriffen auf die Repositorien; mehr als 30 Zugriffe pro Monat als-Zielgröße

Strategisches Ziel 4:
Weiterentwicklung und risikobasierte Verschlankung der Rahmenbedingungen

Erläuterung Ziel:

Die GMP-konforme GCT-Herstellung erfordert spezifische Rohstoffe und Materialien, die strikten Anforderungen genügen müssen und über spezielle Distributionswege bezogen werden. Folgende Maßnahmen müssen ergriffen werden, um die Prozesse bei der Rohstoffbeschaffung, Qualitätskontrolle, Qualitätssicherung und Logistik von GCT effektiver bzw. einheitlicher zu machen und so eine durchgängige und zeitgerechte Herstellung von GCT-Produkten sicherzustellen (siehe Maßnahmen im Handlungsfeld IV, strategisches Ziel 1).

Maßnahme 1:
Harmonisierung und risikobasierte Verschlankung der gesetzlichen und regulatorischen Vorgaben für die GMP-gerechte Herstellung und -Kontrolle

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
GCT-GMP- und -Regulatorik-Gremium, Behörden (Landeskrankenhausgesellschaft, BOB, BMG)

Beschreibung Maßnahme:

Die fehlende Einheitlichkeit regionaler und nationaler gesetzlicher Bestimmungen erschwert nachhaltig die Bereitstellung klinischer Prüfpräparate in Deutschland durch verschiedene kliniknahe GMP-Infrastrukturen. Dies führt zu signifikanten zeitlichen Verzögerungen und zusätzlichen Ausgaben, die die Konkurrenzfähigkeit Deutschlands im Vergleich mit anderen europäischen und außereuropäischen Ländern erheblich herabsetzt. Konkurrenzfähigkeit lässt sich nur durch eine Harmonisierung regionaler und nationaler Vorgaben und Standards für

Qualifizierungs- und Auditierungssysteme für GCT sowie durch eine risikobasierte Verschlankung der gesetzlichen Vorgaben erreichen. Beispiele hierfür sind die regulatorische Unterscheidung zur GMP-gerechten Herstellung für Frühe-Phase-I/II- im Vergleich zu Phase-III-Studien, Erleichterung und Harmonisierung bezüglich der Erlaubnis für die Gewebeentnahme zur Herstellung eines ATMPs nach §20b AMG, Erleichterung der Vertragspflichten mit dem Hersteller von Ausgangsstoffen menschlicher Herkunft (§9 AMWHV), die Anerkennung einer Auditierung von Zulieferfirmen für mehrere GMP-Einrichtungen oder Ähnliches.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Mittelfristig (6 Monate nach Einberufung des Gremiums): Erarbeitung der ersten Stellungnahme
- Ressourcenbedarf: Einrichtung des vorgeschlagenen GCT-GMP- und -Regulatorik-Gremiums

Erfolgsindikatoren

- Veröffentlichte Stellungnahmen und Voten
- Relevante Harmonisierungen, Anpassung von Gesetzen

Handlungsfeld VI: Forschung und Entwicklung

Zusammenfassung

Um die Entwicklung von GCT in Deutschland voranzutreiben, müssen Ideen erkannt und gefördert werden. Dies geschieht durch Forschung und Entwicklung, dem Innovationsmotor für GCT-Produkte. Sie initiiert die Translation präklinischer Entwicklungen in klinische Studien, die die Verfügbarkeit dieser Produkte in der Regelversorgung sicherstellen.
Um den Herausforderungen von GCT gerecht zu werden, bedarf es dringend einer Verbesserung der **Infrastruktur** für Forschung und Translation in Deutschland. Das erfordert den Aufbau **dezentraler Knotenpunkte**, die der wissenschaftlichen Gemeinschaft deutschlandweit zur Verfügung stehen. Ebenso sollte der **Ausbau** von Produktionskapazitäten bzw. des Zugangs dazu zügig vorangetrieben werden, um die Kosten für klinische Studien und Therapien zu senken und die Verfügbarkeit sicherzustellen. Die Einrichtung von **Inkubatoren** für Start-ups und Biotech-Unternehmen soll Innovationen fördern und der Ausbau von **Prüfeinrichtungen** soll sowohl die Wirksamkeit als auch die Sicherheit dieser Innovationen gewährleisten. Durch eine intensive Zusammenarbeit aller Akteure im Bereich der Entwicklung und Herstellung von GCT-Produkten soll eine Beschleunigung vor allem der **wissenschaftsinitiierten klinischen Studien** erreicht werden.

Zukunftsthemen zu erkennen und ihre gezielte Förderung verlangt eine gleichberechtigte Einbeziehung aller relevanten Akteure sowie die Entwicklung interdisziplinärer Visionen. Dafür sind sowohl die Implementierung **neuartiger und agiler Förderformate** als auch die Etablierung **neuer Modelle der Kooperation** zwischen Industrie und Akademie essenziell. Dadurch kann eine zügige und ausreichend finanzierte Übertragung von Erkenntnissen aus der Grundlagenforschung in frühe klinische Studien ermöglicht werden, um Deutschland als Innovationsführer im Bereich GCT zu positionieren.

Die **effiziente Nutzung finanzieller Mittel**, in Anlehnung an internationale Beispiele (Kanada – BioCanRx Netzwerk; Niederlande – OnCode Institut; Großbritannien – Catapult, Medical Research Council (MRC)) könnte unterstützend wirken.

Angesichts der Herausforderungen und Potenziale der GCT muss die Implementierung von **GMP-Light-**Verfahren für klinische Studien der Phasen I/II zur Stärkung des Forschungsstandortes Deutschland vorangetrieben werden. Darüber hinaus sind eine realistische Bewertung von Tierversuchen, eine Beschleunigung der **Genehmigungsverfahren** sowie eine verstärkte Förderung von **Ersatzmethoden** notwendig, um die internationale Wettbewerbsfähigkeit zu sichern und ethischen Standards gerecht zu werden. Die Einführung von **Leistungsindikatoren** ist unerlässlich, um Transparenz und Effizienz in den Genehmigungsverfahren für GCT zu fördern. Die **Ethikkommissionen** müssen durch die Harmonisierung von Standards und die Einführung von Fachgremien optimiert und effizienter gestaltet werden, um Genehmigungsprozesse zu beschleunigen.

Patient*innen frühzeitig in Forschungsprozesse einzubinden ist unerlässlich, um ihre Bedürfnisse und Perspektiven angemessen berücksichtigen und in das Design von Forschungsprojekten und klinischen Studien integrieren zu können.

Durch gezielte **Ausbildungsprogramme**, Stipendien und das Ermöglichen von Karrieren im Bereich der biomedizinischen Forschung in Verbindung mit Themen wie Ausgründung und Translation/Transfer sollten Fachkräfte dazu bewogen werden, nach Deutschland zu kommen und hier zu bleiben. Mit Hilfe veränderter in Ausbildungs- und Schulungssysteme sowie spezialisierter Studiengänge kann der steigende Bedarf an GCT-Fachkräften gedeckt werden.

1 Verbesserung der strukturellen Voraussetzungen für translationale Forschung und Entwicklung

2 Identifikation und Förderung von Zukunftsthemen

3 Verbesserung der organisatorischen und regulatorischen Rahmenbedingungen für präklinische und klinische GCT-Studien

4 Etablierung der Einbindung von Patient*innen, Patientenfürsprecher*innen und Patienten-organisationen

5 Mentalitätswandel und Verstärkung eines bioentrepreneurial Spirit

Hintergrund

Im Bereich GCT hat Deutschland bei der Durchführung früher forschungsinitiierter klinischer Studien, IITs und Sponsor-Initiated Trials mit Industriebeteiligung international den Anschluss verloren. Es droht diesbezüglich weiter zurückzufallen, während Länder wie Großbritannien, die Niederlande, Frankreich und Belgien im europäischen Kontext bereits anfangen, eine Führungsrolle einzunehmen.

Die Abwanderung der klinischen Studienprogramme großer Biotech-Firmen weist auf die Dringlichkeit der Lage hin. Die steigende Zahl an Zulassungsanträgen innovativer GCT ist derzeit vornehmlich auf ausländische Hersteller zurückzuführen.

Der Grund dafür sind **systeminhärente Schwächen**, insbesondere in Bezug auf die mangelnde Translation von Ergebnissen aus der Grundlagenforschung in klinische Studien. Deutschland muss sich wieder stärker an der Wertschöpfungskette beteiligen, was wiederum eine stärkere Zusammenarbeit aller beteiligten Stakeholder von Forschung über Klinik und Behörden bis hin zu Industrie und VC erfordert.

Außerdem gibt es im Bereich GCT substanzielle **bürokratische Hürden**, die die Forschungs- und Entwicklungsprozesse erheblich beeinflussen und das **Tempo der Umsetzung** von Innovationen stark verringern.

Langwierige Verfahren der Beantragung von Forschungsförderung führen zu erheblichen zeitlichen Verzögerungen und belasten so die Agilität der Forschungseinrichtungen. Deshalb sind die Vorgabe und strikte Einhaltung klarer Zeitlinien sowie der Abbau von unnötigen bürokratischen Hürden essenziell.

So haben zum Beispiel die verlangsamte Auszahlung von Fördermitteln und die bürokratische Überwachung gerade der vom Bund geförderten Projekte gravierende Folgen für die Forschungsaktivitäten und ihre Flexibilität. Sie beeinträchtigen die Wettbewerbsfähigkeit Deutschlands im Bereich Forschung & Entwicklung und verzögern so die Implementierung innovativer Therapieansätze. Ein gestörter Informationsfluss zwischen relevanten Akteuren, der durch die administrative Komplexität bedingt ist, verschärft das Problem.

Zwar sind die technologischen Voraussetzungen für **frühe klinische Studien (Phase I/II)** und Zulassungsstudien (Phase III) in Deutschland grundsätzlich vorhanden, aber es fehlt an einer effizienten **Infrastruktur** für eine effektive Beteiligung Forschender an diesen Studien.

Die **Kooperation** zwischen relevanten Stakeholdern wie Forschungseinrichtungen, klinischen Institutionen, der Industrie, politischen Instanzen, Zulassungs- und Bewertungsbehörden, Ärzteschaft, Patientenvertretende und Kostenträgern erweist sich als unzureichend.

Eine besondere Herausforderung liegt in der begrenzten finanziellen **Förderung** von Innovationen in der Forschung und Translation, da die Entwicklung und Anwendung von GCT im wissenschaftlichen Kontext erhebliche finanzielle Ressourcen erfordert. Es muss ein neues Gleichgewicht zwischen einer Förderung von „Forschung“ und „Entwicklung“ hergestellt werden, um Deutschland im Technologie- und Wissenschaftstransfer voranzubringen.

Ein weiterer, dringend anzupackender Problembereich stellt die **regulatorischen Rahmenbedingungen** für GCT dar, die derzeit nicht entsprechend nach den Spezifika dieser besonderen Therapien ausgestaltet sind.

Zudem ist die **interministerielle Abstimmung entlang der gesamten Wertschöpfungskette** (von der Entdeckung/Idee bis hin zum zugelassenen und in der Versorgung eingesetzten Produkt) Voraussetzung für effiziente Rahmenbedingungen im GCT-Bereich. Aus diesem Grund sollte der Austausch zwischen den jeweiligen Bundesressorts für Grundlagenforschung (BMBF), Wachstumsfinanzierung (BMWK) und Marktzugang sowie Überführung in die Regelversorgung (BMG) intensiviert und optimiert werden, um Deutschlands internationale Wettbewerbsfähigkeit auch langfristig zu sichern.

Strategische Ziele

1. Verbesserung der strukturellen Voraussetzungen für translationale Forschung und Entwicklung
2. Identifikation und Förderung von Zukunftsthemen
3. Verbesserung der organisatorischen und regulatorischen Rahmenbedingungen für präklinische und klinische GCT-Studien
4. Gewährleistung der Einbindung von Patient*innen Patientenfürsprecher*innen und Patientenorganisationen
5. Mentalitätswandel und Verstärkung eines bioentrepreneurial Spirit in der deutschen GCT-Gemeinschaft

Strategisches Ziel 1:
Verbesserung der strukturellen Voraussetzungen für translationale Forschung und Entwicklung

Erläuterung Ziel:

Die Entwicklung innovativer GCT-Produkte von der Idee zum Markt beinhaltet mehrere Schritte in der Präklinik, der klinischen Translation und dem Transfer, für die die Verfügbarkeit und der Zugang zu kritischer Infrastruktur entscheidend sind und deren Mangel bzw. der beschränkte Zugang in Deutschland aktuell die Innovationskraft des Forschungs- und Entwicklungsfelds GCT begrenzt. Dazu gehören u. a. die Verfügbarkeit und der Zugang zu Herstellungseinrichtungen für Gentransfervektoren in präklinischer und klinischer Qualität, Prüfeinrichtungen für GLP-Studien zu Sicherheit (inklusive Genotoxizität) und Wirksamkeit (inklusive Pharmakokinetik und Pharmakodynamik), Herstellungseinrichtungen für GCT-Produkte in klinischer Qualität für frühe (Phase I/II) und späte (ab Phase III) klinische Studien, Zentren für die klinische Prüfung seltener und prävalenter Erkrankungen im Indikationsspektrum der GCT, und Inkubatoren für Start-ups und Biotech-Unternehmen. Dem bestehenden Mangel soll durch die Etablierung dezentraler Knotenpunkte mit Infrastruktur und Expertise für diese Kernelemente innerhalb eines nationalen GCT-Netzwerks begegnet werden.

Innerhalb des nationalen GCT-Netzwerks mit seinen dezentralen Knotenpunkten soll v. a. auch die interdisziplinäre Zusammenarbeit zwischen universitären und außeruniversitären Forschungseinrichtungen und Kliniken, Unternehmen, Regulator*innen, Patientenorganisationen und weiteren Stakeholdern unterstützt und gefördert werden. Die Etablierung eines kohärenten Rahmens zur Definition und Förderung dieser Zusammenarbeit sowie zur Integration verschiedener Fachrichtungen ist dringend geboten, um den Weg für einen effizienten Fortschritt in der GCT auf nationaler und internationaler Ebene zu ebnen. Aktuell manifestiert sich der Mangel an bestimmter kritischer Infrastruktur in langen und abgebrochenen Entwicklungswegen, ineffektiver Kooperation und Übergabe zwischen den Stakeholdern entlang der Entwicklungs- und Wertschöpfungskette. Die geringe Abstimmung und Kooperation zwischen Forschungseinrichtungen und Kliniken und der Industrie führt zur Fragmentierung und unnötigen Redundanz von Forschungsaktivitäten. Diese Fragmentierung wiederum bewirkt Informationsverluste und verzögerte Fortschritte in der Entwicklung und Implementierung neuer Therapieansätze. Aus diesem Grund soll die Abstimmung von Aktivitäten und Initiativen durch den Aufbau und die Vernetzung von Knotenpunkten forciert werden. Dadurch könnten relativ leicht, schnell und nachhaltig Potenziale ausgeschöpft werden.

Maßnahme 1:
Etablierung eines Nationalen GCT-Netzwerks mit Knotenpunkten

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Politik (Bund und Länder), universitäre und außeruniversitäre Forschungseinrichtungen, Dachorganisationen, Regulator*innen, Industrie, Investor*innen; Moderation des Prozesses durch Mitglieder der Arbeitsgruppen mit organisatorischer Unterstützung des BIH

Beschreibung Maßnahme:
Zur Förderung der Entwicklung von GCT in Deutschland ist es notwendig,

- adäquate Rahmenbedingungen zu schaffen, die der hohen Dynamik präklinischer und translationaler klinischer Forschung im Bereich GCT gerecht werden,
- die Translation und den Transfer über die gesamte Wertschöpfungskette von der grundlagenorientierten Forschung bis hin zur Versorgungsforschung zu beschleunigen sowie,

- vorhandene Expertisen und Infrastruktur in dezentralen synergistisch interagierenden, harmonisierten und zugangsoffenen Knotenpunkten innerhalb eines nationalen GCT-Netzwerks nachhaltig zu stärken, auszubauen und kontinuierlich weiterzuentwickeln.

Erste Ansätze für den Aufbau einer derartigen Forschungsstruktur geben bereits ausgearbeitete Empfehlungen seitens des Wissenschaftsrates (2017) sowie der Arbeitsgruppe „Translation" der Ständigen Senatskommission für Grundsatzfragen in der Klinischen Forschung der Deutschen Forschungsgemeinschaft (2019). Hierauf aufbauend muss sichergestellt werden, dass der Zugang zu Servicestrukturen offen gestaltet und Synergien im Netzwerk standort- und länderübergreifend aufgebaut werden können. Gleichzeitig müssen die auszubauenden Infrastrukturen insbesondere im regulatorischen Umfeld mit einer hohen Planungssicherheit aufgesetzt werden, um eine Stärkung der Interaktion zwischen Akademie, Start-ups, Industrie und Investor*innen zu erreichen. Das hier vorgeschlagene GCT-Netzwerk mit Knotenpunkten soll umfassende Interaktionsflächen mit relevanten bestehenden Strukturen aufbauen, wie etwa den krankheitsorientiert angelegten Deutschen Zentren der Gesundheitsforschung. Die Struktur des Netzwerks soll über die ganze translationale Wertschöpfungskette hinweg auf akademisch exzellente Forschung mit dem Ziel ausgerichtet sein, eine breit zugängliche und qualitativ hochwertige personalisierte Versorgung von Patient*innen zu gewährleisten.

Das erfordert den Aufbau und das Angebot von Servicestrukturen für die wissenschaftliche Gemeinschaft, die im Rahmen von Einzelmaßnahmen in der Regel nicht abgebildet werden können, für erfolgreiche Translation und Transfer jedoch zwingend notwendig sind. Dazu gehören insbesondere:

a. Herstellungseinrichtungen für Gentransfervektoren (Virale Vektoren, Nicht-virale Vektoren) in präklinischer und klinischer Qualität
b. Prüfeinrichtungen für GLP-Studien zu Sicherheit (inklusive Genotoxizität) und Wirksamkeit (inklusive Pharmakokinetik und Pharmakodynamik), Omics-Analysen (Genomics, Proteomics, Metabolomics u. a.)
c. Herstellungseinrichtungen für GCT-Produkte in klinischer Qualität für frühe (Phase I/II) und späte (ab Phase III) klinische Studien
d. Zentren für die klinische Prüfung seltener und prävalenter Erkrankungen im Indikationsspektrum von GCT, inklusive Unterstützungsstrukturen zur Vorbereitung und Durchführung klinischer Studien (mit z. B. Regulatorischer Expertise, statistischer & biometrischer Expertise, Clinical Research Organization-Expertise, CTOs)
e. Inkubatoren für Start-ups und Biotech-Unternehmen

Die Knotenpunkte sollen dabei explizit dezentral aufgebaut, d. h. nicht an einen bestimmten Standort vergeben werden, sondern themen- und expertisenorientiert definiert und dynamisch angepasst werden. Diese Struktur soll dazu führen, das Angebot als Dienstleistung nicht nur an den Knotenpunkten, sondern im gesamten nationalen GCT-Netzwerk verfügbar zu machen. Dabei soll innerhalb jedes Knotenpunktes für jeweils definierte Indikationen die Abdeckung vollständiger translationaler Kreisläufe von der Grundlagenforschung über die klinische Versorgung von Patient*innen bis hin zur Versorgungsforschung erreicht werden. Darüber hinaus muss eine intensive Abstimmung zwischen den Knotenpunkten untereinander erfolgen.

Für die Etablierung und Verstetigung der Knotenpunkte und des GCT-Netzwerks ist eine adäquate öffentliche Grundfinanzierung notwendig. Aus der Grundfinanzierung heraus sollen für Stakeholder aus der GCT-Gemeinschaft entsprechende Dienstleistungen und Services angeboten werden. Dabei sind geeignete flexible Instrumente und Kriterien für die Auswahl derjenigen Projekte zu entwickeln, die eine Dienstleistung oder einen Service erhalten können. Basierend auf dieser Grundfinanzierung werden PPPs aufgebaut, um das Netzwerk und seine Services und deren Verfügbarkeit kontinuierlich auszubauen.

Durch eine gemeinsame Anstrengung von Bund, Ländern, Industrie und privaten Investor*innen (und deshalb idealerweise in Form von PPPs) kann ein dauerhaft erfolgreicher Betrieb der Knotenpunkte gelingen.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Kurzfristig (innerhalb von 4–6 Monaten): Detaillierte Bestandsaufnahme und Bedarfsermittlung, Ausarbeitung eines inhaltlichen Konzeptes für die Etablierung von Knotenpunkten zu den o. g. Kernelementen (Vektor, GLP-Studien, GMP-Herstellung, Klinische Studien, Inkubatoren) und darauf basierend eine Einschätzung des Mittelbedarfs für Investitionen in Infrastruktur und Personal
- Kurzfristig (innerhalb von 6–9 Monaten): Runder Tisch mit Vertreter*innen von Bund und Ländern, universitären und außeruniversitären Forschungseinrichtungen, Dachorganisationen, Regulator*innen, Industrie und Investor*innen zur Umsetzung; Moderation des Prozesses durch Mitglieder der Arbeitsgruppen unter organisatorischer Unterstützung des BIH
- Kurzfristig (innerhalb von 9–12 Monaten): Fertigstellung eines detaillierten inhaltlichen Konzeptes (inklusive SWOT-Analyse), mit dem Industriepartner und Investor*innen angesprochen werden können
- Auswahl der Knotenpunkte nach einer transparenten Evaluation durch internationale Gutachter

Erfolgsindikatoren

- Kurzfristig (9 Monate): Inhaltliches Konzept für die Etablierung der Knotenpunkte innerhalb des GCT-Netzwerks erarbeitet und Zustimmung dazu von den öffentlichen und privaten Stakeholdern der GCT-Initiative ist erfolgt
- Mittelfristig (2 Jahre): Alle Knotenpunkte laut Konzept werden etabliert und nehmen die Arbeit auf (Abschluss der Etablierungsphase nach 3 Jahren)
- Mittelfristig (3 Jahre): Jeder Knotenpunkt leistet in mindestens 3 Projekten verschiedener Stakeholder einen Service oder eine Dienstleistung, die Entwicklung und Wertschöpfung vorantreibt (darunter mindestens ein Projekt zur technischen Infrastruktur für die Herstellung von Vektor-, Zell- oder kombinierten Produkten, z. B. Bioprinting oder Tissue Engineering; und mindestens eine klinische Studie, die an mehreren Standorten innerhalb des GCT-Netzwerks aktiv ist)
- Langfristig (7 Jahre): Mindestens die Hälfte der Knotenpunkte wird zu einem Teil aus PPPs finanziert

Strategisches Ziel 2:
Identifikation und Förderung von Zukunftsthemen

Erläuterung Ziel:

Zukunftsthemen zu identifizieren und verstärkt zu fördern, verlangt einen ganzheitlichen Ansatz, der die gleichberechtigte Einbeziehung aller relevanten Akteure sowie die Entwicklung interdisziplinärer Visionen beinhaltet. Dazu müssen neuartige Förderformate etabliert werden, um die Dynamik, Effektivität und Innovationskraft bei GCT zu berücksichtigen und innovative Durchbrüche zu ermöglichen.

Erkannte Probleme und deren Auswirkungen: Zukunftsthemen werden nicht oder zu spät erkannt und durch inadäquate Fördermaßnahmen aufgegriffen. Die derzeit zur Verfügung stehenden Fördermittel sind deutlich zu gering, zu unflexibel und zeitlich zu begrenzt, denn die GCT-bezogene Forschung und Entwicklung erfordert erhebliche finanzielle Ressourcen, die über einen angemessen langen Zeitraum gleichbleibend zur Verfügung stehen. Der Mangel an finanziellen Ressourcen insbesondere an Übergabepunkten (Translation Präklinik in die Klinik; Transfer öffentlich geförderte Forschung in die Privatwirtschaft) und in späteren klinischen Entwicklungsphasen führt dazu, dass vielversprechende Projekte gar nicht erst angegangen werden oder aufgrund fehlender notwendiger Unterstützung nicht bis zu dem Punkt weiterentwickelt werden können, an dem ihr Innovationspotenzial voll ausschöpft werden kann.

Bei der Förderung von innovativen Ideen und Projekten ist der lange zeitliche Abstand zwischen Ausschreibung, Antragseinreichung und Förderbeginn stark hemmend (bei öffentlichen Mittelgebern bis zu drei Jahre) und in der schnelllebigen GCT-Wissenschaft unangemessen lang. Die Gründe

für diese Verzögerungen müssen analysiert werden (u. a. Förder-/Vergaberecht; Berufung von Gutachter*innen; Sitzungsturnus von Entscheidungsgremien), um effizientere Prozesse zu ermöglichen, übermäßige Bürokratie abzubauen und den zeitnahen Fortschritt in der Forschung zu gewährleisten.

Ziele: Die folgenden Eckpunkte enthalten wesentliche strategische Ziele für die Schaffung und Implementierung neuer Förderformate:

- Die strategische Zielsetzung sollte eine klare Definition von Bedarfen beinhalten, um zielgerichtete agile Förderformate entwickeln zu können. Ein systematischer Ansatz zur Identifikation von Forschungslücken, technologischen Herausforderungen und ungedeckten Bedarfen könnte als Grundlage für die Gestaltung neuer Förderinitiativen dienen.
- Es ist wichtig zu betonen, dass neue Ideen häufig aus der öffentlichen Forschung stammen. Deshalb sollten Förderformate so gestaltet sein, dass sie die kreative Freiheit der Forschungseinrichtungen bewahren und gleichzeitig eine effektive industrielle Anwendung ermöglichen.
- Die Erfahrungen und bewährten Praktiken anderer Nationaler Zentren und aus vergangenen Förderinitiativen sollten sorgfältig analysiert werden, um die Wirksamkeit neuer Förderformate sicherzustellen. Die Ermittlung von Erfolgsfaktoren und potenziellen Herausforderungen hilft, Strategien zu entwickeln, die auf bereits erprobten Ansätzen aufbauen.
- Die Implementierung eines Evaluierungsprozesses für Projekte und Förderinstrumente ist dringend geboten. Transparente Berichterstattung über Auswahlkriterien, Projektfortschritte und Ergebnisse fördert das Bewusstsein für den Nutzen von Forschung, stärkt das Vertrauen der Öffentlichkeit und ermöglicht kontinuierliche Verbesserung der Förderformate. Die Evaluation von SPRIN-D ist essenziell, um wissenschaftliche und wirtschaftliche Auswirkungen bewerten zu können und eine Grundlage für künftige Förderinitiativen zu haben.
- Es ist sehr wichtig, neue Möglichkeiten der Zusammenarbeit zwischen Forschungseinrichtungen und Industriepartnern zu schaffen. Innovative Ideen können in Rahmen von Partnerschaften mit der Industrie getestet und weiterentwickelt werden. Dies könnte die Erstellung von Prototypen, die Automatisierung von Prozessen, die Durchführung klinischer Studien sowie weitere innovationsfördernde Maßnahmen umfassen. Eine strategische Zielsetzung sollte auch darauf abzielen, VC stärker einzubeziehen. Durch die Schaffung von Anreizen für VC-Unternehmen, sich an innovativen Projekten zu beteiligen, kann die Finanzierungsbasis erweitert und die Umsetzung vielversprechender Ideen beschleunigt werden.
- Die Entwicklung interdisziplinärer Visionen ist insbesondere im Zusammenhang mit Niedriglohnländern von großer Bedeutung. Hier geht es nicht nur um die Anpassung von Technologien an lokale Gegebenheiten, sondern auch um die Entwicklung von nachhaltigen und kostengünstigen Lösungen. Durch die Zusammenarbeit von Expert*innen aus verschiedenen Disziplinen wie Medizin, Ingenieurwissenschaften, Ethik und Wirtschaft können maßgeschneiderte Ansätze geschaffen werden, um die Verfügbarkeit von GCT-Therapien weltweit zu verbessern.

Im Folgenden werden sowohl konzeptionelle als auch strukturelle Maßnahmen vorgeschlagen, um innovative Forschungsvorhaben dynamisch und effektiv zu fördern. Dabei ist eine konstruktive Zusammenarbeit zwischen Forschung und Industrie explizit erwünscht, um die translatorische Lücke zu überbrücken. Dies könnte durch spezielle Förderinstrumente geschehen, die auf die Bedürfnisse beider Sektoren zugeschnitten sind und den Transfer innovativer Ideen aus der Grundlagenforschung in die industrielle Anwendung fördern.

Maßnahme 1:
Etablierung neuer flexibler Förderformate mit kurzer Vorlaufzeit, die Bedarfe erfüllen, die derzeit nicht ausreichend berücksichtigt sind

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Governancestruktur der Nationalen Strategie, DFG, BMBF, Drittmittelgeber/Stiftungen, die GCT-Projekte fördern

Beschreibung Maßnahme:
Die Wissenschaftslandschaft wandelt sich heute wesentlich schneller als noch vor wenigen Jahrzenten. Wissenschaftliche Durchbrüche in der GCT geschehen enorm schnell und erfordern eine entsprechend kurze Reaktionszeit in der Förderpolitik, damit Deutschland konkurrenzfähig bleibt. Deshalb müssen geeignete Mechanismen, Instrumente und Strukturen etabliert werden, um cutting-edge Zukunftsthemen sofort zu erkennen und zur Förderung vorzuschlagen. Die folgende Liste enthält einige mögliche Instrumente und Prinzipien, soll aber für weitere geeignete innovative Förderformate prinzipiell offenbleiben.

a. Entwicklung von Förderformaten für die Grundlagenforschung, insbesondere für unkonventionelle Ideen, ggf. speziell für junge Nachwuchswissenschaftler*innen. Erfahrene und junge Wissenschaftler*innen in die Identifikation von Zukunftsfeldern einzubinden ist enorm wichtig. Darüber hinaus sollte auf das Potenzial erfahrener Wissenschaftler*innen als Pat*innen bei der Entwicklung neuer Ansätze zurückgegriffen werden. Durch den Ausbau gezielter Förderprogramme und Wettbewerbe könnten finanzielle Anreize geboten werden, um wegweisende Ideen zu generieren und in Proof-of-Concept-Studien zu erproben.
b. Fast-Track- oder AdHoc-Project-Grants beschleunigen die Bereitstellung zusätzlicher Finanzmittel in bereits bewilligten öffentlichen Förderprojekten und damit den Forschungsfortschritt
c. Einführung von Trampolin Grants und Hackathons als flexiblen, innovativen Förderprogrammen für kreative Ideen und agile Forschungsumgebung: Nach dem Vorbild von AFM-Telethon könnte eine Anschubfinanzierung für die Erprobung neuer Ideen erfolgen. Hierzu wurde das Format der Trampolin Grants entwickelt, bei denen innovative Ideen verfolgt werden können, ohne bereits umfangreiche Vorarbeiten bei der Antragstellung vorzuweisen.
d. Realistischere Fördersummen für die klinische Translation effektiver innovativer Therapieansätze sind erforderlich, vor allem im akademischen und Start-up-Bereich. Durch eine Bündelung von vorhandenen Fördermaßnahmen könnte eine höhere Fördersumme sowie eine Weiterfinanzierung für eine geringere Anzahl an Projekten zur Verfügung gestellt werden. Nach Vorbild des MRC Translationsfunds könnten größere Gesamtfördersummen zur Verfügung gestellt werden, welche dabei an die Erfüllung von Meilensteinen geknüpft sind.
e. Einrichtung eines unabhängigen nationalen Selbsthilfe- und Patientenfonds, um es Organisationen zu erleichtern, Mittel für Informations-, Fortbildungs- und Unterstützungsmaßnahmen zu beantragen
f. Förderung von ausgewählten Start-ups sowie akademischen Gruppen mit Ausgründungsabsicht im GCT-Bereich speziell für die Nutzung von kritischer Infrastruktur und Enabling Facilities
g. Förderung von Forschungseinrichtungen zur Gewährleistung einer qualitativ hochwertigen Patentierung von Ideen
h. Förderung von Entwicklungsprojekten mit Schwerpunkt auf Prozess- und Produktionstechnologien und dadurch die Schaffung von anerkannten Standards für relevante, etablierte Technologien

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Kurzfristig: Etablierung von geeigneten Strukturen und Mechanismen zur Identifizierung und Priorisierung von Zukunftsthemen
- Kurzfristig: Etablierung von geeigneten Mechanismen zur Schaffung neuer flexibler Förderformate mit kurzer Vorlaufzeit

Erfolgsindikatoren
- Erarbeiten einer Liste aktueller Zukunftsthemen und Priorisierung von Top-Themen
- Kontinuierliche Adaption der Themenliste an aktuelle Trends und Entwicklungen in der Forschungslandschaft
- Erarbeiten einer Toolbox für neue Förderformate und Etablierung von Auswahlmechanismen und -kriterien
- Kontinuierliche Adaption der Themenliste an aktuelle Trends und Entwicklungen in der Forschungslandschaft

Strategisches Ziel 3:
Verbesserung der organisatorischen und regulatorischen Rahmenbedingungen für präklinische und klinische GCT-Studien

Erläuterung Ziel:

Deutschland ist im internationalen Vergleich in der präklinischen und klinischen Entwicklung von GCT zu langsam – von der Idee zu Paper und Patent (Proof-of-Concept), von Patent und Paper zum ersten Patienten oder zur ersten Patientin, von der ersten Patientin oder dem ersten Patienten zum Markt – diese Entwicklungsschritte werden von Deutschlands Mitbewerbern schneller vollzogen. Es besteht Einigkeit, dass die bestehende hohe Qualität und Detailliertheit v. a. in der regulatorischen Bewertung für späte präklinische als auch frühe klinische Studien ein positiver Aspekt für den Forschungsstandort Deutschland sein kann. Dennoch werden die organisatorischen und regulatorischen Rahmenbedingungen für GCT in Deutschland international als „schwierig" wahrgenommenen und sind durch die daraus entstehenden Kosten und Aufwände zum Standortnachteil geworden. Für eine Verbesserung der Rahmenbedingungen muss die Vereinfachung und Beschleunigung von Genehmigungsverfahren vorangetrieben werden. Prozesse bei regulatorischen Behörden, die in ihrer jetzigen Form oftmals als reine Kontrollinstanz wahrgenommen werden, müssen neu evaluiert werden. Die Behörden könnten neben ihren formalen, regulatorischen Aspekten eine beratende und strategische Rolle (nach dem Vorbild des US Super Office – Office of Therapeutic Drugs) spielen.

Im Bereich der präklinischen und translationalen Forschung sind die umständlichen und extrem langwierigen Genehmigungsverfahren für Tierversuchsanträge und die fast grundsätzliche Ablehnung solcher Anträge, die in einigen Bundesländern bereits praktiziert wird, zu einem massiven Problem geworden. Während sich die Genehmigung von Tierversuchen in Deutschland durch ständige Nachforderungen und Revisionen über viele Monate und Jahre hinziehen kann, werden Tierversuchsanträge in den USA auf Institutsebene verwaltet und ein Genehmigungsprozess erfolgt deutlich schneller. Bezüglich der Bestrebungen zur Reduktion von Tierversuchen und bei allem Interesse an Ersatzverfahren wird die Verwendung tierexperimenteller Daten im naturwissenschaftlichen Bereich nach wie vor nicht nur von allen exzellenten wissenschaftlichen Journalen gefordert, sondern auch von Regulator*innen vor der Genehmigung von klinischen Prüfungen sowie von Investor*innen, Biotech-Firmen und der pharmazeutischen Industrie vor der Lizenzierung oder Akquise von GCT-Produkten. Es ist dringend notwendig, einen konstruktiven Diskurs über die Möglichkeiten, den immer noch frühen Entwicklungsstand und die immer noch mangelnde Akzeptanz von Alternativmodellen zu führen, um einerseits international kompetitiv arbeiten zu können und andererseits die angestrebte Verringerung der Anzahl von Tierversuchen mit den gesetzlichen Anforderungen und Rahmenbedingungen in Einklang zu bringen.

Im Bereich der klinischen Forschung besteht die dringende Notwendigkeit, v. a. GMP/GLP-Regularien zwischen den Bundesländern zu harmonisieren, um einen kohärenten und effizienten Übergang von Forschungsergebnissen in die Klinik und Versorgung zu gewährleisten. Das BMG hat einen neuen Vorschlag für das Medizinforschungsgesetz erarbeitet. Dies beinhaltet zahlreiche Ansätze, die zur „Agilisierung" der klinischen Studienprozesse beitragen sollen und von dieser Arbeitsgruppe inhaltlich befürwortet und unterstützt werden.

Maßnahme 1:
Leichtere Implementierung von GCT-Herstellung und ihrer Translation in frühe klinische Studien

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Nationale Institutionen für Regulatorik klinischer Studien, BfArM, PEI, Bundesministerium und Landesbehörden für Gesundheit

Beschreibung Maßnahme:
Zum Erreichen dieser Ziele ist die Einführung einer vereinfachten, risikobasierten Regulatorik für klinische Studien der Phasen I/IIa (analog zu den USA) in Form eines GMP-Light-Prozesses (auch für seltene und ultraseltene Erkrankungen) und vereinfachter Anforderungen an die präklinischen Daten (non-GLP/Umfang) notwendig. Dies wird detailliert im Handlungsfeld IV angesprochen, in dem unter anderem Themen wie die Harmonisierung von GMP-Regularien auf bundesweiter Ebene sowie Sandbox-Optionen aufgegriffen werden.

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Kurz- bis mittelfristig: Ausarbeitung von bundesweit einheitlichen GMP-Regularien

Erfolgsindikatoren
- Einrichtung einer Kommission aus allen regulatorischen Behörden der Länder zum Zweck der Ausarbeitung eines Entwurfs auf Bundesebene
- Abstimmung unter den regulatorischen Behörden durch Verabschiedung des Entwurfs

Maßnahme 2:
Akzeptanz von Tierversuchen und realistische Einschätzung der Möglichkeiten von Ersatzverfahren

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Bundesministerium für Ernährung und Landwirtschaft, Deutsches Zentrum zum Schutz von Versuchstieren, Bundesinstitut für Risikobewertung, Governancestruktur der Nationalen Strategie

Beschreibung Maßnahme:
Die Strategie der Bundesregierung zur Verringerung der Anzahl von Tierversuchen muss mit objektiven Bewertungen zum technologischen Reifegrad, der Relevanz und der v. a. international mangelnden Akzeptanz von alternativen Testmodellen in Einklang gebracht werden. Anträge zu Tierversuchsverfahren sollten innerhalb der gesetzlich vorgegebenen Frist von 40 Tagen nicht nur bearbeitet, sondern nach einer Revisionsrunde, in der berechtigte Verbesserungsvorschläge und Kritik adressiert werden, auch zur Genehmigung gebracht werden. Diese zentrale Forderung soll in die geplante Novelle des Tierschutzgesetzes (TierSchG) eingebracht werden. Ebenso soll bei der Novellierung eine klare Definition des Begriffs „vernünftiger Grund“ in §1 des TierSchG im Zusammenhang mit der Tötung von Versuchstieren eingebracht werden, da dieser derzeit noch unbestimmt ist und Rechtssicherheit daher nicht gewährleistet werden kann.

Parallel dazu muss die Förderung von Ersatzverfahren für Tierversuche verstärkt werden. Analog zur französischen PEPPER Plattform (https://ed-pepper.eu/en/) sollte im Rahmen einer Zusammenarbeit von Akteuren der öffentlichen Hand und der Industrie eine Plattform entwickelt werden, die die Etablierung und Regulierung von alternativen Testsystemen ermöglicht. Dadurch könnte allen relevanten Akteuren bundesweit Zugang zu präklinischen *In-Vitro*-Ersatzverfahren gewährt werden.

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Kurzfristig: Maßnahmen zur Beschleunigung der Genehmigungen von Tierversuchsanträgen. Klare Definition des Begriffs „vernünftiger Grund“ im Rahmen der Novellierung des TierSchG
- Kurz- bis mittelfristig: Bewertung der derzeitigen Vorgaben in Bezug auf internationale Standards und Vorgaben für Publikationen, klinische Studien und Medikamentenzulassung unter Einbezug aller relevanten Akteure
- Langfristig: Aufbau einer nationalen Plattform für validierte Testsysteme von Alternativen zu Tiermodellen unter Einbezug öffentlicher und privater Einrichtungen

Erfolgsindikatoren
- Novellierung des TierSchG bezüglich Rechtssicherheit und Genehmigungsverfahren
- Verringerung der Bearbeitungszeit zur Genehmigung von Tierversuchsvorhaben von derzeit über 200 Tagen auf 40 Tage
- Zulassung von validierten alternativen *In-Vitro*-Testsystemen mit dem Ziel, eine Verringerung der Anzahl von Tierversuchen zu erreichen
- Einrichtung einer zentralen Beratungs- und Dienstleistungsstelle im Hinblick auf Alternativsysteme für GCT-Akteure

Maßnahme 3:
Erhebung und Bereitstellung von Leistungskennzahlen von Regulator*innen und Aufsichtsbehörden

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
BfArM, PEI, Clinical Trials Coordination Group, AKEK

Beschreibung Maßnahme:
Es besteht derzeit nur ein geringes Maß an Transparenz in Bezug auf quantitative und qualitative Informationen zu Antragsverfahren, die Regulator*innen und Aufsichtsbehörden auf Bundes- und Landesebene im Bereich GCT bearbeiten. Diese Transparenz ist aber ein berechtigtes Interesse der GCT-Stakeholder in Deutschland. Aus diesem Grund sollten Leistungskennzahlen für Regulator*innen und Aufsichtsbehörden eingeführt werden, um so Transparenz und Akzeptanz in Bezug auf die Antragsverfahren zu erhöhen, und einen „Wettbewerb" zur kontinuierlichen Verbesserung der Leistung von Regulator*innen und Aufsichtsbehörden zu schaffen. Gleichzeitig soll allen Akteuren die strategische Planung und Priorisierung von Anträgen und Genehmigungsverfahren ermöglicht werden (und daher mittelfristig zu einer Entlastung der Regulator*innen/Behörden führen, wenn weniger Anträge mit geringer Aussicht auf Genehmigung eingereicht werden). Im internationalen Kontext sollen „positive" Leistungskennzahlen zu einer sichtbaren Erhöhung der Attraktivität des Forschungsstandortes Deutschland führen.

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Kurzfristig: Erfassung quantitativer und qualitativer Informationen zu Antragsverfahren und ihre Veröffentlichung in bestehenden Zentralregistern
- Mittel-/Langfristig: Konstruktiver Diskurs zwischen Regulator*innen und GCT-Gemeinschaft zur Festlegung von Möglichkeiten zur Optimierung von Leistungskennzahlen

Erfolgsindikatoren
- Veröffentlichung der Leistungskennzahlen von mehr als 80% der relevanten Regulator*innen auf Bundes- und Landesebene
- Verbesserung der Leistungskennzahlen im 5-Jahres- und 10-Jahresvergleich
- Positiver Effekt auf die internationale Wahrnehmung des Forschungsstandortes Deutschland durch Leistungskennzahlen im internationalen Vergleich

Maßnahme 4:
Optimierung und Weiterentwicklung von Ethikkommissionen

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
BMG, AKEK, Innovationsbüro PEI, Verband der Universitätskliniken

Beschreibung Maßnahme:
Ein zentrales Element bei der Translation von Forschungsergebnissen in die klinische Anwendung ist die Begutachtung und Genehmigung durch Ethikkommissionen. In den vergangenen Jahren ist dieser Antrags- und Genehmigungsprozess aufgrund langwieriger und komplexer Verfahren und fehlender Harmonisierung zwischen den einzelnen Ethikkommissionen häufig zu einem belastenden Zeitfaktor geworden. Dies wird zunehmend zu einem Standortnachteil. Im Hinblick auf die Beschleunigung der Translation und die Aufrechterhaltung der hohen Qualität, begrüßen wir die im (derzeit noch in der Abstimmung befindlichen) Medizinforschungsgesetz vorgesehene Weiterentwicklung des etablierten Systems mit dem Ziel, die Prozesse zu vereinfachen und zu beschleunigen. Ausgewählte Maßnahmen dafür sind:

- Einführung transparenter und einheitlicher Bewertungsstandards
- Evaluation bestehender Strukturen und Abläufe und Abschaffung widersprüchlicher Praktiken und Prozesse
- Rasche und effektive Einrichtung der im Medizinforschungsgesetz vorgesehenen „Spezialisierten Ethikkommission für besondere Verfahren"

Die strukturelle Umsetzung dieser Maßnahmen sollte in Abstimmung mit allen relevanten Akteuren des bestehenden Systems erfolgen und für eine Weiterentwicklung oder zielgerichtete Neuausrichtung bestehender bzw. für die Etablierung neuer Strukturen offen sein.

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Kurzfristig: Harmonisierung der Standards der einzelnen Ethikkommissionen bzw. rasche Einführung der Spezialisierten Ethikkommissionen für besondere Verfahren.
- Langfristig: Abbau bürokratischer Hürden

Erfolgsindikatoren
- Einheitliche Ethikrichtlinien bezüglich der Translation von Forschungsergebnissen in das klinische Umfeld auf Bundesebene
- Ausarbeitung eines beschleunigten Genehmigungsverfahrens (vergleichbar mit dem Green Deal der EU bezüglich der Arzneimittelzulassung)
- In zwei Jahren Überprüfung der Anzahl genehmigter klinischer GCT-Studien in Deutschland

Strategisches Ziel 4:
Gewährleistung der Einbindung von Patient*innen, Patientenfürsprecher*innen und Patientenorganisationen

Erläuterung Ziel:

In den vergangenen Jahren hat es bedeutende Fortschritte im Hinblick auf die Beteiligung von Patient*innen und die Einbeziehung von Patientenorganisationen in die Entwicklung und den Einsatz von GCT gegeben. Ein wichtiger Faktor ist dabei auch, dass Patient*innen, die von innovativen GCT profitiert haben, ihre „Erfolgsgeschichte" in die Öffentlichkeit getragen haben (Beispiel: Emily Whitehead – CD19 CAR-T). Dadurch erhöht sich die Akzeptanz in der Öffentlichkeit, aber auch die Relevanz von klinischen Produkten und Studien. Gegenwärtig wird die Kommunikation zwischen Forschenden, Ärzt*innen und Patient*innen noch durch verschiedene Barrieren erschwert. Sowohl in der Wissenschaft als auch bei Patientenvertreter*innen fehlen in einigen Fällen bestimmte Kompetenzen und Ressourcen, um eine optimale Kommunikation und Zusammenarbeit zu gewährleisten.

Ziel sollte es sein, Patient*innen stärker proaktiv aber auch fokussiert an bestimmten Knotenpunkten der präklinischen und klinischen Entwicklung einzubeziehen und dadurch einen Mehrwert im Rahmen der Grundsätze von Wissenschaftlichkeit, Wirtschaftlichkeit und Akzeptanz bei der Entwicklung von GCT zu schaffen.

Patientenvertretungen können eine hilfreiche Bezugsgruppe für die Priorisierung von Fördermitteln und bei der Erkennung von Zukunftsfeldern oder der Rekrutierung von Proband*innen darstellen. Denkbar wäre auch die Einbeziehung in die Analyse und Bewertung von Studienergebnissen. Daher sollten alle Beteiligten eine integrative Zusammenarbeit anstreben, um Synergien zu schaffen und Potenziale auszuschöpfen. Eine Beteiligung von Gruppen von Patient*innen und Patientenvertreter*innen erfordert, insbesondere in großen Verbundprojekten, teilweise einen erheblichen Anteil der Fördersumme, um z. B. den zeitlichen Aufwand, die Reisekosten und Fortbildungsmaßnahmen zu decken. Dieser Aspekt muss durch Förderinstrumente berücksichtigt werden, damit alle Akteure den Anforderungen gerecht werden können.

Maßnahme 1:
Festlegung von Standards für Projektbudgets und die Vergütung von Patientenvertreter*innen

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
BundesArbeitsGemeinschaft der Patientenstellen und -Initiativen, Deutsche Arbeitsgemeinschaft Selbsthilfegruppen e.V., ACHSE, Deutsche Krebshilfe

Beschreibung Maßnahme:
Die Festlegung von Standards für Projektbudgets und die Vergütung von Patientenvertreter*innen sollte angestrebt werden, um eine entsprechende Berücksichtigung bei der Projektförderung sicherzustellen. Außerdem ist eine Klassifizierung von Patientenorganisationen in Non-Profit- und Pro-Profit-Organisationen sinnvoll, um sowohl Budgets als auch zeitliche Ressourcen optimal und verhältnismäßig einteilen zu können. Dies könnte z. B. in Form eines Patientenorganisationsregisters erfolgen, um geeignete Fördermodelle und Finanzierungen bereitstellen zu können. Die Bedürfnisse der beiden Organisationstypen können sich stark unterscheiden: z. B. bei dem Bedarf einer reinen Aufwandsentschädigung oder einer vollen Kostendeckung für einzustellendes Personal bis hin zu jeweiligen Honoraren. In Abhängigkeit der Förderformate können Organisationen entweder nicht den bürokratischen Aufwand aufwenden (non-profit) oder könnten formal nicht förderberechtigt sein (for-profit).

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Kurzfristig: Einrichtung eines Runden Tisches mit allen Stakeholdern zur Diskussion von Vergütungsmodellen für Patientenorganisationen
- Mittelfristig: Implementierung der Vergütungsmodelle bei öffentlichen und industriellen GCT-Projekten
- Mittelfristig: Etablierung eines nationalen Registers für Patientenorganisationen im Bereich GCT

Erfolgsindikatoren

- Vergütungsmodelle werden in mehr als 80 % der GCT-Projekte mit Beteiligung von Patientenorganisationen angewendet (in 5 Jahren)
- Die Anzahl von GCT-Projekten, bei denen Patientenorganisationen beteiligt sind, wird im Vergleich zu 2024 um 25 % gesteigert (in 5 Jahren)

Maßnahme 2:
Entwicklung spezifischer Interaktionskonzepte

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Relevante Patientenorganisationen für GCT z. B. DKH, Deutsche Krankenhausgesellschaft, Krebsinformationsdienst des Deutschen Krebsforschungszentrums etc.

Beschreibung Maßnahme:
Die Entwicklung und Umsetzung verbesserter spezifischer Interaktionskonzepte zwischen allen Beteiligten sollen dazu beitragen, die oben genannten Barrieren zu überwinden. Eine direkte Interaktionsmöglichkeit zwischen Patient*innen, deren Vertretungsorganisation sowie Forschenden als auch Ärzt*innen wäre eine Teilnahme an wissenschaftlichen Konferenzen, auf denen in Form von Podiumsdiskussionen und Vortragsreihen die Zusammenarbeit aller Akteure gestärkt werden könnte. Bei dieser Form der Zusammenarbeit können sämtliche Schritte der Entwicklung einer GCT dargelegt und diskutiert werden. Jeder GCT-Behandlungseinrichtung wird einer Koordinatorin oder ein Koordinator für Patientenbeteiligung/Stakeholdermanagement zugeordnet, die oder der sich um die Umsetzung des Interaktionskonzeptes kümmert.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Mittel-/Langfristig: Etablierung einer universellen Kommunikationsplattform zur Interaktion von Forschenden, Ärzt*innen, Patientenorganisation und Patient*innen
- Mittelfristig: Personalmittel für Koordinator*innen für Patientenbeteiligung

Erfolgsindikatoren

- Bedside-to-Bench-Evaluation von Ergebnissen aus klinischen Studien
- Schaffung von Stellen zum Patient-Stakeholder-Engagement als Schnittstellen in der Zusammenarbeit zwischen Patient*innen und Patientenvertretenden einerseits und Forscher*innen, Mediziner*innen andererseits

Strategisches Ziel 5:
Mentalitätswandel und Verstärkung des bioentrepreneurial Spirit in der deutschen GCT-Gemeinschaft

Erläuterung Ziel:
Um die Fundamente für eine erfolgreiche und international wettbewerbsfähige Entwicklung von GCT zu legen, ist es notwendig, die exzellente Ausbildung in den monodisziplinären Wissenschaften zu erhalten, aber auch neue Möglichkeiten einer interdisziplinären Ausbildung in den für GCT relevanten Disziplinen zu schaffen. Sowohl US-amerikanische als auch britische Universitäten bieten Studiengänge an, die eine ganzheitliche Sicht vermitteln und Themen wie Kommerzialisierung, Regulatorik oder Risikokapitalfinanzierung beinhalten. Eine mögliche Lösung im Hinblick auf Themen wie Patentschutz, Technologietransfer und Kommerzialisierung bestünde in einer stärkeren Einbindung dieser Thematik in die Ausbildung von Nachwuchswissenschaftler*innen. Das Grundprinzip, dass eine Erfindung oder Entdeckung erst dann als Innovation bezeichnet werden kann, wenn sie allen betroffenen Patient*innen als fertig zugelassenes Produkt (zum Beispiel in Form einer Therapie) für die Gesundheitsversorgung zur Verfügung steht, muss Allgemeingedanke aller Forschenden sein. Dies soll die Förderung einer neuen Generation von Bioentrepeneuren unterstützen. Dabei können auch Inhalte fachfremder Disziplinen, also z. B. Themen wie Künstliche Intelligenz oder moderne Kommunikationsmedien, in den Vordergrund rücken. Bei dieser Art der Ausbildung wird ein Mentalitätswandel ein entscheidender Schritt sein müssen, um bessere Rahmenbedingungen für die Translation von GCT-Forschungsergebnissen zu schaffen. Dies beinhaltet eine Optimierung der akademischen

Anreizsysteme und eine Abkehr von traditionellen Denkmustern hin zu einer Kultur der Zusammenarbeit von GCT-Akteuren aus dem öffentlichen und dem industriellen Sektor, der Innovationsfreudigkeit und Risikobereitschaft fördert, aber auch Resilienz und Durchhaltevermögen vermittelt (nicht jedes GCT-Produkt und nicht jedes Start-up schaffen es bis zum Markt). Die Förderung von unternehmerischem Denken in der Wissenschaft, die Bereitschaft zu interdisziplinärer Zusammenarbeit und die Akzeptanz von Risiken sind entscheidende Faktoren für die Beschleunigung des Übergangs von der Forschung zur Anwendung.

Maßnahme 1:
Förderung des für GCT notwendigen Mentalitätswandels

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
BMBF, Landesbehörden für Bildung, Governancestruktur der Nationalen Strategie, Verbund der deutschen Hochschulen, Verband der Universitätsklinika Deuschlands

Beschreibung Maßnahme:
Die Förderung des beschriebenen Mentalitätswandels hin zu einem verstärkten ganzheitlichen Denken und einem bioentrepreneurial Spirit erfordert ein breites Spektrum an umzusetzenden Maßnahmen:

a. Entwicklung von innovativen Ausbildungskonzepten z. B. in Form einer School for Gene and Cell Therapy, in der nationale Expert*innen aus allen Bereichen Wissenschaftler*innen und Kliniker*innen ausbilden, analog zu bereits bestehenden Spring Schools (siehe detailliertere Beschreibung im Handlungsfeld II, strategisches Ziel 1, Maßnahme 2)
b. Verstärkte Etablierung interdisziplinärer Weiterbildungsprogramme, z. B. Clinician Scientists, Medical Scientists und Translational Scientists, welche die Vernetzung von unterschiedlichen Teilbereichen im Rahmen der Entwicklung von GCT fördern (siehe detailliertere Beschreibung im Handlungsfeld II, strategisches Ziel 2, Maßnahme 2)
c. Optimierung von akademischen Anreizsystemen durch Anerkennung der Durchführung klinischer Studien, von Patentanmeldungen oder Firmengründungen in der akademischen Laufbahn und als Forschungsleistung durch Anpassungen in Promotions- und Habilitationsordnungen sowie Tenure-Track-Programmen (siehe detailliertere Beschreibungen in Handlungsfeld II, strategisches Ziel 2, Maßnahme 1 und Handlungsfeld III, strategisches Ziel 4, Maßnahme 1)
d. Intensivierung des direkten Austauschs zwischen akademischer Forschung und Industrie sowie VC, um auf diese Weise die Entstehung innovativer Konzepte, Projekte und Ausgründungen zu unterstützen (z. B. durch Businessplan-Wettbewerbe, Bioentrepreneur Bootcamps, öffentliche Wertschätzung und Sichtbarkeit (s. a. Deutscher Zukunftspreis)) (siehe detailliertere Beschreibung im Handlungsfeld I, strategisches Ziel 4, Maßnahme 5)

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Kurzfristig: Entwicklung eines Curriculums für die School for Gene and Cell Therapy; Aufsetzen von Förderprogrammen für Medical Scientists und Translational Scientists
- Kurz-/Mittelfristig: Anerkennung der Durchführung klinischer Studien, Patentanmeldungen und Firmengründungen in der akademischen Laufbahn und als Forschungsleistung
- Kurz-/Mittelfristig: Implementierung von Austauschformaten zwischen Akademie, Industrie und VC

Erfolgsindikatoren
- Mehr als 250 Absolvent*innen der School for Gene and Cell Therapy (in 5 Jahren)
- Die Durchführung klinischer Studien, Patentanmeldungen und Firmengründungen sind in der akademischen Laufbahn an mehr als 80% der deutschen Universitäten anerkannt (in 5 Jahren)
- Jährliches GCT-Bootcamp mit Akteuren aus Akademie, Industrie/VC mit mehr als 100 Teilnehmer*innen (in 3 Jahren)

Maßnahme 2:
Karriereaussichten und Zielpositionen für Naturwissenschaftler*innen als Bioentrepreneure im öffentlichen Sektor

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
BMBF, Verbund der deutschen Hochschulen, Verband der Universitätsklinika Deuschlands

Beschreibung Maßnahme:
Im öffentlichen Sektor spielen Naturwissenschaftler*innen als Medical Scientists oft die entscheidende Rolle bei der Konzeption und der frühen präklinischen Entwicklung von innovativen GCT. Für die klinische Translation und die Vorbereitung bzw. die Begleitung des Transfers zu Biotech-Firmen und anderen Akteuren aus der Industrie braucht es einen „langen Atem", spezifische „unternehmerische" Kenntnisse und den Mut, Projekte und Aufgaben anzugehen, die nicht mit den klassischen akademischen Leistungen von Drittmitteleinwerbungen und Impactpunkten honoriert werden. Denjenigen Medical Scientists, die bereit sind GCT-Projekte in der Translation und dem Transfer zu begleiten, müssen Karriereaussichten und sichere Zielpositionen v. a. im öffentlichen Sektor aufgezeigt werden. In diesem Zusammenhang bedarf die aktuelle Fassung des WissZeitVG einer konstruktiven Neubewertung und Anpassung. In seiner jetzigen Form schafft es eher ungünstige Rahmenbedingungen für Forschende und birgt die reale Gefahr der Abwanderung von Medical Scientists aus dem GCT-Sektor bzw. ins Ausland. Eine Reform des WissZeitVG muss Dauerstellen für Daueraufgaben schaffen, da insbesondere translationale Projekte für den akademischen Karriereweg von Medical Scientist nicht förderlich sind. Auch sollten Wechsel zwischen Akademie (öffentlich) und Start-ups/Biotech-Firmen (Industrie) vereinfacht und gefördert werden, um Erfahrungen aus beiden Bereichen in erfolgreichen Projekten bündeln zu können. Wir plädieren für eine Stärkung des akademischen Mittelbaus, um eine nachhaltige Ausbildung von Nachwuchswissenschaftler*innen gewährleisten zu können und das Innovationspotenzial des Forschungs- & Entwicklungsstandortes Deutschland zu sichern.

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Kurzfristig: Als „Erweiterung" des WissZeitVG sollte eine höhere Verstetigung von Positionen an Hochschulen und Universitätskliniken mit geeigneter Finanzierung durch Bund und Länder erfolgen
- Kurz-/Mittelfristig: Schaffung von Senior-/Staff-Scientist-Positionen, v. a. an universitären und außeruniversitären Forschungseinrichtungen

Erfolgsindikatoren
- Erhöhung der Fachkräfte in der akademischen Forschung mit einem dauerhaften Vertrag im Bereich GCT um mehr als 20 % (in 5 Jahren im Vergleich zu 2024)
- Erhöhung der Medical Scientists an akademischen GCT-Forschungseinrichtungen mit mehr als einjähriger Industrieerfahrung um mehr als 20 % (in 5 Jahren im Vergleich zu 2024)

Handlungsfeld VII: Marktzulassung und Übergang in die Versorgung

Zusammenfassung

Der rechtzeitige Zugang zu einer hochqualitativen Versorgung mit GCT bedeutet für viele schwerstkranke Patient*innen eine Verbesserung der Lebensqualität, des Gesundheitsstatus oder sogar erstmalige Behandlungsmöglichkeiten. Die mit der Zulassung und Anwendung dieser neuen Arzneimittel verbundenen Herausforderungen erfordern Anpassungen an existierende Vorgaben und wo nötig Schaffung neuer Strukturen und Instrumente. Im Vordergrund stehen dabei folgende Maßnahmen:

1. **Den Patient*innen einen zügigen Zugang zur kompetenten Versorgung bezüglich der Diagnosestellung sowohl zur Ermöglichung des Beginns der Behandlung, als auch im Verlauf zur Begleitung des Therapieerfolges von GCT erleichtern.**
   - **a.** Entwicklung und Umsetzung von Fort- und Weiterbildungskonzepten zur optimalen GCT-Zugangs- und -Verlaufsdiagnostik
   - **b.** Verankerung interdisziplinärer Therapieentscheidungs-Boards als Goldstandard in der GCT-Diagnostik.
   - **c.** Erstellung von bundesweit einheitlichen Qualifikationskriterien, Standards und Referenzdatensätzen für die entsprechende GCT Zugangs- und Verlaufsdiagnostik.

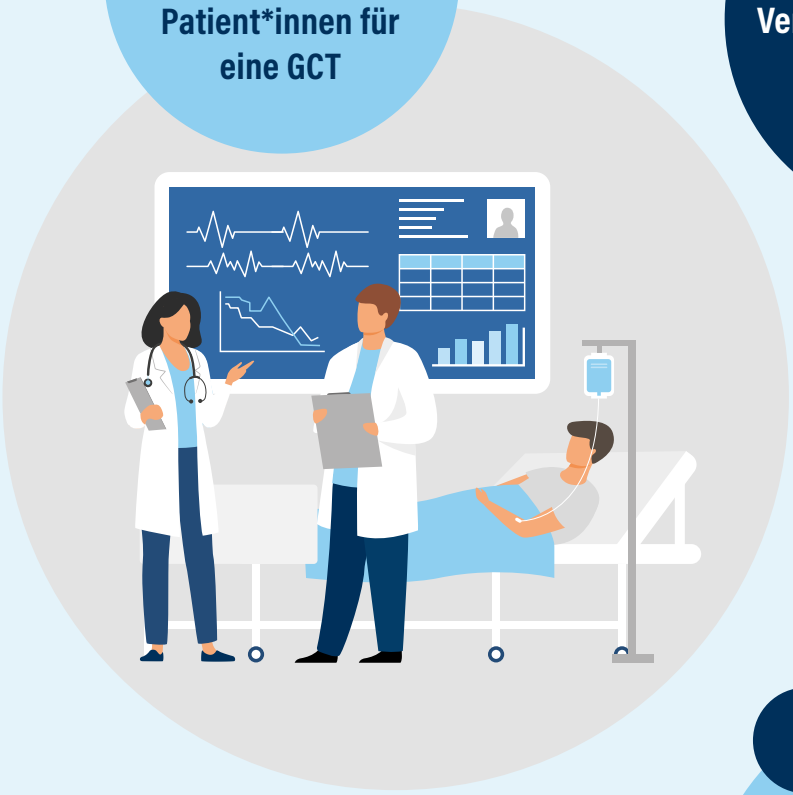
2. **Flexibilisierung von Erstattungs- und Versorgungsmodellen in der Anwendung von GCT und dabei Stärkung des Forschungs- und Behandlungsstandorts Deutschland als innovationsfreundlich bei hoher Qualität der Versorgung von Patient*innen mit effizienten und bestmöglichen Therapien durch Weiterentwicklung des Arzneimittelmarktneuordnungsgesetzes (AMNOGs) und der Versorgungsvergütung.**
   - **a.** Für die therapeutischen Entwicklungen im Bereich der GCT ist es wichtig, im AMNOG-Prozess die notwendige Flexibilität in der Nutzenbewertung und Preisbildung zu ermöglichen, um den Zugang und die Verfügbarkeit dieser wichtigen Therapien für Patient*innen aufrecht zu erhalten
   - **b.** Auf der Ebene der Versorgung steht die Gewährleistung der Qualitätssicherung bei der Diagnostik und Behandlung der Patient*innen im Vordergrund und bedarf einer Anpassung von Vergütungsmodellen

3. **Qualitativ hochwertige, sichere und effiziente Behandlung der Patient*innen mit innovativen Therapien durch die Etablierung von interdisziplinären GCT-Behandlungseinrichtungen.**
   Hierbei ist die Etablierung einer engen strukturellen Interaktion von Forschung und Versorgung, die Verschlankung der Prozesse der Qualifizierung und Zertifizierung der Behandlungseinrichtungen sowie der Prozesse der Vertragsgestaltung zwischen Behandlungseinrichtungen und Hersteller wichtig. Außerdem sollten eine reibungslose Zuweisung und Kommunikation zwischen den Behandelnden sichergestellt werden.

4. **Optimierung und Etablierung der Datenlandschaft zum Zwecke der vielseitigen Nutzbarkeit von Daten aus der Behandlung von Patient*innen in der Forschung und Nachverfolgung von Langzeitdaten auch im Sinne der Wirksamkeit und Nebenwirkungen von GCT.**
   Hierbei sollte die Erfassung und Dokumentation von Anwendungsdaten standardisiert und die Verstetigung eines methodenspezifischen nationalen GCT-Registers zum Ziel gemacht werden.

1

Erleichterter Zugang zu und gezielte Auswahl von Patient*innen für eine GCT



2

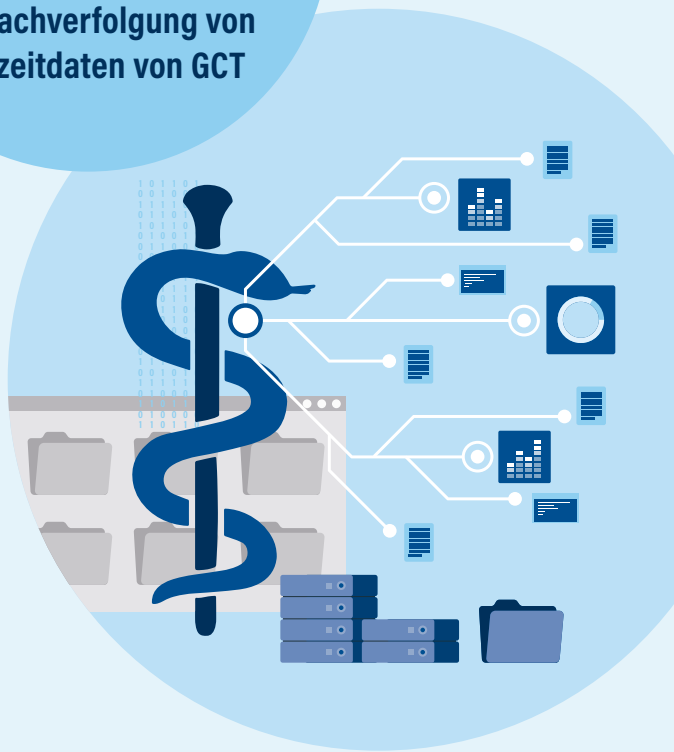
Flexibilisierung von Erstattungs- und Versorgungsmodellen in der Anwendung von GCT

3

Qualitativ hochwertige, sichere und effiziente Behandlung der Patient*innen mit innovativen Therapien durch die Etablierung von interdisziplinären GCT-Behandlungseinrichtungen

4

Optimierung und Etablierung der Datenlandschaft zum Zwecke der vielseitigen Nutzbarkeit in der Forschung und Nachverfolgung von Langzeitdaten von GCT



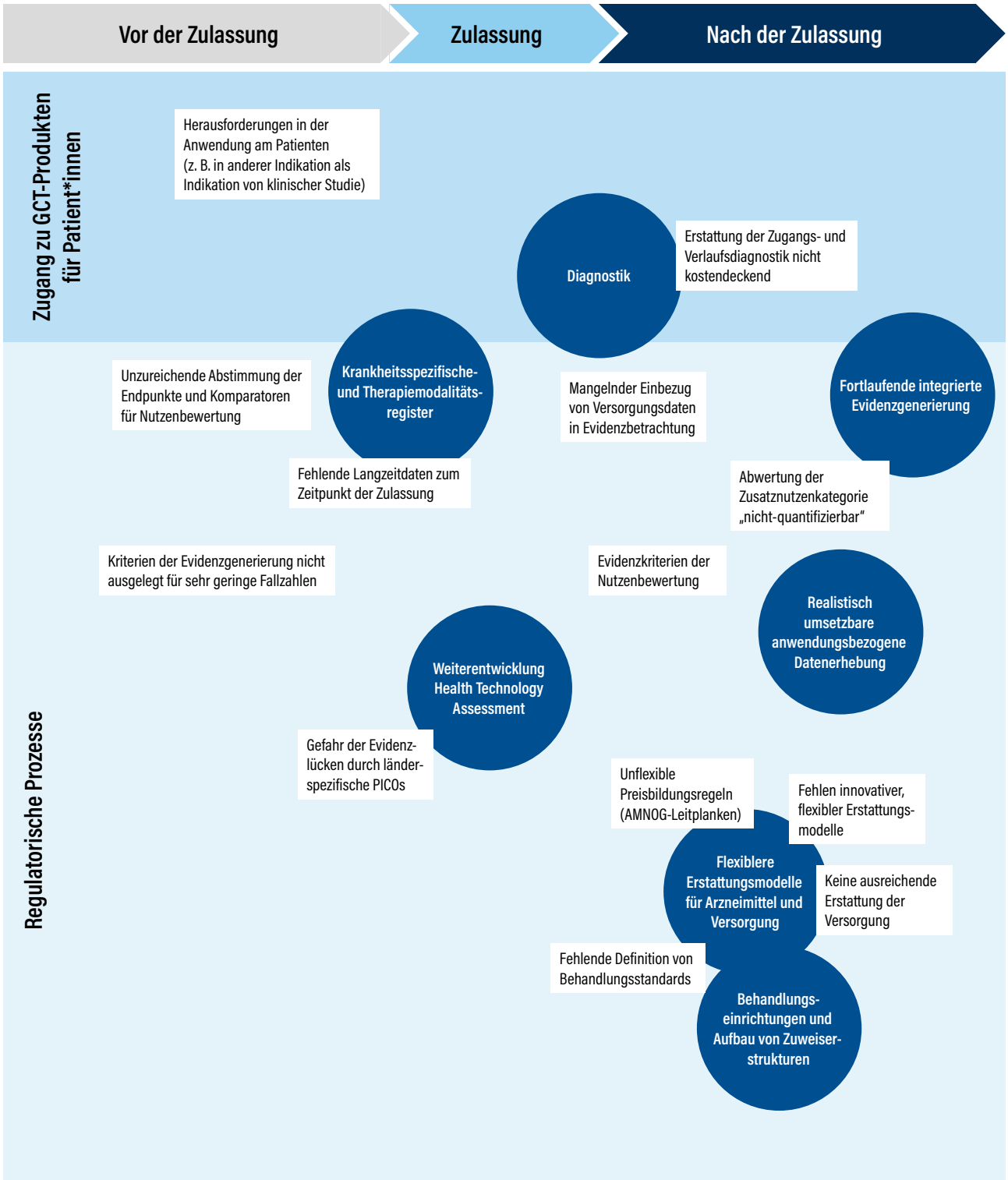


Abbildung 2: **Hindernisse für GCT beim Übergang in die Versorgung.** Darstellung zu adressierender Herausforderungen (vor der Zulassung, im Rahmen des Zulassungsprozesses, nach der Zulassung) im Hinblick auf den Zugang für Patient*innen sowie bezüglich regulatorischer Prozesse

Hintergrund

Gen- und zellbasierte Therapien (GCT; sowohl ATMP als auch RNA-Therapien) bieten neue Chancen für schwerstkranke Patient*innen in der medizinischen Versorgung. Sie umfassen innovative und komplexe Technologien, die besonderen Herausforderungen im Rahmen des Zulassungsprozesses sowie in der Phase des Übergangs in die Versorgung nach der Zulassung bei der Diagnostik und Behandlung unterliegen (siehe Abbildung 2).

Daher umfasst dieses Handlungsfeld den gesamten Prozess von der Zugangs- und Begleitdiagnostik über den ungehinderten Zugang von Patient*innen zu qualitativ hochwertigen, sicheren und effizienten Behandlungen mit GCT bis hin zur nachhaltigen Verlaufsdiagnostik und zukunftsorientierten fortlaufenden Evidenzgenerierung, um die langfristige Wirksamkeit und Qualität der Anwendung von GCT zu gewährleisten.

Die in diesem Handlungsfeld betrachteten strategischen Ziele und konkreten Maßnahmen umfassen das ganze Spektrum der durch GCT adressierbaren Krankheitsentitäten von Tumorerkrankungen bis hin zu seltenen und ultraseltenen Erkrankungen.

Strategische Ziele

1. Erleichterter Zugang zu und gezielte Auswahl von Patient*innen für eine GCT
2. Flexibilisierung von Erstattungs- und Versorgungsmodellen in der Anwendung von GCT
3. Qualitativ hochwertige, sichere und effiziente Behandlung der Patient*innen mit innovativen Therapien durch die Etablierung von interdisziplinären GCT-Behandlungseinrichtungen
4. Optimierung und Etablierung der Datenlandschaft zum Zwecke der vielseitigen Nutzbarkeit in der Forschung und Nachverfolgung von Langzeitdaten von GCT

Strategisches Ziel 1:
Erleichterter Zugang zu und gezielte Auswahl von Patient*innen für eine GCT

Erläuterung Ziel:
Eine der wichtigsten Voraussetzungen für den Erfolg der Behandlung mit GCT ist eine schnelle und sichere Diagnostik, die den raschen Beginn einer Behandlung ermöglicht und im Verlauf den Therapieerfolg begleitet. Innovative multimodale Diagnostik ermöglicht das Identifizieren und Stratifizieren von geeigneten Patient*innen für den Zugang zu GCT. Vor, während und nach einer therapeutischen Maßnahme ist der Einsatz von umfassender, spezieller und zum Teil patientenspezifischer Diagnostik notwendig, um Behandlungserfolge zu ermöglichen und zu überwachen sowie mögliche unerwünschte Wirkungen zu erkennen. Der vollumfängliche sektorenübergreifende Zugang zu Diagnostik und eine verbindliche bundeseinheitliche Vergütung sind dabei zu gewährleisten.

Maßnahme 1:
Entwicklung und Umsetzung von Fort- und Weiterbildungskonzepten zur optimalen Diagnostik für das Identifizieren und Stratifizieren von Patient*innen sowie das Monitoring des Behandlungsverlaufs für Einrichtungen der Regelversorgung

Zur Umsetzung benötigte Stakeholder:
GCT-Behandlungseinrichtungen, Bundes- und Landesärztekammern, G-BA

Beschreibung Maßnahme:
Diagnostische und klinische Einrichtungen der Regelversorgung sind für zwei wichtige Anliegen essenziell:

1. die Identifikation (u. a. Screening) und Stratifizierung von geeigneten Patient*innen für GCT im Rahmen der diagnostischen Regelversorgung und
2. das vorrangig klinische Monitoring des Behandlungsverlaufs und die basale klinische und laborchemische Diagnostik

Um dieser Aufgabe entsprechend dem Stand des Wissens und der sich entwickelnden GCT-Zugangssituation gerecht werden zu können, müssen in diesen Behandlungseinrichtungen spezifische Fortbildungen erfolgen.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Fort- und Weiterbildungen für die Behandlungseinrichtungen der diagnostischen und klinischen Regelversorgung müssen entwickelt und angeboten werden – unter der Verantwortung dieser Einrichtungen
- Inhalt der Fortbildungen sind
  - Die standardisierte Identifikation und Stratifizierung von geeigneten Patient*innen für GCT und
  - Die standardisierte Durchführung und Erfassung der GCT Verlaufsdiagnostik

- Die Qualitätssicherung sollte durch die Bundes- und Landesärztekammern im Rahmen der ärztlichen Fortbildung übernommen werden
- Die durch die Fortbildungen entstehenden Kosten können im Rahmen der G-BA-Zentrumsregelung für u. a. onkologische Zentren und Zentren für Seltene Erkrankungen gedeckt werden

Erfolgsindikatoren

- Anzahl der fortgebildeten diagnostischen Einrichtungen der Regelversorgung
- Anzahl der in die Fortbildung aufgenommenen GCT
- Prozentsatz der fortgebildeten Behandlungseinrichtungen, die die entsprechende GCT-Diagnostik in hoher Qualität durchführen

Maßnahme 2:
Verankerung interdisziplinärer Therapieentscheidungs-Boards in der GCT-Diagnostik

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
GCT-Behandlungseinrichtungen

Beschreibung Maßnahme:
Dass die Indikation zu Zwecken einer onkologischen ATMP-Behandlung im Rahmen interdisziplinärer Tumorkonferenzen gestellt wird, wird im §5 Absatz 1 der Anlage I der Richtlinie zu Anforderungen an die Qualität der Anwendung von Arzneimitteln für neuartige Therapien gemäß § 136a Absatz 5 Sozialgesetzbuch Fünftes Buch (SGB V) bereits gefordert. Empfohlen werden die Umbenennung in „interdisziplinäre Therapieentscheidungs-Boards“ und deren Einführung als Goldstandard für die GCT-Indikationsstellung sowie die Überführung der Vorgabe in den allgemeinen Teil der ATMP-Qualitätssicherungs-Richtlinie des G-BA bzw. in vergleichbare Richtlinien für andere und insofern auch nicht-ATMP-bezogene GCT. Damit wird eine Qualitätssicherung der diagnostischen Zugangs- und Qualifikationskriterien der jeweiligen GCT für die in Frage kommenden Patient*innen erreicht. Diese Boards werden auch mit der Lösung auftretender Probleme im Rahmen der Verlaufsdiagnostik beauftragt, um Entscheidungen zum Stopp bzw. Weiterführen von GCT-Behandlungen zu fällen.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Förderung von Modellprojekten, die die Zusammensetzung und Vergütung von interdisziplinären Therapieentscheidungs-Boards in GCT-Behandlungseinrichtungen (insbesondere auch für nicht-zulassungsfähige GCT) pilotieren und in Hinsicht auf die Einführung in der Regelversorgung evaluieren
- Für die Modellprojekte inklusive ihrer Evaluierung – beispielsweise im Rahmen des Innovationsfonds oder einer möglichen Projektförderung durch das BMBF – ist pro Projekt ein Bedarf von etwa einer Million Euro einzuplanen

Erfolgsindikatoren

- Anzahl der interdisziplinären Therapieentscheidungs-Boards in GCT-Behandlungseinrichtungen für die unterschiedlichen GCT-Modalitäten

Maßnahme 3:
Erstellung von bundesweit einheitlichen Qualifikationskriterien und Standards für die entsprechende GCT-Zugangs- und -Verlaufsdiagnostik

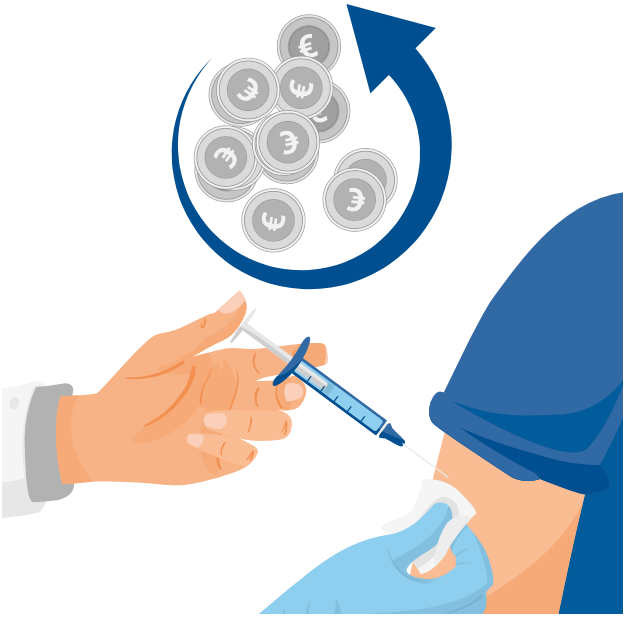
Zur Umsetzung notwendige Akteure:
G-BA, Fachgesellschaften, Kostenträger, GCT-Behandlungseinrichtungen, Patientenorganisationen und GCT-Inverkehrbringer)

Beschreibung Maßnahme:
Durch den G-BA koordiniert und unter Beteiligung der Fachgesellschaften, Kostenträger, GCT-Behandlungseinrichtungen, Patientenorganisationen und GCT-Inverkehrbringer sollte Folgendes erstellt werden:

1. Qualifikationskriterien und Standards für die entsprechende GCT-Zugangsdiagnostik und
2. Referenzdatensätze und Standards für Diagnostik im Erkrankungs- und Behandlungsverlauf

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Finanzierung und Koordinierung des Abstimmungsprozesses zur Erstellung dieser Standards ist durch die Selbstverwaltung zu klären

Erfolgsindikatoren
- Vorhandensein zugangs- und verlaufsdiagnostischer Qualifikationskriterien und Standards für zugelassene/zulassungsfähige GCT und nicht-zulassungsfähige GCT



Strategisches Ziel 2:
Flexibilisierung von Erstattungs- und Versorgungsmodellen in der Anwendung von GCT

Erläuterung Ziel:
Innovationsfreundliche Stärkung des Forschungs- und Behandlungsstandorts Deutschland bei hoher Qualität der Versorgung von Patient*innen mit effizienten und bestmöglichen Therapien durch Weiterentwicklung des AMNOGs und der Versorgungsvergütung. Aufgrund der Besonderheiten von GCT (beispielsweise durch die teilweise einmalige Anwendung mit einer potenziell sehr lang andauernden Wirksamkeit) sollte das AMNOG weiterentwickelt werden (sowohl bei der Zusatznutzenbewertung als auch bei der Schaffung von Verhandlungsspielräumen im Rahmen der anschließenden Preisverhandlung). Darüber hinaus können zum Zeitpunkt des Markteintritts fehlende Langzeitdaten über eine neue, vielseitig nutzbare Datenlandschaft geschaffen werden (z. B. Therapiemodalitäts- bzw. krankheitsspezifische Register, telemedizinische Plattformen mit Remote-Erhebung von patientenzentrierten Endpunkten). Bei der Anwendung der Therapie ist des Weiteren die Neuentwicklung von Vergütungsmodellen von GCT erforderlich, die die Versorgungsaufwände (Diagnose, Verlaufsmonitoring, Dokumentation in den erforderlichen Registern etc.) für die Behandlungseinrichtungen abbilden.

Maßnahme 1:
Berücksichtigung der bestverfügbaren Evidenz im Rahmen der Zusatznutzenbewertung

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Gesetzgeber (BMG)

Beschreibung Maßnahme:
Das therapeutische Paradigma der Einmaltherapie, das in vielen Fällen eine langanhaltende Wirksamkeit bei einer ansonsten dauerhaft zu behandelnden Erkrankung erwarten lässt, erfordert eine Flexibilisierung der notwendigen Evidenzkriterien im Sinne der bestmöglichen Evidenz. Bei einer AMNOG-Nutzenbewertung muss routinemäßig festgestellt werden, ob es unmöglich oder unangemessen ist, Studien der höchsten Evidenzstufe durchzuführen oder zu fordern bzw. ob diese Evidenzstufe eventuell bereits vorliegt. Dabei werden Kriterien verwendet, die die Besonderheiten der Therapiesituationen und Versorgung abbilden, insbesondere den ungedeckten medizinischen Bedarf von Patient*innen, den Schweregrad der Erkrankung und die Größe der Zielpopulation. Im rechtlichen Rahmen der AMNOG-Nutzenbewertung wird in der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung (AM-NutzenV) schon anerkannt, dass es Therapiesituationen gibt, in denen es „unmöglich oder unangemessen ist, Studien höchster Evidenzstufe durchzuführen oder zu fordern". In diesem Falle sind „Nachweise der bestverfügbaren Evidenzstufe einzureichen". Dies wird jedoch bisher noch nicht konsequent umgesetzt. Die Voraussetzungen für die adäquate Berücksichtigung von besonderen Therapiesituationen sind bereits gegeben und erfordern, dass die eingereichten Studien auch herangezogen werden (müssen). Dies sollte in der AM-NutzenV vom Gesetzgeber klargestellt werden.

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Kurzfristig (1 Jahr): Anpassung der rechtlichen Rahmenbedingungen sowie der untergesetzlichen Ausführungsverordnungen (AM-NutzenV; Verfahrensordnung, VerfO)
- Keine zusätzlichen Ressourcen nötig

Erfolgsindikatoren
- Als Grundlage der Nutzenbewertung dienen bei möglichst frühzeitiger Prüfung unter Einbindung der Zulassungsbehörden sowie der Sachverständigen aus Wissenschaft und Praxis Erkenntnisse aus der bestverfügbaren Evidenz bei der Arzneimittelentwicklung und der wissenschaftlichen Beratung im Rahmen der Zulassung

Maßnahme 2:
Anpassung der Kriterien für die Berücksichtigung versorgungsnaher Daten bei der Nutzenbewertung

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Gesetzgeber, G-BA

Beschreibung Maßnahme:
Die Evidenz aus Versorgungsdaten spielt in Zulassungsverfahren der EMA und der FDA sowie in Health Technology Assessment (HTA-) Prozessen vieler Länder eine immer größere Rolle. Diese Entwicklung beschleunigt sich durch die wachsende Dateninfrastruktur in vielen Ländern, darunter auch Deutschland. Ziel sollte sein, die Möglichkeiten zur Evidenzgewinnung auch in Deutschland in Gänze einzubeziehen. Die diesbezüglich bestehenden Nachweisanforderungen an eine anwendungsbegleitende Datenerhebung (AbD) sind unverhältnismäßig hoch. Die konkrete Definition und Operationalisierung zentraler Studienaspekte wie die Anzahl der zu rekrutierenden Patient*innen, die Ein- und Ausschlusskriterien, die Endpunkte und deren erwartete Erhebungszeitpunkte, Confounder (Störgrößen) und Adjustierungsverfahren sowie der methodische Umgang mit Vorbehandlungen und Therapiewechseln müssen so ausgestaltet werden, dass eine bestverfügbare Evidenz aus der klinischen Routine gewonnen werden kann. Die Angemessenheit und Realisierbarkeit einer AbD müssen bereits im ersten Verfahrensabschnitt und noch vor Beauflagung unter Einbindung der Fachkreise und des betroffenen Unternehmens beurteilt werden. Sollten im Prozessverlauf Limitationen festgestellt werden, sind diese zu würdigen und spätestens mit dem finalen G-BA-Beschluss zur Durchführung einer AbD zu dokumentieren.

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Kurzfristig (1 Jahr): Anpassung der rechtlichen Rahmenbedingungen sowie der untergesetzlichen Ausführungsverordnungen (AM-NutzenV; VerfO)
- Keine zusätzlichen Ressourcen nötig

Erfolgsindikatoren
- Anwendung der AbD in geeigneten Einzelfällen gemäß der gesetzlichen Intention
- Anzahl und Umfang weiterer im HTA-Kontext genutzter versorgungsnaher Datenquellen
- Zeitnaher, vielseitig nutzbarer und gleichberechtigter Zugang zum Datenpool des Forschungsdatenzentrums (FDZ) beim BfArM sowie die Berücksichtigung dieser Daten im Rahmen der Nutzenbewertung

Maßnahme 3:
Konkretisierung der nutzenbasierten Preisbildung

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Gesetzgeber

Beschreibung Maßnahme:
Insbesondere unter Berücksichtigung der methodischen Besonderheiten für GCT stellen die im Rahmen des Gesetzliche Krankenversicherung-Finanzstabilisierungsgesetzes eingeführten Preisbildungsregeln, die sogenannten „Leitplanken", ein Risiko hinsichtlich der Verfügbarkeit von GCT für die Patient*innen in Deutschland dar. Der Erstattungsbetrag für Arzneimittel mit nicht-quantifizierbarem oder geringem Zusatznutzen darf in bestimmten Konstellationen das Kostenniveau der wirtschaftlichsten zweckmäßigen Vergleichstherapie nicht überschreiten, obwohl in beiden Fällen (gering und nicht-quantifizierbar) ein relevanter Zusatznutzen für Patient*innen vom G-BA festgestellt werden konnte. Ein nicht-quantifizierbarer Zusatznutzen bedeutet, dass dieser gering, beträchtlich oder erheblich sein kann. Der Wert dieser Therapien wird aufgrund der bisherigen Nichtanerkennung der bestverfügbaren Evidenz in der besonderen Therapiesituation nicht angemessen widergespiegelt. Deshalb sollte(n) die gesetzlichen „Leitplanken" zu den Preisverhandlungen in § 130b SGB V zurückgenommen werden und insbesondere aus § 130b Absatz 3 SGB V die Bestimmung zum nicht-quantifizierbaren und geringen Zusatznutzen entfernt werden. Hier müssen GKV-Spitzenverband und pharmazeutischer Unternehmer wieder die Freiheit erhalten, einen angemessenen Preis zu finden. In diesem Zusammenhang sollte die sukzessive erfolgte Relativierung der Zusatznutzenkategorie „nicht-quantifizierbar", die aktuell fälschlicherweise als geringste Kategorie interpretiert wird, durch erläuternde Formulierungen in der Verfahrensordnung auf die ursprüngliche Bedeutung zurückgeführt werden.

Zusammenfassend empfehlen wir dem Gesetzgeber, die gesetzlichen „Leitplanken", sowohl bezüglich des geringen als auch des nicht-quantifizierbaren Zusatznutzens zu entfernen. Dadurch würden die Verhandlungspartner wieder den Spielraum bekommen, den sie brauchen, um therapeutische Verbesserungen anzuerkennen und die jeweilige Marktsituation zu berücksichtigen. Die Maxime, einen quantifizierbaren Zusatznutzen darzulegen, bleibt davon unberührt.

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Kurzfristig (1 Jahr): Anpassung der rechtlichen Rahmenbedingungen sowie ggf. der untergesetzlichen Ausführungsverordnungen (AM-NutzenV; VerfO)
- Keine zusätzlichen Ressourcen nötig

Erfolgsindikatoren
- Erfolgsindikator ist, dass Deutschland zu den Ländern gehört, in denen neue Therapien mit vorhandenem, aber aufgrund der langfristigen Wirksamkeit und/oder der geringen Anzahl von Patient*innen noch nicht quantifizierbarem Zusatznutzen auch zuerst auf den Markt kommen

Maßnahme 4:
Verstärkte Nutzung von erfolgsabhängigen Erstattungsmodellen im Rahmen der zentralen Preisverhandlung

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Gesetzgeber (BMG)

Beschreibung Maßnahme:
Aufgrund der potenziell begrenzten Evidenz zum Zulassungszeitpunkt bedarf es hinreichender Flexibilität, um im Einzelfall begründbaren Ergebnisunsicherheiten angemessen zu begegnen. Erstattungsmodelle, die sich an der Leistung des Therapeutikums bemessen, (sog. Pay-for-Performance- oder erfolgsabhängige Modelle/Vereinbarungen), können bei Offenheit beider Vertragsparteien und Vorliegen einer angemessenen Dateninfrastruktur, zu der beide Verhandlungspartner gleichberechtigten Zugang haben, in Erweiterung der § 130b SGB V Regelung, eine Option sein. Die Preisbildung kann sich dann maßgeblich am tatsächlichen patientenrelevanten Therapieerfolg orientieren. Die Vergütung kann entsprechend beispielsweise in Form einer Einmalzahlung, durch Ratenzahlungen oder durch jährlich angepasste Zahlungen erfolgen. Eine aufwandsarme Dokumentation für Leistungserbringer sollte bei solchen Modellen unbedingt sichergestellt werden.

Neben den derzeitigen Herausforderungen bezüglich verfügbarer Daten stehen solchen Lösungen auch Hürden bei der Einbindung in Vergütungsstrukturen im Krankenhaussektor entgegen, die es abzubauen gilt. Eine Lösung könnte die zeitnahe Festlegung eines extra-budgetären, bundesweiten Zusatzentgelts – erst in Höhe des Abgabepreises, dann auf Basis des Erstattungsbetrages – sein, wenn die Kosten des Arzneimitteleinsatzes nicht über die Diagnosis Related Groups (DRG) sachgerecht abgebildet werden. Darüber hinaus muss zur Schaffung von Anreizen durch verschiedene Vergütungsmodalitäten, insbesondere Einmalzahlungen gegenüber Ratenzahlungen, die derzeitige Struktur des Risikopools im Morbiditätsorientierten Risikostrukturausgleich an diese neuen Modelle angepasst werden. Außerdem muss die Möglichkeit des Trackings von Patient*innen gemäß dem Sondergutachten des Bundesamts für Soziale Sicherung (Stand: Oktober 2022) geschaffen werden, die derzeit noch fehlt.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Kurzfristig (1 Jahr): Anpassung der rechtlichen Rahmenbedingungen
- Keine zusätzlichen Ressourcen nötig

Erfolgsindikatoren

- Neben den bisher dezentralen Selektivverträgen für das erste Jahr nach Markteinführung zwischen einzelnen Krankenkassen und pharmazeutischem Hersteller besteht die Option, langfristige Lösungen in Erweiterung der § 130b Regelungen im Rahmen der zentralen Preisverhandlung mit dem GKV-Spitzenverband zu vereinbaren. Die erfolgsabhängige Vergütungsoption kann in der Verhandlung jeweils flexibel ausgestaltet werden. Die tatsächliche Nutzung dieser Option in geeigneten Einzelfällen im Vergleich zum Status Quo ist ein Erfolgsindikator

Maßnahme 5:
Vereinheitlichung und Kostendeckung der Vergütung der Diagnostik

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
BfArM, Institut für das Entgeltsystem im Krankenhaus (InEK), Kassenärztliche Bundesvereinigung (KBV), GKV-Spitzenverband

Beschreibung Maßnahme:
Bezüglich der Zugangsdiagnostik zu GCT wird das Modellvorhaben zur Genomsequenzierung nach § 64e SGB V voraussichtlich viele bestehende Lücken in der ambulanten Versorgung schließen.

Im stationären Sektor sind bei der erweiterten molekulargenetischen Diagnostik von kritisch kranken Kindern (Operationen- und Prozedurenschlüssel, OPS 1-944.1) unbewertete Zusatzentgelte vorhanden, deren Verhandlung krankenhausindividuell sehr unterschiedliche Ergebnisse bringt und dadurch den Zugang der Patient*innen regional erschweren kann. Wir empfehlen eine bundeseinheitliche Vergütung, z. B. durch ein bewertetes Zusatzentgelt.

Auch im Erwachsenen-Bereich wird die Initiierung molekulargenetischer Diagnostik im stationären Sektor nicht spezifisch abgedeckt. Bei der Zugangsdiagnostik bei Kindern mit seltenen Erkrankungen enthält der OPS-Code 1-944.1 überflüssige, zeit- und kostenintensive Vordiagnostik, für die es bei genetischen Untersuchungen keine evidenzbasierte Rechtfertigung gibt. Wir empfehlen, die Vordiagnostik aus der OPS-Beschreibung zu entfernen und analog zum Modellvorhaben die Anforderungen auf die Durchführung einer Fallkonferenz zu beschränken.

Die umfangreiche, notwendigerweise multimodale Zugangs- und Verlaufsdiagnostik für GCT muss budgetär und bundesweit gültig abgebildet werden.

Wir weisen darauf hin, dass die sehr schnelle Diagnostik mittels Exom- oder Genomsequenzierung (rapid Whole Exome/Genome Sequencing, WES/WGS) bei kritisch kranken Patient*innen höhere Kosten verursacht als die Standard-WES/WGS. Das sollte im Fallpauschalensystem abgebildet werden.

Stationär erschweren beim molekularen Monitoring der Resttumorlast [Minimal Residual Disease, MRD] (OPS 1-991.x) unbewertete Zusatzentgelte, die von Krankenhaus zu Krankenhaus sehr unterschiedlich ausgehandelt werden, regional den Zugang der Patient*innen. Wir empfehlen eine bundeseinheitliche Vergütung, z. B. durch ein bewertetes Zusatzentgelt.

Patient*innen mit schweren onkologischen Erkrankungen sollten stets Zugang zu modernster Verlaufsdiagnostik haben. Dazu sollte im ambulanten Sektor die Vergütung der MRD im einheitlichen Bewertungsmaßstab überprüft werden, und zwar sowohl im Blick auf die einbezogenen Indikationen über hämatologische Neoplasien hinaus als auch mit Blick auf die Vergütungshöhe für Next Generation Sequencing (NGS)-basierte Verfahren.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Änderungen im OPS-Katalog, im DRG-System und im einheitlichen Bewertungsmaßstab sollten von der Selbstverwaltung im Zuge der nächsten Überarbeitungen angegangen werden. Die Verringerung unnötiger Vordiagnostik spart Kosten. Die weiteren Forderungen bewegen sich im Gesamtbudget.

Erfolgsindikatoren

- Zunahme des Anteiles bundeseinheitlich vergüteter Lösungen bisher unbewerteter Zusatzentgelte
- Bundeseinheitlich gültige budgetäre Abbildung der Zugangs- und Verlaufsdiagnostik von GCT

Maßnahme 6:
Schaffung flexiblerer Erstattungsmodelle in der Finanzierung der Qualitätssicherung/Versorgung

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
BMG, G-BA, pharmazeutische Hersteller, Fachgesellschaften, Patientenvertretende, Bundesoberbehörde, Registervertretung, Vertretungen von GCT-Behandlungseinrichtungen

Beschreibung Maßnahme:

Leistungserbringern der Anwendung von GCT entsteht ein erheblicher Aufwand durch die Implementierung, Vorhaltung und Aufrechterhaltung der bestehenden Anforderungen an die Behandlungseinrichtungen. In den üblichen ambulanten und stationären Erstattungsmodalitäten sind diese Kosten bisher nicht sachgerecht abgebildet. Der erhebliche Vorhalteaufwand für die spezialisierten GCT-Behandlungseinrichtungen sollte im Rahmen der ohnehin geplanten Krankenhaus-Vorhaltefinanzierung des BMG im Rahmen der Krankenhausreform berücksichtigt werden. Grundsätzlich sollte die Erstattung von Versorgungsmodellen im Rahmen des im folgenden vorgeschlagenen Qualitätssicherungsmeetings I des G-BA gemeinsam mit den folgenden Dimensionen der Qualitätssicherung verbindlich festgelegt werden (Beispiel siehe Innovationsfondsprojekt INTEGRATE ATMP (integrate-atmp.de):

- **Strukturqualität** (Festlegung von Mindestmengen für das jeweilige Produkt, Anforderungen an Infrastruktur, Personal und fachliche Qualifikation der Behandlungseinrichtungen)
- **Prozessqualität** (Festlegung klinischer Endpunkte ab Zulassung, Ausarbeitung strukturierter Behandlungspläne für die Vor- und Nachsorge als Standard-of-Care, Delphi-Panel als Grundlage für eine Erhebung strukturierter Anwendungsdaten und die Definition der „notwendigen Standards". In Qualitätssicherungsmeetings I (QS-I) Beauftragung der Fachvertretung zur Ausarbeitung des entsprechenden Behandlungsstandards im Kontext der ATMP-Anwendung in vorstehender, produktspezifisch wechselnder Zusammensetzung. Dieser Behandlungsstandard dient anschließend als Leistungsmatrix für die transparente Berechnung des Versorgungsaufwandes. Diese Betrachtung muss auch die stationäre Behandlung umfassen. Bei Identifikation einer offensichtlichen Unterdeckung erfolgt die Einführung einer vorläufig analog-bewerteten DRG mit Kalkulation der tatsächlichen Kosten. Die Leistungsmatrix soll Grundlage für die Berechnung eines bundeseinheitlichen, bewerteten Zusatzentgelts sein, das den Mehraufwand umfasst, der durch die Vorsorge, Anwendung und Nachsorge der ATMP-Gabe entsteht. Die notwendige Auswahl von Patient*innen und Vorbereitung sowie Nachsorge (einschließlich der Begleit- und Kontrolldiagnostik) sollte über §116b SGB V (ambulante spezialfachärztliche Versorgung) oder über eine Erweiterung von §132i SGB V (Erweiterung der Einzelregelung der Hämophilie auf eine Gruppenregelung für GCT-Produkte) finanziert werden. Dies ist gesetzlich oder durch Beschluss der Selbstverwaltung abzusichern. Zusätzlich ist der Aufwand für die potenzielle AbD bzw. Datensammlung und -erhebung, Dokumentation von Leistungen und Registereingabe abzugelten, die nicht Teil der klassischen Ambulanzversorgung sind (siehe strategisches Ziel 4). Die Erstattung der Versorgungsaufwände muss außerhalb der üblichen budgetgedeckelten Entgeltvereinbarungen der Leistungserbringer erfolgen und damit nicht in Konkurrenz zu diesen treten. Dies ist in der oben vorgeschlagenen gesetzlichen Neuregelung zu ergänzen. Zudem muss eine Verpflichtung zur unmittelbaren, außerplanmäßigen DRG/neue Untersuchungs- und Behandlungsmethoden (NUB)-Verhandlungen bei Markteinführung neuer GCT mit den Kostenträgern vereinbart werden.)
- **Ergebnisqualität** (Festlegung des Registers und ggf. digitaler Plattformen, in denen Daten nach Inverkehrbringung gesammelt werden, mit einer Kategorisierung nach Mindeststandard, Definition und Erweiterung des Datenmodells um produktspezifische und patientenzentrierte Endpunkte zu Wirksamkeit und Sicherheit, ggf. Leitplanken der AbD und gemeinsame Festlegung von Komparatoren).

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Zeitachse: Gesetzliche Verankerung sofort bzw. so bald wie möglich; Umsetzung anschließend in Verfahrensordnung des G-BA
- Vorgeschlagene Zusammensetzung des neuen QS-I: G-BA (entscheidungsbefugt), pharmazeutischer Hersteller, Patientenvertretende, Bundesoberhörde, Fachgesellschaften, Registervertretungen; Zeitpunkt: nach Einreichung der Zulassung bei der EMA und Abschluss des Joint Clinical Assessments – Ziel: ca. 6–9 Monate vor Zulassung)

Erfolgsindikatoren

Begleitende und kontinuierliche Evaluation der getroffenen Maßnahmen hinsichtlich ihrer direkten und indirekten Auswirkungen

- Erfolgsindikatoren sind kurzfristig und produktspezifisch das Gesamtüberleben (Overall Survival), das ereignisfreie Überleben (Event-Free Survival) sowie krankheitsspezifische objektive Ergebnis-(Outcome-) Parameter, und mittelfristig die Zufriedenheit aller beteiligten Stakeholder (Kostenträger, Leistungserbringer, Patient*innen, pharmazeutische Hersteller, Registerbetreiber), die systematisch vor und nach Einführung der Maßnahmen ermittelt werden sollte. Zudem sollte die von den Leistungserbringern kalkulierte Kostendeckung der Erstattung in einem Vorher-Nachher-Vergleich systematisch evaluiert werden

Strategisches Ziel 3:
Qualitativ hochwertige, sichere und effiziente Behandlung der Patient*innen mit innovativen Therapien durch die Etablierung von interdisziplinären GCT-Behandlungseinrichtungen

Erläuterung Ziel:

Derzeit erfolgt die Anwendung von GCT hauptsächlich in für die entsprechenden Krankheiten spezialisierten Abteilungen mit Beteiligung von Expert*innen aus verschiedenen Disziplinen. Dementsprechend sind die Strukturen für die Grundlagenforschung, Translation sowie Zuweisung, Behandlung und Nachsorge von Patient*innen in der Regel auf die Krankheiten und die bisher dafür vorgesehenen Therapiemodalitäten ausgerichtet. Die Entwicklungen der letzten Jahre lassen neue GCT-Produkte für unterschiedliche Erkrankungen erwarten, insbesondere auch für seltene, bei Letzterem teils sogar maßgeschneidert für einzelne (n-of-1) oder sehr wenige (n-of-few) Patient*innen mit GCT-therapeutisch adressierbarem molekularem oder klinischem Profil, bei denen herkömmliche Zulassungsverfahren grundsätzlich nicht greifen. Ein nichtsdestotrotz schneller Zugang der Patient*innen zu diesen Therapeutika sowie die Sicherstellung einer qualitativ hochwertigen Behandlung bei gleichzeitig verantwortungsbewusstem, wirtschaftlichem Umgang mit Ressourcen des Gesundheitssystems sind unabdingbar und erfordern die zügige und fortlaufende Entwicklung und die Erhaltung von Kompetenz und Strukturen für die Anwendung von GCT. Hierfür wird eine Bündelung von Ressourcen erforderlich sein, die durch die Bildung interdisziplinärer GCT-Behandlungseinrichtungen erreicht wird.

Der Zugang zu GCT vor und nach Zulassung wird insbesondere durch bürokratische Hürden erschwert. Hierzu zählen langwierige und ressourcenintensive Zertifizierungsprozesse sowie Vertragsverhandlungen zwischen den einzelnen Stakeholdern (Krankenkassen, Zulassungsinhaber*innen und Anwender*innen).

Adäquate Versorgungsstrukturen und -pfade sollen unter Einbezug aller Sektoren aufgebaut und weiterentwickelt werden. Notwendig sind interdisziplinäre Behandlungseinrichtungen mit entsprechender Fokussierung auf GCT inklusive des Aufbaus entsprechender Zuweisungsstrukturen sowie von Strukturen für die Überwachung nach Markteinführung und die Nachsorge von Patient*innen. Darüber hinaus sollte ein kontinuierlicher Dialog darüber stattfinden, auf welchen Wegen der Zugang zu Therapien vor ihrer Zulassung (niederschwellig) erfolgen kann, um die Sicherheit, aber auch einen frühen Zugang von Patient*innen zu diesen Therapien, gewährleisten zu können.

Maßnahme 1:
Etablierung einer engen strukturellen Interaktion von Forschung und Versorgung

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
G-BA, Fachgesellschaften, GCT-Behandlungseinrichtungen

Beschreibung Maßnahme:
Die Behandlung von Patient*innen soll ausschließlich in Strukturen erfolgen, die den aktuellen Behandlungseinrichtungen (gemäß G-BA-Definition) entsprechen. Ein Teil dieser Behandlungseinrichtungen wird dabei ausschließlich auf Versorgung fokussiert sein, wohingegen andere Behandlungseinrichtungen Knotenpunkte des zu etablierenden Nationalen GCT-Netzwerks (siehe Handlungsfeld VI, strategisches Ziel 1, Maßnahme 1) bilden und sowohl auf leistungsstarke Versorgung als auch auf exzellente Forschung ausgerichtet sein werden. Für eine allen Patient*innen gerecht werdende Versorgung ist eine optimale Vernetzung und Interaktion beider Arten von Behandlungseinrichtungen unerlässlich. Die Behandlungseinrichtungen sollen interdisziplinär mit Fokus auf GCT etabliert bzw. weiterentwickelt werden. Die Qualitätsrichtlinien für die Behandlung in diesen Einrichtungen sollen zukünftig nicht wie bislang für jede Zulassung neu, sondern im entsprechenden G-BA-Beschluss für Zulassungsgruppen definiert werden. Dabei sollte eine

frühzeitige Einbindung von Stakeholdern (insbesondere Anwender*innen) bei der Festlegung der Kriterien für die Auswahl bzw. Zertifizierung dieser Behandlungseinrichtungen unbedingt sichergestellt werden.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Ressourcen werden für die Etablierung und Förderung des Nationalen GCT-Netzwerks benötigt (analog zu Handlungsfeld VI, strategisches Ziel 1, Maßnahme 1)

Erfolgsindikatoren

- Einfluss dieser Struktur auf die Entwicklung, Translation und Anwendung von GCT in Deutschland lässt sich anhand der Anzahl und der Qualität der erfolgten Behandlungen mit GCT messen. Ein Vergleich kann historisch sowie im Vergleich mit anderen Ländern erfolgen

Maßnahme 2:
Verschlankung der Prozesse der für die Durchführung von GCT notwendigen Qualifizierungen und Zertifizierungen der Behandlungseinrichtungen

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Patient*innen, Anwender*innen, Krankenkassen, pharmazeutische Unternehmen, G-BA

Beschreibung Maßnahme:

Die Prozesse der Zertifizierungen, die derzeit durch die pharmazeutischen Unternehmen (Inhaber der Marktzulassung) und den Medizinischen Dienst vorgenommen werden, sollten nach Möglichkeit nicht nur auf Einzeltherapien und Indikationen, sondern auf Therapiegruppen bezogen werden. Die Behandlungseinrichtungen sollten dabei die Möglichkeit haben, sich für die Behandlung mit Einzeltherapien/für einzelne Indikationen bis hin zu entsprechenden Therapiegruppen zu qualifizieren. Neue GCT sollten durch eine auf „Neuerungen" fokussierte Erweiterung der Qualifizierung in das Behandlungsportfolio der Behandlungseinrichtung aufgenommen werden.

Sehr kleinteilige Regelungen, die den Dokumentationsaufwand in den Behandlungseinrichtungen steigern, ohne die Ergebnisqualität nachgewiesenermaßen nennenswert zu beeinflussen, sollten vermieden werden. Die Anwenderseite ist angemessen einzubeziehen, wie etwa durch Kooperation mit medizinischen Fachgesellschaften (z. B. Kommission für neue Therapien) und Inverkehrbringern mit Kenntnis der notwendigen Infrastruktur. Machbarkeit und Erforderlichkeit sollten in regelmäßigen Abständen pragmatisch durch ein aus verschiedenen Stakeholdern zusammengesetztes Gremium überprüft werden.

Es sollte die Möglichkeit geben, z. B. bei erfolgreicher Requalifikation ohne nennenswerte Beanstandung, die Häufigkeit der nachfolgenden Prüfungen durch den Medizinischen Dienst von aktuell jährlich auf z. B. alle 2-3 Jahre zu reduzieren. Für Behandlungseinrichtungen, in denen bereits Zertifizierungen in ähnlichen Gebieten stattfinden, sollten vor jeder weiteren Zertifizierung die Bereiche und Inhalte bereits erfolgter Zertifizierungen berücksichtigt werden. Insgesamt muss eine Reduktion der Frequenz und der Redundanzen bei den Zertifizierungen angestrebt werden.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Umsetzung könnte durch Erweiterung des Aufgabenspektrums des QS-I im Rahmen des G-BA Verfahrens umgesetzt werden. Notwendig ist die Einbindung der betroffenen Stakeholder in den Prozess. Ansonsten sind keine gesonderten Ressourcen erforderlich

Erfolgsindikatoren

- Zertifizierungen sind innerhalb von 2 Jahren nach Umsetzung der Maßnahme deutlich weniger zeit- und ressourcenintensiv geworden

Maßnahme 3:
Verschlankung der Prozesse der Vertragsgestaltung

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Anwender*innen, pharmazeutische Unternehmen, Politik

Beschreibung Maßnahme:

Die Verträge (z. B. Qualitätssicherungs- und Liefervertäge), die zwischen den Inverkehrbringern und den Behandlungseinrichtungen vor und nach der Zulassung geschlossen werden, sollten nach Möglichkeit nicht nur für Einzeltherapien und Indikationen, sondern für Therapiegruppen erfolgen. Zur Vereinfachung und Beschleunigung der Vertragsgestaltung sollten standardisierte Musterverträge und ein einheitliches Vorgehen verwendet werden. Das Vorgehen und die Musterverträge sollen regelmäßig durch ein aus verschiedenen Stakeholdern zusammengesetztes Gremium überprüft und ggf. angepasst werden. Es sollte eine bundesweite Vereinheitlichung der Entscheidungsbasis für die Zuordnung von GCT erfolgen.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Bildung und Koordination einer aus den Stakeholdern bestehenden Arbeitsgruppe zur Überarbeitung der derzeitigen Musterverträge
- Dies kann über die Fortführung der Arbeitsgruppe zum Handlungsfeld VII der Nationale Strategie für GCT erfolgen. Ansonsten sind keine gesonderten Ressourcen erforderlich.

Erfolgsindikatoren

- Zertifizierungen sind innerhalb von 2 Jahren nach Umsetzung der Maßnahme deutlich weniger zeit- und ressourcenintensiv geworden

Maßnahme 4:
Sicherstellung einer reibungslosen Zuweisung und Kommunikation unter den an der Behandlung beteiligten Personen und Institutionen

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
G-BA, Leistungserbringer, Patientenvertretende

Beschreibung Maßnahme:

Eine gute Interaktion zwischen den zuweisenden und den behandelnden Ärzt*innen ist für eine erfolgreiche Behandlung unabdingbar. Dabei sind insbesondere folgende Punkte zu beachten:

- Sicherstellung einer rechtzeitigen Diagnose und ggf. Überweisung der Patient*innen an eine GCT-Behandlungseinrichtung
- Vermeidung von Vorbehandlungen, die die Wirksamkeit weiterer, potenziell wirksamerer Therapeutika (unter anderem GCT) beeinträchtigen (siehe interdisziplinäre Therapieentscheidungs-Boards, strategisches Ziel 1, Maßnahme 2)
- Sicherstellung der Behandlung (z. B. mittels Bridging-Therapie) bzw. Überwachung während der weiterführenden Diagnostik oder Vorbereitung des GCT-Produkts
- Sicherstellung der Nachbehandlung
- Sicherstellung der durchgehenden Dokumentation in Patientenakten und Registern

Zur Gewährleistung der Umsetzung sollten die genannten Punkte Eingang in die Richtlinien des G-BA finden. Der Informationsfluss zwischen Zuweisenden und Behandlungseinrichtungen muss strukturell und prozessoral erleichtert werden. Dabei muss zu jedem Zeitpunkt die Aufgabenverteilung zwischen GCT-Behandlungseinrichtungen und den Zuweisenden (Expert*innen für Entitäten und Diagnostik) geregelt sein. Zusätzlich zum Informations- und Datenfluss (am besten digitalisiert) in beide Richtungen sollte auch die Mobilität von Patient*innen zwischen GCT-Behandlungseinrichtungen und Zuweisenden sichergestellt und erleichtert werden. Dies geschieht z. B. durch vereinfachte Kostenübernahme für Fahrten und Übernachtungen von Patient*innen und ggf. betreuenden Personen.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Ressourcen für die Etablierung, die Optimierung und den Betrieb von digitalen, datenschutzkonformen Kommunikationsplattformen zur Gewährleistung eines guten Informationsflusses zwischen Zuweisenden und GCT-Behandlungseinrichtungen sind nötig
- Diese Kommunikationsplattformen können durch die GCT-Behandlungseinrichtungen unter Beteiligung der Zuweisenden etabliert werden
- Weitere Mittel für Board-Besprechungen und Registerdokumentation werden an anderer Stelle in diesem Dokument angesprochen

Erfolgsindikatoren

- Zufriedenheit der Patient*innen bezüglich der Interaktion mit den Behandelnden und Institutionen
- Evaluation des Anteils von Patient*innen, die die indizierte GCT erhalten, sowie der Zeitdauer zwischen GCT-Indikation und Behandlung

Strategisches Ziel 4:
Optimierung und Etablierung der Datenlandschaft zum Zwecke der vielseitigen Nutzbarkeit in der Forschung und Nachverfolgung von Langzeitdaten von GCT

Erläuterung Ziel:
Ziel dieser Maßnahme ist eine Evidenzgenerierung zur Wirksamkeit und Sicherheit, die bereits unmittelbar bei Inverkehrbringung eines neuen GCT beginnt und dann fortlaufend und integriert durchgeführt wird („Evidenz auf Knopfdruck"). Dafür müssen die notwendigen Voraussetzungen für eine systematische Erfassung und Speicherung sowie einen geregelten Zugang zu den semantisch und syntaktisch interoperablen Datensätzen geschaffen werden.

Maßnahme 1:
Standardisierung der Erfassung und Dokumentation von Anwendungsdaten

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Datenzugangs- und Koordinierungsstelle- wie im Gesundheitsdatennutzungsgesetz jüngst beschlossen, die beim BfArM ansässig ist, G-BA, GCT-Behandlungseinrichtungen, nationales Netzwerkbüro, BOB, Registervertretungen

Beschreibung Maßnahme:
Zur langfristigen Gewährleistung einer qualitätsgesicherten Erfassung und Dokumentation von Anwendungsdaten für GCT muss die gegenwärtige Dateninfrastruktur weiterentwickelt werden. Dabei sind sowohl europäische (z. B. Europäischer Gesundheitsdatenraum EHDS) als auch nationale (z. B. Nationale Forschungsdateninfrastruktur NFDI) Entwicklungen zu berücksichtigen. Konkret werden folgende Maßnahmen vorgeschlagen:

- Ausweitung der Kompetenzen der im Gesundheitsdatennutzungsgesetz vorgesehenen zentralen Datenzugangs- und Koordinierungsstelle auf den Bereich von GCT-Produkten unter Beteiligung des PEI und der oben vorgeschlagenen GCT-Behandlungseinrichtungen bzw. der jeweiligen Fachvertretung.
- Erstellung einer Datenzugangs- und Nutzungs-Charta für GCT, unter Beteiligung des Forschungsdatenzentrums Gesundheit sowie der Registerbetreiber und Fachgesellschaften. Vorgeschlagen werden altruistische Registerbetreibermodellen unter „neutraler" Datenverwahrung und -verwaltung, z. B. durch einen Zusammenschluss akademischer Fachgesellschaften oder in Kooperation mit den Bundesoberbehörden.
- Goldstandard für die Erhebung von Post-Marketing-Daten im Kontext der GCT-Anwendung sollen auch in Zukunft krankheitsspezifische und submodalitätsspezifische (z. B. auf Zelltherapie spezialisierte) Register sein. Allerdings sollten für Datenmodelle und die technische Mindestausstattung der Register standardisierte Vorgaben entwickelt und fortlaufend an nationale/europäische Entwicklungen angepasst werden (z. B. durch die im Zuge des Gesundheitsdatennutzungsgesetzes geschaffene Datenzugangsstelle). Ziel ist eine zunehmend automatisierte Datenerfassung.
- Etablierung eines standardisierten Prüfungs- und ggf. Zertifizierungsprozesses, der eine transparente Überprüfung des Registerstandards im Zuge des QS-I-Meetings durch den G-BA oder das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) ermöglicht. Auf dieser Basis kann künftig bereits vor Zulassung entschieden werden, ob bei Bedarf in der jewei-

ligen Indikation des Zulassungsvorhabens ausreichend qualifizierte und interoperable Register vorhanden sind oder stattdessen die Post-Marketing-Datenerfassung über das GCT-Dachregister erfolgen soll (siehe Abbildung 3).
- Etablierung eines standardisierten Beratungs- und Prüfungsprozesses, der für nicht-zulassungsfähige GCT die Daten und Evidenz bestimmt, die für eine Erstattungsfähigkeit (z. B. gemäß dem Nikolausurteil | 1 BvR 347/98) erhoben werden müssen. Dieser Prozess wird vom IQWiG und von akademischen Entwicklern gemeinsam auf- und umgesetzt.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Ebene der Finanzierung: Der Aufbau und v. a. der langfristige Betrieb der Registerstrukturen verursachen laufende Kosten und erfordern eine kostendeckende Refinanzierung. Da es sich bei Post-Marketing-Daten zur Anwendung von GCT um gesundheitspolitisch und volkswirtschaftlich relevante Daten handelt, wird für die Zukunft eine Refinanzierung von laufenden Registerkosten aus dem öffentlichen Haushalt oder alternativ den gesetzlichen Krankenkassen empfohlen. Vorgeschlagen wird eine Trennung der Refinanzierung nach den beiden relevantesten anfallenden Kostenarten:
  - Der Kosten für die Dateneingabe und Datenvalidierung durch die GCT-Behandlungseinrichtungen als Teil der neuen Pauschale für GCT über die Kostenträger (neue gesetzliche Regelung notwendig, s. o. Erstattung der Versorgungskosten, siehe strategisches Ziel 2, Maßnahme 6)
  - Refinanzierung der laufenden Kosten für involvierte Register und das neue GCT-Dachregister. Vorschlag: Finanzierung über dafür entsprechend bereitgestelltes Kapital aus öffentlichen Mitteln.
- Zusätzlich ist eine inhaltliche Beteiligung der betroffenen pharmazeutischen Unternehmen sinnvoll und notwendig. Dazu können die genauen Bedingungen und ggf. eine finanzielle Beteiligung dieser Unternehmen angesprochen werden, beispielsweise im Verlauf des oben vorgeschlagenen QS-I-Meetings.
- Ebene der Registererfahrung und Datenkompetenz: Bei der geschilderten Umsetzung der genannten Maßnahmen sollten auf jeder Ebene Vertreter*innen aus der akademischen Medizin einbezogen und gehört werden, die langjährige Erfahrung im Aufbau und/oder Betrieb entsprechender Registerlösungen haben. Die Führung der altruistischen Betreibermodelle sollte in Zukunft im Optimalfall unabhängig erfolgen.

Erfolgsindikatoren

- Erfolg und langfristige Weiterentwicklung der genannten Maßnahmen sollten kontinuierlich monitoriert und evaluiert werden, z. B. durch das FDZ oder ein unabhängiges evaluierendes Institut
- Indikatoren sind der Anstieg der langfristigen Datenqualität, die Anzahl interoperabler Register sowie die Zufriedenheit der Leistungserbringer im Gesundheitswesen und der Patient*innen mit der Remote-Datenerfassung. Empfohlen wird eine gesundheitsökonomische Evaluation des Erfolges einer kostendeckenden Refinanzierung der Dateneingabe durch die Leistungserbringer bzw. die Registerbetreiber.

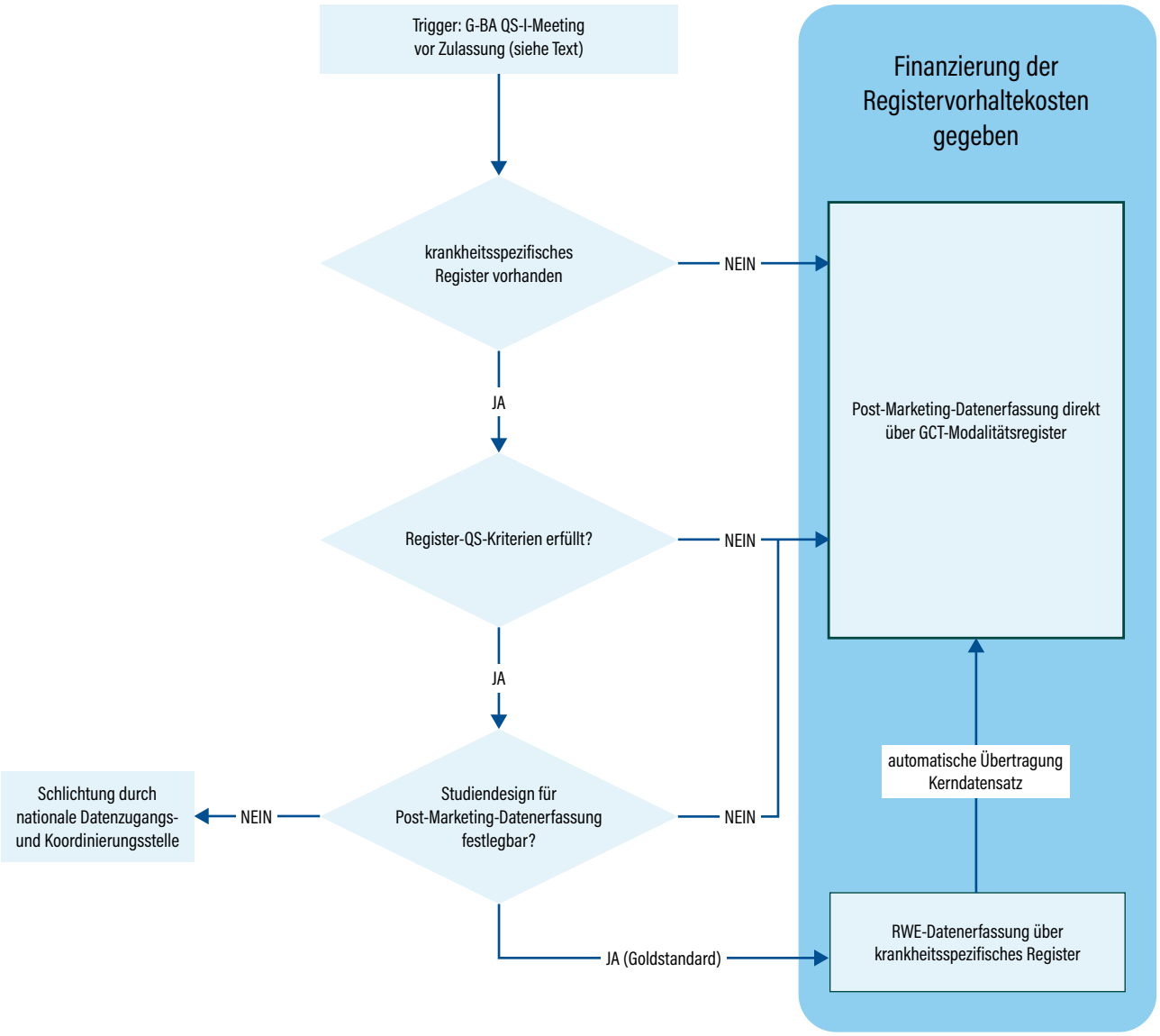


Abbildung 3: **Nationales GCT-Register (mit eingereichter Zulassung).** Vorschlag eines Algorithmus zur Erfassung und Integration von Daten in einem aufzubauenden zentralen GCT-Therapiemodalitätsregister zur Durchführung qualifizierter post-marketing-Studien in Deutschland (Anwendungsfall 1: GCT-Therapeutikum mit eingereichter Zulassung)

Maßnahme 2:
Verstetigung eines methodenspezifischen nationalen GCT-Registers

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
G-BA, INTEGRATE-ATMP-Konsortium, verschiedene Fachgesellschaften, Technologie- und Methodenplattform für die vernetzte medizinische Forschung, nationales Netzwerkbüro

Beschreibung Maßnahme:
Neben dem bzw. komplementär zum oben beschriebenen Goldstandard der krankheitsspezifischen und submodalitätsspezifischen Registerdatenerfassung wird die Verstetigung eines nationalen GCT-Registers als Modalitätsregister empfohlen. Hierzu wurden bereits Modelle/ Blaupausen entwickelt. Explizit sollten hier auch Anwendungen der Hospital Exemption, deren Anwendung in der EU und in Deutschland (nach §4b AMG) für bestimmte Vorgehensweisen geregelt ist, inbegriffen sein. Organisatorisch könnte hier die Form eines eingetragenen Vereins oder einer gGmbH gewählt werden. Möglichkeiten eines solchen methodenspezifischen Meta-Registers sind:

- Nutzbarkeit für Übersichtsprojekte zur Methode aber auch für volkswirtschaftliche Aspekte (z. B. Benchmarking international etc.)
- Ermittlung von produktübergreifenden Klasseneffekten zur Wirksamkeit bzw. Sicherheit der neuartigen Arzneimittel, z. B. T-Zell-Lymphom-Risiko bei CAR-T-Zell-Produkten, AAV-Safety-Klasseneffekte, n-of-few/n-of-1-antisense oligonucleotides-Sicherheit und -Wirksamkeit
- Transparenz bei der Anwendung in der Praxis über alle Behandlungseinrichtungen und Krankheiten hinweg
- Qualitätssicherung: Vermeidung einer zu starken Fragmentierung der Registerlandschaft, da Einzelregister fortwährenden Qualitäts- und Eignungsprüfungen unterzogen werden müssten
- Verhinderung des Reporting Bias (sog. Black Holes), der in monozentrischen Registersystemen entstehen könnte
- Insbesondere für den Fall der Hospital Exemptions: Die Daten aus diesen Anwendungen sollten von den BOB und der EMA auch als Grundlage für das Design und die Durchführung von klinischen Studien anerkannt werden

Inhaltlich soll das neue GCT-Modalitätsregister zwei wesentliche Datenbereiche umfassen:

- Datenbereich Meta-Kerndaten zur Post-Marketing-Anwendung von GCT in Deutschland: Diese Datensätze müssen in Zukunft verpflichtend und automatisch (Interoperabilität) von den krankheitsspezifischen und submodalitätspezifischen Registern eingespielt werden, auch, um z. B. Auflagen aus europäischen Post-authorization efficacy studies (PASS)/ Post-authorization safety studies (PAES)-Registern automatisiert erfüllen zu können. Dieses schließt auch GCT-Anwendungsentwicklungen bei Einzelfällen außerhalb der üblichen marktzulassungsorientierten Entwicklungspfade explizit mit ein (Abbildung 4). Der Kerndatensatz sollte zwischen den akademischen Behandlungseinrichtungen und den zuständigen Bundesoberbehörden entwickelt und fortwährend angepasst werden. Dafür müssen digitale Plattformen ausgebaut und gefördert werden, die Datensätze aus unterschiedlichen Quellen einbeziehen.
- Datenbereich für die mögliche Durchführung von Post-Marketing-Studien: Dieser Bereich übernimmt die Rolle von krankheitsspezifischen und submodalitätsspezifischen Registern, falls diese nicht vorhanden bzw. inhaltlich oder technisch nicht für Post-Marketing-Studien geeignet sind.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Für ein langfristiges GCT-Meta-Register sollte eine tragfähige und altruistische Betreiberstruktur aufgebaut und verstetigt werden (siehe oben; bereits in Arbeit und daher im weiteren Verlauf darauf aufbauend). Es muss in die oben beschriebene Vergütungslogik eingebettet sein. Dabei empfiehlt sich die Etablierung eines transparenten Steuerungsgremiums unter Beteiligung der akademischen Behandlungseinrichtungen, der Bundesoberbehörde, des G-BA, des GKV-Spitzenverbandes, pharmazeutischer Herstellerverbände, bestehender Registerbetreiber (z. B. Deutsches Register für hämatopoetische Stammzelltransplantation und Zelltherapie (DRST), European Society for Blood and Marrow Transplantation (EBMT) und andere) und der Politik.
- Eine kurzfristige Umsetzung wäre über folgenden Projektvorschlag realisierbar: Das bereits vorhandene und öffentlich geförderte ATMP-Register sollte in einem Modellprojekt mit weiteren krankheits(gruppen)spezifischen Registern aus dem Bereich GCT im Datenmodell interoperabel gestaltet und mit einem modalitätsspezifischen Kerndatensatz ausgestattet werden. Dies umfasst die dort bereits angeschlossenen Submodalitäts-Register DRST und EBMT sowie eine digitale Remote-Erfassung von patientenzentrierten Endpunkten durch eine komplementäre telemedizinische Versorgungsplattform. Ziel wäre die Weiterentwicklung des oben skizzierten Dachregister-Modells und der angeschlossenen Plattform für GCT. Konkret anzuschließende Register könnten das Hämophilieregister bzw. das pädiatrische Register für Stammzelltransplantation (PRST) sowie ggf. weitere nach Bedarf sein (Projektzeitrahmen: 2 Jahre; Zeitachse: schnellstmöglich; finanzielle Größenordnung: ca. 2 Millionen Euro).

Erfolgsindikatoren

- Kurzfristig: Erfolgreicher Aufbau einer altruistischen Betreiberstruktur sowie des methodenspezifischen Kerndatensatzes
- Mittelfristig: Formulierung und Implementierung von wesentlichen Benchmarking-Indikatoren, z. B. die Anzahl behandelter Patient*innen und Behandlungseinrichtungen sowie Erfolgsindikatoren wie der Einbezug individueller und patientenzentrierter klinischer Endpunkte auf nationaler und internationaler Ebene notwendig und sinnvoll.

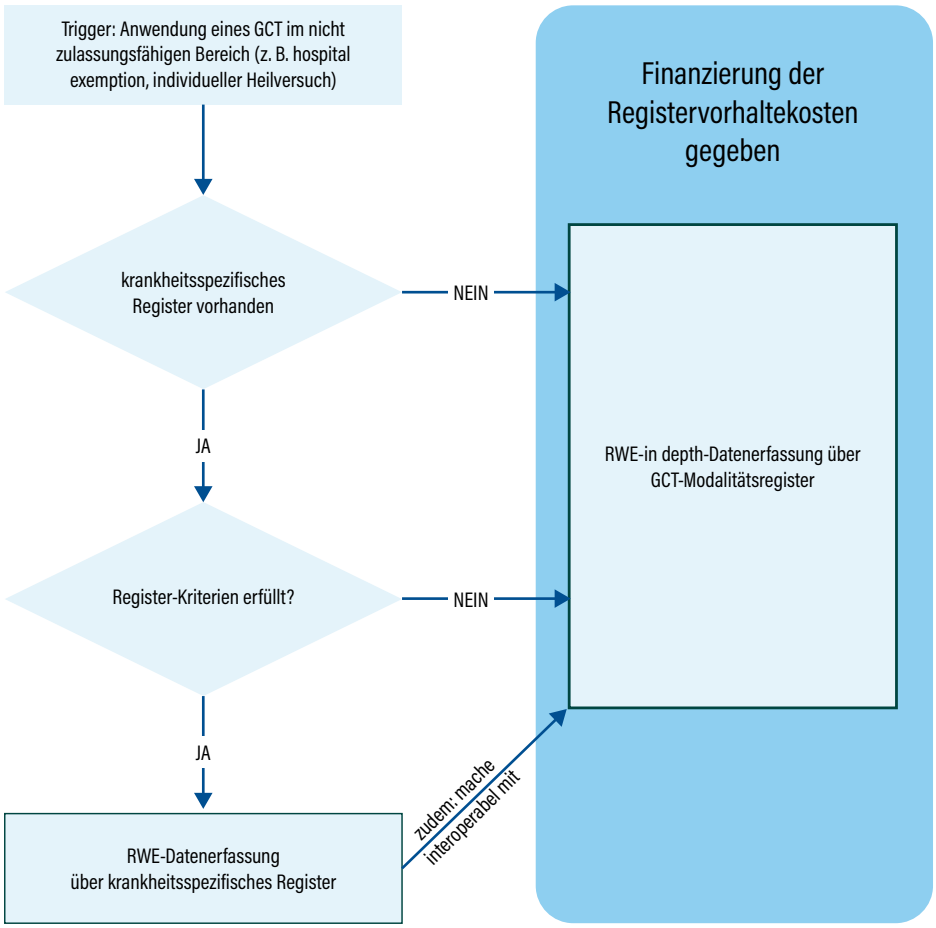
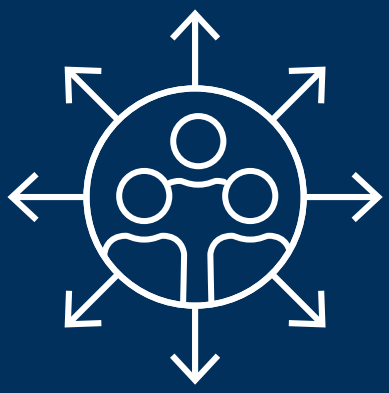


Abbildung 4: **Nationales GCT-Register (ohne erwartbare Zulassung).** Vorschlag eines Algorithmus zur Erfassung und Integration von Daten in einem aufzubauenden zentralen GCT-Modalitätsregister im Bereich von Produkten, bei denen keine Zulassung zu erwarten ist (Anwendungsfall 2: nicht zulassungsfähige GCT)

Handlungsfeld VIII: Interaktion mit der Gesellschaft



Zusammenfassung

Das sich weiterhin äußerst dynamisch entwickelnde Feld der GCT hat nicht nur aktuell, sondern auch auf absehbare Zeit einen hohen Bedarf des Austausches mit verschiedenen Zielgruppen und gesellschaftlichen Akteuren. Somit definieren wir für das „Handlungsfeld VIII: Interaktion mit der Gesellschaft" folgende **strategische Ziele**:

- **Informiertheit der Gesellschaft zu GCT** durch Bereitstellung verlässlicher und zielgruppenspezifischer Informationen
- Unterstützung/Beratung der Entscheidungsträger*innen durch **Stärkung der Interaktion mit der Politik** sowie die Herstellung/Wahrung eines ergebnisoffenen geisteswissenschaftlichen/gesellschaftlichen Diskurses
- **Gezielte Förderung des Nutzenpotenzials von GCT** durch verstärkte Einbeziehung und Beteiligung von Forschungsförderorganisationen, Stiftungen und spendenbereiter Zivilgesellschaft

Die Realisierung dieser Ziele bedarf einer nachhaltigen Governancestruktur der Nationalen Strategie und sollte durch sichtbare und glaubwürdige Botschafter*innen gesellschaftlich breite Aufmerksamkeit erlangen. Folgende **Maßnahmen und Ressourcen** sind dafür kurz- und mittelfristig notwendig:

- Aufbau einer **zentralen Kommunikationsplattform** mit Webpräsenz zur Bereitstellung von Informationen für die verschiedenen relevanten Zielgruppen. Insbesondere sollen **zielgruppenspezifische Informationsangebote** für die breite Öffentlichkeit sowie spezielle Angebote für Medien/Journalist*innen, für Patient*innen und Patientenorganisationen, für medizinische Fachgesellschaften, für Schüler*innen sowie für Studierende und Lehrende zusammengefasst, erstellt und von einer einzelnen Plattform aus verfügbar gehalten werden.
- **Für** den langfristigen **Austausch mit der Politik** und für die **Information von Parlamentarier*innen** (Bund und Land) sollten regelmäßige Berichte in Ausschüssen (Wissenschaft, Gesundheit, Haushalt) etabliert werden. Im Rahmen des **gesamtgesellschaftlichen Dialogs** soll ein ergebnisoffener geisteswissenschaftlicher Diskurs gefördert und mit allen gesellschaftlichen Akteuren reflektiert werden.
- Geeignete **Förderorganisationen, Stiftungen und fördernde Privatpersonen** sollen **identifiziert** und mit spezifischem Informationsmaterial zur Durchführung öffentlichkeitswirksamer Veranstaltungen zur Spendenakquise motiviert und unterstützt werden.

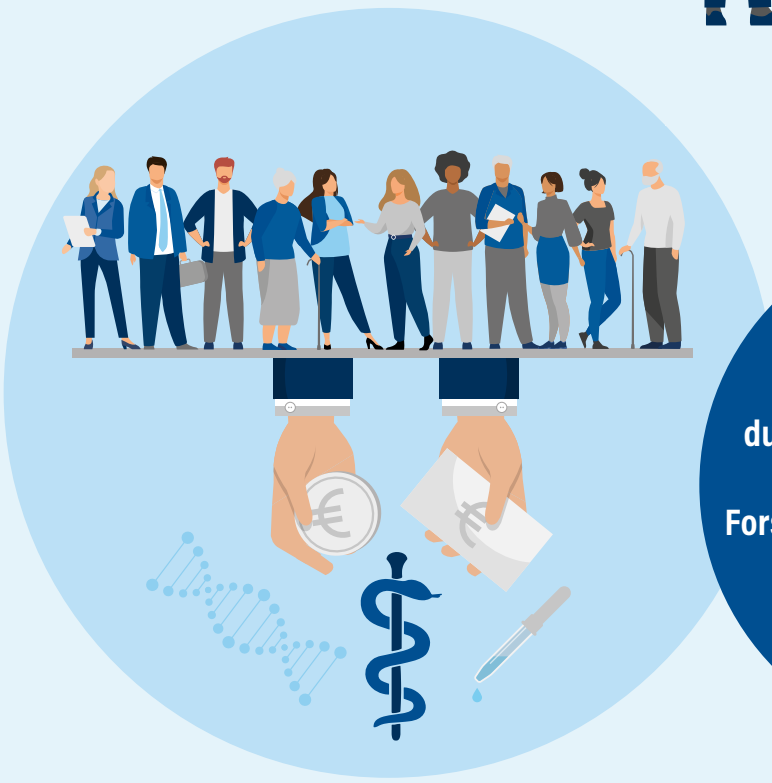
Die aufgeführten Maßnahmen greifen synergistisch ineinander und beruhen auf einer engen Interaktion der Akteure dieses Handlungsfelds mit dem nationalen Netzwerkbüro. Zur Realisierung bedarf es Personalmittel beim nationalen Netzwerkbüro (Information/Austausch Politik/gesellschaftlicher Diskurs), Projektmittel für kurzfristige Beauftragungen von Agenturen (Recherche, Grafik, Veranstaltungen) sowie Vernetzungsmittel für Interaktionen der Akteure des GCT-Netzwerks mit den genannten gesellschaftlichen Gruppen. Je nach Intensität der Interaktionen ist mit einem Gesamtmittelbedarf im sechsstelligen Bereich pro Jahr zu rechnen.

1

Informiertheit der Gesellschaft zu GCT durch Bereitstellung verlässlicher und zielgruppenspezifischer Informationen

2

Unterstützung/ Beratung der Entscheidungsträger*innen durch Stärkung der Interaktion mit der Politik sowie die Herstellung/Wahrung eines ergebnisoffenen geisteswissenschaftlichen/ gesellschaftlichen Diskurses



Gezielte Förderung des Nutzenpotenzials von GCT durch verstärkte Einbeziehung und Beteiligung von Forschungsförderorganisationen, Stiftungen und spenden-bereiter Zivilgesellschaft

3

Hintergrund

Die Entwicklung von GCT hat in den letzten Jahren enorm an Dynamik gewonnen. Zielten sie früher im Wesentlichen auf die Behandlung von schweren und seltenen monogenen Erkrankungen ab, hat sich das Anwendungsspektrum nun über onkologische Erkrankungen auch auf weiter verbreitete Krankheiten ausgeweitet. Somit haben die Entwicklung und Zulassung neuer Therapeutika für immer größere Teile der Gesellschaft zunehmende Relevanz. Deutschlandweit haben sich bereits an mehreren Standorten lokale Zentren gebildet, die translationale Aspekte moderner GCT in die klinische Anwendung bringen. Hinsichtlich der Interaktion mit der Gesellschaft bestehen vielfältige, allerdings noch wenig vernetzte Initiativen mit dem Ziel, wissenschaftliche Prinzipien, Chancen, Risiken, Einschränkungen und gesellschaftliche Implikationen in den Diskurs um deren Anwendung einzubringen. Gerade die Erfahrungen der gesellschaftlichen Wahrnehmung neuen Wissens in der Corona-Pandemie haben verdeutlicht, dass die Qualität der allgemeinverständlichen Aufarbeitung neuer Erkenntnisse sowie die Glaubwürdigkeit der erklärenden Wissenschaftler*innen und weiterer Kommunikator*innen (wie z. B. Akteure aus dem Gesundheitswesen) Schlüsselfaktoren dafür sind, den Prozess der Meinungsbildung in einer pluralen Gesellschaft durch Bereitstellung ausgewogener Informationen sinnvoll unterstützen zu können. Diese stehen vor dem Problem, dass Sensationsmeldungen, vermeintliche Skandale oder polarisierte Dispute unter Wissenschaftler*innen vielfach mehr (Medien-)Interesse finden als fundierte sachgerechte wissenschaftliche Sachverhalte.

Um eine umfassende und aktualisierte Information des Bereichs der GCT in der Gesellschaft zu erreichen, ist aufgrund des ständig wachsenden Wissens eine langfristig angelegte Kommunikationsstrategie – vom Bereich der Bildung über fachspezifische Institutionen bis hin zur allgemeinen Öffentlichkeit – notwendig, die unter Einbeziehung aller relevanter Stakeholdergruppen erarbeitet werden sollte. Vordringlich sind Maßnahmen, die Möglichkeiten einer ausgewogenen Information für breite Teile der Gesellschaft sicherstellen, welche eine kontinuierliche geistes- und sozialwissenschaftliche Begleitung aktueller Entwicklungen ermöglichen, und Maßnahmen, die lokale Aktivitäten (beispielweise in der Interaktion mit Schulen) vernetzen und ausweiten, um möglichst viele Schüler*innen für neue Aspekte von GCT zu interessieren und mit fundiertem Wissen auszustatten.

Eine für die Nationale Strategie zielführende Öffentlichkeitsarbeit kann durch bestehende Strukturen (wie z. B. Fachgesellschaften und Netzwerkorganisationen) nicht umfassend abgebildet werden. Ihre Einbindung in die weiteren Prozesse und die Nutzung der vorhandenen Erfahrungswerte bezüglich der strategischen Interaktion von Akteuren aus Forschung, Entwicklung und klinischer Erprobung mit der Gesellschaft sind allerdings essenziell und sollten für das weitere Vorgehen genutzt werden.

Strategische Ziele

1. Informiertheit der Gesellschaft über GCT durch Bereitstellung verlässlicher und zielgruppenspezifischer Informationen
2. Unterstützung/Beratung der Entscheidungsträger*innen durch Stärkung der Interaktion mit der Politik sowie Herstellung/Wahrung eines ergebnisoffenen geisteswissenschaftlichen/gesellschaftlichen Diskurses
3. Gezielte Förderung des Nutzenpotenzials von GCT durch verstärkte Einbeziehung und Beteiligung von Forschungsförderorganisationen, Stiftungen und spendenbereiter Zivilgesellschaft

Strategisches Ziel 1:
Informiertheit der Gesellschaft über GCT durch Bereitstellung verlässlicher und zielgruppenspezifischer Informationen

Erläuterung Ziel:
Es soll die Bereitstellung von fundierten, verlässlichen, allgemeinverständlichen Informationen für verschiedene Zielgruppen und gesellschaftliche Akteure realisiert werden. Dafür sollen neben spezifischen Inhalten für Patientengruppen auch Maßnahmen für Politik, Medien, Förderer und Fachgesellschaften zusammengestellt werden. Zudem sollen erprobte Informations- und Unterrichtsmaterialien für breite Bereiche der Jugend- und Erwachsenenbildung (z. B. schulischer Sekundarbereich 2, Studiengänge (z. B. Humanmedizin, Biologie, Biotechnologie) bereitgestellt werden und es soll eine Aufnahme von Inhalten in die Curricula des Tertiärbereichs sowie in die Curricula für die Ausbildung in Gesundheitsberufen einschließlich Lernplattformen und Formaten der Citizen Science sowie ggf. Medienpartnerschaften verwirklicht werden. Dabei sind insbesondere die Berücksichtigung und Einbeziehung oder Verwendung von bereits vorhandenen Materialien zu beachten.

Maßnahme 1:
Aufbau einer zentralen Kommunikationsplattform mit Webpräsenz zur Bereitstellung von Informationen für die verschiedenen relevanten Zielgruppen

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Koordinierung durch nationales Netzwerkbüro in Abstimmung mit AG VIII

Beschreibung Maßnahme:
Die Erstellung und Pflege einer zentralen Webpräsenz als zentraler Anlaufpunkt sind notwendig. Dort können unterschiedliche Arten von Informationen bereitgestellt werden, die aus bestehenden Quellen zusammengetragen und ggf. vorab erstellt werden müssen. Dabei sollten bereits bestehende Angebote ermittelt und nach Möglichkeit mit den Anbietenden kooperiert werden. Folgende wichtige Aspekte sind zu beachten, die auf die jeweiligen Zielgruppen angepasst sein müssen:

- Klare Botschaften: Entwicklung prägnanter und leicht verständlicher Botschaften, die die Wirksamkeit, Risiken und ethischen Aspekte von GCT verdeutlichen. Vergleich mit symptomatischen Therapieansätzen. Vermeidung von Fachjargon und Fokus auf allgemeinverständliche Sprache.
- Wissenschaftliche Aufklärung: Vermittlung grundlegender Informationen über GCT und ihre Anwendungsbereiche einschließlich der Betonung des wissenschaftlichen Hintergrunds.
- Nutzung von internationalen Fallbeispielen: Konkrete Fallbeispiele, die den Einsatz unter Berücksichtigung der Chancen und Risiken von GCT veranschaulichen. Ggf. Quantifizierung der Erfolgschancen im Verhältnis zu den Risiken.
- Ko-Kreation des Aufbaus und des Inhalts mit relevanten Stakeholdern (Patientenvertretenden, Wissenschaftler*innen, Kommunikationsexpert*innen)
- Integration eines Umfragetools zum Erleben von Patient*innen (Erfahrungen und Erwartungen als Qualitätsindikatoren).

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Kurzfristig (12–18 Monate)
- Ressourcenbedarf ist mit Kommunikationsagentur abzustimmen, ggf. Mittel für nachhaltige Diskursprojekte

Erfolgsindikatoren
- Website ist in einem ko-kreativen Prozess aufgebaut und online gestellt worden
- Redaktionskomitee/Editorial Board zur Weiterentwicklung des Inhalts ist aufgestellt worden

- Anzahl der Unique Visitors (Ziel jährlich festlegen)
- Zahl der „Engagements“ (Teilen über Social Media)

Maßnahme 2:
Zielgruppenspezifische Informationsangebote für die breite Öffentlichkeit erstellen bzw. auf diese verweisen

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Koordinierung durch nationales Netzwerkbüro in Abstimmung mit AG VIII

Beschreibung Maßnahme:
Interaktive Formate und Dialog: Nutzung verschiedener Medienformate wie Infografiken, Webinare etc., um komplexe Informationen zugänglich zu machen. Einbindung von Fachleuten in die Kommunikation, um den Dialog mit der Öffentlichkeit zu fördern und Fragen zu beantworten.

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Kurzfristig (12–18 Monate), laufender Prozess
- Reisekosten

Erfolgsindikatoren
- Koordinierende*r Mitarbeiter*in im nationalen Netzwerkbüro ist eingearbeitet
- Pool an Fachleuten ist zusammengestellt und eingebunden

Maßnahme 3:
Zielgruppenspezifische Informationsangebote für Medienvertreter*innen/Journalist*innen erstellen bzw. auf diese verweisen

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Koordinierung durch nationales Netzwerkbüro in Abstimmung mit AG VIII

Beschreibung Maßnahme:
Medien als Multiplikatoren: Gezielte Zusammenarbeit z. B. mit Medienvertreter*innen, Journalist*innen und Kommunikator*innen, um eine ausgewogene, transparente und sachliche Berichterstattung zu fördern. Bereitstellung von präzisen Informationen in Form von Pressemitteilungen, Interviews und Hintergrundinformationen. Netzwerk von Expert*innen für Interviews: Aufbau eines Netzwerks von Fachexpert*innen und Patientenvertretenden, die für Interviews und Hintergrundgespräche zur Verfügung stehen. Dies fördert eine qualitativ hochwertige Berichterstattung und ermöglicht es Journalist*innen komplexe Themen besser zu verstehen. Pressekonferenzen: Organisation von Pressekonferenzen, um Journalist*innen direkten Zugang zu Expert*innen, Forschenden und Patientenvertretenden zu verschaffen. Hintergrundgespräche und exklusive Einblicke: Anbieten von Hintergrundgesprächen und exklusiven Einblicken für Journalist*innen, um eine umfassendere Berichterstattung zu ermöglichen. Medienkooperationen und Gastbeiträge: Absprachen mit Medienhäusern (Fachmedien, Massenmedien etc.) für Gastbeiträge von Expert*innen oder Forschenden im Bereich von GCT. Pressemitteilungen und Hintergrundinformationen: Regelmäßige Bereitstellung von Pressemitteilungen und Hintergrundinformationen, um Journalist*innen mit aktuellen und fundierten Fakten über GCT zu versorgen. Aufbau eines Speakerboards (Fachexpert*innen, Patientenexpert*innen), dessen Mitglieder prinzipiell für verschiedene Formate (wie z. B. Vorträge, Präsentationen, Interviews, Teilnahme an Talkshows, Beiträge etc.) zur Verfügung stehen.

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Kurzfristig (12 Monate)
- Geringer Ressourcenbedarf

Erfolgsindikatoren
- Konzeptionierung des Informationsangebots
- Aufbau eines Speakerboards
- Anzahl der Beiträge pro Monat

Maßnahme 4:
Zielgruppenspezifische Informationsangebote für Patient*innen und Patientenorganisationen erstellen bzw. auf diese verweisen

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Koordinierung durch nationales Netzwerkbüro in Abstimmung mit AG VIII

Beschreibung Maßnahme:
Navigierter Zugang zu leicht auffindbaren, transparenten, umfassenden, patientenzentrierten und evidenzbasierten Informationen für potenzielle Therapien und entsprechende Informationsmaterialien inklusive potenzieller Nebenwirkungen und Erfolgsraten sowie Verweis zum nächsten Schritt (wie Zugangsmöglichkeiten für klinische Studien, Beratung und Support etc.). Entscheidend ist hier die Identifizierung von Patientenorganisationen, die zur Zusammenarbeit bereit sind und die Ko-Kreation von Informationsangeboten gemeinsam mit ihnen. Es wird ein Modell der Zusammenarbeit entwickelt mit klarer Regelung der Prozesse unter Wahrung der Unabhängigkeit aller Akteure und voller Transparenz über die Mitwirkenden und ihrer Beiträge.

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Mittelfristig (ca. 18–24 Monate) für 2–3 beispielhafte Erkrankungen

Erfolgsindikatoren
- Partnerpatientenorganisationen sind identifiziert
- Verhaltenskodex/Regelwerk ist erarbeitet
- Navigation ist ausgearbeitet
- Entsprechende Materialien sind erstellt (ggf. im Rahmen BMBF-geförderter Projekte)
- Kooperationen mit Bundesinstitut für Prävention und Aufklärung in der Medizin sind geprüft

Maßnahme 5:
Zielgruppenspezifische Informationsangebote für Schüler*innen, Studierende und Lehrende erstellen bzw. auf diese verweisen

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Koordinierung durch Nationales Netzwerkbüro in Abstimmung mit AG VIII

Beschreibung Maßnahme:
Aufstellung eines multidisziplinären Redaktionskomitees mit Lehrenden der Sekundarstufen I und II (mögliche Fachvertretende: Biologie, Chemie, Deutsch, Ethik/Religion, Englisch) sowie ggf. Vertretenden von Lehrwerkverlagen. Erstellung von jahrgangsstufenbezogenen Kompetenzrahmen. Erstellung von digitalen Leitfäden für Lehrkräfte unter Verweis auf existierende Materialien. Kommunikation über diesen Kompetenzrahmen in geeigneten Kanälen.

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Mittelfristig (18–24 Monate)
- Ggf. Honorare/Aufwendung für die Ausgestaltung des Leitfadens

Erfolgsindikatoren
- Multidisziplinäres Redaktionskomitee wurde gebildet
- Kompetenzrahmen GCT wurde erstellt
- Leitfaden zur Anwendung für Lehrkräfte wurde erstellt
- Materialien wurden in eine zentrale Informationsplattform zum Abruf eingestellt
- Anzahl der Abrufe pro Jahr
- Anwendungsbeispiele sind im Unterricht vorhanden und auf Informationsplattform bereitgestellt

Maßnahme 6:
Zielgruppenspezifische Informationsangebote für medizinische Fachgesellschaften erstellen bzw. auf diese verweisen

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Koordinierung durch nationales Netzwerkbüro in Abstimmung mit AG VIII

Beschreibung Maßnahme:
Erstellung einer Übersicht von Patientenorganisationen mit einem Fokus auf Erkrankungen, die schon auf kurze Sicht für GCT interessant sind (z. B. Onkologie und seltene genetisch bedingte Erkrankungen). Vernetzung mit europäischen und internationalen Strukturen. Angebot der Ausrichtung von Symposien für Kongresse. Erstellung und Vertrieb von Ausstellungs-/Informationsmaterial für „Patiententage“ o. ä. Veranstaltungen.

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Mittelfristig (18–24 Monate)
- Kosten für Koordination/Agentur

Erfolgsindikatoren
- Übersicht ist auf Webpräsenz abgebildet
- Letters-of-Support mit festgelegter Anzahl von europäischen und internationalen Strukturen sind unterzeichnet

Maßnahme 7:
Regelmäßigen Newsletter für einschlägige GCT-Publikationen und -Aktivitäten für Patient*innen/Organisationen/Fachgesellschaften anbieten

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Koordinierung durch nationales Netzwerkbüro in Abstimmung mit AG VIII

Beschreibung Maßnahme:
Verwendung der Übersicht einschlägiger Patientenorganisationen. Kooperation mit Patientenvertretenden beim Erstellen von Inhalten, damit der potenzielle Nutzen der GCT-Forschung und die Bedürfnisse von Menschen, die mit einer schweren Erkrankung leben, verständlich und aus der Sicht der Erkrankten dargestellt werden.

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Kurzfristig (12–16 Monate)

Erfolgsindikatoren
- Mapping mit relevanten Patientenorganisationen wurde erstellt
- Ko-Kreationsgruppe mit Patientenvertretenden wurde gebildet
- Erster Newsletter wurde erstellt und veröffentlicht
- Anzahl der Abonnements, der Engagements (z. B. Social Media Postings) und der Verwendungen von Newsletter-Inhalten in Medien (einschließlich Medien von Patientenorganisationen)

Strategisches Ziel 2:
Unterstützung/Beratung der Entscheidungsträger*innen durch Stärkung der Interaktion mit der Politik sowie Herstellung/Wahrung eines ergebnisoffenen geisteswissenschaftlichen/gesellschaftlichen Diskurses

Erläuterung Ziel:
Artikel 2 des Grundgesetzes sichert jedem Bürger und jeder Bürgerin das Recht auf Leben und körperliche Unversehrtheit zu. Das SGB V, § 12 gibt den Versicherten ein umfängliches und weitreichendes Leistungsversprechen, solange es wirtschaftlich angemessen ist. Dies betrifft auch lebensbedrohliche oder regelmäßig tödlich endende Erkrankungen, für die insbesondere mit den neuen GCT erstmalig eine Aussicht auf Heilung oder auf eine spürbar positive Einwirkung auf den Krankheitsverlauf besteht. Daraus ergeben sich für die Politik und gesellschaftliche Entscheidungsträger*innen Herausforderungen bei der Umsetzung dieser neuen GCT in die Normalversorgung, die bewältigt werden müssen.

Die normativen und regulatorischen Rahmenbedingungen neuer GCT resultieren aus gesamtgesellschaftlichen Diskursen als Grundlage für politische Entscheidungen. Dabei sind regionale, landespolitische und bundespolitische Aspekte zu berücksichtigen, sodass eine Interaktion auf allen drei Ebenen gegeben ist. In Bezug auf ethische, rechtliche und soziale Aspekte (ELSA) sollten eine strukturierte Begleitforschung und ein kontinuierlicher politischer Dialog etabliert werden, um aktuelle Aspekte der genombasierten Medizin reflektiert in politische Entscheidungsfindung und Regulatorik einzubinden.

Aus diesem Grund sollte der Austausch mit und die Information von Parlamentarier*innen, Ministerien, Behörden (Bund und Länder) und gesellschaftlichen Entscheidungsträger*innen zum Leistungsversprechen gemäß Grundgesetz und SGB bei den neuen GCT erfolgen – mit dem Ziel, in Deutschland eine Versorgungslandschaft zu schaffen, die dem Leistungsversprechen gerecht wird.

Dies erfordert das Schaffen der notwendigen gesetzlichen Voraussetzungen durch die Politik, wie die Vereinheitlichung der Regulatorik bei GCT bei Bund und Ländern, die Aktualisierung des deutschen Stammzellgesetzes, die Etablierung verlässlicher Kostenstrukturen und der Ausbau der Herstellungskapazitäten für GCT in Deutschland. Hierzu ist eine ergebnisoffene Diskussion innerhalb der informierten Öffentlichkeit und der möglichst breite Konsens bei Gesellschaft und gesellschaftlichen Entscheidungsträger*innen erforderlich.

Maßnahme 1:
Verbesserung der zielgerichteten Übermittlung von Informationen an die Politik

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Moderation durch Governancestruktur der Nationalen Strategie und/oder das nationale Netzwerkbüro in Abstimmung mit AG VIII, Wissenschaftler*innen, relevante Politiker*innen auf Landes- und Bundesebene aus den Ressorts Wissenschaft, Gesundheit und Wirtschaft (Minister*innen und Staatssekretär*innen, Ebenen der Parlamentarier*innen)

Beschreibung Maßnahme:
Zur Etablierung eines langfristigen Austauschs mit der Politik und der Information von Parlamentarier*innen (Bund und Länder) sollten regelmäßige Berichte in Ausschüssen (Wissenschaft, Gesundheit, Haushalt) stattfinden (nachrangig wären Interaktionsformen wie „parlamentarischer Abend“ etc.). Dafür sollen strategische Key Topics angesprochen und Handlungsempfehlungen erarbeitet werden.

Für diese Interaktion müssen glaubwürdige Botschafter*innen mit einem hohen Ansehen gefunden und gewonnen werden (ggf. aus der Entwicklung der Nationalen Strategie und z. B. unter Einbindung von Patientenvertretenden). Darüber hinaus sind folgende Maßnahmen erforderlich:

- Erstellung von White Papers und Einbindung des nationalen Gentechnologieberichts (https://www.gentechnologiebericht.de) als Monitoring und Informationsmaßnahme
- Beschäftigung mit Ängsten bezüglich des Wissenstransfers (Genmanipulation, ESC, viraler Transfer, CRISPR/Cas, Enhancement) in öffentlichen Veranstaltungen
- Fundierte Darstellung von Erfolgen unter Einbeziehung der Reflektion von Misserfolgen im Bereich des Wissenstransfers
- Betonung der Bedeutung des Wissenstransfers für den Wirtschaftsstandort
- Einbindung von Politiker*innen in wissenschaftliche Fachtagungen (z. B. in Paneldiskussionen)
- Angebote regionaler Informationsveranstaltungen mit Beteiligung von Politiker*innen

Zeitachse und Ressourcenbedarf
- Kurz- bis mittelfristig (1–3 Jahre)

Erfolgsindikatoren
- Anzahl von Veranstaltungen unter Teilnahme von Politiker*innen

Maßnahme 2:
Herstellung/Wahrung eines ergebnisoffenen geisteswissenschaftlichen/gesellschaftlichen Diskurses

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Moderation durch Governancestruktur der Nationalen Strategie und/oder das nationale Netzwerkbüro in Abstimmung mit AG VIII

Beschreibung Maßnahme:
Beide Wissenschaftsbereiche – Natur- und Geisteswissenschaften – sind herausgefordert, sich mit ihren jeweiligen Kompetenzen auf ein sehr konkretes, technisch geprägtes, überaus kompliziertes Gebiet einzulassen, das ebenso anspruchsvolle ethische, rechtliche und soziale Aspekte besitzt. Dazu sollten folgende Maßnahmen ergriffen werden, um die aktuellen Sachstände und ihre ethischen Implikationen in der gesellschaftlichen Diskussion zu verankern:

- Programme zur Forschung, die die geisteswissenschaftlichen, ethischen und technischen Aspekte zugleich berücksichtigen (ELSA-Projekte) durch Förderungslinien z. B. beim BMBF oder der DFG (auch als Begleitforschung bei einschlägigen Calls für Forschungskonsortien im Bereich von GCT)

- Fellowships oder Ähnliches für direkte(n) Austausch/ Interaktion mit Geisteswissenschaftler*innen an GCT-Instituten als Sabbatical/Visiting Fellow für einen ausreichend langen Zeitraum, um eine substanzielle und nachhaltige Interaktion zu ermöglichen, die nach Möglichkeit in eine gemeinsame Publikation mündet
- Interaktion mit der Leopoldina und Landesakademien zu GCT sowie mit Ethik-Instituten, Lehrstühlen an Universitäten im Bereich Medizin- und Bioethik, Akademien der Kirchen und Religionsgemeinschaften sowie Mitarbeit an Positionspapieren, die den Sachbereich GCT betreffen

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Mittelfristig (18–24 Monate)
- Projektmittel
- Reisekosten

Erfolgsindikatoren

- Projekte sind gestartet, erste Ergebnisse wurden veröffentlicht
- Festgelegte Anzahl von Fellowships wurden erteilt
- Festgelegte Anzahl von Publikationen veröffentlicht

Strategisches Ziel 3:
Gezielte Förderung des Nutzenpotenzials von GCT durch verstärkte Einbeziehung und Beteiligung von Forschungsförderorganisationen, Stiftungen und spendenbereiter Zivilgesellschaft

Erläuterung Ziel:
Organisationen der öffentlichen Forschungsförderung, Stiftungen sowie spendenbereite Einzelpersonen haben die Notwendigkeit einer verstärkten Förderung der Forschung und Entwicklung von GCT erkannt und erhöhen ihr Förderengagement.

Maßnahme 1:
Identifizierung und Mapping von Förderorganisationen, Stiftungen und fördernden Privatpersonen

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Moderation durch Governancestruktur der Nationalen Strategie und/oder das nationale Netzwerkbüro in Abstimmung mit AG VIII

Beschreibung Maßnahme:
Da die potenziellen Förderer keine homogene Gruppe darstellen, müssen sie zielgruppenspezifisch angesprochen werden. Potenzielle Förderorganisationen und spendenbereite Privatpersonen, die an der Entwicklung von GCT bzw. am Wissenstransfer in die Gesellschaft interessiert sind oder sein könnten, sollen hinsichtlich ihrer inhaltlichen bzw. regionalen Schwerpunkte ermittelt und im Sinne eines Mappings als Grundlage für die Ansprache in einer Datenbank erfasst werden.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Kurzfristig (1 Jahr): Analyse internationaler und nationaler Beispiele wie z. B. der Telethon Foundation und Erstellung einer Liste/Datenbank potenzieller Stifter und Förderer in Deutschland sowie deren Befragung, welche Informationen zur Nationalen Strategie sie zur Verfügung gestellt bekommen möchten
- Mittelfristig (2-3 Jahre): Durchführung von gezielten Veranstaltungen für Stiftungen und Einzelpersonen sowie Exploration von Möglichkeiten der PPPs, z. B. Etablierung eines Sonderfonds für GCT und Initiierung von Förderallianzen für die Entwicklung von GCT (analog der Impfallianzen)
- Langfristig/kontinuierlich (5 Jahre): Information interessierter Förderorganisationen und Stiftungen/Personen über den aktuellen wissenschaftlichen Stand im Bereich GCT

Erfolgsindikatoren

Höhe der öffentlichen und privaten Fördergelder für die Nationale Strategie insgesamt und für einzelne Maßnahmen und Projekte der GCT (zentral und regional)

Maßnahme 2:
Erstellung von spezifischem Informationsmaterial für Stiftungen und spendenbereite Einzelpersonen sowie Durchführung öffentlichkeitswirksamer Veranstaltungen zur Spendenakquise durch Einwerbung von auf den Wissenstransfer ausgerichteten Fördermitteln

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Moderation durch Governancestruktur der Nationalen Strategie und/oder das nationale Netzwerkbüro in Abstimmung mit AG VIII, Wissenschaftler*innen, Medienexpert*innen, Journalist*innen, Akademien

Beschreibung Maßnahme:

Etablierung eines kontinuierlichen Wissenstransfers mit unterschiedlichen und spezifisch ausgerichteten Formaten, um Fördermittel von Stiftungen und spendenbereiten Einzelpersonen zu akquirieren.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Kurzfristig (1 Jahr): Für Stiftungen und spendenbereite Einzelpersonen sollten individuelle Informationsmaterialien erstellt werden
- Mittelfristig (2–3 Jahre): Ausgehend vom Mapping der potenziellen Förderer und Stiftungen sollte speziell für den Bereich des Wissenstransfers auch eine Förderung durch einschlägige Stiftungen zum Zweck der Erstellung allgemeiner Informationsmaterialien zu GCT angestrebt werden. Insbesondere für Zielgruppen mit spezifischem Informationsbedarf (wie z. B. Menschen mit anderen Vorstellungen und Haltungen zur Prävention und Therapie von Erkrankungen oder bildungsfernen Gruppen) sollten spezielle Fördermittel (z. B. von regionalen Stiftungen mit einem Fokus auf den gesellschaftlichen Zusammenhalt) eingesetzt werden.
- Mittel- bis langfristig (3–5 Jahre): Durchführung öffentlichkeitswirksamer Veranstaltungen zur Schaffung von Awareness und Spendenakquise (z. B. wie bei Telethon, Ein Herz für Kinder etc.)

Erfolgsindikatoren

- Höhe der Fördermittel
- Reichweite des Wissenstransfers

Maßnahme 3:
Verstärkung bereits etablierter bzw. geplanter Fördermaßnahmen und deren Synergieentwicklung mit Stiftungen und spendenbereiten Einzelpersonen

Zur Umsetzung notwendige Akteure:
Moderation durch Governance-Struktur der Nationalen Strategie und/oder das nationale Netzwerkbüro in Abstimmung mit AG VIII, Forschungsförderorganisationen

Beschreibung Maßnahme:

In der Umsetzung der Nationalen Strategie sollten Optionen der Synergieentwicklung bereits bestehender Fördermaßnahmen für GCT (z. B. im Rahmen der DZGs, von regionalen Zentren etc.) mit Stiftungen bzw. spendenbereiten Einzelpersonen gezielt gefördert werden, z. B. im Sinne von Matching-Funds.

Zeitachse und Ressourcenbedarf

- Kurzfristig (1 Jahr): Mapping der bestehenden regionalen Strukturen im Bereich GCT mit Beschreibung der Schwerpunkte und Kapazitäten. Danach sollte ermittelt werden, welche Stiftungen und Förderer einen Regional- bzw. Schwerpunktbezug aufweisen, um ggf. mit diesen vernetzt werden zu können. Außerdem sollten neue Stiftungen mit passenden Stiftungszwecken im Regionalbezug zu bestehenden Fördermaßnahmen und Strukturen aktiv angesprochen werden
- Langfristig (5 Jahre): Entstehung eines Netzwerks von Stiftungen/Förderern und Forschungseinrichtungen von GCT

Erfolgsindikatoren

- Anzahl und Umfang von Förderungen und Kooperationen von Institutionen mit Stiftungen
- Entstehung von Netzwerken und Verbundprojekten

Übersicht: Strategische Ziele und Maßnahmen

Handlungsfeld	Strategisches Ziel	Maßnahme
I Vernetzung und Unterstützung der Stakeholder	1) Koordinierte Umsetzung der Maßnahmen der Nationalen Strategie	1) Etablierung einer Governancestruktur zur Umsetzung der Strategie
	2) Stärkung der politischen Verantwortung für das nationale Zukunftsthema GCT	1) Jährlicher Fortschrittsbericht zur Nationalen Strategie für GCT
		2) Unterjährige Maßnahmen zur Vermittlung der Erfolge des Nationalen Netzwerks GCT gegenüber der Politik auf Bundes- und Landesebene
		3) Politische Informationsveranstaltungen an Innovationsstandorten
		4) Kontaktaufbau und -pflege mit deutschen Vertreter*innen in EU-Gremien und Ausschüssen
	3) Stärkung nationaler Vernetzungsstrukturen	1) Etablierung einer zentralen Anlaufstelle (GCT-Website) mit strukturierten Informationen über alle Stakeholder
		2) Nationale GCT-Landkarte mit den relevanten Stakeholdern, Strukturen und sonstigen Akteuren sowie deren funktionellen Interaktionen
		3) Analyse der Netzwerkkomponenten und ihrer Vernetzung mit anschließender SWOT-Analyse
		4) Platzierung von GCT-Netzwerkanliegen in der nationalen Wissenschaftsgemeinschaft, Netzwerkveranstaltungen
	4) Auf- und Ausbau nationaler und internationaler Vernetzungsaktivitäten	1) Information von nationalen und internationalen Patientenvertretungen
		2) Information von Patient*innen
		3) Information internationaler/europäischer klinischer Forschungsgruppen
		4) Informationsaustausch mit nationalen und internationalen Regulatoren
		5) Ansprache von nationalen und internationalen Investor*innen und Geldgeber*innen
		6) Austausch und Kooperation mit Public-private Partnership (PPP)-Initiativen, insbesondere der europäischen Innovative Medicines Initiative (IMI)
		7) Gezielte Information von Wissenschaftsorganisationen und Verbänden
		8) Platzierung der GCT-Initiative auf Internationalen Wissenschaftskongressen
		9) Informationsaustausch mit Medizinischen Leistungserbringern und Krankenkassen
		10) Einbeziehung internationaler Entitäten in die GCT-Wertschöpfungskette
II Ausbildung und Kompetenzstärkung	1) Aufbau von Aus- und Weiterbildungsprogrammen für Nachwuchs- und Fachkräfte sowie Verbesserung der für die Aus- und Weiterbildung notwendigen Infrastruktur	1) Konzepterstellung und Implementierung einer mehrgliedrigen, modularen Zusatzausbildung
		2) Etablierung von berufsbegleitenden interdisziplinären Master- und Promotionsprogrammen an Universitäten und Fachhochschulen sowie von Trainingsprogrammen für alle in der GCT tätigen Berufsgruppen
		3) Einrichtung von nationalen Ausbildungs- und Trainingszentren für GCT zur Stärkung akademischer und nichtakademischer sowie industrieller Kompetenzen
	2) Entwicklung von adäquaten Karriere-, Gratifikations- und Interaktionskonzepten	1) Schaffung von Anreiz- und Gratifikationssystemen sowie von Karrierekonzepten
		2) Entwicklung eines Interaktionskonzepts der an der Ausbildung und Karriereentwicklung beteiligten Stakeholder

Handlungsfeld	Strategisches Ziel	Maßnahme
III Technologietransfer	1) Verbesserung der Rahmenbedingungen zur frühen Erkennung und Umsetzung des innovativen Potenzials von wissenschaftlichen Ergebnissen	1) Bildung, Ausbildung und Schulung
		2) Stärkung der Technologietransferstellen (TTOs)
		3) Aufbau von Strukturen zur gezielten Umsetzung und Marktvorbereitung von GCT-Projekten
	2) Ganzheitliche Beratung und Bewertung von Transferprojekten, die den gesamten Entwicklungsprozess eines innovativen Prüfpräparats (Investigational Medicinal Product, IMP) von der Produktion bis zur Anwendung am Patienten oder an der Patientin einbezieht	1) Aufbau einer Product Development Unit (PDU) zur Unterstützung von Projektplanung und -durchführung
		2) Schaffung und Betrieb von gemeinsam nutzbarer Infrastruktur für GCT-Entwickler*innen
	3) Erleichterung der Verwertung des gesellschaftlichen und/oder wirtschaftlichen Potenzials der wissenschaftlichen Ergebnisse	1) Erarbeitung eines nationalen Leitfadens für transparente Ausgründungsstandards, zum Beispiel auf der Basis des USIT Guides
		2) Klärung und Verbesserung der Rahmenbedingungen, damit Start-ups in der Anfangsphase bestehende Infrastrukturen der (Mutter-)Forschungseinrichtung verwenden können, insbesondere teure GMP-Infrastruktur
		3) Patentrecherchen und Analysen für einige wenige absolute Schlüsseltechnologien
	4) Etablierung der Anerkennung von Transferleistungen und Translationserfolgen als Teil der wissenschaftlichen Reputation von Einzelpersonen und Institutionen	1) Optimierung der akademischen Anreizsysteme und projektspezifische Beschäftigung qualifizierter Mitarbeiter*innen
		2) Erfolgsgeschichten zum Technologietransfer kommunizieren
		3) Transferleistungen von Forschungseinrichtungen als Qualitätskriterium
IV Standards, Normen und regulatorische Rahmenbedingungen	1) Defragmentierung und Vereinheitlichung von Zuständigkeiten und Prozessen in der klinischen Forschung und Entwicklung von GCT sowie Stärkung der Bundesoberbehörde und ihrer Ressourcen als Single Point of Contact	1) Umsetzung von einheitlichen Standards und Prozessen zur Erteilung einer Herstellungserlaubnis insbesondere im Kontext von GCT und ihren Startmaterialien und Wirkstoffen durch Anpassung der Kompetenzzuordnung zwischen lokalen Behörden und dem PEI
		2) Stärkung des PEI mit ausreichenden Ressourcen
		3) Zusammenführung und Integration der verschiedenen Genehmigungsprozesse für die Entwicklung von Medizinprodukten und In-vitro-Diagnostika einschließlich ihrer Software in das bestehende Antrags- und Genehmigungsverfahren für Arzneimittelstudien nach EU VO CTR 536/2014 und in den zentralen Zulassungsprozess nach Regulation (European Commission, EC) No 726/2004
	2) Kontinuierliche Anpassung regulatorischer Prozesse an die Entwicklungen im GCT-Bereich	1) Aufbau eines zentralen GCT-GMP- und -Regulatorik-Gremiums
		2) Erweiterung von Master-File-Systemen auf GCT
		3) Entwicklung und Einführung eines „Entwicklungsfelds"/einer „Sandbox"
		4a) Ergebnisoffene Diskussion zur derzeitigen ATMP-Definition und zu den relevanten Regulationswegen für den Bereich adoptiver Zelltherapien mit genetisch veränderten Zellen (z. B. CAR-T-Zelltherapie)
		4b) Reform des deutschen Stammzellgesetzes
		5) Aufbau eines Registers für Hospital Exemptions zur Erhöhung der Transparenz und Erfolgsmessung
	3) Erhöhung der Verfügbarkeit niederschwelliger regulatorischer Beratung	1) Aufbau eines Angebots niederschwelliger regulatorischer Beratung

Handlungsfeld	Strategisches Ziel	Maßnahme
V Ausbau von Qualität und Kapazitäten in der GMP-Produktion	1) Bedarfsangepasster Auf- und Ausbau von qualifizierten GMP-Infrastrukturen (Herstellungs- und Qualitätskontrollkapazitäten), insbesondere für Ausgangsmaterialien und für komplexe GCT-Produkte	1) Schaffung eines zentralen GCT-GMP- und -Regulatorik-Gremiums
		2) Erhebung von Daten zu den vorhandenen und in Planung und im Aufbau befindlichen akademischen und industriellen GMP-Infrastrukturen in Deutschland im Vergleich zu Europa sowie Ermittlung des Bedarfs an GMP-Infrastrukturen zur Herstellung und Qualitätskontrolle von GCT
		3) Bereitstellung ausreichender Mittel von Bund, Ländern und anderen Kapitalgebern für den bedarfsgerechten Auf- und Ausbau, Erhalt sowie den Betrieb von GMP-Infrastrukturen
		4) Schaffung einer zentralen nationalen Produktionseinrichtung für die Herstellung kritischer Ausgangsstoffe für GCT
	2) Sicherstellung der benötigten Personalkapazitäten und Expertise für die GCT-Herstellung und Qualitätskontrolle	1) Erweiterung und Professionalisierung des Angebots an Aus- und Weiterbildung von qualifiziertem Personal in allen Bereichen der GMP-Produktion von GCT
		2) Verbesserung der Arbeitsrahmenbedingungen zur Gewinnung und zum Halten qualifizierten Fachpersonals im Bereich GCT
	3) Effizienzsteigerung und Beschleunigung der Prozesse in der Herstellung	1) Aufbau einer übersichtlichen, für alle Akteure zugänglichen Datenbank mit herstellungsrelevanten Informationen und Unterlagen
		2) Schaffung einer einheitlichen Wissens- und Kommunikationsgrundlage basierend auf Repositorien zur bzw. zum einheitlichen Datenspeicherung und -zugriff
	4) Weiterentwicklung und rsikobasierte Verschlankung der Rahmenbedingungen	1) Harmonisierung und risikobasierte Verschlankung der gesetzlichen und regulatorischen Vorgaben für die GMP-gerechte Herstellung und Kontrolle
VI Forschung und Entwicklung	1) Verbesserung der strukturellen Voraussetzungen für translationale Forschung und Entwicklung	1) Etablierung eines Nationalen GCT-Netzwerks mit Knotenpunkten
	2) Identifikation und Förderung von Zukunftsthemen	1) Etablierung neuer flexibler Förderformate mit kurzer Vorlaufzeit, die Bedarfe erfüllen, die derzeit nicht ausreichend berücksichtigt sind
	3) Verbesserung der organisatorischen und regulatorischen Rahmenbedingungen für präklinische und klinische GCT-Studien	1) Leichtere Implementierung von GCT-Herstellung und ihrer Translation in frühe klinische Studien
		2) Akzeptanz von Tierversuchen und realistische Einschätzung der Möglichkeiten von Ersatzverfahren
		3) Erhebung und Bereitstellung von Leistungskennzahlen von Regulator*innen und Aufsichtsbehörden
		4) Optimierung und Weiterentwicklung von Ethikkommissionen
	4) Gewährleistung der Einbindung von Patient*innen Patientenfürsprecher*innen und Patientenorganisationen	1) Festlegung von Standards für Projektbudgets und die Vergütung von Patientenvertreter*innen
		2) Entwicklung spezifischer Interaktionskonzepte
	5) Mentalitätswandel und Verstärkung eines bioentrepreneurial Spirit in der deutschen GCT-Gemeinschaft	1) Förderung des für GCT notwendigen Mentalitätswandels
		2) Karriereaussichten und Zielpositionen für Naturwissenschaftler*innen als Bioentrepreneure im öffentlichen Sektor

Handlungsfeld	Strategisches Ziel	Maßnahme
VII Marktzulassung und Übergang in die Versorgung	1) Erleichterter Zugang zu und gezielte Auswahl von Patient*innen für eine GCT	1) Entwicklung und Umsetzung von Fort- und Weiterbildungskonzepten zur optimalen Diagnostik für das Identifizieren und Stratifizieren von Patient*innen sowie das Monitoring des Behandlungsverlaufs für Einrichtungen der Regelversorgung
		2) Verankerung interdisziplinärer Therapieentscheidungs-Boards in der GCT-Diagnostik
		3) Erstellung von bundesweit einheitlichen Qualifikationskriterien und Standards für die entsprechende GCT-Zugangs- und -Verlaufsdiagnostik
	2) Flexibilisierung von Erstattungs- und Versorgungsmodellen in der Anwendung von GCT	1) Berücksichtigung der bestverfügbaren Evidenz im Rahmen der Zusatznutzenbewertung
		2) Anpassung der Kriterien für die Berücksichtigung versorgungsnaher Daten bei der Nutzenbewertung
		3) Konkretisierung der nutzenbasierten Preisbildung
		4) Verstärkte Nutzung von erfolgsabhängigen Erstattungsmodellen im Rahmen der zentralen Preisverhandlung
		5) Vereinheitlichung und Kostendeckung der Vergütung der Diagnostik
		6) Schaffung flexiblerer Erstattungsmodelle in der Finanzierung der Qualitätssicherung/Versorgung
	3) Qualitativ hochwertige, sichere und effiziente Behandlung der Patient*innen mit innovativen Therapien durch die Etablierung von interdisziplinären GCT-Behandlungseinrichtungen	1) Etablierung einer engen strukturellen Interaktion von Forschung und Versorgung
		2) Verschlankung der Prozesse der für die Durchführung von GCT notwendigen Qualifizierungen und Zertifizierungen der Behandlungseinrichtungen
		3) Verschlankung der Prozesse der Vertragsgestaltung
		4) Sicherstellung einer reibungslosen Zuweisung und Kommunikation unter den an der Behandlung beteiligten Personen und Institutionen
	4) Optimierung und Etablierung der Datenlandschaft zum Zwecke der vielseitigen Nutzbarkeit in der Forschung und Nachverfolgung von Langzeitdaten von GCT	1) Standardisierung der Erfassung und Dokumentation von Anwendungsdaten
		2) Verstetigung eines methodenspezifischen nationalen GCT-Registers
VIII Interaktion mit der Gesellschaft	1) Informiertheit der Gesellschaft über GCT durch Bereitstellung verlässlicher und zielgruppenspezifischer Informationen	1) Aufbau einer zentralen Kommunikationsplattform mit Webpräsenz zur Bereitstellung von Informationen für die verschiedenen relevanten Zielgruppen
		2) Zielgruppenspezifische Informationsangebote für die breite Öffentlichkeit erstellen bzw. auf diese verweisen
		3) Zielgruppenspezifische Informationsangebote für Medienvertreter*innen/Journalist*innen erstellen bzw. auf diese verweisen
		4) Zielgruppenspezifische Informationsangebote für Patient*innen und Patientenorganisationen erstellen bzw. auf diese verweisen
		5) Zielgruppenspezifische Informationsangebote für Schüler*innen, Studierende und Lehrende erstellen bzw. auf diese verweisen
		6) Zielgruppenspezifische Informationsangebote für medizinische Fachgesellschaften erstellen bzw. auf diese verweisen
		7) Regelmäßigen Newsletter für einschlägige GCT-Publikationen und -Aktivitäten für Patient*innen/Organisationen/Fachgesellschaften anbieten
	2) Unterstützung/Beratung der Entscheidungsträger*innen durch Stärkung der Interaktion mit der Politik sowie Herstellung/Wahrung eines ergebnisoffenen geisteswissenschaftlichen/gesellschaftlichen Diskurses	1) Verbesserung der zielgerichteten Übermittlung von Informationen an die Politik
		2) Herstellung/Wahrung eines ergebnisoffenen geisteswissenschaftlichen/gesellschaftlichen Diskurses
	3) Gezielte Förderung des Nutzenpotenzials von GCT durch verstärkte Einbeziehung und Beteiligung von Forschungsförderorganisationen, Stiftungen und spendenbereiter Zivilgesellschaft	1) Identifizierung und Mapping von Förderorganisationen, Stiftungen und fördernden Privatpersonen
		2) Erstellung von spezifischem Informationsmaterial für Stiftungen und spendenbereite Einzelpersonen sowie Durchführung öffentlichkeitswirksamer Veranstaltungen zur Spendenakquise durch Einwerbung von auf den Wissenstransfer ausgerichteten Fördermitteln
		3) Verstärkung bereits etablierter bzw. geplanter Fördermaßnahmen und deren Synergieentwicklung mit Stiftungen und spendenbereiten Einzelpersonen

Abkürzungsverzeichnis

5qSMA	Spinale Muskelatrophie auf Chromosom 5
AABB	Association for the Advancement of Blood and Biotherapies / Vereinigung zur Förderung von Blut- und Biotherapien
AAV	Adeno-assoziierte Viren
AbD	Anwendungsbegleitende Datenerhebung
ACHSE	Allianz Chronischer Seltener Erkrankungen
AG	Arbeitsgruppe
AMG	Arzneimittelgesetz
AMNOG	Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz
AMWHV	Arzneimittel- und Wirkstoffherstellungsverordnung
AM-NutzenV	Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung
ATMP	Advanced Therapy Medicinal Products / Arzneimittel für neuartige Therapien
BÄK	Bundesärztekammer
BEL	Belgien
BfArM	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte
BMBF	Bundesministerium für Bildung und Forschung
BMG	Bundesministerium für Gesundheit
BMWK	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz
BOB	Bundesoberbehörde
BvR	Beschwerdeverfahren des Bundesverfassungsgerichts
CAR	Chimeric Antigen Receptor / Chimärer Antigenrezeptor
Cas	CRISPR-assoziiertes Protein
CDMO	Contract Development and Manufacturing Organization Organisation für Auftragsentwicklung und -fertigung
CRISPR	Clustered Regularly Interspaced Short Palindromic Repeats / gehäuft auftretende, regelmäßig unterbrochene, kurze Palindrom-Wiederholungen
CTA	Clinical Trial Application
CTIS	Clinical Trials Information System / Informationssystem für klinische Prüfungen
CTO	Clinical Trial Office / Klinisches Studienbüro
CTR	Clinical Trials Regulation / Verordnung über klinische Prüfungen
DDC	Drug-Device-Combination / Kombinationsprodukt
DFG	Deutsche Forschungsgemeinschaft
DKH	Deutsche Krebshilfe
DMD	Duchenne Muskeldystrophie
DRG	Diagnosis Related Groups
DRST	Deutsches Register für hämatopoetische Stammzelltransplantation und Zelltherapie
DZG	Deutsche Zentren für Gesundheitsforschung
EBMT	European Society for Blood and Marrow Transplantation / Europäische Gesellschaft für Blut- und Knochenmarktransplantation
ELSA	Ethical Legal and Social Aspects / ethische, rechtliche und soziale Aspekte
EMA	European Medicines Agency / Europäische Arzneimittelbehörde
EORTC	European Organisation for Research and Treatment of Cancer / Europäische Organisation für Forschung und Behandlung von Krebs
ERN	European Reference Networks / Europäische Referenznetzwerke
ESC	Embryonic Stem Cells / Embryonale Stammzellen
EU	Europäische Union
EU-VO	EU-Verordnung
FIH	First-in-human / Erstanwendung am Menschen
FDA	U.S. Food and Drug Administration / Lebensmittel- und Arzneimittelbehörde der Vereinigten Staaten
FDZ	Forschungsdatenzentrum
FTO	Freedom-to-Operate / Ausübungsfreiheit
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
GB	Great Britain / Großbritannien
GCT	Gen- und zellbasierte Therapien
GKV	Gesetzliche Krankenversicherung
GLP	Good Laboratory Practice / Gute Laborpraxis
GMP	Good Manufacturing Practice / Gute Herstellungspraxis
hiPSCs	Human Induced Pluripotent Stem Cells / Humane induzierte pluripotente Stammzellen
HDR	Homology-directed repair / Homologiegerichtete Reparatur
HTA	Health Technology Assessment / Bewertung von Gesundheitstechnologien
IIT	Investigator-Initiated Trial / Prüferinitiierte Studie

IMA	Indikatorgestützte Mittelallokationen
IMI	Innovative Medicines Initiative / Initiative für innovative Arzneimittel
IMP	Investigational Medicinal Product / Medizinisches Prüfpräparat
IND	Investigational New Drug / Prüfpräparat
IP	Intellectual Property / Geistiges Eigentum
iPS Zellen / iPSC	Induced Pluripotent Stem Cell / Induzierte pluripotente Stammzelle
IVDR	In Vitro Diagnostic Regulation / Verordnung für In-vitro-Diagnostika
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
KI	Künstliche Intelligenz
MATSE	Mathematisch-technische*r Softwareentwickler*in
MRC	Medical Research Council / Medizinischer Forschungsrat
MDR	Medical Device Regulation / Medizinprodukteverordnung
MRD	Minimal Residual Disease / Minimale Resterkrankung
mRNA	Messenger-Ribonucleic acid / Boten-Ribonukleinsäure
Morbi-RSA	Morbiditätsorientierter Risikostruktur-ausgleich
MTA	Medizinisch-technische*r Assistent*in
NGS	Next Generation Sequencing / Hochdurchsatzsequenzierung
n-of-few	Wenige Patienten*innen
n-of-1	Einzelne Patienten*innen
NUM	Netzwerk Universitätsmedizin
OBO Foundry	Open Biological and Biomedical Ontology Foundry / Offene biologische und biomedizinische Ontologie-Gemeinschaft
OPS	Operationen- und Prozedurenschlüssel
PAES	Post-authorization efficacy studies / Wirksamkeitsstudien nach der Zulassung
PASS	Post-authorization safety studies / Unbedenklichkeitsstudien nach der Zulassung
PCSK9	Proprotein Convertase Subtilisin/Kexin Type 9 / Proproteinkonvertase Subtilisin/ Kexin Typ 9
PDU	Product Development Unit / Einheit für Produktentwicklung
PEI	Paul-Ehrlich-Institut
PICO	Population, Intervention, Comparator, Outcome / Population, Behandlung, Vergleichsgruppe, Ergebnis
PPP	Public-private Partnership / Öffentlich-private Partnerschaft
QP	Qualified Person / Sachkundige Person
QS-I	Qualitätssicherungsmeetings I
RKI	Robert Koch-Institut
RNA	Ribonucleic acid / Ribonukleinsäure
RSU	Regulatory Support Unit / Einheit für Regulatorische Unterstützung
RWE	Real-World-Evidenz / Daten aus der medizinischen Routine
SGB V	Sozialgesetzbuch Fünftes Buch
SOP	Standard Operating Procedure / Standardarbeitsanweisung
SPRIN-D	Bundesagentur für Sprunginnovationen
SWOT	Strengths, Weaknesses, Opportunities, Threats / Stärken, Schwächen, Chancen und Risiken
TenU	Internationale Kollaboration für die Erfassung effektiver Praktiken bei der Vermarktung von Forschung
TierSchG	Tierschutzgesetz
TPP	Target Product Profile / Zielproduktprofil
TTO	Technologie-Transfer-Office / Technologietransferstelle
USA	United States of America / Vereinigte Staaten von Amerika
USIT Guide	University Spinout Investment Terms / Investitionsbedingungen für Hochschulausgründungen
VC	Venture Capital / Wagniskapital
VerfO	Verfahrensordnung
WES/WGS	Whole Exome/Genome Sequencing / vollständige Exom-/Genomsequenzierung
WIPANO	Wissens- und Technologietransfer durch Patente und Normen
WissZeitVG	Wissenschaftszeitvertragsgesetz
ZLG	Zentralstelle der Länder für Gesundheitsschutz bei Arzneimitteln und Medizinprodukten

Verzeichnis der Autor*innen

A

Aigner, Michael	Universitätsklinikum Erlangen, Medizinische Klinik 5 – Hämatologie und Internistische Onkologie, Erlangen
Apel, Michael	Miltenyi Biotec B.V. & Co. KG, R&D Department – Grants and Collaborations, Bergisch Gladbach
Aschermann, Katja	TETEC AG, Quality, Reutlingen
Aygün, Hüseyin	BioSpring Gesellschaft für Biotechnologie mbH, Frankfurt am Main
Ayuk, Francis	Universitätsklinikum Hamburg-Eppendorf (UKE), Klinik für Stammzelltransplantation, Hamburg und Deutsche Arbeitsgemeinschaft für Hämatopoetische Stammzelltransplantation und Zelltherapie (DAG-HSZT) e.V., München

B

Baluch, Maike	Verband der Diagnostica-Industrie e.V. (VDGH), Market Access, Berlin
Bartok, Eva	Universitätsklinikum Bonn, Institut für Expermintelle Hämatologie und Transfusionsmedizin, Bonn
Bathmann, Thorsten	Verband Forschender Arzneimittelhersteller e.V. (vfa), Bereich Wirtschaftspolitik, Berlin
Baum, Christopher	Berlin Institute of Health at Charité (BIH), Berlin
Beckhove, Philipp	LIT – Leibniz-Institut für Immuntherapie, Abteilung Interventionelle Immunologie, Regensburg und Universität Regensburg, Regensburg
Beier, Fabian	Uniklinik der Rheinisch-Westfälischen Technischen Hochschule (RWTH) Aachen, Klinik für Hämatologie, Onkologie, Hämostaseologie und Stammzelltransplantation, Aachen
Berdel, Wolfgang	Ethik-Kommission Westfalen-Lippe, Münster und Arbeitskreis Medizinischer Ethik-Kommissionen, Berlin und Universitätsklinikum Münster, Medizinische Klinik A, Münster
Besser, Daniel	Berlin Institute of Health at Charité (BIH), Dialogplattform Stammzellforschung, Berlin und German Stem Cell Network (GSCN), Berlin
Bethge, Wolfgang	Universitätsklinikum Tübingen, Medizinische Klinik II Hämatologie, Onkologie, Klinische Immunologie und Rheumatologie/Zentrum für Klinische Studien ZKS Tübingen, Tübingen und Deutsche Arbeitsgemeinschaft für Hämatopoetische Stammzelltransplantation und Zelltherapie (DAG-HSZT) e.V., München
Bethke, Ulf	Miltenyi Biotec B.V. & Co. KG, Cell and Gene Therapy Business APAC, Bergisch Gladbach
Bönig, Halvard	Goethe-Universität Frankfurt, Fachbereich Medizin, Institut für Transfusionsmedizin und Immunhämatologie, Translationale Entwicklung von Zelltherapeutika, Frankfurt am Main und DRK-Blutspendedienst Baden-Württemberg-Hessen, Abteilung Zelltherapeutika/GMP, Frankfurt am Main
Bornhäuser, Martin	Universitätsklinikum Carl Gustav Carus, Med. Klinik und Poliklinik I, Dresden und Nationales Centrum für Tumorerkrankungen (NCT), Deutsches Krebsforschungszentrum (DKFZ), Dresden
Brüstle, Oliver	Universitätsklinikum Bonn, Institut für Rekonstruktive Neurobiologie, Bonn und German Stem Cell Network (GSCN), Berlin
Buchholz, Frank	Technische Universität Dresden, Medizinische Fakultät und Universitätsklinikum Carl Gustav Carus, Medizinische Systembiologie, Dresden
Buhl, Thomas	Helmholtz Munich, Venture & Transfer Programs, München
Bunders, Madeleine	Universitätsklinikum Hamburg-Eppendorf (UKE), Sektion Regenerative Medizin und Immunologie, III. Medizinische Klinik und Poliklinik, Hamburg und Leibniz-Institut für Virologie, Hamburg
Büning, Hildegard	Medizinische Hochschule Hannover (MHH), Institut für Experimentelle Hämatologie, Hannover und Deutsche Gesellschaft für Gentherapie e.V. (DG-GT e.V.), Hannover
Busch, Dirk	Technische Universität München (TUM), TUM School of Medicine and Health, Institut für Med. Mikrobiologie, Immunologie und Hygiene, München und Deutsches Zentrum für Infektionsforschung (DZIF), Braunschweig
Bussmann, Jens	Verband der Universitätsklinika Deutschlands e.V., Berlin

C

Cantz, Tobias	Medizinische Hochschule Hannover (MHH), Abteilung Gastroenterologie, Hepatologie, Infektiologie und Endokrinologie, Hannover
Cathomen, Toni	Universitätsklinikum Freiburg, Institut für Transfusionmedizin und Gentherapie, Freiburg und Universität Freiburg, Medizinische Fakultät, Freiburg
Challand, Andrea	F. Hoffmann-La Roche Ltd, Pharma Technical CGT/ Regulatory Affairs, Basel, Schweiz
Conrad, Christoph	Berlin Institute of Health at Charité (BIH), Stabsstelle Regulatorik, Berlin

D

Di Donato, Nataliya	Medizinische Hochschule Hannover (MHH), Institut für Humangenetik, Hannover
Duda, Georg	Berlin Institute of Health at Charité (BIH), Julius Wolff Institut und BIH Center for Regenerative Therapies, Berlin und Charité – Universitätsmedizin Berlin, Centrum für Muskuloskeletale Chirurgie, Berlin

E

Edinger, Matthias	Universitätsklinikum Regensburg, Klinik und Poliklinik für Innere Medizin III, Regensburg und Leibniz-Institut für Immuntherapie, Regensburg
Eichmüller, Stefan	Deutsches Krebsforschungszentrum (DKFZ), GMP & T Zelltherapie, Heidelberg und Nationales Centrum für Tumorerkrankungen (NCT), Heidelberg
Einsele, Hermann	Universitätsklinikum Würzburg, Medizinische Klinik und Poliklinik II (ZIM), Würzburg
Eiz-Vesper, Britta	Medizinische Hochschule Hannover (MHH), Institut für Transfusionsmedizin und Transplantat Engineering Hannover und Deutsches Zentrum für Infektionsforschung (DZIF), Hannover-Braunschweig
Englmeier, Ludwig	Technische Universität Dresden, Zentrum für Regenerative Therapien Dresden (CRTD), Dresden und scrIPtum, Patentanwaltskanzlei, Dr. Ludwig Englmeier, Oberaudorf
Eyrich, Matthias	Universitätsklinikum Würzburg, Kinderklinik und Poliklinik, Würzburg

F

Fehse, Boris	Universitätsklinikum Hamburg-Eppendorf (UKE), Klinik für Stammzelltransplantation, Forschungsabteilung Zell- und Gentherapie, Hamburg
Feuchtinger, Tobias	Universitätsklinikum Freiburg, Pädiatrische Hämatologie und Onkologie, Zentrum für Kinder- und Jugendmedizin, Freiburg
Föll, Jürgen	Universitätsklinikum Regensburg, Abteilung für pädiatrische Hämatologie, Onkologie und Stammzelltransplantation, Regensburg
Forler, Daniel	Bayer AG, BD&L – CGT/Cardiovascular/Immunology, Berlin
Förner, Johannes	Deutsches Krebsforschungszentrum (DKFZ), Patientenbeirat Krebsforschung, Heidelberg
Frank, Stefan	BlueRock Therapeutics, Strategy & Operations, Berlin
Frick, Markus	Bayer AG, Global Market Access for Cell and Gene Therapy, Berlin
Fricke, Stephan	Fraunhofer-Institut für Zelltherapie und Immunologie, Abteilung Zell- und Gentherapieentwicklung, Leipzig und Klinikum Chemnitz gGmbH, Klink für Innere Medizin III, Hämatologie, Onkologie und Zelltherapie, Chemnitz
Friedrichs, Juliane	Haus der Krebs-Selbsthilfe – Bundesverband e.V., Bonn
Fuchs, Anke	Technische Universität Dresden, Zentrum für Regenerative Therapien Dresden (CRTD), Dresden
Fülle, Hans-Jürgen	Miltenyi Biomedicine GmbH, Global Regulatory Affairs, Bergisch-Gladbach

G

Gaber, Faten	Roche Pharma AG, Abteilung Kommunikation und Public Affairs, Grenzach-Wyhlen
Gallus, Christian	Berlin Institute of Health at Charité (BIH), Strategisches Wissenschaftsmanagement, Berlin
Gazlig, Thomas	Berlin Institute of Health at Charité (BIH), Charité BIH Innovations, Berlin
Graessner, Holm	Universität und Universitätsklinikum Tübingen, Zentrum für Seltene Erkrankungen, Tübingen
Grimm, Dirk	Universität Heidelberg, Medizinische Fakultät und Fakultät für Ingenieurwissenschaften, Zentrum für Infektiologie, Abteilung Virologie, Sektion Virale Vektortechnologie, BioQuant, Heidelberg
Grunwald, Stefanie	Berlin Institute of Health at Charité (BIH), Charité BIH Innovation, Berlin
Grüters-Kieslich, Annette	Eva Luise und Horst Köhler Stiftung, Bonn
Gwinner, Thomas	TETEC Tissue Engineering Technologies AG, Reutlingen

H

Hahne, Andrea	Haus der Krebs-Selbsthilfe – Bundesverband e.V., Bonn
Haindl, Markus	Roche Diagnostics GmbH, Gene Therapy Technical Research and Development, Penzberg
Harms, Günter	Novartis Pharma GmbH, Novartis Gene Therapies, Market Access, Germany, Austria, Switzerland, Nürnberg
Hauke, Rudolf	Patientenbeirat Krebsforschung des Deutschen Krebsforschungszentrums (dkfz), Heidelberg und Patientenforschungsrat Nationales Centrum für Tumorerkrankungen (NCT), Heidelberg
Hauser, Hansjörg	Helmholtz Zentrum für Infektionsforschung (HZI), Wissenschaftliche Strategie, Braunschweig und Instituto de Biologia Experimental e Tecnologica (iBET), Lissabon, Portugal
Hengst, Julia	Sartorius Stedim Biotech GmbH, Technical Sales and Product Management, Göttingen
Herr, Wolfgang	Universitätsklinikum Regensburg, Klinik und Poliklinik für Innere Medizin III – Hämatologie und internistische Onkologie, Regensburg und Nationales Centrum für Tumorerkrankungen (NCT), Standort WERA
Hildebrandt, Martin	Klinikum rechts der Isar der Technischen Universität München (TUM), Medizinische Klinik und Poliklinik III, Hämatologie und Onkologie, München und Ethikkommission des Landes Berlin, Berlin
Hoehne, Annette	Novartis Deutschland GmbH, Medical, Nürnberg
Hoffmann, Georg Friedrich	Universitätsklinikum Heidelberg, Zentrum für Kinder- und Jugendmedizin, Klinik I (Schwerpunkte: Allgemeine Kinderheilkunde, Neuropädiatrie, Stoffwechsel, Gastroenterologie, Nephrologie), Heidelberg
Hölig, Kristina	Technische Universität Dresden, Universitätsklinikum Carl Gustav Carus, Medizinische Klinik und Poliklinik I Transfusionsmedizin, Dresden
Höpken, Uta	Max-Delbrück-Centrum für Molekulare Medizin in der Helmholtz-Gemeinschaft, Berlin
Hoppe Alvarez, Laura	Bayer AG, Business Development & Licensing & OI,PH, Pharmaceuticals, BD&L Strategy & Operations, Düsseldorf
Houwaart, Stefanie	BRCA-Netzwerk e.V. – Hilfe bei familiären Krebserkrankungen, Bonn
Huber, Nathalie	Berlin Institute of Health at Charité (BIH), Biomedical Innovation Academy (BIA), Berlin
Hudececk, Michael	Universitätsklinikum Würzburg, Medizinische Klinik und Poliklinik II, Würzburg und Fraunhofer Institut für Zelltherapie und Immunologie IZI, Leipzig, Außenstelle für Zelluläre Immuntherapie, Würzburg
Humpe, Andreas	Ludwig-Maximilians-Universität München (LMU), Ludwig-Maximilians-Universität München (LMU) Klinikum, Abteilung für Transfusionsmedizin, Zelltherapeutika und Hämostaseologie, München

J

Jäger, Dirk	Universitätsklinikum Heidelberg, Medizinische Onkologie, Nationales Centrum für Tumorerkrankungen Heidelberg, Heidelberg und Deutsches Krebsforschungszentrum DKFZ, Klinische Kooperationseinheit „Applied Tumor-Immunity“, Heidelberg

K

Kachler, Marco	Fachhochschule Kärnten, Institut für Biomedizinische Analytik, Klagenfurt, Österreich
Kahnert, Michael	Miltenyi Biotec B.V. und Co. KG, Bergisch Gladbach
Kalinke, Ulrich	„TWINCORE, Zentrum für Experimentelle und Klinische Infektionsforschung, eine Gemeinschaftseinrichtung des Helmholtz-Zentrums für Infektionsforschung und der Medizinischen Hochschule Hannover (MHH), Institut für Experimentelle Infektionsforschung, Hannover
Kauch, Michael	Michael Kauch Consulting, Dortmund
Käuferle, Theresa	Ludwig-Maximilians-Universität Klinikum – Dr. von Hauner'sche Kinderklinik, Abteilung Hämatologie, Onkologie und Stammzelltransplantation, München und Deutsches Zentrum für Infektionsforschung (DZIF), München
Kim, Johnny	TRON gGmbH, The Center for Cardiovascular Immunology and Regeneration, Mainz
Kinner, Stefan	Vertex Pharmaceuticals Government Affairs & Public Policy, München
Kirschner, Janbernd	Universitätsklinikum Freiburg, Klinik für Neuropädiatrie und Muskelerkrankungen, Freiburg im Breisgau
Klump, Hannes	Universitätsklinikum der Rheinisch-Westfälischen Technischen Hochschule (RWTH) Aachen, Institut für Transfusionsmedizin und Zelltherapeutika, Aachen
Kobold, Sebastian	Ludwig-Maximilians-Universität Klinikum, Abteilung für klinische Pharmakologie, München und Deutsches Konsortium für Translationale Krebsforschung (DKTK), Partnerstandort München
Kochanek, Stefan	Universitätsklinikum Ulm, Abteilung Gentherapie, Ulm
Köhl, Ulrike	Fraunhofer-Institut für Zelltherapie und Immunologie IZI, Leipzig und Universität Leipzig, Medizinische Fakultät / Universitätsklinikum Leipzig, Institut für Klinische Immunologie, Leipzig
Künkele-Langer, Annette	Charité – Universitätsmedizin Berlin, Klinik für Pädiatrie m.S. Onkologie und Hämatologie, Berlin
Kupatt, Christian	Klinikum rechts der Isar der Technischen Universität München (TUM), Klinik und Poliklinik für Innere Medizin I, München
Kurz, Thekla	Miltenyi Biotec B.V. & Co. KG, Miltenyi Bioindustry, Bergisch Gladbach

L

Lamprecht, Björn	Roche Pharma AG, Integrated Commercial Solutions, Grenzach-Wyhlen
Landsberg, Christiane	Thermo Fisher Scientific B.V., Government Relations Germany, Berlin
Lang, Peter	Universitätsklinikum Tübingen, Klinik für Kinder- und Jugendmedizin, Abteilung I, Tübingen
Latz, Eicke	Deutsches Rheuma-Forschungszentrum Berlin, Berlin und Charité-Universitätsmedizin Berlin, Berlin
Lengerke, Claudia	Universitätsklinikum Tübingen, Innere Medizin II-Hämatologie, Onkologie, klinische Immunologie und Rheumatologie, Tübingen
Lickert, Heiko	Helmholtz Munich, Institute of Diabetes and Regeneration Research, Neuherberg und Technische Universität München (TUM), Fakultät für Medizin, München
Lübker, Carolin	Roche Pharma AG, Health System & Governmental Affairs, Grenzach-Wyhlen
Ludwig, Barbara	Technische Universität Dresden, Universitätsklinikum Carl Gustav Carus, Medizinische Klinik und Poliklinik III, Dresden
Luger, Elke	Berlin Institute of Health at Charité (BIH), Nationales Netzwerkbüro für Gen- und Zelltherapien, Berlin

M

Maass, Gerd	Roche Diagnostics GmbH, Scientific Partnerships, Penzberg
Mackensen, Andreas	Universitätsklinikum Erlangen, Medizinische Klinik 5 – Hämatologie & Internistische Onkologie, Erlangen und Bayerisches Zentrum für Krebsforschung (BZKF), Erlangen
Magnus, Jørgen Barsett	Rheinisch-Westfälische Technische Hochschule (RWTH) Aachen, Aachen
Maleck, Klaus	ITM Isotopen Technologien München AG, München

Martin, Ulrich	Medizinische Hochschule Hannover (MHH), Klinik für Herz-, Thorax-, Transplantations- und Gefäßchirurgie, Leibniz Forschungslaboratorien für Biotechnologie und künstliche Organe, Hannover
Matz, Mareen	Berlin Institute of Health at Charité (BIH), Strategisches Wissenschaftsmanagement, Berlin
Meisel, Roland	Heinrich-Heine-Universität, Universitätsklinikum Düsseldorf, Klinik für Kinder-Onkologie, -Hämatologie und Klinische Immunologie, Pädiatrische Stammzelltherapie, Düsseldorf
Melchior, Eike	Verband Forschender Arzneimittelhersteller e.V. (vfa), Erstattungspolitik im Geschäftsbereich Markt und Erstattung, Berlin
Michalakis, Stylianos	Ludwig-Maximilians-Universität München (LMU), Ludwig-Maximilians-Universität München (LMU) Klinikum, Augenklinik und Poliklinik, München
Mitar, Ivonne	Verband Forschender Arzneimittelhersteller e.V. (vfa), Forschung & Entwicklung, Berlin
Müller-Tidow, Carsten	Universitätsklinikum Heidelberg, Medizinische Klinik V, Hämatologie, Onkologie und Rheumatologie, Heidelberg und Universitätsklinikum Heidelberg, Zentrum für Gen- und Zelltherapie, Heidelberg
Mytilineos, Joannis	Zentrales Knochenmarkspender-Register für die Bundesrepublik Deutschland gemeinnützige Gesellschaft mit beschränkter Haftung, Ulm

N

Nickolaus, Jan	BioSpring GmbH, Frankfurt am Main
Niemann, Julia	Sartorius Stedim Biotech GmbH, Corporate Research, Advanced BioProcessing, Göttingen

P

Peters, Jens	Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie e.V. (BPI), Klinische Forschung, Tierarzneimittel, Berlin
Platzbecker, Uwe	Universitätsklinikum Leipzig AöR, Klinik und Poliklinik für Hämatologie, Zelltherapie, Hämostaseologie und Infektiologie, Early Clinical Trials Unit Leipzig (ECTUL), Leipzig
Protzer, Ulrike	Technische Universität München (TUM), School of Medicine and Health, Institut für Virologie, München und Helmholtz Munich, Institut für Virologie, München

R

Reimann, Andreas	admedicum GmbH & Co KG, Köln
Reinke, Petra	Charité - Universitätsmedizin Berlin, Berlin Center for Advanced Therapies (BeCAT), Berlin
Rosmus, Susann	BioSpring Gesellschaft für Biotechnologie mbH, Quality Assurance and Regulatory Affairs, Frankfurt am Main
Rössig, Claudia	Universitätsklinikum Münster, Klinik für Kinder- und Jugendmedizin – Pädiatrische Hämatologie und Onkologie, Münster
Ruppert, Thorsten	Verband Forschender Arzneimittelhersteller e.V. (vfa), Grundsatzfragen Forschung/Entwicklung/Innovation, Berlin

S

Sander, Maike	Max-Delbrück-Centrum für Molekulare Medizin in der Helmholtz-Gemeinschaft, Berlin
Schäfer, Richard	Universitätsklinikum Freiburg, Institut für Transfusionsmedizin und Gentherapie, Freiburg und Universitätsklinikum Freiburg, Freiburg iPS Core Facility, Freiburg
Schambach, Axel	Medizinische Hochschule Hannover (MHH), Institut für Experimentelle Hämatologie, Hannover und Boston Children's Hospital, Harvard Medical School, Division of Hematology/Oncology, Boston, USA
Schara-Schmidt, Ulrike	Universitätsklinikum Essen (AöR), Klinik für Kinderheilkunde I, Zentrum für Neuromuskuläre Erkrankungen im Kindes- und Jugendalter, Essen

Schmitt, Michael	Universitätsklinikum Heidelberg, Medizinische Klinik V (Hämatologie, Onkologie und Rheumatologie), GMP Core Facility, Heidelberg
Schmitt, Robert Heinrich	Werkzeugmaschinenlabor (WZL) der Rheinisch-Westfälischen Technischen Hochschule (RWTH) Aachen, Qualitäts- und Sensorsysteme in der Produktion (IQS), Aachen und Fraunhofer-Institut für Produktionstechnologie (IPT) Aachen, Produktionsqualität, Produktionsmesstechnik, Bio-Adaptive Produktion, Aachen
Schnetzke, Ulf	Universitätsklinikum Jena, Klinik für Innere Medizin II, Abteilung für Hämatologie und Internistische Onkologie, Jena
Schönermark, Matthias	SKC Beratungsgesellschaft mbH, Hannover und Medizinische Hochschule Hannover (MHH), Institut für Klinische Pharmakologie, Hannover
Schumann, Detlef	TETEC AG, Reutlingen
Serrano, Pablo	Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie (BPI e.V.), Geschäftsfeld Innovation & Forschung / Biotechnologie, Berlin
Skokowa, Julia	Universitätsklinikum Tübingen, Translationale Onkologie, Innere Medizin II - Hämatologie, Onkologie, klinische Immunologie und Rheumatologie, Tübingen und Eberhard Karls Universität Tübingen, Zentrum für Gen- und RNA- Therapie (GRTC), Tübingen
Söhlke, Bärbel	Patientennetzwerk für Personalisierte Lungenkrebstherapie zielGENau e.V., Köln
Sommer, Thomas	Institute for Biomedical Translation (IBT) Lower Saxony, c/o Medizinische Hochschule Hannover, Hannover
Spuler, Simone	Max-Delbrück-Centrum für Molekulare Medizin in der Helmholtz-Gemeinschaft, Berlin
Stegemann, Sven	DWI – Leibniz-Institut für Interaktive Materialien e.V., Leibniz JointLab „First in Translation“, Aachen
Steurenthaler, Mona	Cytiva Process Development and Validation Services, Dreieich
Stilgenbauer, Stephan	Universitätsklinikum Ulm Universität Ulm, Comprehensive Cancer Center Ulm (CCCU), Early Clinical Trials Unit (ECTU) CCCU, Sektion CLL Klinik für Innere Medizin III, Ulm
Stoeckert, Isabelle	Bayer AG Pharmaceuticals, R&D Regulatory Affairs EMEA, Wuppertal
Strasser, Erwin	Ludwig-Maximilians-Universität München (LMU), Ludwig-Maximilians-Universität München (LMU) Klinikum, Klinik für Anaesthesiologie, Abteilung f. Transfusionsmedizin, Zelltherapeutika und Haemostaseologie, München
Subklewe, Marion	Ludwig-Maximilians-Universität München (LMU), Ludwig-Maximilians-Universität München (LMU) Klinikum, Medizinische Klinik und Poliklinik III, München und Ludwig-Maximilians-Universität München (LMU), Gene Center Munich, München
Synofzik, Matthias	Universität Tübingen, Hertie-Institut für Klinische Hirnforschung und Zentrum für Neurologie, Sektion Translationale Genomik Neurodegenerativer Erkrankungen, Tübingen und Deutsches Zentrum für Neurodegenerative Erkrankungen (DZNE), Tübingen

T

Teichmann, Dorit	Technische Universität Dresden, excite|STARTUP, Dresden
Thomas, Simone	Leibniz Institut für Immuntherapie, Abteilung für Gen-Immuntherapie, Regensburg und Universitätsklinikum Regensburg, Klinik und Poliklinik für Innere Medizin III, Regensburg
Thurner, Lorenz	Universitätsklinikum des Saarlandes, Klinik für Innere Medizin I - Onkologie, Hämatologie, Rheumatologie und klinische Immunologie, Homburg
Tomala, Magda	Sartorius, Application Testing Separation Consumables, Göttingen
Tonn, Torsten	DRK Blutspendedienst Baden-Württemberg-Hessen gemeinnützige GmbH, Institut für Transfusionsmedizin und Immunhämatologie, Frankfurt am Main und Klinikum der Goethe-Universität Frankfurt am Main, Transfusionsmedizin und molekulare Hämatologie, Frankfurt am Main
Traube, Andrea	Kyoobe Tech GmbH, Leinfelden-Echterdingen
Tuschy-Mori, Miriam	Cytiva Europe GmbH, Business Unit Genomic Medicine, Dreieich

V

von Bergwelt, Michael	Ludwig-Maximilians-Universität München (LMU), Ludwig-Maximilians-Universität München (LMU) Klinikum, Medizinische Klinik und Poliklinik III, München und Deutsches Konsortium für Translationale Krebsforschung (DKTK), Partnerstandort München
von Kalle, Christof	Berlin Institute of Health at Charité (BIH), Clinical Study Center, Berlin und Charité – Universitätsmedizin Berlin, Clinical Study Center, Berlin
Voskens, Caroline	Universitätsklinikum Erlangen, Hautklinik, Erlangen

W

Wagner, Roland	Technische Universität Braunschweig, Institut für Biochemie, Biotechnologie und Bioinformatik, Braunschweig
Wagner-Drouet, Eva	Universitätsmedizin der Johannes Gutenberg-Universität Mainz, III. Medizinische Klinik und Poliklinik, Zentrum Zelluläre Immuntherapie und Stammzelltransplantation, Mainz
Walter, Stefanie	Haus der Krebs-Selbsthilfe – Bundesverband e.V., Bonn
Wartenberg, Markus	Deutsche Sarkom-Stiftung, Wölfersheim und Patientenforschungsrat Nationales Centrum für Tumorerkrankungen (NCT), Heidelberg
Weber, Joachim	Berlin Institute of Health at Charité (BIH), Strategisches Wissenschaftsmanagement, Berlin
Weisel, Katja	Universitätsklinikum Hamburg – Eppendorf (UKE), II. Medizinische Klinik und Poliklinik, (Onkologie, Hämatologie, Knochenmarktransplantation mit Abteilung für Pneumologie), Hamburg und Universitäres Cancer Center Hamburg (UCCH), Hamburg
Wilken, Matthias	Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie e.V., Market Access, Märkte und Versorgung, Berlin
Wissing, Frank	Medizinischer Fakultätentag der Bundesrepublik Deutschland e.V. (MFT), Berlin

Z

Zenke, Martin	Universitätsklinikum der Rheinisch-Westfälischen Technischen Hochschule (RWTH) Aachen, Medizinische Klinik IV, Hämatologie, Onkologie und Stammzelltransplantation, Aachen
Ziegler, Andreas	Universität Heidelberg – Medizinische Fakultät Heidelberg, Zentrum für Kinder- und Jugendmedizin, Abteilung I, Heidelberg und Deutsche Gesellschaft für Kinder- und Jugendmedizin e.V. (DGKJ), Task Force Arzneimittel für neuartige Therapien, Berlin
Zimmermann, Wolfram-Hubertus	Universitätsmedizin Göttingen, Institut für Pharmakologie und Toxikologie, Göttingen
Zweigerdt, Robert	Medizinische Hochschule Hannover (MHH), Klinik für Herz-, Thorax-, Transplantations- und Gefäßchirurgie, Leibniz Forschungslaboratorium für Biotechnologie und künstliche Organe (LEBAO), Hannover