

22.10.2019

RegMed Forum 2019

Zell- und Gentherapien – „lebende Medikamente“

Ein Dialog zwischen Patient*innen, Ärzt*innen und Wissenschaftler*innen

Auditorium Q110, Friedrichstraße 180, 10117 Berlin

RegMed Forum 2019, 22. Oktober 2019

Zell- und Gentherapien: Ein Dialog zwischen Patient*innen, Ärzt*innen und Wissenschaftler*innen

Im Namen der Organisatoren begrüßen wir Sie herzlich zu diesem Treffen!

Die zunehmende Häufigkeit von chronischen Erkrankungen (in Europa 35% der Menschen), die in den meisten Fällen dauerhafte Therapien erfordern, führt zu einer hohen Belastung der Patient*innen, aber auch der gesamten Gesellschaft. Die damit verbundenen Gesundheitskosten sind in den letzten 10 Jahren um 50% gestiegen und erreichten 2017 in Europa mehr als 1.500 Mrd. €, was ca. 10% des Brutto-sozialproduktes der EU bedeutet.

Eine moderne Medizin, die im Sinne der sozialen Stabilität unserer Gesellschaft für alle Bürger*innen auch in der Zukunft zugänglich ist, kann nur durch bahnbrechende Innovationen gewährleistet werden. Dies erfordert klar die Notwendigkeit für einen Paradigmenwechsel, der auf langanhaltende Effekte der Therapien oder sogar auf die Heilung von chronischen Krankheiten abzielt, statt nur deren Symptome durch dauerhafte Therapien zu lindern bzw. zu bekämpfen. Neuartige Therapien, oft auch als „lebende Medikamente“ bezeichnet, stellen solch eine bahnbrechende Innovation dar – dazu zählen Zell- und Gentherapien sowie „Tissue Engineering“, also die künstliche Herstellung biologischer Gewebe. Gendefekte werden repariert, Krebszellen gezielt durch „scharf gemachte“ eigene Immunzellen abgetötet, oder kranke Zellen werden reprogrammiert und regenerieren zu jungen, gesunden Zellen. Es gibt bereits viele erfolgreiche Beispiele für die Heilung oder zumindest eine anhaltende Verbesserung des biologischen Verlaufs der genannten Erkrankungen, sogar erste Medikamente dieser Art sind am Markt zugelassen. Doch haben weltweit bisher nur einige tausend Patienten von diesen Regenerativen Therapieansätzen mit „lebenden Medikamenten“ profitiert. Warum? Die Entwicklung und Anwendung dieser neuen, komplexen und oft personalisierten Medikamentenklasse sind nicht vergleichbar mit der traditionellen Medikamentenentwicklung und müssen speziellen gesetzlichen und regulatorischen Anforderungen entsprechen. Daher müssen wir noch viele Hürden überwinden. Dies verlangt auch neue Formen der Zusammenarbeit zwischen Ärzt*innen, Naturwissenschaftler*innen, Ingenieur*innen, Ethiker*innen, Gesundheitsökonom*innen aus dem akademischen Umfeld und der Industrie, aber auch mit Patient*innen und ihren Organisationen. Daran arbeiten wir intensiv auf regionaler, nationaler und europäischer Ebene.

Wir wollen Sie in diese neue aussichtsreiche Welt der „lebenden Medikamente“ aus der Sicht der Betroffenen, der Behandelnden und der Forschenden entführen und wünschen Ihnen einen anregenden und angenehmen Tag.

Prof. Dr. Petra Reinke und Dr. Susann Kleinsimon

RegMed Forum 2019, 22. Oktober 2019

Zell- und Gentherapien: Ein Dialog zwischen Patient*innen, Ärzt*innen und Wissenschaftler*innen

Über die Organisatoren

Die deutsche Hauptstadtregion ist eines der weltweit führenden Zentren der Life-Science- und Gesundheitsbranche. Das Clustermanagement von HealthCapital treibt die Vernetzung und den Technologietransfer in der Region voran und unterstützt internationale Unternehmen, die an einer Ansiedlung in der deutschen Hauptstadtregion interessiert sind. Für das Management des Clusters sind die Berlin Partner für Wirtschaft und Technologie GmbH und die Wirtschaftsförderung Land Brandenburg GmbH verantwortlich. Weitere Informationen finden Sie im Internet unter: https://www.healthcapital.de/

Das Berlin Institute of Health Centrum für Regenerative Therapien (BCRT) ist ein gemeinsam von der Charité – Universitätsmedizin Berlin und dem Berlin Institute of Health (BIH) getragenes interdisziplinäres Translationszentrum mit dem zentralen Ziel, körpereigene Regenerationsmechanismen des menschlichen Körpers zu erforschen und diese Erkenntnisse aus dem Labor in die klinische Praxis umzusetzen. Das BCRT ist eng eingebunden in regionale Forschungsnetzwerke der Berliner Universitäten und außeruniversitären Einrichtungen wie dem Leibniz Institut DRFZ, dem MPI Dahlem, und den Helmholtz Instituten MDC und HZG, Standort Teltow.

Das Berlin Center for Advanced Therapy (BeCAT) verknüpft die in Berlin ausgewiesene Expertise in der Technologie- und klinischen Entwicklung von Arzneimittel für Neuartige Therapien (engl. ATMP = Advanced Therapie Medicinal Products). Dabei befasst sich das BeCAT mit der Entwicklung von ATMP aller Klassen in verschiedenen klinischen Themenfeldern für Krankheiten mit einem hohen medizinischen Bedarf. Beteiligte Fachgebiete der Charité sind die Onkologie, Immunologie, Molekularbiologie, Genetik, Transplantationsmedizin und die Nephrologie, sowie Kardiologie / Kardiochirurgie und Traumatologie.

BCRT und BeCAT koordinieren die transdisziplinäre europaweite groß angelegte Forschungsinitiative „RESTORE - Health by Advanced Therapies“ (https://www.restore-horizon.eu/) mit über 300 Experten aus Wissenschaft und Industrie sowie Vertretern von gemeinnützigen Organisationen und Patienten-verbänden.

RegMed Forum 2019, 22. Oktober 2019

Zell- und Gentherapien: Ein Dialog zwischen Patient*innen, Ärzt*innen und Wissenschaftler*innen

09:00 Registrierung

09:30 Grußworte

Prof. Dr. Petra Reinke *(Charité Universitätsmedizin Berlin)*

Dr. Susann Kleinsimon *(Berlin Partner für Wirtschaft und Technologie GmbH)*

09:45 RESTORE Advanced Therapies

Verbindung Wissenschaft – Klinik – Patient?

Prof. Dr. Hans-Dieter Volk (Charité Universitätsmedizin Berlin)

10:00 Session I: Immunerkrankungen

Moderation: Karin-Anna Kekulé

Immunerkrankungen sind durch eine Fehlfunktion des Immunsystems gekennzeichnet. Die Forscher*innen, Kliniker*innen und Entwickler*innen aus verschiedenen Disziplinen sind bestrebt, das Verständnis des Immunsystems zum Wohle von Patient*innen mit chronischen Erkrankungen zu verbessern und so bahnbrechende neue Behandlungsmöglichkeiten in Form von „Neuartigen Therapien“ zu schaffen. Dazu gehört u.a. die Modulation unerwünschter Immunreaktionen wie z.B. der Transplantatabstoßung durch eine Therapie mit regulatorischen T-Zellen.

10:00	Regulatorische T-Zellen: Eine Therapieoption zur Balancierung von Immunantworten *Prof. Dr. Petra Reinke (Charité Universitätsmedizin Berlin)*
10:20	Regulatorische T-Zell-Therapie in soliden Organtransplantationen *Dr. Natalie Maureen Otto (Charité Universitätsmedizin Berlin)*
10:35	Ich habe ein neues Leben! *Karolina Stokowska*

10:40	Austausch / Unterstützung vor und nach Nierenlebendspende *Brunhilde Ernst (Selbsthilfegruppe „Das-Zweite-Leben e.V.“)*
10:45	Regulatorische T-Zellen zur Behandlung von chronischer GvHD -Graft versus Host Disease/Spender-gegen-Empfänger-Reaktion *Dr. Sybille Landwehr-Kenzel (Charité Universitätsmedizin Berlin)*

11:00 Kaffeepause

11:30 Session II: Immuntherapie Krebs

Moderation: Karin-Anna Kekulé

Im Bereich der Immuntherapien gegen Krebs werden derzeit verschiedene Ansätze erforscht, wozu auch das Konzept der CAR-T-Zell-Therapien gehören. Aktuelle Forschungsergebnisse und die ersten Zulassungen von Produkten in der EU zeigen, dass die CAR-T-Behandlung als Kombination aus Immun-Zell- und Gentherapie eine wichtige Rolle in der Versorgung von Patient*innen mit verschiedenen malignen Erkrankungen einnehmen wird.

11:30	CAR-T-Zelltherapie: Hoffnungsträger im Kampf gegen Krebs *Priv.-Doz. Dr. Annette Künkele (Charité Universitätsmedizin Berlin)*
11:50	CAR-T-Zell-Therapie bei Kindern und Jugendlichen mit akuter lymphatischer Leukämie *Dr. Jan Sörensen (Universitätsklinikum Frankfurt am Main)*
12:05	Therapie mit CAR-T-Zellen bei Patienten mit B-Zell-Lymphom – Erfahrungen aus der Klinik *Dr. Theresa Kretschmann (Universitätsklinikum Dresden)*

12:30 Session III: Endogene Regeneration

Moderation: Karin-Anna Kekulé

Eine verminderte muskuloskelettale Regenerationsfähigkeit von Patient*innen kann aus degenerativen Alterungsprozessen, Muskelschwund, aber auch aus Veränderungen des Immunsystems resultieren. Innovative Ansätze aus dem Bereich der Zelltherapie zielen beispielsweise auf die Verbesserung der Muskelfunktion nach Operationen ab sowie auf ein besseres Verständnis der körpereigenen Regenerationsvorgänge.

12:30	Zellen zur Muskelheilung *Priv.-Doz. Dr. Tobias Winkler (Charité Universitätsmedizin Berlin)*
12:50	Fallvorstellung Phase I/IIa Studie *Dr. Christian Eder (Charité Universitätsmedizin Berlin)*
13:05	Die IOF: Wissensverbreitung in aller Welt *Dr. Dominique Pierroz (International Osteoporosis Foundation Nyon, CH)*
13:15	Ausbildung im Bereich neuartige Therapien – Qualität für Patienten *Priv.-Doz. Dr. Tobias Winkler (Charité Universitätsmedizin Berlin)*

13:30 Mittagspause

14:30 Session IV: Tissue Engineering

Moderation: Karin-Anna Kekulé

Das Tissue Engineering im Bereich der Regenerativen Therapien bietet die Möglichkeit, krankes bzw. nicht regenerierbares Gewebe bei einem/r Patienten/in zu ersetzen. So gibt es beispielsweise keinen optimalen Klappenersatz für herzkranke Kinder mit defekter Herzklappe. Die Verwendung und Kombination neuartiger Methoden im Bereich des Tissue Engineering soll nun die Herstellung einer maßgenauen, patientenindividuellen Herzklappe aus lebendigem Gewebe des Kindes erlauben, welche vom Immunsystem akzeptiert wird.

14:30	Gezüchtete Herzklappen für Kinder - erste Modelle auf dem Weg in die klinische Anwendung *Priv.-Doz. Dr. Boris Schmitt (Deutsches Herzzentrum Berlin)*
14:50	Schwangerschaft und pränatale Versorgung bei intrauterin festgestelltem Herzfehler *Dr. Wiebke Frenzel (Vivantes Klinikum Berlin-Neukölln)*
15:05	Perinatale Versorgung von Kindern mit angeborenen Herzfehlern *Dr. Michael Emeis (Vivantes Klinikum Berlin-Neukölln)*
15:20	Interessenvertretung von Kindern mit angeborenen Herzfehlern und deren Familien *Hermine Nock (Bundesverband Herzkranke Kinder e.V.)*

RegMed Forum 2019, 22. Oktober 2019

Zell- und Gentherapien: Ein Dialog zwischen Patient*innen, Ärzt*innen und Wissenschaftler*innen

15:30 Session V: Seltene Erkrankungen

Moderation: Karin-Anna Kekulé

Seltene Erkrankungen bilden eine heterogene Gruppe von meist chronisch verlaufenden und komplexen Erkrankungen, die oftmals mit Invalidität und/oder eingeschränkter Lebenserwartung einhergehen, wobei die Seltenheit der einzelnen Erkrankungen die medizinische Versorgung der Patient*innen erschwert. Die Forschung über Seltene Erkrankungen, die Entwicklung Neuartiger Therapien sowie die Durchführung klinischer Studien ist von großer Bedeutung, da in der EU ungefähr 30 Millionen Menschen zu den betroffenen zählen. Erfolge konnten bereits durch den Einsatz von gentherapeutischen Ansätzen verzeichnet werden. Diese sind besonders vielversprechend, da ein großer Teil der Seltenen Erkrankungen einen genetischen Hintergrund aufweist.

15:30	RNA- und DNA-basierte Therapien für seltene erbliche Erkrankungen *Prof. Dr. Uwe Kornak (Charité Universitätsmedizin Berlin)*
15:45	Erste Erfahrungen mit Gentherapie bei X-chromosomaler Adrenoleukodystrophie *Dr. Jörn-Sven Kühl (Universitätsklinikum Leipzig)*
16:00	Achromatopsie - eine Welt ohne Farben *Priv.-Doz. Dr. Ditta Zobor (Universitätsklinikum Tübingen)*
16:15	(Gen-)therapie aus Sicht des Patienten *Joachim Sproß (Geschäftsführer der Deutschen Gesellschaft für Muskelkranke)*

16:30 Pause

17:00 Paneldiskussion

Moderation: Karin-Anna Kekulé

im Gespräch mit Petra Reinke, Boris Schmitt, Joachim Sproß & Tobias Winkler

18:00 Get Together

RegMed Forum 2019, 22. Oktober 2019

Zell- und Gentherapien: Ein Dialog zwischen Patient*innen, Ärzt*innen und Wissenschaftler*innen

Die Organisatoren des RegMed Forums 2019 sind:

für **Berlin Partner für Wirtschaft und Technologie GmbH**

Dr. Susann Kleinsimon

Projektmanagerin Innovation Biotech I Pharma
Fasanenstr. 85 | 10623 Berlin | Phone +49 30 46342-542
susann.kleinsimon@berlin-partner.de
www.berlin-partner.de | www.healthcapital.de

für **BIH Center for Regenerative Therapies und Berlin Center for Advanced Therapies**

Gady Goldsobel

Innovationsplattform
Charité - Universitätsmedizin Berlin (Campus Virchow-Klinikum)
Augustenburger Platz 1 (Besucher: Föhrer Straße 15)
13353 Berlin
gady.goldsobel@charite.de | Phone: +49 30 450 539 377
www.b-crt.de

Partner & Sponsoren des RegMed Forums:

RESTORE project has received funding from the European Union's Horizon 2020 research and innovation programme under grant agreement No 820292