

Die Gen-Schere CRISPR/Cas* in der Medizin: Aussicht auf Heilung von vie- len Krankheiten

Gen-Schere schafft in der Medizin völlig neue Therapieansätze – Erhebliche Potenziale durch Forschungsfortschritte und Anwendungstransfers zu heben – Deutsche CRISPR/Cas-Forschung international vorne dabei, aber starker Aufholbedarf bei Anwendung und Kommerzialisierung

Berlin, 24. Februar 2021 – Das neue Jahresgutachten der Expertenkommission Forschung und Innovation (EFI), das der Bundeskanzlerin angesichts der Pandemie virtuell übergeben wurde, behandelt das Zukunftsthema der Gen-Schere CRISPR/Cas in der Medizin. Prof. Carolin Häussler von der Universität Passau beschreibt die herausragende Bedeutung dieser noch jungen Technik: „CRISPR/Cas ist ein Werkzeug zur Gen-Editierung, das neue Impulse in der medizinischen Grundlagenforschung setzt und neue Therapieansätze für viele Krankheiten ermöglicht. Durch das zielgerichtete Verändern genetischer Informationen wird es möglich, die Ursache von Erbkrankheiten direkt zu beheben.“

Ein großes Potenzial liege dabei im Bereich der somatischen Gentherapie, also in Anwendungen, bei denen die ausgelösten genetischen Veränderungen nur das behandelte Individuum betreffen. Hier gehe ein hoher Patientennutzen mit ökonomischen Wertschöpfungspotenzialen einher. Um diese heben zu können, bedürfe es weiterer großer Fortschritte sowohl in der Forschung als auch im Transfer von Forschungsergebnissen in die Anwendung. Neben dem Einsatz von CRISPR/Cas für medizinische Zwecke komme die Gen-Schere auch in der Landwirtschaft und in industriellen Anwendungen zum Einsatz; die EFI habe sich zunächst nur auf die Medizin konzentriert.

„Mit Hilfe von CRISPR/Cas können Gene verändert, aus- oder angeschaltet werden. Daraus ergeben sich neue Möglichkeiten, Erbkrankheiten zu behandeln, die Millionen Menschen betreffen. Die Forschung schreibt CRISPR/Cas ein hohes Potenzial zu, weil es die Gen-Editierung vereinfacht und so den Kreis der Forschenden sowie die Anwendungsgebiete enorm vergrößert“, hebt Prof. Irene Bertschek vom ZEW – Leibniz-Zentrum für Europäische Wirtschaftsforschung in Mannheim hervor. Dies führe zu einer starken Zunahme der Forschungs- und Entwicklungsaktivitäten (FuE) in Zusammenhang mit CRISPR/Cas. Dabei gälten die meisten derzeitigen Entwicklungsarbeiten zu medizinischen Anwendungen von CRISPR/Cas als ethisch unbedenklich.

CRISPR/Cas hat es in nur zehn Jahren geschafft, von einer mikrobiologischen Kuriosität zu einer der dominierenden Technologien biomedizinischer Forschung und klinischer Entwicklung zu werden. Weder aus der Grundlagenforschung noch aus der Medikamentenentwicklung ist die Gen-Schere heute noch wegzudenken. Direkte therapeutische Anwendungen versprechen Aussicht auf Heilung von vielen Krankheiten, für die Therapieansätze bisher nicht denkbar waren und die Hunderte von Millionen Menschen betreffen, so z.B. Erbkrankheiten, die mit Blutarmut, Erblindung oder Muskelschwund, Demenz und frühzeitigem Tod einhergehen. Für einige dieser Krankheiten werden Therapien auf Basis von CRISPR/Cas bereits in klinischen Studien erprobt. Daneben kann CRISPR/Cas auch für die Behandlung von Infektionskrankheiten wie HIV eingesetzt werden. Außerdem sollen mit der Gen-Schere künftig auch Immunzelltherapien gegen Krebs effektiver gemacht werden, indem die krebsbekämpfenden Zellen des Immunsystems so editiert werden, dass sie gegen die immunhemmende Wirkung der Tumorzellen resistent werden.

Die EFI empfiehlt der Bundesregierung die folgenden Maßnahmen:

Genehmigungsverfahren beschleunigen

Alle Genehmigungsverfahren rund um CRISPR/Cas und klinische Studien hierzu müssten – „immer unter der Maxime der Wahrung von Sicherheit und ethischer Vertretbarkeit“ – so gestaltet werden, dass der administrative Aufwand für Forscherinnen und Forscher reduziert wird. Es sollte ermöglicht werden, miteinander verwandte Anträge und Genehmigungsverfahren zu bündeln. Darüber hinaus ist anzustreben, Genehmigungsverfahren über Bundesländer hinweg zu harmonisieren und

„frühzeitig auch den Personalbestand innerhalb der Genehmigungsbehörden anpassen“, so Prof. Häussler.

Spitzenforschung in CRISPR/Cas stärken

Um die Spitzenforschung bei CRISPR/Cas zu stärken, sollten einige Leuchtturmprojekte an international wettbewerbsfähigen deutschen Standorten ausgebaut oder neu geschaffen werden. Bei diesen Leuchtturmprojekten sollte insbesondere die Überführung der wissenschaftlichen Erkenntnisse in die medizinische Anwendung einen hohen Stellenwert erhalten.

Überführung von wissenschaftlichen Erkenntnissen in die Praxis verstärken

Nach Erkenntnissen der EFI nimmt Deutschland international in der Forschung zu CRISPR/Cas zwar einen vorderen Platz ein, „fällt aber deutlich zurück, wenn es um den Transfer in die Anwendung und die Kommerzialisierung geht“, so Prof. Bertschek. Unbedingt sollten Kooperationen und Arbeitsgruppen initiiert und gefördert werden, die durch eine frühe Interaktion zwischen Forschung und klinischer Praxis die Überführung in die Anwendung unterstützen und Innovationen hervorbringen. Für die Beratung der Forschenden und ihre Vernetzung empfiehlt die EFI, die Einrichtung eines Deutschen Gentherapiezentrum zu diskutieren, das die Rolle eines Kompetenzzentrums für die Überführung von der Grundlagenforschung und präklinischen Forschung in die klinische Anwendung einnehmen könnte.

Rahmenbedingungen für Bereitstellung von Wagniskapital verbessern

Die langen Forschungs- und Entwicklungszyklen in der medizinischen Biotechnologie gehen mit einem enormen Finanzierungsbedarf und hohem Risiko einher. Die EFI mahnt erneut an, die Rahmenbedingungen für die Bereitstellung von privatem Wagnis- und Wachstumskapital zu verbessern.

Sie begrüßt in diesem Zusammenhang die Einrichtung des „Zukunftsfonds“, der sowohl bahnbrechende Technologien, speziell im Bereich der Biotechnologie, als auch große Finanzierungsrunden für Start-ups und deren Skalierung unterstützen soll. „Wir fordern dessen möglichst rasche Umsetzung“, so Prof. Uwe Cantner von der Universität Jena und Vorsitzender der EFI.

Information der Gesellschaft fördern

Die EFI hält es für sehr wichtig, die Gesellschaft regelmäßig über die mit CRISPR/Cas verbundenen Potenziale und Risiken zu informieren und die gesellschaftlichen Diskussionen dazu weiterhin zu führen. Prof. Häussler abschließend: „Transparenz und öffentliche Bewusstseinsbildung sind von enormer Bedeutung. Die Menschen sollten diesen Entwicklungen informiert und offen begegnen können. Ich bin mir sicher, dass so auch die Faszination für Wissenschaft in der Gesellschaft enorm gestärkt wird.“

Anmerkungen:

*CRISPR = Clustered Regularly Interspaced Short Palindromic Repeats = gruppierte kurze palindromische Wiederholungen mit regelmäßigen Abständen

*Cas = englisch für CRISPR-associated = CRISPR-assoziiertes Protein

Kontakt

Expertenkommission Forschung und Innovation (EFI)

Dr. Petra Meurer

Stv. Leiterin der Geschäftsstelle

Pariser Platz 6 | 10117 Berlin

T +49 (0) 30 322 982 561

kontakt@e-fi.de

www.e-fi.de

Die Expertenkommission Forschung und Innovation (EFI) mit Sitz in Berlin leistet seit 2008 wissenschaftliche Politikberatung für die Bundesregierung und legt jährlich ein Gutachten zu Forschung, Innovation und technologischer Leistungsfähigkeit Deutschlands vor. Wesentliche Aufgabe der EFI ist es dabei, die Stärken und Schwächen des deutschen Innovationssystems im internationalen und zeitlichen Vergleich zu analysieren und die Perspektiven des Forschungs- und Innovationsstandorts Deutschland zu bewerten. Auf dieser Basis entwickelt die EFI Vorschläge für die nationale Forschungs- und Innovationspolitik.