

Nationale Strategie für gen- und zellbasierte Therapien (GCT)

Ein Multi-Stakeholder-Ansatz

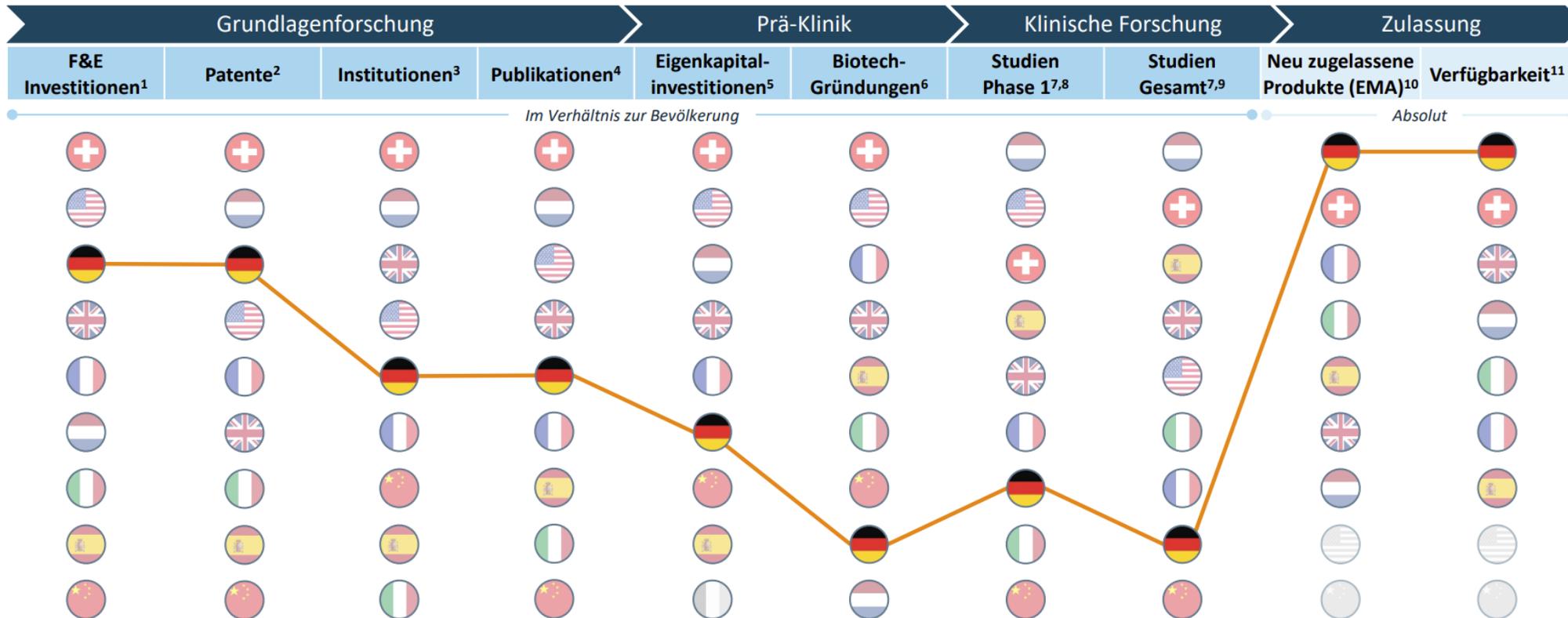


PharmaForum, 13. März 2025

Prof. Dr. Christopher Baum, Sprecher der Nationalen Strategie GCT
Berlin Institute of Health @ Charité

Deutschland stark in Forschung und Anwendung - aber Rückstand bei der Wertschöpfung

Impact für Patient*innen!
Impact für Gesellschaft?



1: Investitionen der Industrie, EFPIA, 2022; 2: Patente im Bereich Biotechnology, Pharmaceuticals, Macromolecular Chemistry, Polymers, EPO, 2022; 3: Anzahl der Institutionen in den Top 100 für Biological Sciences/Chemistry, THE Ranking, 2024; 4: Nature Index Output Share, 2024; 5: Im Bereich Life Sciences, S&G Global, 2022; 6: Mindestens 1 Mio. \$ Funding, Crunchbase, 2023; 7: ClinicalTrials.gov, 2023 (Filter: Studienstart in Jahr x; interventionelle Arzneimittelstudien; Studien mit mehreren Standorten werden für jedes relevante Land gezählt); 8: Early Phase I + Phase I; 9: Phase I-IV; 10: Basierend auf dem Jahr, in dem das Produkt in Europa zugelassen wurde, EFPIA W.A.I.T. Indicator, 2023; 11: Durchschnittliche Anzahl an Tagen von der Marktzulassung von Arzneimitteln bis zur Verfügbarkeit für Patienten, EFPIA W.A.I.T. Indicator, 2023;

Pharma FoRschung & Entwicklung Erfolgsmessung in Deutschland (PROUD), 2024



Nationale Strategie für gen- und zellbasierte Therapien (GCT)

Hintergrund und Zielsetzung

Beauftragt vom **Bundesministerium für Bildung und Forschung (BMBF)**

Deutschland bei der Entwicklung sicherer, effizienter und nachhaltig finanzierbarer GCTs stärken

- **Bedarfsgerechte Entwicklung**
- **Überwindung der Fragmentierung**, Stärkung der Akteure und ihrer Kooperationen
- **Alle Komponenten der translationalen Wertschöpfungskette** von der Grundlagenforschung bis zur Gesundheitsversorgung einbeziehen
- Berücksichtigung **internationaler Perspektiven**
- **Priorisierte Umsetzung**

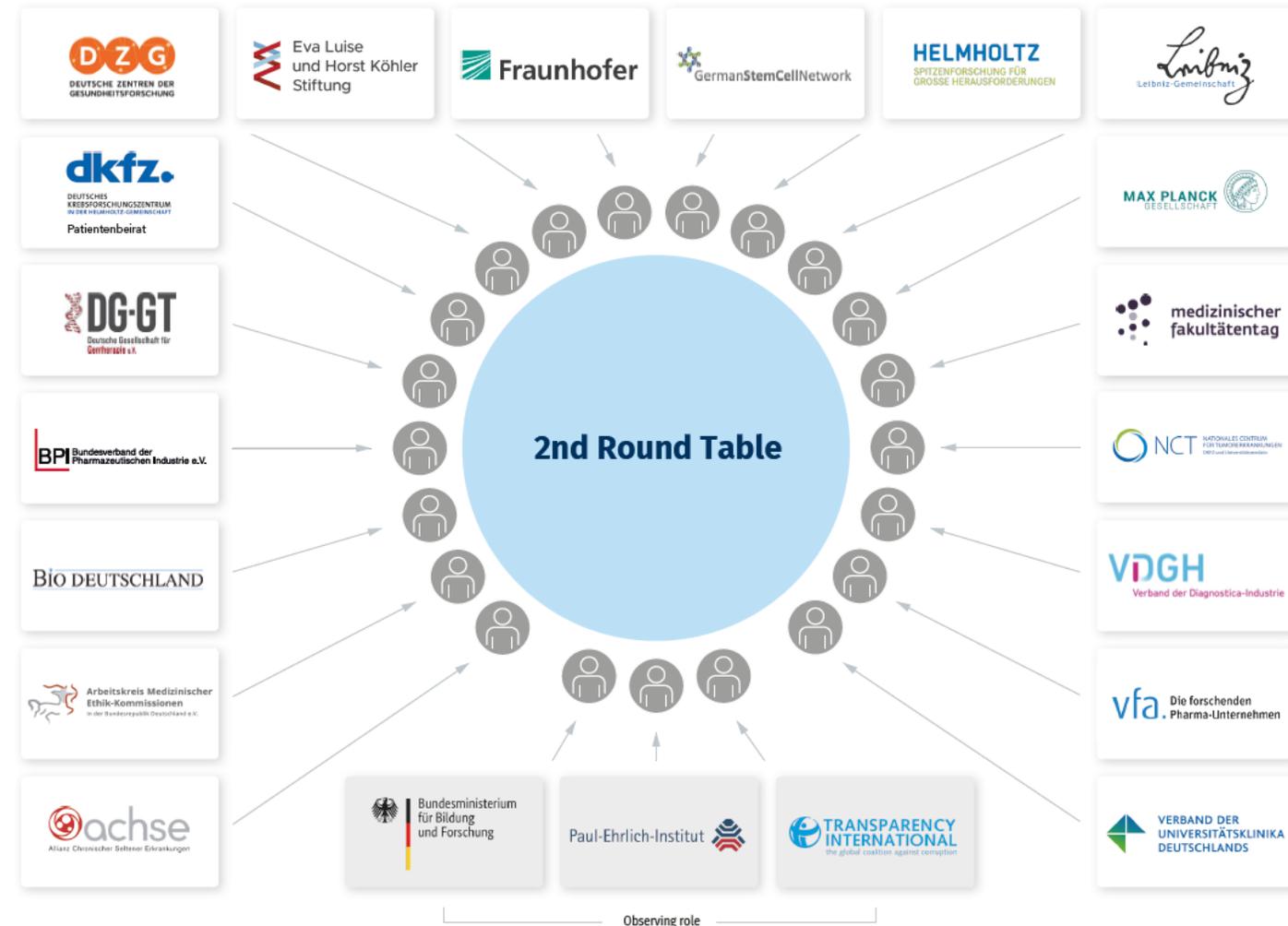
→ BIH fungiert als Moderator und Organisator

→ BMBF-Förderung bis Ende 2026

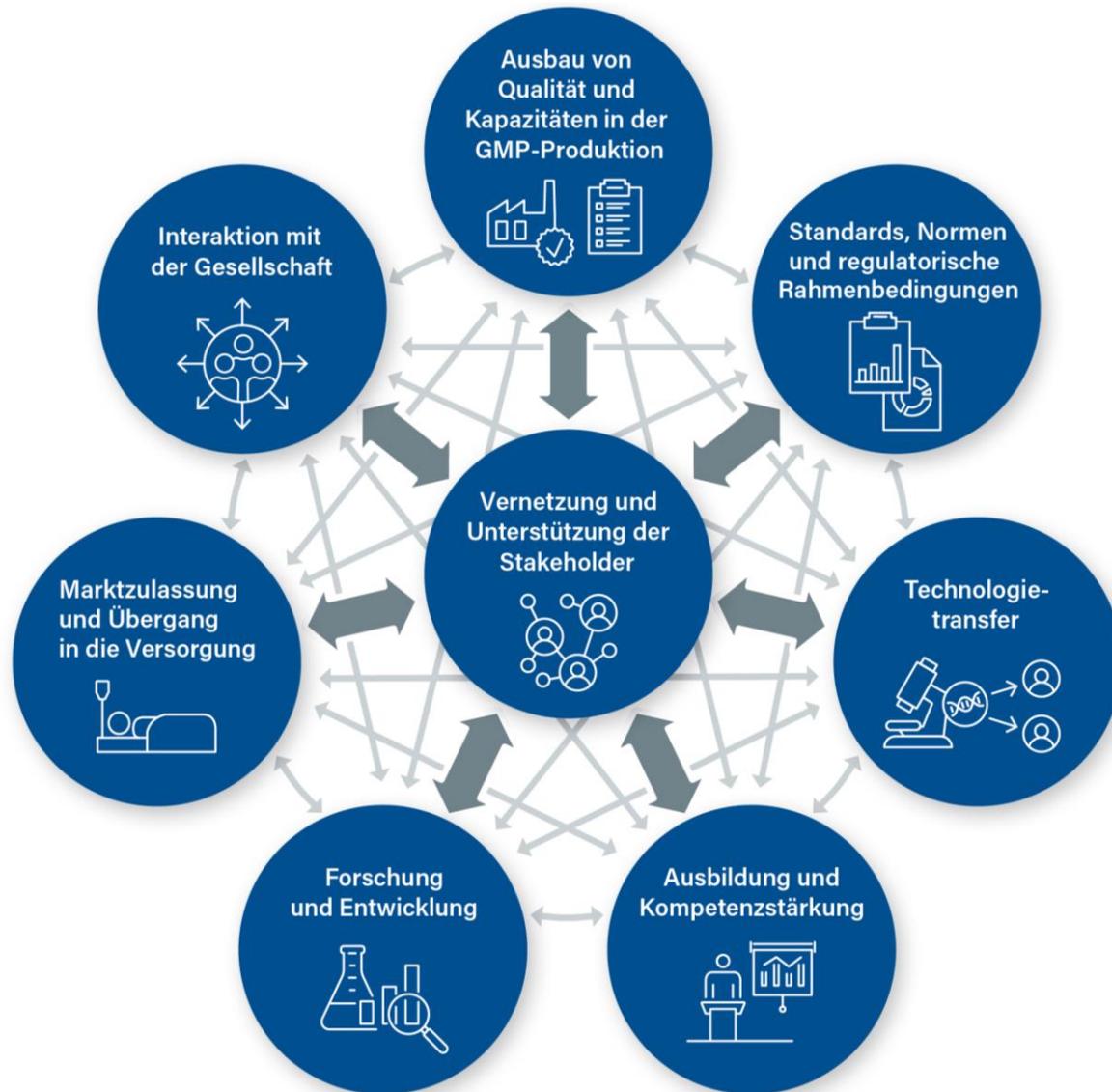


Multistakeholder-Ansatz der Nationalen Strategie GCT

- **Relevante Akteure** aus Wissenschaft, Wirtschaft, Politik und Gesellschaft sowie aus Verbänden, Behörden, Stiftungen, Ethikkommissionen und Patientenorganisationen wirken mit.
- Insgesamt haben mehr als **150 ausgewiesene Expert*innen** in acht Arbeitsgruppen aus ganz Deutschland das Strategiedokument aktiv gestaltet und engagieren sich weiterhin.



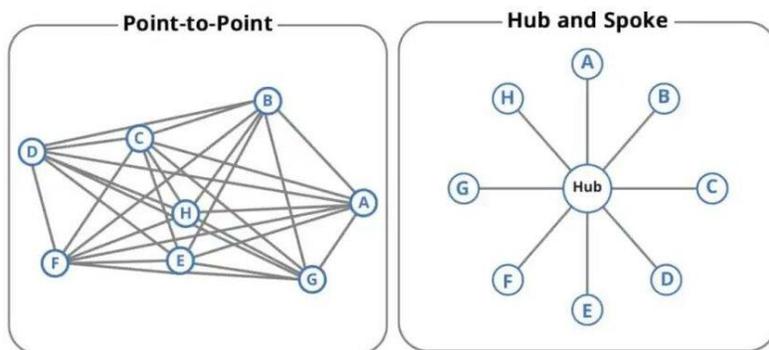
Die Handlungsfelder der Nationalen Strategie GCT decken alle wichtigen Bereiche ab



Alle Teile der **translationalen Wertschöpfungskette** sollen gestärkt und vernetzt werden - von der Grundlagenforschung bis zur Gesundheitsversorgung.

Veröffentlichung der Nationalen Strategie GCT und aktueller Stand

- Veröffentlicht am 12.6.2024
- BIH fungiert weiterhin als Sprecher und Moderator
- Governance-Struktur wird erarbeitet
- Interessenvertreter agieren in AGs und Rundem Tisch
- Maßnahmen werden priorisiert und konkretisiert
- Aufbau organisierter Plattformen
- Internationale Sichtbarkeit erhöht

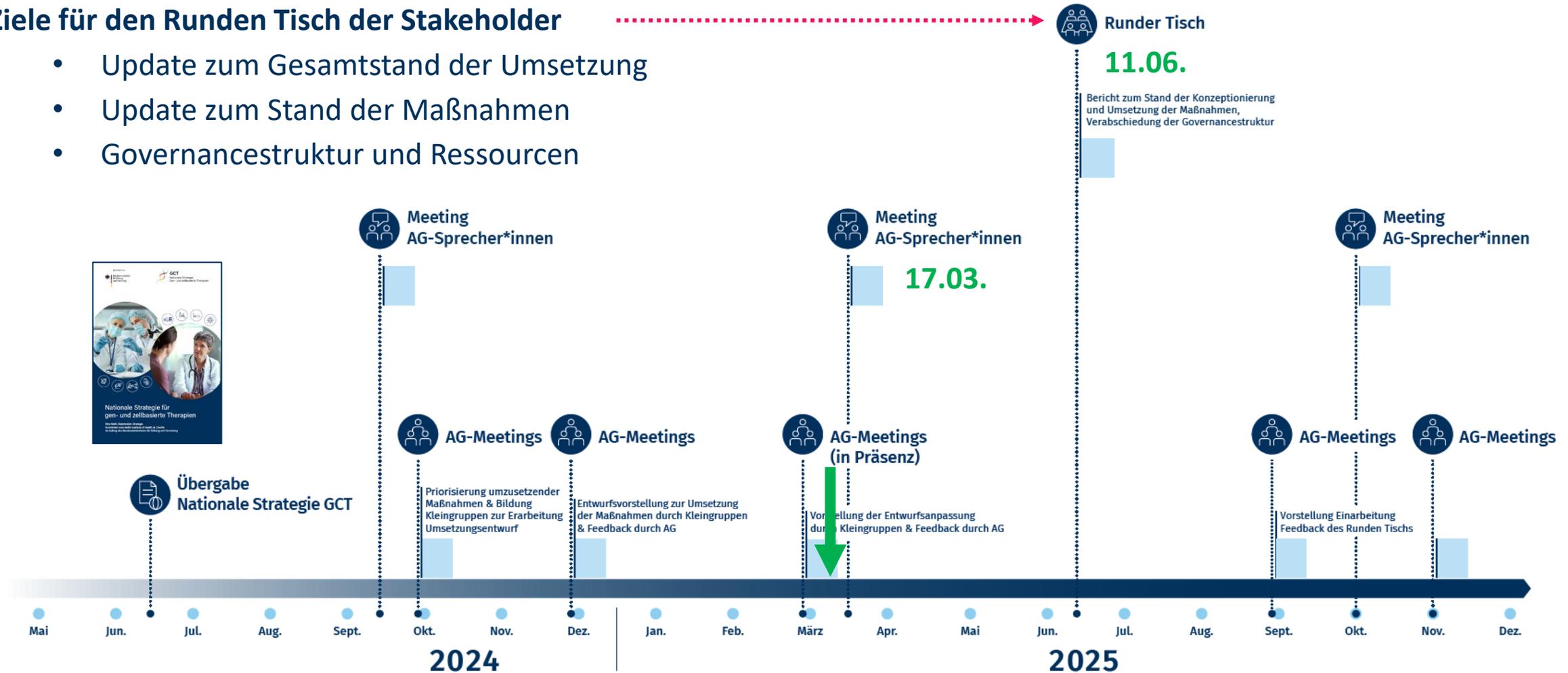


Zeitachse Nationale Strategie GCT

Politische Arbeit: Förderung >2026

Ziele für den Runden Tisch der Stakeholder

- Update zum Gesamtstand der Umsetzung
- Update zum Stand der Maßnahmen
- Governancestruktur und Ressourcen



Konkretisierung der Maßnahmen - Beispiele

- Insgesamt 91 Maßnahmen vorgeschlagen
- Priorisierung von mindestens zwei Maßnahmen pro Handlungsfeld, z. B.:
 - **Product Development Unit (PDU)** für Projektplanung und -durchführung
 - Zentrales **GCT GMP- und Regulatorikgremium**
 - Interdisziplinäre **Entscheidungszirkel** für GCT-Diagnostik und -Therapie
 - **Zentrale Informationsplattform** für Zielgruppen inklusive **GCT-Atlas**



Laufende Aktivitäten der Nationalen Strategie GCT

- Strategiemsetzung im **Multi-Stakeholder-Ansatz**
- **Nationales Netzbüro** für GCT
- Frühzeitige **regulatorische Beratung** (Regulatory Support Unit)
- Neue Formate zur **Projekt- und Personenförderung**
- Bundesweites **Entrepreneurship-Programm GeneNovate**
- **Investorentag**



Nationales Netzwerkbüro GCT in Kooperation mit DG-GT und GSCN @BIH

Platform/contact point

for national and international stakeholders from science, industry, society, patient organizations, foundations and politics

National GCT - Atlas

Database on GMP Facilities, Clinical Trials, Clinics, Scientific Networks, Patient Organizations, Foundations, Registries...

Patient & Stakeholder Engagement

Matchmaking structure – early involvement of patients in research projects
- Cooperation: QUEST Center

Education and training

GeneNovate:

Empowering Innovators and Entrepreneurs in GCT: Workshop Series

Networking & Exchange

live events, newsletter, website, media center: shared talks/events, shared job site

Science communication

on opportunities and challenges of GCT



GCT

National Strategy
Gene and Cell-Based Therapies

Regulatory Support Unit GCT @BIH

- Gegründet im **Juni 2024**
- Spezialist*innen für Zulassungsfragen für **ATMPs und Biologika**
- Bundesweite, leicht erreichbare, **erste Anlaufstelle** für regulatorische Unterstützung
- **Unabhängige und vertrauliche Beratung** für öffentlich geförderte Projekte in Deutschland
- Schwerpunkt: **Frühzeitige Beratung zu Produktentwicklungen** im Bereich GCTs/ATMPs, in der Regel vor dem ersten Kontakt mit der zuständigen Zulassungsbehörde (PEI)
- Kontakt: reg-support@bih-charite.de



Christoph Conrad



Julia Hütter



Barbara Volz



Sofia Banchenko



Michael Moles



Rachael Ward



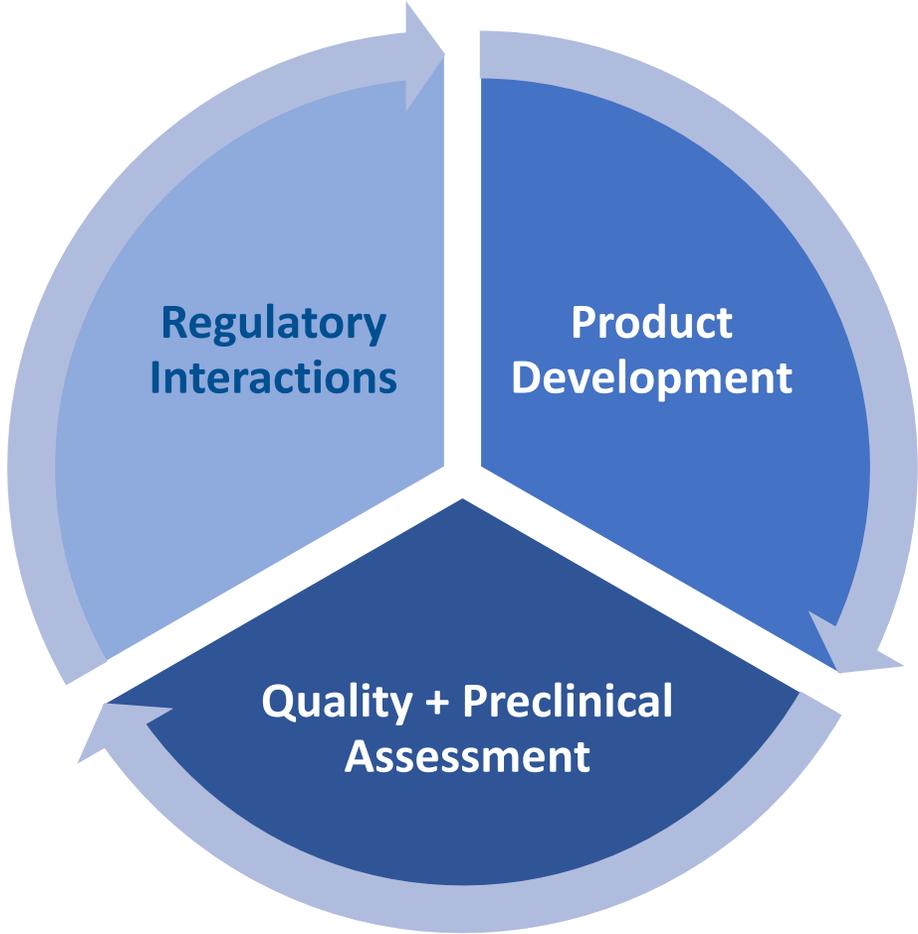
GCT

National Strategy
Gene and Cell-Based Therapies

RSU SUPPORT



- ✓ Early Regulatory Interactions (PEI, BfArM, EMA)
- ✓ Scientific Advice Meetings
- ✓ ATMP classification
- ✓ Orphan Drug Designation (ODD)
- ✓ Hospital Exemption application



- ✓ Target Product Profile
- ✓ Regulatory Gap Analysis
- ✓ Regulatory Strategy

- ✓ Quality / GMP Gap Analysis
- ✓ Align Quality + Preclinical Development
- ✓ Efficacy and Safety Compliance

Nationale Projektförderung & Nationales Translationales Tandem Programm

- Einzel- oder Verbundprojekten für **translationale Projekte zur Produkt- und/oder Prozessentwicklung** von therapeutischen und diagnostischen Ansätzen im Bereich der GCT
- **Ausschreibung 1:** 17 Projekte gefördert, Gesamtbudget 7.720.191 € (1-2 Jahre)
- **Ausschreibung 2:** Veröffentlicht am 16.12.2024, Einreichungsfristen Track 1: 17.02.2025 & Track 2: 24.03.2025
- Auswahl von Track 1 voraussichtlich Ende März, Track 2 (durch internationale Jury) voraussichtlich Anfang Juli 2025



- Förderung (geschützte Zeit) von **Tandems bestehend aus 1 klinischen Nachwuchswissenschaftler und 1 translationalem Wissenschaftler**, die (komplementär) an einem translationalen GCT-Projekt arbeiten
- 1. Ausschreibung: abgeschlossen, 9 Tandems gefördert
- Auswertung der Rückmeldungen zur ersten Ausschreibung
- Nächste Ausschreibung noch vor der Sommerpause geplant



Nationales Entrepreneurship-Programm GeneNovate

GeneNovate Empowering Innovators and Entrepreneurs in Gene and Cell Therapies



- Serie von 6 Workshops, Januar bis Juni
- 2. Runde gestartet in 6 Regionen (Berlin, Dresden/Leipzig (SaxoCell), Hannover, Heidelberg, Mainz, München)
- 6x6=36 Workshops
- ca. 130 Teilnehmer*innen
- Planungen für 3. Runde im Jahr 2026 laufen
- Weitere Standorte gewünscht



<p>Berlin</p>	<p>Hannover</p>	<p>Heidelberg</p>
<p>Dresden, Leipzig</p>	<p>Mainz</p>	<p>Munich</p>



Investorentag GCT

Zielgruppen: Start-ups und translationale Projekte im Bereich der gen- und zellbasierten Innovationen, relevante Investor*innen aus dem In- und Ausland, Industrievertreter*innen

Ziele:

- Matchmaking Startups und Investor*innen
- Stärkung des Dialogs zwischen Wissenschaft, Industrie, Finanzen und Politik
- internationale Sichtbarkeit des Standorts Deutschland



GeneNovate Investors' Day
Unlocking the Potential of
Gene- and Cell-Based Innovations

27. Juni 2025
Akademie der Künste
Berlin

Politischer Kontext



Politische Initiativen verbessern die Rahmenbedingungen für die medizinische Forschung und Entwicklung in Deutschland und Europa.

Noch nicht am Ziel!!!

Optionen für Teilhabe

Januar – Juni 2025

**Nationales Programm
GeneNovate**
Empowering Innovators and
Entrepreneurs in Gene and Cell
Therapies

Parallel in
Berlin, Mainz, München,
Heidelberg, Leipzig/Dresden,
Hannover

26. Juni 2025

All-Day
**Abschlussevent
GeneNovateProgramm**
Akademie der Künste, Berlin

Abendempfang
GeneNovate Investors' Day
Französische Botschaft, Berlin
Nur auf Einladung

27. Juni 2025

7.45 – 9.00 Uhr
Parlamentarisches Frühstück
Restaurant Käfer / Bundestag
Nur auf Einladung

Ab 9.30 Uhr
GeneNovate Investors' Day
Akademie der Künste,
Berlin

Mit großem Dank an Partner und Sponsoren!

Nationale Strategie für gen- und zellbasierte Therapien (GCT)

Zusammenfassung & nächste Schritte

- ✓ Ergänzung der AGs um zusätzliche Industrieexpertise und Patientenvertretende
 - ✓ Einbindung des International Sounding Boards
 - ✓ Nationales Entrepreneurship-Programm GeneNovate etabliert und in 2. Runde gestartet
 - ✓ Regulatory Support Unit etabliert und bundesweite Beratung findet statt
 - ✓ Erste nationale Förderung von GCT-Projekten und Personen-Tandems gestartet
-
- ▶ Weitere Ausarbeitung von über 25 Maßnahmen innerhalb der AGs
 - ▶ GCT-Investorentag in Vorbereitung
 - ▶ Weitere Calls für GCT Projekt- und Personenförderung laufend oder geplant
 - ▶ Beschluss der künftigen Governancestruktur

Vielen Dank!

SPONSORED BY THE



Federal Ministry
of Education
and Research

Coordinated by

BIH Berlin Institute
of Health
@Charité



GCT

Nationale Strategie
Gen- und zellbasierte Therapien