

1 Zusammenfassung

Seit die Deutsche Forschungsgemeinschaft (DFG) im Jahr 1995 eine erste Stellungnahme zum Thema Gentherapie veröffentlichte, hat sich dieses Forschungsfeld enorm weiterentwickelt. Erste klinische Erfolge haben das therapeutische Potenzial, aber auch die Risiken dieser Therapieoption aufgezeigt. Nicht anders als andere therapeutische Ansätze auch erfordert die klinische Anwendung genterapeutischer Arzneimittel eine sorgfältige Abschätzung von Nutzen und Risiken. Nach wie vor befindet sich dieses Forschungsfeld in einem Pilotstadium und ist, wie wenige medizinische Forschungsfelder sonst, zwingend auf die enge Zusammenarbeit und den ständigen Austausch von Grundlagenwissenschaftlern und Klinikern verschiedener Disziplinen angewiesen. Dies erfordert einen iterativen Optimierungsprozess, wobei, anders als in der klassischen klinischen Forschung, neue Ergebnisse aus dem Labor direkt in die klinische Prüfung transportiert und dabei gewonnene Erkenntnisse wiederum zur Weiterentwicklung im Labor genutzt werden.

Zur erfolgreichen Weiterentwicklung der Gentherapie besteht mittelfristig Forschungsbedarf insbesondere im Bereich der Entwicklung effizienter und sicherer Vektoren sowie bezüglich der molekularen Untersuchung der Wirkungen und Nebenwirkungen der Gentherapie im Tiermodell und im Rahmen experimenteller klinischer Studien. Dabei muss auch das Risikoprofil potenziell einzusetzender therapeutischer Gene stärker berücksichtigt werden. Die Anwendung der Gentherapie ist dem therapeutischen und präventiven Bereich vorbehalten. Für das Gendoping oder den kosmetischen Bereich wird keine vertretbare

1 Zusammenfassung

Anwendung gesehen. Die gegenwärtigen rechtlichen Rahmenbedingungen sind ausreichend; die derzeitige Erfassung von Gentransfer-Studien in einem zentralen Register soll fortgeführt werden. Insgesamt haben die letzten zehn Jahre mit ersten Erfolgen bei Immunschwächekrankheiten das therapeutische Potenzial der Gentherapie gezeigt und vielversprechende Therapieansätze auch für eine Reihe von monogenetischen Erbkrankheiten und für die erworbenen Krankheiten Krebs und HIV-Infektion/AIDS geliefert.

1 Summary

Since the Deutsche Forschungsgemeinschaft (DFG, German Research Foundation) first published a statement on gene therapy in 1995, this field has made enormous progress. Initial clinical successes have shown the therapeutic potential, but also the risks of this treatment option. Like all other forms of therapy, the clinical application of gene therapy requires a careful weighing of the benefits and risks. This field of research is still in a pilot stage and, like few other fields of medical research, relies on a close collaboration and a constant exchange between scientists engaged in basic research and clinicians of different disciplines. This requires an iterative optimisation process whereby, in contrast to classical clinical research, new results from the laboratory are directly transported to a clinical study and the knowledge gained from this process is then once again used to make further progress in the laboratory.

The successful further development of gene therapy over the medium-term especially requires research in the area of developing more efficient and safer vectors as well as the molecular investigation of the effects and side effects of gene therapy in the animal model and in the context of experimental clinical studies. A stronger focus has to be put on the assessment of the risk profile of potentially used therapeutic genes. The use of gene therapy is restricted to treatment and prevention. Gene doping or cosmetic application is not a justifiable use. The present legal framework is adequate; the current registration of gene transfer studies in a central registry should be continued. Overall, the past ten years have demonstrated the therapeutic potential of gene therapy

1 Summary

with initial successes in immunodeficiency diseases and have also delivered promising treatment approaches for a series of monogenetic hereditary diseases as well as for the acquired diseases of cancer and HIV infection/AIDS.