

## Regenerative Medizin: Heilung statt Behandlung

**Als „nächste Revolution in der Medizin“ bezeichnen manche Wissenschaftler die neuesten Entwicklungen der Regenerativen Medizin. Diese zielt mithilfe von Gentherapien oder Stammzellen darauf ab, nicht nur Symptome von Erkrankungen zu behandeln, sondern sie lebenslang zu heilen. Und tatsächlich stehen einige Ansätze bereits vor der Anwendung oder sind vereinzelt sogar schon beim Patienten angekommen. Sorgen bereiten jedoch gesellschafts- und gesundheitspolitische Interessen, die den Durchbruch der neuen Techniken behindern könnten. Und auch die großen Pharmafirmen müssten sich langsam auf den neuen Wandel vorbereiten, um den Einstieg nicht zu verpassen.**



Die Kultivierung von Stammzellen zählt zu den wichtigsten Techniken der Regenerativen Medizin.  
© Universitätsklinikum Freiburg

Viele Krankheiten lassen sich heutzutage schon behandeln – lebenslang heilen kann man sie allerdings nur in sehr viel weniger Fällen. Dies gilt besonders für Erkrankungen des Alters, bei denen die Ursache nachlassende Organfunktionen oder absterbende Zellen sind. Hier soll in Zukunft eine der neuesten Entwicklungen der Biomedizin helfen: die Regenerative Medizin, die die natürlichen Selbstheilungskräfte des Körpers gezielt einsetzt, um zu heilen.

Eine prägnante Definition des neuen Medizinkonzepts ist schwer zu finden, weil so viele biowissenschaftliche Disziplinen umfasst werden: Unter dem Begriff „Regenerative Medizin“ werden deshalb alle innovativen therapeutischen Ansätze zusammengefasst, die auf die Wiederherstellung oder den Ersatz erkrankter Gewebe, funktioneller Systeme oder gar ganzer Organe abzielen. Dabei kommen Techniken der verschiedensten biomedizinischen Bereiche wie Stammzell- oder Gentherapien, das Tissue Engineering (Gewebeherstellung) oder neuartige Biomaterialien zum Einsatz. Die Indikationen betreffen alle medizinischen Fachdisziplinen und reichen von der Wundheilung über die Therapie von Erbkrankheiten oder Krebserkrankungen bis hin zur Transplantation ganzer Organe.

## Markt für Regenerative Therapien wird enorm wachsen

Die meisten regenerativen Ansätze befinden sich im Moment aber noch in der Forschungsphase: So sind laut einer kürzlich veröffentlichten Studie der Unternehmensberatung Roland Berger\*, in der öffentliche Datenbanken ausgewertet wurden, rund 300 Stammzell- oder Gentherapie-Ansätze weltweit in industrieller Entwicklung. Zudem wird angenommen, dass zwischen 30 und 90 weitere Therapien in akademischen Einrichtungen erforscht werden. Was das Marktwachstum angeht, so

erwarten die Experten weltweit einen Anstieg von rund 20 Milliarden Euro im Jahr 2017 auf ein Volumen von 130 Milliarden Euro bis 2025.

Was jedoch auffalle, so die Unternehmensberatung, sei, dass bei weniger als 20 Prozent der Ansätze große Pharmafirmen beteiligt seien. Man müsse sich als Pharmakonzern nun schnell entscheiden, ob man aktiv am neuen Medizinkonzept mitwirken wolle oder sonst den Einstieg verpasse. Gleichzeitig müsse man sich bewusst machen, dass die neuen Entwicklungen konventionelle Arzneimittel zukünftig in manchen Bereichen für immer vom Markt verdrängen könnten.

## Große Pharmafirmen zurückhaltend



Für die Anwendung von Stammzelltherapien gibt es schon einige konkrete Beispiele, die Patienten helfen können.  
© Universitätsklinikum Freiburg

Gründe für die bisherige Zurückhaltung seien nicht nur das vergleichsweise hohe Risiko, sondern unter anderem auch eine völlig andere pharmazeutische Wertschöpfungskette: Frühe Entwicklungsphasen seien beispielsweise nicht mehr so leicht planbar, weil Parameter wie Genexpression oder Überlebensrate von Zellen zunächst aufwendig optimiert werden müssten. Und auch klinische Phasen, Zulassungsverfahren und Rechteverwertung würden als ungleich komplizierter eingeschätzt und völlig neue Fragen aufwerfen, zum Beispiel, wie die Dosis für ein Zellprodukt festgelegt wird. Gleiches gelte auch für die Produktion der patientenspezifischen und äußerst empfindlichen Arzneimittel, die umgehend verarbeitet und verabreicht werden sollen, sodass die Herstellung unbedingt in Patientennähe angesiedelt werden muss. Eine ähnlich schwierige Situation wird auch für das Gesundheitswesen gesehen: Man müsse nun ein völlig neues, komplexes Erstattungssystem für die Therapien erarbeiten, aber gleichzeitig auch

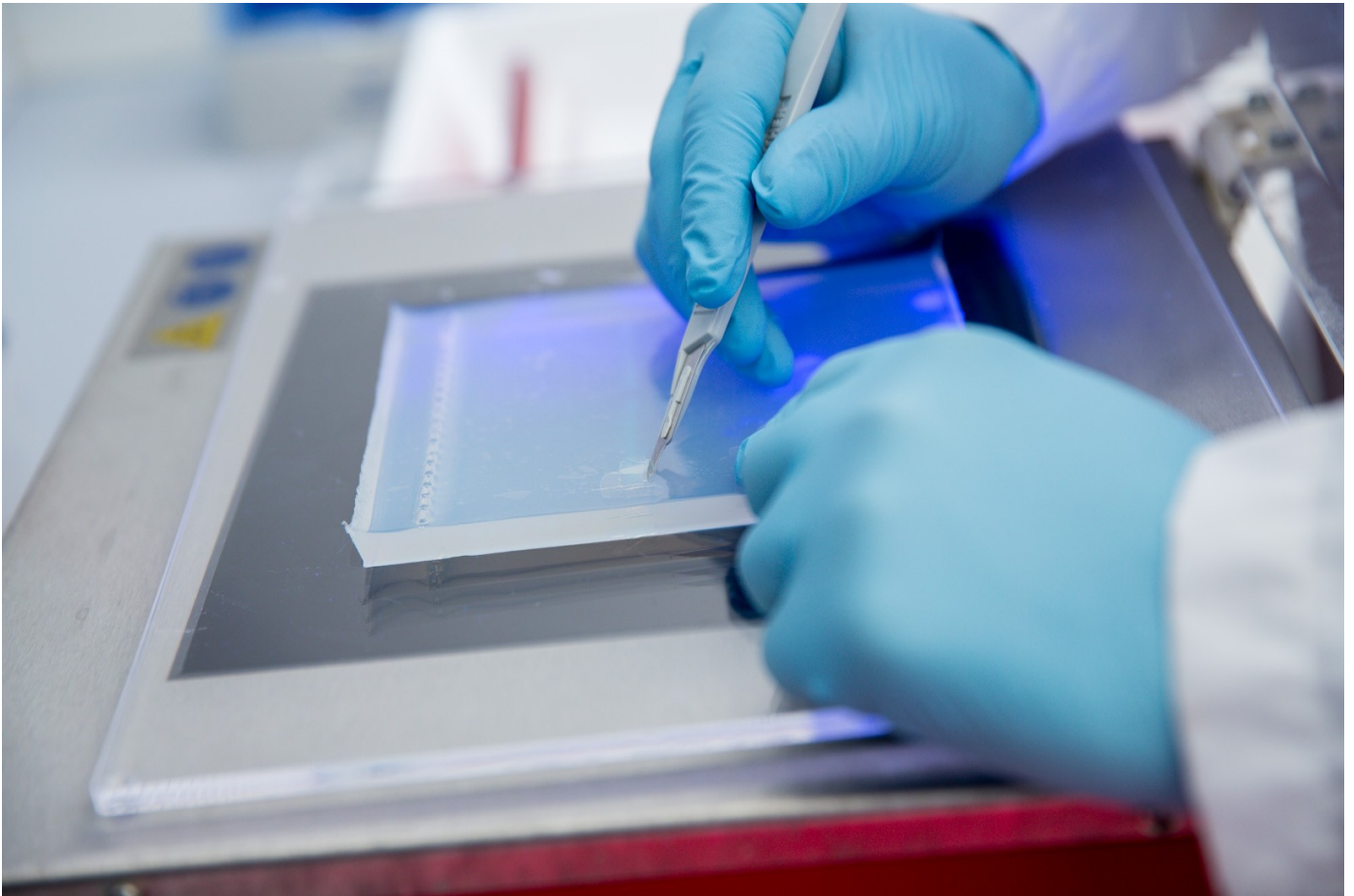
sicherstellen, dass eine solide Finanzierung auf lange Sicht gesichert sei – und zwar schon, bevor das entsprechende Arzneimittel auf den Markt gebracht wird.

## Schon gute Beispiele für erfolgreiche Regenerative Therapien

Trotz aller Unsicherheiten, die die neuen Technologien momentan noch begleiten, gibt es bereits eine Reihe an Beispielen für die erfolgreiche Anwendung. Für Schlagzeilen sorgte beispielsweise erst kürzlich der Fall eines Siebenjährigen, dessen Haut wegen eines Gendefekts zerstört war. Von einem Bochumer Ärzteteam bekam er nachgezüchtete Haut aus patienteneigenen Stammzellen auf fast die gesamte Körperfläche transplantiert, sodass er heute – knapp zwei Jahre nach dem Eingriff – trotz seiner schweren Erkrankung ein ganz normales Leben führen kann.

Im Moment noch ein Einzelfall, wie Experten sagen, aber gerade die Regeneration von Haut sei ein gutes Beispiel dafür, dass die neuen Techniken auch schon beim Patienten angekommen sind, wie Prof. Dr. Konrad Kohler, Leiter des Zentrums für Regenerationsbiologie und Regenerative Medizin des Universitätsklinikums Tübingen, berichtet: „Allerdings ist Hautersatz aus Stammzellen momentan noch ein so hochspezialisiertes Verfahren und so kostenintensiv, dass eine solche Behandlung nicht in der klinischen Routine eingesetzt werden kann. Ein Problem ist auch, dass die Krankenkassen solche innovativen Zelltherapien in der Regel noch nicht erstatten.“

## Baden-Württemberg ganz vorne dabei



Die Genschere CRISPR/Cas ist eine vielversprechende Technik für die Gentherapie. Die Anwendungen befinden sich momentan noch im experimentellen Stadium – klinische Studien sind aber bereits in Planung.

© Universitätsklinikum Freiburg

Als „Glanzlichter“ der Regenerativen Medizin bezeichnet Kohler onkologische Therapien mit Stammzellen, wie beispielsweise Stammzell-Transplantationen bei Leukämien: „Diese klinischen Klassiker werden ja schon seit Jahrzehnten angewandt und zunehmend auch auf andere onkologische Krankheitsbilder erweitert.“ Und auch die autologe Chondrozytentransplantation (ACT) – ein Verfahren zur Behandlung von traumatischen Knorpelverletzungen am Kniegelenk – sei ein Beispiel für ein erfolgreiches Verfahren: „Diese Technik ist übrigens maßgeblich in Baden-Württemberg entwickelt worden; auf diesem Gebiet sind zum Beispiel die TETEC AG in Reutlingen und die BG Klinik Tübingen Vorreiter“, sagt Kohler. „Überhaupt ist Baden-Württemberg, was die Regenerative Medizin angeht, in Verbindung mit der Medizintechnik führend in Deutschland – und auch international ein Hotspot. Vor allem auch, was die Kooperation zwischen Forschung, Klinik und mittelständischen Unternehmen angeht.“

Die ACT würde zunehmend weiter entwickelt und auch auf andere Indikationen wie Schulter- und kleinere Gelenke ausgeweitet, so Kohler. Und auch Arthrosen könnten zukünftig sicher mehr und mehr regenerativ behandelt werden. Es gebe zwar noch keine evidenzbasierten Studien, die Patienten könnten aber durchaus bei den Kassen nachfragen, ob eine solche Therapie übernommen werde. „Und auch die Forschung zu Bandscheibenrekonstruktionen sind in vollem Gang – sogar bereits in klinischen Studien“, sagt er. „Ich rechne damit, dass wir auf diesem Gebiet schon in den nächsten vier bis fünf Jahren eine erfolgreiche regenerative Therapie zur Hand haben werden.“

Auch Forschungsansätze an Leber und Auge seien schon weit fortgeschritten, berichtet er: „Die Leber ist selbst schon ein äußerst regenerationsfähiges Organ. Hier ist die Idee, gesunde Leberzellen als eine Art „biologische Fabrik“ in defektes Lebergewebe zu schleusen und damit für

einige Zeit das Organ zu unterstützen, um beispielsweise Intoxikationen zu behandeln. Und was das Auge betrifft, so ist das Tissue Engineering von Hornhaut (Cornea) ein sehr vielversprechender Ansatz, um den großen Bedarf an Corneagewebe für Transplantationen und den Mangel an Spendergewebe auszugleichen. Es gibt auch intensive Forschung zu Stammzelltherapien für die erkrankte Retina.“

## Gentherapie noch im experimentellen Stadium

Was die Gentherapie angeht, so hätte man zwar vor allem mit der Genscheren CRISPR/Cas eine vielversprechende Technik zur Hand, aber dies sei noch im experimentellen Stadium, so Kohler. Das Gleiche berichtet Prof. Dr. Toni Cathomen, Direktor des Instituts für Transfusionsmedizin und Gentherapie am Universitätsklinikum Freiburg: „In der klinischen Forschung läuft leider momentan noch sehr wenig in Deutschland. Vielleicht, weil man sich vor ein paar Jahren schon einmal die Finger verbrannt hatte, als an der Medizinischen Hochschule Hannover Patienten mit einer experimentellen Gentherapie behandelt wurden und es Todesfälle gab. Da ist man bei uns jetzt sehr zurückhaltend; in anderen Ländern läuft das wesentlich positiver.“

Was aber momentan schon kurz vor einer konkreteren Anwendung stehe, seien Studien zur Immunzelltherapie gegen Tumoren des hämatopoetischen Systems: „Dieses Feld wird jetzt aufgerollt, und ich kann mir vorstellen, dass da einiges kommt, aber darüber gesprochen wird noch nicht“, sagt Cathomen. Auch er und sein Forscherteam sind gerade dabei, eine klinische Studie mit Genschern zur Therapie von HIV-Infektionen vorzubereiten: „Zunächst steht jetzt für uns der Gang zu den Behörden an, aber wir hoffen, dass wir 2019 starten können. Nach einer 18-monatigen Patientenphase wünschen wir uns dann natürlich möglichst positive Ergebnisse.“

\* Roland Berger Focus: „Regenerative medicine: The next generation of therapeutic products is set to shake up the pharmaceutical world“ Sept. 2017, Roland Berger GmbH München.

---

### Fachbeitrag

19.03.2018

Dr. Petra Neis-Beeckmann

© BIOPRO Baden-Württemberg GmbH

---

### Weitere Informationen

Prof. Dr. Toni Cathomen

Institut für Transfusionsmedizin und Gentherapie

Universitätsklinikum Freiburg

Hugstetter Straße 55

79106 Freiburg

Tel.: +49 (0)761 270 34800

E-Mail: [toni.cathomen\(at\)uniklinik-freiburg](mailto:toni.cathomen(at)uniklinik-freiburg)

Prof. Dr. Konrad Kohler

Universitätsklinikum Tübingen

Zentrum für Regenerationsbiologie und Regenerative Medizin

Paul-Ehrlich-Str. 15

72076 Tübingen

Tel.: +49 (0)7071 29 85034

E-Mail: konrad.kohler(at)uni-tuebingen.de

- ▶ Zentrum für Regenerationsbiologie und Regenerative Medizin – Universitätsklinikum Tübingen
- ▶ Institut für Transfusionsmedizin und Genterapie – Universitätsklinikum Freiburg

---

## Der Fachbeitrag ist Teil folgender Dossiers



Adulte Stammzellen - Hoffnungsträger für regenerative Therapien



Regenerative Medizin nutzt patienteneigene Ressourcen



Zell- und Genterapien: Aus der Forschung in die Klinik

regenerative Medizin

Genterapie

Stammzelle

Universität  
Freiburg

Universität Tübingen

Zelltherapie

CRISPR/Cas