

Nr. 18/2020
vom 7. Oktober 2020

Seite 1/3

Zum Chemie-Nobelpreis: Pharma-Unternehmen entwickeln Gentherapien auf Basis des Nobel-prämierten Gene Editings

Rückfragen an:
Dr. Rolf Hömke
Telefon 030 20604-204
r.hoemke@vfa.de

- Der diesjährige Nobelpreis für Chemie geht an die Entwicklerinnen der CRISPR/Cas9-Methode zur gezielten Erbgutveränderung
- Pharma-Unternehmen nutzen die CRISPR/Cas9-Technik, um neue Gentherapien für Patienten mit Erbkrankheiten zu entwickeln
- Erste auf CRISPR/Cas9 basierende Gentherapien werden bereits mit Patienten erprobt

Berlin (vfa). Heute wurde in Stockholm verkündet, dass Emmanuelle Charpentier und Jennifer A. Doudna den diesjährigen Nobelpreis für Chemie für die Entwicklung der CRISPR/Cas9-Technik erhalten. Diese biochemische Methode ermöglicht das gezielte Verändern von Erbinformation direkt in Zellen, das sogenannte Genome Editing. Dazu sagt vfa-Präsident Han Steutel: „Für die Arzneimittelforschung ist die CRISPR/Cas9-Technik von großem Wert. Pharma-Unternehmen entwickeln darauf aufbauend Gentherapien für Patienten mit bestimmten Erbkrankheiten und Krebserkrankungen; außerdem nutzen sie die Technik für Laborexperimente, die zur Erfindung anderer Medikamente dienen. So wird die heute prämierte Technik entscheidend dazu beitragen, dass künftig Patientinnen und Patienten noch besser geholfen werden kann.“

Hausvogteiplatz 13
10117 Berlin
Telefon 030 206 04-0
www.vfa.de

Gentherapien mit CRISPR/Cas9

Seite 2/3

Seit einigen Jahren gibt es erste zugelassene Gentherapien für Patienten mit bestimmten angeborenen Gendefekten. Die Therapie führt meist zu einer anhaltenden Besserung ihrer Krankheiten. Dazu müssen einige ihrer Zellen – oft außerhalb des Körpers – aber mit einem zusätzlichen funktionstüchtigen Gen versehen werden. Mit künftigen Gentherapien auf Basis von CRISPR/Cas9 dürfte es hingegen gelingen, die defekten Gene selbst zu reparieren.

Pressemitteilung
Nr. 18/2020
vom 7. Oktober 2020

Mit der CRISPR/Cas9-Technik verändern Pharmaforscher auch Immunzellen, die sie Patienten dann zur Bekämpfung bestimmter Krebsarten verabreichen können.

Erste CRISPR/Cas9-Therapien werden derzeit in klinischen Studien mit Patienten geprüft – auch in Deutschland. Dabei geht es um die Blutbildungsstörungen Beta-Thalassämie und Sichelzellanämie sowie um B-Zell-Tumore. Zugelassene CRISPR/Cas9-Therapien gibt es noch nicht.

Laborforschung mit CRISPR/Cas

Als Werkzeug in der biologisch-medizinischen Forschung ist CRISPR/Cas9 enorm hilfreich, weil sich damit viele Experimente wesentlich beschleunigen lassen. Wichtige Forschungsfragen erfordern es beispielsweise oft, einzelne Gene in einem Gewebe gezielt auszuschalten und zu sehen, welche Konsequenzen das für den Stoffwechsel oder andere Lebensvorgänge hat. Bei einzelligen Bakterien oder Hefen ist dieses Vorgehen vergleichsweise einfach. Ähnliche Versuche mit Wirbeltieren erforderten früher lange Vorbereitung. Mit dem CRISPR/Cas9-System kann diese Zeit deutlich verkürzt und können auch Versuchstiere eingespart werden.

Die genaue Funktion von Genen und den mit ihrer Hilfe gebildeten Proteinen im Körper zu kennen, ist eine wichtige Voraussetzung für das Erfinden neuer Medikamente.

Die CRISPR/Cas9-Technik wird ständig weiterentwickelt, etwa um ihre Zuverlässigkeit weiter zu steigern. In der Arzneimittelforschung werden auch diese Neuerungen aufgegriffen.

Weitere Informationen

- Artikel und Grafiken zu CRISPR/Cas9: www.vfa-bio.de/von- genomchirurgie-und-genome-editing.html

- Informationen zu Gentherapien: <https://www.vfa-bio.de/download/bcg-vfa-bio-biotech-report-2020.pdf>

Seite 3/3

Der vfa ist der Verband der forschenden Pharma-Unternehmen in Deutschland. Er vertritt die Interessen von 45 weltweit führenden Herstellern und ihren über 100 Tochter- und Schwesterfirmen in der Gesundheits-, Forschungs- und Wirtschaftspolitik. Die Mitglieder des vfa repräsentieren rund zwei Drittel des gesamten deutschen Arzneimittelmarktes und beschäftigen in Deutschland ca. 80.000 Mitarbeiter. Mehr als 18.000 davon arbeiten in Forschung und Entwicklung. Folgen Sie uns auf Twitter: www.twitter.com/vfapharma

Pressemitteilung
Nr. 18/2020
vom 7. Oktober 2020