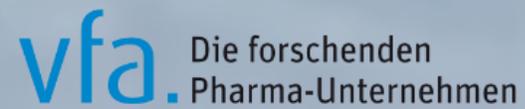


The logo for Vintura, featuring a stylized orange and white 'V' followed by the word 'VINTURA' in a bold, dark blue, sans-serif font.

**VINTURA**

The logo for vfa, consisting of the lowercase letters 'vfa' in a blue, lowercase, sans-serif font, followed by the text 'Die forschenden Pharma-Unternehmen' in a smaller, dark blue, sans-serif font.

**vfa.** Die forschenden  
Pharma-Unternehmen

The logo for DG-GT, featuring a red and white DNA double helix icon to the left of the text 'DG-GT' in a large, bold, dark blue, sans-serif font. Below this, the text 'Deutsche Gesellschaft für Gentherapie e.v.' is written in a smaller, dark blue, sans-serif font.

**DG-GT**  
Deutsche Gesellschaft für  
Gentherapie e.v.

# Monitoring für Gen- und zellbasierte Therapien (GCT)

April, 2025

# Inhalte

1. Hintergrund des GCT-Monitorings
2. Aufbau des GCT-Monitorings
3. Indikatoren
4. Ergebnisse der Expertenumfrage
5. Appendix: Indikatordaten

# Agenda

A close-up photograph of a laboratory multi-well plate. A purple pipette tip is positioned over one of the wells, dispensing a small amount of liquid. The plate is filled with many other wells, some of which contain faintly colored liquids. The background is blurred, showing a laboratory setting with a whiteboard and other equipment.

## 1. Hintergrund des GCT-Monitorings

# Der vfa hatte '24 in Kooperation mit Fraunhofer ein Monitoring für den F&E-Standort („PROUD“) entwickelt, das wir nun gezielt für Gen- und Zelltherapien erweitern



## Was ist PROUD<sup>1</sup> und warum haben wir es entwickelt?

- \ PROUD ist eine Zusammenstellung von Indikatoren zur mittel- und längerfristigen Verlaufsmessung der Qualität und Leistungsfähigkeit des F&E-Standorts Deutschland.
- \ PROUD basiert auf öffentlich verfügbaren Daten bzw. regelmäßig erhobenen und etablierten kommerziellen Quellen. Ergänzend basiert PROUD auf einer Befragung von F&E-Experten und Entscheidungsträgern.
- \ PROUD ist Bestandteil der vom vfa und der Fraunhofer Gesellschaft vorgelegten Strategie „Pharma F&E 2035: Deutschlands Investitionsrahmen für die Zukunft“.

## Wie nutzen wir PROUD?

- \ Die Strategie „Pharma F&E 2035: Deutschlands Investitionsrahmen für die Zukunft“ zeigt Handlungsbedarfe und Handlungsempfehlungen für politische Entscheidungsträger auf. PROUD wird das Tool zur Messung von Veränderung im F&E Bereich.
- \ PROUD wird in jährlich aktualisierter Form veröffentlicht.
- \ PROUD wird den faktenbasierten und konstruktiven Dialog mit politischen Entscheidungsträgern zur Stärkung des F&E-Standorts Deutschland befördern.

## GCT-Monitoring

- \ Basierend auf den Erfahrungen aus der Entwicklung von PROUD, können wir nun gemeinsam ein Tool spezifisch für die Gen- und Zelltherapien entwickeln



Die Möglichkeit, die Fortschritte der natl. Strategie für Gen- & Zelltherapie zu verfolgen, wird einen klaren Mehrwert für die Zusammenarbeit mit allen Stakeholdern bringen



# Das GCT-Monitoring umfasst quantitative und qualitative Indikatoren entlang der Kern-Aktionsfelder und ergänzt dadurch die nationale Strategie für Gen- und Zelltherapie



## Umfassende Darstellung

- Quantitative und qualitative Indikatoren
- Logische Präsentation der Kennzahlen
- Indikatoren entlang der Kern-Aktionsfelder

Wo möglich definieren wir drei Messwerte:

- Ausgangslage: Wo stehen wir aktuell?
- Internat. Vergleich: Wo stehen andere?
- Ziel: Wo wollen wir hin?



## Gute Datenqualität

Wo möglich nutzen wir Daten, die:

- Regelmäßig erhoben werden
- International vergleichbar sind
- Öffentlich frei zugänglich sind oder aus etablierten kommerziellen Datensätzen stammen (z.B. GlobalData, Citeline)



## Zielgruppengerechte Ausführung

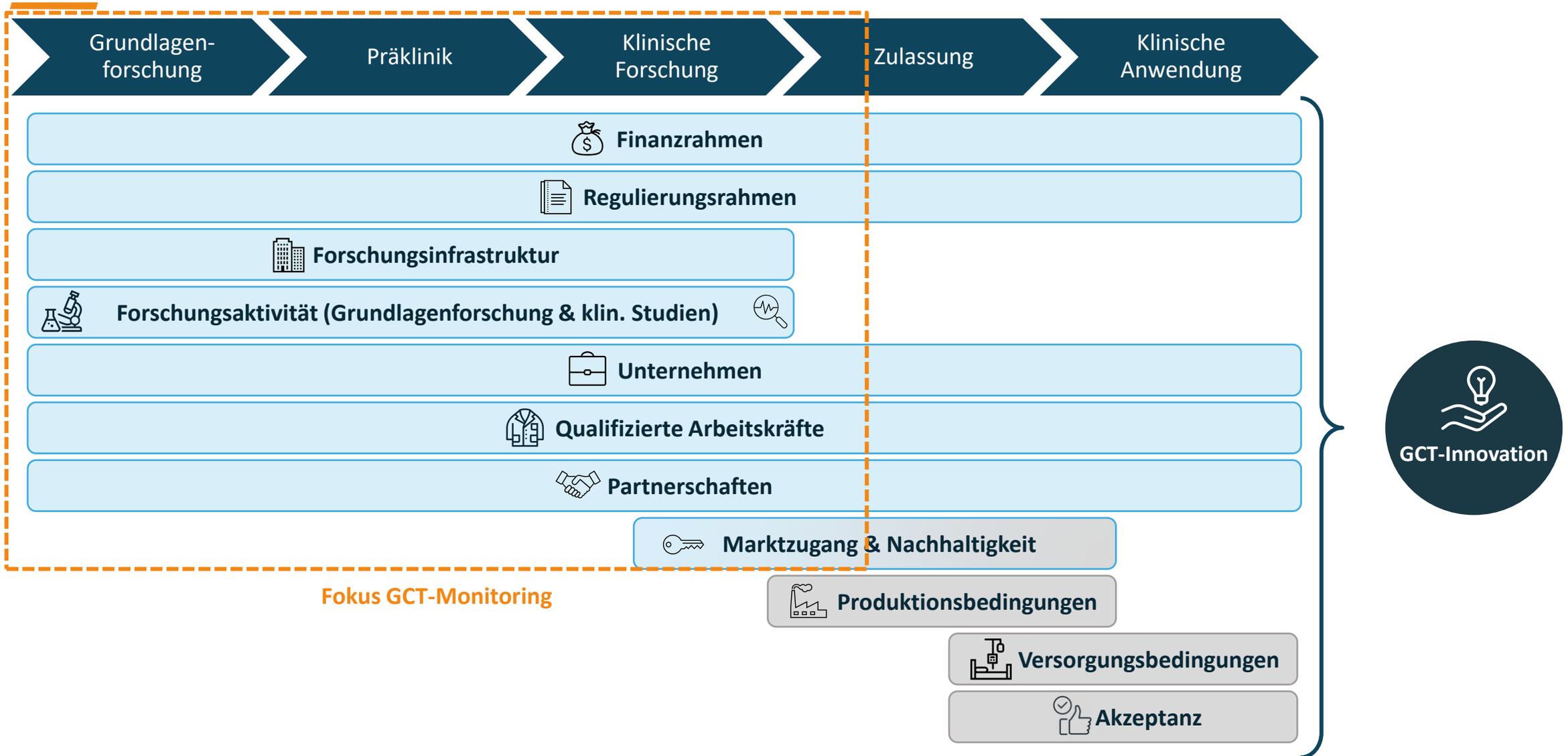
Primärer Adressat sind GCT-Entscheidungsträger, daher:

- Relevanz und Fokus: Das Monitoring sollte sich auf die wichtigsten Kennzahlen konzentrieren
- Klarheit und Verständlichkeit: Die Informationen sollten unkompliziert und visuell ansprechend präsentiert werden
- Zielorientierung: Definierte Zielwerte fördern die Verantwortlichkeit und Handlungsbereitschaft

# Agenda

## 2. Aufbau des GCT-Monitorings

Das GCT-Monitoring fokussiert auf den F&E-Abschnitt der Wertschöpfungskette, da diese Grundlagen der Schlüssel zur weiteren Standortentwicklung sind



# Agenda

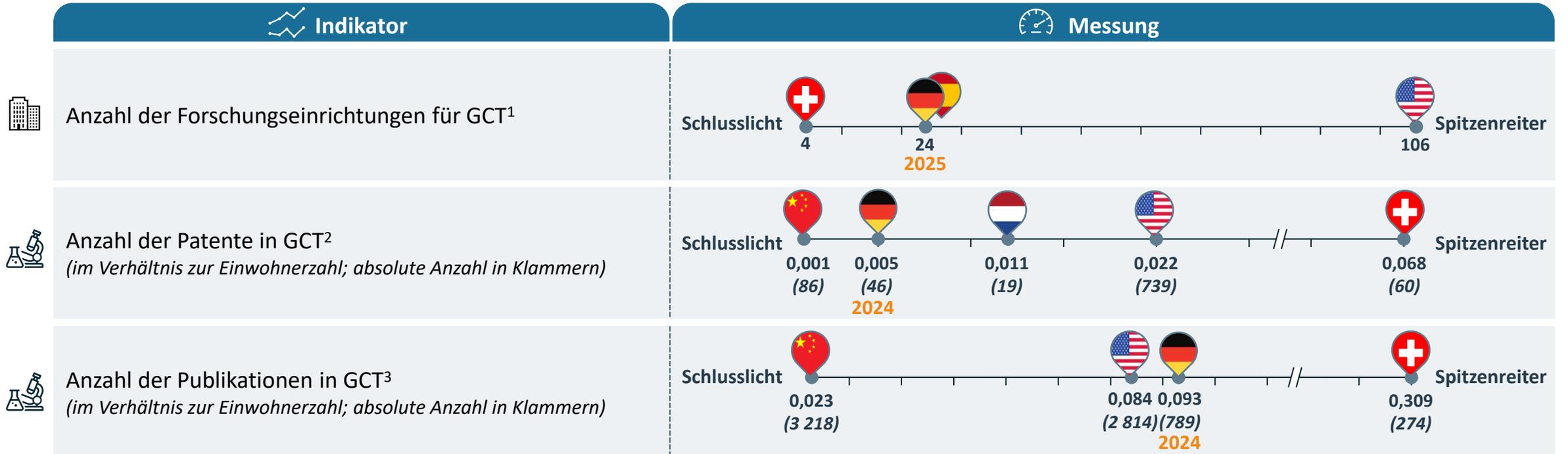
## 3. Indikatoren



# Übersicht der Indikatoren

Aktionsfeld	Inhalt	Indikator	Quelle
 <b>Forschungsinfrastruktur</b>	Forschungseinrichtungen	Anzahl der Forschungseinrichtungen für GCT	GlobalData
 <b>Grundlagenforschung</b>	Patente	Anzahl der Patente in GCT	Lens Patent Search
	Publikationen	Anzahl der Publikationen in GCT	PubMed
 <b>Klinische Studien</b>	Klinische Studien	Anzahl der Prüfer-initiierten GCT-Studien in Phase I	GlobalData
	Klinische Studien	Anzahl der klinischen GCT-Studien in Phase I (von Unternehmen gesponsert)	GlobalData
	Klinische Studien	Anzahl der klinischen GCT-Studien in allen Phasen (von Unternehmen gesponsert)	GlobalData
	Klinische Studien Durchführung	Anteil der medizinischen Einrichtungen (Prüfzentren), die multinationale GCT-Studien mit ausgeführt haben	GlobalData
 <b>Finanzrahmen</b>	Kapitalinvestitionen	Höhe der Eigenkapitalinvestitionen in GCT	GlobalData
 <b>Unternehmen</b>	Start-Ups	Anzahl der neu gegründeten Start-Ups im Bereich GCT	Crunchbase
	Unternehmen	Anzahl der Unternehmen im Bereich GCT	GlobalData
 <b>Partnerschaften</b>	Partnerschaften	Anzahl der Lizenzvereinbarungen/Partnerschaften im Bereich GCT	GlobalData
 <b>Marktzugang &amp; Nachhaltigkeit</b>	Zulassung	Anzahl der zugelassenen GCT-Produkte	Relevante Behörden
	Erstattung	Anteil der erstatteten GCT-Produkte	Diverse Quellen

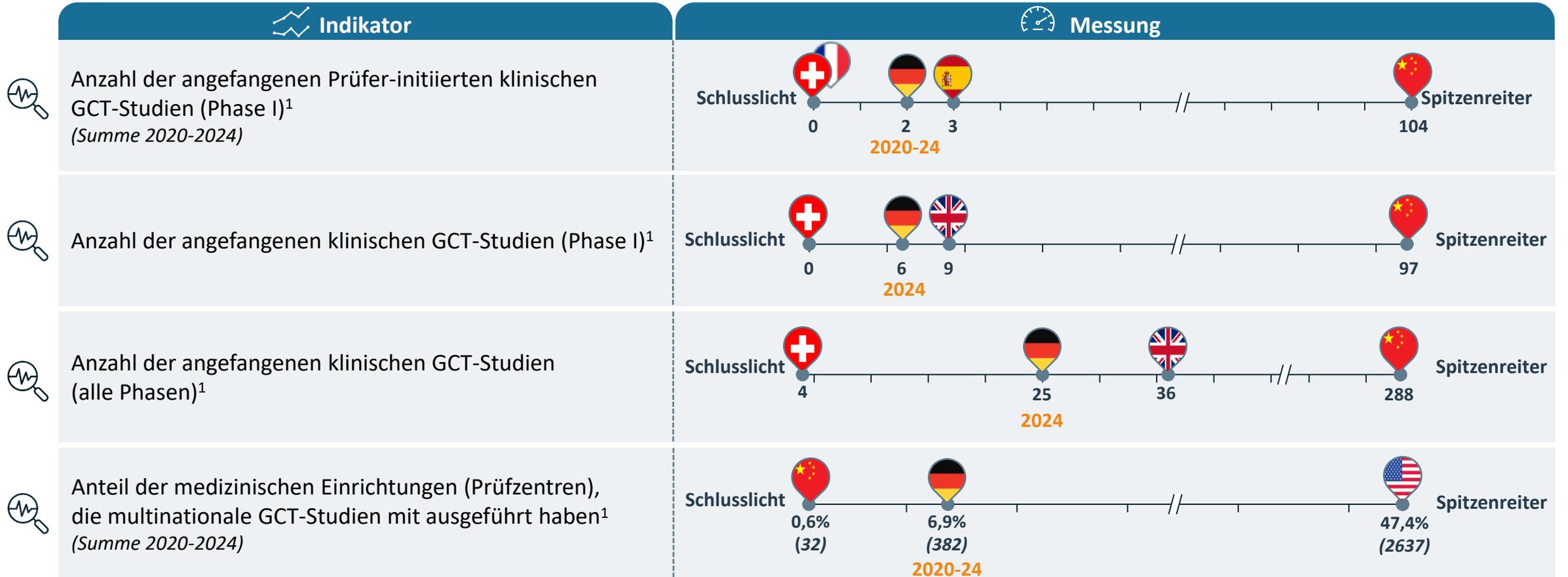
# Zusammenfassung der Indikatoren (I/VI)



1: GlobalData; 2: Lens Patent Search, 3: PubMed

Hinweis: Daten basieren immer auf der aktuellsten Erhebung; Wenn möglich, werden folgende Länder hier aufgeführt: Deutschland, Schlusslicht aus der Länderselektion, Spitzenreiter EU der Selektion, Spitzenreiter nicht-EU der Selektion, weltweiter Spitzenreiter

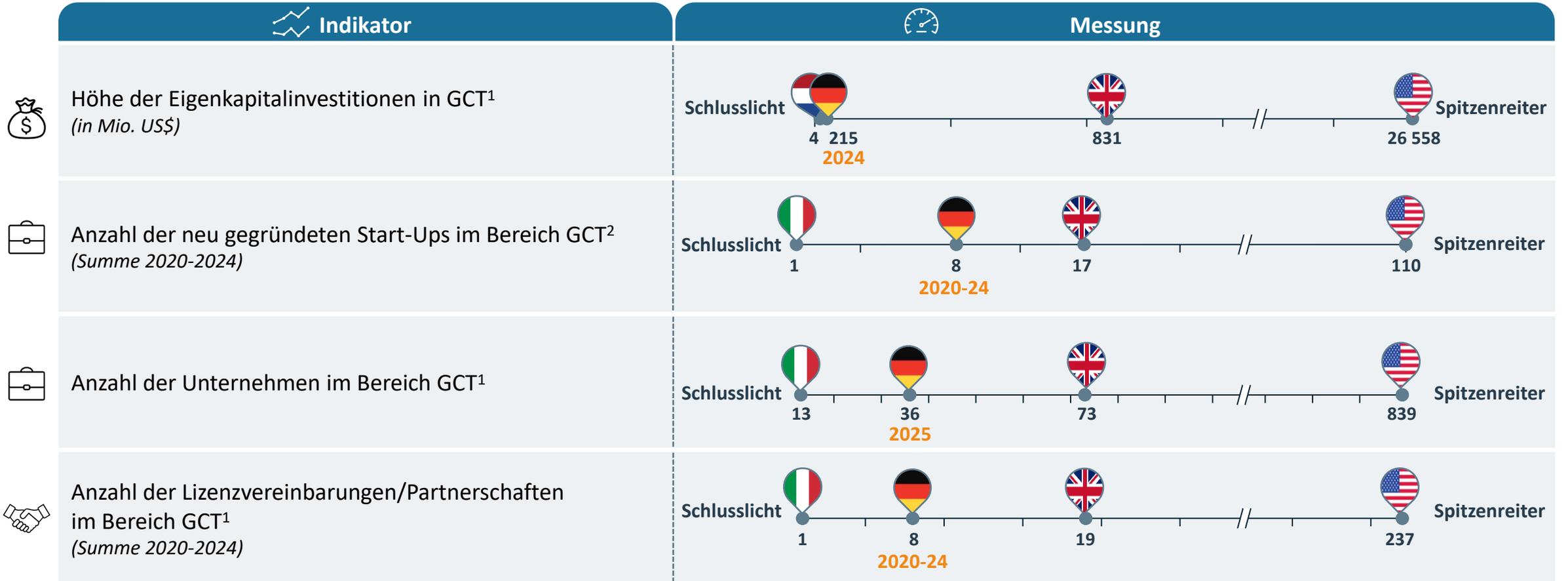
# Zusammenfassung der Indikatoren (II/IV)



1: GlobalData

Hinweis: Daten basieren immer auf der aktuellsten Erhebung; Wenn möglich, werden folgende Länder hier aufgeführt: Deutschland, Schlusslicht aus der Länderselektion, Spitzenreiter EU der Selektion, Spitzenreiter nicht-EU der Selektion, weltweiter Spitzenreiter

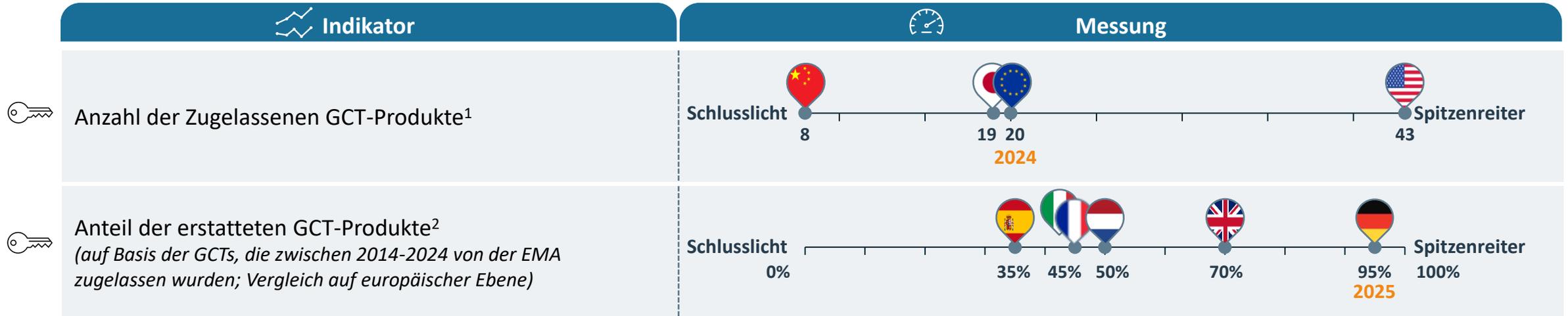
# Zusammenfassung der Indikatoren (III/IV)



1: GlobalData; 2: Crunchbase

Hinweis: Daten basieren immer auf der aktuellsten Erhebung; Wenn möglich, werden folgende Länder hier aufgeführt: Deutschland, Schlusslicht aus der Länderselektion, Spitzenreiter EU der Selektion, Spitzenreiter nicht-EU der Selektion, weltweiter Spitzenreiter

# Zusammenfassung der Indikatoren (IV/IV)

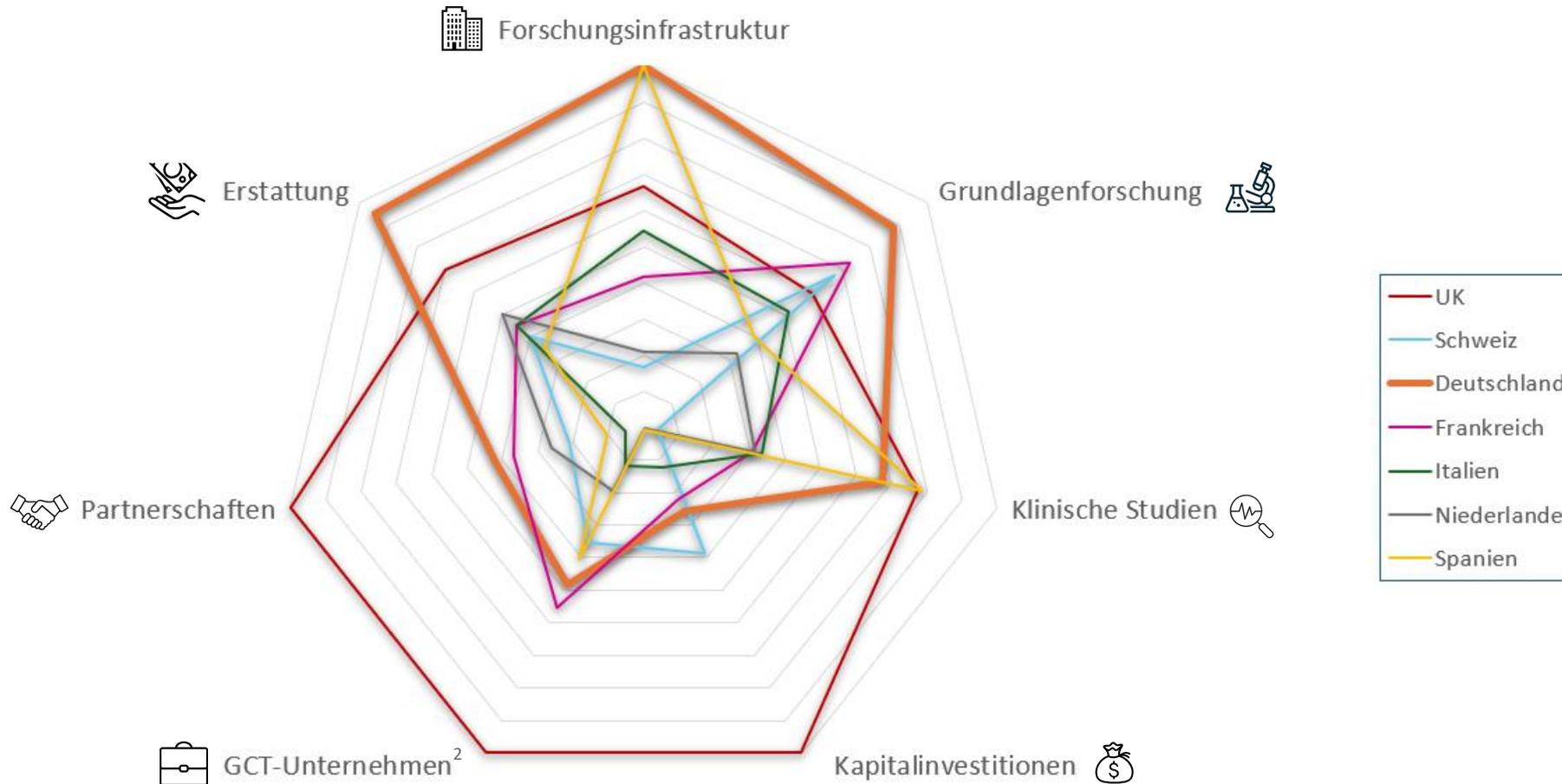


1: EMA, FDA, PMDA (Japan), NMPA (China); 2: Diverse Quellen (inkl. IQVIA, relevante Behörden der jeweiligen Länder), siehe Folie 37

Hinweis: Daten basieren immer auf der aktuellsten Erhebung

# Deutschland führt als Forschungsstandort für GCT in Europa am Anfang und Ende der Wertschöpfungskette, zeigt Schwächen in der Translation und wirtschaftlichen Dynamik

## Stärken und Schwächen der europäischen Länder pro GCT-Aktionsfeld<sup>1</sup>



1: Zusammenfassung der jeweiligen Indikatoren pro Kategorie; Leistung im Verhältnis zum europäischen Spitzenreiter (d.h. der Spitzenreiter gibt die 100% pro Kategorie an); für Kategorien mit mehreren Indikatoren, wurde der Mittelwert kalkuliert, daher ist der Spitzenreiter nicht immer bei 100%; Indikatoren „Klinische Studien Durchführung“ und „Zulassung“ nicht mit eingeschlossen; 2: Etablierte Unternehmen und Start-Ups

# Agenda

## 4. Ergebnisse der Expertenumfrage

# GCT-Expert:innen aus verschiedenen Bereichen wurden zum Stand von Forschung & Entwicklung in der Gen- und Zelltherapie in Deutschland eingebunden und befragt

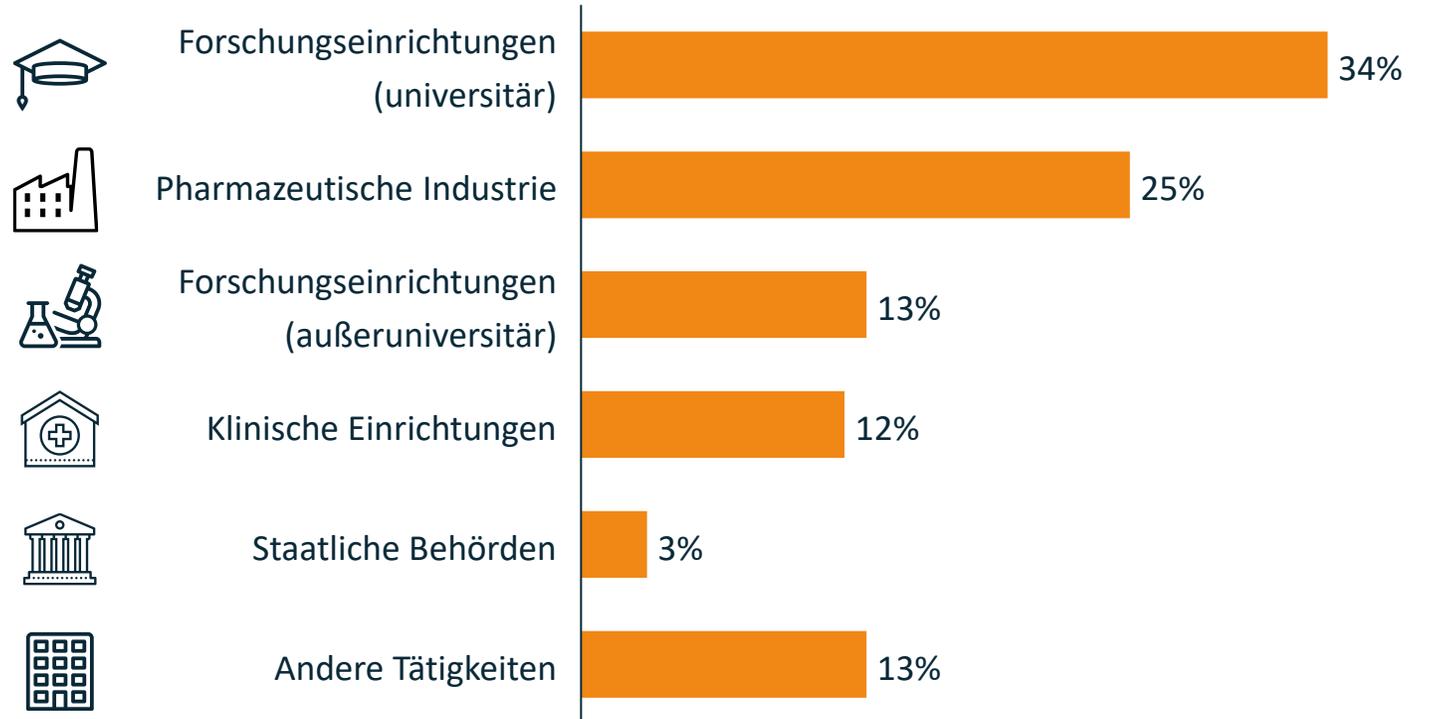
## Zielgruppe

Expert:innen in Deutschland für F&E in der Zell- und Gentechnik aus der Wissenschaft und Industrie

Erstellung des Fragebogens mit iterativem Experten-Feedback (Delphi-Methode)



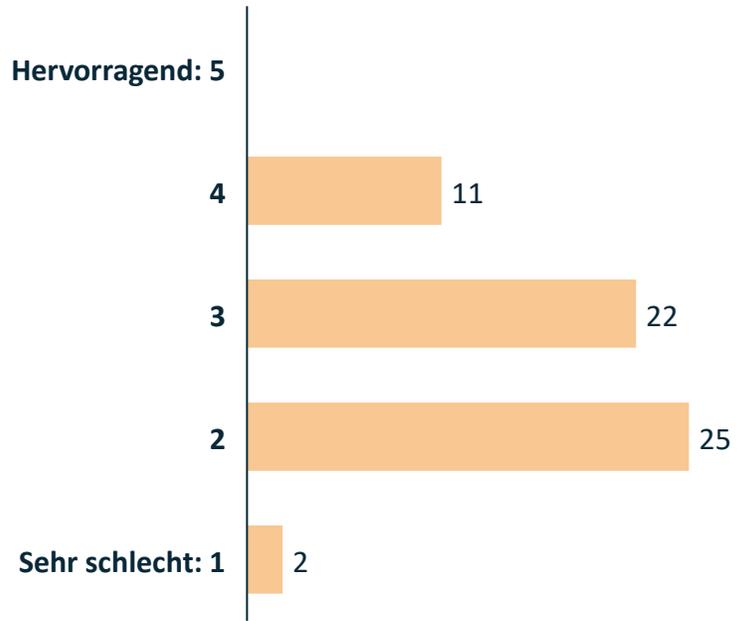
## Demografie (n = 61)



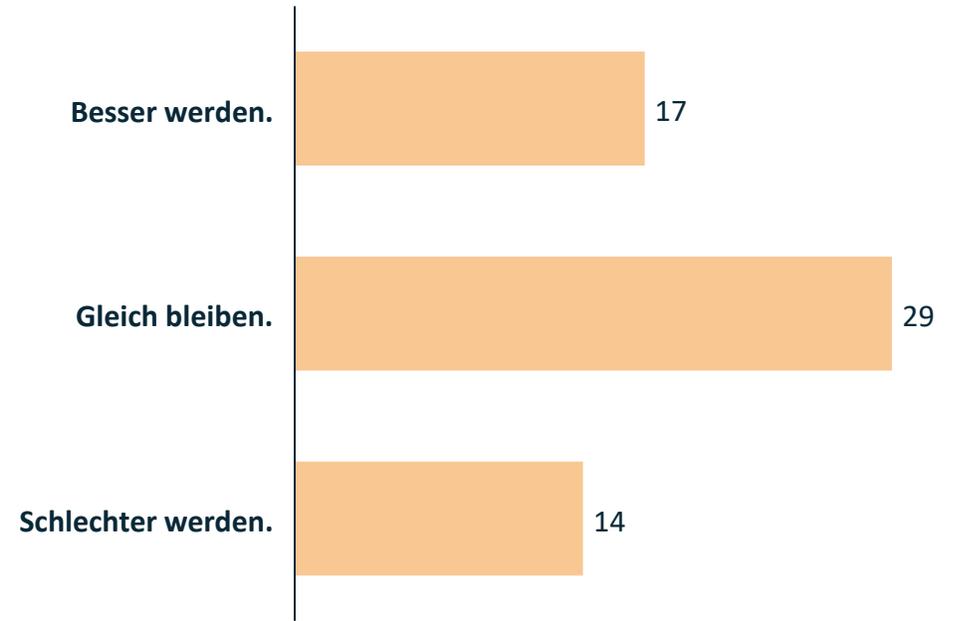
# Befragte F&E-Expert:innen bewerten die Rahmenbedingungen für GCT kritisch und sehen auch zukünftige Entwicklungen eher pessimistisch

## 1. Wie bewerten Sie insgesamt die Rahmenbedingungen für F&E für Zell- und Gentherapien in Deutschland?

**2.7**  
Durchschnittliche  
Bewertung

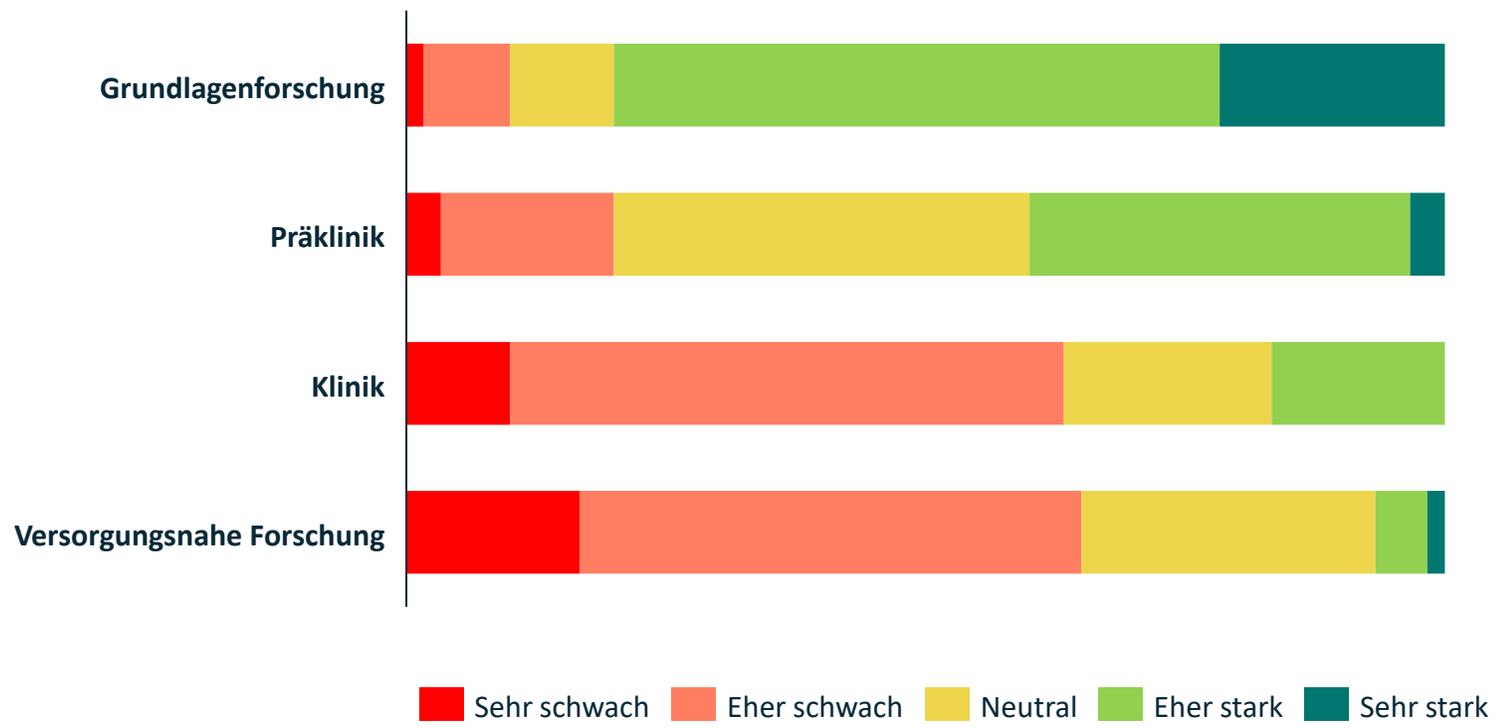


## 2. In den kommenden drei Jahren werden die Rahmenbedingungen für Forschung & Entwicklung für Zell- und Gentherapien in Deutschland aus meiner Sicht...



# Die befragten Expert:innen sehen die Stärken des Standorts in der Grundlagenforschung und deutlichere Schwächen in der klinischen und versorgungsnahen Forschung

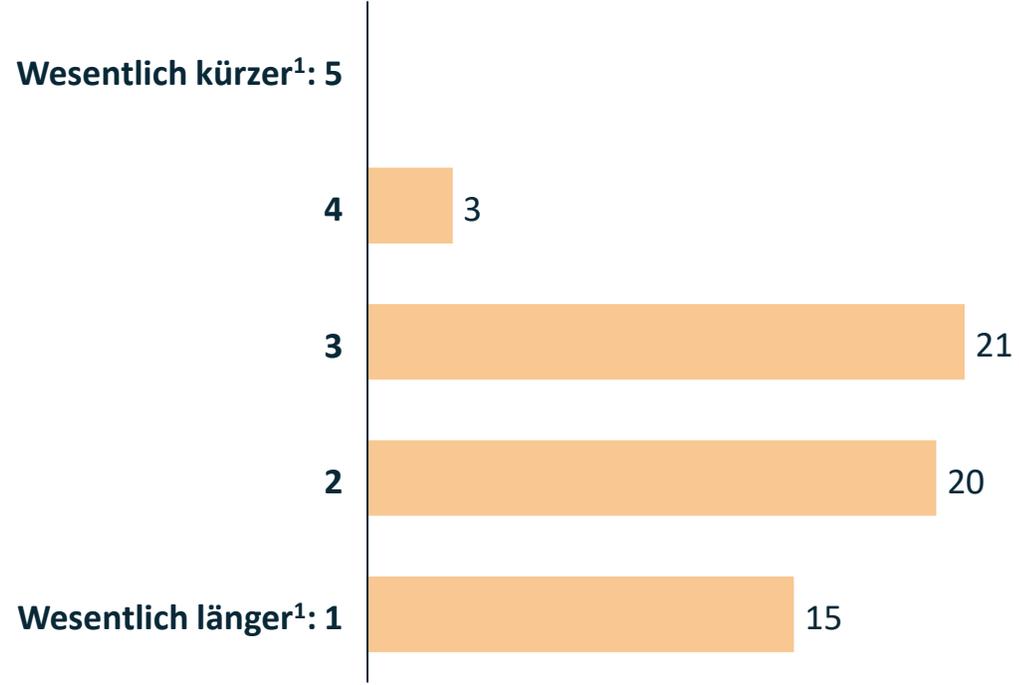
## 3. Wie schätzen Sie aktuell die Qualität der Forschung zu Zell- und Gentherapien in den einzelnen Phasen entlang der Wertschöpfungskette im internationalen Vergleich ein?



# Die Rekrutierungsdauer für klinische Studien wird im internationalen Vergleich als deutlich zu lang empfunden

## 4. Wie schätzen Sie die Dauer der Rekrutierung von Teilnehmer:innen für klinische Studien im internationalen Vergleich ein?

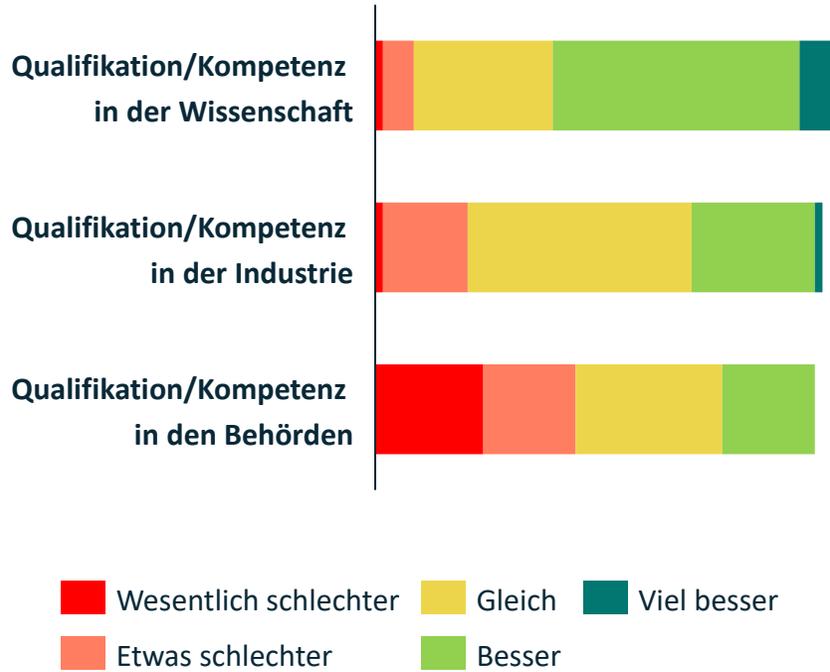
**2.2**  
 Durchschnittliche  
 Bewertung



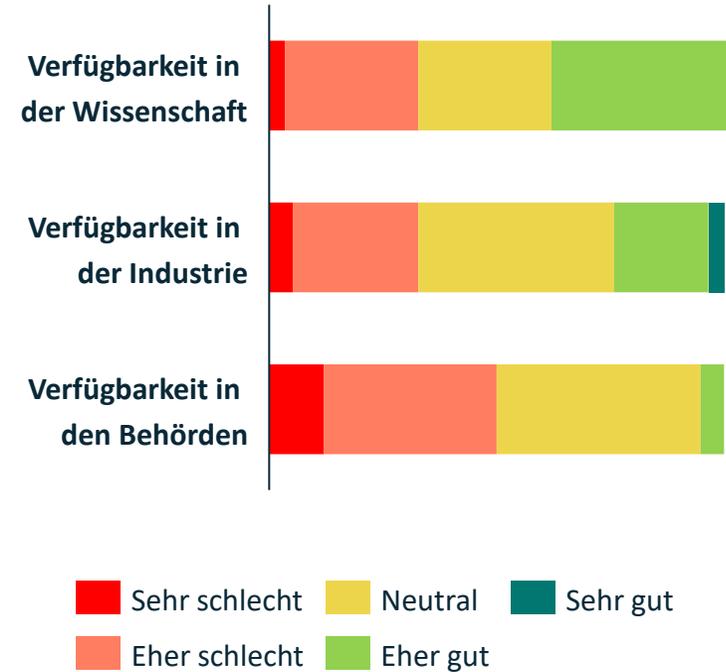
1. Als in anderen für uns wichtigen Ländern  
 Quelle: Expertenbefragung 2025, N=60

# Die Qualität und Verfügbarkeit von Fachkräften wird insbesondere für Behörden als kritisch gesehen

**5. Wie bewerten Sie die Qualifikation und Kompetenz der F&E-Fachkräfte im Bereich Gen- und Zelltherapie in Ihrem professionellen Umfeld im internationalen Vergleich?**

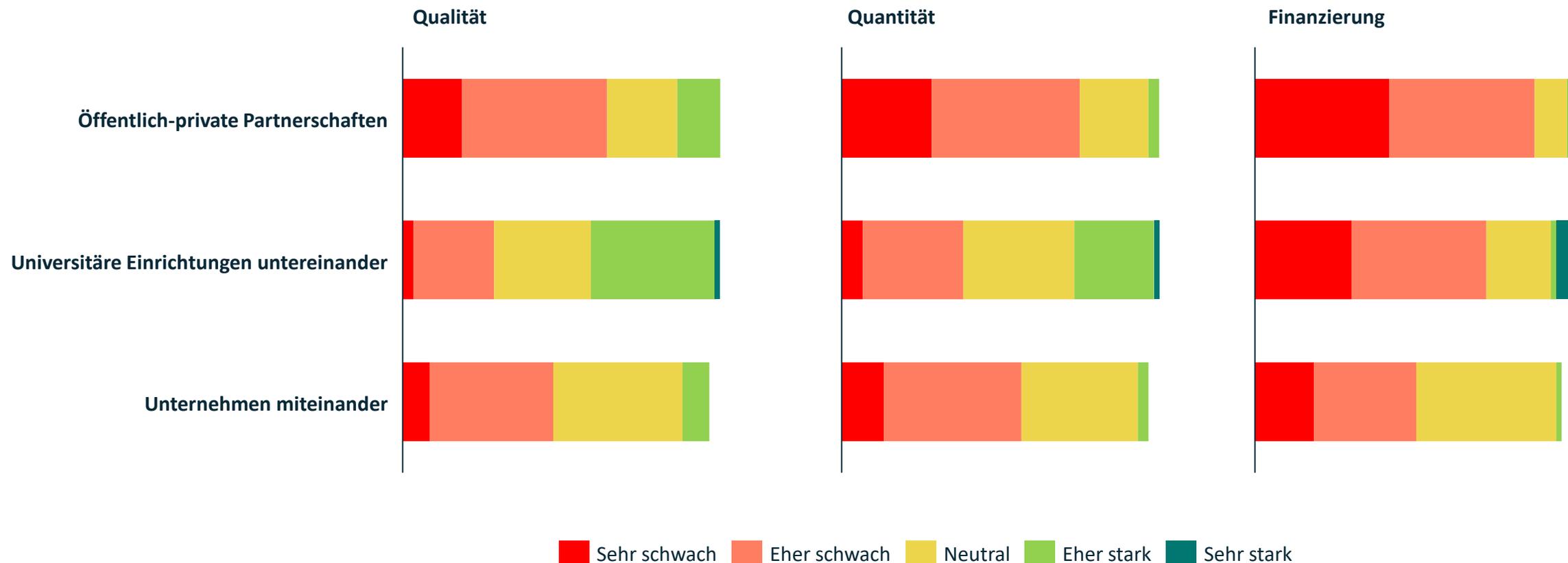


**6. Wie schätzen Sie die Verfügbarkeit von gut qualifiziertem Personal im Bereich Gen- und Zelltherapie in Ihrem professionellen Umfeld im internationalen Vergleich für die Zukunft ein („Nachfolgeplanung“)?**



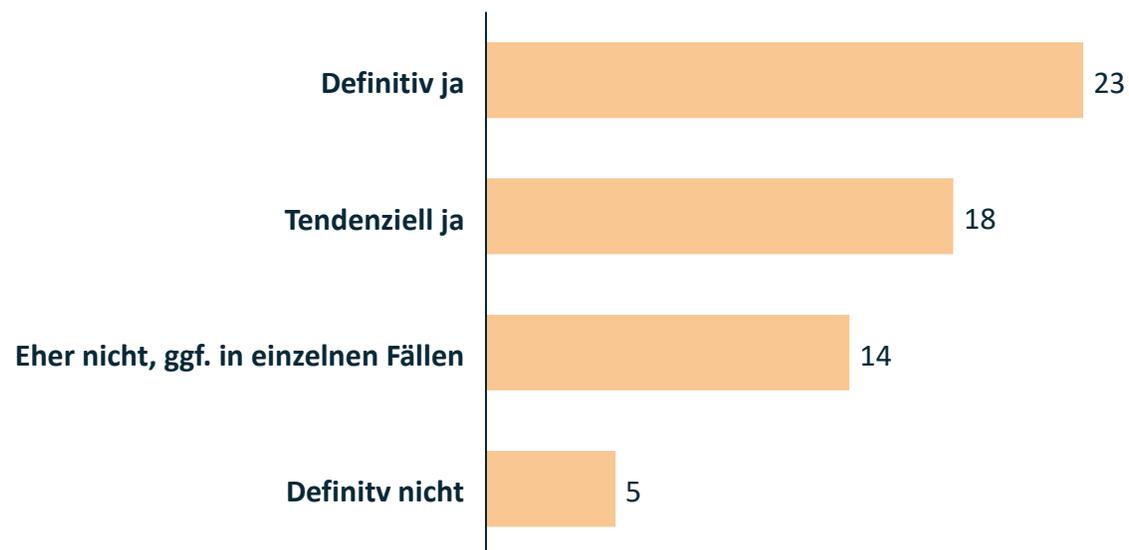
# Befragte Expert:innen bewerten die Qualität, Quantität und Finanzierung von Partnerschaften überwiegend als schwach in Deutschland

## 7. Wie schätzen Sie aktuell den F&E-Standort Deutschland für Zell- und Gentherapien in Bezug auf die [...] von Partnerschaften im internationalen Vergleich ein?



# Eine Mehrheit der befragten GCT-Expert:innen spricht sich für eine stärkere Bündelung von GMP-Anlagen in Deutschland aus

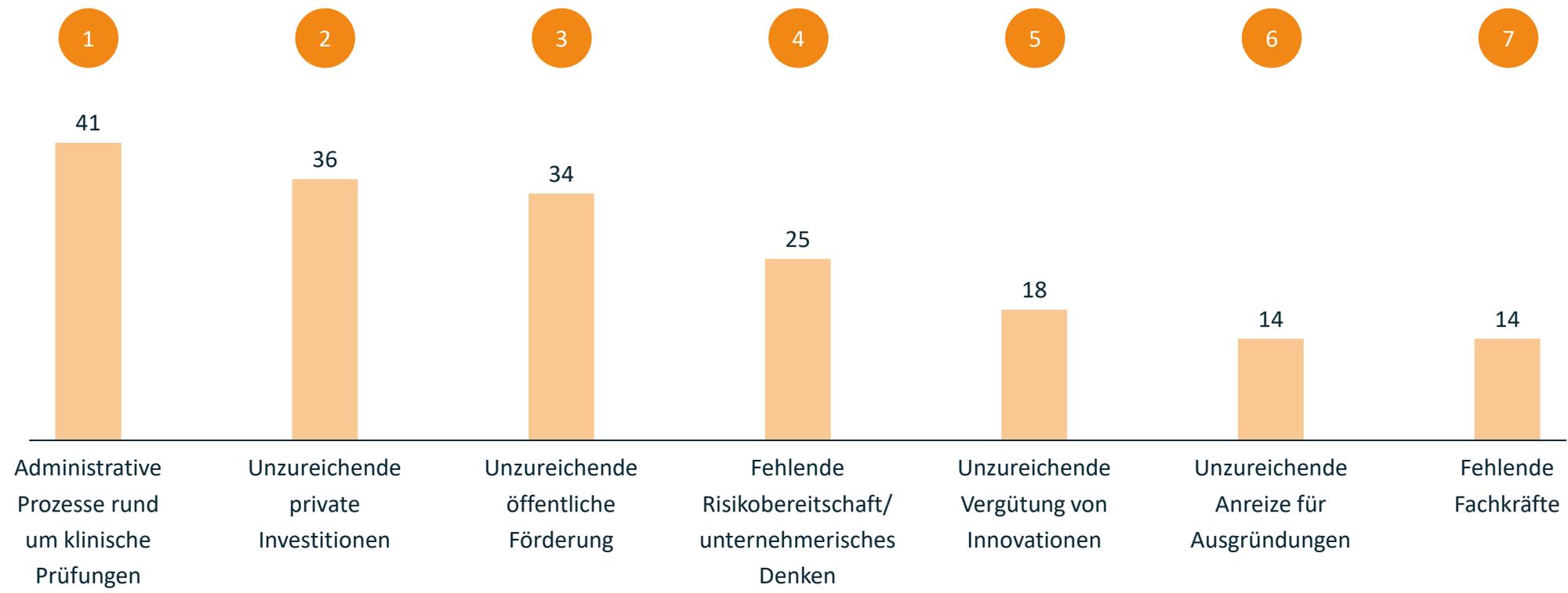
## 8. Sind Sie der Meinung, dass zentrale Infrastrukturen wie GMP-Anlagen in Deutschland stärker gebündelt werden sollten?



# Die befragten Expert:innen sehen in administrativen Prozessen bei klinischen Prüfungen das größte Hindernis für F&E in Gen- und Zelltherapien

## 9. Was sind die größten Hindernisse für erfolgreiche Forschung und Entwicklung von Zell- und Gentherapien in Deutschland und deren Überführung in die Versorgung?

**Ranking:**<sup>1</sup>



1: Basierend auf der Anzahl, wie oft ein Hindernis unter die Top 3 gezählt wurde

Quelle: Expertenbefragung 2025, N=60

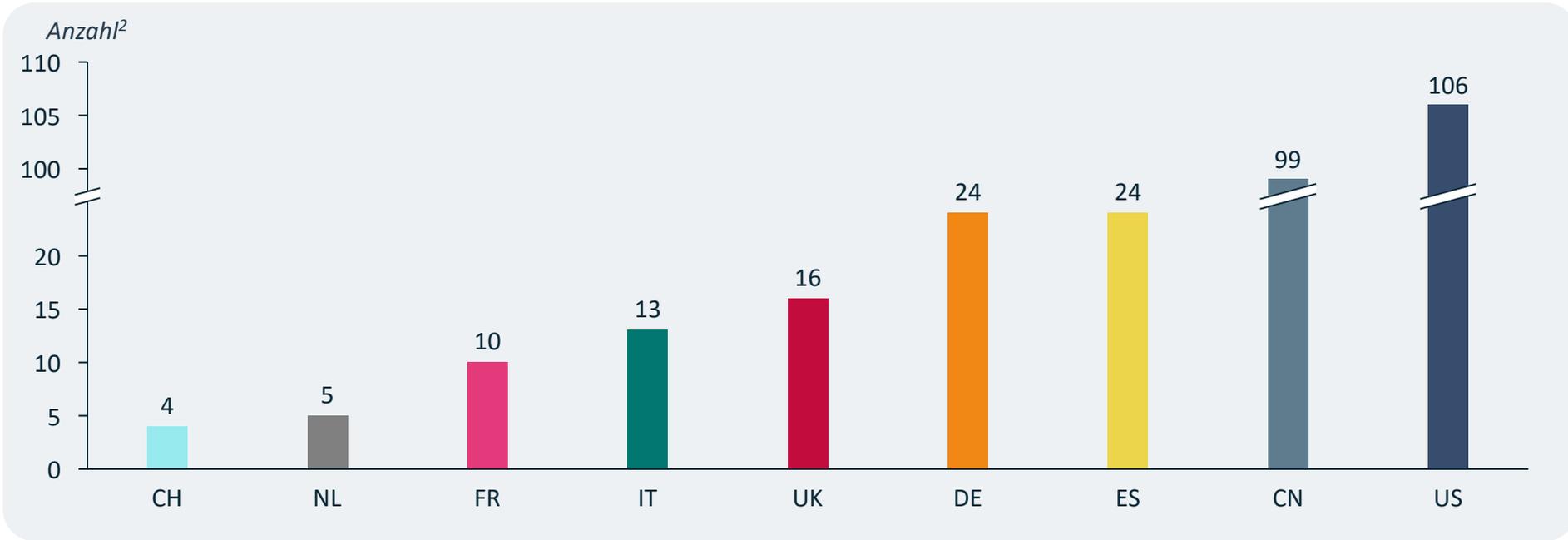
# Agenda

## 5. Appendix: Indikatordaten

# Indikator | Forschungseinrichtungen

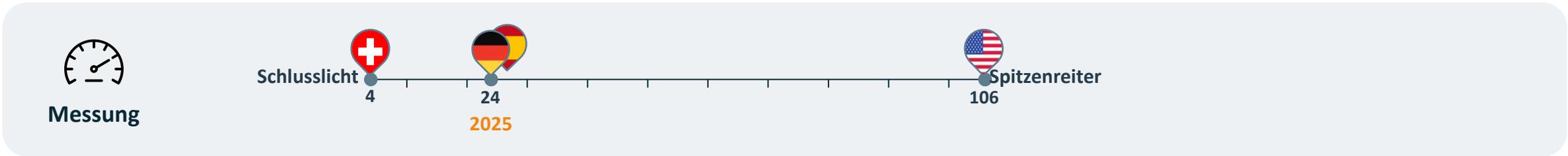


**Definition:**  
Anzahl der Forschungseinrichtungen für GCT<sup>1</sup>



**Quelle:**  
GlobalData

- Gut zugänglich
- Regelmäßig erhoben; nicht rückwirkend
- Internationaler Vergleich

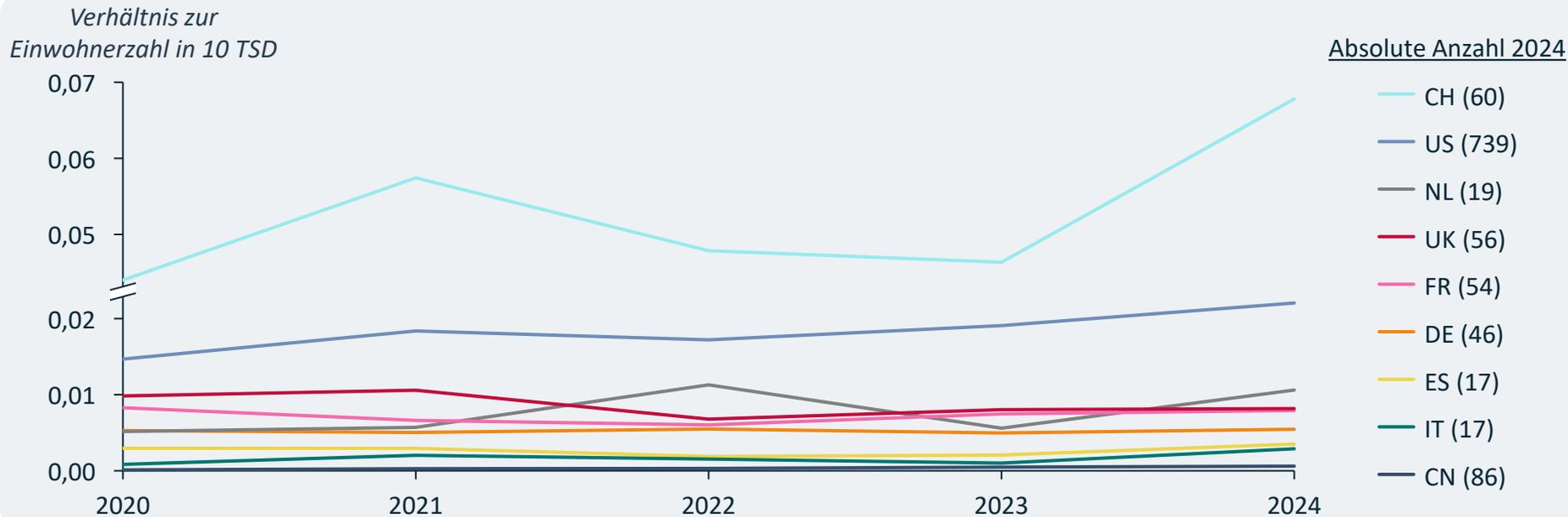


1: Alle Einrichtungen, die an der Forschung und Entwicklung von GCT beteiligt sind  
2: Momentaufnahme im Februar 2025; Daten nicht rückwirkend verfügbar; Quelle: GlobalData, 2025

# Indikator | Patente

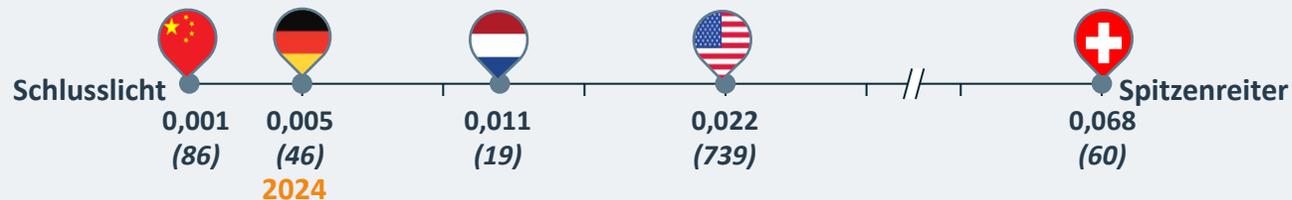


**Definition:**  
Anzahl der Patente in GCT (im Verhältnis zur Einwohnerzahl)<sup>1</sup>



**Quelle:**  
Lens Patent Search

- ✓ Gut zugänglich
- ✓ Regelmäßig erhoben
- ✓ Internationaler Vergleich



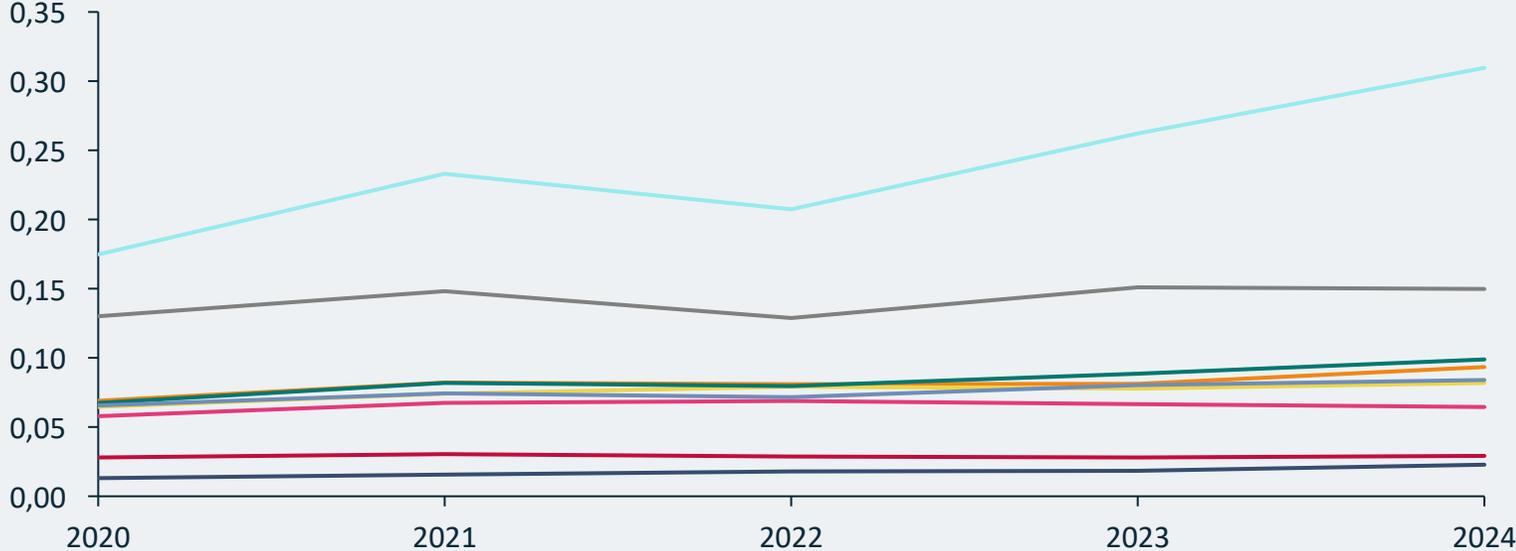
1: Auf Basis des Patenterteilungsjahres und der Geografie des Patentbewerbers; Filter: "Gene therapy" OR "Genetic therapy" OR "GTMP" OR "Gene editing" OR "Cell therapy" OR "Cell-based therapy" OR "Somatic cell therapy" OR "Tissue engineered product" OR "CAR-T" OR "CAR T-cell therapy" OR "Chimeric antigen receptor" OR "ATMP"; Quelle: Lens Patent Search, 2025

# Indikator | Publikationen



**Definition:**  
Anzahl der Publikationen in GCT (im Verhältnis zur Einwohnerzahl)<sup>1</sup>

Verhältnis zur  
Einwohnerzahl in 10 TSD



Absolute Anzahl 2024

- CH (274)
- NL (268)
- IT (581)
- DE (789)
- US (2 814)
- ES (396)
- FR (440)
- UK (199)
- CN (3 218)

**Quelle:**  
PubMed

- ✓ Öffentlich verfügbar
- ✓ Regelmäßig erhoben
- ✓ Internationaler Vergleich



Messung



1: Filter: "Gene therapy" OR "Genetic therapy" OR "GTMP" OR "Gene editing" OR "Cell therapy" OR "Cell-based therapy" OR "Somatic cell therapy" OR "Tissue engineered product" OR "CAR-T" OR "CAR T-cell therapy" OR "Chimeric antigen receptor" OR "ATMP"; auf Basis des Veröffentlichungsjahrs; Quelle: PubMed, 2025

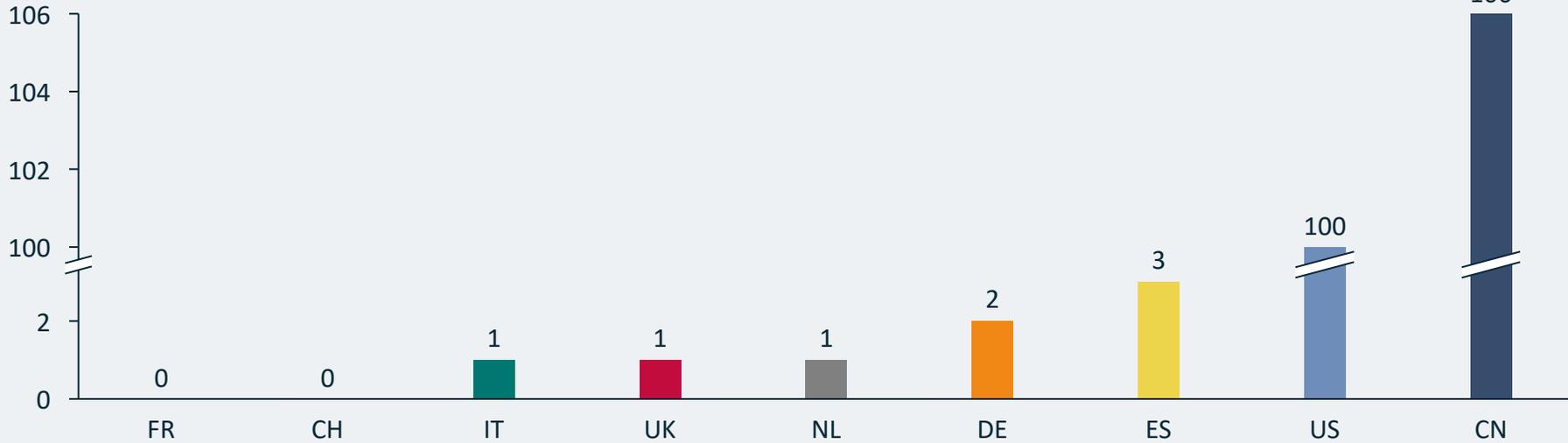
# Indikator | Klinische Studien



**Definition:**

Anzahl der angefangenen Prüfer-initiierten GCT-Studien in Phase I, 2020-2024<sup>1</sup>

Anzahl  
2020-2024



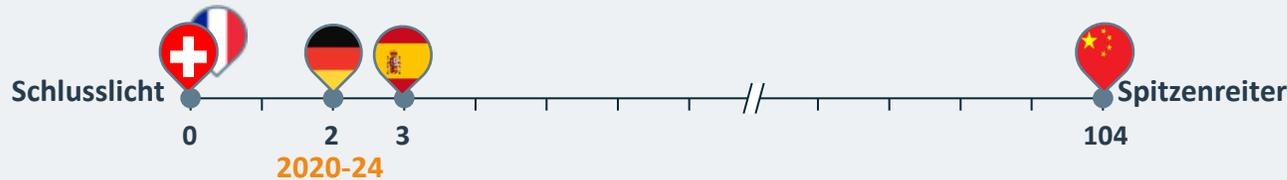
**Quelle:**

GlobalData

- Gut zugänglich
- Regelmäßig erhoben
- Internationaler Vergleich



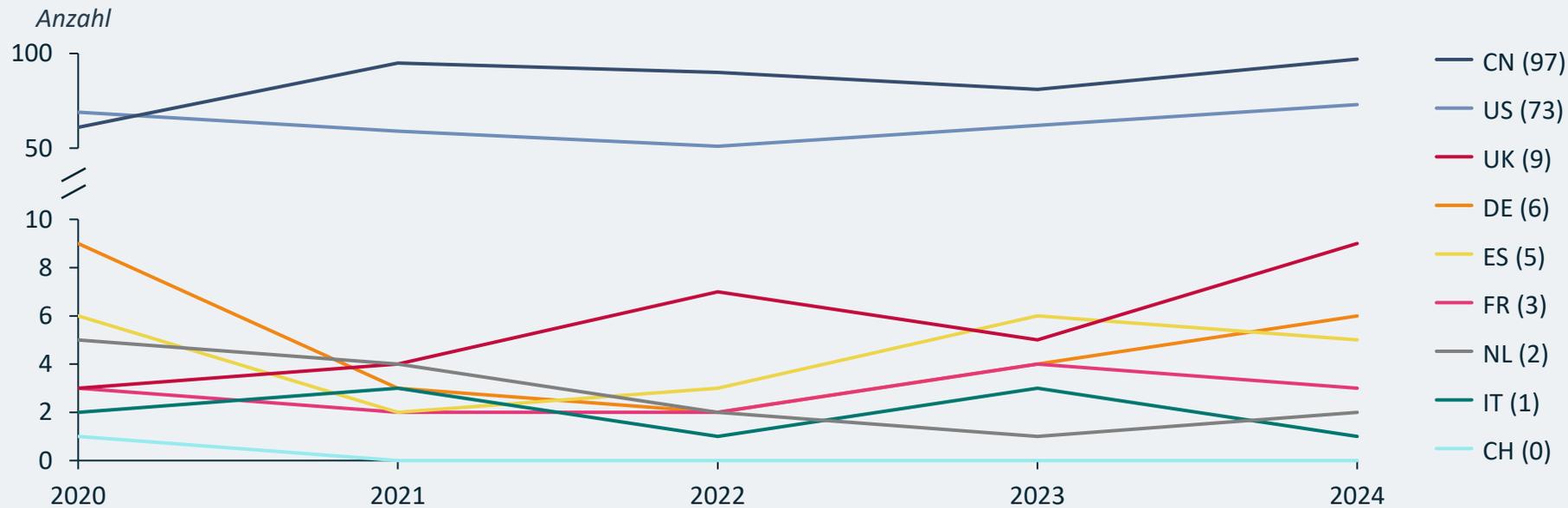
Messung



# Indikator | Klinische Studien

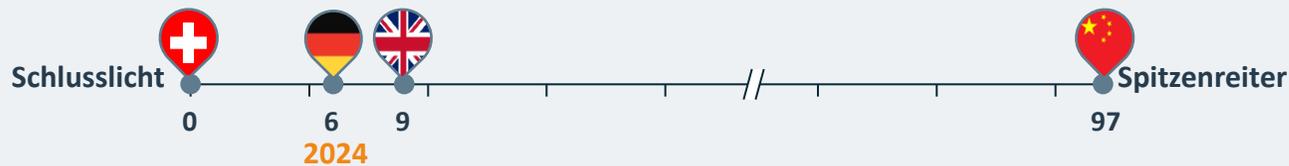


**Definition:**  
Anzahl der angefangenen GCT-Studien in Phase I<sup>1</sup>



**Quelle:**  
GlobalData

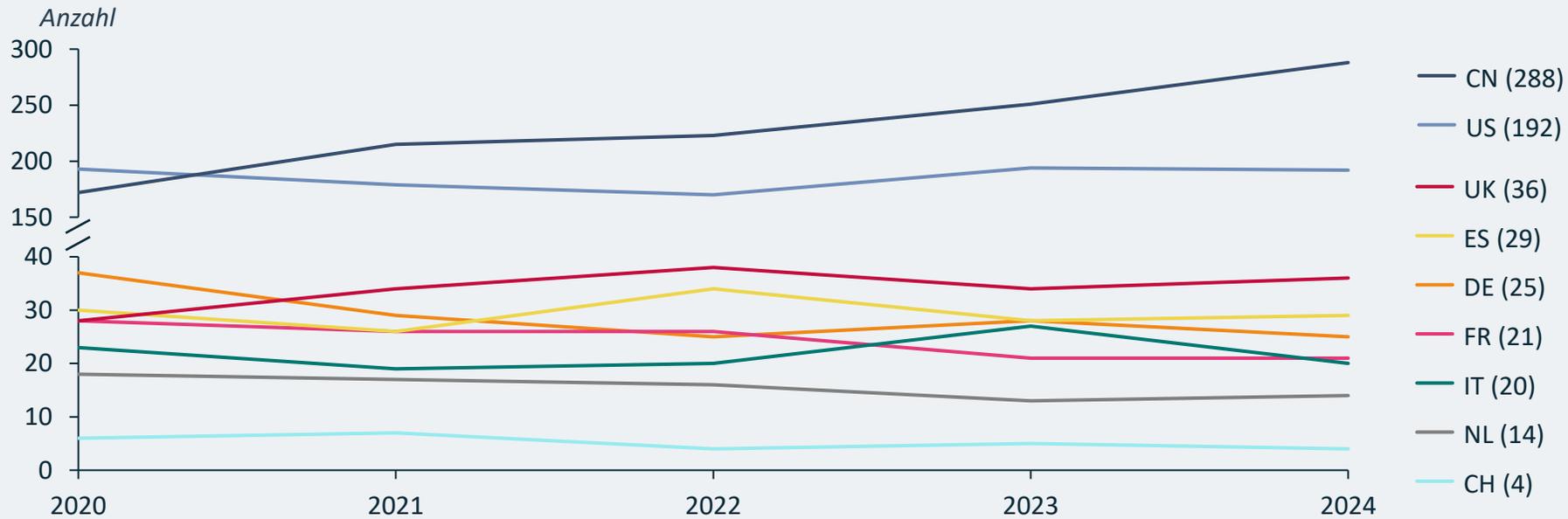
- ✓ Gut zugänglich
- ✓ Regelmäßig erhoben
- ✓ Internationaler Vergleich



# Indikator | Klinische Studien

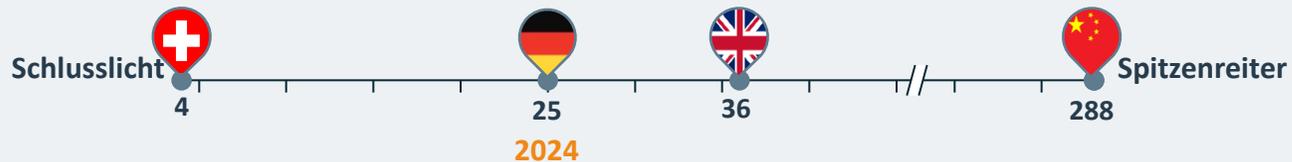


**Definition:**  
Anzahl der angefangenen GCT-Studien in allen Phasen<sup>1</sup>



**Quelle:**  
GlobalData

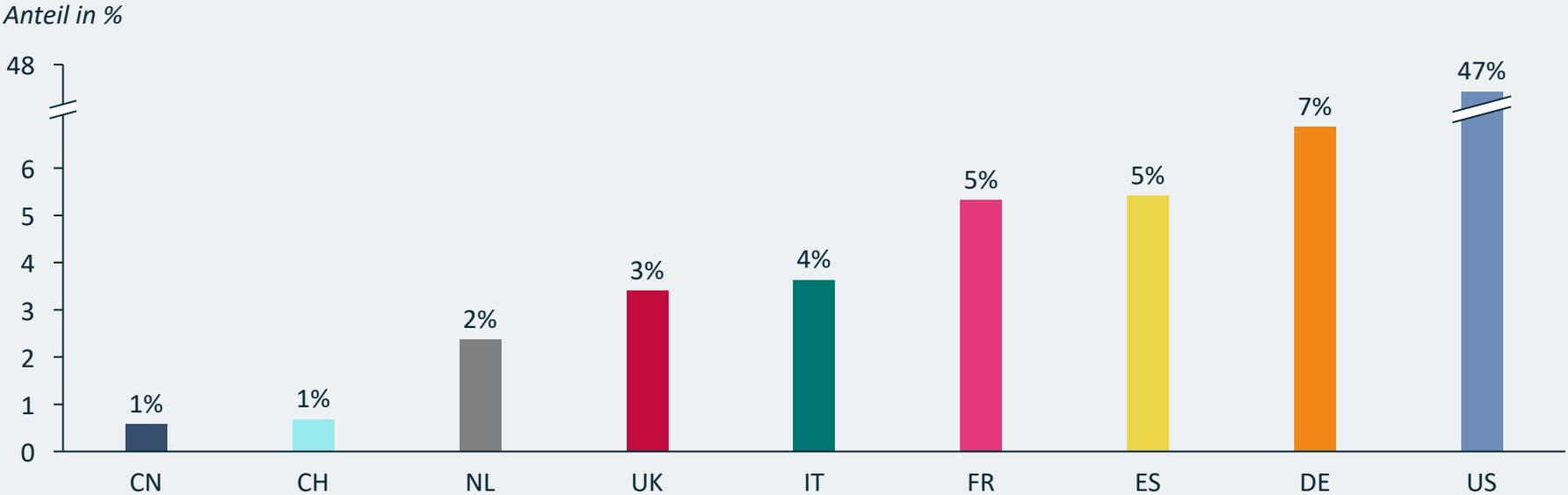
- ✓ Gut zugänglich
- ✓ Regelmäßig erhoben
- ✓ Internationaler Vergleich



# Indikator | Klinische Studien Durchführung

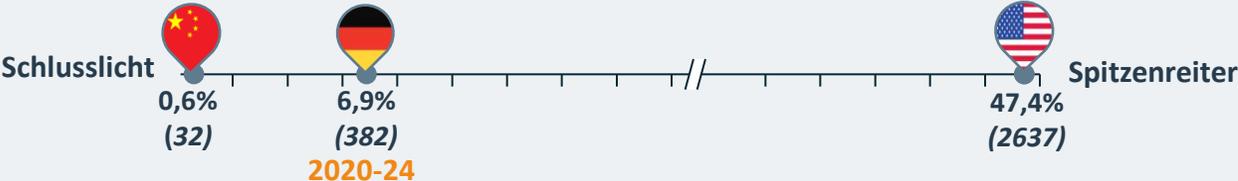


**Definition:**  
Anteil der medizinischen Einrichtungen (Prüfzentren), die multinationale GCT-Studien mit ausgeführt haben<sup>1</sup>



**Quelle:**  
GlobalData

- ✓ Gut zugänglich
- ✓ Regelmäßig erhoben
- ✓ Internationaler Vergleich

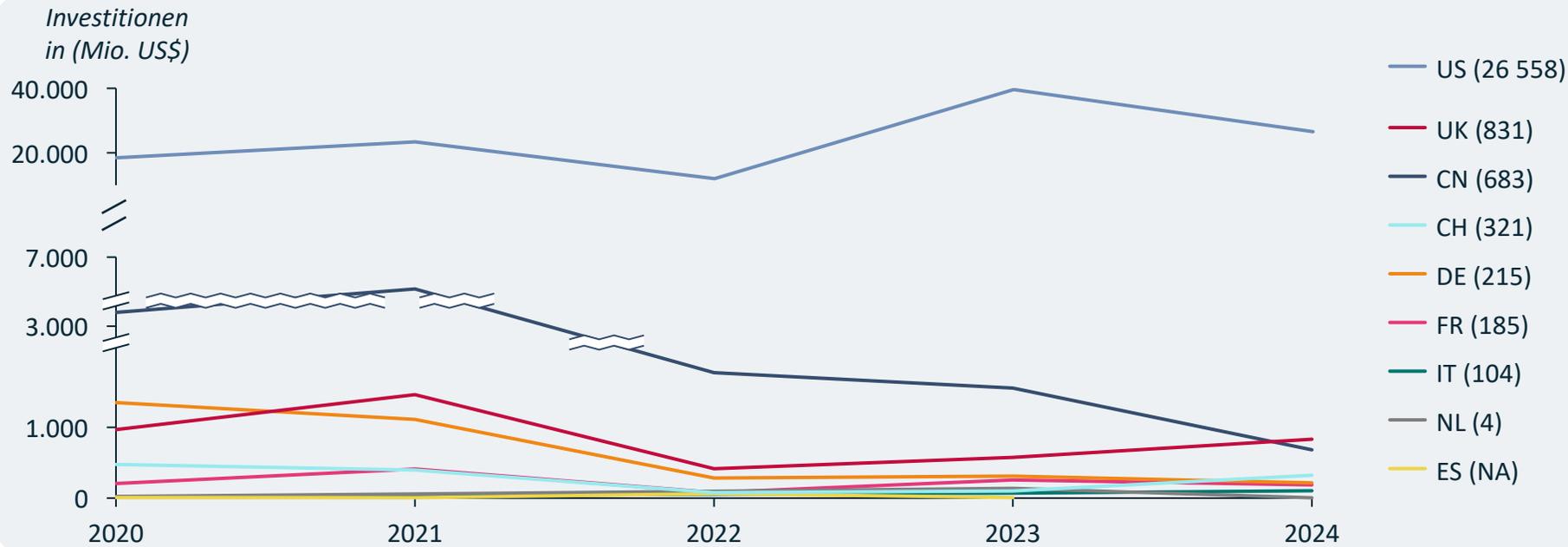


<sup>1</sup>: Basierend auf der Gesamtzahl der Prüfzentren, die zwischen 2020-2024 klinische GCT-Studien ausgeführt haben (n=5560); abgeschlossene Studien; alle Phasen  
Quelle: GlobalData, 2025

# Indikator | Kapitalinvestitionen



**Definition:**  
Höhe der Kapitalinvestitionen in GCT<sup>1</sup>



**Quelle:**  
GlobalData

- Gut zugänglich
- Regelmäßig erhoben
- Internat. Vergleich



1: Summe der Deals, die in einem bestimmten Jahr abgeschlossen wurden; beinhaltet Equity Offerings, Debt Offerings, Private Equity, Venture Financing; Geografie basierend auf dem Hauptsitz des Zielunternehmens; Quelle: GlobalData, 2025

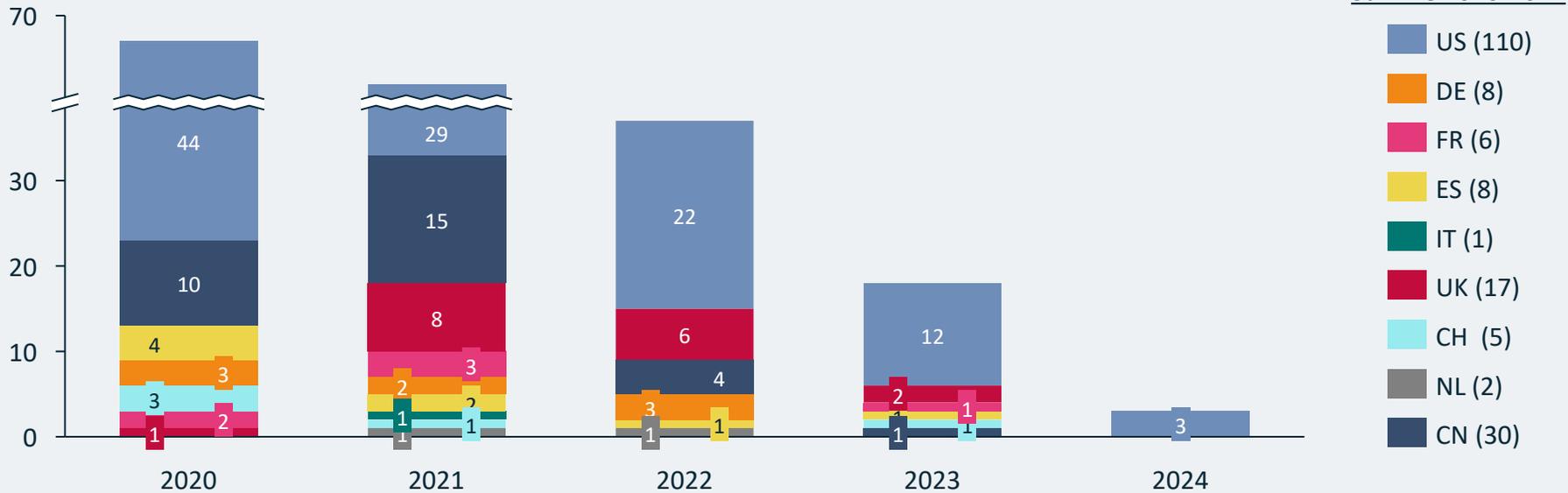
# Indikator | Start-ups



## Definition:

Anzahl der neu gegründeten Start-ups im Bereich GCT

Anzahl<sup>1</sup>



## Quelle:

Crunchbase

- Öffentlich verfügbar
- Regelmäßig erhoben
- Internationaler Vergleich



## Messung

(basierend auf der Summe)



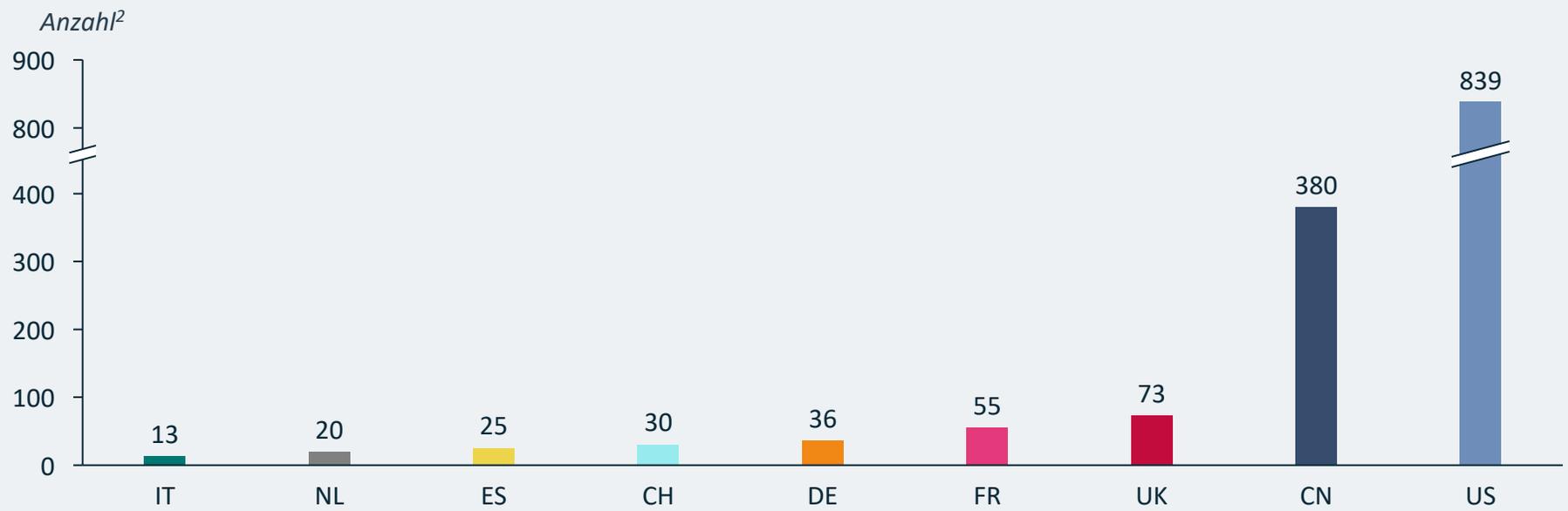
1: Anzahl der gegründeten Start-Ups in Jahr X, Filter: 'Headquarter Location', 'Industry: Genetics';

Quelle: Crunchbase, 2025

# Indikator | Unternehmen



**Definition:**  
Anzahl der Unternehmen im Bereich GCT<sup>1</sup>



**Quelle:**  
GlobalData

- ✓ Gut zugänglich
- ~ Regelmäßig erhoben; nicht rückwirkend
- ✓ Internationaler Vergleich

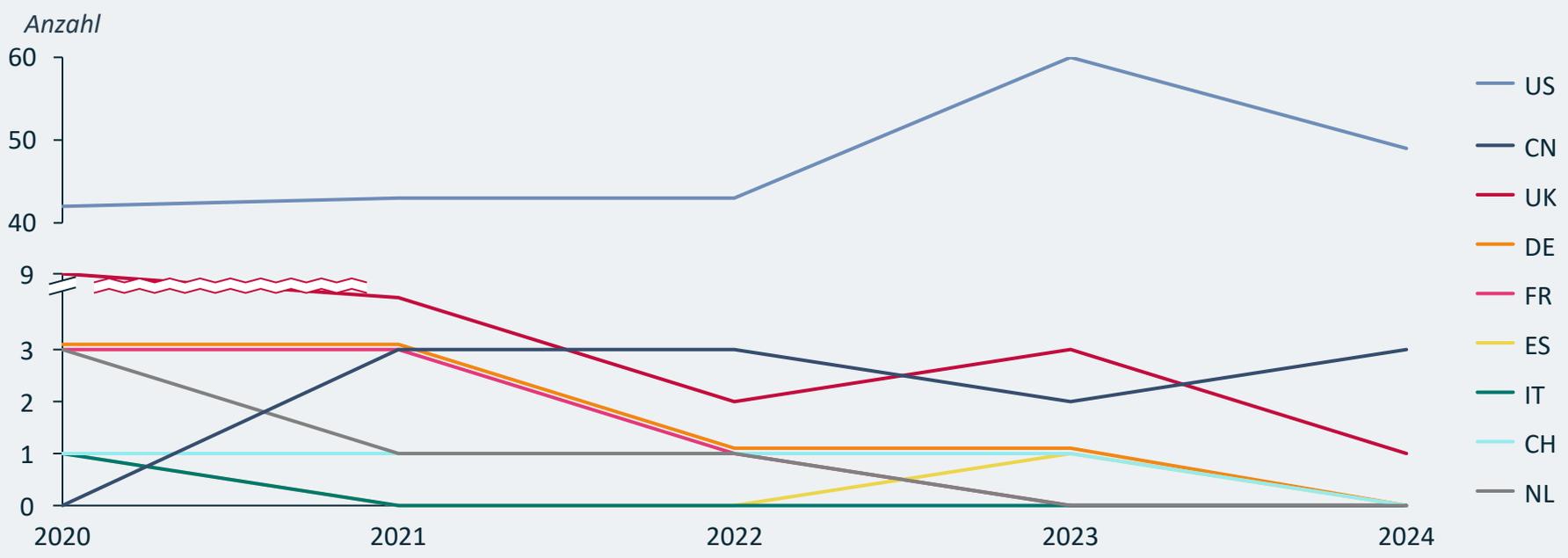


1: Alle Unternehmen, die an der Entwicklung eines GCT-Produkts beteiligt sind; 2: Momentaufnahme im Februar 2025; Daten nicht rückwirkend verfügbar; Quelle: GlobalData, 2025

# Indikator | Partnerschaften

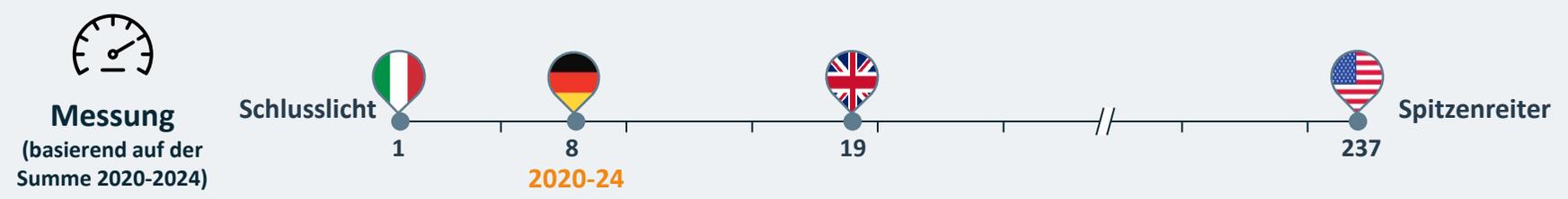


**Definition:**  
Anzahl der Lizenzvereinbarungen/Partnerschaften im Bereich GCT<sup>1</sup>



**Quelle:**  
GlobalData

- Gut zugänglich
- Regelmäßig erhoben
- Internationaler Vergleich



1: Basierend auf dem Jahr in dem der Deal abgeschlossen wurde

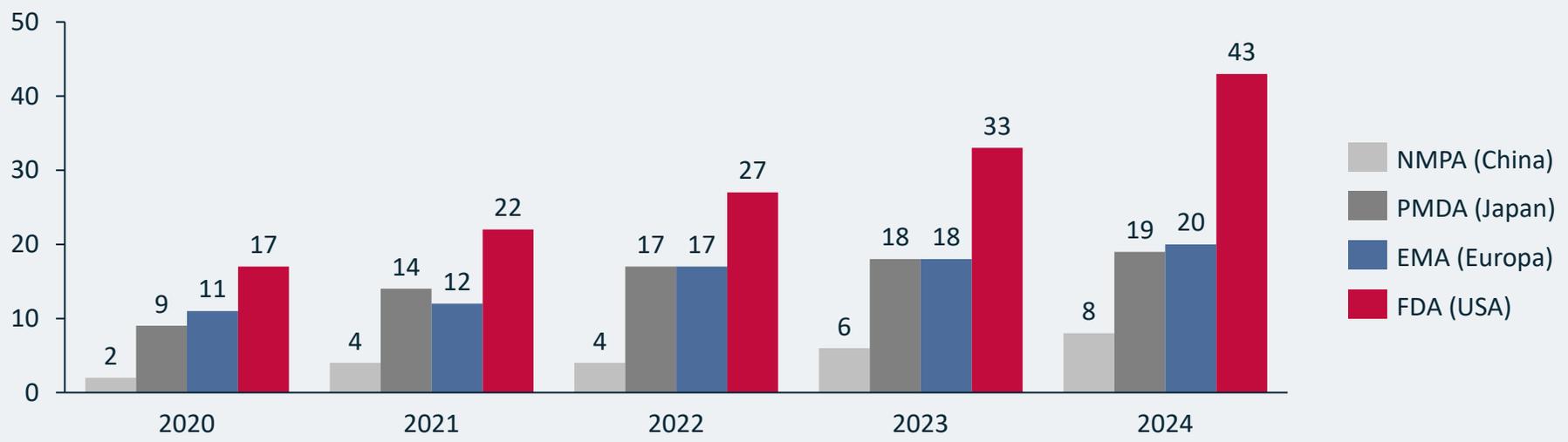
Quelle: GlobalData, 2025

# Indikator | Zulassung



**Definition:**  
Anzahl der zugelassenen GCT-Produkte

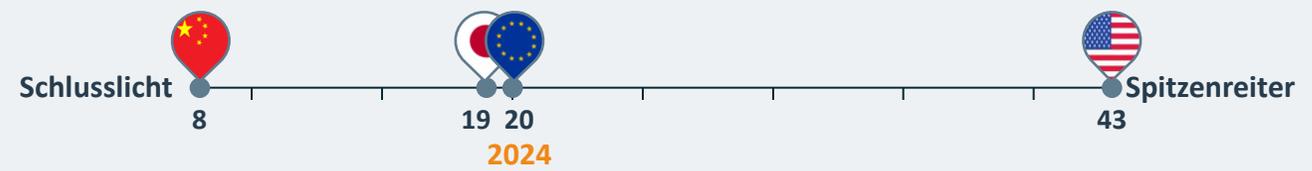
Anzahl<sup>1</sup>



**Quelle:**  
Verschiedene Behörden

- ✓ Öffentlich verfügbar
- ✓ Regelmäßig erhoben
- ✓ Internationaler Vergleich

  
**Messung**



1: Gesamtanzahl pro Jahr

Quelle: EMA, FDA, PMDA (japanische Behörde für Arzneimittel und Medizinprodukte), NMPA (chinesische Behörde für Arzneimittel und Medizinprodukte), 2025

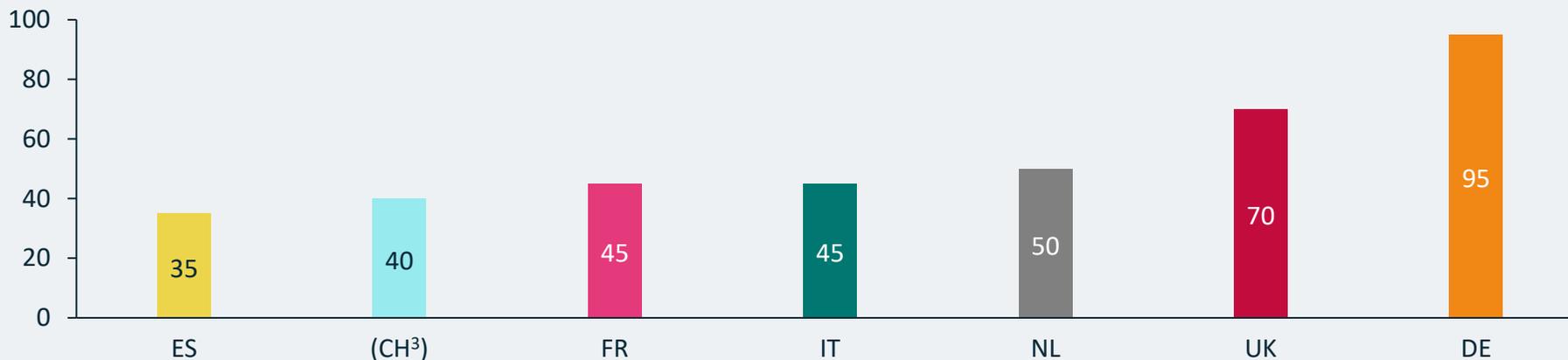
# Indikator | Erstattung



## Definition:

Anteil der erstatteten GCT-Produkte in europäischen Ländern (auf Basis der GCTs (ATMPs), die zwischen 2014 und 2024 von der EMA zugelassen wurden<sup>1)2</sup>)

Anteil in %<sup>2</sup>



## Quelle:

Diverse Quellen

- ✓ Öffentlich verfügbar
- ~ Erhebung aus diversen Quellen, die nicht regelmäßig veröffentlicht werden
- ~ Vergleich auf europäischer Ebene



Messung



1: N=20, enthält nicht die vom Markt genommenen Produkte; 2: Daten für 2014-2021 basieren auf IQVIA Report, Daten nach 2021 basieren auf diversen Quellen z.B.

Publikationen, Meldungen der relevanten Behörden; 3: Keine aktuellen Daten für CH verfügbar, Wert basiert auf den Produkten von 2014-2021;

Quellen: EMA, IQVIA Report "Strengthening Pathways for CGT", 2024; Ecker + Ecker, ATMPs in Germany 2025; Gemeinsamer Bundesausschuss; MIMS (UK); Zorginstituut

Niederland; Hoceini et al., HTA147 Advanced Therapy Medicinal Products (ATMPs) Market Access Challenges in France, Value in Health, 2022; López et al., Financing and

Reimbursement of Approved Advanced Therapies in Several European Countries, Value in Health, 2023; Rejon-Parilla et al., Pricing and Reimbursement Mechanisms for ATMPs in

20 countries, Front. Pharmacol., 2023



**vfa.** Die forschenden  
Pharma-Unternehmen

 **DG-GT**  
Deutsche Gesellschaft für  
Gentherapie e.v.

 **VINTURA**