

Gentherapie in Deutschland

Eine interdisziplinäre Bestandsaufnahme

Themenband des Gentechnologieberichts

Ferdinand Hucho, Bernd Müller-Röber, Silke Domasch, Mathias Boysen



Diese Publikation erscheint mit Unterstützung der Senatsverwaltung für Bildung, Wissenschaft und Forschung des Landes Berlin und des Ministeriums für Wissenschaft, Forschung und Kultur des Landes Brandenburg.

Der Verlag und die Autoren haben alle Sorgfalt walten lassen, um vollständige und akkurate Informationen in diesem Buch zu publizieren. Der Verlag übernimmt weder Garantie noch die juristische Verantwortung oder irgendeine Haftung für die Nutzung dieser Informationen, für deren Wirtschaftlichkeit oder fehlerfreie Funktion für einen bestimmten Zweck. Ferner kann der Verlag für Schäden, die auf einer Fehlfunktion von Programmen oder Ähnliches zurückzuführen sind, nicht haftbar gemacht werden. Auch nicht für die Verletzung von Patent- und anderen Rechten Dritter, die daraus resultieren. Eine telefonische oder schriftliche Beratung durch den Verlag über den Einsatz der Programme ist nicht möglich. Der Verlag übernimmt keine Gewähr dafür, dass die beschriebenen Verfahren, Programme usw. frei von Schutzrechten Dritter sind. Die Wiedergabe von Gebrauchsnamen, Handelsnamen, Warenzeichnungen usw. in diesem Buch berechtigt auch ohne besondere Kennzeichnung nicht zu der Annahme, dass solche Namen im Sinne der Warenzeichen- und Markenschutz-Gesetzgebung als frei zu betrachten wären und daher von jedermann benutzt werden dürfen. Der Verlag hat sich bemüht, sämtliche Rechteinhaber von Abbildungen zu ermitteln. Sollte dem Verlag gegenüber dennoch der Nachweis der Rechtsinhaberschaft geführt werden, wird das einfache branchenübliche Honorar gezahlt.

Bibliografische Information der Deutschen Bibliothek

Die Deutsche Bibliothek verzeichnet diese Publikation in der Deutschen Nationalbibliografie; detaillierte bibliografische Daten sind im Internet über <http://dnb.ddb.de> abrufbar.

Alle Rechte vorbehalten

1. Auflage 2008

Herausgeber: Berlin-Brandenburgische Akademie der Wissenschaften (BBAW)

Verlegerische Betreuung im Auftrag der BBAW: Forum W – Wissenschaftlicher Verlag, Dornburg

Das Werk einschließlich aller seiner Teile ist urheberrechtlich geschützt. Jede Verwertung außerhalb der engen Grenzen des Urheberrechtsgesetzes ist ohne Zustimmung des Verlages unzulässig und strafbar. Das gilt insbesondere für Vervielfältigungen, Übersetzungen, Mikroverfilmungen und die Einspeicherung und Verarbeitung in elektronischen Systemen.

Printed in Germany

ISBN: 978-3-940647-02-3

Vorwort

Mit dem vorliegenden Themenband „Gentherapie in Deutschland“ legt die interdisziplinäre Arbeitsgruppe Gentechnologiebericht der Berlin-Brandenburgischen Akademie der Wissenschaften (BBAW) ihr viertes Buch nach Erscheinen des Ersten Deutschen Gentechnologieberichtes im Jahr 2005 vor. Mit dem Thema Gentherapie erweitert sich damit das Spektrum der Themengebiete der Gentechnologie, die im Rahmen des bestehenden Langzeitmonitorings in den Blick genommen werden. Neben der Grundlagenforschung, der Stammzellforschung, der so genannten grünen Gentechnik und der Gendiagnostik wird damit ein weiteres Thema etabliert, das anhand der Methodik des Problemfeld- und Indikatorenansatzes systematisch und langfristig beobachtet wird.

Am Beginn der Auseinandersetzung mit dem Thema Gentherapie in Deutschland standen zwei Workshops, die sich den naturwissenschaftlich-medizinischen Grundlagen sowie der sozialen Wahrnehmung und ethischen Bewertung gentherapeutischer Techniken und Verfahren widmeten. Herrn Prof. Dr. Bernd Dörken (Charité Berlin), der die Vorbereitung und Moderation des Grundlagen-Workshops intensiv unterstützte und wichtige Hinweise bei der Initiation des Projektes gab, sei für seine wertvolle Hilfe an dieser Stelle besonderer Dank ausgesprochen. Auch gebührt allen Teilnehmerinnen und Teilnehmern Dank, die uns einen gleichermaßen breiten wie aufschlussreichen Einblick in das Feld der Gentransferverfahren und gentherapeutischen Einsatzgebiete gewährt haben und damit maßgeblich den vorliegenden Band geprägt haben. Verschiedene Beiträge dieser Workshops wurden in Form von Gutachten für dieses Buch verdichtet; eine entsprechende Übersicht ist im Anhang gelistet.

Besonderer Dank geht auch an Herrn Prof. Dr. Wolfgang van den Daele für seine vielfältigen Hinweise und immer wieder erhellenden und kritisch hinterfragenden Kommentare zu den Ergebnissen des vorliegenden Bandes. Nicht zuletzt dankt die Arbeitsgruppe Angela Osterheider, die in akribischer Kleinarbeit den Großteil der hier präsentierten Daten recherchiert und sämtliche Verzeichnisse erstellt hat, sowie Nicole Schulze, die letzte Korrekturen im Manuskript vorgenommen hat. Beide haben sich mit großem Engagement eingebracht.

Die interdisziplinäre Arbeitsgruppe Gentechnologiebericht verantwortet die zentralen Texte und Aussagen des Kapitels 1 in Form der Zusammenfassung sowie der Kernaussagen und

Handlungsempfehlungen. Sie stellen die Meinungen der Arbeitsgruppe dar, die nicht notwendigerweise von allen Mitgliedern der Berlin-Brandenburgischen Akademie der Wissenschaften vertreten werden; die BBAW steht jedoch hinter der Qualität der geleisteten Arbeit.

Auch zukünftig gehen die Arbeiten zum Stand der Gentechnologie in Deutschland weiter: Als nächste Publikation ist die Fortschreibung des Gentechnologieberichtes geplant, der die Themen Grundlagenforschung, Gendiagnostik, Stammzellforschung, grüne Gentechnik sowie Gentherapie konzentriert in den Blick nimmt.

Bernd Müller-Röber

Sprecher der interdisziplinären Arbeitsgruppe Gentechnologiebericht der BBAW

Berlin, im Mai 2008

Inhalt

1. Zusammenfassung, Kernaussagen und Handlungsempfehlungen	11
1.1 Zusammenfassung	11
1.2 Kernaussagen und Handlungsempfehlungen	22
2. Gentherapie in Deutschland. Eine Einführung	25
2.1 Gentherapie – Abgrenzungen und Untersuchungsdimensionen	29
2.2 Problemaufriss und Aufbau des Buches	31
3. Stand wissenschaftlicher und medizinischer Entwicklungen	41
3.1 Entwicklung des Gentransfers	44
3.2 Status quo klinischer Gentherapiestudien	48
3.3 Aktueller wissenschaftlich-technischer Stand	53
3.3.1 Prinzipielle Wirkprinzipien eines Gentransfers	53
3.3.2 Gentransfervektoren	55
3.3.3 Design von Transgenen	65
3.3.4 Aspekte präklinischer Evaluierung von gentherapeutischen Produkten	67
3.4 Medizinischer Sachstand anhand ausgewählter Indikationen	72
3.4.1 Gentherapie bei genetisch bedingten Krankheiten	73
3.4.2 Gentherapie bei onkologischen Erkrankungen	80
3.5 Zusammenfassung	86
4. Rechtliche Rahmenbedingungen in Deutschland	91
4.1 Somatische Gentherapie am geborenen Menschen	91
4.1.1 Nutzen und Risiken der somatischen Gentherapie	91
4.1.2 Rechtsquellen für die Bewertung der somatischen Gentherapie	95
4.1.3 Generelle Zulässigkeit nach dem Embryonenschutzgesetz	96
4.1.4 Schutz vor Freisetzungsrissen in der präklinischen Entwicklung und der klinischen Anwendung	97

4.1.5 Allgemeine Anzeigepflicht und Herstellungserlaubnis	98
4.1.6 Klinische Prüfung und Anwendung von Gentransfer-Arztmitteln nach dem Arzneimittelgesetz	99
4.2 Somatische Gentherapien an Embryonen	108
4.3 Gentechnische Eingriffe in die Keimbahn	110
5. Forschungsethische Implikationen der Gentherapie	113
5.1 Das Konzept der somatischen Gentherapie als Ergebnis einer normativen Differenzierung	113
5.2 Ethische Einschätzung der therapeutischen Potenzials, der Risiken und Unsicherheiten von Gentherapiestudien	115
5.3 Modelle der Urteilsbildung in der deutschen Diskussion um einen somatischen Gentransfer	118
5.4 Ethische Fragen hinsichtlich eines Keimbahneingriffes	121
5.5 Schlussfolgerungen	123
6. Gentransfer zwischen Therapie und Enhancement	125
6.1 Historische Entwicklung der Idee des Enhancement	125
6.2 Beispiele für denkbare genetische Enhancement-Maßnahmen	132
6.2.1 Gendoping als Enhancement im Sport	133
6.2.2 Neuro-Enhancement	137
6.2.3 In-vitro-Eingriffe am frühen Embryo	138
6.3 Zusammenfassung	139
7. Wahrnehmung und Bewertung der Gentherapie in der bundesdeutschen Bevölkerung	141
7.1 Gentherapie und Öffentlichkeit	141
7.2 Datenbasis und Vorgehen	142
7.3 Bekanntheit der Gentherapie	144
7.4 Bewertung der Gentherapie	147
7.5 Wahrnehmung und Bewertung des Regulierungskontextes	154
7.6 Der kognitive Kontext der Bewertung	156
7.7 Die Bereitschaft zur Kommunikation	163
7.8 Fazit	164

8. Daten zu ausgewählten Indikatoren	167
9. Verzeichnisse	185
Literatur	185
Tabellen und Abbildungen	205
Fachspezifische Abkürzungen und Glossar	206
Beiträge und Gutachten	212