



## Gentherapie in der Pädiatrie

Symposium der Universitätsklinika Bonn  
und Freiburg zusammen mit der

**Stiftung für das behinderte Kind**  
Förderung von Vorsorge und Früherkennung



**21. Oktober 2023**  
**09:00 Uhr – 17:30 Uhr**

Universitätsklinikum Bonn, Hörsaal BMZ I (Gebäude B13)  
Venusberg-Campus 1, 53127 Bonn

Die in den letzten Jahren erzielten Erfolge der Gentherapie angeborener und erworbener Erkrankungen im Kindesalter sind ein gutes Beispiel für Forschung und Entwicklung in der Medizin: nach Jahrzehnten von Grundlagenforschung und systematischen klinischen Studien, die mit Rückschlägen und Zeiten der Ungewissheit verbunden waren, konnten schließlich neue effektive und früher nicht vorstellbare therapeutische Erfolge durch den Einsatz von verschiedenen genetischen Technologien erreicht werden.

Es gibt verschiedene Ansätze der Gentherapie in der Pädiatrie, die je nach der Art und Schwere der Erkrankung angewendet werden können. Im Gegensatz zur Keimbahntherapie, die in Deutschland aus ethischen Gründen nicht erlaubt ist, wird bei der somatischen Gentherapie das genetische Material in differenzierte Körperzellen oder deren Vorläufer eingebracht. Ein Ansatz ist die Einführung eines intakten Gens in die Zellen des Kindes, um das defekte Gen zu ersetzen oder zu ergänzen. Dies kann z. B. durch die Verwendung von viralen Vektoren wie nicht pathogenen und nichtreplikationsfähigen adeno-assoziierten Viren oder anderen Technologien erfolgen.

Auch der Ansatz der Modifikation von körpereigenen Zellen im Labor zur genetischen Modifikation mit der CRISPR/Cas Technologie, für die die Französin Emmanuelle Charpentier vom Max-Planck-Institut in Berlin und die US-Amerikanerin Jennifer Doudna von der University of California Berkeley in 2020 den Nobelpreis erhielten, hat das Stadium der klinischen Studien erreicht.

Ein Beispiel für eine genetische Erkrankung, die inzwischen erfolgreich durch Gentherapie behandelt werden kann, ist die Spinale Muskelatrophie (SMA), die durch eine Mutation im SMN1-Gen verursacht wird. Aber auch bei der Erbkrankheit Hämophilie, onkologischen Erkrankungen und angeborenen Immundefekten gibt es inzwischen nach einer einmaligen Behandlung lang anhaltende Therapieeffekte.

Gentherapie in der Pädiatrie ist noch relativ neu - daher gibt es zahlreiche Fragen hinsichtlich der Sicherheit, Wirksamkeit und Langzeitfolgen. Speziell die Behandlung von jungen Kindern, die ihr Einverständnis zur bzw. Ablehnung gegenüber einer Therapie nur sehr eingeschränkt äußern können, erfordert höchste Vorsicht und sorgfältige Überwachung, um unerwünschte Nebenwirkungen zu minimieren. Auch wegen der Kosten einer Gentherapie von bis zu 2 Mio. Euro ist jedes Gesundheitssystem und speziell in Deutschland die Solidargemeinschaft der Versicherten durch diese Innovationen herausgefordert. Im Symposium zur „Gentherapie in der Kinderheilkunde“ der Stiftung für das behinderte Kind zusammen mit den Universitätskliniken Bonn und Freiburg werden daher von Top-Experten\*innen biologische, medizinische, ethische, juristische, ökonomische und regulatorische Aspekte präsentiert und interdisziplinär mit Ihnen als Teilnehmer\*innen diskutiert.

**Wir freuen uns auf Ihre Teilnahme.**

Auskunft:  
Universitätsklinikum Bonn  
Sekretariat Prof. Wolfgang Holzgreve  
Tel.: 0228 287-10901

## Ihr Weg zu uns:

Universitätsklinikum Bonn,  
Hörsaal BMZ I (Gebäude B13)  
Venusberg-Campus 1, 53127 Bonn



Nutzen Sie unsere **Navi-App** für Ihr Mobiltelefon, um sich schnell auf dem Gelände des Universitätsklinikums zurechtzufinden. Dazu scannen Sie bitte einfach den nebenstehenden QR-Code ein und laden sich die Navi-App herunter.



**Anmeldung:** Sekretariat.AED-VV@ukbonn.de  
Bitte scannen Sie den QR-Code, um sich anzumelden.

## Programm

**09:00 Uhr**

Begrüßung

Wolfgang Holzgreve,  
Vorstandsvorsitzender der Stiftung für das behinderte Kind und des UKB

Alexandra Klotz,  
Direktorin der Klinik für Neuropädiatrie UKB

**09:20 Uhr**

Gentherapie bei neuromuskulären  
Erkrankungen

Janbernd Kirschner, Freiburg

**09:40 Uhr**

Heilung für alle? Hoffnungen und Ängste bei  
innovativen Therapien

Eva Stumpe, Kaufbeuren

**10:00 Uhr**

Weltweite Publikations-Dynamik zum Thema  
„Gentherapie in der Pädiatrie“

Bertram Häussler, Berlin

**10:20 Uhr**

Prinzipien der Gentherapie und Perspektiven

Hildegard Büning, Hannover

**10:40 – 11:10 Uhr**

Kaffeepause

**11:10 Uhr**

Gentherapie bei Gerinnungsstörungen

Johannes Oldenburg, Bonn

**11:30 Uhr**

Gentherapie in der pädiatrischen Onkologie  
und Immunologie

Tobias Feuchtinger, München

**11:50 Uhr**

Mutationspezifische Therapien bei Epilepsien

Walid Fazeli, Bonn

**12:10 Uhr**

Anwendung der Gentherapie in der  
klinischen Routine

Andreas Ziegler, Heidelberg

**12:30 – 13:30 Uhr**

Mittagspause

**13:30 – 13:40 Uhr**

Grußwort der Oberbürgermeisterin der Stadt  
Bonn und Schirmherrin der Stiftung für das  
behinderte Kind

Frau Katja Dörner, Bonn

**13:40 Uhr**

Sicherheit der Gentherapie für die Spinale  
Muskelatrophie

Johannes Friese, Bonn

**14:00 Uhr**

Gentherapie im Kindesalter: Gratwanderung  
zwischen Bedarf und Evidenz

Josef Hecken G-BA, Berlin

**14:20 Uhr**

Was können wir uns leisten?

Andreas Nickel, GKV Spitzenverband, Berlin

**14:40 Uhr**

Wieviel Evidenz brauchen wir – zwischen  
Daten und medizinischer Erwartung

Müller-Berghaus (PEI, Langen)

**15:00 Uhr**

Ethische Aspekte zum Einsatz einer Gentherapie

Thomas Heinemann, Bonn

**15:20 Uhr**

Podiumsdiskussion:

„Zukunft der Gentherapie in der Pädiatrie“,

Moderation:

Prof. Holzgreve, Prof. Kirschner

Teilnehmer:

Müller-Berghaus, Hecken, Nickel, Feuchtinger,  
Heinemann, Stumpe

**16:30 Uhr**

Abschluss und Imbiss



## Referent\*innen

### **Büning, Prof. Hildegard**

Leiterin für Infektionsbiologie des Gentransfers an der Medizinischen Hochschule Hannover  
Carl-Neuberg-Str. 1, 30625 Hannover

### **Dörner, Katja**

Oberbürgermeisterin der Bundesstadt Bonn,  
Berliner Platz 2, 53111 Bonn

### **Fazeli, PD Dr. Walid**

Stellv. Direktor des Neuropädiatrischen und Sozialpädiatrischen Zentrums Universitätsklinikum Bonn (UKB),  
Venusberg-Campus 1, 53127 Bonn

### **Feuchtinger, Prof. Tobias**

Teamleitung Kinderhämatologie und –onkologie der Klinik für Kinder- und Jugendmedizin,  
LMU München und Stellv. Koordinator Infektionen im immungeschwächten Wirt, DZIF, LMU München,  
Marchioninistr. 15, 81377 München

### **Friese, Dr. Johannes**

OA der Klinik für Neuropädiatrie, Zentrum für Kinderheilkunde,  
Universitätsklinikum Bonn, Venusberg-Campus 1, 53127 Bonn

### **Häussler, Prof. Bertram**

Vorsitzender der Geschäftsführung, IGES Institut GmbH,  
Friedrichstr. 180, 10117 Berlin

### **Hecken, Prof. Josef**

Vorsitzender des Gemeinsamen Bundesausschusses G-BA,  
Gutenbergstr. 13, 10587 Berlin

### **Heinemann, Prof. Thomas**

Wissenschaftlicher Leiter des ethischen Teilprojekts des vom BMBF geförderten Verbund-Forschungsprojekts  
„NANoSoGT - Normative Assessment of Novel Somatic Genomic Therapies“ am Institute for Medical Humanities  
des Universitätsklinikums Bonn,  
Venusberg-Campus 1, 53127 Bonn

### **Holzgreve, Prof. Wolfgang**

Ärztlicher Direktor & Vorstandsvorsitzender, Universitätsklinikum Bonn (UKB) und  
Vorstandsvorsitzender der Stiftung für das behinderte Kind,  
Venusberg-Campus 1, 53127 Bonn

### **Kirschner, Prof. Janbernd**

Direktor der Klinik für Neuropädiatrie & Muskelerkrankungen, Zentrum für Kinder- und Jugendmedizin  
Universitätsklinikum Freiburg, Breisacher Str. 153, 79110 Freiburg

### **Klotz, Prof. Kerstin Alexandra**

Direktorin der Neuropädiatrischen Klinik und des Sozialpädiatrischen Zentrums/ Zentrum für Kinderheilkunde  
am Universitätsklinikum Bonn (UKB),  
Venusberg-Campus 1, 53127 Bonn (Ab 01.09.2023)

### **Müller-Berghaus, Dr. Jan**

Mitglied im Ausschuss für den Bereich “Qualität und Sicherheit biomedizinischer Arzneimittel einschließlich  
neuartiger Therapien (advanced therapies)” im Paul-Ehrlich-Institut,  
Paul-Ehrlich-Str. 51-59, 63225 Langen

### **Nickel, Andreas**

Fachreferent im Referat AMNOG EBV Abteilung in der Abteilung Arznei- und Heilmittel  
im GKV Spitzenverband,  
Reinhardtstr. 28, 10117 Berlin

### **Oldenburg, Prof. Johannes**

Direktor des Instituts für Experimentelle Hämatologie und Transfusionsmedizin,  
Universitätsklinikum Bonn, Venusberg-Campus 1, 53127 Bonn

### **Stumpe, Eva Christina**

Deutsche Gesellschaft für Muskelkranke, Schwerpunkt SMA Landesverband Bayern,  
Sudentenstrasse 45, 87600 Kaufbeuren

### **Ziegler, Dr. Andreas**

Oberarzt (Sektion Neuropädiatrie und Stoffwechselmedizin), Ärztliche Leitung paedKliPS (Pädiatrisches Klinisch-  
Pharmakologisches Studienzentrum),  
Universitätsklinikum Heidelberg, Im Nauenheimer Feld 672, 69120 Heidelberg