



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

## **Erklärung der Deutschen Gesellschaft für Gentherapie zu den Berichten über die Geburt der ersten genom-editierten Babys in der VR China\***

*\*Basierend auf einer gemeinsamen Erklärung der European Society of Gene and Cell Therapy (ESGCT), British Society for Gene and Cell Therapy (BSGCT), Deutsche Gesellschaft für Gentherapie (DG-GT), Finnish Society of Gene Therapy (FSGT), Hellenic Society of Gene Therapy and Regenerative Medicine (HSGTRM), Netherlands Society for Gene & Cell Therapy (NVGCT), Sociedad Española de Terapia Génica y Celular (SETGyC), Société Française de Thérapie Cellulaire et Génique (SFTCG) [siehe: <https://dg-gt.ada.wats-on.co.uk/Home.aspx>]*

Bei der somatischen Gentherapie handelt es sich um ein Verfahren zur Behandlung angeborener wie auch erworbener Krankheiten, für die derzeit keine oder nur unzureichende Behandlungsoptionen existieren. Die genetischen Veränderungen werden dabei auf somatische Zellen beschränkt, d.h. auf solche Zellen des Körpers, die nicht zur Keimbahn beitragen, sodass eine Weitergabe an folgende Generationen ausgeschlossen wird. Die europäischen Gesellschaften für Gen- und Zelltherapie unterstützen die Entwicklung innovativer Ansätze der somatischen Gen- und Zelltherapie seit mehr als 25 Jahren. Auch wenn wir die Notwendigkeit von Grundlagenforschung in allen Bereichen der Biomedizin anerkennen, sind sich unsere Gesellschaften einig, dass die genetische Modifikation der Keimbahn auf der Basis des aktuellen Wissensstands unverantwortlich und ethisch nicht vertretbar ist.

Aus Dokumenten, die das [Chinesische Register klinischer Studien](#) veröffentlicht hat, und aus Berichten verschiedener Medienquellen geht hervor, dass Dr. Jiankui He (*Southern University of Science and Technology*, Shenzhen) die CRISPR/Cas9 Designernuklease-Technologie benutzt hat, um die Erbinformation von per In-Vitro-Fertilisation (IVF) generierten Embryonen vor der Einpflanzung in die Gebärmutter zu verändern.

CRISPR/Cas9 vermittelte Genom-Editierung ist eine hochmoderne Technologie, die nicht nur in unterschiedlichen Forschungsansätzen genutzt, sondern auch für den Einsatz in der Gentherapie weiterentwickelt wird. Die Technik beruht auf der Anwendung sog. Genschere, welche es erlauben, das Erbgut an vorbestimmten Sequenzabfolgen zu schneiden, um so zielgerichtet Gendefekte zu korrigieren. Trotz enormer Fortschritte in den letzten Jahren, können Fehlschnitte im menschlichen Genom nicht vollständig ausgeschlossen werden. Solche Fehlschnitte können, im Falle von Keimbahnanwendungen, zu genetischen Veränderungen mit unbekanntem Auswirkungen auf die Gesundheit der Probanden sowie deren Nachkommen führen.

Dr. He beschreibt seine Forschung in einem auf YouTube geposteten Video: eine sehr ungewöhnliche Art, wissenschaftliche Arbeiten zu präsentieren. In diesem Video behauptet er, dass nach Einpflanzung der genom-editierten Embryonen gesunde Zwillingmädchen geboren wurden und dass in mindestens einem der beiden Zwillingmädchen das CCR5-Gen erfolgreich inaktiviert sei. Durch das Ausschalten (Knockout) des CCR5-Gens sollen die Mädchen vor einer Infektion mit dem humanen Immundefizienzvirus (HIV) geschützt werden. Abgesehen von den potenziellen Nebenwirkungen und den großen ethischen Implikationen, ist auch die wissenschaftliche Begründung seines Ansatzes aus mehreren



**DG-GT e.V.**  
Deutsche Gesellschaft  
für Genterapie e.V.

Gründen sehr fragwürdig: (i) Das Ausschalten von CCR5 bietet keinen vollständigen Schutz vor einer HIV-Infektion; (ii) Der CCR5-Knockout könnte potenziell schwerwiegende Konsequenzen haben, wie beispielsweise eine höhere Anfälligkeit auf Infektionen mit anderen Viren; (iii) Angesichts der derzeitigen Bemühungen, die Rate neuer HIV-Infektionen durch gezielten Selbstschutz, optimierte Therapien und die Entwicklung wirksamer Impfstoffe zu senken, ist das absehbare Risiko einer HIV-Infektion als gering einzustufen.

Nach unserem Wissen sind Dr. Hes Behauptungen nicht von einer unabhängigen und wissenschaftlich fundierten Quelle bestätigt worden. Zudem wurde, laut in den Medien zitierten Angaben der chinesischen Regierung und der Universität Shenzhen, die vermeintlich durchgeführte Studie weder von den zuständigen Regierungsbehörden noch der Ethikkommission genehmigt.

Gen- und Zelltherapien haben ein enormes therapeutisches Potenzial, und die Editierung von Genomen mit Genschere entwickelt sich zu einem vielversprechenden und wirksamen Werkzeug zur Behebung von Gendefekten. Wie bei jeder Behandlung gibt es jedoch potenzielle Risiken im Zusammenhang mit der Genom-Editierung, die einer sorgfältigen Untersuchung bedürfen, bevor diese neuen Behandlungen bei Patienten angewendet werden können. Die Anwendung der Genom-Editierung in Embryonen und der Keimbahn erfordert aus unserer Sicht eine breite gesellschaftliche Diskussion der ethischen Implikationen. Auf dem ersten „*Human Genome Editing Summit*“ gab es einen generellen Konsens: „Es wäre unverantwortlich, Keimbahnmodifikationen klinisch einzusetzen bevor (i) die relevanten Sicherheits- und Wirksamkeitsprobleme gelöst wurden und (ii) ein breiter gesellschaftlicher Konsens über die Angemessenheit der vorgeschlagenen Anwendung besteht.“ Die DG-GT und die genannten europäischen Gesellschaften unterstützen diese Ansicht uneingeschränkt und lehnen Dr. Hes Experimente mit aller Deutlichkeit ab. Diese Experimente am Menschen zielen auf Optimierung des Menschen und nicht auf Therapie ab und sind daher ethisch inakzeptabel.

Der Gesetzgeber und die Öffentlichkeit sollen und müssen mitbestimmen, unter welchen Umständen der Einsatz dieser Spitzentechnologie zulässig ist. Auch wenn eine Reihe laufender, streng regulierter klinischer Testungen das große Potential von Gen- und Zelltherapien in der Klinik erkennen lassen, bleibt es essentiell, dass klinische Studien weiterhin internationalen Standards entsprechen, um sicherzustellen, dass sie sicher sind und dass die Forschung transparent und verantwortungsbewusst durchgeführt wird.

Im Namen der Deutschen Gesellschaft für Genterapie,

Prof. Dr. Boris Fehse  
Präsident

Prof. Dr. Toni Cathomen  
Designierter Präsident

Prof. Dr. Hildegard Büning  
Wissenschaftliche Sekretärin

28. November 2018