



GSCN

GermanStemCellNetwork

Jahresmagazin
des GSCN

2025/26

*for English
version
→ turn over*

Stammzellen: Therapien der nächsten Generation

www.gscn.org

Impressum

Herausgeber

German Stem Cell Network (GSCN)
Luisenstraße 65
10117 Berlin

Tel.: 030 450543648
Mail: office@gscn.org
Web: www.gscn.org

Redaktion

Stefanie Mahler, Antje Veldhues,
Daniel Besser (Geschäftsstelle GSCN)
GSCN-Fotos von Arne Sattler und
Stefanie Mahler

Gestaltung und Layout

Grafikladen Berlin

Bildnachweis Titelfoto

Afonso de Sousa Vieira / Lab Bartfeld, TU Berlin
*Fluoreszenzbild von menschlichen Ileum-Organoiden.
ZO-1 ist grün markiert, proliferierende Zellen rot.*

Druck

K & L Druckerei
Auflage: 500 Exemplare

Copyright

Das Magazin ist Teil der Öffentlichkeitsarbeit des GSCN.
Es kann gegen eine Schutzgebühr von 10 € (exklusive Porto) von der
GSCN-Geschäftsstelle bezogen werden; der Weiterverkauf ist untersagt.
Nachdruck nur mit Genehmigung der Redaktion sowie Angabe der
Quelle. Anmerkung: Wie bei allen Schriften des GSCN sind Personen-
bezeichnungen gegendert oder zugunsten eines besseren Leseflusses
immer geschlechtsneutral zu verstehen.



Grußwort

Sehr geehrte Mitglieder des German Stem Cell Network, liebe Leserinnen und Leser,

Die Stammzellforschung ist ein zentrales Fundament moderner biomedizinischer Forschung. Sie eröffnet neue Perspektiven für das Verständnis von Entwicklungsprozessen, Krankheitsentstehung und Regeneration und bildet die Grundlage für innovative Therapieansätze. Für das Bundesministerium für Forschung, Technologie und Raumfahrt (BMFTR) ist die Stammzellforschung ein strategisch bedeutsames Feld, in dem wissenschaftliche Exzellenz, technologische Innovationskraft und gesellschaftliche Verantwortung in besonderer Weise zusammenkommen. Das German Stem Cell Network (GSCN) steht seit Jahren exemplarisch für diesen Anspruch.

Im vergangenen Jahr hat die deutsche Stammzellforschung erneut ihre hohe Leistungsfähigkeit unter Beweis gestellt. So wurden weitere grundlegende Mechanismen der embryonalen Entwicklung und Zell-Dormanz auf molekularer Ebene entschlüsselt. Reproduzierbare Hirnorganoide ermöglichen inzwischen die detaillierte Modellierung neurodegenerativer Erkrankungen wie Huntington und erlauben die Identifikation von neuartigen Wirkstoffkandidaten, etwa gegen mitochondriale Störungen. Auch in der translationalen Forschung wurden bedeutende Fortschritte erzielt: Prototypische autologe Zelltherapien für Parkinson-Patienten sind in Entwicklung, und iPS-Zell-basierte Screening-Ansätze haben neue therapeutische Optionen für seltene Erkrankungen aufgezeigt. Diese Ergebnisse zeigen, dass deutsche Stammzellforschung sowohl die Grundlagenforschung vorantreibt als auch die Brücke zur klinischen Anwendung stärkt.

Mit der **Nationalen Strategie für Gen- und Zellbasierte Therapien** hat das BMFTR einen klaren strategischen Rahmen geschaffen, um dieses dynamische Feld gezielt und nachhaltig weiterzuentwickeln. Ziel der Strategie ist es, Forschung, klinische Anwendung, regulatorische Prozesse und industrielle Wertschöpfung kohärent zu verzahnen und Deutschland als leistungsfähigen und verlässlichen Standort für Gen- und Zelltherapien zu positionieren. Durch den **Aufbau des Zentrums für Gen- und Zelltherapien in Berlin** werden zukünftig leistungsfähige Forschungs- und Entwicklungsinfrastrukturen insbesondere für Start-ups bereitstehen, translationale Vorhaben gebündelt und klinische Studien beschleunigt. Damit wird ein Umfeld geschaffen, in dem wissenschaftliche Spitzenleistungen schneller und verlässlicher in die medizinische Anwendung überführt werden können – zum Nutzen von Patientinnen und Patienten und zur Stärkung des Innovationsstandorts Deutschland.



Das GSCN übernimmt in diesem Kontext eine Schlüsselrolle. Als bundesweites und internationales Netzwerk stärkt es den wissenschaftlichen Austausch, fördert den Nachwuchs und unterstützt die interdisziplinäre Zusammenarbeit zwischen Grundlagenforschung, Klinik, Ethik und Recht. Gerade in der Stammzellforschung ist diese Vernetzung eine wichtige Voraussetzung für Qualität, Transparenz und gesellschaftliche Akzeptanz.

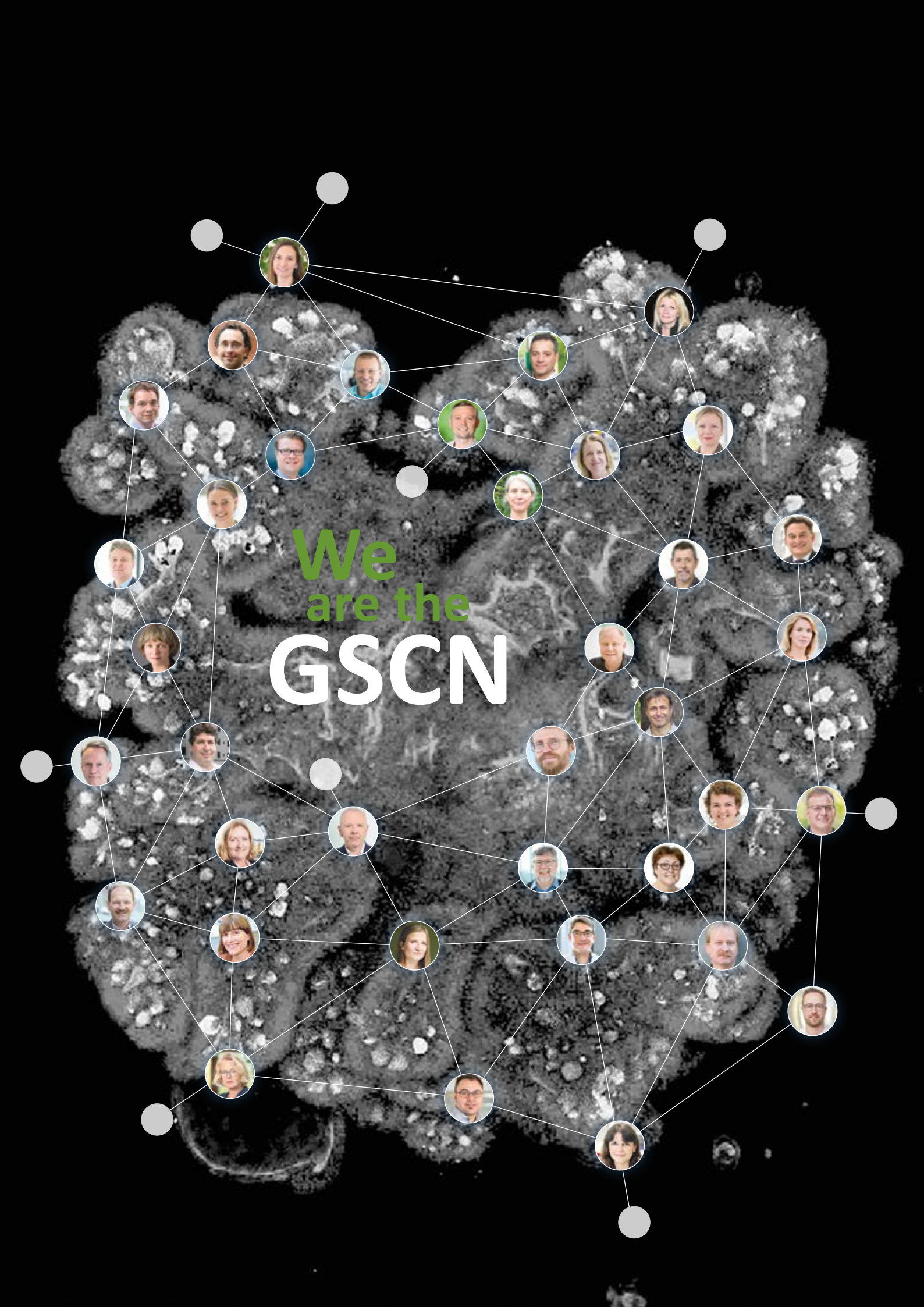
Als Parlamentarischer Staatssekretär im BMFTR ist es mir ein besonderes Anliegen, den Dialog zwischen Wissenschaft, Politik und Gesellschaft aktiv zu unterstützen. Verlässliche Förderstrukturen, leistungsfähige Forschungsinfrastrukturen und ein klarer ethischer und regulatorischer Rahmen bilden die Grundlage dafür, dass neue Gen- und Zelltherapien verantwortungsvoll entwickelt und erfolgreich in die Anwendung gebracht werden können. Das GSCN ist dabei ein unverzichtbarer Partner.

Ich danke allen beteiligten Wissenschaftlerinnen und Wissenschaftlern sowie den engagierten Akteurinnen und Akteuren im Netzwerk für ihre exzellente Arbeit und die wertvollen Impulse für die weitere Entwicklung der Stammzellforschung in Deutschland.

Matthias Hauer, MdB

Parlamentarischer Staatssekretär

Bundesministerium für Forschung, Technologie und Raumfahrt

The image features a complex network diagram overlaid on a grayscale brain scan. The network consists of numerous circular nodes, each containing a portrait of a person. These nodes are interconnected by a web of thin white lines, representing relationships or collaborations. Some nodes are also connected to isolated gray circles. The background is a detailed brain scan, showing various anatomical structures in shades of gray against a black background. The text "We are the GSCN" is centered in the middle of the image, with "We" and "are the" in green and "GSCN" in white.

We
are the
GSCN

Vorwort

Die Zukunft der Zelltherapien nimmt zunehmend Gestalt an – wissenschaftlich, technologisch und klinisch. Diese Ausgabe des GSCN Jahresmagazins widmet sich daher bewusst diesem Schwerpunkt. Den Auftakt bildet ein ausführliches Interview zur Bedeutung humaner embryonaler Stammzellen (hESC) und induzierter pluripotenter Stammzellen (hiPSC), das zeigt, wie grundlegende biologische Erkenntnisse den Weg für neue Therapien ebnen. Ergänzt wird dies durch einen umfangreichen Überblick über aktuelle klinische Studien bei Parkinson, Epilepsie, Makuladegeneration, Diabetes und der Entwicklung von Herzpflastern. Diese Arbeiten verdeutlichen, wie rasant die Translation in Richtung klinischer Anwendung voranschreitet.

Ein weiterer zentraler Beitrag beschäftigt sich mit hypoimmunen Zellen – einem Gebiet, das das Potenzial besitzt, die regenerative Medizin grundlegend zu verändern. Die Aussicht auf universal einsetzbare Zellprodukte stellt einen möglichen Paradigmenwechsel dar, der neue therapeutische Optionen eröffnet und zugleich die Notwendigkeit klarer regulatorischer Strukturen unterstreicht.

Translation gewinnt in Deutschland zunehmend an Fahrt. Das zeigen zudem Beiträge über das Startup-Förderprogramm **GeneNovate®** sowie den **BIH Clinical Incubator**. Beide Initiativen unterstützen gezielt den Übergang von der Idee zum Produkt, fördern Ausgründungen und bringen klinische Expertise frühzeitig in die Entwicklung ein. Damit spiegeln sie die Dynamik der Stammzellforschung in einer jungen, innovationsorientierten Biotech-Landschaft wider.

Gleichzeitig bleibt die Realität der Translation in Deutschland von regulatorischen Grenzen geprägt. Die wissenschaftliche Gemeinschaft bewegt sich in einem komplexen Gefüge aus Gesetzen, Genehmigungsprozessen und Zuständigkeiten, die Innovationen häufig ausbremsen. Die Diskussion darüber ist wichtig – nicht nur, um Hindernisse sichtbar zu machen, sondern um gemeinsam verantwortungsvolle Wege zu entwickeln, die wissenschaftlichen Fortschritt ermöglichen und Patientensicherheit wahren. Die Beiträge dieser Ausgabe machen deutlich, wie eng wissenschaftliche Vision und regulatorische Realität miteinander verwoben sind.



Für mich persönlich war das vergangene Jahr ein besonderes, denn meine Amtszeit als Präsident des GSCN neigt sich dem Ende zu. Die **GSCN Konferenz in München** war ein herausragender Höhepunkt: wissenschaftlich exzellent, international vernetzt und getragen von einer starken, engagierten Community. Sie hat gezeigt, wie lebendig, kreativ und verbindend die Stammzellforschung in Deutschland ist.

Mit Blick nach vorn freue ich mich auf die kommende **GSCN Konferenz in Berlin**, die erneut ein Forum für Austausch, Inspiration und Kooperation bieten wird – und die zugleich den Auftakt für ein neues Kapitel der wissenschaftlichen Zusammenarbeit bildet.

Dieses Jahresmagazin zeigt erneut, wie weit wir bereits gekommen sind und wie viel Potenzial vor uns liegt. Für all diese Entwicklungen möchte ich mich bei der GSCN-Community bedanken: für ihren unermüdlichen Einsatz, ihre Exzellenz und ihren Beitrag dazu, dass Stammzellforschung in Deutschland weiterhin eine starke Zukunft hat.

Heiko Lickert
Amtierender GSCN Präsident

Inhalt

Grußwort	3
Matthias Hauer, Bundesministerium für Forschung, Technologie und Raumfahrt	
Vorwort	5
Heiko Lickert, Amtierender GSCN Präsident	
Interview	8
„Embryonale oder induzierte pluripotente Stammzellen – die Zukunftsfrage“	
Aus der Geschäftsstelle	14
GSCN News 2025/26	
Die 13. GSCN Konferenz	16
Die internationalen Keynotes auf der GSCN Konferenz 2025	18
Das Präsidentensymposium: Vortrag auf Einladung des GSCN-Präsidenten und Präsentationen der GSCN-Preisträger 2025	22
Die wissenschaftlichen GSCN-Sessions: Spannende Ideen und Daten aus der Scientific Community	25
Die strategischen GSCN-Sessions: Themen für das gesamte Forschungsfeld	28
Career Development: Schwierige Situationen meistern	31
ELSA: Embryomodelle und Genom-Engineering	32
Posterpreise und Reisestipendien	33
Öffentliche Podiumsdiskussion	34

16

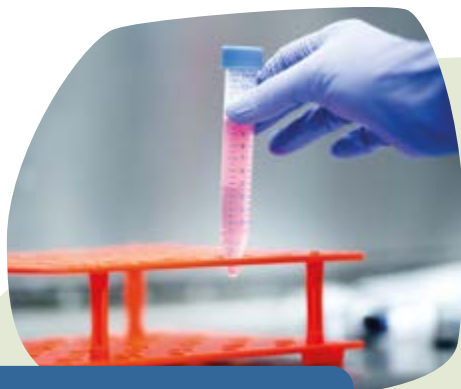


Konferenzbericht 2025

Die 13. GSCN Konferenz

15.–17. Oktober 2025 | Helmholtz Munich,
Conference Center Neuherberg

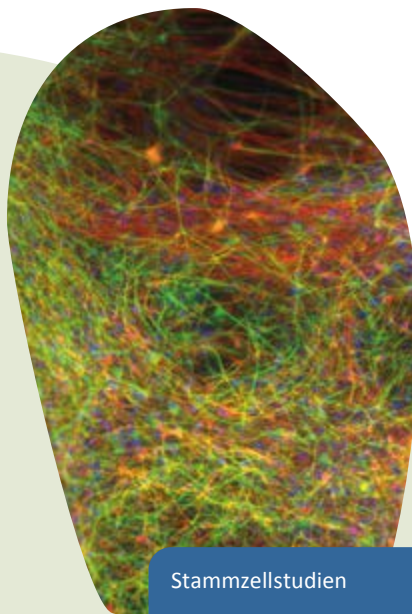
37



Hypoimmune Stammzellen

Transplantate mit Tarnkappe

47



Stammzellstudien

**Klinische Studien
mit Stammzellen**

55



Das GeneNovate® Entrepreneurship-Programm

**Es braucht ein ganzes Dorf, um
ein Medizinprodukt in die
Patientenversorgung zu bringen**

65



**HI-STEM, das Heidelberger
Institut für Stammzelltechnologie
und Experimentelle Medizin**

Transplantate mit Tarnkappe	37
Klinische Studien mit Stammzellen	47
„Es braucht ein ganzes Dorf, um ein Medizinprodukt in die Patientenversorgung zu bringen“	55
CLIC: Voraussetzungen für den Erfolg der translationalen Biotechnologie schaffen	60
HI-STEM, das Heidelberger Institut für Stammzelltechnologie und Experimentelle Medizin	65
GSCN Jahresbericht	68

Nicht die Zelle ist das Problem – sondern das Recht

Embryonale oder induzierte pluripotente Stammzellen – die Zukunftsfrage

Welche pluripotenten Stammzellquellen – humane embryonale Stammzellen (hESC) oder induzierte pluripotente Stammzellen (hiPSC) – werden künftig für klinische Anwendungen entscheidend sein? Angesichts rasanter Fortschritte in Bereichen der Augenheilkunde, Herztherapien, Parkinson und Diabetes rückt erneut die Frage in den Fokus, welche Zelltypen für Studien und die spätere Patientenversorgung am besten geeignet sind. Ziel dieses Gespräches war es, unterschiedliche wissenschaftliche, regulatorische und ethische Perspektiven auf diese zentrale Zukunftsfrage einzufangen.



OLIVER BRÜSTLE

regulatorische und natürlich auch wissenschaftliche Aspekte. In der Folge entstand Anfang der 2000er Jahre das Stammzellgesetz, das wiederum auf dem Embryonenschutzgesetz der frühen 1990er Jahre basiert. Heute können wir in Deutschland zwar hESC-Linien verwenden, allerdings ausschließlich als Importe – eine eigene Herstellung ist weiterhin nicht erlaubt. Seit 2007 stehen zudem humane induzierte pluripotente Stammzellen (hiPSC) zur Verfügung, die sich in den 2010er-Jahren zunehmend, als potenzielle Alternative etabliert haben.

Vor diesem Hintergrund: Wie beurteilen Sie aus heutiger Sicht den Einsatz von hESC im Vergleich zu hiPSC in der klinischen Entwicklung – mit Blick auf konkrete therapeutische Anwendungen? Welche Vorteile und Nachteile sehen Sie?

Oliver Brüstle: Rückblickend zeigt sich, dass der therapeutische Ansatz mit humanen pluripotenten Stammzellen richtig war: Sowohl hESC- als auch hiPSC-basierte Therapien sind heute in klinischen Studien angekommen. Umso schwerer nachvollziehbar ist, dass die deutsche Forschung weiterhin durch die Stichtagsregelung eingeschränkt wird.

Das Interview mit den Experten **Oliver Brüstle** (Institut für Rekonstruktive Neurobiologie am Universitätsklinikum Bonn und Gründungspräsident des GSCN), **Wolfram Hubertus Zimmermann** (Institut für Pharmakologie und Toxikologie, Universitätsmedizin Göttingen) und **Heiko Lickert** (Institut für Diabetes und Regenerationsforschung, Helmholtz Munich) führte **Daniel Besser** (GSCN Geschäftsführer).

GSCN: *Oliver Brüstle, Sie haben vor rund 25 Jahren in Deutschland erstmals vorgeschlagen, Forschung an humanen embryonalen Stammzellen (hESC) aus überzähligen Embryonen der IVF (In-vitro-Fertilisation) durchzuführen und dazu auch ein entsprechendes DFG-Projekt eingereicht. Dieser Schritt hat damals eine weitreichende Debatte ausgelöst – über ethische,*

„Frage nach besseren Zellen für klinische Studien bleibt offen“

Welche Zellquelle „besser“ ist, bleibt jedoch offen. Am Beispiel Parkinson zeigt sich, dass sowohl hESC- als auch hiPSC-basierte Studien bislang vor allem Sicherheit belegen konnten, ohne spezifische Risiken wie Teratom- und Tumorbildung. Beide Zelltypen haben frühe klinische Phasen erfolgreich durchlaufen, und erste Wirksamkeitssignale stimmen vorsichtig optimistisch, auch wenn statistisch belastbarere Daten noch fehlen.



HEIKO LICKERT

Die diskutierten Vor- und Nachteile sind bislang weitgehend theoretisch: hESC gelten als genetisch unverändert und dadurch „unbelasteter“, hiPSC punkten durch leichtere Verfügbarkeit, Spenderbanken und die prinzipielle Option autologer Therapien. Welche dieser Unterschiede klinisch tatsächlich relevant sind, lässt sich derzeit aufgrund zu geringer Fallzahlen noch nicht zuverlässig beurteilen.

GSCN: *Wolfram-Hubertus Zimmermann, Sie führen derzeit in Deutschland die erste klinische Studie zum therapeutischen Einsatz von aus Stammzellen abgeleiteten Herzmuskelzellen und Stromazellen im Herzen durch – die sogenannte Herzpflaster-BioVAT-HF-Studie, unterstützt durch das Deutsche Zentrum für Herz-Kreislauf-Forschung (DZHK) – und setzen dabei auf hiPS-Zellen als Ausgangsmaterial. Welche Überlegungen haben damals zu der Entscheidung geführt, hiPSC zu verwenden?*

Wolfram-Hubertus Zimmermann: Unsere frühen Arbeiten basierten auf hESC, da zu diesem Zeitpunkt hiPSC noch nicht existierten, später zeigte sich jedoch, dass sich alle Verfahren nahezu identisch auf hiPSC übertragen lassen. Entscheidend wurde damit die Frage, wie sich eine Entwicklung in Deutschland nicht nur in Studien, sondern auch in die Patientenversorgung überführen lässt.

Bei hESC besteht hier eine erhebliche Unsicherheit: Es ist unklar, ob daraus entstehende Produkte jemals regulär in Deutschland eingesetzt werden dürften. Das macht klinische Studien ethisch problematisch und finanziell riskant, da Investoren eine realistische Zulassungsperspektive benötigen.

Die Wahl fiel daher auf hiPSC – nicht aus wissenschaftlichen, sondern aus ethischen, regulatorischen und ökonomischen Gründen. Solange Stichtagsregelung und rechtliche Risiken bestehen, ist die Translation von Produkten aus hESC nicht realistisch umsetzbar.

GSCN: *Wie bewerten Sie hier den internationalen Kontext? Könnte der Druck aus Ländern wie den USA oder Großbritannien langfristig die deutsche Position ins Wanken bringen? Besteht die Gefahr, dass Deutschland durch seine regulatorischen Rahmenbedingungen den Anschluss verliert?*

Wolfram-Hubertus Zimmermann: Ich glaube nicht, dass sich die Welt stark an deutschen Detailregelungen orientiert oder andere Länder sich ihren Weg vorschreiben lassen. Internationaler Druck kann wachsen, aber darauf allein zu hoffen, wäre langwierig. Weltweit sprechen inzwischen über hundert Studien und mehr als tausend behandelte Patient*innen für eine insgesamt ermutigende Entwicklung – auch wenn wir noch in frühen klinischen Phasen sind.

In Deutschland ist der Weg in die Klinik für hier produzierte hESC-Produkte jedoch kaum absehbar, während hiPSC deutlich bessere Perspektiven haben. Würde allerdings ein großes Pharmaunternehmen mit hESC-Produkten überzeugende Phase-III-Daten liefern, müsste man auch hierzulande über eine Zulassung nachdenken – rechtlich wäre das bei Import aus dem Ausland möglich. Der Nachteil liegt daher weniger bei den Patient*innen als bei Forschenden und Unternehmen sowie dem Entwicklungsstandort Deutschland: Hier ist der Entwicklungsweg mit hESC faktisch blockiert, was Forschung und Investitionen ins Ausland verlagert. Zudem gilt: Hat sich ein Unternehmen einmal auf eine Zelllinie festgelegt, ist ein späterer Wechsel praktisch nur sehr schwer noch machbar und auch medizinisch nicht leicht vermittelbar.

„Bei humanen embryonalen Stammzellen besteht eine erhebliche Unsicherheit“

GSCN: *Heiko Lickert, in München wird eine klinische Studie mit aus pluripotenten Stammzellen abgeleiteten β -Zellen zur Behandlung von Typ-1-Diabetes geplant. Welche wissenschaftlichen, regulatorischen und praktischen Kriterien bestimmen hierbei die Entscheidung zwischen hESC und hiPSC?*

Die Firma Vertex aus den USA verfolgt einen Ansatz zu Diabetes mit hESC und ist inzwischen auch in Dresden aktiv. Heißt das, dass in Deutschland bereits β -Zellen aus hESC zum Einsatz kommen?



WOLFRAM-HUBERTUS ZIMMERMANN

Heiko Lickert: Die Frage, ob hESC oder hiPSC die bessere Quelle für klinische Anwendungen sind, ist weiterhin offen. Weltweit laufen zahlreiche Studien mit beiden Zelltypen; hiPSC dominieren eher in Asien und auch in Europa, hESC-basierte Ansätze sind stärker in den USA vertreten, auch wegen verfügbarer Linien, die dem Good Manufacturing Practice (GMP) Standard erfüllen. Unklar bleibt vor allem, ob die Reprogrammierung von hiPSC langfristig klinisch relevante Mutationen verursachen kann – bislang wurden allerdings weder bei hESC- noch bei hiPSC-typische Risiken wie Teratome oder Tumore beobachtet.

Im Diabetesbereich zeigen hESC-basierte Studien, etwa von Vertex, vielversprechende Sicherheits- und Wirksamkeitssignale, auch wenn Langzeitdaten noch fehlen. Autologe hiPSC-Ansätze existieren, beruhen aber bislang auf sehr kleinen Fallzahlen.

In Deutschland liegt das Hauptproblem weniger in der Wissenschaft als in der Regulierung und Finanzierung: Forschung und Translation mit hESC sind rechtlich stark eingeschränkt und praktisch kaum förderfähig. Für klinische Entwicklung und Investitionen fehlen dadurch realistische Perspektiven, weshalb sich viele Projekte auf hiPSC verlegen. Ohne Anpassung der gesetzlichen Rahmenbedingungen droht Deutschland daher international an Wettbewerbsfähigkeit zu verlieren.

GSCN: Die deutsche Position wirkt sich sehr stark auf die europäischen Förderinstrumente aus – und diese Haltung strahlt dann wiederum unmittelbar in den privaten Sektor hinein. Herr Zimmermann, Sie sagten bereits, dass es schwierig wird, private Investoren oder Unternehmen ins Boot zu holen, wenn das gesamte Umfeld faktisch gegen hESC-basierte Ansätze steht. Das ist ein zentrales Problem, oder?

Wolfram-Hubertus Zimmermann: In Deutschland ist die Finanzierung hESC-basierter Translation praktisch unmöglich: Private Investitionen in die biomedizinische Forschung sind in Deutschland ohnehin deutlich geringer als im angloamerikanischen Raum, und durch rechtliche Einschränkungen wird hier ein ganzes Feld faktisch von einer Finanzierung ausgeschlossen. Amerikanische Investoren würden ihr Engagement zudem an eine Verlagerung der Entwicklung ins Ausland knüpfen – ein klarer Standortnachteil. Auch deshalb sollte die Stichtagsregelung überdacht werden.



GSCN: Es zeichnet sich sehr deutlich ab, dass wir in Deutschland die regulatorischen und gesetzlichen Rahmenbedingungen an die internationale Dynamik anpassen müssen. Herr Brüstle, wie sehen Sie das? Das war ja im Grunde schon vor vielen Jahren eine Ihrer zentralen Forderungen. Ist dieser Bedarf angesichts der aktuellen klinischen Entwicklungen jetzt noch einmal deutlich dringlicher geworden?

Oliver Brüstle: In Deutschland stehen sich im Bereich der Stammzellforschung im Grunde zwei politische Leitgedanken gegenüber: Zum einen ein sehr hoher ethisch-moralischer Anspruch, insbesondere beim Umgang mit Embryonen, zum anderen der klare Wille, Patient*innen potenziell wirksame Therapien nicht vorzuenthalten. Die deutsche Gesetzgebung hat versucht, zwischen beiden Ansprüchen einen Kompromiss zu finden. So wurde die medizinische Anwendung von hESC zwar nicht komplett ausgeschlossen, die Innovations- oder Produktionsperspektive

Institut für Rekonstruktive Neurobiologie

Von der Krankheitsforschung zur Therapie

Das an der Medizinischen Fakultät der Universität Bonn angesiedelte Institut fokussiert auf die Nutzung pluripotenter Stammzellen für die Erforschung und Behandlung neurologischer und psychiatrischer Erkrankungen. Das eingesetzte Methodenspektrum reicht von der Zellreprogrammierung über Verfahren zur neuronalen Differenzierung und direkten Zellumwandlung bis hin zur Industrialisierung von Stammzellapplikationen und zur Neurotransplantation. Darauf aufbauend entwickelt das Institut stammzellbasierte Modelle für Krankheitsforschung und Wirkstoffentwicklung sowie

neue Zelltherapieansätze. Es interagiert dabei eng mit der LIFE & BRAIN GmbH, ein universitätsnahes Translationsunternehmen in Bonn, das stammzellbasierte Produkte und Dienstleistungen für Pharma, Biotech und akademische Institutionen anbietet.

**Institut für Rekonstruktive Neurobiologie
Universitätsklinikum Bonn**
Venusberg-Campus 1, Geb. 76 · 53127 Bonn
www.stemcells.uni-bonn.de

Institut für Rekonstruktive
Neurobiologie



aber durch überzogene Auflagen gebremst. Das zeigt sich besonders deutlich an der Stichtagsregelung im Stammzellgesetz: Zelllinien, die in der Vergangenheit im Ausland hergestellt wurden, dürfen importiert und in Deutschland in der Forschung eingesetzt werden, selbst wenn ihre Herstellung hierzulande rechtlich unzulässig wäre. Politisch ist das bequem, weil man argumentieren kann, den Therapieforschung zu ermöglichen, während die ethisch kontroversen Schritte ins Ausland verlagert werden. Gleichzeitig führt diese Konstruktion aber dazu, dass wirtschaftliche Wertschöpfung, Produktionskompetenz und industrielle Entwicklung ebenfalls außerhalb Deutschlands stattfinden.

Hinzu kommt ein zweiter zentraler Faktor: die Investitions- und Erstattungsperspektive. Zelltherapien mit menschlichen pluripotenten Stammzellen, besonders mit hESC, werden sehr teuer sein. Solange jedoch keine eindeutig belegten klinischen Vorteile gegenüber etablierten Therapien vorliegen, bleibt unklar, ob und in welchem Umfang solche Behandlungen später erstattet werden. Diese Unsicherheit schreckt Investoren ab. Die Wissenschaft kann hier derzeit nur vorsichtige Szenarien formulieren, aber keine belastbaren Prognosen liefern. Dadurch entsteht eine Art Zangenbewegung: Auf der einen Seite eine Politik, die ethisch sensible Debatten meidet und den rechtlichen Freiraum für solche Zukunftstechnologien unbotmäßig einschränkt, auf der anderen Seite ein wirtschaftliches Umfeld, das aufgrund regulatorischer Unsicherheit und fehlender Rahmenbedingungen für die Kostenerstattung zurückhaltend bleibt.

Wenn sich dann große Industrie-Akteure wie kürzlich Novo-Nordisk oder Takeda aus dem Bereich Stammzell-basierte Therapie zurückziehen oder ihre Aktivitäten ins Ausland verlagern, verstärkt das den Effekt zusätzlich. Die Politik wertet dies als Zeichen mangelnder Reife des Feldes, was wiederum weiteres Zögern begünstigt. So entsteht eine Abwärtsspirale aus politischem Bedenkenträgertum, Investitionszurückhaltung und fehlender industrieller Dynamik.

Ein wirklicher Impuls zur Veränderung wird daher vermutlich eher von außen kommen – durch überzeugende internationale klinische Erfolge, die so deutlich sind, dass sich die deutsche Politik der Frage nicht mehr entziehen kann. Dann könnten marktreife „Off-the-Shelf“-Produkte aus hESC Fakten schaffen und den Handlungsdruck erhöhen. Gerade in dieser Zeit wäre jedoch wichtig, dass Deutschland wieder stärkeres Vertrauen in die eigene wissenschaftliche Kompetenz entwickelt und sich politisch klar dazu bekennt, in diesem Bereich nicht nur Anwender, sondern auch aktiver Gestalter und Innovationsstandort sein zu wollen.

GSCN: *Mit den neuen hypoimmunen Ansätzen (s. Artikel S. 37) entsteht ein grundlegend neues Szenario: Pluripotente Stammzelllinien könnten so modifiziert werden, dass sie universell einsetzbar sind – etwa durch Ausschalten von HLA-Genen und zusätzliche Expression von Schutzsignalen („don't-kill-me“-Mechanismen), beispielsweise CD47. Solche Zellen könnten ohne Immunsuppression breit eingesetzt werden. Mit wenigen, standardisierten Zelllinien ließe sich so ein große Zahl von Patient*innen mit unterschiedlichen Erkrankungen versorgen – ein Ansatz der nicht nur medizinisch, sondern auch ökonomisch hochattraktiv wäre.*

Hier stellt sich dann eine strategische Frage: Entwickeln wir diese hypoimmunen Produkte auf Basis von hiPSC oder nutzen bereits GMP-zertifizierte hESC-Linien und erzeugen davon eini-

ge genetisch angepasste „Off-the-Shelf“-Varianten? Mit diesen Ansätzen rückt zugleich eine neue Dimension genetischer Modifikation in den Fokus – und die Frage, wie wir regulatorisch und ethisch damit umgehen sollten.

Wolfram-Hubertus Zimmermann: Die zentrale Frage ist, ob hypoimmune Zellprodukte tatsächlich ohne Immunsuppression auskommen können – dafür gibt es bislang keine belastbaren Daten. Der Ansatz ist vielversprechend, doch für eine verlässliche klinische Translation fehlen noch wichtige Werkzeuge, etwa robuste Methoden zum Monitoring des Überlebens des Implantates. Deshalb werden auch erste Studien mit hypoimmunen Zellen voraussichtlich weiterhin unter Immunsuppression stattfinden müssen.

Erfahrungen aus der Xenotransplantation zeigen zudem, dass selbst stark genetisch modifizierte Zellen Abstoßungsreaktionen nicht sicher verhindern. Parallel muss auch das potenziell erhöhte Tumorrisiko solcher Zelllinien bedacht werden. Insgesamt stehen wir noch sehr am Anfang: Jede Reduktion der Immunsuppression wäre bereits ein großer Fortschritt, doch vollständiger Verzicht ist derzeit nicht vorhersagbar. Entscheidend ist ein schrittweises, klinisch sauberes Vorgehen ohne überzogene Versprechen.

„Innovationsperspektive ist in Deutschland gebremst“

Heiko Lickert: Ein gutes Beispiel ist der Ansatz von Sana Biotechnology in Seattle, USA. Dort wurden post mortem (von Verstorbenen) gewonnene primäre Inselzellen durch Ausschalten der MHC-Klasse-I- und -II-Moleküle und Einbau des CD47-Signals genetisch immun-evasiv gemacht. Diese modifizierten Inseln wurden einem Typ-1-Diabetes-Patienten transplantiert und laut Berichten ein Jahr lang weder alloge noch autoimmune abgestoßen obwohl keine Immunsuppression gegeben wurde – ein bemerkenswertes Ergebnis.

Noch arbeitet Sana nicht mit hESC, plant aber in Zukunft Investigational New Drug (IND) Application-Studien, um das Konzept auf pluripotente Stammzellen zu übertragen und daraus β -Zellen sowie hypoimmune Off-the-Shelf-CAR-T- und CAR-NK-Produkte zu entwickeln. Auch Century Therapeutics in Philadelphia verfolgt ähnliche Strategien auf hiPSC-Basis. Insgesamt findet die dynamischste Translation derzeit im Bereich genetisch modifizierter Immun- und Stammzelltherapien statt.

Ein wirklicher klinischer Durchbruch wird jedoch nur gelingen, wenn Immunsuppression deutlich reduziert oder ganz vermieden werden kann. Studien wie die von Vertex zeigen zwar vielversprechende Effekte, bleiben aber faktisch „Rescue-Therapien“, solange Patient*innen lebenslang immunsupprimiert werden müssen – klinisch, ökonomisch und im Hinblick auf die Kostenerstattung problematisch. Ohne überzeugenden Zusatznutzen droht hier ein zweites Valley-of-Death nach der Markteinführung.

Gerade deshalb sind hypoimmune Konzepte so attraktiv. Gleichzeitig erhöhen umfangreiche genetische Modifikationen natürlich potenziell das Tumorrisiko und die Gefahr immunologischer „Unsichtbarkeit“ entarteter Zellen. Sicherheitsmechanismen wie sog. Suicide-Gene werden daher essenziell. Der Trend geht klar zu kombinierten Gen- und Zelltherapien mit mehreren

eingebauten Sicherheitsstufen. Langfristig kann die Entwicklung eines breiten und wirtschaftlich besonders attraktiven Marktes für Zellersatztherapien durch den Einsatz hypoimmuner und zugleich sicheren „Off-the-Shelf“-Lösungen maßgeblich vorangetrieben werden.

Oliver Brüstle: Zur Immunsuppression bei neuronalen Zellen möchte ich noch anmerken, dass wir es hier mit einem Sonderfall zu tun haben: Aufgrund der Blut-Hirn-Schranke gilt das Zentralnervensystem als ein immunprivilegiertes Organ. So wurde nachgewiesen, dass beispielsweise transplantierte allogene Dopamin-Neurone im Gehirn von Parkinsonpatient*innen über mehr als zwanzig Jahre überleben – und das auch nach Absetzen einer initialen Immunsuppression. Gleichwohl wären ein immunologisches Matching oder genetisch optimierte, immunologisch, unsichtbare Zellen wünschenswert, insbesondere bei der Transplantation nicht-neuronaler Zelltypen in das Gehirn.

„Abwärtsspirale aus politischem Bedenkenträgertum, Investitionszurückhaltung und fehlender industrieller Dynamik“

GSCN: *Wie bewerten Sie – im Vergleich zwischen hESC und hiPSC – mögliche Eigentums/Patent- und Einwilligungsfragen? Was passiert etwa, wenn eine hiPSC-Linie aus dem Gewebe eines lebenden Spenders gewonnen wurde und dieser später finanzielle Beteiligung fordert oder die Nutzung untersagen will, analog zu dem Fall der HeLa (Henrietta Lacks) Zellen?*

Oliver Brüstle: Man muss zwischen Patent und Freedom to Operate (FTO) unterscheiden. Ein Patent ist ein zeitlich begrenztes Monopolrecht, das Erfinder und Investoren vor unlauteren Wettbewerbern schützt, die ansonsten langjährige und vielfach teure Entwicklungen einfach kopieren und selbst vermarkten könnten. FTO entsteht dann, wenn der eigenen Erfindung und Marktstrategie keine Patentansprüche Dritter entgegenstehen.

Dabei ist die Patentierbarkeit von Produkten und Verfahren auf Grundlage von hESC weiterhin umstritten. So hatten wir vor Jahren ein Patent für die Umwandlung von ESC in neurale Zellen angemeldet. Dieses Verfahren beschäftigt sich gar nicht mit der Gewinnung von hESC, sondern geht von bereits existierenden hESC-Linien aus. Da hESC jedoch ursprünglich aus überzähligen befruchteten Eizellen – biologisch gesehen also einem frühen Embryo – gewonnen wurden, hat der EuGH die Patentierbarkeit abgelehnt – weil hier ein menschlicher Embryo im weitesten Sinne zur Grundlage einer auch wirtschaftlich nutzbaren Therapie werden könnte. Eine in meinen Augen ultrarestriktive Entscheidung.

Bei hiPSC stellt sich die rechtliche Situation anders dar. Kritische Fragen betreffen hier eher etwaige Beteiligungsansprüche oder Rückforderungen durch Spender, die sich aber durch klare Einwilligungsregelungen bei der Rekrutierung adressieren lassen. Eine Herausforderung bleibt, dass es aufgrund der immer tiefergehenden genetischen Charakterisierung der Zellen schwieriger wird, Spender dauerhaft sicher zu anonymisieren. Dies betrifft aber nicht nur die hiPSC, sondern anonyme Zellspenden allgemein.

Komplex wird es dann wieder im Patentrecht: Neue Verfahren müssen in Europa oft auf hiPSC beschränkt werden, weil sich auf hESC beziehende Ansprüche kaum durchsetzbar sind. International führt das zu einer fragmentierten Schutzlandschaft – mit Patentschutz außerhalb Europas, aber eingeschränkten Ansprüchen innerhalb der EU.

GSCN: *Es gäbe sicher noch viel zu diskutieren, aber als Hauptpunkte haben wir genannt, dass die strenge gesetzliche Regulierung in Deutschland das wissenschaftliche Feld, aber auch die ökonomische Investitionsbereitschaft in einem Maße einschränkt, die sich bereits jetzt als auch langfristig negativ auswirkt. Wie die Politik nun motiviert werden kann, sich rechtzeitig einzuschalten und notwendige Gesetzesänderungen voranzutreiben, bleibt eine große Herausforderung – auch für uns Forscher*innen.*

Und welche Zelllinien – hESC oder hiPSCs – nun zukunftsweisend sein werden hierzulande, ist weniger eine wissenschaftliche Frage als eine politisch-ökonomische.

Vielen Dank in die Runde für das spannende Gespräch.

BIH Center for Regenerative Therapies BCRT

Das BCRT wurde als interdisziplinäres translationales Zentrum gegründet, um die Entwicklung von zell-, gen- und biomaterialbasierten Therapien zur Ermöglichung und Förderung der körpereigenen Regeneration zu realisieren. Dabei arbeiten Kliniker*innen und Forscher*innen eng zusammen, um die personalisierte Medizin der Zukunft zu entwickeln: eine gezielte, fortschrittliche Therapie, die auf einer fundierten und eingehenden Charakterisierung des medizinischen Bedarfs und der individuellen Heilungsfähigkeit der Patient*innen beruht. Der Schwerpunkt des BCRT liegt auf Erkrankungen in vier klinischen Anwendungsgebiete-

ten und Organsystemen: Infektion und Immuntherapie, Muskel-Skelett-System, Hepatologie und Herz-Kreislauf-System sowie Stoffwechsel. Die klinischen Schwerpunkte sind durch gemeinsame Querschnittsthemen (Entzündung; (Epi-)genetische & Zelldifferenzierung; Stammzellen, Zelltechnik & zellbasierte Organoiden sowie Matrix & Biophysik) miteinander verbunden. Zur Förderung unserer translationalen Bemühungen entwickeln wir Therapien in enger Zusammenarbeit mit großen kommerziellen Unternehmen sowie eigenen Start-ups und stehen im offenen Dialog mit Gesundheitsdienstleistern und Zulassungsbehörden.

BIH Regeneration
BIH Center for Regenerative Therapies (BCRT)



Foto: Peer Schröder

BIH Center for Regenerative Therapies BCRT
Charité – Universitätsmedizin Berlin
Augustenburger Platz 1 · 13353 Berlin
www.bihealth.org/de/regeneration



Bring balance to your culture. BioBLU® Single-Use Bioreactors

BioBLU® Single-Use Bioreactors with their industrial standard rigid-wall design ensure the reliable performance of conventional glass or stainless steel bioreactors while making scale-up and expansion easy. Choose from a wide variety of working volumes and benefit from bioprocess scalability factors of up to 400-fold. Ask for our BioBLU variants suitable for the use in manufacturing environments.

To learn more about our BioBLU Single-Use Bioreactor variants, visit:

<https://eppendorf.link/single-use-bioreactors>





GSCN News 2025/26

GSCN Stem Cell Club (GSCC) - ein wachsender hybrider Treffpunkt

Der GSCN Stem Cell Club (GSCC) hat sich etabliert: Das hybride Format aus zwei Vorträgen vor Ort an der TU Berlin und online Übertragung der Vorträge mit Diskussion sowie einem anschließenden Get-Together onsite kommt gut an. Jeden ersten Donnerstag (mit Ausnahmen) im Monat gibt es rege Diskussionen und guten Austausch mit viel internationaler Resonanz im online zugeschalteten Publikum. Stay tuned, und kommt vorbei oder schaltet euch dazu – jeden ersten Donnerstag im Monat ist GSCC! Die Ankündigungen, die Sprecher*innen und der Zoom Link sind immer auf der [GSCN Webseite](#) zu finden.



GSCN on Tour in Leipzig, Hannover, Köln/Bonn und Aachen

Das GSCN tourte 2025 geschäftig durchs Land: Geschäftsführer Daniel Besser und Kommunikatorin Stefanie Mahler haben 2025 vier lokale Stammzell-Symposien organisiert.

- 31.3.2025: Leipzig mit Michael Cross, Ulrike Köhl, Zoltan Ivics und vielen weiteren Vorträgen
- 2.4.2025: Hannover mit Ulrich Martin und weiteren herausragenden Präsentationen
- 24.11.2025: Köln/Bonn mit 12 thematisch breit gefächerten Vorträgen aus beiden Städten mit den Chairs Kurt Pfannkuche und Oliver Brüstle
- 26.11.2025: Aachen mit Chair Wolfgang Wagner und einer Reihe spannender wissenschaftlicher Studien

Das Prinzip der „GSCN on Tour“-Symposien ist immer ähnlich: Wir bringen die lokale Stammzell-Community für einen Tag zusammen, ein GSCN Industriepartner ist mit von der Partie, bei Get-Together und Speaker's Dinner gibt es viel Raum für Netzwerken und Diskussionen. Das Fazit aller vier Symposien: Es tut gut, sich als lokale Forscher*innen zu begegnen und sich auszutauschen – und viele sind erstaunt, wen sie abseits von großen Konferenzen in den heimischen Laboren entdecken. GSCN treibt das Netzwerken auf allen Ebenen voran.

GSCN: ATMP-Workshop in Potsdam in Nov. 2025

Das GSCN war am 20. November 2025 Mitveranstalter des Workshop „The Product is the Process – Is it?“ Manufacturing and Translation of ATMPs and Tissue- & Cell-based products“ in Potsdam. Zusammen mit dem Paul-Ehrlich-Institut (PEI) und anderen Veranstaltern organisierte das GSCN für rund 150 Teilnehmende einen informativen Tag mit einem Keynote-Vortrag von Heiko Lickert (München) zur Stammzelltherapie bei Diabetes und weiteren Vorträgen aus Forschung, Regulatorischen Behörden, Industrie und Translation über ATMPs. Der Workshop unter der Leitung von Ralf Sanzenbacher (PEI) ist ein fester Bestandteil des GSCN Kalenders – der nächste [ATMP Workshop](#) in Potsdam findet am 02. Dezember 2026 statt.

Computational GSCN Workshops in Berlin und München

In der Reihe der GSCN Workshops organisierte die Arbeitsgruppe „Computational Stem Cell Biology“ zwei herausragende Workshops „Computational single cell genomics for stem cell biologists“: Vom 7. bis 9. April 2025 boten Sara Jiménez und Tim Treis aus dem Labor von Fabian Theis (Helmholtz Munich) in Berlin anfangenden und fortgeschrittenen Teilnehmenden vertiefte Einblicke in Datenauswertung und Quality Control, Reduzierung der Dimensionalität, Annotation des Zelltyps, Trajektorienanalyse und multimodale Integration unter Nutzung der beiden Sprachen R und Python.

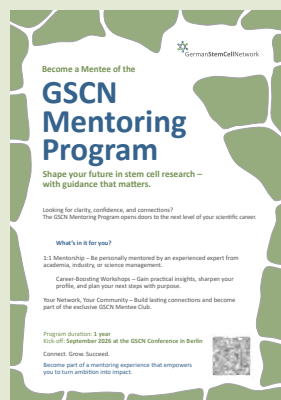
Diesen Workshop boten Sara Jiménez und Francisca Drummer auch im Vorfeld der 13. GSCN Conference in München an und wieder stieß das Angebot und die Durchführung auf große Begeisterung. Auch 2026 ist ein erweiterter Workshop in Berlin mit der Aufteilung in Anfänger*innen und Fortgeschrittene geplant. (siehe [GSCN Webseite: Conferences & Events -> Working group workshops](#)).

GSCN Mentoring Program – Bewirb dich!

Seit einigen Jahren bietet das GSCN Mentoring Program ein Tandem-Programm an, welches jährlich 5 Nachwuchswissenschaftler*innen von Mentor*innen ein Jahr lang begleitet. Die Mentor*innen stehen mit Ratschlägen und Einschätzungen für

gute Karriereentscheidungen bereit. Außerdem bietet das Programm Workshops und regelmäßige Mentee Club-Treffen mit anderen Alumni. Inzwischen gibt es 25 Alumni. Bewerbungsschluss für das diesjährige Mentoring Programm ist der 31. Mai 2026.

Mehr Infos auf der GSCN Webseite: [Scientific Resources -> GSCN Mentoring Program](#).





Erfolgreiches Non-PI-Meeting in München

Einen Tag vor der GSCN Conference 2025 in München trafen sich 24 Nachwuchswissenschaftler*innen zum Non-PI-Meeting 2025. Teilnehmer*innen aus ganz Deutschland nahmen an dem Treffen teil, um über ihre eigene Forschung zu diskutieren, darunter über Herausforderungen bei ihren Experimenten, ihr Arbeitsumfeld und ihre Berufswahl. Zwei geladene Gäste aus der Industrie teilten ihre Perspektiven zur Karriereentwicklung: Sandra Lubitz von Evotec und Katharina Debowski von Stem Cell Technologies sprachen über ihre Lebensläufe und Einschätzungen der Karriereplanung- und -entwicklung auf dem Feld der Stammzellforschung. Das Treffen endete mit einem gemütlichen Abendessen. Im Jahr 2026 findet das *Non-PI-Treffen am 8. September in Berlin* statt.

le, MEA-Ansätze, Neuronendifferenzierung und autonomes Nervensystem) sowie Gene Editing im Fokus, inklusive Strategien zur Detektion großer On-Target-Ereignisse, Prime Editing (PE)-Modulatoren/Screenings, VLP-Technologien (virus-like particle (VLP) technologies) und immune-evasiver Sicherheitskonzepte. In der QC- und Stabilitäts-Session wurden u. a. DNA-Methylierungs-basierte Charakterisierung, Services für genetische Integrität (z.B. mittels ddPCR) sowie der Einfluss von Passagier-Methoden auf die genomische Integrität und die Weiterentwicklung von Tools zum Monitoring dieser diskutiert.



GSCN Wissenschaftspreise 2025

Der **GSCN 2025 Young Investigator Award** ging an [Aydan Bulut-Karslıoğlu](#) vom Max-Planck-Institut für molekulare Genetik in Berlin.

Der **GSCN 2025 Hilde Mangold Award** ging an [Michaela Frye](#) vom Deutschen Krebsforschungszentrum (DKFZ) in Heidelberg.

Der **GSCN Publication of the Year Award 2025** ging an [Bryce Lim](#), [Aryan Kamal](#), ... , [Judith Zaugg](#) und [Moritz Mall](#). Sie erhalten den „GSCN 2025 Publication of the Year Award“ für ihre gemeinsame Veröffentlichung „Active repression of cell fate plasticity by PROX1 safeguards hepatocyte identity and prevents liver tumorigenesis“ in der Fachzeitschrift Nature Genetics 57, 668–679 (2025).



PluriCore Network Meeting 2025 – Austausch zu Reprogrammierung, Gene Editing und QC

Am 4. - 5. Dezember 2025 fand das 8. Annual PluriCore Network Meeting im Rahel Hirsch Center des Berlin Institut of Health (BIH) an der Charité in Berlin statt. Im Mittelpunkt stand der standort- und institutionsübergreifende Austausch zu praxisnahen Workflows rund um iPSC-Reprogrammierung, Dokumentation, Differenzierung/Organoide, Genome Editing sowie Charakterisierung und genomische Stabilität. Insgesamt nahmen 33 Kolleg*innen aus zahlreichen Einrichtungen teil – darunter BIH/Charité und MDC (Berlin), UMG Göttingen, MHH Hannover, Universitäten/Unikliniken in Bonn, Heidelberg und Aachen, Helmholtz Munich, HHU Düsseldorf/IUF Düsseldorf sowie internationale Partner aus Leiden, Lund und Wien.

Der erste Tag startete mit einer Session zur Reprogrammierung und digitalen Dokumentation. Am zweiten Tag standen neurale 2D- und 3D-Modelle (u. a. „aged organoid“-Model-



UniStem Days 2026 in Deutschland

So viele UniStem Days 2026: 13-mal gab es in Deutschland den Public Outreach-Tag für Schulen an Forschungsinstituten und Universitäten. Forschungsinstitute und Universitäten in diesen Städten nahmen teil: Aachen, Berlin, Bochum, Bonn, HS Bonn-Rhein-Siegen, Braunschweig, Düsseldorf, Essen, Hannover, Jena, Köln, München und Ulm. Mit Vorträgen, Spielen, Laborführungen und Experten-Interviews erwarben Jugendliche Einblicke in die aktuelle Stammzellforschung und in das Leben von Wissenschaftler*innen. Insgesamt waren 2026 wieder je rund 30.000 Jugendliche in 13 Ländern und zwei Kontinenten beteiligt.

Konferenzbericht 2025

Die 13. GSCN Konferenz

15.–17. Oktober 2025 | Helmholtz Munich, Conference Center Neuherberg



„Very good scientific program with high quality talks“



HEIKO LICKERT

Drei elektrisierende Tage voller Entdeckungen, Dialog und Inspiration – die 13. Konferenz des German Stem Cell Network (GSCN) fand vom 15. bis 17. Oktober 2025 in München statt und erwies sich als voller Erfolg und als eindrucksvolle Demonstration der Dynamik des Fachgebiets. Auf dem Forschungscampus von Helmholtz Munich kamen knapp 500 Wissenschaftler*innen aus Deutschland und der ganzen Welt zusammen, um Ideen, bahnbrechende Daten und transformative Technologien auszutauschen, die die Zukunft der Stammzellforschung prägen.

Die GSCN Konferenz bot den Rahmen für ein ambitioniertes wissenschaftliches Programm, das sich über mehrere Parallelsessions erstreckte und durchgehend von einer lebendigen, energiegeladenen Atmosphäre getragen wurde. Bereits am 14. Oktober eröffnete das Vorkonferenzprogramm mit einem spezialisierten Workshop zur Single Cell Genomic sowie einem Non-PI-Meeting – beides Formate, die insbesondere dem wissenschaftlichen Nachwuchs Raum für Vernetzung und vertieften fachlichen Austausch boten.

Zu den herausragenden Höhepunkten zählten sechs exzellente Keynote-Vorträge international renommierter Persönlichkeiten aus dem Feld: **Viviane Tabar** (New York, USA), **Timm Schroeder** (Basel, Schweiz), **Jacob Hanna** (Rehovot, Israel), **Wolfram-Hubertus Zimmermann** (Göttingen, Deutschland), **Hongkui Deng** (Peking, China) und **Maria-Elena Torres-Padilla** (München, Deutschland). Ihre Beiträge eröffneten visionäre Perspektiven von der Grundlagenbiologie über technologische Innovationen bis hin zu translationalen Ansätzen – und sorgten für intensive Diskussionen, die weit über die Vortragsräume hinausreichten.

Die wissenschaftliche Tiefe der Tagung spiegelte sich zudem in 54 Fachvorträgen, drei thematischen Symposien sowie der Verleihung von drei GSCN Awards wider, mit denen herausragende Leistungen innerhalb der Community gewürdigt wurden. Zwei lebhafteste Poster-Sessions mit insgesamt 144 Postern ermöglichten einen intensiven Austausch – insbesondere für Early-Career-Forschende. Eine umfangreiche Industrieausstellung mit 39 Ausstellern präsentierte darüber hinaus neueste Werkzeuge, Plattformen und Technologien, die das Feld maßgeblich vorantreiben. Neben der Grundlagenforschung rückten zunehmend Krankheitsmodelle und therapeutische Anwendungen in den Fokus und unterstrichen den rasanten Fortschritt der Stammzellforschung in Richtung klinischer Relevanz.

Den stimmungsvollen Abschluss bildete ein bayerischer Networking-Abend mit gutem Essen, Musik und angeregten Gesprächen – ein Spiegel des offenen und kollaborativen Geistes, der die Community prägt. Mit ihrer dynamischen Mischung aus Neugier, Exzellenz und Innovationskraft machte die GSCN Konferenz einmal mehr die Stärke und Vitalität der deutschen wie auch internationalen Stammzellgemeinschaft sichtbar – und hinterließ eine spürbar motivierte und inspirierte Teilnehmerschaft mit Blick auf kommende Herausforderungen und Chancen.

Begrüßt wurden die Konferenzteilnehmenden von GSCN-Präsident **Heiko Lickert** sowie **Martin Hrabě de Angelis**, Forschungsdirektor von Helmholtz Munich. Das wissenschaftliche Programm startete unmittelbar im Anschluss mit der ersten Keynote von **Viviane Tabar** und setzte damit den Ton für ein engagiertes und äußerst produktives Treffen.

2
GSCN-
Vorstandstreffen

2
GSCN
Mentoring
Program
Workshops

6
National
Highlight
Talks

54
Talks

18
Sessions

144
Poster

1
Non-PI-
Workshop

6
International
Keynote
Lectures

3
GSCN
Awards

39
Industrie-
Aussteller



Helmholtz
Munich,
Conference
Center
Neuherberg

Die 13. GSCN Konferenz Fakten & Zahlen

372 Regulär



104 Student*innen

die Zahlen beinhalten
alle Gruppen (VIPs,
Exhibitors, TAs etc).

Wie bewerten Sie ...

Die Industrieausstellung: 4,13
★★★★☆

Das Präsidenten-Symposium: 4,39
★★★★☆

Den Netzwerkabend: 4,48
★★★★☆

Das GSCN Get-together: 3,47
★★★★☆

Die Industrie-Sessions: 3,88
★★★★☆

Die Organisation der Konferenz: 4,42
★★★★☆

Das wissenschaftliche Programm: 4,25
★★★★☆

Skala 5 (sehr gut) bis 1 (unbefriedigend)

Im Presseclub München am 17. Oktober 2025

Öffentlichkeitsveranstaltung

Podiumsdiskussion mit Kurzfilmen und Wissenschaftler*innen über
**Aktuelle Forschung, neue Therapien und alte Medikamente:
Stammzellen – die Alleskönner unter den Zellen**

Heiko Lickert *Helmholtz München, Experte für Diabetes*

Ole Pless *Fraunhofer ITMP Hamburg, Experte für Wirkstofftestung und seltene Erkrankungen*

Anette-Gabriele Ziegler *Helmholtz Munich, Expertin für Diabetes*

Hartmut Geiger *Universität Ulm, Experte für Alterung und Stammzellen*

Moderation: Stefanie Seltmann

476

Konferenzteilnehmer*innen

Deutschland: 416

Europa: 43

International: 17

Die internationalen Keynotes auf der GSCN Konferenz 2025



Viviane Tabar, Neurochirurgin, Wissenschaftlerin und Leiterin der Abteilung für Neurochirurgie am Memorial Sloan Kettering Cancer Center, eröffnete die GSCN Konferenz mit der ersten internationalen Keynote. Im Zentrum ihres Vortrags stand eine klinische Phase-1-Studie zu dopaminergen Neuronentransplantaten abgeleitet von humanen embryonalen Stammzellen (hESC) zur Behandlung der Parkinson-Krankheit. In die Studie wurden zwölf Patientinnen und Patienten eingeschlossen: Fünf erhielten eine „niedrige“, sieben eine „hohe“ Zelldosis von 2,7 Millionen Zellen pro Hemisphäre. Tabar zeichnete den Weg der Forschung von den präklinischen Grundlagen bis zur klinischen Anwendung nach: von der Entwicklung eines robusten Differenzierungsprotokolls pluripotenter Stammzellen zu ventralen Mittelhirn-Neuronenvorläufern über den Nachweis der Wirksamkeit *in vivo* bis hin zur GMP-konformen Herstellung und Zellproduktion. Die Arbeiten entstanden im Labor von Viviane Tabar sowie im Labor von Lorenz Studer; Sponsor der Studie ist BlueRock Therapeutics, eine Tochtergesellschaft von Bayer. Die Forschungsgruppe veröffentlichte bereits 18-Monats-Daten (Tabar et al., 2025, *Nature* 641, 978–983). In München stellte Tabar diese Ergebnisse vor und gab zudem einen Ausblick auf bislang unveröffentlichte Drei-Jahres-Daten.

Kurz gefasst, erreichte die Studie ihre primären Endpunkte Sicherheit und Durchführbarkeit nach einem Jahr. Alle zwölf Teilnehmenden erhielten wie geplant bi-

laterale Transplantate, schlossen ein Jahr Immunsuppression ab und befinden sich weiterhin in der Nachbeobachtungsphase. Es traten weder Todesfälle noch Hirnblutungen oder transplantat-induzierte Dyskinesien auf. Auch nach drei Jahren zeigen die Sicherheitsdaten weiterhin ein sehr positives Bild. Zu den sekundären Endpunkten zählten zahlreiche etablierte klinische Messinstrumente, darunter Unified Parkinson's Disease Rating Scale (UPDRS) Teil III im Off-Zustand, Berichte zu den On- und Off-Zeiten nach Hauser, UPDRS Teil II sowie weitere Skalen. Insgesamt zeigte die Hochdosis-Gruppe deutlich stärkere Verbesserungen sowohl auf der UPDRS-Skala als auch in den Hauser-Berichte durch die Patienten. Ergänzend wurden longitudinale 18-Fluoro-DOPA-PET-Untersuchungen durchgeführt: Sie belegten eine erhöhte Aufnahme im Putamen der transplantierten Patientinnen und Patienten im Vergleich zum Ausgangswert sowie einen leichten Rückgang im nicht transplantierten Nucleus caudatus. Sowohl die klinischen Befunde als auch die PET-Daten erwiesen sich zwei Jahre nach Absetzen der Immunsuppression als stabil. Eine multizentrische, randomisierte, placebokontrollierte Phase-3-Studie, die auch Scheinoperationen einschließt, wurde bereits 2025 gestartet.

Die zweite Keynote am Mittwochnachmittag wurde von **Timm Schroeder** vom Department of Biosystems Science and Engineering der ETH Zürich in Basel, Schweiz, gehalten. Er erläuterte, dass es essenziell ist, Zellen nicht nur auf Einzelzellniveau zu analysieren, sondern sie auch kontinuierlich über längere Zeiträume zu beobachten. Nur durch eine solche Quantifizierung der Dynamik von Zellen und molekularen Maschinerien lässt



VIVIANE TABAR



unterschiedliche Dynamiken – etwa anhaltende, transiente oder oszillierende Aktivität – nicht nur zelltypspezifisch in hämatopoetischen Stamm- und Vorläuferzellen reguliert werden. Sie korrelieren auch mit unterschiedlichen Ziel-Transkriptionsprogrammen und steuern verschiedene Differenzierungsentscheidungen. Abschließend stellte er eine Pipeline vor, die eine dreidimensionale Bildgebung sehr großer (z. B. ganzer Mausfemora) fixierter Gewebevolumina in vielen Farben ermöglicht und damit eine verbesserte Quantifizierung der Lokalisation von Zelltypen und Molekülen in komplexen Geweben erlaubt. Dieser Ansatz wurde weiterentwickelt, sodass inzwischen sogar einzelne Proteinmoleküle nachweisbar sind – auch sekretierte Regulatoren wie Zytokine. Die Kombination all dieser Methoden führte schließlich zur Entdeckung neuer Funktionen von Megakaryozyten: Sie leiten systemische Entzündungssignale gezielt an benachbarte hämatopoetische Stammzellen im Knochenmark weiter.



JACOB HANNA

Jacob Hanna ist Professor für Stammzellbiologie und Synthetische Embryologie am Weizmann Institute of Science in Israel. In seiner Keynote zu ELSA-Themen auf der GSCN Konferenz am Mittwochabend erläuterte er, wie sich die Identität somatischer und pluripotenter Zellen durch epigenetische Reprogrammierung verändern lässt und mithilfe verschiedener Methoden sowie definierter Kombinationen exogener Faktoren in neue funktionelle Zellzustände überführt werden kann. Der Anspruch, derart in vitro reprogrammierte pluripotente und somatische Zellen therapeutisch zu nutzen, erfordert ein tiefes Verständnis der molekularen Mechanismen von Reprogrammierung und Differenzierung sowie eine präzise Klärung, in welchem Maß die in vitro erzeugten Zellen ihren In-vivo-Gegenständen entsprechen. Vor diesem Hintergrund präsentierte Hanna aktuelle Fortschritte seiner Arbeitsgruppe bei der Beantwortung dieser grundlegenden Fragen und gab Einblicke in laufende Arbeiten zur Erzeugung entwicklungsbiologisch uneingeschränkter naiver pluripotenter Stammzellen von Mensch und Maus mit embryonalem wie extraembryonalem Entwicklungspotenzial. Darüber hinaus stellte er neue Ansätze vor, maßgeschneiderte elektronisch gesteuerte Ex-utero-Plattformen zu nutzen sowie optimierte Kulturbedingungen für das verlängerte Wachstum natürlicher Säugetierembryonen außerhalb des Uterus zu etablieren. Diese Systeme ermöglichen es, Entwicklungsprozesse von der Prä-Gastrulation bis in fortgeschrittene Stadien der Organogenese nachzuverfolgen und Stammzellübergänge während Embryo- und Organentwicklung präziser zu untersuchen. Hanna zeigte weiter, dass diese Plattformen eine bislang einzigartige technische Grundlage bieten, um die Selbstorganisationsfähigkeit naiver muriner pluripotenter

sich vollständig verstehen, was Zellen in Gesundheit und Krankheit tatsächlich tun und wie ihr Verhalten durch molekulare Regulatoren gesteuert wird. Schroeder stellte einige der Open-Access-Tools vor, die seine Arbeitsgruppe zur Quantifizierung von Einzelzell-Dynamiken entwickelt. Eine kürzlich entwickelte, auf Deep Learning basierende Napari-Plugin-Software ermöglicht beispielsweise die markerfreie Segmentierung zellulärer Organellen. Anschließend beschrieb er Ansätze, mit denen sich die Quantifizierung der Dynamik lebender Einzelzellen mit hochdimensionalen Single-Cell-Omics-Analysen kombinieren lässt. Dieser Ansatz vereint die Stärken beider Methoden und ermöglicht eine deutlich verbesserte Identifizierung potenzieller Zellschicksalsregulatoren, die genau zum Zeitpunkt der Zellschicksalsentscheidung unterschiedlich reguliert sind. Er erläuterte zudem, wie diese Technologien genutzt wurden, um die mögliche Bedeutung der Dynamik von Signalaktivitäten für die Kontrolle von Zellschicksalen zu analysieren. Am Beispiel des NF- κ B-Signalwegs konnte sein Team zeigen, dass



TIMM SCHROEDER

Stammzellen sichtbar zu machen und synthetische, strukturell vollständige, stammzellbasierte Modelle des gesamten Embryos (Stem cell-based whole Embryo Modells, SEMs) mit embryonalen und extraembryonalen Kompartimenten ex utero zu erzeugen. Zugleich berichtete er über Fortschritte seines Labors, diese Ergebnisse auf naive humane pluripotente Stammzellen zu übertragen und strukturierte menschliche Entwicklungsmodelle bis Tag 14 und darüber hinaus zu generieren. In der Gesamtschau skizzierte Hanna damit das Potenzial neuartiger, technologisch wegweisender Plattformen für die Modellierung menschlicher Erkrankungen und der Embryonalentwicklung ab initio. Zudem beteiligte er sich am Donnerstagmorgen an einer lebhaften, von Tobias Cantz (MHH Hannover) moderierten Podiumsdiskussion zu ELSA-Themen.

Hongkui Deng, Direktor des Stem Cell Research Center der Peking University in Beijing, hielt am Freitagnachmittag eine Keynote. Er stellte die Arbeiten seines Labors zur Entwicklung eines kontrollierbaren Reprogrammierungsverfahrens vor, mit dem aus somatischen Zellen humane induzierte pluripotente Stammzellen (hPSC) erzeugt werden können. Als biologisches Vorbild dienten natürliche Regenerationsprozesse, etwa die Regeneration der Gliedmaßen beim Axolotl. Daraus entstand ein neuer Ansatz – die **chemische Reprogrammierung**: Die Umwandlung zu hPSC erfolgt hierbei ausschließlich durch niedermolekulare chemische Substanzen ohne transgene Überexpression von Transkriptionsfaktoren. Die so erzeugten Zellen werden als chemisch induzierte pluripotente Stammzellen (CiPSC) bezeichnet. Untersuchungen der zugrunde liegenden Mechanismen zeigten, dass die Induktion eines hochplastischen Zwischenzustands

mit regenerativen Gensignaturen entscheidend für die erfolgreiche Rückführung in die Pluripotenz ist. Dieser Zwischenzustand ähnelt funktionell menschlichen embryonalen Vorläuferzellen der Extremitätenanlagen und deutet auf einen Reprogrammierungsweg hin, der Geweberegeneration nachbildet und zugleich den üblichen Verlauf der Gewebeentwicklung umkehrt.



HONGKUI DENG



CiPSC konnten bereits in funktionelle Gewebe differenziert und klinisch für zellbasierte Therapien verschiedener Erkrankungen eingesetzt werden, unter anderem bei Typ-1-Diabetes. Deng berichtete über mehr als 20 Jahre Forschungsarbeit zur Erzeugung von aus hPSC abgeleiteten Inselzellen, die in einem robusten, gerichteten Differenzierungsprotokoll mündete, mit dem sich Bauchspeicheldrüsen-Inseln stabil und effizient aus CiPSC herstellen lassen. Systematische präklinische Studien in Nagetier- und nicht-humanen Primatenmodellen bestätigten sowohl Sicherheit als auch therapeutische Wirksamkeit dieser CiPSC-Inseln. Zugleich wurde eine neue Transplantationsstrategie etabliert – die Implantation unter die vordere Rektusscheide –, die die inhärenten Nachteile der konventionellen intrahepatischen Inseltransplantation umgeht.

Auf Grundlage dieser präklinischen Ergebnisse wurde die erste klinische Anwendung am Menschen berichtet: einer Patientin mit langjährigem Typ-1-Diabetes wurden autologe CiPSC-Inseln unter die vordere Rektusscheide transplantiert. Nach einem Jahr zeigte sich eine rasche Umkehr der Diabetes-Symptomatik sowie die Wiedererlangung der Insulinunabhängigkeit. Darüber hinaus skizzierte Deng weitere Ansätze zur Verbesserung zellbasierter Therapien, darunter die Steigerung der Effizienz der chemischen Reprogrammierung, die Gewinnung von CiPSC aus Blutzellen sowie die Entwicklung eines Differenzierungssystems für Inselzellen mit steuerbarer endokriner Zusammensetzung zur Optimierung der Blutzuckerkontrolle. Über CiPSC hinaus beleuchtete der Vortrag auch den Einsatz chemischer Reprogrammierung in anderen Kontexten, etwa bei Transdifferenzierung,

Helmholtz Munich

Das Stem Cell Center von Helmholtz Munich bündelt Spitzenforschung in den Bereichen Reprogrammierung, Zellidentität und Epigenetik. Ziel ist es, die Medizin der Zukunft zu gestalten – durch Zellreprogrammierung, gezielter Manipulation totipotenter Zustände und der Entwicklung funktioneller Zelltypen. Unter der Leitung von Maria-Elena Torres-Padilla und Magdalena Götz arbeiten Forschende disziplinübergreifend zusammen. Das Institut für Epigenetik und Stammzellen untersucht, wie epigenetische und transkriptionelle Zustände die Zellidentität prägen und genomische Stabilität aufrechterhalten. Das Institut für Stammzellforschung entwickelt

Strategien, um Gliazellen in Neuronen umzuwandeln. Eine Apoptose-Gruppe befasst sich mit der Widerstandsfähigkeit von Stammzellen, und interdisziplinäre Projekte mit Forschenden wie Heiko Lickert treiben Kulturstrategien für insulinproduzierende Zellen voran. Weitere Vorhaben erforschen regenerative Ansätze für menschliches Gewebe.

Helmholtz Munich Stem Cell Center
Feodor-Lynen-Straße 21, 81377 München
www.helmholtz-munich.de/
stammzellen

HELMHOLTZ MUNICH



der langfristigen Stabilisierung von Zellidentität und -funktion in vitro sowie der Erweiterung der Zellpotenz bis hin zu extra-embryonalem Entwicklungspotenzial. Insgesamt etabliert diese Forschung ein neues Paradigma: Chemische Wirkstoffkombinationen können als universeller Ansatz zur gezielten Modulation zellulärer Plastizität dienen und eröffnen damit ein breites Anwendungsspektrum.

Maria-Elena Torres-Padilla, Direktorin des Instituts für Epigenetik und Stammzellen am Helmholtz Munich, hielt am Freitagnachmittag die abschließende Keynote zum Thema epigenetische Reprogrammierung und zelluläre Plastizität. Durch die Untersuchung der frühesten Phasen der Embryonalentwicklung – im Zeitfenster von der Befruchtung bis zur Blastozystenbildung – konnte ihre Arbeitsgruppe mehrere Chromatin-Signalwege identifizieren, die sowohl die zelluläre Plastizität als auch den Entwicklungsfortschritt steuern. Inspiriert von der hohen Plastizität totipotenter Zellen im frühen Embryo stellte sie zudem

ein Zellkulturmodell vor, die sogenannten „2-Zell-ähnliche Zellen“, die zentrale Eigenschaften embryonaler Zellen in der Petrischale bemerkenswert genau nachbilden. So replizieren frühe Maus-Embryonen im Zweizellstadium – ähnlich wie diese 2-Zell-ähnliche Zellen – ihre DNA mit verringerter Geschwindigkeit. Entsprechend führen experimentelle Eingriffe, die die Geschwindigkeit der DNA-Replikationsgabel in embryonalen Stammzellen reduzieren, zu einer höheren Effizienz der Reprogrammierung in den 2-Zell-ähnlichen Zustand; zugleich kann dadurch auch die Reprogrammierung zur Totipotenz im Rahmen des somatischen Zellkerntransfers gesteigert werden. Darüber hinaus beleuchtete Torres-Padilla die zentrale Rolle transponierbarer Elemente bei der Steuerung entwicklungsbiologischer Programme. Ihre Gruppe hat die Untersuchungen jüngst auf mehrere Säugetierarten neben der Maus ausgeweitet und gezeigt, dass die Expression transponierbarer Elemente ein konserviertes und prägendes Merkmal der Präimplantationsentwicklung ist. Durch die Analyse grundlegender chromatinbezogener Prozesse – darunter DNA-Replikation, Transkription und nukleare Organisation – etabliert die vorgestellte Arbeit die Chromatin-Plastizität als eine tragende Säule zellulärer Plastizität. Die gezielte Manipulation identifizierter Chromatin-Regulatoren eröffnet dabei ein methodisches Instrumentarium, um zelluläre Plastizität und Zellschicksal umfassend zu steuern.



MARIA-ELENA TORRES-PADILLA

Fotos: GSCN



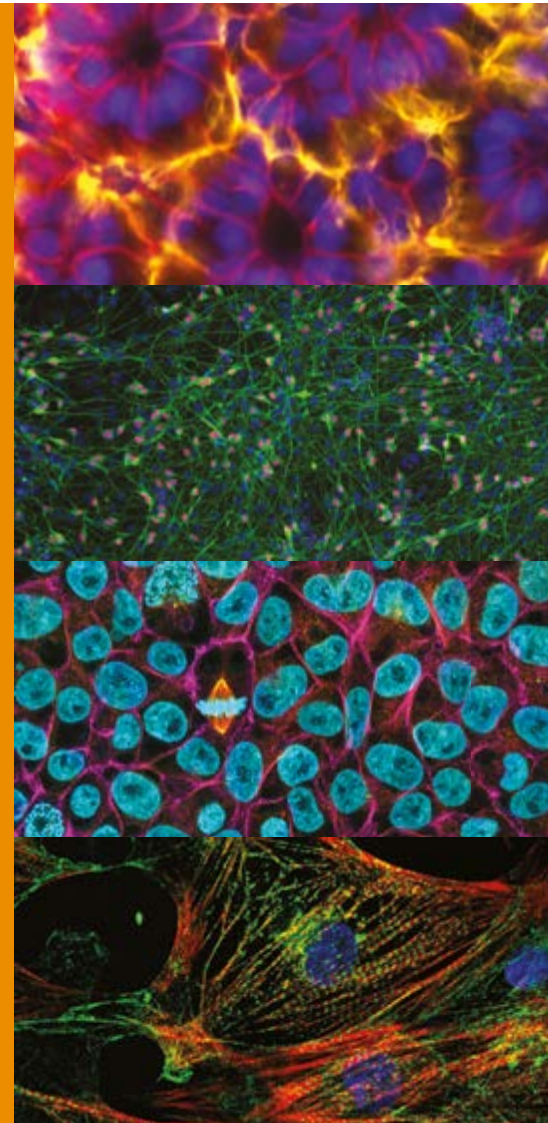
Get More from Your Research with Our hPSC Workflow

Source, expand, maintain, and differentiate high-quality cells using our cell lines, reagents, protocols, and STEMdiff™ differentiation kits. At the core of our workflow is the TeSR™ family of feeder-free media, produced using pre-screened materials for batch-to-batch consistency and experimental reproducibility.



Explore Now

www.stemcell.com/Pluripotent



Das Presidential Symposium: Vortrag auf Einladung des GSCN-Präsidenten und Präsentationen der GSCN-Preisträger 2025

Lim B., Kamal, A., ... Zaugg, J., Mall M.
 "Active repression of cell fate plasticity by PROX1 safeguards
 hepatocyte identity and prevents liver tumorigenesis"
 in *Nature Genetics* 57:668–679 (March 2025)



Das Presidential Symposium 2025 bot eine eindrucksvolle Keynote von Wolfram-Hubertus Zimmermann (Universität Göttingen) auf Einladung des GSCN-Präsidenten Heiko Lickert und der Seniorpräsidentin Claudia Waskow, sowie drei Vorträge der GSCN-Preisträger*innen 2025.

Wolfram-Hubertus Zimmermann sprach über die Translation der Herzreparatur durch Herstellung von Gewebe (Tissue Engineering) in die klinische Anwendung. Engineered Heart Muscle (EHM) mit Eigenschaften eines juvenilen Myokards kann aus pluripotenten stammzellabgeleiteten Kardiomyozyten und Stromazellen erzeugt werden. Zur Förderung der Selbstorganisation werden die Zellen in ein Kollagen-Hydrogel eingebettet und mechanisch konditioniert. Präklinische Untersuchungen in einem homologen Rhesusaffen-Modell bestätigten, dass die allogene Transplantation von aus induzierten pluripotenten Stammzellen abgeleitetem EHM unter einem optimierten Immunsuppressionsprotokoll durchführbar, sicher und wirksam ist. Die Erkenntnisse aus den späten präklinischen Studien an

Rhesusaffen flossen in das Design der ersten klinischen Studie am Menschen ein: der Phase-I/II-Studie „Safety and Efficacy of Induced Pluripotent Stem Cell-derived Engineered Human Myocardium as Biological Ventricular Assist Tissue in Terminal Heart Failure (BioVAT-HF)“ (NCT04396899). Der erste Nachweis einer Remuskularisierung wurde bei einer Patientin erbracht, die drei Monate nach EHM-Implantation erfolgreich herztransplantiert wurde – ein Beleg für die grundsätzliche Machbarkeit einer Remuskularisierung beim Menschen. Insgesamt wurden bislang 20 Patientinnen und Patienten im Rahmen von BioVAT-HF behandelt; 16 von ihnen erhielten die im Dosisfindungsteil der Studie als maximal sicher identifizierte Dosis. Damit ist der Zeitpunkt für eine Zwischenanalyse erreicht, deren Abschluss bis Ende 2025 vorgesehen war. Insgesamt demonstriert diese Arbeit erstmals die erfolgreiche Übertragung der Herzreparatur durch Herstellung von Gewebe vom Labor in die klinische Anwendung – mit dem Ziel, das insuffiziente menschliche Herz funktionell zu regenerieren.

Aydan Bulut-Karslioğlu, Gruppenleiterin am Max-Planck-Institut für Molekulare Genetik in Berlin, wurde mit dem **GSCN Young Investigator Award 2025** ausgezeichnet und stellte

in ihrem Vortrag aktuelle Forschungsergebnisse vor. Sie präsentierte neue Befunde, die eine bislang verborgene Fähigkeit menschlicher embryonaler Zellen zu einer entwicklungsbiologischen „Pause“

AYDAN BULUT-KARSLIOĞLU



Max-Planck-Institut für Molekulare Genetik (MPIMG)

Die Forschung am Max-Planck-Institut für molekulare Genetik (MPIMG) konzentriert sich auf die Analyse der Genome von Modellorganismen und Menschen. Im Kern unseres interdisziplinären und kollaborativen Ansatzes kombinieren wir mechanistische Studien der Genomfunktion, Bioinformatik und Perturbationen mit Entwicklungs-, Populations- und Krankheitsbiologie. Die Arbeiten am MPIMG umfassen Genomik, Entwicklungs-genetik, Stammzellforschung, transgene Mausmodelle, Humangenetik, Genregulation, Epigenetik und Bioinformatik. Insbesondere die Stammzellforschung und die Analyse der Zelldifferenzierung

während der Embryonalentwicklung spielen eine herausragende Rolle bei der Erforschung mechanistischer Zusammenhänge. Insgesamt kombinieren wir diese Ansätze, um wissenschaftliche und technologische Durchbrüche zu erzielen, die das Verständnis und die Nutzung der Genetik zum Vorteil der Gesellschaft verändern.

Max-Planck-Institut für
molekulare Genetik
Ihnestraße 63-73 · 14195 Berlin
 www.molgen.mpg.de



aufdecken. Diese Entwicklungsruhe (Diapause) ist eine Fortpflanzungsstrategie verschiedener Säugetiere, die das Überleben unter ungünstigen Umweltbedingungen ermöglicht. Die Arbeiten ihres Teams zeigen, dass die Hemmung des mTOR-Signalwegs sowohl in Maus-Embryonen als auch in menschlichen embryoähnlichen Strukturen einen reversiblen, gewebespezifischen Ruhezustand auslöst. Unter mTOR-Inhibition behalten menschliche Blastozysten ihre Morphologie bei, weisen jedoch eine verringerte Zellproliferation und Differenzierung auf und verlieren die Fähigkeit zur Anheftung an hormonell stimulierte Endometriumzellen – Phänotypen, die der embryonalen Diapause anderer Säugetiere ähneln. Nach Aufhebung der Hemmung setzen diese Strukturen ihre normale Entwicklung fort. Dies belegt, dass menschliche Zellen ihr Entwicklungstempo über konservierte molekulare Mechanismen regulieren können. Bulut-Karslıoğlu betonte die weiterreichende Bedeutung dieser Erkenntnisse für das Verständnis, wie frühe Embryonen Wachstum, zeitliche Entwicklung und metabolische Bereitschaft austarieren. Sie verknüpfte diese Ergebnisse mit parallelen Studien ihrer Arbeitsgruppe, die zeigen, dass der Lipidstoffwechsel und die Chromatinregulation die zelluläre Identität während der Ruhephase stabilisieren. Zusammengefasst schlagen diese Entdeckungen eine Brücke zwischen der Biologie der Diapause, dem zeitlichen Ablauf menschlicher Reproduktion und der Weiterentwicklung stammzellbasierter Technologien.



MICHAELA FRYE

Der **GSCN Hilde-Mangold-Award 2025** wurde an **Michaela Frye** verliehen. Sie ist Leiterin der Abteilung „Mechanisms Regulating Gene Expression“ und stellvertretende Wissenschaftliche Direktorin am Deutschen Krebsforschungszentrum (DKFZ) in Heidelberg. In ihrem Preisträger Vortrag stellte sie aktuelle Fortschritte bei der Nutzung von RNA-Modifikationen zur Verbesserung von Krebstherapien vor. Damit mRNA korrekt transkribiert, prozessiert, effizient ins Zytoplasma transportiert und anschließend zuverlässig von Ribosomen translatiert werden können, werden sie während und nach der Transkription mit rund einem Dutzend unterschiedlicher Nukleotid-Modifikationen versehen. Die präzise Etablierung dieser Modifikationen ist essenziell für die normale Embryonalentwicklung; fehlerhafte Modifikationsmuster können hingegen menschliche Erkrankungen wie neurologische und metabolische Störungen sowie Krebs verursachen. In den vergangenen zehn Jahren haben sich RNA-modifikationsbasierte Therapieansätze von experimentellen Konzepten hin zur klinischen Erprobung entwickelt. Besonders vielversprechend gelten dabei Inhibitoren von RNA-modifizierenden Enzymen. Ein Beispiel ist der Wirkstoff **STC-15**, der auf **METTL3** abzielt – die katalytische Untereinheit, die für die Bildung von N6-Me-



WOLFRAM-HUBERTUS ZIMMERMANN

Get more information



PeptiGrowth



Synthetic peptide growth factors

- Stable at 37°C for at least 1 week
- Consistent quality and activity
- Animal-component free
- High scalability

**Get free samples
for your first
evaluation!**

Website: <https://peptigrowth.com/en/>

Email: contact@peptigrowth.com

TEL: +81-70-7789-3905

thyladenosin (m6A) verantwortlich ist. Obwohl STC-15 bereits klinisch an Krebspatient*innen getestet wird, fehlen bislang belastbare Kriterien, um vorherzusagen, wann eine Modulation von m6A den Therapieerfolg verbessert oder beeinträchtigt. Ohne solche Maßstäbe bleiben RNA-modifikationsbasierte Therapien weitgehend empirisch. Fryes Vortrag konzentrierte sich auf krebsspezifische Funktionen von N6-Methyladenosin (m6A), einer der häufigsten Modifikationen in mRNA-Molekülen, beim Plattenepithelkarzinom des Kopf-Hals-Bereichs mit Ursprung in der Mundhöhle. Das orale Plattenepithelkarzinom ist eine weit verbreitete Tumorerkrankung mit hoher Sterblichkeit und ungünstiger Prognose. Frye präsentierte neue, tumorspezifische Funktionen des VIR-ähnlichen, mit der m6A-Methyltransferase assoziierten Protein (VIRMA), einem essenziellen Bestandteil des Multiproteinkomplexes, der die Bildung der m6A-Modifikation vermittelt. VIRMA ist für die effiziente Transkription von Genen der DNA-Replikation und -Reparatur erforderlich; sein Verlust verlängert die globale Halbwertszeit von Transkripten und führt zu Nukleotid-Ungleichgewichten, die Purin- und Energiestoffwechselwege grundlegend umprogrammieren. Zusammenfassend zeigte Frye, dass ein präzises Verständnis der molekularen Mechanismen, mit denen m6A Genexpressionsprogramme reguliert, entscheidend ist, um m6A-Modifikationen gezielt in der Krebstherapie einzusetzen und Komponenten des Methylierungskomplexes als Biomarker bei menschlichen Erkrankungen nutzbar zu machen.

Bryce Lim, ehemaliger Doktorand im Labor von Moritz Mall am Hector Institute for Translational Brain Research des DKFZ in Heidelberg, hielt im Presidential Symposium den Vortrag zur **GSCN Publication of the Year Award 2025**. Ausgezeichnet wurde eine gemeinschaftliche Arbeit von **Bryce Lim, Aryan Kamal, Judith Zaugg und Moritz Mall**, die eine zentrale Frage der Stammzellbiologie adressiert: wie Zellen ihre Identität über die gesamte Lebensspanne hinweg etablieren und aufrechterhalten – und wie Störungen dieses Prozesses zur Krebsentstehung beitragen können. Lim stellte das Konzept linien-spezifischer „Safeguard-Repressoren“ vor – Transkriptionsfaktoren, die die Zellidentität aktiv sichern, indem sie alternative Zellschicksalsprogramme unterdrücken und uner-

wünschte Plastizität begrenzen. Zur Identifikation solcher Faktoren führte das Team einen computergestützten Screen über 18 Zelltypen hinweg durch, um Transkriptionsfaktoren mit lebenslanger und zelltypspezifischer Expression zu finden. PROX1 erwies sich dabei als führender Kandidat für Hepatozyten und wurde anschließend funktionell eingehend untersucht. Mithilfe von Zellschicksal-Reprogrammierungssystemen zeigte Lim, dass PROX1 die Umwandlung von Fibroblasten in Hepatozyten beschleunigt und zugleich konkurrierende Linienprogramme abschaltet. Chromatin-Analysen belegten zudem, dass PROX1 die Zugänglichkeit an Zielpromotoren einschränkt, alternative Schicksalsregulatoren reprimiert und mit dem Nucleosome Remodeling und Deacetylase (NuRD)-Komplex interagiert, um die transkriptionelle Stilllegung zu verstärken. Diese mechanistischen Daten deuten darauf hin, dass PROX1 die Hepatozyten-Identität aktiv sichert, indem es ein Abweichen in andere Zelllinien verhindert. In-vivo-Experimente unterstrichen die physiologische Bedeutung dieses repressiven Mechanismus. Nach Leberschädigung war PROX1 für eine effiziente Hepatozyten-Regeneration erforderlich – im Einklang mit einer Funktion zur Begrenzung übermäßiger Plastizität während der Gewebereparatur. In Mausmodellen des Leberkrebses hemmte eine erhöhte PROX1-Expression Tumorentstehung und -progression, während eine Reduktion von PROX1 die Tumormasse steigerte und Linienzustände veränderte. Durch gezielte Manipulation von PROX1 ließen sich Tumoren zwischen Identitäten des hepatozellulären Karzinoms und des Cholangiokarzinoms verschieben, was eine bidirektionale Kontrolle der Tumoplastizität demonstriert. Entscheidend ist, dass diese Befunde durch Patientendaten gestützt wurden, die ebenfalls auf eine protektive Rolle von PROX1 bei der Aufrechterhaltung der Hepatozyten-Identität und der Unterdrückung unerwünschter Schicksalswechsel hinweisen. Insgesamt positionieren diese Ergebnisse PROX1 als hepatozytären Safeguard-Repressor mit therapeutischem Potenzial. Darüber hinaus liefert die Studie eine Blaupause zur Identifikation vergleichbarer Faktoren in anderen Geweben und eröffnet neue Strategien zur Kontrolle fehlgeleiteter Plastizität bei Erkrankungen – einschließlich Krebs.

BRYCE LIM



Zentrum für Regenerative Therapien Dresden (CRTD)

Forschungszentrum der TU Dresden

Am Zentrum für Regenerative Therapien Dresden (CRTD) der TU Dresden widmen sich Spitzenforscher:innen aus mehr als 30 Ländern neuen Therapieansätzen. Sie entschlüsseln die Prinzipien der Zell- und Geweberegeneration und ergründen deren Nutzung für Diagnose, Behandlung und Heilung von Krankheiten. Das CRTD verknüpft Labor und Klinik, vernetzt Wissenschaftler:innen mit Ärzt:innen, nutzt Fachwissen in Stammzellforschung, Entwicklungs- und Regenerationsbiologie, um letztlich die Heilung von Erkrankungen wie Alzheimer und Parkinson, hämatologischen

Krankheiten wie Leukämie, Stoffwechselerkrankungen wie Diabetes sowie Augen- und Knochenerkrankungen zu erreichen. Durch das neu eingeworbene Transfer-orientierte BMBF Zukunftscluster SaxoCell ergibt sich ein Fokus auf Zell- und Gentherapien.

Das CRTD wurde 2006 als Forschungszentrum der Deutschen Forschungsgemeinschaft (DFG) gegründet und bis 2018 als DFG-Forschungszentrum, als auch Exzellenzcluster gefördert. Seit 2019 wird das CRTD mit Mitteln der TU Dresden und des Freistaates Sachsen finanziert.



Zentrum für Regenerative Therapien Dresden (CRTD)

Fetscherstraße 105 · 01307 Dresden
www.tu-dresden.de/cmcb/crtid

Die wissenschaftlichen GSCN-Sessions: Spannende Ideen und Daten aus der Scientific Community

Fotos: GSCN

In der ersten Session „Stem cells in disease modeling & drug development“ am Mittwoch präsentierte **Annika Zink** (Universitätsklinikum Düsseldorf, HHU) eine iPSC-basierte Strategie zur Wirkstoff-Neupositionierung für das Leigh-Syndrom (LS). Ein Substanz-Screening in aus LS-Patienten gewonnenen neuronalen Vorläuferzellen identifizierte Sildenafil als Kandidaten, der das mitochondriale Membranpotenzial normalisierte. Sildenafil stellte zudem neuroentwicklungsrelevante Signalwege wieder her, verbesserte das Neuritenwachstum und korrigierte Kalziumantworten in LS-Gehirnorganoiden. In vivo verlängerte Sildenafil die Überlebenszeit in Maus- und Schweinemodellen des Leigh-Syndroms. Individuelle Off-Label-Behandlungen mit Sildenafil bei sechs LS-Patient*innen wurden gut vertragen und gingen mit deutlichen motorischen Verbesserungen einher. Die Ergebnisse positionieren Sildenafil als vielversprechenden therapeutischen Kandidaten für LS.

In der Session „Stem cells in regenerative therapies“ stellte **Diana Haberhausen** (Miltenyi Biotec, Bergisch Gladbach) einen prototypischen End-to-End-Prozess für eine autologe Zellthera-



pie bei Parkinson (PD) vor. Dabei wurden aus gesunden Spendern ebenso wie aus PD-Patient*innen bona-fide iPSC-abgeleitete dopaminerge Vorläuferzellen erzeugt. Ein In-vivo-Proof-of-Concept belegte die Funktionalität der daraus gewonnenen mDA-Zellen. Für die Ex-vivo-Phänotypisierung wurden bildgebende Verfahren entwickelt, die mithilfe von 3D-Lichtblattmikroskopie eine räumliche Projektion und Quantifizierung transplanterter



ACTIVE BIOSCIENCE
PROTEINS · CELLS · ANTIBODIES

Products for Life Science Research

*Culture Media
Growth Supplements*

Lipoproteins
Transferrins
Vitronectin

*Proteins for
Stemcell Maintenance
Culture and Differentiation*

FGFs TGFs VEGFs
Tested for Biological Activity
Animal-Free
Low Endotoxin

Custom
Production
Custom Vialling
Technical
Support

Special Prices for
Stem Cell Research



www.active-bioscience.de



Zellen ermöglichen sowie mittels zyklischer Immunfluoreszenz-Bildgebung in 2D die Charakterisierung der Transplantatzusammensetzung erlauben. Zentrale Elemente des Workflows zur iPSC-Generierung und mDA-Differenzierung wurden erfolgreich auf teilautomatisierte Plattformen übertragen und ebnet damit den Weg für eine zukünftige klinische Translation.

In der Session "Basic, translational & applied hematopoiesis", präsentierte **Marius Külp** (Goethe Universität Frankfurt, Arbeitsgruppe von Michael Rieger) eine neue Perspektive der hämatopoetischen Differenzierung. Durch Entwicklung eines low-input tRNA-Sequenzierverfahrens und dessen Anwendung auf humane Blutzellpopulationen einschließlich hämatopoeti-

scher Stammzellen, konnte er eine differentielle tRNA Expression entlang der hämatopoetischen Entwicklungshierarchie zeigen. Eine anschließende Integration des tRNA-Angebots mit dem korrespondierenden Bedarf identifizierte Codons, für die das relative tRNA-Angebot mit der Differenzierung sinkt. Diese Unbalance zwischen tRNA-Angebot und Nachfrage erzeugt einen Engpass für die mRNA Proteintranslation, der auf eine Codon-spezifische posttranskriptionelle Regulation der hämatopoetischen Differenzierung hindeutet. Die präsentierte Einzel-Codon-Perspektive legt dementsprechend nahe, dass die Menge bestimmter tRNAs zur Bildung und Instruktion der Zellidentitäten des hämatopoetischen Systems beitragen könnte.

Angeliki Spathopoulou (Institut für Molekularbiologie, Universität Innsbruck, Österreich) stellte in der Session „Pluripotency, differentiation & PSC-derived models“ einen multimodalen Einzelzellansatz zur Analyse transkriptioneller und epigenetischer Trajektorien während der Reprogrammierung zu induzierten pluripotenten Stammzellen (iPSCs) vor. Durch die Kombination von Single-Nucleus-RNA- und ATAC-Sequenzierung mit zellulärem Barcoding konnten Linienverläufe über kritische Zeitpunkte der Reprogrammierung hinweg rekonstruiert werden. Die Analyse zeigte, dass nur eine Minderheit der Zellen vollständige Pluripotenz erreichte, während die Mehrheit in alternative Identitäten abzweig-



StemMACS™ PSC-Brew XF

The new generation of cell culture medium for efficient maintenance and expansion of high-quality hPSCs

- Reliable every-other-day and weekend-free feeding schedules
- Enables cutting-edge techniques like gene editing or cell sorting
- Xeno- and serum-free medium

► [miltenyibiotec.com](https://www.miltenyibiotec.com)

Miltenyi Biotec B.V. & Co. KG | Friedrich-Ebert-Straße 68 | 51429 Bergisch Gladbach | Germany
Phone +49 2204 8306-0 | Fax +49 2204 85197 | macsde@miltenyi.com | www.miltenyibiotec.com

Miltenyi Biotec provides products and services worldwide.

Visit www.miltenyibiotec.com/local to find your nearest Miltenyi Biotec contact.

Unless otherwise specifically indicated, Miltenyi Biotec products and services are for research use only and not for therapeutic or diagnostic use. MACS, the Miltenyi Biotec logo, and StemMACS are registered trademarks or trademarks of Miltenyi Biotec B.V. & Co KG and/or its affiliates in various countries worldwide. Copyright © 2026 Miltenyi Biotec and/or its affiliates. All rights reserved.



Miltenyi Biotec

te und damit entscheidende Limitierungspunkte erfolgreicher Reprogrammierung sichtbar machte. Intermediäre Zellpopulationen wiesen einen schrittweisen Verlust somatischer Merkmale bei gleichzeitiger sukzessiver Gewinnung von Pluripotenzenmarkern auf. Bemerkenswert war die Identifizierung eines bislang nicht charakterisierten Chromatin-Remodelling-Faktors, der den mesenchymal-epithelialen Übergang begünstigen könnte. Der integrative Ansatz vertieft das molekulare Verständnis zellulärer Plastizität und eröffnet Strategien zur Verbesserung der iPSC-Generierung.

In der zweiten Session „Stem cells in disease modeling & drug development“ am Donnerstag präsentierte **Jasmin Aicher** (Institut für Rekonstruktive Neurobiologie, Universität Bonn) ein humanes iPSC-basiertes Modell zur Untersuchung zelltypspezifischer Effekte einer CNTNAP2-Defizienz, die mit Autismus und Epilepsie in Verbindung steht. In neuronalen Kulturen mit angereicherten glutamatergen und GABAergen Zellen traten CNTNAP2^{-/-}-Phänotypen vor allem in gemischten exzitatorisch/inhibitorischen Netzwerken auf: Knockout-Netzwerke zeigten weniger, jedoch längere und intensivere Aktivitätsbursts, während Netzwerk-Bursts insgesamt zahlreicher, aber kürzer und weniger intensiv wurden. Mechanistische Analysen deuten auf eine gestörte Funktion von AMPA-, NMDA- und GABA-A-Rezeptoren hin und unterstreichen die essenzielle Rolle von CNTNAP2 für die Lokalisierung beziehungsweise Stabilisierung synaptischer Rezeptoren.



In der Session „Computational stem cell biology“ präsentierte **Andy Shing-Fung Chan** (Würzburg Institute of Systems Immunology, Max-Planck-Forschungsgruppe an der Julius-Maximilians-Universität Würzburg) einen spatio-temporalen Atlas, der Einzelzell- und räumliche Transkriptomdaten reparierender adulter Mausherzen nach Myokardinfarkt integriert. Dieser Atlas machte dynamische Ligand-Rezeptor-Interaktionen sichtbar, die, während der Wundheilung mehrere Kommunikationsnischen definieren. Besonders hervorzuheben ist die Identifizierung einer seltenen Population de-differenzierender Kardiomyozyten, die bereits einen Tag nach der Verletzung im geschädigten, nicht jedoch im gesunden Herzen auftrat. Diese Zellen werden durch kombinierte endotheliale und immunologische Signale in ihren lokalen Nischen gesteuert. Eine zentrale Nischenzellpopulation stellen dabei inhärente lymphoide Zellen Typ 2 (ILC2) dar, die über BMP-7-Signalwege

die Plastizität von Kardiomyozyten fördern und zugleich hypertrophe Reaktionen unterdrücken. Funktionelle Analysen in Maus- und humanem Gewebe belegten eine konservierte Reaktivierung vorläuferzellähnlicher Programme über dieselben Ligand-Rezeptor-Interaktionen und verweisen damit auf einen bislang wenig beachteten, jedoch therapeutisch vielversprechenden Mechanismus zur Förderung der kardialen Regeneration im Erwachsenenalter.

Fotos: GSCN

Your Stem Cell Journey Made Easy



Your Partner in
Cell Research

www.ols-bio.com



Die strategischen GSCN-Sessions: Themen für das gesamte Forschungsfeld



Subpopulationen identifiziert werden, die differenziert auf die Aktivierung von NLRP3 reagieren und gezielt durch spezifische Substanzen moduliert werden können. Phänotypische Ausleseparameter erfassen dabei rasche und funktionell relevante Zellveränderungen früher und sensibler als bulk-transkriptomische oder proteomische Analysen.

Jakob Metzger präsentierte eine mikropatternierte Gehirnganoid-Plattform, die Einschränkungen hinsichtlich Reproduzierbarkeit und Skalierbarkeit konventioneller Or-

ganoidmodelle überwindet. Das System ermöglicht statistisch robuste Phänotypisierungen der frühen menschlichen Kortexentwicklung und deckte subtile krankheitsassoziierte Veränderungen in isogenen iPSC-Modellen des DYRK1A-Syndroms sowie IRF2BPL-assoziiierter Störungen auf. Damit etablieren sich reproduzierbare Gehirnganoidmodelle als verlässliche Technologie für Hochdurchsatz-Krankheitsmodelle und therapeutisches Screening.

Catarina Brito stellte ein bioreaktor-basiertes, humanes, angeboren-immunkompetentes 3D-Neuralmodell vor, das immunbezogene Sicherheitsaspekte in der Entwicklung fortge-



Die strategische Session "Technologies in Stem Cell Research", organisiert von **Ole Pless**, **Sebastian Knöbel** und **Sebastian Diecke**, stand unter dem Titel „Assay development and high-throughput screening with hiPSC-derived 2D/3D models“. Im Fokus standen neue technologische Strategien zur Nutzung hiPSC-abgeleiteter neuronaler Systeme für Krankheitsmodellierung und Wirkstoffsuche. Hervorgehoben wurden insbesondere fortgeschrittene phänotypische Profilierungsverfahren und Cell-Painting-basierte Ansätze als Schlüsseltechnologien für skalierbare und funktionell aussagekräftige Screeningplattformen.

Johannes Wilbertz stellte einen High-Content-Ansatz zur phänotypischen Profilierung vor, mit dem sich funktionelle Heterogenität in humanen iPSC-abgeleiteten Mikrogliazellen unter inflammatorisch-aktivierenden Bedingungen auflösen lässt. Durch die Kombination tiefenlern-basierter Bildanalyse mit Einzelzell-Merkmalsextraktion konnten unterschiedliche Mikroglia-

Fraunhofer-Institut für Translationale Medizin und Pharmakologie ITMP

Fraunhofer ist mit über 32.000 Mitarbeiter*innen die größte anwendungsorientierte Forschungseinrichtung Europas und betreibt in Deutschland 76 Institute und Forschungseinrichtungen. ScreeningPort ist eine Abteilung des Fraunhofer-Instituts für Translationale Medizin und Pharmakologie ITMP mit Sitz an den Standorten Frankfurt, Hamburg, Göttingen, München und Berlin. Das Fraunhofer ITMP betreibt Gesundheitsforschung im Sinne des Fraunhofer 4D-Konzepts (Drugs, Diagnostics, Devices, Data), welches zum Ziel hat die inter- und transdisziplinäre Gesundheitsforschung zu op-

timieren und so die Behandlung von Patienten qualitativ und wirtschaftlich zu verbessern. Ein Schwerpunkt des ITMP ScreeningPorts liegt auf der Assay-Entwicklung für biochemische und zellbasierte Formate, in der Entwicklung und Anwendung von Wirksamkeits- und Toxizitätsassays basierend auf humanen pluripotenten Stammzellen, im Bereich Assay-Miniturisierung, Hochdurchsatz- und High Content-Screening und in der Chemie- und Bioinformatik. Der Indikationsfokus liegt hierbei auf Immun-vermittelten Erkrankungen.

 **Fraunhofer**
ITMP



Fraunhofer ITMP ScreeningPort
Schnackenburgallee 114 · 22525 Hamburg
 www.itmp.fraunhofer.de

schrittener Therapien adressiert. Durch die Erzeugung hiPSC-abgeleiteter Neurosphäroide mit Neuronen, Astrozyten, Oligodendrozyten und integrierter Mikroglia bildet die Plattform zentrale neuroinflammatorische Reaktionen auf Gentherapie-Vektoren nach. Die Übertragung auf miniaturisierte Rührkessel-Bioreaktoren ermöglicht Parallelisierung und höheren Durchsatz und schafft damit einen skalierbaren, humanrelevanten präklinischen Testansatz für die Bewertung von ATMPs. **Peter Reinhardt** präsentierte schließlich eine schnelle, dSMAD-unabhängige Strategie der neuronalen Induktion, die eine robuste und regional programmierbare neuronale Differenzierung aus hiPSCs erlaubt. Die kombinierte Hemmung von BMP-, MEK- und WNT-Signalwegen erzeugt innerhalb von vier bis sechs Tagen ein homogenes rostrales Neuroektoderm und verbessert die kortikale Identität vor der NGN2-gesteuerten neuronalen Reifung. Dieses Paradigma unterstützt eine effiziente regionale Musterbildung und liefert krankheitsrelevante neuronale Subtypen für translationale In-vitro-Assays, einschließlich Alzheimer-assoziiierter Modelle.

Insgesamt verdeutlichte die Session einen strategischen Wandel hin zu integrierten Stammzelltechnologien, die Reproduzierbarkeit, Skalierbarkeit, funktionelle Ausleseparameter und humane Relevanz vereinen. Die vorgestellten Ansätze unterstreichen die wachsende Bedeutung fortgeschrittener hiPSC-basierter 2D- und 3D-Modellsysteme sowie phänotypischer Screening-Frameworks als Schlüsseltechnologien für Krankheitsmodellierung, Wirkstoffentwicklung und die Entwicklung innovativer Zell- und Gentherapien.

Die Session „Clinical trials and regulatory affairs“, geleitet von Zoltan Ivics und Andreas Kurtz, widmete sich Strategien, be-



stehende Ressourcen über ihren ursprünglichen Zweck hinaus für effiziente Zelltherapieanwendungen nutzbar zu machen. Beiträge von **Joel Glover** (Oslo, Norwegen), **Joannis Mytilineos** (Zentrales Knochenmarkspender-Register Deutschland/ZKRD, Ulm) und **Gerald Schumann** (Paul-Ehrlich-Institut, Langen) beleuchteten unterschiedliche Ansätze zur Eignung von Knochenmarkspenderregistern für die Generierung induzierter pluripotenter Stammzellen (iPSCs), die Nutzung haplotypselektierter Zellen zur Verbesserung der immunologischen Resilienz therapeutischer Transplantate sowie Maßnahmen zur Erhöhung

SARTORIUS

Simplifying Progress

Clarity from Complexity

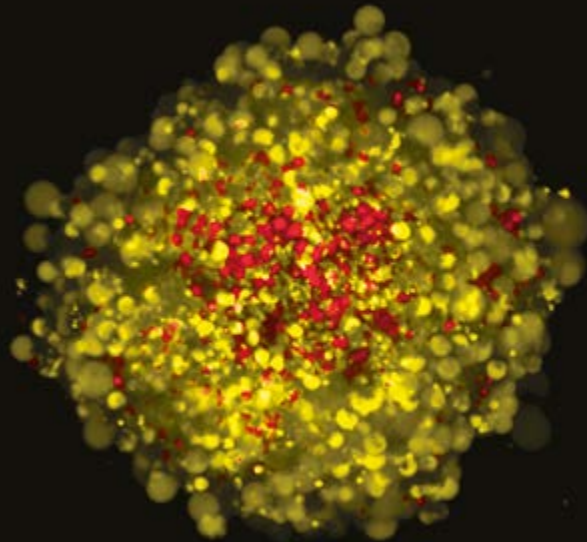
The Incucyte® CX3 Live-Cell Analysis System allows you to study complex 3D models over time in a physiologically relevant environment, offering unmatched throughput.

- Continuous, long-term imaging using spinning disk confocal, wide-field fluorescence, HD phase and brightfield imaging
- Monitor up to six 96-well plates in parallel
- Multiplex with up to three fluorescence channels



www.sartorius.com/incucyte-cx3

Specifications subject to change without notice. ©2025. All rights reserved. Incucyte® and all names of Sartorius products are registered trademarks and the property of Sartorius AG.





der Sicherheitsprofile dieser Zellprodukte. Haplotypselektierte hiPSC-Linien werden gezielt für häufige HLA-Haplotypen bestimmter Populationen hergestellt und ermöglichen damit einer großen Zahl von Patientinnen und Patienten den Zugang zu „off-the-shelf“-Produkten, die bereits HLA-kompatibel sind oder nur eine minimale Immunsuppression erfordern. Regulatorische und ethische Fragestellungen in diesem Kontext wurden intensiv diskutiert. Ein weiterer Schwerpunkt der Session lag auf der möglichen Rolle haplotypselektierter Zellen als universelle Ressource für Zelltherapieprodukte im Vergleich zu allogenen oder hypoinmunogenen Zelllinien.

Joel Glover schilderte den in Norwegen eingeschlagenen Weg, das nationale Knochenmarkspenderregister für die Generierung klinisch nutzbarer iPSC-Linien zugänglich zu machen. Dies erforderte eine enge Abstimmung mit ethischen und regulatorischen Institutionen und mündete in ein neues Modell der informierten Einwilligung. Die Arbeiten sind in ein europäisches

Netzwerk (Haplo-iPS) eingebettet, das auf die Gewinnung induzierter Stammzellen aus haplotypselektierten Nabelschnurblutproben abzielt. Dabei wurde ermittelt, wie viele haplotypselektierte Proben notwendig sind, um die norwegische beziehungsweise die europäische Bevölkerung abzudecken.

Joannis Mytilineos erläuterte die Situation in Deutschland hinsichtlich der Nutzung von Registermaterial und skizzierte die hierfür relevanten Verfahrenswege. Besonders hervorgehoben wurden Anzahl und Verteilung haplotypselektierter Proben, deren Bevölkerungsabdeckung sowie der erhebliche organisatorische und infrastrukturelle Aufwand, um diese Ressourcen deutschen und europäischen Patientinnen und Patienten zugänglich zu machen. Die klinischen Vorteile haplotypselektierter Zelltherapeutika wurden dabei deutlich betont. **Gerald Schumann** erweiterte die Diskussion um potenzielle Risiken dieser Ansätze und stellte Strategien zur Erhöhung der Sicherheit vor, darunter die Einführung sogenannter „Safety Switches“.

Forschungszentrum für translationale regenerative Medizin

Von Regenerativer Biologie zu Rekonstruktiver Therapie

Das Zentrum wurde im Rahmen der Exzellenzinitiative des Bundes und der Länder von 2006 bis 2019 als Exzellenzcluster REBIRTH gefördert und besteht nunmehr weiter als virtuelles „Forschungszentrum für translationale regenerative Medizin“.

Der Verbund befasst sich mit einigen der großen Fragen der Gesundheitsforschung sowie den damit einhergehenden Herausforderungen an die Medizin. Die Vision ist, basierend auf biologischen Prinzipien über die derzeit bereits bestehenden Ansätze hinaus neue therapeutische Konzepte zu entwickeln. Diese neuen

regenerativen Therapien sollen zur Heilung schwerwiegender Krankheitsbilder des Herzens, der Lunge, der Leber und des Blutes (eingeschlossen Erkrankungen des Immunsystems) beitragen.

Partner

- Medizinische Hochschule Hannover
- Leibniz Universität Hannover
- Stiftung Tierärztliche Hochschule Hannover
- Fraunhofer-Institut für Toxikologie und Experimentelle Medizin Hannover
- Helmholtz-Zentrum für Infektionsforschung Braunschweig



Forschungszentrum für translationale regenerative Medizin (vormals REBIRTH)
Medizinische Hochschule Hannover
 Carl-Neuberg-Straße 1 · 30625 Hannover
 www.mhh.de/forschungszentrum-regmed

Career Development: Schwierige Situationen meistern

Fotos: GSCN

Der Workshop zur Karriereentwicklung während der GSCN Konferenz in München drehte sich um Kommunikation in schwierigen Situationen. Die Teilnehmer*innen trafen sich mit Coach **Nele Haasen**, um zu lernen, wie man in schwierigen Situationen am Arbeitsplatz ruhig und klar bleibt. Haasen machte den Teilnehmer*innen bewusst, dass die Realität, die wir wahrnehmen, immer von unserer eigenen Perspektive und Weltanschauung geprägt ist und dass wir nie das Gesamtbild überblicken können. Vorurteile und Voreingenommenheit beeinflussen die Wahrnehmung einer Situation durch die Kommunikationspartner*innen und können zu Missverständnissen führen. In den meisten Fällen beruhen diese Missverständnisse nicht auf böser Absicht, aber wir müssen uns ihrer bewusst sein, um sie anzusprechen.

Haasen zeigte den Teilnehmer*innen Techniken und Methoden, um ihre Gegenüber besser zu verstehen und herauszufinden, was hinter dem Gesagten steckt. Aktives Zuhören und klare „Ich“-Botschaften können helfen, die Kommunikation zu gestalten und ein besseres Gespräch zu ermöglichen. Insbesondere wurde mit den Teilnehmer*innen der Umgang mit den eigenen Emotionen diskutiert, da diese oft auf vergangenen Erfahrungen beruhen und durch bestimmte Reize ausgelöst wer-



den. Im letzten Teil des Workshops gab Nele Haasen allen Tipps, wie sie sich auf schwierige Gesprächssituationen vorbereiten können. Sie nannte vier Punkte: Klarheit über die Ziele, die ich erreichen möchte, Bewusstsein darüber, mit wem ich spreche und wie ich diese Person anspreche, eine klare Strategie, wie ich meine wichtigsten Punkte ansprechen möchte, und Bewusstsein für den Kontext des Gesprächs, da nicht alles in jedem Kontext besprochen werden kann.

Adherent cell production. Simplified.



CellScrew®

A compact 3D-printed system that enables **scalable expansion of iPSCs and MSCs**, from research to clinical manufacturing, while reducing incubator footprint.

133x



T-75

= 1x



CellScrew® 10K

LEARN MORE



SCAN ME

96-well microPLates

A bioplastic analytical plate made to substitute a conventional polystyrene plate **without compromising experimental workflows**.



ELSA: Embryomodelle und Genom-Engineering



JACOB HANNA



Das diesjährige ELSA-Symposium mit dem Titel „Embryo models meet genome engineering: A dialog on ethics and innovation“ untersuchte die Schnittstelle zwischen fortschrittlicher biomedizinischer Forschung und ihren ethischen Implikationen. Jüngste Fortschritte in der dreidimensionalen Gewebekultur und bei Matrix-Interaktionen haben die Erzeugung hochgradig authentischer Modelle der menschlichen Physiologie ermöglicht. Diese Entwicklungen zeigen sich nicht nur in somatischen Organoiden, wie etwa Neuro-Organoiden, sondern führen auch zu hochentwickelten Embryomodelle, die inzwischen fortgeschrittene Entwicklungsstadien erreichen.

Jacob Hanna vom Weizmann Institute of Science (Rehovot, Israel) hielt am Mittwochabend den Hauptvortrag über synthetische Ex-utero-Embryogenese. Während des ELSA-Symposiums am Donnerstag ging er weiter auf die rasanten Entwicklungen in der Embryomodellierung ein, die immer höhere Entwicklungsstadien erreichen und möglicherweise zu Entitäten führen könnten, die beispielsweise frühe, aber funktionsfähige menschliche Gameten oder hämatopoetische Stammzellen aufweisen. Gemeinsam mit **Stefan Stricker**, einem Neurowissenschaftler und Forscher zu zerebralen Organoiden am Helmholtz-Zentrum München, wurden verschiedene Aspekte von Personsein und dem moralischen Status aus Stammzellen abgeleiteter Entitäten diskutiert. Obwohl keine endgültigen Schlussfolgerungen gezogen wurden, dienten die Diskussionen als Anstoß zur Reflexion darüber, wie Innovationen in der biomedizinischen Forschung mit moralischer Verantwortung zusammenwirken, und betonten die Bedeutung transparenter, interdisziplinärer Debatten für die Gestaltung zukünftiger Praktiken sowie einer breiteren gesellschaftlichen Einbindung.

Fraunhofer-Institut für Produktionstechnologie (IPT)

Innovative Lösungen für die Stammzellforschung und -produktion

Als produktionstechnisches Forschungsinstitut thematisieren wir neben Produktionsprozessen und messtechnischen Systemen auch die Prozessautomatisierung und das Qualitätsmanagement. Durch die interdisziplinäre Zusammenarbeit mit Partnern aus Forschung und Industrie eröffnen sich Anwendungsbereiche in der Herstellung strukturierter Zellaussaatflächen zur gezielten mechanotransduktiven Induktion der Differenzierung bis zur Entwicklung vollautomatisierter Plattformen für die adaptive Stammzellproduktion. Aufgrund unserer langjährigen Projekterfahrung in der

Konzeptionierung, dem Bau und der Vernetzung automatisierter Zellproduktionsplattformen freuen wir uns darauf, Ihnen unsere Kompetenz in unserem Laborautomatisierungsaudit nahezubringen. Wir unterstützen Sie gerne in Ihrem Automatisierungsvorhaben – sowohl in der Konzeptionierungsphase als auch bei technischen Fragestellungen in der Geräteauslegung oder Implementierung eines Gesamtsystems. Für innovative und speziell zugeschnittene Lösungen zu Ihren Ideen stehen wir als Ansprechpartner bereit!

 **Fraunhofer**
IPT



Fraunhofer-Institut für
Produktionstechnologie IPT
Steinbachstraße 17 · 52074 Aachen
www.ipt.fraunhofer.de/LSE

Posterpreise und Reisestipendien

Active Bioscience und PeptiGrowth stifteten für die GSCN Konferenz Posterpreise in Höhe von jeweils 500 €.

Die Preisträgerinnen und Preisträger 2025 sind:

Nina Henning

Leibniz-Institut für Alternsforschung (FLI), Jena
„Organ identity imprints non-linear aging of the hematopoietic system“
Session: „Stem cells in aging & disease (cancer stem cells)“

Angeliki Koufali

Institut für Pharmakologie und Toxikologie, Universitätsmedizin Göttingen
„Human otic Bioengineered Neuronal Organoids (oBENOs) mimic early inner ear development and physiology“
Session: „Tissue-derived stem cells & organoids“

Zeynep Aydin

DKFZ, Heidelberg
„Retrospective gene expression analysis in neural stem cells“
Session: „Stem cells in regenerative therapies“

Angelika Dannert

Klinikum der LMU München
„A human iPSC model of tauopathies engineered for 4R Tau isoform expression endogenously develops late-stage neuronal Tau pathology“
Session: „Stem cells in disease modeling & drug development“



Gewinnerinnen und Gewinner der GSCN-Reisestipendien

Die mit jeweils 400 € dotierten GSCN-Reisestipendien 2025 gingen an:

Annasara Artoli (Mannheim)
Mari Ozaki (Irland)
Meiying Xue (Berlin)
Sohana Islam Khan (Halle)
Susanna Quach (Berlin)

Fotos: GSCN

THE NEW CLONING PLATFORM XT

GET A FULL 96-WELL PLATE OF VERIFIED MONOCLONAL CULTURES WITH **RELIABLE, HIGH-QUALITY RESULTS – FAST!**

APPLICATIONS

-  GENE EDITING
-  CELL LINE DEVELOPMENT
-  REPORTER CELL LINES GENERATION
-  CELL TYPES: iPSCs, hESCs, CHO, AND MORE

TRUSTED
TECHNOLOGY
BY LEADING
R&D GROUPS
WORLDWIDE

 **IotaSciences**
www.iotasciences.com



KEY BENEFITS

- Delivers full plates of verified monoclonal cultures
- Enhanced automation from single-cell isolation to delivery of 96 clones in a 96-well plate
- AI-powered rapid single-cell verification
- Documented monoclonality assessment report



Contact us at: sales@iotasciences.com
Learn more at: <https://iotasciences.com/cloning-platform-xt-2>

Highlights der Social Events auf der GSCN Conference 2025

Gleich am ersten Konferenztage bot ein gemeinsames Get-together in der Cafeteria des Helmholtz-Campus einen offenen und einladenden Auftakt und schuf den Rahmen für einen kollektiven Abend ganz im positiven Geist der Stammzell-Community. Der zweite Abend im Gasthof Neuwirt in Garching stand ganz im Zeichen einer zugleich festlichen und ausgesprochen bayerischen Atmosphäre. Neben gehobener Küche sorgte insbesondere die ausgelassene Tanzstimmung nach dem Dinner für Begeisterung. Die energiegeladene Kulisse lockte Forschende ebenso wie Industrievertreter auf die Tanzfläche, wo bis spät in die Nacht mit sichtbarer Freude gefeiert wurde.



Öffentliche Podiumsdiskussion

Am letzten Konferenzabend wandten sich ausgewählte Stammzellforschende im Herzen Münchens direkt an die Stadtgesellschaft: Bei einer Podiumsdiskussion im Presseclub München am Marienplatz diskutierten **Heiko Lickert** (Helmholtz Munich), **Anette-Gabriele Ziegler** (Helmholtz Munich), **Hartmut Geiger** (Universität Ulm) und **Ole Pless** (Fraunhofer IMP, Hamburg) unter der Moderation von **Stefanie Seltmann** (Heidelberg) aktuelle Erkenntnisse aus ihren Forschungsgebieten. Themen wie Organoiden, Diabetes, seltene Erkrankungen, neu eingesetzte Medikamente, Stammzellalterung sowie politische Rahmenbedingungen für Forschung wurden zunächst in kurzen Videobeiträgen vorgestellt und anschließend auf dem Podium sowie später im Austausch mit dem äußerst interessierten Publikum und beim anschließenden Get-together vertieft.



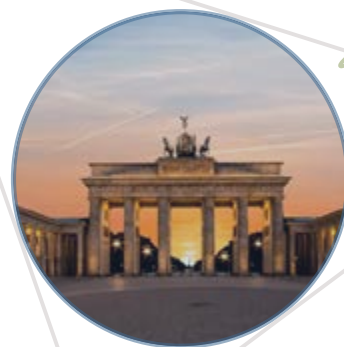
GermanStemCellNetwork

14th GSCN Conference

9 – 11 September 2026

TU Berlin
Institute of Mathematics

www.gscn.org



International keynote speakers

- *Sergiu Pasca* (Stanford, USA)
- *Janet Rossant* (Toronto, Canada)
- *Jason Spence* (Ann Arbor, USA)
- *Takanori Takebe* (Cincinnati, USA & Tokyo, Japan)
- *Paresh Vyas* (Oxford, UK)

Presidential Symposium

GSCN Awardees: Young Investigator, Hilde Mangold Award, Publication of the Year

Early registration deadline: 1 June 2026
Abstract submission deadline for oral presentations: 1 June 2026
(Oral presentations chosen from the best abstracts)
Abstract submission deadline for poster presentations: 27 July 2026

Scientific sessions

- Pluripotency, differentiation & PSC-derived models
- Tissue-derived stem cells & organoids
- Hematopoietic stem cells
- Stem cells in aging & diseases
- Stem cells in regenerative therapies
- Stem cells in disease modeling & drug development
- Computational stem cell biology

Program committee

Sina Bartfeld (Berlin) · *Daniel Besser* (Berlin) · *Aydan Bulut-Karslioglu* (Berlin) · *Sebastian Diecke* (Berlin) · *Mina Gouti* (Berlin) · *Simon Haas* (Berlin) · *Heiko Lickert* (Munich) · *Alexander Meissner* (Berlin) · *Maike Sander* (Berlin) · *Ludovic Vallier* (Berlin) · *Claudia Waskow* (Jena)

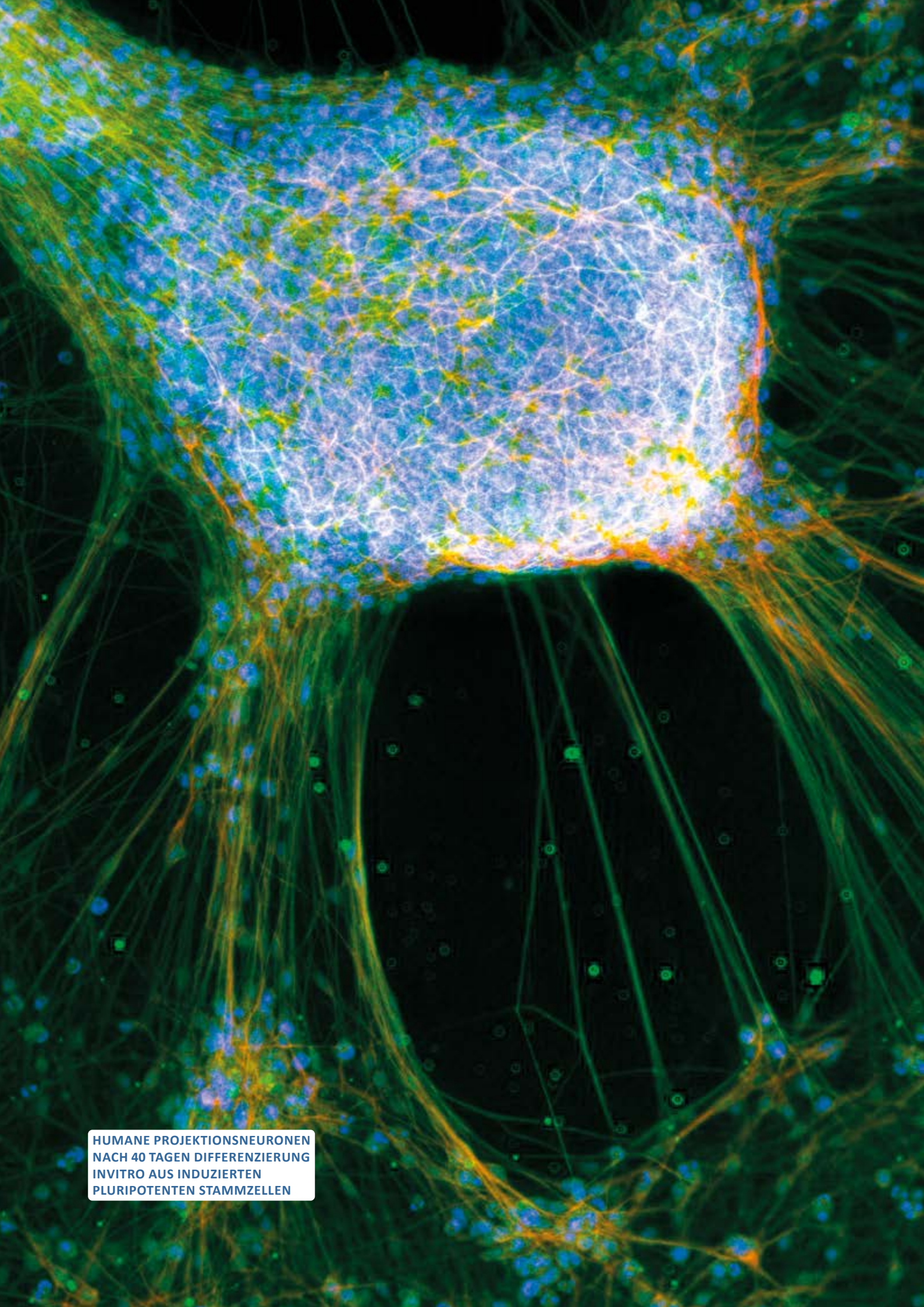
Program & Registration

web:gscn-conferences.org



Supported by





HUMANE PROJEKTIONSNEURONEN
NACH 40 TAGEN DIFFERENZIERUNG
INVITRO AUS INDUZIERTEN
PLURIPOTENTEN STAMMZELLEN

Hypoimmune Stammzellen

Transplantate mit Tarnkappe

Genetisch modifizierte Stammzellen, die vom Immunsystem nicht abgestoßen werden, gelten als zukunftsweisende Innovation der Zelltherapie. Die Technologie könnte eine Immunsuppression bei Transplantationen überflüssig machen – und damit für deutlich mehr Patient*innen geeignet sein. Erste klinische Tests laufen bereits.

Das menschliche Immunsystem ist ein Meister der Unterscheidung. An feinsten molekularen Strukturen erkennt es, was zum eigenen Körper gehört – und was nicht. So schützt es uns täglich vor Krankheitserregern.

Bei Transplantationen erwächst aus dieser Stärke jedoch ein Dilemma: Da fremde Organe oder Zellen rasch erkannt und abgestoßen werden, müssen Ärzte das Abwehrsystem mit immunsupprimierenden Wirkstoffen schwächen – mit teils erheblichen Nebenfolgen, wie einem erhöhten Risiko von Infektionen und Krebs.

Doch nun zeigen neueste Forschungen: Die immunologische Grenze zwischen „fremd“ und „selbst“ ist keineswegs so unverrückbar wie lange geglaubt. Denn Zellen mit genetisch modifizierten Oberflächenstrukturen, gewissermaßen molekulare Tarnkappen, können sich dem Zugriff durch Abwehrzellen und Antikörper offenbar entziehen – ganz ohne Immunsuppression. Für die Zelltherapie, so glauben Fachleute, wären derlei „hypoimmune“ Transplantate eine Revolution.

„Unser Ansatz überwindet wirklich die Transplantationsbarriere“, bekräftigt Sonja Schrepfer, Immunbiologin am Cedars-Sinai Medical Center in Los Angeles und Mitbegründerin der US-Firma Sana Biotechnology. Schrepfer gilt als eine der Pionierinnen der



SONJA SCHREPFER

neuen Technologie, die Forscher*innen weltweit fasziniert. Erst letztes Jahr zeigte sie mit einem internationalen Team bei einem 42-jährigen Typ-1-Diabetiker, dass ihre Strategie durchaus aufgehen könnte.¹ In Teilen liest sich der vielbeachtete Fallbericht wie das Drehbuch zu einem wissenschaftlichen Krimi:

Fünf Stunden und elf Minuten lang lag die Bauchspeicheldrüse eines verstorbenen Spenders an der Universitätsklinik im schwedischen Uppsala in kontrollierter Kühlung. Dann isolierte das Team die hormonaktiven Langerhans-Inseln aus dem Gewebe – winzige Zellcluster, die insulinbildende β -Zellen sowie weitere wichtige Zelltypen enthalten, etwa für das Gegenspielerhormon Glukagon. Die Zellaggregate wurden in ein Speziallabor im norwegischen Oslo gebracht, dort per CRISPR/Cas und viralem Gentransfer gezielt in ihren Oberflächenproteinen verändert und zurück nach Uppsala geflogen. Schließlich injizierten die Mediziner dem Patienten die modifizierten „Inseln“ mit 17 kleinen Spritzen in den linken Unterarm.

Das bemerkenswerte Ergebnis: Die fremden Zellen wuchsen im Muskelgewebe des seit Kindertagen an Diabetes erkrankten Mannes an – obwohl er keinerlei immunsupprimierende Medikamente nahm. Er ist der erste Diabetiker überhaupt, bei dem eine solche Übertragung fremder Inselzellen ohne Immunschutz gelang. Das Fachmagazin „Nature Medicine“ kürte den Pilotver-

Leibniz-Institut für Alternsforschung – Fritz-Lipmann-Institut (FLI)

Forschung für ein gutes Altern

Das Leibniz-Institut für Alternsforschung – Fritz-Lipmann-Institut (FLI) in Jena widmet sich seit 2004 der biomedizinischen Alternsforschung. Rund 350 Mitarbeiter aus ca. 40 Nationen forschen zu molekularen Mechanismen von Alternsprozessen und alternsbedingten Krankheiten. Ziel der Forschungsaktivitäten ist es, die Mechanismen des Alterns und ihre Auswirkungen auf die Entwicklung von Fehlfunktionen und Krankheiten im Alter aufzuklären. Wenn es gelingt, die Zeit des gesunden Alterns der Menschen zu verlängern, können Belastungen der Gesellschaft, die aufgrund des demografi-

schen Wandels entstehen, minimiert und das Wissen und die Erfahrung alter Menschen in die Gesellschaft integriert werden.

Das FLI ist eines von 97 eigenständigen Forschungseinrichtungen der Leibniz-Gemeinschaft und wird gemeinschaftlich von Bund und Land gefördert.

Leibniz-Institut für Alternsforschung – Fritz-Lipmann-Institut (FLI)

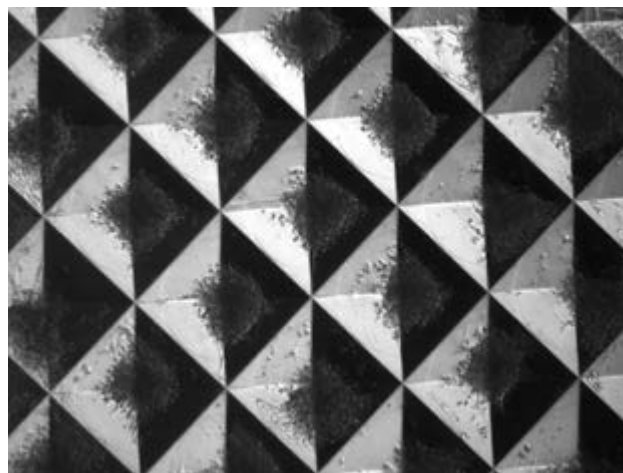
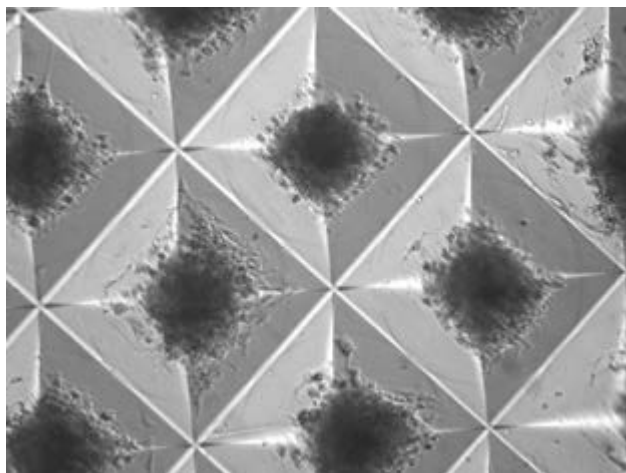
Beutenbergstraße 11 · 07745 Jena
 www.leibniz-fl.de



fli

Leibniz-Institut
für Alternsforschung –
Fritz-Lipmann-Institut e.V.





EMBRYOID BODIES – 3D-CLUSTER AUS PLURIPOTENTEN STAMMZELLEN IM LABOR VON SONJA SCHREPFER NACH 24H

such gar als eine von zwölf „bemerkenswerten Fortschritten“ im Jahr 2025.² Nach letztem Stand produzieren die verpflanzten Zellen weiterhin Insulin.³

„Uns war bereits vier Wochen nach der Zelltransplantation klar, dass es zu keiner Abstoßung kommt“, erzählt Schrepfer. Normalerweise attackiert das Immunsystem körperfremdes Gewebe innerhalb von zwei bis drei Wochen mit einer heftigen Abwehrreaktion. Bei den genetisch editierten Inselzellen jedoch blieb diese vollständig aus.

Pilotversuche mit Patienten

Natürlich weiß Schrepfer, dass die Fallstudie nur einen ersten Beleg dafür liefert, dass die Idee der hypoimmunen Zelltherapie funktioniert – ihr klinischer Nutzen jedoch noch bewiesen werden muss. So übertrugen die Forscher dem Patienten lediglich 80 Millionen neue Inselzellen, während ein Typ-1-Diabetiker, um wirklich unabhängig von gespritztem Insulin zu werden, mindestens zehnmal so viele bräuchte. Zudem stammte das Zelltransplantat von einem verstorbenen Spender, was einen breiten Einsatz der Methode von vornherein ausschließt.

Allerdings arbeitet Sana Biotechnology schon an einer weiterentwickelten Strategie. Mit denselben molekularen Methoden

werden dabei zunächst hypoimmune pluripotente Stammzellen erzeugt, aus denen sich beliebig viele immunverträgliche Inselzellen züchten lassen. Bereits 2024 zeigte Schrepfers Team bei diabetischen Mäusen, dass solche auf Stammzellbasis produzierten hypoimmunen Zelltransplantate den Zuckerstoffwechsel regulieren können.⁴ Nun plant Sana, den Ansatz erstmals in einer klinischen Phase-I-Studie bei Patienten zu erproben, möglicherweise noch in diesem Jahr, wie Sana-Chef Steve Harr gegenüber dem Fachmagazin „Nature“ bekräftigte.⁵ Auch die konkurrierende US-Firma Vertex Pharmaceuticals aus Boston verfolgt offenbar ein ähnliches Vorhaben, hat jedoch bisher keine Details veröffentlicht.

„Viele Teams arbeiten mittlerweile mit Nachdruck an hypoimmunen Stammzellen“, bestätigt Heiko Lickert, Direktor des Instituts für Diabetes- und Regenerationsforschung am Helmholtz-Munich und derzeit Präsident des German Stem Cell Network (GSCN). „Die Methode stellt geradezu einen Paradigmenwechsel in der Zelltherapie dar.“

Bisher galt die Behandlung mit sogenannten autologen Zellen konzeptuell als Königsweg, um eine Immun-Abstoßung zu vermeiden. Dabei werden patienteneigene Zellen im Labor in einen Stammzellzustand zurückprogrammiert, um anschließend reife und funktionsfähige Körperzellen in großer Zahl zu züchten. Überraschenderweise greift das Immunsystem jedoch bisweilen

SCIENCE IN TRANSLATION

Wir finden innovative Lösungen für komplexe Herausforderungen.

UNSERE FORSCHUNGSSCHWERPUNKTE:

-  Onkologie
-  Infektionskrankheiten
-  Autoimmunerkrankungen
-  Altern des Immunsystems
-  Kardiovaskuläre Erkrankungen
-  Erkrankungen des Nervensystems



UNSERE TECHNOLOGIEN:

-  Next Generation Sequencing
-  Live Cell Imaging
-  Bioinformatik, Softwareentwicklung
-  Immunomonitoring
-  Biosampling und Gewebescreening
-  Präklinische Modelle



TRON gGmbH
Freiligrathstraße 12
55131 Mainz



sogar solche autologen Transplantate an. Denn die molekularen Signaturen auf den Zelloberflächen können sich bei der Manipulation im Labor durchaus verändern.⁶ Hinzu kommt, dass körpereigene Zellpräparate individuell hergestellt werden müssen – was zu Kosten von mehreren Hunderttausend Euro pro Patienten führen kann.⁷

Daneben gibt es Ansätze, Stammzellprodukte mit speziellen Polymerverkapselungen gegen die Immunabwehr zu schützen oder Biobanken mit Stammzelllinien von besonderen Spendern aufzubauen, die immunologisch mit einem größeren Teil der Bevölkerung kompatibel sind.⁸ Allerdings bleiben die Erfolgsaussichten dieser Strategien noch ungewiss. Gerade die derzeit vielversprechendsten klinischen Studien zur Stammzelltherapie greifen daher auf körperfremde Zellen zurück und schirmen sie mit Medikamenten gegen die Attacken des Immunsystems ab (siehe Seite 47).

Die möglichen Vorteile hypoimmuner Stammzellen lägen demgegenüber auf der Hand, betont Lickert. „Bisher sprechen wir über Zelltherapien meist als letzten Ausweg, der nur für wenige schwerkranke Patientinnen und Patienten infrage kommt“, so der Stammzellforscher. Hypoimmune Zelltransplantate, die eine nebenwirkungsreiche Immunsuppression überflüssig machen, könnten dagegen bei deutlich mehr Patienten eingesetzt – und dementsprechend auch effizienter und kostengünstiger produziert werden. Dabei seien womöglich nur noch einige wenige immunverträgliche Stammzelllinien nötig, spekuliert Lickert. Er und viele seiner Kollegen träumen bereits von einer „One-cell-fits-all“-Strategie, die die Unterscheidung von „selbst“ und „fremd“ auf molekularer Ebene aufheben würde.

Zellen ohne eigenes Selbst

Dass dieses Szenario überhaupt realistisch erscheint, liegt vor allem an dem erstaunlich gewachsenen Verständnis der molekularen Immunmechanismen. Man kennt inzwischen Dutzende Oberflächenmoleküle und Rezeptoren, die das Wechselspiel von Immun- und Gewebezellen steuern. Besonders bedeutsam ist dabei der sogenannte Major Histocompatibility Complex, kurz MHC. Dieser Genkomplex codiert hochvariable Oberflächenproteine, die quasi wie molekulare Namensschilder darüber bestimmen, wie kompatibel die Gewebe verschiedener Menschen miteinander sind. Bei Organtransplantationen ist dies entscheidend: Stimmen die MHC-Gene zwischen Spender und Empfänger nur unvollständig überein, wird das Transplantat deutlich schneller abgestoßen. Statt vom MHC, den es bei allen Wirbeltieren gibt, sprechen Ärzte allerdings meist vom Humanen Leukozytenantigen – HLA. Denn die Moleküle wurden beim Menschen erstmals auf weißen Blutkörperchen entdeckt.⁹

Seither hat man ihre faszinierende Funktionsweise zunehmend entschlüsselt: HLA-Moleküle werden im Zellinneren zusammengesetzt, beladen sich mit winzigen Eiweißschnipseln aus dem Zellstoffwechsel – und präsentieren sie anschließend auf der Zelloberfläche. So zeigen sie dem Immunsystem den inneren Zustand und die Identität einer Zelle an.

Dabei tasten T-Zellen mit ihren Rezeptoren die molekularen „Displays“ fortwährend ab. Sie erkennen sowohl unbekannte HLA-Antigene selbst – etwa auf transplantiertem Gewebe – als auch abnorme, in die Oberflächenkomplexe eingebaute Proteinfragmente, beispielsweise Virusbestandteile im Zuge einer In-

Looking to replace Matrigel with a defined and animal origin-free substrate?

Recreate cellular niche in a dish with our full-length, human recombinant BioLaminin® substrates and experience stem cell culture with



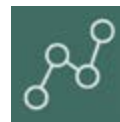
Improved cell performance



Reproducible and reliable results



Effective specialization



High quality and yield



Standardized and clinically compliant

Robust, homogenous, monolayer expansion of hPSCs on Biolaminin 521



fektion. In solchen Fällen geht die Immunabwehr in Alarmbereitschaft: Über sogenannte HLA-I-Moleküle werden zytotoxische T-Killerzellen aktiviert, die die auffälligen Zellen gezielt zerstören. HLA-II-Komplexe hingegen stimulieren die T-Helferzellen und lösen eine koordinierte Immunantwort aus.

Bemerkenswert dabei ist allerdings, dass es manchen Viren oder auch Krebszellen gelingt, die Produktion von HLA-Proteinen gezielt herunterzufahren und so der T-Zell-Erkennung zu entgehen. Ganz ähnliches läuft in der Schwangerschaft ab. So bilden die Zellen im kindlichen Anteil der Plazenta (dem Trophoblasten) kaum klassische HLA-Komplexe auf ihrer Oberfläche aus und tragen stattdessen hemmende Moleküle. Damit verhindern sie die Abstoßung durch das mütterliche Abwehrsystem.¹⁰

Wie ein molekulares Katz-und-Maus-Spiel muten die Mechanismen im Immunsystem an – und auch das Sana-Team von Sonja Schrepfer machte sie sich gezielt zunutze. In einem ersten Schritt legten die Forscher per CRISPR/Cas das komplette HLA-System der transplantierten Inselzellen lahm. Dadurch blieben sie im Körper des 42-jährigen Mannes gleichsam unter dem Radar der T-Zell-Abwehr, was auch als Immun-Evasion bezeichnet wird. Doch hätte dies allein noch nicht genügt. Denn Zellen ohne jegliche HLA-Antigene – Immunbiologen sprechen von einem „missing self“ – werden im Gegenzug von natürlichen Killerzellen und Makrophagen attackiert, einer zusätzlichen Verteidigungslinie aus dem angeborenen Immunsystem.

In einem zweiten Schritt schleusten die Forscher daher die DNA für ein spezielles Membranprotein mit einer viralen Genfähe in die Inselzellen ein. Das Molekül namens CD47 hemmt natürliche Killer- und Fresszellen gleichermaßen: Viele Tumorzellen etwa nutzen es als „Don't-eat-me-Signal“, um gefräßigen Gewebs-Makrophagen ein Schnippchen zu schlagen.¹¹ Auch die modifizierten Inseltransplante waren nun, neben der Tarnung vor den T-Zellen, ebenso gegen die natürlichen Abwehrzellen gefeit. „HIP“-Zellen hat Schrepfers Team die doppelt geschützten hypoimmunen Zelllinien getauft.

Getarnt gegen Abwehrzellen – und Antikörper

Nichtsdestotrotz: So ausgeklügelt die HIP-Technologie erscheint – der Weisheit letzter Schluss ist sie offenbar noch nicht. „Die technologische Entwicklung ist damit keineswegs zu Ende“, unter-

streicht Schrepfer. Zwar bieten die genetisch modifizierten Transplantate der zellulären Immunabwehr keine direkte Angriffsfläche mehr: Von den T-Zellen werden sie wegen fehlender HLA-Antigene gar nicht erst erkannt, und durch den CD47-Schutz ersticken sie den Gegenangriff der natürlichen Abwehrzellen im Keim.

Doch bei Abwehrreaktionen, die durch Antikörper ausgelöst werden, lägen die Dinge komplexer, sagt Schrepfer. „In der Transplantationsmedizin sind solche Abstoßungsreaktionen ein notorisches Problem“, so die Immunbiologin. Dabei docken Y-förmige Antikörper mit ihren „Armen“ an Oberflächenantigenen auf den fremden Zellen an. Mit dem freien „Schwanz“ triggern sie daraufhin Immunkaskaden im sogenannten Komplementsystem und versetzen außerdem die natürlichen Killerzellen in Alarmbereitschaft.

Das Entscheidende dabei: Die Antikörper könnten sowohl fremde HLA-Moleküle als auch diverse andere Antigene erkennen, die ganz unabhängig auf den Zelloberflächen vorkommen, schildert Schrepfer. Eben dadurch bleibt selbst bei den HIP-Zellen eine Achillesferse bestehen.

Noch ist nicht ganz klar, was dies für Transplantate bei Typ-1-Diabetes bedeutet. Man weiß, dass sich bei der Autoimmunerkrankung Abwehrzellen und Autoantikörper gegen die eigenen insulinbildenden β -Zellen in der Bauchspeicheldrüse richten. Nur deshalb bricht sie überhaupt aus. Zelltransplantate geraten somit gleich doppelt ins Visier des Abwehrsystems: Weil sie dem Körper fremd sind – und weil es sich um β -Zellen handelt.¹²

Zwar spielen für die diabetische Autoimmunreaktion insbesondere die T-Zellen eine entscheidende Rolle, die im Falle der hypoimmunen HIP-Transplantate nicht mehr angreifen können.¹³ Ausgeklügelte Tierversuche in Schrepfers Labor belegen, dass die modifizierten „Inseln“ in der Lage sind, der Autoimmunantwort bei Typ-1-Diabetes zu entweichen.¹⁴ Zugleich aber sei klar, dass zumindest manche der krankheitsspezifischen Autoantigene nicht an das HLA-System gebunden sind und daher prinzipiell von vorhandenen Autoantikörpern aufgespürt werden könnten, gibt Schrepfer zu bedenken.

Als das Team bei seiner Pilotstudie in Uppsala einen geeigneten Probanden suchte, hatte es beispielsweise einen bei Typ-1-Diabetes recht häufigen Autoantikörper (gegen das zelluläre Transportprotein „ZnT8“) als Ausschlusskriterium definiert. Denn dieser hätte das Zelltransplantat vermutlich gefährdet. Freilich unterminiert die Vorsichtsmaßnahme zugleich die Idee einer uni-

Klinische Forschungsgruppe 5024 – GB.Com

Kommunikation entlang der Darm-Hirn-Achse

Der interdisziplinäre Verbund KFO 5024 erforscht die immunologischen und molekularen Wechselwirkungen der Darm-Hirn-Achse und integriert dabei moderne stammzellbasierte Modelle.

Unter der Federführung des Universitätsklinikums Erlangen und gemeinsam mit der Friedrich-Alexander-Universität Erlangen-Nürnberg arbeiten Expert:innen aus Gastroenterologie, Neurologie, Immunologie, Neuroimmunologie und Bioinformatik zusammen, um Krankheitsmechanismen systemisch zu verstehen. Durch den Einsatz humaner Stammzellmodelle und innovativer Co-Kultursysteme will die KFO 5024 neue Wege zur funktion-

nellen Analyse und langfristig zu diagnostischen und therapeutischen Strategien für Erkrankungen des Nervensystems eröffnen.

Gefördert durch: Deutsche Forschungsgemeinschaft (DFG) – Projektnummer 505539112

Klinische Forschungsgruppe 5024 – GB.Com
Universitätsklinikum Erlangen
Stammzellbiologische Abteilung
Kussmaulallee 4 · 91054 Erlangen
www.kfo5024.med.fau.de



KFO 5024



versellen Zelllinie, die wirklich für sämtliche Patienten taugt.

Schrepfer – die Sana Biotechnology mittlerweile verlassen hat, um ihre Forschung unabhängig weiterzutreiben – denkt aus eben diesen Gründen schon an den nächsten Schritt: Mit ihrem Team hat sie inzwischen pluripotente Stammzellen mit einem weiteren Membranprotein bestückt, um neben der Tarnung gegen die Immunzellen zusätzlich den Antikörperangriff auszuhebeln. Das unter dem Kürzel CD64 bekannte Molekül fängt den freien „Schwanz“ der Antikörper ein und unterbindet damit die zytotoxische Kettenreaktion. Selbst gegen hochpotente Abwehrstoffe wie den Rhesus-Blutgruppenantikörper waren derart modifizierte Zellen gefeit. Der besondere Clou dabei ist, dass sich der CD64-Schutz gegen Antikörper mit der HIP-Strategie gegen Abwehrzellen in ein und derselben Stammzelllinie kombinieren lässt.¹⁵



IM LABOR: SONJA SCHREPFER MIT TOBIAS DEUSE, DER MASSGEBLICH AN DER ENTWICKLUNG VON HYPOIMMUNEN ZELLEN BETEILIGT WAR.

Selbstmordgene als Sicherheitsschalter

Längst verfolgen andere Teams weitere Ansätze – und liefern sich geradezu einen Wettstreit um die vielversprechendsten hypoimmunen Zelltechnologien.¹⁶ „Einen eindeutigen Gewinner wird es am Ende vielleicht nicht geben“, bemerkt der bekannte Stammzellbiologe Andras Nagy vom Lunenfeld-Tanenbaum Research Institute in Toronto. Doch dass sich Stammzelllinien auf die eine oder andere Art so verändern lassen könnten, dass sie von prak-

tisch keinem Menschen auf der Welt mehr abgestoßen würden, glaubt er durchaus.

Dabei setzen Nagy und Kollegen auf eine ganz andere Strategie als Schrepfer und Co. Statt die HLA-Antigene auf den Zelloberflächen zu eliminieren, ummantelt sein Team die transplantierten Zellen mit einer Art molekularem Tarnüberzug. Er besteht aus verschiedenen immunmodulierenden Proteinen. „Cloaking“ nennt Nagy die Methode. „Der molekulare Mantel

Upgrade Your Geltrex Matrices - Try Geltrex Flex Matrices More Formats. Additional Vial Sizes. Same Performance.

Developed in response to customer feedback, Geltrex Flex matrices are the official replacement for Geltrex matrices. **Geltrex Flex matrices** introduce new benefits designed to better support your research with the same trusted performance of Geltrex:

- Expanded format options with hESC qualified, reduced growth factor and new organoid qualified versions
- Improved global supply chain resilience
- Greater flexibility and affordability with multiple vial sizes (1 mL, 5 mL, 10 mL glass vial sizes) version

Try a sample today



verringert nicht nur die Erkennung fremder therapeutischer Zellen im Körper, sondern kann sie auch schützen, falls Immunzellen versuchen sie abzutöten“, erläutert der Zellbiologe.

Derzeit arbeiten die Forscher mit genetisch modifizierten Stammzelllinien, die ein Set von acht speziellen Eiweißen auf ihrer Oberfläche tragen. Dazu gehören Moleküle, die sich an zytotoxische T-Zellen binden und ihren Zelltod auslösen können, ebenso wie das „Don't-eat-me-Signal“ CD47 gegen Fresszellen. Auch verwendet das Team ein sogenanntes nicht-klassisches HLA-Antigen, bekannt als HLA-G, das aus dem molekularen Werkzeugkasten der Plazenta stammt: Dort trägt es dazu bei, dass das kindliche Gewebe vom Immunsystem der Mutter toleriert wird.¹⁷



ANDRAS NAGY

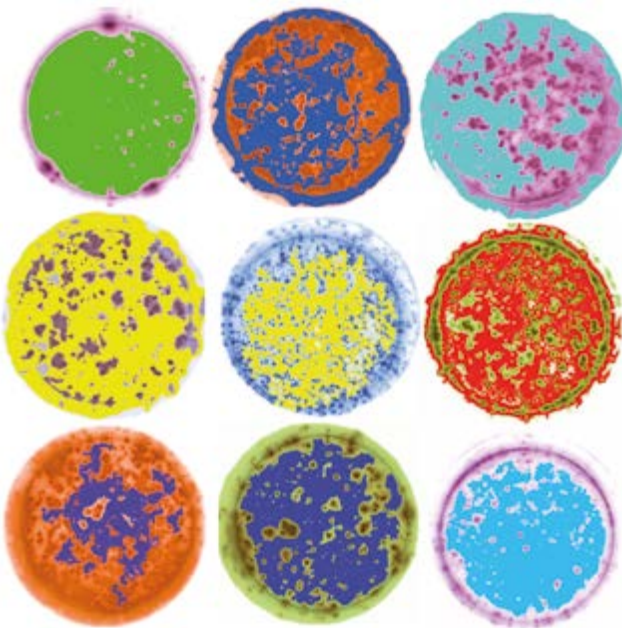
Erst kürzlich hat Nagy zusammen mit australischen Kollegen gezeigt, dass sich aus solchen Stammzelllinien Neurone züchten lassen, die den Botenstoff Dopamin bilden. Verpflanzten die Forscher die Nervenzellen in das Gehirn von Versuchstieren mit Parkinson-Symptomen, gingen deren motorische Defizite prompt wieder zurück. Der Effekt ist aus bisherigen Transplantationsstudien mit Dopaminneuronen zwar bereits gut bekannt. Allerdings riefen die molekular ummantelten Nervenzellen von Nagy und seinem Team

keinerlei Abwehrreaktion bei den Labortieren hervor. Transplantate ohne die molekulare Tarnung hingegen aktivierten diverse Immunzellpopulationen, auch stiegen bestimmte Entzündungs-
substanzen im Blut und Hirnwasser der Tiere an.¹⁸

Viel ist darüber diskutiert worden, welche Bedeutung die Immunabwehr bei neuronalen Zelltransplantaten besitzt – und ob ein dauerhafter Immunschutz hier überhaupt notwendig ist. In den derzeit laufenden Stammzellstudien zu Parkinson etwa erhalten die Patienten typischerweise nur im ersten Jahr nach der Transplantation immunsupprimierende Medikamente, danach werden die Mittel wieder abgesetzt (siehe Seite 47). Denn die Immunreaktion im Gehirn fällt deutlich schwächer aus als in den allermeisten anderen Organen – Fachleute sprechen von „immunprivilegiertem“ Gewebe.

„Allerdings heißt das nicht, dass das Zentralnervensystem frei von Immunreaktionen wäre“, kommentiert Heiko Lickert. Man weiß heute, dass das Gehirn eigene Immunzellen besitzt, die sogenannten Mikroglia. Zudem können T-Zellen die physiologische Blut-Hirn-Schranke im Zuge von Infektionen durchbrechen und ins Gewebe einwandern. „Hypoimmune Zelltransplantate, die keine Abwehrreaktion heraufbeschwören, wären daher nicht nur bei Diabetes oder etwa bei Zelltherapien am Herzen von Vorteil, sondern in allen Anwendungsbereichen, auch im Gehirn“, ist Lickert überzeugt.

Bei all diesen Vorzügen will Nagy gleichwohl die Kehrseite hypoimmuner Transplantate nicht verschweigen: Sie berauben den Organismus seiner Fähigkeit, sie zu kontrollieren. „Wenn wir Zellen vor dem Immunsystem verstecken, birgt das ernst zu nehmende Risiken“, konstatiert Nagy. Diese Zellen würden auch dann keine Abstoßung auslösen, wenn sie mit Viren infiziert

ANALYSE DER IMMUNANTWORT IM LABOR
VON SONJA SCHREPFER

Deutsches Krebsforschungszentrum (DKFZ)

Forschen für ein Leben ohne Krebs

Das Deutsche Krebsforschungszentrum (DKFZ) in Heidelberg, eine Einrichtung der Helmholtz-Gemeinschaft, ist die größte biomedizinische Forschungseinrichtung in Deutschland. Über 1.000 Wissenschaftler erforschen, wie Krebs entsteht, erfassen Risikofaktoren und entwickeln neue Methoden für die Prävention, Diagnose und Therapie von Krebserkrankungen. Mehrere Arbeitsgruppen befassen sich mit normalen Stammzellen, Krebsstammzellen oder der Stammzellnische. Ziel ist es, die Ausgangszellen von Tumoren und Metastasen zu identifizieren und gezielt zu eliminieren.

Gemeinsam mit der Dietmar Hopp Stiftung ist das DKFZ Gesellschafter des Heidelberger Stammzellinstituts HI-STEM gGmbH. HI-STEM erforscht normale und bösartige Stammzellen mit dem Ziel, aufbauend auf den Ergebnissen neuartiger Ansätze für die Diagnostik und Therapie von Tumoren zu entwickeln. Das DKFZ unterhält an zahlreichen Standorten in Deutschland translationale Partnerschaften mit der Universitätsmedizin, um die Ergebnisse aus der Krebs- und Stammzellforschung in die Klinik zu übertragen.

dkfz. DEUTSCHES
KREBSFORSCHUNGSZENTRUM
IN DER HELMHOLTZ-GEMEINSCHAFT



Deutsches Krebsforschungszentrum
Im Neuenheimer Feld 280 · 69120 Heidelberg
www.dkfz.de

HYPOIMMUNER ZELLCLUSTER VON SONJA SCHREPFER

wären oder wenn sie zu Tumorzellen mutierten und anfangen, unkontrolliert zu wachsen. Genau hierin sehen Experten eine potenzielle Gefahr.

In seine E-Mail-Signatur setzt Nagy gerne ein Zitat von Henry van Dyke, Literaturprofessor im frühen 20. Jahrhundert an der Princeton University: „Der Mensch ist das einzige Geschöpf, das es wagt, ein Feuer zu entfachen und damit zu leben. Denn nur er allein hat gelernt, es zu löschen.“ Die Botschaft dahinter ist klar: Hypoimmune Zelltherapien sind zwar eine revolutionäre Technologie – benötigen aber einen Sicherheitsanker, falls etwas schiefgeht.

Aus diesem Grund haben Nagy und sein Team bereits vor Jahren einen molekularen Mechanismus entwickelt, mit dem sich

marodierende Zellen im Körper gezielt wieder ausschalten ließen. Die Forscher sprechen von einem „kill switch“.

Das Prinzip: An einer bestimmten Stelle des Genoms, die für die Zellteilung wesentlich ist, wird zusätzlich ein sogenanntes Selbstmordgen eingebaut, etwa das Gen für ein spezielles Enzym aus dem Herpesvirus. Immer dann, wenn sich die Zellen unkontrolliert wie ein Tumor vermehren, würde das virale Enzym automatisch mitproduziert. Der Clou: Weil das Enzym das antivirale Medikament Ganciclovir in ein Zellgift verwandelt, ließen sich die wuchernenden Zellen einfach dadurch eliminieren, dass man das Virusmittel verabreicht.¹⁹

In ihrer Parkinsonstudie konnten Nagy und Kollegen nachweisen, dass der „kill switch“ selbst im Zentralnervensystem des lebenden Organismus funktioniert: Als die Forscher ihre Versuchstiere nach der Transplantation mit Ganciclovir behandelten, reduzierte dies umgehend die noch undifferenzierten und teilungsaktiven Transplantatzellen im Gehirn – und steigerte dadurch die Sicherheit der experimentellen Therapie.

Neue Zelltherapien gegen Autoimmunkrankheiten und Krebs

Unterdessen laufen bereits klinische Tests zu den hypoimmunen Technologien in einem ganz anderen Feld: der zellulären Immuntherapie. Einige Experten halten sie sogar für einen besonders naheliegenden Anwendungsbereich.

Das Behandlungsprinzip dabei ist gut etabliert: So lassen sich etwa bei Patienten mit Leukämien oder Lymphomen körpereigene

ioCells™

Programmed identity in every cell

Long, complicated stem cell differentiation protocols slowing down your scientific discoveries?

At bit.bio we help you break away from traditional differentiation methods, so you can do more with every vial.

Our human iPSC-derived ioCells are defined, functional, and with our simple protocols, ready within days. Leaving you time to focus on making discoveries and not complicated cell culture.

TO LEARN MORE, VISIT WWW.BIT.BIO



Consistent

Our platform ensures consistency between every lot of cells, overcoming the challenge of data reproducibility.



Easy-to-use

ioCells are delivered cryopreserved and require a simple protocol using an open-source medium to get started.



Defined

Every ioCell has its identity characterised by ICC, RT-qPCR and RNA-Seq at minimum.



Quick

Deterministically programmed cells mature rapidly, meaning cells are ready for experimentation and data gathering within days post-revival.

Immunzellen aus dem Blut entnehmen und im Labor mit einem gentechnisch konstruierten Rezeptor bestücken, bekannt als „chimärer Antigenrezeptor“ oder kurz CAR. Die kultivierten CAR-Zellen werden zurückübertragen und greifen dank des künstlichen Rezeptormoleküls gezielt die Krebszellen im Körper an.

Allerdings: Die individuelle Herstellung für jeden Patienten ist aufwendig und teuer. Hypoimmune CAR-Zellen hingegen ließen sich praktisch auf beliebige Empfänger übertragen und wären womöglich sogar verträglicher. Und weil sie aus Stammzellen in großem Stil vorproduziert werden können, so argumentieren Fachleute, stünden sie bei Bedarf quasi als Fertigprodukt deutlich günstiger zur Verfügung.

Beispielsweise stellt das US-Unternehmen Century Therapeutics aus einer mehrfach modifizierten Stammzelllinie natürliche Killerzellen her: Sie tragen einen bestimmten CAR auf ihrer Oberfläche und können damit die B-Zellen im Körper attackieren – zugleich weisen sie hypoimmune Eigenschaften auf. Die Zellen kombinieren zwei molekulare Strategien in ein und demselben Produkt.²⁰

Längst testet Century seine Zelltechnologie in einer Pilotstudie bei schweren Autoimmunerkrankungen wie dem sogenannten Lupus erythematoses.²¹ Man weiß, dass hierbei hyperaktive B-Zellen schädliche Autoantikörper bilden. Die therapeutischen Killerzellen sollen genau diese B-Zellen eliminieren.

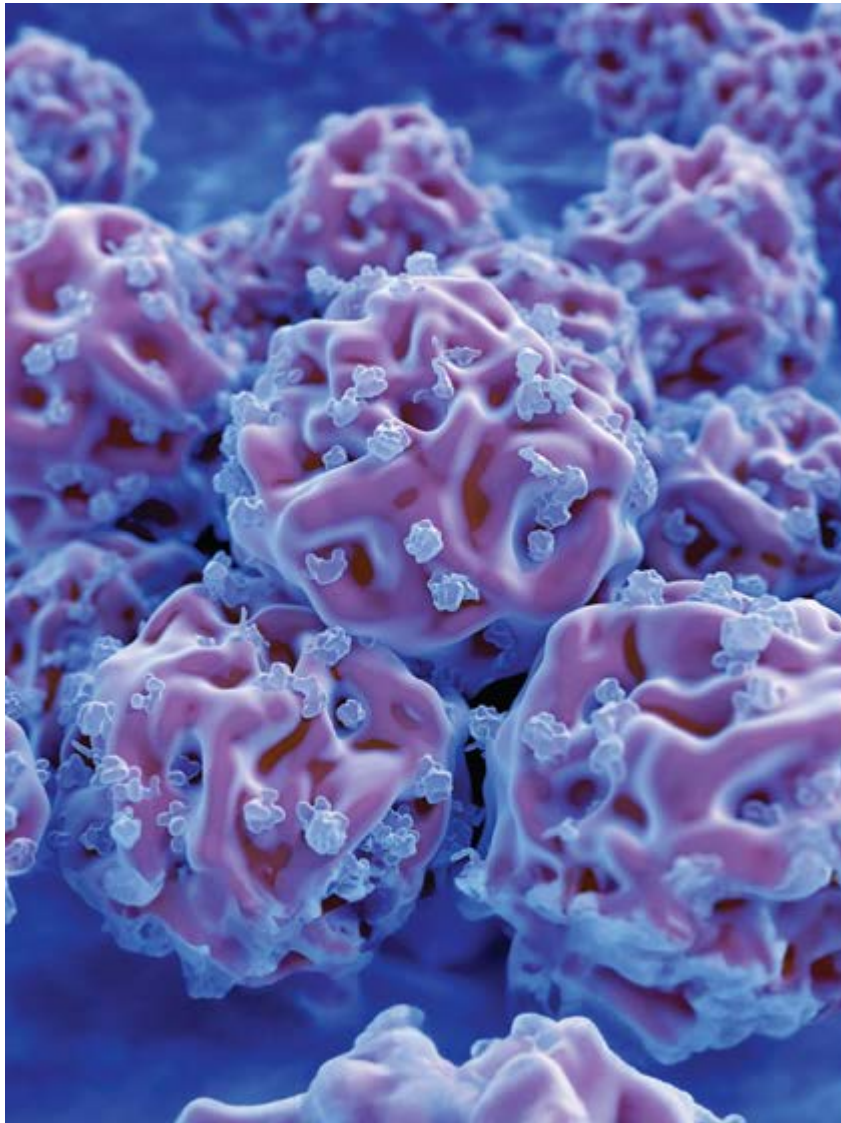
Auch die konkurrierende Firma Fate Therapeutics verfolgt den ausgeklügelten Ansatz. Das Team aus San Diego hat dabei neben hypoimmunen natürlichen Killerzellen mit CAR-Rezeptor²² ein sogar noch avancierteres Produkt im Portfolio: T-Zellen mit



ANDRAS NAGY MIT EINER MITARBEITERIN IM LABOR

gleich zwei verschiedenen CARs. Die aus einer immunverträglichen Stammzelllinie gezüchteten Zellen erkennen laut Fate mehrere krankhafte Zelltypen im Körper – und verfügen zudem über eine gesteigerte Fitness im Gewebe und eine höhere therapeutische Durchschlagskraft. Die Forscher hoffen nun, damit etwa gegen Lupus oder aggressive B-Zell-Tumoren eine neue Waffe in der Hand zu haben.²³

Gehört den hypoimmunen Zelltechnologien die Zukunft? „Es ist jedenfalls beeindruckend, wie dynamisch sie sich entwickeln“, kommentiert Sonja Schrepfer, die mit ihrem Team ebenfalls an hypoimmunen CAR-T-Zellen forscht. Klar sei freilich, dass für jeden medizinischen Anwendungsbereich – ob Diabetes, Parkinson oder Krebs – jeweils spezifische Zellprodukte entwickelt und in klinischen Studien konkret geprüft werden müssten.



enabling iPSC-based cell therapies

Catalent is your global CDMO partner with a full value chain offering for your iPSC program including the right tools, services and expertise to accelerate your path to clinic. Beyond offering our GMP-compliant iPSC cells, Catalent develops superior workflows for gene editing and differentiation to provide competitive platforms to its partners. Our team and global facilities can support clinical- through commercial-scale programs.

GMP iPSC CELL LINES WITH NON-GMP EQUIVALENTS FOR PRE-TESTING
POWERFUL DIFFERENTIATION PLATFORMS
EXTENSIVE IN-HOUSE iPSC EXPERTISE & SERVICES
GENE EDITING EXPERTISE & SERVICES

Comprehensive solutions. Advanced technologies. Better biologics.™

biologics.catalent.com/cell-therapy/ipsc/

BD contact anthony.caputy@catalent.com Partnering frederic.cedrone@catalent.com

DEVELOPMENT DELIVERY SUPPLY
© 2025 Catalent, Inc. All rights reserved.

Catalent
CELL & GENE THERAPY

Paradoxerweise könnte sich dabei die Fülle der molekularen Strategien, mit denen sich Zellen dem Zugriff des Immunsystems entziehen lassen, zunächst als Hürde für die praktische Umsetzung erweisen. Denn sie widerspricht der Idee, standardisierte immunverträgliche Stammzelllinien zu schaffen. Vermutlich

werde es in den kommenden Jahren eine Selektion der besten Methoden geben, glaubt Schrepfer. Zugleich aber seien die konkurrierenden Ansätze fraglos von Vorteil, fügt sie hinzu. „Sie zeigen das Potenzial dieser Forschung – und bringen das ganze Feld schneller voran.“

Autor: Martin Lindner

Literatur

- 1 Carlsson, P.-O. et al. (2025), <https://doi.org/10.1056/nejmoa2503822>
- 2 O'Leary, K. (2025), <https://doi.org/10.1038/s41591-025-04098-4>
- 3 <https://ir.sana.com/news-releases/news-release-details/sana-biotechnology-announces-positive-six-month-clinical-results>
- 4 Hu, X. et al. (2024), <https://doi.org/10.1038/s41587-023-01784-x>
- 5 Dolgin, E. (2025), <https://doi.org/10.1038/d41586-025-02802-5>
- 6 Deuse, T. et al. (2019), <https://doi.org/10.1038/s41587-019-0227-7>
- 7 Heine, R. et al. (2021), <https://doi.org/10.1097/hs9.0000000000000524>
- 8 Shalaby, K.E. and Abdelalim, E.M. (2025), <https://doi.org/10.1186/s11658-025-00786-8>
- 9 Thorsby, E. (2009), <https://doi.org/10.1111/j.1399-0039.2009.01291.x>
- 10 Moffett, A. and Loke, C. (2006), <https://doi.org/10.1038/nri1897>
- 11 Willingham, S.B. et al. (2012), <https://doi.org/10.1073/pnas.1121623109>
- 12 Burrack, A.L. et al. (2017), <https://doi.org/10.3389/fendo.2017.00343>
- 13 James, E.A. et al. (2023), <https://doi.org/10.1016/j.molmet.2023.101809>
- 14 Hu, X. et al. (2023), <https://doi.org/10.1126/scitranslmed.adg5794>
- 15 Gravina, A. et al. (2023), <https://doi.org/10.1038/s41587-022-01540-7>
- 16 Hotta, A. et al. (2024), <https://doi.org/10.1038/s44222-024-00219-9>
- 17 Ferreira, L.M.R. et al. (2017), <https://doi.org/10.1016/j.it.2017.01.009>
- 18 Pavan, C. et al. (2025), <https://doi.org/10.1016/j.stem.2025.03.008>
- 19 Liang, Q. et al. (2018), <https://doi.org/10.1038/s41586-018-0733-7>
- 20 Kelly, S. et al. (2025), <https://www.centurytx.com/wp-content/uploads/EULAR-2025-CNTY-101.pdf>
- 21 <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06255028>
- 22 Witty, A. et al. (2024), https://www.fatetherapeutics.com/wp-content/uploads/2024/05/FT522-AI-ASGCT-2024-poster_Final.pdf
- 23 Goulding, J. et al. (2025), https://www.fatetherapeutics.com/wp-content/uploads/2025/07/Goulding_2025-EULAR-FT839_vFinal.pdf; Chandra, S. et al. (2025), <https://www.fatetherapeutics.com/wp-content/uploads/2025/12/ASH-2025-Shilpi-Chandra-Abstract-4121.pdf>

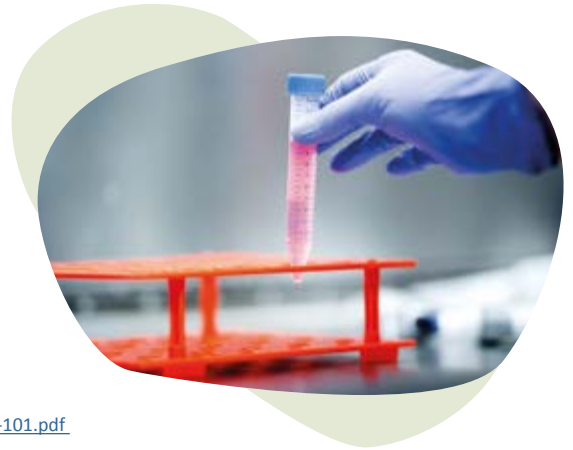


Foto: Zalán Illyés

biotechne® / **R&D SYSTEMS**

NEW

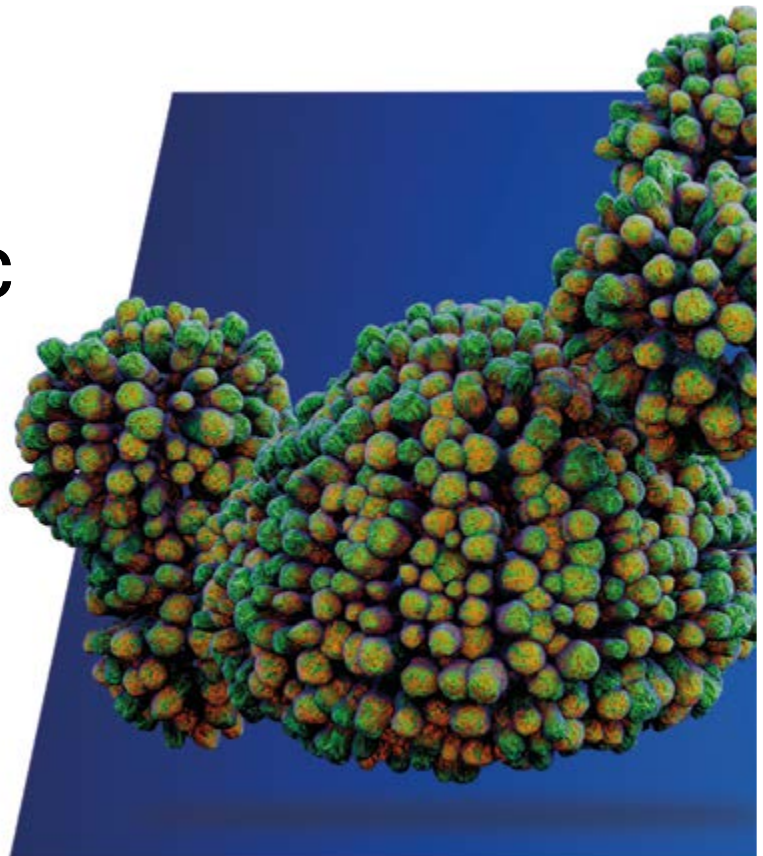
Cultrex™ Synthetic Hydrogel

- ➔ Verbesserte Konsistenz in der Kultivierung
- ➔ Performance ohne Kompromisse
- ➔ Verbesserte Bildgebung



Weitere Informationen

Scannen Sie den QR-Code oder besuchen Sie:
rndsystems.com/products/cell-culture/cultrex/synthetic



biotechne® / Global Developer, Manufacturer, and Supplier of High-Quality Reagents, Analytical Instruments, and Precision Diagnostics.

INCLUDES

R&D Systems™ Clinical Controls

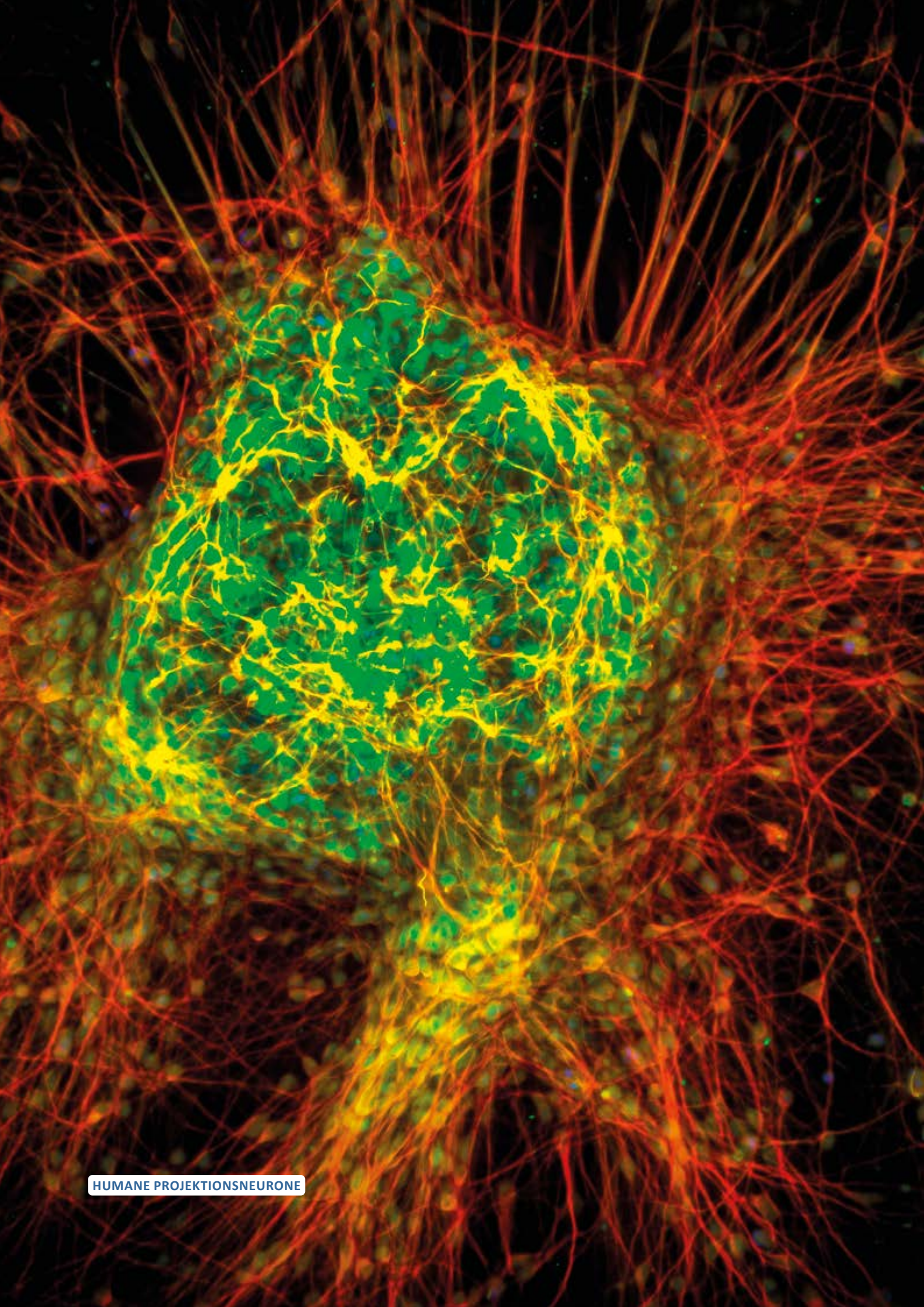
BiosPacific™

Cliniqa™

RNA Medical™

Eurocell™

Asuragen™



HUMANE PROJEKTIONSNEURONE

Stammzellstudien

Klinische Studien mit Stammzellen

Internationale Teams testen die Wirksamkeit der Stammzelltherapie erstmals in mehreren zulassungsrelevanten Studien. Besonders bei Typ-1-Diabetes, Epilepsie, Parkinson und Herzinsuffizienz sind regenerative Ansätze weit fortgeschritten – und könnten bald Einzug in die Klinik halten.

Kühn war die Idee schon immer – doch nun wird sie greifbar: die regenerative Therapie mithilfe von pluripotenten Stammzellen. Glaubt man jüngsten Befunden, lassen sich mit diesen Alleskönnern unter den menschlichen Zellen verschlissene Gewebe oder verloren gegangene Körperfunktionen tatsächlich ersetzen.

Gleich mehrere fortgeschrittene klinische Studien prüfen den Ansatz aktuell bei Diabetes, Herzschwäche, Parkinson und Epilepsie. Es scheint, als sei die Zellersatztherapie den Kinderschuhen entwachsen.

„Derzeit laufen zulassungsrelevante Phase-III-Studien zu drei verschiedenen Stammzellprodukten – das hatten wir noch nie“, sagt Agnete Kirkeby, Stammzellbiologin am Novo Nordisk Foundation Center for Stem Cell Medicine in Kopenhagen und ausgewiesene Kennerin des Forschungsbereichs. „Die Technologien sind in den letzten Jahren deutlich reifer geworden, wir haben dazugelernt.“ Viele Fachleute teilen Kirkebys Einschätzung: Das Feld befindet sich an einem Wendepunkt.

Ende der 1990er-Jahre konnten US-Forscher erstmals Stammzellen aus menschlichen Embryos im Labor isolieren und ihr praktisch unbegrenztes Entwicklungspotenzial testen – ein bahnbrechender Moment für die Medizin.¹ Knapp eine Dekade später präsentierte ein japanisches Team um den späteren Nobelpreisträger Shinya Yamanaka eine molekulargenetische Methode, mit der sich selbst differenzierte Körperzellen wieder in einen Stammzellzustand zurückprogrammieren lassen.²

Doch weder embryonale noch reprogrammierte („induzierte“) pluripotente Stammzellen veränderten zunächst die Therapie. Es bedurfte innovativer Kulturverfahren, um aus den undifferenzierten Alleskönnern spezifische Gewebezellen in großem Maßstab herzustellen. Auch waren ausgeklügelte Tiermodelle für krankheitsspezifische Analysen und Zelltransplantationsprotokolle für klinische Tests erforderlich.

Erst kürzlich haben Kirkeby und Kollegen sämtliche klinische Studien mit pluripotenten Stammzellen vom ersten Pilotversuch im Jahr 2010 bis Ende 2024 zusammengetragen.³ Demnach wurden bislang weltweit mehr als 1.200 Patienten in 115 Studien mit über 80 verschiedenen Stammzellprodukten experimentell behandelt. Manche Ansätze verliefen im Sande, andere blieben hinter den Erwartungen zurück – kein untypisches Bild für medizinische Innovationen.



AGNETE KIRKEBY

Mittlerweile jedoch scheint unübersehbar, dass diese Forschung Früchte trägt. Wird die Stammzelltherapie bald von einer medizinischen Vision zur klinischen Wirklichkeit werden?

Diabetes: Hormonaktive Inseln in der Leber

Beispiel Typ-1-Diabetes: Die Autoimmunerkrankung, die meist schon im Kindes- und Jugendalter beginnt, zerstört die insulinbildenden β -Zellen in der Bauchspeicheldrüse. Die Folge ist eine lebenslange Abhängigkeit von gespritztem Insulin.

Doch genau dies scheint sich mit einer stammzellbasierten Therapie rückgängig machen zu lassen. Erst letztes Jahr berichtete ein internationales Studienteam über seine Zwischenergebnisse bei langjährigen Typ-1-Diabetikern: Die Forscher hatten ihnen frische hormonell aktive „Inseln“ übertragen.⁴

Die mikroskopisch kleinen Zellcluster umfassen neben den insulinbildenden β -Zellen etwa auch α -Zellen für das Gegenspielerhormon Glukagon und kommen natürlicherweise in der Bauchspeicheldrüse vor. Für die laufende Studie des US-Unternehmens Vertex Pharmaceuticals wurden sie dagegen aus einer embryonalen Stammzelllinie gezüchtet.

Fazit bisher: Zehn von zwölf Patienten kamen ein Jahr nach der Zelltransplantation komplett ohne Insulininjektionen aus – bei nahezu normalen Blutzuckerwerten. Die gezüchteten „Inseln“ hatten die Kontrolle des Zuckerstoffwechsels vollständig übernommen.

„Die Resultate übertreffen sogar unsere eigenen Erwartungen“, sagt die Diabetesspezialistin Barbara Ludwig vom Uniklinikum Dresden, die mit ihrem Team an dem Forschungskonsortium beteiligt ist. Die Hoffnung ist nun, dass die einmalige Inseltransplantation auch langfristig einen nicht-diabetischen Stoffwechselzustand wiederherstellt – und die Betroffenen dadurch deutlich unabhängiger in ihrem Alltag macht.

Mit insgesamt rund 50 Patienten hat Vertex seine Studie mittlerweile in die entscheidende Testphase III überführt.⁵ Bei positiven Ergebnissen will das Unternehmen sein Zellpräparat recht zügig in den USA und Europa, aber



BARBARA LUDWIG



auch in zunehmend von Typ-1-Diabetes betroffenen Ländern wie Saudi-Arabien zur Zulassung anmelden.⁶

Die Grundidee ist dabei nicht einmal neu: Schon seit Langem setzen Ärzte die Inseltransplantation in sehr speziellen Fällen ein – nutzen dafür allerdings Inselzellen aus dem Gewebe verstorbener Spender.⁷ Die Zellcluster werden mit einem Katheter in das Gefäßsystem der Leber übertragen und siedeln sich dort als eigenständige endokrine Miniorgane an. Dasselbe Prozedere kommt nun auch in der Vertex-Studie zum Tragen. Der Clou ist freilich, dass sich das Stammzellprodukt, anders als das knappe Spendergewebe, theoretisch in beliebiger Menge herstellen ließe.

„Dennoch ist unsere Botschaft nicht, dass wir demnächst einen Großteil der Typ-1-Diabetiker mit einer Zelltransplantation behandeln wollen“, stellt Ludwig klar. „Man muss sorgfältig abwägen, bei wem sie gerechtfertigt ist.“

Einerseits liegen die potenziellen Vorteile auf der Hand. Gerade bei Patienten, die immer wieder in gefährliche Unterzuckerungszustände (Hypoglykämien) rutschen, ohne diese richtig wahrzunehmen – und dadurch beispielsweise in Verkehrsunfällen verwickelt werden – sei die Inseltransplantation eine vielversprechende Option, so die Diabetesexpertin.

Andererseits ließen sich bereits jetzt die meisten Typ-1-Diabetiker mit modernen Insulinpumpen gut behandeln – eine deutlich günstigere Technologie. Hinzu kommt: Um bei der Transplantation der körperfremden Inselzellen eine Abstoßung

zu vermeiden, muss das Immunsystem der Patienten mit Medikamenten unterdrückt werden.

„Dadurch steigt unweigerlich das Infektionsrisiko, auch wenn erste Nebenwirkungen glücklicherweise selten sind“, sagt Ludwig. So verstarb einer der Studienpatienten an einer Hirnhautentzündung, als er sich einer komplikationsreichen Hals-Nasen-Ohren-Operation unterzog. Zwar stand der Eingriff in keinem Zusammenhang mit der Zelltherapie. Doch könnte die notwendige Immunsuppression den Infektionsverlauf durchaus begünstigt haben.

Wie Ludwig gehen viele Fachleute davon aus, dass die Inseltransplantation angesichts der komplexen Abwägung zunächst eine Spezialtherapie bleibt. Vertex selbst hat vorgerechnet, dass von den knapp vier Millionen Typ-1-Diabetikern in Europa und Nordamerika anfangs nur etwa 60.000 dafür infrage kommen würden.⁸

Als ein echter Gamechanger allerdings könnten sich in Zukunft sogenannte hypoimmune Zelltransplantate erweisen. Derzeit versuchen verschiedenste Teams, einschließlich der Forscher bei Vertex, aus genetisch modifizierten Stammzellen Transplantate herzustellen, die von der Immunabwehr nicht abgestoßen werden (siehe Seite 37).

Eine Immunsuppression mit Medikamenten wäre dann weniger oder gar nicht mehr nötig, das Nutzen-Risiko-Verhältnis weit besser, spekuliert Ludwig. Dementsprechend könnte sich auch die Zahl der Diabetiker mit Inseltransplantation schnell auf das Fünf- oder Zehnfache ausweiten.

Parkinson und Epilepsie: Neue Nervenzellen fürs Gehirn

Agnete Kirkeby sieht das ähnlich. „Eine dauerhafte Immunsuppression ist natürlich ein Hemmschuh für die Zelltherapie“, sagt die Forscherin. Gerade deshalb sei die Idee hypoimmuner Transplantate so verlockend.

Kirkeby selbst ist mit ihren Kollegen unterdessen an einer Stammzellstudie beteiligt, die nicht minder bemerkenswert erscheint als die Versuchsreihe von Vertex. Dabei wurden insgesamt acht Parkinsonpatienten spezielle neuronale Vorläuferzellen mit einer stereotaktischen Operation ins Gehirn verpflanzt.⁹

Diese Vorläuferzellen, so ist aus Tierversuchen bekannt, können im Hirngewebe über viele Monate ausreifen und bilden

Max-Planck-Institut für Herz- und Lungenforschung (MPI-HLR)

Das Max-Planck-Institut für Herz- und Lungenforschung in Bad Nauheim erforscht die Entwicklung der Organe des Herz-Kreislaufsystems und der Lunge im Embryo sowie die molekularen und zellulären Mechanismen bei der Entstehung von Herz-Kreislauferkrankungen. Von besonderem Interesse sind die hierbei ablaufenden Umbauprozesse, das sogenannte Remodeling. So suchen die Wissenschaftler am Institut nach Wegen, die Reparatur und Regeneration geschädigter Organe auch im Rahmen des Remodelings in die Wege zu leiten bzw. zu optimieren.

Das Institut kooperiert eng mit benachbarten Universitäten in Frankfurt, Gießen und Marburg und ist essentieller Bestandteil zahlreicher Exzellenzinitiativen und zweier Gesundheitsforschungszentren.

Max-Planck-Institut für Herz- und Lungenforschung | W.G. Kerckhoff-Institut
Ludwigstr. 43 · 61231 Bad Nauheim
🌐 www.mpi-hlr.de

MAX PLANCK INSTITUTE
FOR HEART AND LUNG RESEARCH

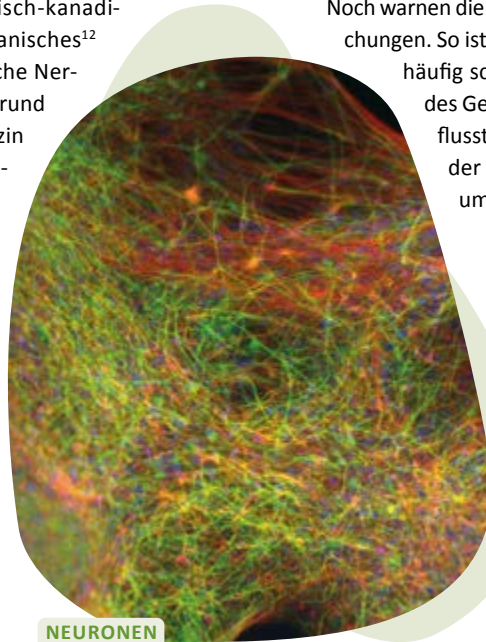


dann den Botenstoff Dopamin – eben jenen Neurotransmitter, der bei Parkinson wegen eines schleichenden Absterbens spezialisierter Nervenzellen fehlt. Noch dieses Jahr wollen die Forscher Daten zur Sicherheit der Zellübertragung vorlegen. 2027 würden dann erste Ergebnisse erwartet, die zeigen sollen, ob sich dadurch auch die typischen motorischen und kognitiven Defizite bei den Betroffenen verringern lassen, sagt Kirkeby.

Dass die Hoffnung darauf nicht unbegründet ist, belegen gleich drei weitere – noch fortgeschrittenere – Studien.

So berichteten kürzlich ein amerikanisch-kanadisches¹⁰, ein japanisches¹¹ und ein koreanisches¹² Team unabhängig über nahezu identische Nervenzelltransplantationen bei insgesamt rund 30 Parkinsonpatienten. Das Fachmagazin „Nature Medicine“ nahm das Studien-Trio sogar in seine Auswahl der „bemerkenswerten Fortschritte 2025“ auf.¹³

Während die japanischen Forscher ihre Dopamin-Vorläuferzellen dabei aus induzierten pluripotenten Stammzellen gewannen, griffen die anderen beiden Arbeitsgruppen auf embryonale Stammzellen zurück. Zwischen knapp zwei und zehn Millionen nachgezüchteter Zellen verpflanzten die jeweiligen Teams ihren Patienten in das sogenannte Putamen, einen für die Feinkontrolle von Bewegungen bedeutenden Hirnbereich.



Ein generelles Fazit war, dass solche Transplantationen nicht nur ohne wesentliche Nebenwirkungen möglich sind, sondern offenbar auch den Dopaminstoffwechsel verbessern und die Krankheitssymptome mildern können – gerade bei höheren Dosen übertragener Zellen. Nach heutigem Wissen überleben nur wenige der transplantierten Vorläuferneurone dauerhaft im Gehirn. Diese aber, so die Idee, könnten sich in die motorischen Schaltkreise einfügen und die Bewegungsabläufe dadurch wieder flüssiger machen.

Noch warnen die beteiligten Forscher vor verfrühten Versprechungen. So ist bekannt, dass die Symptome bei Parkinson häufig schwanken – und der Dopaminstoffwechsel des Gehirns schon durch eine Placebo-Pille beeinflusst werden kann.¹⁴ Bei den positiven Effekten der Zelltherapie könnte es sich daher schlicht um psychologische Artefakte handeln.

Allerdings hat die Initiatorin des amerikanisch-kanadischen Projekts, die US-Firma BlueRock Therapeutics, bereits eine umfangreiche Phase-III-Studie lanciert, um eben diese Zweifel auszuräumen: Gut hundert Parkinsonpatienten sollen dabei entweder ein neuronales Zelltransplantat erhalten – oder nur zum Schein operiert werden. Der Vergleich mit einer Placebo-Intervention (englisch „sham surgery“) gilt als rigoroser Test der therapeutischen Wirksamkeit.



THERE'S NO TIME TO LOSE WHEN A PATIENT RELIES ON YOUR PRODUCT

Boost Cell & Gene Therapy Production Efficiency With Advanced Quality Testing

Bring Simplicity and Automation to Your Process to:

- Streamline workflows and optimize resources
- Reduce costs and ease market access
- Achieve rapid manufacturing and product release
- Deliver life-changing therapies faster to the patients



BIOFIRE® MYCOPLASMA



Automated
Mycoplasma
Detection

Results in
under an hour

3P® ENTERPRISE



Full Digitalization
for Environmental
Monitoring

BACT/ALERT® 3D



Sterility Results
in Days

ENDOLISA®



Endotoxin Testing of
Complex Samples

Unique high-affinity
sample preparation

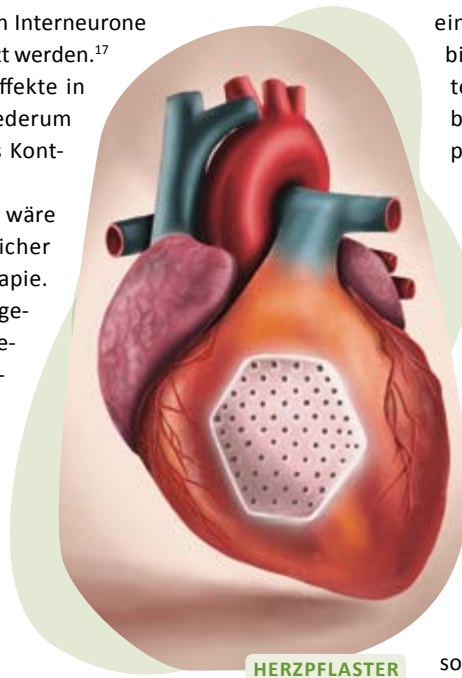
Bis 2032 rechnet das Team mit endgültigen klinischen Daten.¹⁵

Genau dieselbe Strategie verfolgen Stammzellforscher noch bei einer anderen Erkrankung: Epilepsie. Die typischen Anfälle dabei entstehen durch eine unkontrollierte neuronale Hyperaktivität, oft ausgelöst durch einen spezifischen Erregungsherd im Gehirn etwa infolge von degenerativen Prozessen oder post-infektiösen Narben.

Allerdings, so wiesen Forscher des kalifornischen Unternehmens Neurona Therapeutics experimentell nach, lässt sich der Anfallsmechanismus mit einer Zelltransplantation deutlich dämpfen. Das Team züchtete aus einer embryonalen Stammzelllinie hemmend wirkende sogenannte Interneurone und verpflanzte die Nervenzellen ins Gehirn epileptischer Mäuse. Dort fügten sie sich über neue Synapsen in die neuronalen Netze ein und regulierten ihre unkontrollierte Aktivität.¹⁶

Ersten klinischen Ergebnissen zufolge funktioniert die Strategie offenbar auch bei Patientinnen und Patienten mit einer häufigen und teils schwer zu behandelnden Krankheitsform, bekannt als mesiale Temporallappenepilepsie. Laut Neurona reduzieren sich die Anfälle bei den Betroffenen um bis zu 90 Prozent, wenn die inhibitorischen Interneurone gezielt in den Epilepsieherd verpflanzt werden.¹⁷ Nun prüft das Unternehmen die Effekte in einer großen Phase-III-Studie – wiederum mit scheinoperierten Patienten als Kontrollgruppe.¹⁸

Fallen die Ergebnisse positiv aus, wäre dies auch konzeptuell ein beachtlicher Meilenstein für die Stammzelltherapie. Die Diabetesstudie von Vertex hat gezeigt, dass Stammzellpräparate spezifische Körperfunktionen eigenständig übernehmen können. Die jetzigen Tests am Zentralnervensystem legen darüber hinaus jedoch nahe, dass die transplantierten Zellen sogar in komplexe Gewebestrukturen integriert werden – und somit echtes regeneratives Potenzial besitzen.



HERZPFLASTER

Herzinsuffizienz: Gewebepflaster auf der Muskelwand

Was dabei fürs Hirn gilt, gilt gleichermaßen fürs Herz: Auch hier könnte es möglich sein, verschlissenes Gewebe auszubessern. „Wir wollen das Herz durch Muskelaufbau reparieren“, sagt Wolfram-Hubertus Zimmermann, Experte für Tissue Engineering am Uniklinikum Göttingen und Mitbegründer der Göttinger Firma Repairon.

Aus induzierten pluripotenten Stammzellen züchtet Zimmermanns Team zusammen mit dem Biotech-Unternehmen menschliche Herzmuskel- und Bindegewebszellen und bettet sie in ein stützendes Gel aus Kollagen ein. So entstehen im Labor bioartifizielle Herzmuskelflicken, rund vier mal vier Zentimeter groß und einen Millimeter dick. Sie sollen den Herzkammern neue Kraft verleihen – etwa bei schwerster Herzinsuffizienz infolge eines Infarkts.

Rund zwei Dutzend Patienten seien in einer laufenden Studie an den Herzzentren in Göttingen und Lübeck bereits behandelt worden, berichtet Zimmermann.¹⁹ Die Chirurgen nähten dazu bei einem minimalinvasiven Eingriff, einer sogenannten Minithorakotomie, jeweils bis zu 20 Gewebepflaster auf die geschwächte Kammerwand auf. Eingehende Experimente bei Rhesusaffen hatten gezeigt, dass die transplantierten Muskelzellen im Herzen ausreifen und seine Schlagkraft erhöhen²⁰ – was sich bei den Patienten nun offenbar bestätigt, wie Zimmermann beschreibt. „Die Kammerwand wird dicker, die Auswurfleistung steigt, und auch die Lebensqualität verbessert sich.“

Der entscheidende Punkt dabei sei, dass sich der nachgezüchtete Muskel funktionell in das Herz integriert, fügt der Forscher hinzu. Bekanntermaßen wird die Herzkontraktion über elektrische Signale gesteuert, die sich koordiniert über Vorhöfe und Kammern verbreiten. Allerdings tragen ebenso mechanische Reize während des Herzschlags zu einer abgestimmten Aktivität der Muskelzellen bei. In der Embryonalentwicklung sind sie sogar unerlässlich für das reifende Herz.²¹

Fraunhofer-Institut für Silicatiforschung ISC – Translationszentrum für Regenerative Therapien

Eine schnelle Transformation neuester biomedizinischer Erkenntnisse in präklinische Anwendungen beschleunigt die Produktentwicklung für Pharmazeutik, Medizin und Kosmetik und schafft neue Therapiemöglichkeiten. Das Translationszentrum für Regenerative Therapien (TLZ-RT) am Fraunhofer-Institut für Silicatiforschung ISC in Würzburg entwickelt hier an der Schnittstelle von Materialforschung, Biotechnologie und Medizin innovative Lösungen in enger Zusammenarbeit mit Industrie und Forschung. Das TLZ-RT ist in drei Abteilungen untergliedert. Die Abteilung In-vitro-Testsysteme

entwickelt funktionale Gewebe- und Krankheitsmodelle humaner Barriereorgane auf Basis primärer Zellen und induziert pluripotenter Stammzellen, die eine tierfreie Medikamentenentwicklung unterstützen. Die Laborautomatisierung konzipiert flexible Automatisierungsplattformen, spezialisierte Bioreaktoren und Inkubatoren für standardisierte Zellkulturen. Die Abteilung Biomaterialien entwickelt biofunktionale, bioabbaubare Materialien und Nanopartikel für Anwendungen in der regenerativen Medizin, Diagnostik und Wirkstofffreisetzung.



Fraunhofer-Institut für Silicatiforschung
ISC

Translationszentrum Regenerative
Therapien (TLZ-RT)

Röntgenring 12 · 97070 Würzburg
www.isc.fraunhofer.de

„Eine solche mechano-elektrische Integration könnte die Eingliederung der Transplantate in das Herzgewebe erklären“, spekuliert Zimmermann. Sie würde verständlich machen, dass bei den bisher behandelten Patienten keinerlei Herzrhythmusstörungen durch die eingepflanzten Muskelflicken aufgetreten sind.

Ob sich ein therapeutischer Erfolg allerdings auch langfristig einstellen kann, bleibt bisher unklar. Bereits im kommenden Jahr wollen Zimmermann und Kollegen daher zusammen mit weiteren Teams eine internationale Phase-III-Studie starten, die von Repairon gesponsert werden soll. Die Forscher hoffen, dass sie zur Zulassung des bioartifiziiellen Herzmuskels führt. Neben den Zellpräparaten für Diabetes, Parkinson und Epilepsie wäre er das vierte aus pluripotenten Stammzellen generierte Produkt, das künftig womöglich Einzug in die Klinik halten könnte.

Gleichwohl gibt es auf dem Weg dorthin weiterhin Hürden – nicht zuletzt wegen praktischer und logistischer Herausforderungen. „Bereits für eine große Phase-III-Studie muss die Produktion der Transplantate ausgeweitet werden“, verdeutlicht Zimmermann. Im Fachjargon spricht man von „Upscaling“.

Rund 40 Millionen Herzmuskel- und Bindegewebszellen sind für einen Herzmuskelflicken erforderlich. Bei typischerweise 20 transplantierten Gewebepflastern summiert sich dies pro Patient auf fast eine Milliarde Zellen, die mit qualitätsgesicherten Verfahren produziert werden müssen. Dieselbe Größenordnung gilt für Inselzelltransplantationen bei Typ-1-Diabetes.

Was hinzu kommt: Während sich die bei Parkinson und Epilepsie verpflanzten Neurone vorproduzieren, einfrieren und bei Bedarf auftauen lassen, werden die komplexeren, aus verschiedenen Zelltypen bestehenden Insel- und Herzmuskeltransplantate

frisch hergestellt. Der komplette Prozess von der Zellkultur bis zum Transplantat nimmt viele Wochen in Anspruch, das fertige Produkt müsse dann binnen 72 Stunden transplantiert werden, sagt Zimmermann.

„Per Flugzeug erreicht man in diesem Zeitfenster viele Orte in der Welt“, so der Forscher. Dennoch seien für die geplante Studie womöglich weitere Produktionspartner etwa in den USA erforderlich. Repairon will dabei die Herzmuskel- und Bindegewebszellen ebenfalls vorproduzieren und einfrieren – um nur die eigentlichen Transplantate frisch in lokalen Labors fertigen zu lassen.

Ganz abgesehen von den kniffligen logistischen Fragen, diskutieren Fachleute längst eine weitere Schwierigkeit: So wäre auch bei einer Marktzulassung keineswegs garantiert, dass sich die neuen Stammzellbehandlungen ohne Weiteres durchsetzen. Branchenkenner bezeichnen das Phänomen als „second valley of death“.²² Gerade avancierte Zell- und Gentherapien erweisen sich bisweilen in der Praxis als zu teuer und aufwendig. Oder große Pharmafirmen – die eine Technologie weiter vorantreiben und vermarkten könnten – ziehen sich aus der Entwicklung zurück.

Erst letzten Herbst hatte etwa der dänische Pharmakonzern Novo Nordisk, zuvor ein bedeutender Akteur in dem Bereich, seine Zelltherapieforschung zu Diabetes, Parkinson und Herzschwäche komplett eingestellt. Ein Grund dafür dürften laut Be-



WOLFRAM-HUBERTUS
ZIMMERMANN

Fotos: Eva Meyer-Besting / Lab Zimmermann, Uni Göttingen; umg/spförtner

PICK THE RIGHT TOOLS FOR YOUR ES/IPS & STEM CELL RESEARCH

Discover now more than competence for your Stem Cell Research. PELOBiotech offers all relevant Stemgent, ReproCell, ixCells, Xcell Therapeutics and tempo bioscience products. Broad portfolio of ES/iPS, Stem Cells, MSCs, HSCs, NSCs and more.

- ES/iPS and iPS derived Cells & Stem Cell Culture Media
- Adult Stem Cells & Media
- Reprogramming Tools
- Cold- & Cryo-Preservation
- Defined Media e.g. for MSCs and Extracellular Vesicle Production
- Specific Coatings and ECMs
- R&D, also cGMP quality
- Broadest Portfolio of human Platelet Lysate (also in cGMP), Fibronectin, A/AB-Serum
- Recombinant Proteins, Small Molecules & Antibodies



PELOBiotech

More than Competence⁴ Cells

www.pelobiotech.com

ORDER via Email: sales@pelobiotech.com or FAX: + 49 (0)89 517 286 59-88





ARBEITSGRUPPE VON AGNETE KIRKEBY IN KOPENHAGEN

obachtern schlicht die greifbareren Profite in anderen Feldern sein.²³ Allerdings: Sollten die nun anlaufenden Phase-III-Studien überzeugende klinische Daten liefern, „könnte das Interesse bei den industriellen Akteuren auch schnell wieder zurückkehren“, prophezeit Zimmermann.

Krebs, Autoimmunkrankheiten, Erblindung: Perspektiven für die Therapie

Unterdessen zeichnen sich bereits weitere klinische Perspektiven für den Einsatz pluripotenter Stammzellen ab. Ein besonders vielversprechender Anwendungsbereich: die zellulären Immuntherapien.

Ein simpler Grund dafür ist, dass sich das eigentliche Therapieprinzip längst etabliert hat. So lassen sich etwa bei Leukämien oder Lymphomen dem Patienten eigene Immunzellen aus dem Blut entnehmen und im Labor mit einem gentechnisch konstruierten Rezeptor bestücken, bekannt als „chimärer Antigenrezeptor“ oder kurz CAR. Werden die CAR-Zellen zurückübertragen, greifen sie dank des künstlichen Rezeptormoleküls gezielt die Krebszellen im Körper an.

Auch bei Autoimmunkrankheiten wie Lupus erythematodes wird der Ansatz erprobt. Eine Hauptrolle im Erkrankungsprozess spielen hyperaktive B-Zellen, die unkontrolliert Autoantikörper bilden – per CAR-Therapie aber eliminiert werden könnten.²⁴

Mittlerweile sind indes viele Teams bestrebt, die therapeutischen CAR-Zellen nicht mehr aus den Blutzellen individueller Patienten, sondern mithilfe genetisch modifizierter Stammzelllinien zu gewinnen. Denn auf diese Weise ließen sie sich in großem Stil kostengünstig produzieren und wie ein standardisiertes Fertigprodukt einsetzen – und zudem mit immunverträglichen Oberflächeneigenschaften ausstatten (siehe Seite 37). Erste klinische Pilotstudien mit solchen stammzellbasierten CAR-Zellpräparaten laufen bereits.²⁵

Und noch in einem anderen Feld hoffen Stammzellforscher auf Fortschritte: bei den degenerativen Netzhautleiden. Vor allem bei altersbedingter Makuladegeneration – bei der der Netzhautbereich für das scharfe Sehen zunehmend Schaden nimmt – sind in den vergangenen Jahren zahlreiche Stammzellstudien durchgeführt worden. Das Prinzip dabei ist, neu gezüchtetes sogenanntes retinales Pigmentepithel in die Netzhaut zu übertragen. Die Zellen regulieren den Nährstofftransport für die lichtempfindlichen Stäbchen und Zapfen und gewährleisten ihre Funktion.

Noch lässt sich nicht klar sagen, wie wirksam die Zelltransplantationen sind. „Die bisherigen Studien haben unterschiedliche Ergebnisse geliefert“, kommentiert Agnete Kirkeby. Generell scheine der Ansatz in früheren Krankheitsstadien erfolgversprechender zu sein als in späteren Phasen, so die Forscherin. Inzwischen werden daher vermehrt leichter erkrankte Patienten in die Untersuchungen einbezogen.

Derweil hat die Firma BlueRock – neben ihrer vielbeachteten Phase-III-Studie zu Parkinson – bereits eine weitere bemerkenswerte klinische Testreihe gestartet: Erstmals werden dabei in größerem Umfang statt retinalem Pigmentepithel die lichtempfindlichen Fotorezeptorzellen selbst transplantiert. Gut 50 Patienten mit erblichen Netzhautleiden wie Retinitis pigmentosa sollen frische, aus einer Stammzelllinie gezüchtete Vorläuferzellen für Stäbchen und Zapfen erhalten, um einer fortschreitenden Erblindung entgegenzuwirken.²⁶ Seit jeher stand Blindheit sinnbildlich für den Verlust von Körperfunktionen – und das Versprechen der Stammzelltherapie. Die neue Studie könnte dieses Versprechen nun konkreter werden lassen.

Autor: Martin Lindner

Das Fraunhofer-Institut für Biomedizinische Technik IBMT

Die Entwicklung neuer Wirkstoffe, sowie personalisierter Diagnose- und Therapieansätze zählen zu den vielversprechendsten Zukunftsthemen. Das Fraunhofer IBMT trägt diesem Trend Rechnung und entwickelt innovative Upscaling- und Kryokonservierungsstrategien zur Optimierung der Effizienz und Reproduzierbarkeit von Stammzellprozessen. Durch die Koordination des imi-Projektes EBISC2 – Die europäische Bank für iPS-Zellen – und des globalen Stammzellregisters hPSCreg, besitzt das Fraunhofer IBMT eine einmalige Infrastruktur zur Entwicklung neuer Zellmodelle, sowie Wirkstoff- und Toxizitäts-Assays. Parallel

dazu werden periphere Technologien im Bereich intelligenter Sensoren, bioinformatischer Datenanwendungen und Kryobiotechnologie aufgebaut. Dabei ist das wichtigste Kriterium die Generierung und Kryokonservierung großer Stammzellmengen bei gleichbleibend hoher Qualität.

Fraunhofer-Institut für Biomedizinische Technik IBMT
Joseph-von-Fraunhofer-Weg 1
66280 Sulzbach
www.ibmt.fraunhofer.de

Fraunhofer
IBMT



Literatur

- 1 Thomson, J.A. et al. (1998), <https://doi.org/10.1126/science.282.5391.1145>
- 2 Takahashi, K. et al. (2007), <https://doi.org/10.1016/j.cell.2007.11.019>
- 3 Kirkeby, A. et al. (2025), <https://doi.org/10.1016/j.stem.2024.12.005>
- 4 Reichman, T.W. et al. (2025), <https://doi.org/10.1056/NEJMoa2506549>
- 5 <https://clinicaltrials.gov/study/NCT04786262>
- 6 <https://news.vrtx.com/news-releases/news-release-details/vertex-provides-pipeline-and-business-updates-advance-upcoming-1>
- 7 Shapiro, A.M.J. et al. (2000), <https://doi.org/10.1056/NEJM200007273430401>
- 8 <https://news.vrtx.com/news-releases/news-release-details/vertex-provides-pipeline-and-business-updates-advance-upcoming-0>
- 9 <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05635409>
- 10 Tabar, V. et al. (2025), <https://doi.org/10.1038/s41586-025-08845-y>
- 11 Sawamoto, N. et al. (2025), <https://doi.org/10.1038/s41586-025-08700-0>
- 12 Chang, J.W. et al. (2025), <https://doi.org/10.1016/j.cell.2025.09.010>
- 13 O'Leary, K. (2025), <https://doi.org/10.1038/s41591-025-04098-4>
- 14 De la Fuente-Fernández, R. et al. (2001), <https://doi.org/10.1126/science.1060937>
- 15 <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06944522>
- 16 Bershteyn, M. et al. (2023), <https://doi.org/10.1016/j.stem.2023.08.013>
- 17 <https://www.neurontherapeutics.com/news/press-releases/120825>
- 18 <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05135091>
- 19 <https://clinicaltrials.gov/study/NCT04396899>
- 20 Jebran, A.-F. et al. (2025), <https://doi.org/10.1038/s41586-024-08463-0>
- 21 Bressan, M.C. et al. (2023), <https://doi.org/10.1371/journal.pone.0115207>
- 22 De Luca, M., and Cossu, G. (2023), <https://doi.org/10.15252/embr.202256661>
- 23 <https://www.bio-focus.co.uk/pharma/novo-nordisk-pulls-plug-on-cell-therapy-in-%241.3b-restructuring-push>
- 24 Müller, F. et al. (2024), <https://doi.org/10.1056/NEJMoa2308917>
- 25 Lindenbergh, P.L., and Van der Stegen, S.J.C. (2025), <https://doi.org/10.1159/000540473>
- 26 <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06789445>

Foto: reNew

amsbio.com



GMP Cryopreservation without the GMP Price

CELLBANKER®: high-viability (>90%), ready-to-use cryopreservation media.
Adopt now, scale later – without breaking your protocol or your budget.

- GMP-ready: with no protocol changes required.
- Saves time: freeze directly in a -80°C freezer.
- Proven reproducibility: consistent recovery across PSCs, primary cells, cell lines, and organoids/spheroids.
- Trusted globally: cited in 2,000+ peer-reviewed studies.



**Scan to request your sample
of CELLBANKER® today!**

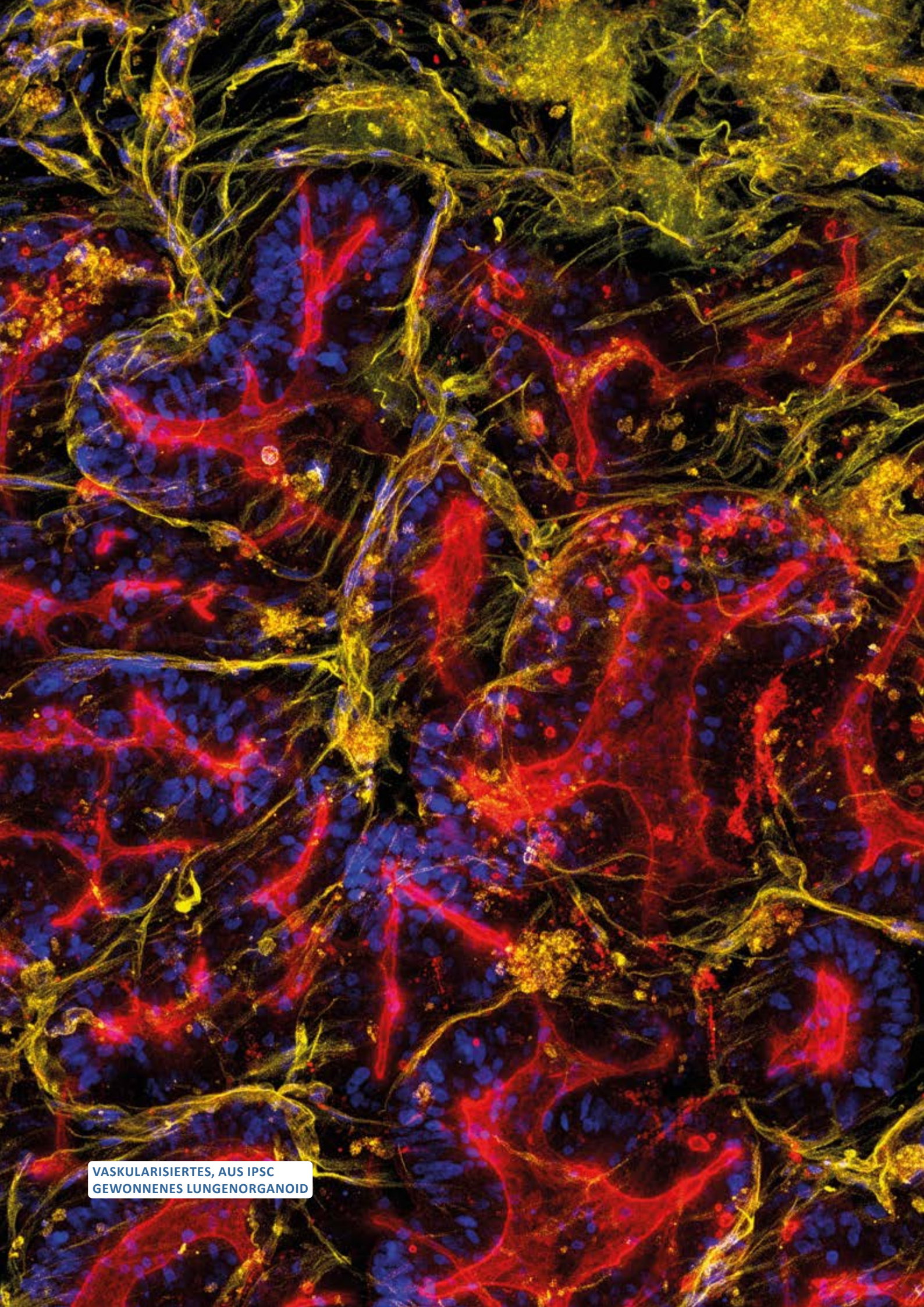


Amsbio Europe BV
Alkmaar, Netherlands

+31 (0) 72 8080244
info@amsbio.com

Amsbio™ is a trademark for AMS Biotechnology/Amsbio.
All trademarks mentioned here are the property of their respective owners.

*Background image: Human Airway Organoids frozen in CELLBANKER 1® and imaged post-thaw. IF for DAPI, KRT5 (basal cell marker), Phalloidin (blue/red/green).
Images courtesy of the Clevers Lab, Hubrecht Institute.*



VASKULARISIERTES, AUS IPSC
GEWONNENES LUNGENORGANOID

„Es braucht ein ganzes Dorf, um ein Medizinprodukt in die Patientenversorgung zu bringen“

Das GeneNovate® Entrepreneurship-Programm hat zum Ziel, Wissenschaftler*innen und Ärzt*innen für Unternehmertum zu begeistern, sie mit fundiertem Wissen auszustatten und durch den Aufbau eines Expert*innen-Netzwerks den Transfer innovativer medizinischer Lösungen zu Patient*innen zu beschleunigen.

Sandra Ammann war nach Biologiestudium, Doktorarbeit in der Immunologie und Post-Doc-Aufenthalt in London auf der Suche nach einer neuen Herausforderung. „Ich wollte nicht in der Universität stecken bleiben“, beschreibt sie ihre Situation vor drei Jahren. Genau da traf sie Toni Cathomen, Professor für Gen- und Zelltherapie an der Universität Freiburg, der mit einer zündenden Idee zur Sicherheitsprüfung von Gentherapien ein Startup gründen wollte. Er suchte jemanden, der das Projekt vorantreibt. „Ich glaube, das wäre eine super Position für Dich“, schlug er Sandra Ammann vor. „Ja, das machen wir!“ habe sie sofort geantwortet.

Doch dann kamen die Zweifel. „Ich dachte: Gut, Wissenschaft kann ich, aber wie sieht es mit den anderen Dingen aus?“ Der Zufall wollte es, dass Cathomen und Ammann Elke Luger, der Leiterin des Nationalen Netzbüros für Gen- und Zelltherapien (GCT), auf einer Konferenz in Rom über den Weg liefen. Beim gemeinsamen Abendessen kam die Sprache auf das zu gründende Startup, und Elke Luger berichtete vom nagelneuen GeneNovate® Programm. „Das passte natürlich perfekt!“ erinnert sich Ammann. „Ich hab` mich angemeldet, bin von Freiburg nach Heidelberg zu den Workshops gependelt, und habe unheimlich viel gelernt.“

In sechs ganztägigen Präsenz-Workshops (auf Englisch) werden die Grundlagen des Unternehmertums vermittelt. Die Teilnehmer*innen bilden Teams, erhalten Mentor*innen, erarbeiten eine Kurzpräsentation (Pitch) und knüpfen Kontakte. Jedem Workshop voraus geht ein zweistündiges online-Meeting mit theoretischen Inhalten.

Entrepreneurship-Programm und Expert*innen-Netzwerk

„Mit dem Entrepreneurship-Programm im Bereich der gen- und zellbasierten Therapien möchten wir einerseits Forschende und Ärztinnen und Ärzte dabei begleiten, ihre Ideen aus dem Labor in ein Produkt zu entwickeln. Denn das kommt bislang in keinem Curriculum an keiner Hochschule vor“, sagt Elke Luger. Das zweite große Ziel von GeneNovate® ist ein deutschlandweites Netzwerk von Expert*innen aufzubauen, das man nutzen kann, wenn Fragen aufkommen. „Ich verstehe GeneNovate® als eine Struk-



tur, die sich wie das Sprichwort „Es braucht ein ganzes Dorf, um ein Kind großzuziehen“ bestmöglich um die Produktideen kümmert, die im Labor entstehen, und ohne die Expertise des gesamten GCT-„Dorfes“ nicht oder nur schleppend beim Patienten als fertiges Produkt ankommen“, beschreibt Elke Luger das Konzept.

Gemeinsam mit dem erfahrenen Berater Ingo Schroeter entwickelte das GeneNovate®-Team eine Workshop-Reihe, die fundiertes

Wissen rund um Gründung und Unternehmertum vermittelt (siehe Kasten). „Ich wollte Teil eines Teams sein, das im Gesundheitsbereich etwas verändert“, erzählt Schroeter, der zuvor als Mitglied des Leitungsteams maßgeblich an der Transformation

Workshop 1

Introduction to Entrepreneurship | Changing the Healthcare Industry | Creating & Presenting Pitch Decks

Workshop 2

Value Proposition & Business Modell Canvas | IP Protection & Management

Workshop 3

Analyze your Market | Create your Business Model | Build your Business Case

Workshop 4

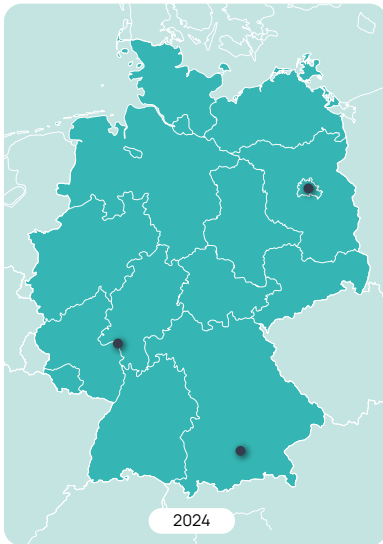
Regulation | Develop your Product/Solution | Go-to-Market: Understand and win customers

Workshop 5

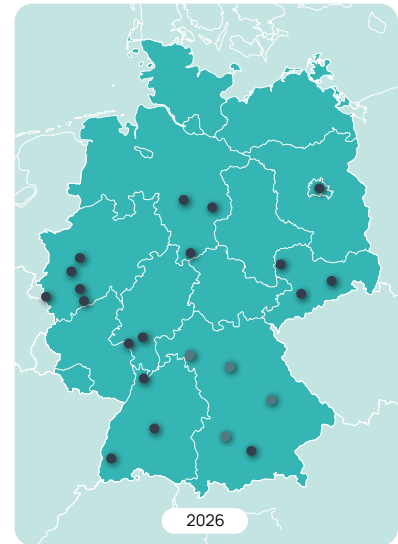
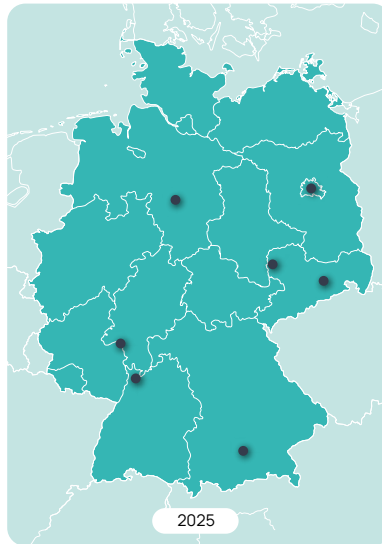
Legal Foundations for Startups | Team management | Project Management | Establish and manage Partnerships

Workshop 6

Financing and Funding | Investor discussions & Negotiations | Exit options & Strategic value



● GeneNovate®-Regionen
● zukünftige GeneNovate®-Regionen



IM DRITTEN JAHR WIRD DAS GENENOVATE®-PROGRAMM BEREITS IN NEUN REGIONEN ANGEBOten. IN 2027 KOMMEN NOCHMAL VIER STÄDTE HINZU: DIE WERA-REGION MIT DEN STANDORTEN WÜRZBURG, ERFURT, REGENSBURG UND AUGSBURG.

von Philips zum Gesundheitstechnologie-Konzern sowie am Aufbau des Corporate Venturing beteiligt war.

„Wir haben in Deutschland und Europa richtig klasse Grundlagenforschung. Aber wir fallen extrem zurück, wenn es darum geht, die Ergebnisse in die Anwendung zu bringen. Die Wertschöpfung geht in die USA und China.“ Besonders wichtig bei GeneNovate® findet er den Netzwerkgedanken. „Wenn wir es schaffen, die Expertise und Ressourcen, die wir über ganz Deutschland verteilt haben, zusammenzubringen, dann bauen wir etwas auf. Dann sind wir viel wettbewerbsfähiger als das, was ich in den USA gesehen habe“, ist Schroeter überzeugt.

Nicht junge Leute, sondern junge Ideen!

„Im ersten Jahr haben wir noch geworben mit: Wir suchen junge Ärztinnen, wir suchen junge Forschende. Das war aber nicht die richtige Herangehensweise“, erinnert sich Elke Luger. „Sondern:

Wir suchen junge Ideen. Insofern haben wir jetzt in den GeneNovate-Workshops PostDocs, Professor*innen, Abteilungsleitungen, sogar Leute, die schon gegründet haben, genauso wie Masterstudenten. Das ist eine sehr befruchtende Mischung.“

Pro Standort nehmen zwischen 15 und 30 Interessierte teil und schließen sich zu Teams zusammen. Die ersten Workshops hat Ingo Schroeter alleine geleitet, mittlerweile übernehmen mehr und mehr lokale Expert*innen aus Industrie oder Technologietransfer, aus dem Finanzwesen oder selbst erfolgreiche Gründer. Jedes Team erhält darüber hinaus einen erfahrenen Mentor oder eine Mentorin, der / die das Team berät und dabei unterstützt, die Projektidee für den Pitch am „Final Event“ vorzubereiten. Das findet vor einer Jury aus Business Angels, Venture Capital-Investoren, erfahrenen Unternehmer*innen aber auch Vertreter*innen aus der Politik statt. Die Gewinnerteams erhalten ein individualisiertes Coaching sowie eine Einladung zur Teilnahme am GeneNovate® Investors' Day.

Nationales Netzwerkbüro für Gen- und Zelltherapien | GCT Germany

Das Nationale Netzwerkbüro GCT Germany wurde im Rahmen der Nationalen Strategie GCT gegründet. Wir agieren als deutschlandweite Anlaufstelle und Plattform für nationale und internationale Akteur*innen und Stakeholder aus den Bereichen Wissenschaft, Wirtschaft, Patienten- und Selbsthilfeorganisationen, Politik, Gesellschaft, sowie Behörden und Stiftungen. Mit Patienten- & Selbsthilfeorganisationen entwickeln wir Maßnahmen, um ihre Perspektiven frühzeitig und aktiv in Projekte einzubinden.

Unsere Mission: Das Netzwerkbüro GCT baut durch Informationen und Vernetzung eine nationale GCT-Community auf. Wir bündeln die Kompetenzen

und Aktivitäten aller Stakeholder und schaffen nachhaltige Synergien. www.GCT-Germany.de

GCT-Atlas: Wissen bündeln und teilen: Der GCT-Atlas ist die zentrale Informationsplattform und Matchmaking-Stelle für GCT in Deutschland. Werden auch Sie Teil der Karte und sichtbar für das GCT-System. www.GCT-Atlas.de

GeneNovate: Wir stärken mit dem ersten deutschlandweiten Entrepreneurship-Programm im Bereich GCT, Medtech und Lebenswissenschaften die unternehmerischen Kompetenzen von High Potentials in Medizin- und Grundlagenforschung. www.GeneNovate.de



GCT
Nationale Strategie
Gen- und zellbasierte Therapien
Netzwerkbüro



**Rahel Hirsch Center for
Translational Medicine**

Luisenstraße 65 · 10117 Berlin

🌐 www.gct-germany.de | genenovate.de

1.000 Trainees bis 2030

„Im ersten Jahr 2024 haben wir mit 54 Teilnehmer*innen an drei Standorten begonnen, in Berlin, München und Mainz“, erzählt Elke Luger. Im Folgejahr wurde GeneNovate® von drei weiteren Regionen angefragt, 2026 findet das Programm bereits in neun Regionen statt. Mit knapp 200 Teilnehmer*innen, über 50 Mentor*innen und über 100 Expert*innen ist das Programm schon beinahe flächendeckend ausgerollt. Die Mentor*innen aus den unterschiedlichsten Bereichen mussten zu Beginn natürlich gefunden werden, doch mittlerweile sind diese so überzeugt von GeneNovate®, dass sie von sich aus fragen, ob sie zukünftig weiter unterstützen können. Und zwar pro bono! „Unser Ziel ist, dass wir bis 2030 1000 Trainees im Bereich Gen- und Zelltherapie ausgebildet haben. Und das erreichen wir zielstrebig,“ berichtet Elke Luger. Die vielfältigen Projektideen reichen vom RNA-Inhalationsspray gegen Lungenfibrose bis zur Makrophagen-basierten Zelltherapie für solide Tumore. „Das müssen nicht alles Gentherapien sein“, erklärt Ingo Schroeter. „Damit solch eine komplexe Therapie auf den Markt kommen kann, braucht es ja auch rundherum Ideen, zum Beispiel aus der Bioinformatik für die Datenauswertung, komplementäre Diagnoselösungen, „small molecules“ für eine Kombinationstherapie, oder wie bei Sandra Ammann eine Sicherheitskontrolle.“



„Daran denkt man als Wissenschaftlerin nicht“

Sandra Ammann war in der zweiten Runde von GeneNovate® dabei. „Toll fand ich vor allem, wenn Gründerinnen und Gründer verschiedener StartUps über ihre Erfahrungen beim Ausgründen gesprochen haben“, erzählt sie begeistert. Wertvoll fand sie auch den Block zu Patentangelegenheiten, worauf man achten muss, wie lange es dauert und wie wichtig es ist, dass ein Patent gut formuliert ist. „Und dass man als Gründerin eine Erfindung erst melden und das Patent auf den Weg bringen muss, bevor man publiziert. Daran denkt man als Wissenschaftlerin einfach nicht.“ Auch wie wichtig ein gut funktionierendes Team ist, lernte Ammann, und wie essentiell ein gutes Netzwerk. „Über GeneNovate® haben wir einen tollen Mentor gefunden, Daniel Gau, der nun in unserem Aufsichtsrat sitzt und der uns sehr unterstützt hat beim Kurzvortrag: Als Wissenschaftler ist man sehr detailverliebt, aber in einem Pitch muss es schnell gehen und einfach sein. Wenn man denkt: Oh Gott, das ist jetzt überhaupt nicht mehr wissenschaftlich, dann ist der Pitch eigentlich perfekt!“

Erfolgreich beim EXIST-Wettbewerb

Mit ihrem Kurzvortrag waren Sandra Ammann und ihr Team von „BiObservR“ sogar beim EXIST-Forschungstransfer-Wettbewerb erfolgreich: Mit diesem Programm fördert das Bundeswirt-



proteintech®

HEK293 cGMP Recombinant Proteins

Proteintech is the largest supplier of cGMP recombinant proteins, with products in stock and ready to ship.

humanKine® Cytokines and Growth Factors are:

- Produced in human HEK293 cells, ensuring the correct post-translational modifications for high bioactivity
- 100% animal component-free
- Manufactured entirely in-house for consistent quality and reliability



Scan to browse all HumanKine® cGMP Recombinant Proteins

ptglab.com



INGO SCHRÖTER



Ein neues Leben

schaftsministerium forschungsbasierte Gründungsvorhaben. 24 Monate erhält das Team nun Fördergelder, um die Gründung des Startups vorzubereiten. BiObservR hat das so genannt CAST-Seq-Verfahren entwickelt und patentiert, mit dem man die Sicherheit von Gentherapien überprüfen kann: Für eine Gentherapie werden Zellen des Patienten oder der Patientin mit der CRISPR-Cas-Genschere repariert, anschließend vermehrt und dem Patienten zurückgegeben. Weil aber die Genschere nicht ausschließlich das Zielgen trifft, das Target, sondern auch andere Stellen verändert – Off-Target –, müssen die Zellen genau analysiert werden, bevor man sie dem Patienten zurückgibt. „Und dabei ist es wichtig zu prüfen, ob Gene so verändert sind, dass Krebs entstehen könnte. Das wäre natürlich fatal“, erklärt Ammann die Bedeutung des Verfahrens, das mittlerweile auch von Regulierungsbehörden akzeptiert wurde. Die Nachfrage ist entsprechend hoch, 70 Projekte aus Europa und sogar den USA haben Sandra Ammann und ihr Team bereits überprüft.

Das Leben als Startup Gründerin unterscheidet sich deutlich von dem einer Wissenschaftlerin, was Sandra Ammann aber gefällt. „Man erledigt plötzlich ganz viele administrative Aufgaben, von denen man vorher keine Ahnung hatte, hat viele Meetings und auch die Projektleitung muss gut laufen. Die Aufgaben sind vielfältiger.“ Das Ziel von BiObservR ist es nun, die Dienstleistungen auch kommerziell anzubieten. Um ein Business Modell zu entwickeln, hat Ammann einen Wirtschaftswissenschaftler mit Startup-Erfahrung ins Team geholt. „Der wird schauen, dass die Preise passen und wir auch Gewinn machen.“ Von Kolleginnen und Kollegen aus dem Labor habe sie zu hören bekommen „Das wäre mir zu risikoreich.“ Das kann Ammann einerseits verstehen, andererseits sieht sie auch den Vorteil neuer Erfahrungen: „Klar, man weiß nicht, was passiert, aber man lernt so viel dazu, dass man selbst, wenn das Startup später nicht erfolgreich sein sollte, gute Voraussetzungen hat, einen neuen Job zu finden.“

Max Delbrück Center

**MAX
DELBRÜCK
CENTER**

Wenn die Menschen in einer alternden Gesellschaft möglichst lange möglichst gesund bleiben sollen, reicht es nicht aus, Krankheiten zu behandeln. Die Leiden sollten gar nicht erst ausbrechen. „Am Max Delbrück Center arbeiten wir an einer Präzisionsprävention – und stammzellbasierte Technologien sind ein wichtiger Baustein“, sagt Professorin Maike Sander, Wissenschaftliche Vorständin des Max Delbrück Center. Um die zellulären Veränderungen am Übergang von Gesundheit zu Krankheit genau zu verstehen, entwickeln die Forschenden komplexe Modellsysteme wie Assembloide,

„Organ-on-a-chip“-Systeme oder vaskularisierte Organoide. Sie haben außerdem Hochdurchsatz-Screenings für patientenspezifische Organoide entwickelt.

Andere Teams verfolgen mithilfe von Einzelzellanalysen und räumlicher Transkriptomik den Verlauf von Krankheiten in bisher unbekannter Auflösung. KI-Modelle helfen ihnen dabei, in den komplexen Datensätzen Muster und mögliche Mechanismen zu finden – für die Medizin von morgen.



Max Delbrück Center
Robert-Rössle-Str. 10 · 13125 Berlin
🌐 www.mdc-berlin.de

Mut machen, Mindset ändern

Auch Ingo Schroeter weiß, dass es Mut braucht, sein eigenes Startup zu gründen. „Theorie ist eine Säule, vor allem das, was speziell ist für „precision medicine“. Aber was ich für noch viel wichtiger halte: In jedem Workshop haben wir ein Guest-Startup, deren Gründer aus ihren persönlichen Erfahrungen erzählen, was schief gegangen ist, wo es schwierig wurde und wo man durchhalten muss. Und vermitteln damit Soft Skills, um mit solchen Rückschlägen umgehen zu können. Jeder hört zu, jeder hilft und jeder gibt seine Erfahrung weiter. Das ist für mich der große Unterschied zu anderen Startup-Programmen.“ Es sei auch Ziel, das „Mindset“ der Forschenden zu ändern, sagt Elke Luger: „Wenn man sich die klassische akademische Laufbahn vorstellt, geht es um Publikation, Publikation, Publikation. Etwas zu gründen, ist noch nicht als Währung der Wissenschaft in Deutschland angekommen. Da möchten wir rangehen.“

Der Blick über den deutschen Tellerrand hinaus

Der Erfolg von GeneNovate® bleibt nicht unbemerkt, auch nicht im europäischen Ausland. Sogar Oxford und Cambridge haben sich schon bei den Organisatoren des Programms gemeldet, um nach Kooperationsmöglichkeiten zu fragen. „Wir sind auch im Austausch mit Partnern in der Schweiz und in Finnland“, berichtet Luger. „Aus Frankreich nehmen schon die ersten Kolleginnen und Kollegen in Köln, weil es am nächsten ist, an den monatlichen Workshops und den online-Theorie-Sessions teil. Das Ziel ist, nächstes Jahr in Paris den ersten GeneNovate®-Satelliten im

europäischen Ausland laufen zu lassen.“ Offenbar verfährt vor allem der Netzwerkgedanke, glaubt Ingo Schroeter. Denn genau der verspricht Erfolg: „Ich glaube nach wie vor daran, dass wir eine große Chance haben, dass in vier, fünf Jahren die Bio-Tech-Landschaft hier in Deutschland und Europa anders aussieht. Und das nur, weil es ein Netzwerk von vielen Leuten ist, die ähnlich getrieben sind.“

Und wie blickt Sandra Ammann in die Zukunft? „Ich bin sehr zuversichtlich, dass wir in fünf Jahren ein gutes Geschäftsmodell und eine gut funktionierende Firma haben, die gewinnbringende Dienstleistungen für Gentherapien auf dem Markt anbietet. Und dass ich immer noch Geschäftsführerin bin.“ Das wäre dann natürlich auch ein Erfolg für GeneNovate®.

Autorin: Stefanie Seltmann

GENE NOVATE® FINAL EVENT 2025 IN BERLIN



CELL EXPANSION MEDIA TO SUPPORT DRUG DISCOVERY AND DEVELOPMENT

AVAILABLE IN RESEARCH & GMP GRADE



Cellartis® DEF-CS™ 500 Culture system allows robust feeder-free hiPSC expansion in a non-colony, 2D-monolayer format



Cellartis® MSC Xeno-Free Culture Medium for superior maintenance and expansion of MSCs without the need for coating reagents



LymphoONE™ T-Cell Expansion Xeno-Free Medium, specially formulated for serum-free expansion and transduction



LEARN MORE AT:



CLIC: Voraussetzungen für den Erfolg der translationalen Biotechnologie schaffen

Der BIH Clinical Incubator (CLIC) ist eine Plattform, die akademischen Forschungsteams sowie Entrepreneur*innen bei ihren Projekten auf dem Weg zum Aufbau eines Start-ups hilft, um so die Entwicklung von Advanced and Personalized Therapies (APTs) voranzutreiben. Unter der Leitung von Garima Bhardwaj verfolgt CLIC das Ziel, Teams mit der nötigen Infrastruktur, fachlichem Mentorship und regulatorischer Beratung für ihre Projektvorhaben im Bereich der Advanced Medical Therapy Products (ATMPs) zu unterstützen. Für das GSCN Jahresmagazin beschreibt Garima Bhardwaj ihre Vision.



GRÜNDUNG VON CLIC 2025

„Ist Berlin bereit, um global wettbewerbsfähige Biotech-Unternehmen aufzubauen?“

Diese Frage wurde mir seit meinem Umzug von Boston nach Berlin vor zwei Jahren in Vorstandssitzungen, Strategiesitzungen und auf Konferenzen immer wieder gestellt. Sie wird in der Regel mit Optimismus, gelegentlich mit Skepsis und immer mit echter Neugierde gestellt.

Die Antwort ist nicht eindeutig.

Berlin mangelt es nicht an wissenschaftlicher Exzellenz. Es mangelt ihm nicht an klinischer Tiefe. Es mangelt ihm nicht an Ehrgeiz. Was ihm historisch gesehen fehlt, ist etwas weniger Sichtbares, aber Entscheidenderes: translationale Dichte – die gesammelte Erfahrung, das Bindegewebe und die operative Disziplin, die es ermöglichen, dass aus Wissenschaft frühzeitig dauerhafte Unternehmen entstehen.

In Boston ist diese Dichte kulturell bedingt. Regulierungsstrategien werden frühzeitig diskutiert. Überlegungen zur Herstellung werden selten als Nebensache behandelt. Investoren erwarten Entwicklungslogik, nicht nur Daten. Gründer*innen treffen auf erfahrene Unternehmer*innen und Betreiber*innen, die diesen Weg bereits gegangen sind.

Berlin ist dabei, diese Reife aufzubauen.

Der BIH Clinical Incubator an der Charité – CLIC – wurde als ein Beitrag zu dieser Entwicklung ins Leben gerufen. Nicht um ein anderes Ökosystem zu kopieren, sondern um die Bedingungen zu stärken, unter denen translationale Biotechnologie innerhalb des institutionellen Rahmens Deutschlands erfolgreich sein und gleichzeitig global wettbewerbsfähig bleiben kann.

CLIC ist eine öffentlich-private Partnerschaft, die in das Berlin Institute of Health (BIH) an der Charité eingebettet ist und in

Zusammenarbeit mit dem BioLabs-Netzwerk entwickelt wurde. Es unterstützt Biotech-Unternehmen in der Frühphase in den Bereichen fortgeschrittene und personalisierte Medizin – von zellulären und genetischen Therapien bis hin zu technischen Biologika, Biomaterialien und grundlegenden Technologien, die die Entwicklung und klinische Umsetzung verbessern.

Das verbindende Prinzip ist nicht die Modalität.

Es ist die Translation.

Und gerade bei der Translation stößt selbst starke Wissenschaft auf Reibungspunkte.

Wo Reibungen tatsächlich auftreten

In der frühen Phase der Biotechnologie kommt es selten vor, dass der Fortschritt aufgrund eines einzigen fehlgeschlagenen Experiments ins Stocken gerät. Häufiger verlangsamt er sich an den Schnittstellen – zwischen Wissenschaft und Regulierung, zwischen Entdeckung und Herstellung, zwischen akademischer Kultur und den Erwartungen der Investoren.

Ein Team kann überzeugende präklinische Daten vorlegen, aber nur begrenzte Klarheit über den regulatorischen Weg haben. Ein klinisch tätiger Gründer kann die operativen Realitäten der Produktionsskalierung unterschätzen. Eine computergestützte Plattform ist möglicherweise noch nicht in einem erstattungsfähigen klinischen Arbeitsablauf verankert. Ein akademisches Spin-off kann sich an die Kapitalmärkte wenden, ohne die Entwicklungsrisiken vollständig zu artikulieren.

Keine dieser Lücken spiegelt eine Schwäche wider. Sie spiegeln die inhärente Komplexität der translationalen Medizin wider.

In ausgereiften Ökosystemen mildern gesammelte Erfahrungen diese Kanten. Wissen zirkuliert. Die Erwartungen sind klarer. Berater und Kollegen verkürzen die Lernkurven.

In Ökosystemen, die ihre translationale Infrastruktur noch konsolidieren, muss diese Verbindungsebene bewusst aufgebaut werden.

CLIC wurde als Teil dieser Verbindungsebene konzipiert.



GARIMA BHARDWAJ

Über die Infrastruktur hinaus: Strukturierte Nähe gestalten

Ein Inkubator kann vieles sein. Zumindest kann er hochwertige Laborräume und gemeinsame Ressourcen bereitstellen. Diese Grundlage ist insbesondere in der fortgeschrittenen biomedizinischen Forschung unerlässlich.

Aber physische Infrastruktur allein verbessert die translationalen Ergebnisse nicht wesentlich.

Was die Entwicklung verändert, ist strukturierte Nähe – Nähe zu Klinikern, die die Patientenwege verstehen, zu regulatorischem Denken, das Entwicklungspläne prägt, zu Fertigungskompetenz, die die Skalierbarkeit beeinflusst, zu Investoren, die die globale Wettbewerbsfähigkeit bewerten, und zu Kollegen, die ähnliche Wendepunkte durchlaufen.

Die Position von CLIC innerhalb des BIH an der Charité ermöglicht den Zugang zu klinischem und translationalem Fachwissen. Die Zusammenarbeit mit BioLabs (<https://www.biolabs.io>) führt international ausgefeilte Standards für den Laborbetrieb und den Aufbau von Gemeinschaften ein. Ziel ist es, ein Umfeld zu schaffen, in dem Gründer frühzeitig mit kritischen Entwicklungsfragen konfrontiert werden, und zwar in einer Umgebung, die Iterationen unterstützt, anstatt sie zu bestrafen.

Nähe wird, wenn sie strukturiert ist, zur Disziplin.

Klinische Integration als frühzeitige Strategie

Die Nähe zu einem Krankenhaus ist nicht automatisch von Vorteil. Der Vorteil entsteht, wenn Gründer*innen sich aktiv mit den klinischen Realitäten auseinandersetzen.

Ein frühzeitiger Dialog mit Ärzt*innen und Unternehmer*innen kann klären, welche Endpunkte wichtig sind, wie Patienten durch die Versorgungssysteme gelangen und wo Hindernisse für die Einführung auftreten können. Diese Gespräche können Entwicklungsstrategien verfeinern – und gelegentlich auch erheblich umgestalten –, bevor erhebliche Ressourcen gebunden werden.

ISAR Bioscience GmbH

ISAR Bioscience ist ein translationales Unternehmen, das Technologien und neue Therapien für degenerative Erkrankungen entwickelt. Wir arbeiten eng mit Forschungseinrichtungen und Firmen aus der Biotechnologie- und Pharmaindustrie zusammen. Dabei agieren wir als Brückenbauer zwischen diesen Institutionen und schaffen so eine direkte Verbindung zwischen Grundlagenforschung und neuen Therapien und Produkten.

Unser Schwerpunkt liegt auf dem krankhaften Funktionsverlust von Organen infolge von Alterung, vorzeitiger Degeneration oder durch ein fehlgesteuertes Immunsystem.

Wir benutzen induzierte pluripotente Stammzellen, so genannte iPS-Zellen, um in Zellkultur Modelle für diese Erkrankungen zu schaffen und neue Therapien zu testen – zum Beispiel innovative Antikörper für die Alzheimer-Krankheit. Für einige Erkrankungen entwickeln wir auch aus ganz spezifische Zellen, die zum Beispiel als Therapeutika für Autoimmun-Erkrankungen entwickelt werden. Wir forschen auch an LNP/RNA-basierten Therapien.

Wir benutzen induzierte pluripotente Stammzellen, so genannte iPS-Zellen, um in Zellkultur Modelle für diese Erkrankungen zu schaffen und neue Therapien zu testen – zum Beispiel innovative Antikörper für die Alzheimer-Krankheit. Für einige Erkrankungen entwickeln wir auch aus ganz spezifische Zellen, die zum Beispiel als Therapeutika für Autoimmun-Erkrankungen entwickelt werden. Wir forschen auch an LNP/RNA-basierten Therapien.



ISAR Bioscience GmbH
Sammelweisstraße 5 · 82152 Planegg
www.isarbioscience.de



Innerhalb von CLIC wird eine strukturierte klinische Zusammenarbeit frühzeitig gefördert. Das Ziel besteht nicht darin, Unsicherheiten zu beseitigen, sondern vermeidbare Fehlausrichtungen zu reduzieren. Wenn Entwicklungspläne von Anfang an den realen klinischen Kontext widerspiegeln, sind nachgelagerte Anpassungen oft weniger störend.

Das gleiche Prinzip gilt für die regulatorische Planung.

Frühzeitige Einbeziehung regulatorischer und produktionstechnischer Überlegungen

Bei der nachträglichen Analyse verzögerter oder ins Stocken geratener Programme tauchen zwei Themen immer wieder auf: Die regulatorische Strategie wurde zu spät eingeführt und die Komplexität der Herstellung wurde unterschätzt.

Fortschrittliche und personalisierte Therapien – ob zellulär, genetisch, biologisch oder plattformbasiert – reagieren besonders empfindlich auf diese Dimensionen. Überlegungen zu Chemie, Herstellung und Kontrollen (CMC) beeinflussen die Skalierbarkeit, Reproduzierbarkeit, Kostenstrukturen und das

Vertrauen der Investoren. Regulatorische Rahmenbedingungen prägen die Gestaltung präklinischer und klinischer Studien lange vor der Einreichung formaler Anträge.

Wenn diese Faktoren aufgeschoben werden, treten sie in der Regel mit höheren technischen und finanziellen Kosten wieder auf.

CLIC integriert frühzeitige Arbeitsgespräche zu Zielproduktprofilen, IND/CTA-Logik, CRO-Engagement, Qualitätssystemen und Produktionsbewusstsein. Dabei handelt es sich nicht um abstrakte Seminare, sondern um praktische Sitzungen, die darauf abzielen, den wissenschaftlichen Fortschritt mit der Entwicklungsdurchführbarkeit in Einklang zu bringen.

In Ökosystemen, in denen eine solche Disziplin Teil der Kultur ist, verinnerlichen Gründer sie implizit. Wo sich diese Kultur noch in der Entwicklung befindet, muss sie gestaltet werden.

Innerhalb der institutionellen Realität agieren – und diese verbessern

Deutschlands Forschungseinrichtungen sind streng, und das zu Recht. Die Gründung von Unternehmen im Kontext einer Uni-

IUF – Leibniz-Institut für umweltmedizinische Forschung

Die zentrale Forschungsmission des IUF ist die zielgerichtete und personalisierte Prävention umwelt-induzierter Alterung und assoziierter Krankheiten. Dafür untersucht das IUF, welche Rolle Umwelteinflüsse hierbei spielen, welche Mechanismen dahinterstecken, wie diese ineinandergreifen, wer besonders betroffen ist und wie wir im Einzelnen den negativen Effekten von Umwelteinflüssen entgegenwirken können. Im Fokus der Arbeit stehen die Auswirkungen von Sonneneinstrahlung, Luftverschmutzung, ausgewählten Chemikalien und das Zusammenspiel mit Klimafaktoren – auf die Lunge, die Haut, das zentrale Nervensystem

und das Immunsystem. Das IUF nutzt humane induzierte pluripotente Stammzellen (iPSCs), um 2D- und 3D-Modellen zu erzeugen, die es ermöglichen, umweltbedingte Alterungsprozesse und damit verbundene Krankheiten zu untersuchen. Zudem werden Tools entwickelt, um die Qualitätskontrolle von iPSCs zu verbessern.

IUF – Leibniz-Institut für umweltmedizinische Forschung
Auf'm Hennekamp 50 · 40225 Düsseldorf
🌐 www.iuf-duesseldorf.de



IUF
LEIBNIZ-INSTITUT
FÜR UMWELT-
MEDIZINISCHE
FORSCHUNG

versitätsklinik ist mit Governance-Rahmenwerken, Verträgen, Compliance-Standards und Sicherheitsprotokollen verbunden, die nicht umgangen werden können.

Für Gründer*innen kann dies komplex erscheinen.

Ein gründerorientierter Inkubator in diesem Umfeld muss daher Transparenz priorisieren. Klare Onboarding-Wege, vorhersehbare Erwartungen und aktive Kommunikation über institutionelle Schnittstellen hinweg reduzieren Unsicherheiten, ohne Standards zu beeinträchtigen.

CLIC arbeitet innerhalb dieses Gleichgewichts: Es führt Agilität ein, wo immer dies möglich ist, und bewahrt gleichzeitig die Integrität, die in einem klinisch orientierten Umfeld unerlässlich ist.

Aus internationaler Sicht stellt dieses Gleichgewicht sowohl eine Herausforderung als auch eine Chance für Berlin dar. Die akademische Tiefe der Stadt ist eine strukturelle Stärke. Die Unternehmensgründung innerhalb dieser Tiefe systematischer zu gestalten – weniger abhängig von individueller Navigation – ist Teil der nächsten Phase der Reifung des Ökosystems.

Gemeinschaft als operativer Hebel

Eine weitere Lehre aus reiferen Ökosystemen ist, dass die Gemeinschaft nicht nur dekorativ ist. Sie ist operativ.

Wenn Gründer Erfahrungen über die Auswahl von CROs, regulatorisches Feedback, Rückschläge in der Fertigung oder die Sorgfaltspflicht von Investoren austauschen, beschleunigt sich das kollektive Lernen. Wenn der Aufbau von Unternehmen in akademischen Umgebungen sichtbar wird, gewinnt er an Legitimität. Wenn Investoren auf eine kuratierte und glaubwürdige Pipeline stoßen, vertieft sich ihr Engagement.

Das BioLabs-Modell betont bewusst diese Gemeinschaftsebene. In Berlin trägt es zu einem umfassenderen kulturellen Wandel bei, indem es Unternehmertum als natürliche Erweiterung der translationalen Forschung und nicht als Abweichung davon positioniert.

Auf lange Sicht ist eine solche Normalisierung von Bedeutung. Sie beeinflusst die Karriereentscheidungen von Postdoktoranden, prägt das Engagement von Klinikern und signalisiert externen Kapitalgebern Seriosität.

Dichte schafft Vertrauen. Vertrauen zieht Beteiligung an. Beteiligung stärkt die Dichte.

Berlin im globalen Kontext

Die Frage, ob Berlin im Bereich der fortschrittlichen Biotechnologie global wettbewerbsfähig ist, spiegelt oft eine Vergleichsmentalität wider. Eine produktivere Herangehensweise berücksichtigt, wie Berlin seine eigenen Stärken nutzen kann.

Zu diesen Stärken gehören eine ausgeprägte akademische Forschungskapazität, klinische Exzellenz, zunehmende internationale Talente und eine wachsende Beteiligung von Risikokapital. Der Bereich für weitere Entwicklungen liegt in der operativen Kohärenz – der Abstimmung von Wissenschaft, klinischer Praxis, regulatorischer Planung, Produktionsbewusstsein und Kapital in integrierten Pfaden.

CLIC ist eine strukturelle Maßnahme, die auf diese Kohärenz abzielt. Es handelt sich dabei weder um eine eigenständige Lösung, noch ist dies beabsichtigt. Ökosysteme reifen durch kumulative Infrastruktur und gemeinsame Absichten.

Die Umsetzung wird wiederholbar, wenn Strukturen sie unterstützen.

Von der Initiative zur Disziplin

Das langfristige Ziel geht über die Förderung von Start-ups hinaus. Es besteht darin, die Umsetzung als Disziplin zu stärken.

Wenn die Umsetzung systematisch erfolgt, sind weniger Unternehmen auf außergewöhnliche individuelle Navigation angewiesen. Entwicklungspläne werden früher festgelegt. Die Fertigungslogik fließt in die Forschungsgestaltung ein. Klinische Partnerschaften werden strukturiert. Investorengespräche spiegeln realistische Wege wider.

Berlin ist gut positioniert, um eine bedeutende Rolle in der Zukunft der fortschrittlichen und personalisierten Medizin zu spielen. Um diese Rolle zu verwirklichen, sind Plattformen erforderlich, die wissenschaftliche Tiefe mit operativer Klarheit verbinden.

CLIC wurde unter dieser Prämisse konzipiert.

In der translationalen Wissenschaft sind Entdeckungen unverzichtbar. Aber es ist die Struktur, die Entdeckungen zu den Patienten bringt.

Der Aufbau dieser Struktur – durchdacht, kooperativ und mit internationaler Perspektive – ist die Aufgabe, die vor uns liegt.

Autorin: Garima Bhardwaj

Foto: BIH

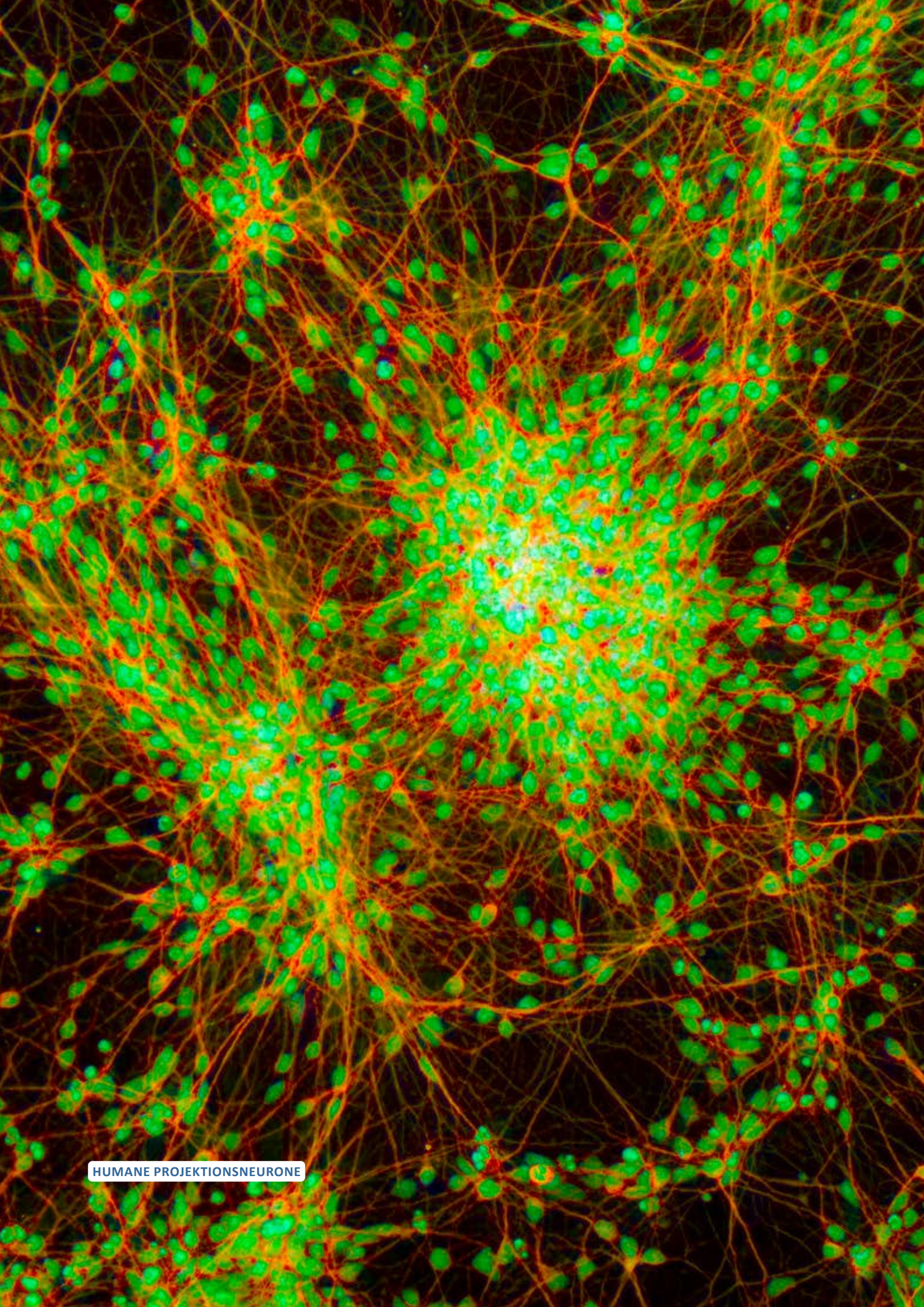
Leibniz-Institut für Zoo- und Wildtierforschung (Leibniz-IZW) im Forschungsverbund Berlin e.V.

Das Leibniz-IZW ist eine international renommierte Einrichtung der Leibniz-Gemeinschaft. Mit den Forschungszielen „Anpassungsfähigkeit verstehen und verbessern“ untersucht es die evolutionären Anpassungen von Wildtieren und ihre Belastungen durch den globalen Wandel und entwickelt neue Konzepte und Maßnahmen für den Artenschutz. Dafür setzt es seine breite interdisziplinäre Kompetenz u.a. in Evolutionsökologie und -genetik, Wildtierkrankheiten und Reproduktionsmanagement im engen Dialog mit Interessengruppen und der Öffentlichkeit ein. Die Abteilung „Repro-

duktionsmanagement“ unter der Leitung von Prof. Dr. Thomas B. Hildebrandt entwickelt Techniken zur Entnahme und langfristigen Lagerung von lebendem Zellmaterial von Wildtierarten. Die gesammelten Proben und die entwickelten Technologien, beispielsweise Stammzelltechnologien, können neue Perspektiven für den Artenschutz und den Erhalt von hoch bedrohten Wildtierarten eröffnen. Das Leibniz-IZW baut aktiv ein internationales Netzwerk inklusive Expertentreffen mit weltweit führenden Wissenschaftler*innen zum Wissensaustausch zu diesen Technologien auf.



Leibniz-Institut für Zoo- und Wildtierforschung (IZW) im Forschungsverbund Berlin e.V.
Alfred-Kowalke-Straße 17 · 10315 Berlin
🌐 www.leibniz-izw.de



HUMANE PROJEKTIONSNEURONE

HI-STEM, das Heidelberger Institut für Stammzelltechnologie und Experimentelle Medizin

Eigentlich sollte das neue Institut I-STEM heißen: Institut für Stammzelltechnologie und Experimentelle Medizin. Doch die Abkürzung war schon vergeben. „Da haben wir aus der Not eine Tugend gemacht und das H für Heidelberg vorangestellt“, erzählt Andreas Trumpp, Gründungsdirektor von HI-STEM. „Und so klingt es doch noch viel besser!“

HI-STEM wurde 2008 als Public-Private-Partnership zwischen dem öffentlich geförderten Deutschen Krebsforschungszentrum (DKFZ) und der privaten Dietmar Hopp Stiftung in Heidelberg gegründet. „Als gemeinnützige GmbH (gGmbH), das war wichtig, um uneingeschränkt innovative Forschung betreiben zu können“, betont Trumpp. Eine kommerziell orientierte GmbH, wie ursprünglich angedacht, hätte kaum frei forschen können, da für jede, auch noch so kleine, Kooperation oder Materialübertragung ein Vertrag mit Gewinnbeteiligung hätte ausgehandelt werden müssen. „In der Forschungsfreiheit ist HI-STEM als gGmbH mit einem öffentlichen Forschungsinstitut vergleichbar und hat eigene Arbeitsverträge und auch eigene Strukturen und Verpflichtungen gegenüber den Behörden. Dies gibt uns gewisse Freiheiten, so dass wir direkt auf die weltweit schnell voranschreitende Forschung reagieren und mithalten können, auf einigen Gebieten sogar die Führung übernehmen“, erläutert Trumpp.



ANDREAS TRUMPP

Mit Stammzellforschung den Krebs besiegen

Das selbstbewusste Ziel von HI-STEM ist es, mit Stammzellforschung den Krebs zu besiegen. „Wir waren als Krebsforscher eher Außenseiter in der Stammzellforschung, denn wir wollten die Stammzellen nicht wie die meisten Forschungsansätze für die Regeneration verlorengegangener Zellen bei degenerativen Erkrankungen nutzen, sondern umgekehrt, bösartige Krebsstammzellen vernichten“, berichtet der Molekularbiologe, der 2008 vom schweizerischen Krebsforschungsinstitut der EPFL in Lausanne ans DKFZ berufen worden war. Die Krebsstammzellen sind verantwortlich für die Entstehung, die Ausbreitung und die häufig beobachtete Therapieresistenz von Tumoren. Auch die gefürchteten Metastasen werden von Metastasen-Stammzellen initiiert, die sich über das Blut im Körper ausbreiten. Trumpps Forschungsgruppe hatte gerade herausgefunden, dass sich Krebsstammzellen während der Chemotherapie in ein Art Tiefschlaf fallen lassen und so die Krebstherapie oft unbeschadet

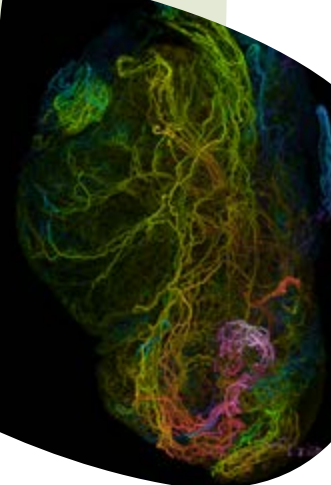
überstehen. Die Fähigkeit, reversibel schlafen zu können, haben sie von den gesunden Stammzellen übernommen. Um solche schlafenden Tumorzellen vollständig abzutöten, muss man sie also zunächst aufwecken und zur Teilung anregen.

Zu Beginn starteten fünf Arbeitsgruppen bei HI-STEM und widmeten sich hauptsächlich der Grundlagenforschung, wie der Charakterisierung von gesunden Blutstammzellen und der Rolle von Entzündungen auf die Regeneration des Blutsystems oder die Bildung von Leukämie-Stammzellen. Auch zur „Dormancy“, dem

Tiefschlaf der Stammzellen, gewannen die Wissenschaftlerinnen und Wissenschaftler neue Erkenntnisse, etwa was sie auslöst, wie man sie beenden kann, und warum es sie überhaupt gibt. Heute arbeiten neun Gruppen bei HI-STEM, das Institut ist von anfänglich 40 auf über 90 Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter angewachsen. Damit stieg auch die Förderung: Waren es 2008 bis 2013 noch 1,5 Millionen Euro pro Jahr, erhält HI-STEM mittlerweile die doppelte Summe von der Dietmar Hopp Stiftung. Das DKFZ bringt die Abteilung „Stammzellen und Krebs“ von Andreas Trumpp in die gGmbH mit ein und stellt allen HI-STEM Mitarbeitern die moderne DKFZ Infrastruktur zur Verfügung. Noch immer befindet sich das HI-STEM im vierten Stock des DKFZ, „doch wir platzen aus allen Nähten“, gibt Trumpp zu. Einige Gruppen sind daher „ausgelagert“, in andere Stockwerke des Haupthauses oder in Nebengebäude.

In der Klinik angekommen

„Mit den Jahren haben wir unser Themenspektrum erweitert und sind tatsächlich in der Klinik angekommen“, sagt Trumpp. „Dabei hat sich die unmittelbare Nähe zum Heidelberger Uniklinikum und zum Nationalen Centrum für Tumorerkrankungen, dem NCT, als großer Vorteil erwiesen.“ So beschäftigt sich eine der Gruppen bei HI-STEM mit dem neuen aufstrebenden Gebiet der Cancer-Neuroscience und plant eine klinische Studie mit Patienten, die an Bauchspeicheldrüsenkrebs leiden. Periphere Nervenzellen, die den Tumor innervieren, sollen gezielt



abgetötet werden, wodurch dem Tumor bestimmte Wachstums-signale entzogen werden und er gleichzeitig empfindlich gegen-über einer Immuntherapie wird. Trumpp selbst leitet ein Projekt mit dem Ziel Patienten mit Akuter Myeloischer Leukämie (AML) eine präzise, zielgerichtete Behandlung zu ermöglichen. Bislang erhalten nahezu alle neu diagnostizierten Betroffenen eine ag-gressive Chemotherapie - obwohl nur etwas mehr als die Hälfte tatsächlich davon auch profitiert. „Mit unserem MAC-Score kön-nen wir mit fast 100%iger Sicherheit vorhersagen, bei wem ein neuere Medikament Venetoclax, ein BCL-2 Inhibitor, wirksam ist, und diesen AML-Patienten dann eine effektivere und besser ver-trägliche Therapie anbieten.“ Das Ziel ist es, insbesondere jün-gere und körperlich fitte Patienten optimal auf eine Stammzell-transplantation vorzubereiten. Den MAC-Score setzen Kliniken

in den USA, Mexiko und Deutschland bereits ein. Zusammen mit Kollegen der Firma Becton Dickinson plant HI-STEM, ein standar-disiertes Antikörper-Testkit zu entwickeln, so dass auch Kliniken ohne spezielle Expertise die neue Diagnostik einsetzen können und innerhalb weniger Stunden die Ergebnisse für die Selektion von Patienten für die Venetoclax Therapie verwenden können. Eine zweite klinische Studie zu Darmkrebs in Zusammenarbeit mit der kalifornischen Firma Gilead Sciences Inc. ist in Planung, in der Darmkrebsstammzellen mit einem Antikörper-Wirkstoff-Konjugat bekämpft werden sollen. Und eine der HI-STEM-Grup-pen arbeitet tatsächlich an regenerativen Stammzell-Therapien. Diese sollen sowohl Parkinsonpatienten helfen, aber auch Kin-dern und Erwachsenen, die an einer Folge der Krebsbehandlung leiden, der strahleninduzierten Neurodegeneration. Die Wis-

Heidelberg Institute for Stem Cell Technology and Experimental Medicine (HI-STEM)

Die HI-STEM gGmbH ist eine öffentlich-private Partnerschaft des Deutschen Krebsforschungs-zentrums (DKFZ) und der Dietmar Hopp Stif-tung. Am DKFZ in Heidelberg betreibt HI-STEM Forschung an Stammzellen und findet neue klinische Anwendungen: Diagnose-Verfahren und Strategien, um Tumorstammzellen in Blut-krebs, soliden Tumoren sowie Metastasen zu bekämpfen. Prof. Dr. Andreas Trumpp und zehn Forschungsgruppenleiter führen ein internatio-nales Team:

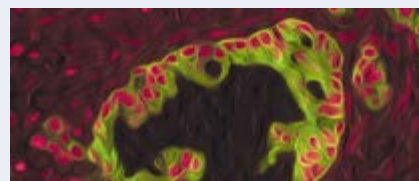
Hämatopoetische und leukämische Stamm-zellen (Andreas Trumpp), **Mustererkennung**

und digitale Medizin (Daniel Hübschmann), **Experimentelle Hämatologie** (Michael Milsom), **Stress-induzierte Aktivierung von HSCs** (Marieke Essers), **Krebs-Stammzellen und Metastasierung** (Martin Sprick & Andreas Trumpp), **Neuronale Reprogrammierung und Klinische Translation** (Marc Thier), **Tumorprogression und Metastasierung** (Rene Jackstadt), **Mechanismen des Zelltods und der Medikamente-Resistenz** (Hamed Alborzinia), **Hämatologie und Immune Engineering** (Mirco Friedrich), **Globale Präzisionsmedizin**



HI-STEM

HEIDELBERG INSTITUTE
FOR STEM CELL TECHNOLOGY
AND EXPERIMENTAL MEDICINE



HI-STEM gGmbH im Deutschen
Krebsforschungszentrum DKFZ
Im Neuenheimer Feld 280 · 69120
Heidelberg
🌐 www.hi-stem.de

senschaftler entnehmen hierzu den Patienten Blutzellen und reprogrammieren sie in neuronale Stammzellen. Aus diesen können sie verschiedene neuronale Zelltypen erzeugen, die sie den Patienten transplantieren wollen, um die verlorengegangenen Zellen zu ersetzen mit dem Ziel die klinischen Symptome ursächlich zu behandeln.

Das Geheimnis des Erfolgs

Über 200 Publikationen haben HI-STEM Wissenschaftlerinnen und Wissenschaftler in den vergangenen 17 Jahren veröffentlicht, viele davon in hochkarätigen Zeitschriften wie Nature, Cell, Science oder Cancer Discovery. Dazu kommt knapp ein Dutzend Patente, hohe Summen an zusätzlich eingeworbenen Drittmitteln und renommierte Forschungspreise. Ehemalige HI-STEM-Kolleginnen und Kollegen leiten heute Forschungsgruppen an Universitäten, Forschungseinrichtungen oder in der Pharmaindustrie. So ist Nina Cabezas-Wallscheid Professorin für Stammzellbiologie und Altern an der ETH Zürich. Sie erinnert sich gern an ihre Zeit bei HI-STEM: „Hier habe ich wesentliche wissenschaftliche Kompetenzen und Werkzeuge erworben und meine Sichtbarkeit und Vernetzung innerhalb der wissenschaftlichen Gemeinschaft erhöht. Beides war wertvoll und ein Sprungbrett



für meinen beruflichen Werdegang.“ Simon Haas besetzt eine Heisenberg-Professur für Systemmedizin in der Hämatologie am Berlin Institute of Health in der Charité. Er sagt: „HI-STEM bietet ein außergewöhnliches wissenschaftliches Umfeld. Hier verbindet sich wissenschaftliche Kreativität mit innovativen Technologien mit dem Ziel, die biomedizinische Translation voranzubringen. Meine Zeit bei HI-STEM beeinflusst bis heute die Art und Weise, wie ich Forschung betreibe.“ Längst ist das Institut bei Krebs- und Stammzellforschern im In- und Ausland bekannt, Bewerbungen auf Doktoranden-, PostDoc- oder Gruppenleiterstellen kommen aus aller Welt.

Und was ist das Geheimnis des Erfolges? Natürlich vor allem die großzügige Förderung durch die Dietmar Hopp Stiftung und das DKFZ. Aber auch: „Meine Devise war immer, besonders kluge, kreative und teamfähige Mitarbeiter ans HI-STEM zu ziehen und ihnen dann möglichst viel Freiheit zu geben. Das motiviert die jungen Wissenschaftler und sie stoßen oft auf völlig neue Erkenntnisse, die Fragen beantworten, die vorher noch niemand stellen konnte. Das ist das eigentlich Spannende an der Forschung, was begeistert und motiviert“, verrät Andreas Trumpp. „Diese Strategie hat sich ausgezahlt.“

Autorin: Stefanie Seltmann



MINT-EC fördert den MINT-Nachwuchs. Werden auch Sie Teil des Netzwerkes!

- Das nationale Excellence-Schulnetzwerk mit Sekundarstufe II und ausgeprägtem MINT-Profil
- Breites Veranstaltungs- und Förderangebot für Schüler*innen
- Fortbildungen und fachlicher Austausch für Lehrkräfte und Schulleitungen
- Netzwerk mit derzeit 348 zertifizierten Schulen
- Über 100 Partner*innen aus Hochschulen, Verbänden und Unternehmen

Machen Sie mit!

Mehr erfahren:
www.mint-ec.de





GSCN

Jahresbericht

Vorstände

Geschäftsführender Vorstand

Nach § 8 Absatz 1 der Satzung des German Stem Cell Network (GSCN) e.V. gehören dem geschäftsführenden Vorstand (Präsidium) der amtierende Präsident (Vorsitzender), die Seniorpräsidentin (1. stellvertretende Vorsitzende), die designierte Präsidentin (2. stellvertretende Vorsitzende), der Schatzmeister und der Beisitzer an. Im aktuellen Zeitraum von **Sept. 2025** an, setzt sich der geschäftsführende Vorstand aus folgenden Personen zusammen:

Amtierender Präsident (Vorsitzender)	Prof. Dr. Heiko Lickert (Institute of Diabetes and Regeneration Research, Helmholtz Munich) ✉ heiko.lickert@helmholtz-muenchen.de
Seniorpräsidentin (1. stellvertretende Vorsitzende)	Prof. Dr. Claudia Waskow (Leibniz Institute on Aging FLI, Jena) ✉ claudia.waskow@uni-jena.de
Designierte Präsidentin (2. stellvertretende Vorsitzende)	Prof. Dr. Sina Bartfeld (TU Berlin) ✉ s.bartfeld@tu-berlin.de
Schatzmeister	Dr. Michael Cross (Universität Leipzig) ✉ michael.cross@medizin.uni-leipzig.de
Beisitzer	Prof. Dr. Andreas Trumpp (DKFZ Heidelberg) a.trumpp@dkfz.de



GSCN VORSTANDSMITGLIEDER 2026

Erweiterter Vorstand

Dem erweiterten Vorstand, § 9 Punkt 1 der Satzung des GSCN e.V., gehören im Berichtszeitraum folgende Personen an:

Mareike Albert (TU Dresden) ✉ mareike.albert@tu-dresden.de	Oliver Brüstle (Universitätsklinik Bonn, Life & Brain) ✉ r.neuro@uni-bonn.de
Ingmar Glauche (TU Dresden) ✉ ingmar.glauche@tu-dresden.de	Mina Gouti (MDC Berlin) ✉ mina.gouti@mdc-berlin.de
Nina Graffmann (Universität Düsseldorf) ✉ nina.graffmann@med.uni-duesseldorf.de	Anne Grapin-Botton (MPI für Molekulare Zellbiologie und Genetik, Dresden) ✉ botton@mpi-cbg.de
Nico Lachmann (MH Hannover) ✉ lachmann.nico@mh-hannover.de	Stefan Liebau (Universität Tübingen) ✉ stefan.liebau@uni-tuebingen.de
Ana Martin-Villalba (DKFZ Heidelberg) ✉ a.martin-villalba@dkfz.de	Elvira Mass (Limes Institute Bonn) ✉ emass@uni-bonn.de
Ole Pleß (Fraunhofer ITMP, Hamburg) ✉ ole.pless@itmp.fraunhofer.de	Laura Steenpass (DSMZ – Leibniz Institute, Braunschweig) ✉ laura.steenpass@dsmz.de
Anja Trillhaase (Breitfeld) ✉ anja-trillhaase@gmx.de	Wolfgang Wagner (Uniklinik RWTH Aachen) ✉ wwagner@ukaachen.de
Robert Zweigerdt (MH Hannover) ✉ zweigerdt.robert@mh-hannover.de	

Nina Graffmann und Stefan Liebau wurden 2025 in den erweiterten Vorstand gewählt. Oliver Brüstle und Anne Grapin-Botton wurden erneut in den erweiterten Vorstand gewählt. Die langjährigen Vorstandsmitglieder Nina Cabezas-Wallscheid, Hartmut Geiger und Meritxell Huch schieden 2025 aus dem erweiterten Vorstand aus. Das GSCN bedankt sich für ihr Engagement und hofft, dass sie auch als reguläre Mitglieder und Koordinatoren der GSCN Fachgruppen weiterhin für die Belange des Netzwerks eintreten und für die Aktivitäten zur Verfügung stehen.

Fachgruppeninitiatoren

Wissenschaftliche Fachgruppen

Pluripotenz, Differenzierung & PSC-abgeleitete Modelle

Micha Drukker (Universität Leiden, NL)

✉ m.drukker@lacdr.leidenuniv.nl

Mina Gouti

Ralf Jauch (Universität Hongkong)

✉ ralf@hku.hk

Hans Schöler (emeritiert)

✉ h.schoeler@mpi-muenster.mpg.de

**Gewebe-Stammzellen
& -Organoide**
Sina Bartfeld
Thomas Braun (MPI für Herz- und
Lungenforschung, Bad Nauheim)

✉ thomas.braun@mpi-bn.mpg.de
Ana Martin-Villalba
Elly Tanaka (IMBA Institut Wien)

✉ elly.tanaka@imba.oeaw.ac.at
**Grundlagen der Hämatopoese,
deren Translation & Anwendung**
Nina Cabezas-Wallscheid (ETH Zürich)

✉ nina.cabezas@hest.ethz.ch
Simon Haas (BIMSB/MDC & BIH Berlin)

✉ simon.haas@bih-charite.de
Mick Milsom (HI-STEM Heidelberg)

✉ m.milsom@hi-stem.de
Timm Schroeder (ETH Zürich, Basel)

✉ tim.schroeder@bsse.ethz.ch
Claudia Waskow
**Stammzellen in Alterung &
Krankheiten (Krebs-Stammzellen)**
Hartmut Geiger (Universität Ulm)

✉ hartmut-geiger@uni-ulm.de
Michael Rieger (Goethe Universität Frankfurt)

✉ m.rieger@em.uni-frankfurt.de
Andreas Trumpp
**Stammzellen in regenerativen
Therapien**
Michael Cross
Ulrich Martin (MHH Hannover, LEBAO)

✉ martin.ulrich@mh-hannover.de
Wolfgang Wagner
**Stammzellen als Modellsysteme
für Krankheitsforschung &
Wirkstoffsuche**
Oliver Brüstle
Bert Klebl (Lead Discovery Center, Dortmund)

✉ klebl@lead-discovery.de
Karl-Ludwig Laugwitz (Klinikum r.d.l., TU München)

✉ klaugwitz@med1.med.tum.de
Harald Stachelscheid (Berlin Institute of Health
(BIH) in der Charité, Berlin)

✉ harald.stachelscheid@bih-charite.de
**Mathematische & informatische
Methoden der Stammzellbiologie**
Georg Füllen (IBIMA Rostock)

✉ fuellen@uni-rostock.de
Ingmar Glauche (TU Dresden)

Carsten Marr (Helmholtz Munich)

✉ carsten.marr@helmholtz-muenchen.de
Ingo Roeder (TU Dresden)

✉ ingo.roeder@tu-dresden.de

Strategische Fachgruppen

Förderprogramme und
-maßnahmenUlrich Martin
N.N.

Nachwuchsförderung

Marieke Essers (DKFZ & HI-STEM Heidelberg)✉ marieke.essers@hi-stem.de**Karin Höhne** (Berlin Institute of Health
(BIH) @ Charité,)✉ karin.hoehne@bih-charite.de**Pascal Röderer** (Uniklinik RWTH Aachen)✉ proederer@ukaachen.de**Insa Schröder** (GSI Darmstadt)✉ i.schroeder@gsi.deKlinische Studien &
regulatorische Prozesse**Andreas Kurtz** (Berlin Institute of Health
(BIH) @ Charité)✉ andreas.kurtz@charite.de**Torsten Tonn** (DRK-Blutspendedienst
Baden-Württemberg – Hessen)✉ t.tonn@blutspende.de**Zoltán Ivics** (Fraunhofer IZI, Leipzig)✉ zoltan.ivics@izi.fraunhofer.deÖffentlichkeitsarbeit &
Outreach-Aktivitäten**Tobias Cantz** (MHH Hannover)✉ cantz.tobias@mh-hannover.de**Ira Herrmann** (Life & Brain, Bonn)✉ iherrmann@lifeandbrain.comEthische, rechtliche und soziale
Aspekte – ELSA**Tobias Cantz**
tbdPatienteninformation
(z.B. Stammzelltherapien)**Ira Herrmann****Richard Schäfer** (Universitätsklinikum Freiburg,
Institut für Transfusionsmedizin und Gentherapie)✉ richard.schaefer@uniklinik-freiburg.deTechnologien in der
Stammzellforschung**Sebastian Diecke** (Max-Delbrück-Centrum, Berlin)✉ sebastian.diecke@mdc-berlin.de**Sebastian Knöbel** (Miltenyi GmbH,
Bergisch Gladbach)✉ sebastiank@miltenyi.com**Ole Pleß** (Fraunhofer ITMP, Hamburg)✉ ole.pless@itmp.fraunhofer.de

Daten und Fakten

Sitzungen

Sitzungen des geschäftsführenden Vorstands

Der Vorstand des GSCN e.V. trifft sich in regelmäßigen Abständen und führt Videokonferenzen durch. Die Sitzungen werden durch die Geschäftsstelle koordiniert und organisiert. Im Jahr 2025 fanden die folgenden Sitzungen des geschäftsführenden Vorstands statt:

- 06. Aug. 2025
- 14. Okt. 2025

Sitzung des erweiterten Vorstands

- 14. Okt. 2025

Mitgliederversammlung

- 15. Okt. 2025 in München

Übersicht der Mitglieder 2025

Mitglieder insgesamt		524
Natürliche Personen	Vollmitglieder	295
	Juniormitglieder	186
Juristische Personen	Forschungsinstitute	20
	Unternehmen > 20 Mitarbeiter in Vollzeit	8
	Unternehmen < 20 Mitarbeiter in Vollzeit	14
	Partnergeseellschaften	1
Kündigungen von Mitgliedern in 2025		50

Mitglieder der Fachgruppen

Wissenschaftliche Fachgruppen	Pluripotenz, Differenzierung & PSC-abgeleitete Modelle	270
	Gewebe-Stammzellen & -Organoide	229
	Grundlegende, translationale & angewandte Hämatopoese	114
	Stammzellen in Alterung & Krankheit (Krebsstammzellen)	224
	Stammzellen in Krankheitsmodellen & Entwicklung von Wirkstoffen	264
	Stammzellen in regenerativen Therapien	268
	Mathematische & informatische Methoden der Stammzellbiologie	92
Strategische Fachgruppen	Förderprogramme & -maßnahmen	201
	Nachwuchsförderung	217
	Klinische Studien & regulatorische Prozesse	164
	Öffentlichkeitsarbeit & Outreach-Aktivitäten	101
	Patienteninformation (z. B. Stammzelltherapien)	51
	Ethische, rechtliche und soziale Aspekte – ELSA	52
	Technologien in der Stammzellforschung	307

Stand 31.12.2025

Mitgliedsinstitute

- BIH Regeneration - BIH Center for Regenerative Therapies (BCRT), Berlin
- Center for Regenerative Therapies Dresden (CRTD)
- Deutsches Krebsforschungszentrum (DKFZ), Heidelberg
- Fraunhofer-Institut für Biomedizinische Technik IBMT, Sulzbach
- Fraunhofer-Institut für Translationale Medizin und Pharmakologie ITMP, Hamburg
- Fraunhofer-Institut für Produktionstechnologie IPT, Aachen

- Fraunhofer Translationszentrum Regenerative Therapien (TERM, Würzburg)
- GCT Netzwerkbüro, Berlin
- Helmholtz Zentrum München, German Research Center for Environmental Health
- Institut für Rekonstruktive Neurobiologie, Universität Bonn
- ISAR Bioscience, München
- IUF - Leibniz-Institut für umweltmedizinische Forschung GmbH, Düsseldorf
- Klinische Forschergruppe KF05024, Erlangen
- Leibniz-Institut für Alternsforschung/Fritz-Lipmann-Institut (FLI) e.V., Jena
- Leibniz-Institut für Zoo- und Wildtierforschung im Forschungsverbund Berlin e.V.
- Max Delbrück Center (MDC), Berlin-Buch
- Max-Planck-Institut für Herz- und Lungenforschung (MPI-HLR), Bad Nauheim
- Max-Planck-Institut für Molekulare Genetik (MPIMG), Berlin
- REBIRTH Exzellenzcluster, Medizinische Hochschule Hannover (MHH)
- TRON – Translational Oncology at the University Medical Center of the Johannes Gutenberg University, Mainz

Mitgliedsunternehmen

- Active Bioscience GmbH
- AMSBIO
- Biolamina
- bio-techne GmbH
- BioMérieux Deutschland GmbH
- bit.bio
- BlueRock Therapeutics
- Catalent Düsseldorf GmbH
- Eppendorf SE
- Green Elephant Biotech GmbH
- HI-STEM gGmbH
- iota Sciences
- Miltenyi Biotec B.V. & Co. KG
- OLS – OMNI Life Science GmbH & Co. KG
- PELOBiotech GmbH
- PeptiGrowth Inc.
- Proteintech Germany
- Sartorius Lab Instruments GmbH & Co. KG
- STEMCELL Technologies GmbH
- Takara Bio Europe SAS
- Thermo Fisher Scientific – LSG
- TreeFrog Therapeutics

Partnergesellschaften

- Deutsche Gesellschaft für Transfusionsmedizin und Immunhämatologie (DGTI) e.V.

Mitgliederversammlung des GSCN

Am 15. Okt. 2025 fand im Rahmen der 13. GSCN Konferenz die ordentliche GSCN Mitgliederversammlung 2025 mit 101 Teilnehmer*innen statt. Das Protokoll und die Präsentation zur Mitgliederversammlung stehen im GSCN Intranet HumHub im Ordner Membership Documents zur Verfügung.



Aktivitäten 2025/2026

Das Netzwerk

GSCN Konferenz 2025

Die 13. GSCN Konferenz fand in München mit knapp 500 Teilnehmer*innen statt und war geprägt von intensivem wissenschaftlichem Austausch. Vom 15. bis 17. Okt. 2025 tagte das GSCN im Konferenzzentrum Neuherberg mit einer Industriemesse mit 39 Ausstellern, 144 Postern, 54 Talks und sechs internationalen Keynotes.

Non-PI-Meeting 2025

Zum Non-PI-Meeting trafen sich am 14. Okt. 2025 im Konferenzzentrum Neuherberg bei München 24 Nachwuchswissenschaftler*innen. Die Teilnehmer*innen diskutierten neben ihren eigenen wissenschaftlichen Arbeiten und Problemstellungen im Arbeitsalltag Karrierewege mit eingeladenen PIs. Die Organisator*innen Pascal Röderer (Aachen) und Gülce Percin (Köln) hatten das Treffen eigenständig und hervorragend organisiert. Eine Übernachtung und ein gemeinsames abendliches Dinner finanzierte das GSCN.

Wissenschaftspreise GSCN Awards 2025

Der GSCN 2025 Young Investigator Award geht an **Aydan Bulut-Karslıoğlu** vom Max-Planck-Institut für molekulare Genetik in Berlin.

Der GSCN 2025 Hilde Mangold Award geht an **Michaela Frye** vom Deutschen Krebsforschungszentrum (DKFZ) in Heidelberg.

Der GSCN Publication of the Year Award 2025 geht an **Bryce Lim, Aryan Kamal, ... , Judith Zaugg** und **Moritz Mall**. Sie erhalten den „GSCN 2025 Publication of the Year Award“ für ihre gemeinsame Veröffentlichung „Active repression of cell fate plasticity by PROX1 safeguards hepatocyte identity and prevents liver tumorigenesis“ in der Fachzeitschrift Nature Genetics 57, 668–679 (2025).

Der hybride GSCN Stem Cell Club

Der GSCN Stem Cell Club (GSCC) ist ein Format der BIH Dialogplattform Stammzellforschung. Es ist eine Präsenz-Vorlesung mit einem auswärtigen und einem Berliner Sprecher aus der Stammzellforschung, die auch als hybride Vorlesung angeboten wird. In Berlin folgt auf die beiden Talks ein soziales Beisammensein mit Drinks und Fingerfood, um das Netzwerken vor Ort zu fördern. Der Termin hat sich auch international etabliert: Weltweite Teilnehmer interessieren sich für das monatliche Treffen und schalten sich online zu. Das Line-Up der Sprecher*innen ist beachtlich (siehe Details auf der GSCN Webseite: Conferences & Events -> GSCN Stem Cell Club (GSCC)) und die Diskussionen funktionieren hybrid ausgezeichnet.

4x GSCN-on-Tour in 2025

GSCN-Geschäftsführer Daniel Besser und Kommunikatorin Stefanie Mahler waren in 2025 viermal mit dem Konzept eines lokalen Stammzellsymposiums in Deutschland unterwegs:

31. März 2025: Leipzig (Michael Cross)

2. April 2025: Hannover (Uli Martin)

24. Nov. 2025: Köln & Bonn (Kurt Pfannkuche & Oliver Brüstle)

26. Nov. 2025: Aachen (Wolfgang Wagner)

Die Idee: Das GSCN präsentiert sich als Netzwerk, organisiert vor Ort ein Stammzell-Symposium mit lokalen Sprechern und bringt viele Forscher*innen aus den verschiedenen Instituten einer Stadt zusammen. Alle vier GSCN on Tour Events waren sehr gelungen mit spannenden Vortragstagen mit vielen Möglichkeiten zum Get-Together und Netzwerken.

Das GSCN beteiligte sich 2025 mit Sessions, Öffentlichkeitsveranstaltungen und finanzieller Unterstützung an vielen erfolgreichen Online- und On-site-Veranstaltungen:

GSCN beim ISSCR Jahresmeeting 2025

Das GSCN war beim ISSCR Meeting vom 11. bis 14. Juni 2025 in Hong Kong, China, sehr präsent. Das GSCN organisierte wieder sehr erfolgreich den GSCN Meeting Hub am 13. Juni 2025 in der Ausstellungshalle des Meetings als Treffpunkt für deutsche Wissenschaftler*innen und andere interessierte Kolleg*innen.

Als „WunderBar“ Event lud das GSCN die deutschen Stammzell-Wissenschaftler*innen und viele Freunde, sowie die deutschen Konsule in Hong Kong am 11. Juni 2025 abends in einen Club zu Drinks und Fingerfood ein, um das Netzwerken auf der ISSCR fortzusetzen – ein WunderBar-Abend voll gelungener Begegnungen.

IGLD-Tagung 2025/2026

Die Tagung der GSCN-Partnerorganisation Interdisziplinäre Gruppe für Labor und Durchflusszytometrie (IGLD) fand vom 05. bis 08. März 2025 und vom 04. bis 07. März 2026 jeweils in Frankfurt a. M. statt. Das GSCN beteiligte sich mit mehreren Joint Sessions in beiden Jahren, u.a. mit einem Vortrag von Heiko Lickert 2025 und Nina Cabezas-Wallscheid 2026. Andreas Trumpp hielt 2026 ebenfalls einen Keynote-Vortrag.

DGTI-Jahreskongress 2025

Das GSCN unterstützte finanziell die Jahrestagung der Gesellschaft für Blut, Zellen & Gewebe (DGTI) vom 17. bis 19. Sept. 2025 in Mannheim. Die gemeinsame GSCN-DGTI Session fand am Freitag, 19. Sept. von 10:30 – 12:00 Uhr statt. Die Vortragenden waren Robert Zweigerdt (MH Hannover), Gülce Percin (CECAD Köln), Mengdi Yin (LMU München) und Rabea Dettmer (MH Hannover), die auch einen „Best Abstract Award“ der DGTI bekommen hat.

EuroGCT-Workshop 2025 in Berlin

Der EuroGCT Workshop für Wissenschaftskommunikation am 17. und 18. Nov. 2025 fand in Berlin am Rahel Hirsch Center (BIH/Charité) statt. Stefanie Mahler und Daniel Besser gestalteten das Programm gemeinsam mit der Geschäftsstelle von EuroGCT in Edinburgh. Zusammen mit anderen europäischen Partnern tauschten sie sich über Formate des Public Outreach, KI in der Forschung und Kommunikation sowie Patientenbeteiligung bei klinischen Studien aus.

Wissenschaftliche GSCN Veranstaltungen 2025

Computational GSCN Workshop in Berlin und München

In der Reihe Workshops der GSCN Arbeitsgruppen bot „Computational Stem Cell Biology“ mit Sara Jiménez (Helmholtz Munich) als Leiterin zwei herausragende Workshops an: Vom 7. bis 9. April 2025 boten Sara Jiménez und Tim Treis vom Labor Fabian Theis / Helmholtz Munich anfangenden und fortgeschrittenen Teilnehmenden vertiefte Einblicke in Datenauswertung und Quality Control unter Nutzung der beiden Sprachen R und Python. Der Workshop wurde in ähnlicher Form vom 13. bis 15. Okt. 2025 am Helmholtz Center Munich in Neuherberg von Sara Jiménez und Franziska Drummer angeboten.

PEI-GSCN-Workshop „The Product is the Process – Is it?“

Am 20. Nov. 2025 veranstaltete das GSCN mit den Partnern biotechnologieverbund berlin-brandenburg (bbb) e.V., Paul Ehrlich Institut (PEI), the German ZLG, Health Capital - Cluster Healthcare Industries Berlin Brandenburg & Berlin Partner in Potsdam den eintägigen Workshop „The Product is the Process – Is it? Manufacturing and Translation of ATMPs and Tissue- & Cell-based products“. Getrieben von bemerkenswerten Forschungserfolgen standen innovative Therapie- und Produkt-

konzepte für Arzneimittel für neuartige Therapien (ATMPs) zunehmend im Mittelpunkt des Interesses. Die Keynote hielt Heiko Lickert, Helmholtz Munich & Präsident des GSCN.

GSCN-Reisestipendien 2025

Die GSCN-Reisestipendien bieten Forschenden in Deutschland sowie GSCN-Mitgliedern im Ausland finanzielle Unterstützung für die Teilnahme an internationalen Konferenzen und Tagungen zur Stammzellforschung. Bereits zahlreiche Wissenschaftler*innen konnten dadurch an bedeutenden Veranstaltungen teilnehmen:

6th European Summer School on Microfluidics

 13. – 17. Okt. 2025

Niharika Patlolla (Hannover Medical School, MHH)

Stem Cell Summer School, Spetses, Greece

 12. – 19. Sept. 2025

Theresa Nägler (Hannover Medical School, MHH)

27th European Brain Barriers Meeting, Bern, Switzerland

 08. – 10. Sept. 2025

Markus Glaser (University Hospital Würzburg)

European Hematology Association (EHA) Congress, Milan, Italy

 12. – 15. Juni 2025

Alexander Seitz (Institute of Stem Cell Biology, RWTH Aachen)

ISSCR 2025, Hong Kong

 11. – 14. Juni 2025

Irene Talon (Max Planck Institute f. Molecular Genetics, Berlin)

Miriana Dardano (MH Hannover)

Laim Wilson (MH Hannover)

63rd Annual Particle Therapy Co-operating Group (PTCOG) Conference, Buenos Aires, Argentina

 02. – 07. Juni 2025

Tamara Bender (GSI Helmholtzzentrum für Schwerionenforschung, Darmstadt)

Gordon Research Conference (GRC) 2025 Epithelia Differentiation and Keratinization, Ventura, California, US

 31. Mai – 1. Juni 2025

Yidan Jiang (European Molecular Biology Laboratory (EMBL), Heidelberg)

Gordon Research Seminar and Conference: Functional Genomics of Human Brain Development and Disease, Ventura, California, US

 05. – 11. April 2025

Jule Truberg (DKFZ Heidelberg)

Stem cell models of neurodegeneration, Edinburgh, UK

 26. – 28. März 2025

Julien Klimmt (Paquet lab, Institute for Stroke and Dementia Research, LMU Munich)

European School of Haematology 5th Scientific Workshop: The Haematological Tumour Microenvironment and its Therapeutic Targeting, London, UK

 16. – 18. Feb. 2025

Osman Abhimata Nugraha (Institute for Medical Informatics and Biometry (IMB), TU Dresden)

Die Wissenschaftskommunikation

Öffentlichkeitsarbeit und Public Outreach präsentieren die Aufgaben und Arbeit einer Organisation als zielgerecht aufbereitete Information für verschiedene Gruppen. Bei der Stammzellforschung sind das für das GSCN politische Entscheidungsträger*innen, Schüler*innen, Patient*innen sowie die interessierte Öffentlichkeit.

GSCN veröffentlicht Kommentar in Nature Cell Biology

Stefanie Mahler, Sina Bartfeld und Daniel Besser veröffentlichten am 6. November 2025 einen Kommentar in *Nature Cell Biology* über das German Stem Cell Network (GSCN). Der Beitrag beschreibt die Entstehungsgeschichte, Struktur, Aufgaben und zukünftigen Perspektiven des Netzwerks und skizziert zugleich die Vision eines möglichen europäischen Stammzell-Netzwerks.

Den Artikel in *Nature Cell Biology* finden Sie hier.

UniStem Day 2025

Der UniStem Day in Deutschland hat am 14. März 2025 in 14 Städten stattgefunden. Ein Schwerpunkt lag dabei auf NRW mit 10 Städten und 17 Instituten sowie Berlin, Dresden und Jena. Der Stammzelltag für Schüler*innen dient der Vermittlung aktueller Stammzellforschung, der Begegnung mit Wissenschaftler*innen und der Diskussion in den Lebenswissenschaften, in Ethik und über diverse Berufsbilder in der Forschung.

Öffentlichkeitsveranstaltung München 2025

Am 17. Oktober 2025 organisierte das GSCN im Presseclub München am Marienplatz eine Öffentlichkeitsveranstaltung mit Kurzvideos und Podiumsdiskussion zum Thema „Verantwortlich für Wachstum, Krankheiten und neue Therapien: Stammzellen – die Alleskönner unter den Zellen“. Auf dem Podium diskutierten **Heiko Lickert** (Helmholtz Munich), **Anette-Gabriele Ziegler**, (Helmholtz Munich), **Hartmut Geiger** (Uni Ulm) und **Ole Pleß** (Fraunhofer IMP, Hamburg) mit Moderatorin **Stefanie Seltmann** (Heidelberg) über die neuesten Erkenntnisse ihrer Forschungsgebiete. Diabetes, seltene Erkrankungen, Weiterentwicklung zugelassener Medikamente zur Behandlung ganz anderer Erkrankungen (Drug Repurposing) und die Alterung von Stammzellen waren die Themen an dieser spannenden Veranstaltung.

Posterausstellung „Zellen fürs Leben“

Die modulare und interaktive Posterausstellung „Zellen fürs Leben“ bzw. „Stem Cells for Life“ mit ihren digitalen „Informationsräumen“ kam 2025 bei diversen Gelegenheiten und an verschiedenen Orten und Instituten zum Einsatz.

GSCN Unterrichtsmaterial „Stammzellen-verstehen.de“ und „Understanding-stemcell.info“

Das Unterrichtsmaterial des GSCN steht in beiden Sprachen zur Verfügung für die Allgemeinheit. Insbesondere Lehrer*innen sowie Fortbildungsmaßnahmen für Biologielehrer*innen nutzen sie besonders gerne. Eine Aktualisierung des Materials ist geplant.

Herausragende Journalistenkontakte

Das GSCN wurde auch 2025 ganzjährig von Journalisten für Interviews und Hintergrundgespräche angefragt. Daniel Besser war ein gefragter Interviewpartner sowohl im TV als auch für Zeitungsartikel – besonders aber für Hintergrundgespräche für Journalisten als Einordnung der Stammzellforschung in Bezug auf wissenschaftliche und ethische Fragen.

Weitere GSCN-Veranstaltungen

- Veranstaltung zu Stammzellen vor Medizinstudierenden an der Charité am 23. Mai und 21. November 2025 im Rahel Hirsch Center.
- Vortrag im Rahmen der Berlin Science Week am 1. November 2025
- Vortrag vor Schüler*innen am 8. Jan. 2026 am Heinrich-Schliemann-Gymnasium über die Aktion „Call-a-Scientist“ des biotechnologieverbund berlin-brandenburg (bbb).

Social Media GSCN

Das GSCN nutzt für seine Kommunikation viele Kanäle: Über die Mitgliederplattform Humhub, den Newsletter und die SM Kanäle LinkedIn und Bluesky, die GSCN Webseiten und Facebook erreicht das GSCN seine Mitglieder und interessierte Follower*innen. Auch Patient*innen melden sich ganzjährig und suchen Einschätzungen zu klinischen Studien und Aussichten von Stammzelltherapien.

Finanzen

Das GSCN ist ein gemeinnütziger Verein und finanzierte sich 2025 aus **Mitgliedsbeiträgen sowie über die gemeinsame Dialogplattform Stammzellforschung des Berlin Institute of Health (BIH) in der Charité**. Nach § 4 der Satzung des GSCN wird die Höhe der Mitgliedsbeiträge in einer von der Mitgliederversammlung erlassenen Beitragsordnung geregelt. Die Mitgliedsbeiträge sind auf dem Beitrittsformular des GSCN aufgeführt.

Das Geschäftsjahr ist das Kalenderjahr. Die Mitgliedsbeiträge werden zu Beginn des Geschäftsjahres fällig. Dem geschäftsführenden Vorstand obliegt die Erarbeitung des Jahresabschlusses des Vereins und die Vorlage an die Mitgliederversammlung. Die detaillierte **Darstellung der Finanzen** erfolgt in den Mitgliederversammlungen.

Es sei an dieser Stelle darauf hingewiesen, dass die Kündigung der GSCN-Mitgliedschaft einfach und formlos per E-Mail an die GSCN-Geschäftsstelle (office@gscn.org) vorgenommen werden kann. Das Schreiben muss bis zum 30. November des Jahres vorliegen, um die Mitgliedschaft für das nächste Geschäftsjahr (ab 1. Januar) zu kündigen.

Foto: GSCN



ERSTES GSCN-EHRENMITGLIED
WURDE 2025 HANS SCHÖLER.



GSCN

GermanStemCellNetwork