

# Stammzellforschung

Aktuelle wissenschaftliche und gesellschaftliche Entwicklungen

Herausgegeben von  
Martin Zenke | Lilian Marx-Stölting | Hannah Schickl



Forschungsberichte der interdisziplinären Arbeitsgruppen  
der Berlin-Brandenburgischen Akademie der Wissenschaften

# **Stammzellforschung**

Aktuelle wissenschaftliche und gesellschaftliche Entwicklungen

Herausgegeben von  
Martin Zenke | Lilian Marx-Stölting | Hannah Schickl



**Nomos**



Diese Publikation erscheint mit Unterstützung des Regierenden Bürgermeisters von Berlin – Senatskanzlei – Wissenschaft und Forschung und des Ministeriums für Wissenschaft, Forschung und Kultur des Landes Brandenburg.

Interdisziplinäre Arbeitsgruppen  
Forschungsberichte, Band 39

Herausgegeben von der Berlin-Brandenburgischen Akademie der Wissenschaften

**Die Deutsche Nationalbibliothek** verzeichnet diese Publikation in der Deutschen Nationalbibliografie; detaillierte bibliografische Daten sind im Internet über <http://dnb.d-nb.de> abrufbar.

ISBN 978-3-8487-4606-4 (Print)

ISBN 978-3-8452-8772-0 (ePDF)

1. Auflage 2018

© Nomos Verlagsgesellschaft, Baden-Baden 2018. Gedruckt in Deutschland. Alle Rechte, auch die des Nachdrucks von Auszügen, der fotomechanischen Wiedergabe und der Übersetzung, vorbehalten. Gedruckt auf alterungsbeständigem Papier.

# Vorwort

Die Stammzellforschung ist ein dynamisches Forschungsgebiet von hoher Relevanz nicht nur für verschiedenste Zweige der Biologie, Biomedizin und Biotechnologie, sondern auch für die öffentliche Diskussion gesellschaftlicher Konsequenzen. Während es bereits seit Langem klinische Erfolge mit blutbildenden Stammzellen gibt, rücken international inzwischen auch Zelltherapeutika aus anderen Stammzelltypen in die klinische Erprobung. Darüber hinaus sind im Bereich der Forschung in den letzten Jahren zahlreiche neue Methoden entwickelt worden, die neue Therapieansätze ermöglichen oder die Medikamentenentwicklung erleichtern, wie etwa die genetische Modifikation von Stammzellen durch verbesserte Genomeditierungsverfahren (CRISPR/Cas) und die Züchtung dreidimensionaler organähnlicher Strukturen (sog. Organoide). Die Bedeutung der Stammzellforschung spiegelt sich daneben auch in den anhaltenden Debatten der Geistes-, Rechts- und Gesellschaftswissenschaften um die normativen Implikationen wie die ethische Zulässigkeit und die gesellschaftspolitische Relevanz der Stammzellforschung. Kontrovers diskutiert wird dabei insbesondere die in Deutschland verbotene Gewinnung embryonaler Stammzellen aus menschlichen Embryonen.

Die Entwicklung der Gentechnologie sowie ihre über die Wissenschaft hinausreichende Relevanz für die Gesellschaft zu beobachten und zu begleiten, ist Aufgabe der interdisziplinären Arbeitsgruppe (IAG) *Gentechnologiebericht* der Berlin-Brandenburgischen Akademie der Wissenschaften (BBAW). Seit 2005 publiziert die von Ferdinand Huch 2002 initiierte Arbeitsgruppe regelmäßig Berichte über die unterschiedlichen Gentechnologien in Deutschland. Mit ihren systematischen Arbeiten will die IAG zu mehr Transparenz für einen objektivierten öffentlichen Diskurs beitragen und versteht sich insofern als Schnittstelle zwischen Wissenschaft, Politik und Öffentlichkeit. Ihr Anliegen ist ein langfristiges und unabhängiges Monitoring der Hochtechnologie. Neben der fortlaufenden Berichtsreihe in Form der Gentechnologieberichte publiziert sie zu diesem Zweck auch Themenbände, die einzelne Bereiche der Gentechnologie – wie hier die Stammzellforschung – detailliert in den Fokus nehmen.

Mit dem vorliegenden Themenband „Stammzellforschung“ bietet die IAG *Gentechnologiebericht* in diesem Sinn eine Übersicht über neue Entwicklungen dieses wichtigen Forschungsfeldes, seiner Anwendungen und seiner juristischen Implikationen. Der Band liefert eine umfassende Darstellung des aktuellen Forschungsstands sowie eine interdisziplinäre Analyse, die neben naturwissenschaftlichen Gesichtspunkten auch soziokulturelle, rechtliche und ethisch-philosophische Perspektiven einbezieht. Die inhaltliche Auseinandersetzung mit dem Thema wird durch die Darstellung von Problemfeldern und Indikatoren abgerundet, mit denen aktuelle Entwicklungen und Trends im Kontext der Stammzellforschung abgebildet und im Vergleich zum „Dritten Gentechnologiebericht“ (2015) fortgeschrieben werden.

Namentlich gekennzeichnete Beiträge geben nicht unbedingt die Meinung der Herausgeber und Herausgeberinnen oder der Arbeitsgruppe wieder. Die IAG verantwortet gemeinsam die Kernaussagen und Handlungsempfehlungen. Sie stellen die Meinung der Mitglieder der IAG dar, die nicht notwendigerweise von allen Mitgliedern der Berlin-Brandenburgischen Akademie der Wissenschaften vertreten wird; die Akademie steht jedoch hinter der Qualität der geleisteten Arbeit.

Ein herzlicher Dank gebührt allen Mitwirkenden an diesem Band. Dieser gilt in erster Linie den Autoren und Autorinnen sowie dem Herausgeber und den Herausgeberinnen Martin Zenke, Lilian Marx-Stölting und Hannah Schickl. Gedankt sei auch Sabine Könninger und Kathrin Hunze für ihre Mitwirkung an dem Themenband und Unterstützung des Buchprojektes, ferner dem Nomos Verlag für Satz und Druck und hier besonders Kristina Stoll für die gute Zusammenarbeit. Auch Ute Tintemann gebührt Dank für ihre vielfältige Unterstützung bei der Fertigstellung des Buches.

Die interdisziplinäre Arbeitsgruppe wird ihr Monitoring im kommenden Jahr mit dem vierten und letzten Gentechnologiebericht abschließen.

Martin Korte

Sprecher der interdisziplinären Arbeitsgruppe *Gentechnologiebericht* der  
Berlin-Brandenburgischen Akademie der Wissenschaften  
Braunschweig, im Oktober 2017

# Inhalt

Vorwort .....	5
---------------	---

*Lilian Marx-Stölting, Hannah Schickl, Martin Zenke*

Zusammenfassung .....	13
-----------------------	----

*Interdisziplinäre Arbeitsgruppe Gentechnologiebericht*

Kernaussagen und Handlungsempfehlungen zur Stammzellforschung .....	29
---	----

*Martin Zenke, Lilian Marx-Stölting, Hannah Schickl*

1. Aktuelle Entwicklungen der Stammzellforschung: eine Einführung .....	35
1.1 Stammzellen und ihr Potenzial .....	36
1.2 Adulte Stammzellen .....	38
1.3 Pluripotente embryonale Stammzellen .....	40
1.4 Humane induzierte pluripotente Stammzellen (hiPS-Zellen) .....	43
1.5 Direkte Reprogrammierung .....	43
1.6 Genome-Editing und Stammzellforschung .....	44
1.7 Die Debatte um ethische und rechtliche Aspekte der Stammzellforschung .....	44
1.8 Ausblick: Perspektiven der Stammzellforschung .....	48
1.9 Literatur .....	49

*Sabine Könninger und Lilian Marx-Stölting*

2. Problemfelder und Indikatoren zur Stammzellforschung .....	53
2.1 Einführung: Motivation und Zielsetzung .....	53
2.2 Problemfelder im Bereich der Stammzellforschung .....	54
2.3 Von alten und von neuen Problemfeldern – Ergebnisse, Nebenergebnisse und Einschätzungen .....	60

2.4	Indikatoren im Bereich der Stammzellforschung .....	64
2.5	Literatur .....	66
 <i>Lilian Marx-Stöltzing</i>		
3.	Zusammenfassungen zum Stand wissenschaftlicher und medizinischer Entwicklungen .....	69
 <i>Moritz Mall und Marius Wernig</i>		
3.1	Die neue Technologie der zellulären Reprogrammierung und ihre Anwendung in der Medizin .....	69
 <i>Johannes Jungverdorben, Andreas Till, Oliver Brüstle</i>		
3.2	Modellierung neurodegenerativer Erkrankungen mittels induziert pluripotenter Stammzellen (iPS-Zellen): ein Fokus auf Autophagie .....	76
 <i>Guangming Wu, Lei Lei, Hans R. Schöler</i>		
3.3	Totipotenz im Mausmodell .....	81
 <i>Silvia Basilico und Berthold Göttgens</i>		
3.4	Fehlregulierung der regulatorischen Programme von Blutstammzellen bei akuter myeloischer Leukämie (AML) .....	85
 <i>Sina Bartfeld und Hans Clevers</i>		
3.5	Aus Stammzellen abgeleitete Organoide und ihre Bedeutung für die biomedizinische Forschung und Therapie .....	90
 <i>Boris Fehse</i>		
4.	Genomeditierung durch CRISPR und Co .....	97
4.1	Das Genom, Genomreparatur und Genome-Editing .....	97
4.2	Designernukleasen – Prinzip und erste Enzymklassen .....	98
4.3	CRISPR/Cas – Designernuklease, die eigentlich gar keine ist .....	102
4.4	Stammzellforschung und klinische Anwendung des Genome-Editings	106
4.5	Danksagung .....	109
4.6	Literatur .....	109

*Peter Löser, Anke Guhr, Sabine Kobold, Andrea E. M. Seiler Wulczyn*

5.	Zelltherapeutika auf der Basis humaner pluripotenter Stammzellen: internationale klinische Studien im Überblick .....	115
5.1	Einleitung .....	115
5.2	Klinische Studien unter Nutzung von humanen pluripotenten Stammzellen .....	117
5.3	Experimentelle klinische Anwendungen von hES-Zellen .....	125
5.4	Autologe versus allogene Stammzelltherapie .....	126
5.5	Klinisch nutzbare humane pluripotente Stammzelllinien .....	128
5.6	Klinische Studien unter Nutzung von Derivaten pluripotenter Stammzellen in Deutschland .....	129
5.7	Fazit und Ausblick .....	131
5.8	Literatur .....	131

*Daniel Besser, Ira Herrmann, Martin Heyer*

6.	Ungeprüfte Stammzelltherapieangebote .....	139
6.1	Einleitung .....	139
6.2	Angebote ungeprüfter Stammzelltherapien .....	140
6.3	Rechtliche Einordnung .....	144
6.4	Informationsangebote .....	148
6.5	Fazit .....	149
6.6	Literatur .....	150

*Vasilija Rolfes, Uta Bittner, Heiner Fangerau*

7.	Die bioethische Debatte um die Stammzellforschung: induzierte pluripotente Stammzellen zwischen Lösung und Problem? .....	153
7.1	Ziele und Methoden der Studie .....	154
7.2	Ergebnisse .....	156
7.3	Diskussion .....	165
7.4	Fazit und Schlussbemerkung .....	173
7.5	Danksagung .....	174
7.6	Literatur .....	174

*Christine Hauskeller und Clara Hick*

8.	Embryonen, Tiermodelle, Chimären. Stammzell-Ethik in Großbritannien und Deutschland .....	179
8.1	Übersicht .....	179
8.2	Einleitung .....	180
8.3	Gesetze zur Regulierung der Forschung mit und an menschlichen Embryonen .....	184
8.4	Genetisch angemischte Embryonen .....	189
8.5	Tierschutz .....	200
8.6	Zusammenfassende Überlegungen – Analyse .....	202
8.7	Literatur .....	206

*Sara Gerke und Jochen Taupitz*

9.	Rechtliche Aspekte der Stammzellforschung in Deutschland: Grenzen und Möglichkeiten der Forschung mit humanen embryonalen Stammzellen (hES-Zellen) und mit humanen induzierten pluripotenten Stammzellen (hiPS-Zellen) .....	209
9.1	Die Einführung und die Verwendung von hES-Zellen nach dem Stammzellgesetz .....	209
9.2	Die Hoffnungsträger: hiPS-Zellen .....	226
9.3	Zusammenfassende Thesen .....	230
9.4	Danksagung .....	231
9.5	Literatur .....	231

*Joseph Straus*

10.	Patentierung und Kommerzialisierung im Bereich der Stammzellforschung .	237
10.1	Einleitung .....	237
10.2	Patentierung und Lizenzierung .....	240
10.3	Ökonomische Aspekte .....	245
10.4	Patentierung in Europa .....	255
10.5	Schlussbemerkung .....	271
10.6	Literatur .....	273

*Sabine Könninger, Kathrin Hunze, Lilian Marx-Stölting*

11.	Daten zu ausgewählten Indikatoren im Bereich der Stammzellforschung ....	277
11.1	Einführung und Übersicht .....	277
11.2	Indikatoren .....	284
11.3	Zusammenfassung.....	320
11.4	Literatur .....	322
12.	Anhang .....	323
12.1	Abbildungen und Tabellen .....	323
12.2	Autorinnen und Autoren .....	326
13.	Online-Anhang .....	331

