

SAXOCELL®

Abschlussbericht Teil I: Kurzbericht

Berichtszeitraum: 01.10.2021 – 30.09.2024

Verbundvorhabentitel:

SaxoCell Clinics: Aufbau einer zentralen Struktur für klinische und regulatorische Aspekte im Bereich Gen- und Zelltherapie zur Optimierung der Translation von klinischen Studien und Professionalisierung der Beratung und Netzwerkbildung

Einreichender Zuwendungsempfänger:

Universität Leipzig (UL) 03ZU1111OA

25.03.2025, Prof. Dr. Uwe Platzbecker, Projektleiter

GEFÖRDERT VOM

GEFÖRDERT VOM



**CLUSTERS
4 FUTURE**
Innovationsnetzwerke
für unsere Zukunft



Bundesministerium
für Bildung
und Forschung

Koordinator:

Prof. Dr. med. Uwe Platzbecker,
Universität Leipzig (ULE), Medizinische Fakultät

Partner inklusive Förderkennzeichen:

Universität Leipzig: 03ZU1111OA

Assoziierte Partner:

Prof. Dr. med. Martin Bornhäuser,
Universitätsklinikum Carl Gustav Carus Dresden (UKD)
PD Dr. med. Mathias Hänel, Klinikum Chemnitz (KC)

Das diesem Bericht zugrundeliegende Vorhaben wurde mit Mitteln des Bundesministeriums für Bildung und Forschung unter dem Förderkennzeichen 03ZU1111OA gefördert. Die Verantwortung für den Inhalt dieser Veröffentlichung liegt bei der Autorin/beim Autor.

Verantwortliche Autoren

Prof. Dr. med. Uwe Platzbecker
Silke Gloaguen

Fortschritte in der biomedizinischen Forschung und der breite Einsatz von Hochdurchsatztechnologien liefern wertvolle Einblicke in biologische Mechanismen, die die Grundlage für personalisierte Medizin bilden. Dieser Weg abseits von „one-fits-all“-Ansätzen birgt das Potenzial für bisher nicht erfasste Ergebnisse in Bezug auf das Ansprechen der Patienten auf die Behandlung, das Überleben und die Lebensqualität.

Über konventionelle Wirkstoffe hinaus haben jüngste Fortschritte in Wissenschaft und Technologie zur Entwicklung von Arzneimitteln geführt, die aus gentechnisch veränderten Zellen und Geweben bestehen. Diese neu entwickelten Produkte können zwar unter dem Oberbegriff „biologische Arzneimittel“ oder „Biologika“ subsumiert werden, weisen jedoch differenzierte und einzigartige Eigenschaften auf, die eine Einordnung als eigenständige Arzneimittelart rechtfertigen. Diese Spezialarzneimittel werden daher als „Arzneimittel für neuartige Therapien – ATMPs“ bezeichnet.

Die hochinnovative, biologisch komplexe und personalisierte Natur dieser Produkte birgt zahlreiche Herausforderungen in Bezug auf die klinische Entwicklung und den Weg zur Marktzulassung, die mit einem signifikanten Investitionsbedarf in Form von finanziellen und personellen Ressourcen einhergehen. Vor allen Dingen aber ist gebündeltes Know-how die Grundvoraussetzung für eine erfolgreiche Durchführung entsprechender Forschungsvorhaben. Das SaxoCell-Cluster ist ein hervorragendes Beispiel für derartige Kooperationsaktivitäten - Partner aus Universitäten, hochschulnahen Organisationen und Biotechunternehmen bündeln Kompetenzen, um neue Entwicklungen im Bereich der akademisch getriebenen ATMP-Forschung voranzutreiben.

Das für SaxoCell-Clinics formulierte Ziel war, Ressourcen und Dienstleistungen bereitzustellen, um innovative Forschungsprojekte mit direktem klinischem Bezug innerhalb des SaxoCell-Clusters bestmöglich zu unterstützen. Die Plattform soll hierbei zum einen als klinischer Ansprechpartner für Projektpartner als auch als Schnittstelle bzw. Kommunikator zwischen Forschungsinstituten, Behörden, der Industrie sowie anderen SaxoCell-Plattformen und Projekten fungieren.

Konkrete Ziele wurden hierfür wie folgt festgelegt:

1. Etablierung einer zentralen koordinierenden Struktur für klinische und regulatorische Aspekte im Bereich Gen- und Zelltherapie innerhalb des SaxoCell-Clusters
2. Beratung und Netzwerkbildung
3. Optimierung der Translation von klinischen Studien der Phasen 1-3 im Bereich Zell- und Gentherapie
4. Aufbau eines Registers und Harmonisierung des Biobankings für Zell- und Gentherapien in Sachsen

Über die Projektlaufzeit wurden diese Ziele konsequent verfolgt und im Folgenden sind die wichtigsten Ergebnisse für jedes der Ziele dargestellt:

1. Etablierung einer zentralen koordinierenden Struktur für klinische und regulatorische Aspekte im Bereich Gen- und Zelltherapie innerhalb des SaxoCell-Clusters

Zu Beginn der Projektlaufzeit wurde eine Teamstruktur erstellt, Ansprechpartner für konkrete Themen benannt und entsprechend Aufgaben konkretisiert. Die Teammitglieder nahmen an allen regelmäßigen Treffen im Cluster teil, haben sich in diesem Kontext wiederholt in der etablierten Struktur vorgestellt und sind jederzeit als Ansprechpartner für die Projekte und Arbeitsgruppen des Clusters verfügbar gewesen.

2. Optimierung der Translation von klinischen Studien der Phasen 1-3 im Bereich Zell- und Gentherapie

Im Rahmen dieses zweiten Plattformziels hat SaxoCell-Clinics konkret an zwei geplanten klinischen Projekten mitgewirkt.

Das SaxoCell-Projekt ECP-CAR sollte Bioproben von Patient:innen mit aggressiven Lymphomen auswerten, die mittels eines neuen Verfahrens mit einer CAR-T-Zell-Therapie im Rahmen einer klinischen Studie behandelt werden. In diesem Kontext hat SaxoCell-Clinics die Planung der entsprechenden Studie begleitet. Das Team hat eng mit der Landesdirektion Sachsen sowie dem PEI kooperiert und im Rahmen von zwei PEI-Advice-Verfahren, im Besonderen bei der Vorbereitung, maßgeblich mitgewirkt.

Zudem waren im Cluster, im Zusammenhang mit dem CAR-NK 4.0-Projekt, zwei klinische Studien geplant, im Rahmen derer Patient:innen mit akuter Leukämie oder einer Vorstufe einer solchen, mit CAR-NK-Konstrukten behandelt werden sollten. Das Clinics-Team hat für diese beiden Studien bei der Studienplanung sowie an der Entwicklung der Prüfpläne mitgewirkt und maßgeblich an Drittmittelansuchen zur Finanzierung der Studien (die nicht im Rahmen des Clusters abgedeckt war), gearbeitet.

3. Beratung und Netzwerkbildung

Folgende Formate hat die Clinics-Plattform initiiert, geplant und durchgeführt und damit zum Wissens- und Informationsaustausch beigetragen:

- Zwei „Working Paper“ zu Themen des Clusters verfasst und diese im Cluster und darüber hinaus gestreut
- Durchführen einer edukativen Veranstaltung „Workshop klinische Studien mit ATMPs“ mit hochkarätigen Referenten über zwei Tage
- Abhalten eines „parlamentarischen Abends“ in der Vertretung des Freistaates Sachsen beim Bund in Berlin mit einem breiten Publikum aus Politik, Wirtschaft und Akademia
- Unterstützung bei der Durchführung eines Patiententags, an dem Betroffene und Interessierte sich über verfügbare Zelltherapien informieren konnten (in enger Zusammenarbeit mit dem SaxoCell-Hub).

Darüber hinaus wurde die Clinics-Plattform regelmäßig im Cluster vorgestellt und die entsprechenden Beratungsangebote untermauert. Auch haben Vertreter der Plattform jedes Jahr an hochkarätigen Konferenzen teilgenommen.

4. Aufbau eines Registers und Harmonisierung des Biobankings für Zell- und Gentherapien in Sachsen

Es wurde eine Grundlage zur Proben- und Datenerhebung geschaffen, um annotiertes Material von Patient:innen, die zelluläre Therapien erhalten haben, zentral zu sammeln. In die Bio-/Datenbank sind über die Projektlaufzeit 62 entsprechend annotierte Biomaterialproben eingeflossen.



SAXOCELL®

Abschlussbericht Teil II: eingehende Darstellung pro Zuwendungsempfänger
Berichtszeitraum: 01.10.2021 – 30.09.2024

Verbundvorhabentitel:

SaxoCell Clinics: Aufbau einer zentralen Struktur für klinische und regulatorische Aspekte im Bereich Gen- und Zelltherapie zur Optimierung der Translation von klinischen Studien und Professionalisierung der Beratung und Netzwerkbildung

Einreichender Zuwendungsempfänger:
Universität Leipzig (UL) 03ZU1111OA

25.03.2025, Prof. Dr. Uwe Platzbecker, Projektleiter

GEFÖRDERT VOM



Bundesministerium
für Bildung
und Forschung

GEFÖRDERT VOM



**CLUSTERS
4 FUTURE**
Innovationsnetzwerke
für unsere Zukunft



Bundesministerium
für Bildung
und Forschung

Koordinator:

Prof. Dr. med. Uwe Platzbecker,
Universität Leipzig (ULE), Medizinische Fakultät

Partner inklusive Förderkennzeichen:

Universität Leipzig: 03ZU1111OA

Assoziierte Partner:

Prof. Dr. med. Martin Bornhäuser,
Universitätsklinikum Carl Gustav Carus Dresden (UKD)
PD Dr. med. Mathias Hänel, Klinikum Chemnitz (KC)

Das diesem Bericht zugrundeliegende Vorhaben wurde mit Mitteln des Bundesministeriums für Bildung und Forschung unter dem Förderkennzeichen 03ZU1111OA gefördert. Die Verantwortung für den Inhalt dieser Veröffentlichung liegt bei der Autorin/beim Autor.

Verantwortliche Autoren

Prof. Dr. med. Uwe Platzbecker
Silke Gloaguen

Die Plattform SaxoCell Clinics verfolgte das Ziel, Ressourcen und Dienstleistungen bereitzustellen, um Forschungsprojekte mit klinischem Bezug innerhalb des SaxoCell-Netzwerks optimal zu unterstützen. Die Plattform fungierte neben den anderen Plattformen, wie SaxoCell-Systems oder auch SaxoCell-Omics, dabei sowohl als klinischer Ansprechpartner für die Projektpartner als auch als Kommunikator und Schnittstelle zwischen den Forschungsinstituten, relevanten Behörden (wie z. B. das Paul-Ehrlich-Institut (PEI), der Landesdirektion und den Ethikkommissionen), der Industrie sowie dem SaxoCell-Hub (ICP, PAP) und den anderen beiden Plattformen.

Der Fokus von SaxoCell Clinics lag hierbei primär auf:

1. Etablierung einer zentralen koordinierenden Struktur für klinische und regulatorische Aspekte im Bereich Gen- und Zelltherapie innerhalb des SaxoCell-Clusters
2. Beratung und Netzwerkbildung
3. Optimierung der Translation von klinischen Studien der Phasen 1-3 im Bereich Zell- und Gentherapie
4. Aufbau eines Registers und Harmonisierung des Biobankings für Zell- und Gentherapien in Sachsen

Basierend auf diesen Zielen wurden entsprechende Arbeitspakete formuliert, deren Umsetzung im Folgenden detailliert erläutert wird.

Arbeitspaket 1: Vorbereitung und Aufbau der Koordinierungsstelle

Das erste Arbeitspaket konzentrierte sich zunächst auf den personellen Aufbau der Plattform. Die erforderlichen Personalstellen (1x wissenschaftliches Personal und 1x nicht-wissenschaftliches Personal) wurden zeitnah und angemessen besetzt, wobei eine geringfügige Verzögerung auftrat, die den Projektstart jedoch nicht nachhaltig beeinträchtigte. Das Personal nutzte Weiterbildungsangebote, um bestmöglich qualifiziert zu sein und eine hochwertige Beratung zu gewährleisten.

Die erarbeiteten Handlungsanweisungen und Dokumente wurden gezielt an die Anforderungen der Clinics-Plattform angepasst, insbesondere im Hinblick auf die klinische Beratungsstruktur und das Projektmanagement.

Da Clinics sich von Beginn an als zentraler Ansprechpartner und Kommunikator verstand, wurden frühzeitig Schnittstellen zum SaxoCell-Hub sowie weiteren relevanten Stakeholdern des Clusters geschaffen. Dadurch konnte eine effektive Meeting-Struktur etabliert und die Zusammenarbeit innerhalb des Netzwerks nachhaltig gestärkt werden.

Arbeitspaket 2: Beratung und Netzwerkbildung

Es gab im Laufe des Projekts in verschiedener Hinsicht Kontakt zu Behörden (PEI, Landesdirektion Sachsen) und Ethikkommissionen, u. a. im Zusammenhang mit dem ECP-CAR-Projekt, bei der Planung und Durchführung des *Advanced Therapy Medicinal Products* (ATMP)-Workshops und beim Einholen des Ethikvotums für die Biobank.

Die Beratungsformate wurden erfolgreich etabliert und anhand von zwei Projekten, ECP-CAR und CAR-NK 4.0, erprobt. Weitere clusterinterne Anfragen wurden ebenfalls entgegengenommen und bestmöglich bearbeitet.

Zur initial geplanten PHOTOCAR-Studie, die im Zusammenhang mit dem ECP-CAR-Projekt steht, wurden unter der Federführung der Clinics-Plattform zwei PEI-Advices begleitet und abgehalten: im November 2022 und im Mai 2023. Auch hat das Team im Rahmen der Vorbereitungen für die geplante PHOTOCAR-Studie im engen Austausch mit der Landesdirektion Sachsen gearbeitet, um die Herstellungserlaubnis für das ECP-Verfahren im GMP-Labor der Medizinischen Fakultät Leipzig zu erhalten. Nach dem intensiven Austausch mit dem PEI wurde in Abstimmung mit der Behörde beschlossen, das Konzept der PHOTOCAR-Studie nochmals zu überarbeiten, da sich für das Design im Rahmen der initialen Planung regulatorische Herausforderungen ergaben. Dies führte zu Verzögerungen in der Umsetzung der Studie, was aber das damit assoziierte Cluster-Projekt (ECP-CAR) nicht beeinträchtigte, da hierfür alternativ Patientenproben gewonnen werden konnten.

Für zwei im Zusammenhang mit dem CAR-NK-Projekt geplante Studien sollten planmäßig ebenfalls PEI-Advices vorbereitet und durchgeführt werden. Hierbei handelte es sich um eine Studie im Bereich der myelodysplastischen Neoplasien (MDS) und eine Studie im Kontext minimaler Resterkrankung (MRD) bei akuter myeloischer Leukämie (AML). Bei beiden Studien sollten jeweils CAR-NK-Konstrukte zum Einsatz kommen, die aus dem CAR-NK-Projekt hervorgehen sollten. Da sich die entsprechenden präklinischen Arbeiten und Ergebnisse, die Voraussetzung für eine behördliche Beurteilung der Studien sind, verzögerten, konnten bislang keine PEI-Advices durchgeführt oder andere behördliche Schritte eingeleitet werden. Die Advisory-Board-Meetings des Clusters fanden planmäßig statt, im Rahmen derer die Clinics-Plattform jeweils ihre aktuellen und geplanten Aktivitäten präsentierte. Das Board gab wertvolle Rückmeldungen und Empfehlungen, die in die weitere Planung der sich in Vorbereitung befindlichen Studien und Aktivitäten einfließen.

Neben den erwähnten Studienprojekten wurden laufend zusätzliche Möglichkeiten zur Unterstützung der Projekte und Wissenschaftler im Cluster sowie zur Identifizierung neuer Ansätze, Ideen und Kooperationen eruiert. Das SaxoCell Clinics-Team besuchte, häufig zusammen mit kooperierenden Medizinerinnen aus der Klinik und Poliklinik für Hämatologie, Zelltherapie, Hämostaseologie und Infektiologie des Universitätsklinikums Leipzig (UKL), nationale und internationale hochkarätige Konferenzen und Meetings mit thematischem Bezug zu Zell- und Gentherapien.

Weiterhin hat das Clinics-Team die Veranstaltung „parlamentarischen Abend“ am 16.01.2024 in der Vertretung des Freistaates Sachsen beim Bund in Berlin mit einem breiten Publikum aus Politik, Wirtschaft und Akademia maßgeblich organisiert. Nach der Begrüßung durch den damaligen Staatssekretär Conrad Clemens und den Grußworten des Wissenschaftsministers Sebastian Gemkow folgten Flash-Präsentationen rund um das Thema innovative Zelltherapien. Das Thema wurde an diesem Abend aus der Sicht der Behandler und Forscher, einer erfolgreich behandelten Patientin sowie Industrie und Politik beleuchtet. Abgerundet wurde die Veranstaltung durch eine Diskussionsrunde mit hochkarätiger Besetzung. Teilnehmer waren u. a. die medizinischen Vorstände des Universitätsklinikums Leipzig (UKL) und des Universitätsklinikums Dresden (UKD). Das Interesse war groß und unterstrich die Wichtigkeit und Aktualität des Themas.

Am 21.05.2024 fand ein Patientennachmittag mit Fokus auf Zell- und Gentherapien am UKL in Kooperation mit der Klinik und Poliklinik für Hämatologie, Zelltherapie, Hämostaseologie und Infektiologie statt. Der Nachmittag war als Informations- und Weiterbildungsveranstaltung konzipiert und hatte zum Ziel, dieses neue und spannende Thema betroffenen Patienten, deren Angehörigen sowie allen interessierten Laien näher zu bringen. Im Kontext der Veranstaltung hatte das Clinics-Team Kontakt zu Patientenvertretern hergestellt und die Veranstaltung im Vorfeld über verschiedene Kanäle gestreut, um darauf aufmerksam zu

machen. Ein ehemaliger Patient des UKL, Herr Stefan Schwarz, eröffnete die Veranstaltung mit einer Leseprobe aus seinem autobiografischen Buch über seine Erkrankung („Bis ins Mark“). Der erste Teil des Patientennachmittags fokussierte sich auf den Weg, den Patienten, die eine Zell- oder Gentherapie erhalten, durchlaufen, beginnend bei der Überweisung durch Fachärzte an entsprechende spezialisierte Kliniken, über die dort durchgeführte Behandlung bis hin zur Nachsorge in Reha-Einrichtungen. Experten des UKL und einer Rehaklinik gaben Einblicke in die praktischen Abläufe und Herausforderungen der Gen- und Zelltherapie. Der zweite Block der Veranstaltung widmete sich den potentiellen Folgen der Therapie, wie z. B. Fatigue oder Depression. Spezialisierte Unterstützungsangebote wurden durch das „Haus Leben e. V.“ in Leipzig vorgestellt, wie z. B. psychoonkologische Betreuung, Sportkurse und Ernährungsberatung.

Durch die Vorbereitung und Durchführung dieser Veranstaltung konnten wertvolle neue Kontakte geknüpft und das Netzwerk gezielt erweitert werden.

Arbeitspaket 3: Optimierung der Translation und Koordination klinischer Studien/Projekte

In Zusammenarbeit mit dem Zentrum für Klinische Studien (ZKS) der Universität Leipzig wurde die klinische Projektplattform implementiert, kontinuierlich weiterentwickelt und erfolgreich optimiert.

Da die Clinics-Plattform nur bedingt Einfluss auf die präklinische Entwicklung der Produkte innerhalb der F&E-Projekte von SaxoCell hatte, war der Umfang der in diesem Kontext konkret durchgeführten Arbeiten zu einem signifikanten Teil vom Fortschritt der Projekte abhängig. Die Produktentwicklung, insbesondere im Bereich der ATMP, ist erfahrungsgemäß ein langwieriger Prozess. Zu tatsächlichen Einreichungen von Studienprotokollen über das CTIS-Portal für den konkreten Beginn klinischer Studienprojekte konnte aufgrund von Verzögerungen in den Projekten, besonders aufgrund der noch ausstehenden präklinischen Arbeiten (CAR-NK-Studien) und regulatorischen Herausforderungen, die sich nach PEI-Beratungen ergeben hatten (PHOTOCAR), nicht erfolgen.

Zur Schulung und Optimierung der Qualifikation der Projektpartner wurden vom Clinics-Team zwei Working Papers erarbeitet und ein Workshop durchgeführt. Das erste Working Paper befasste sich mit dem Thema „ATMPs – An Introduction to the Scientific, Clinical, and Regulatory Framework“ und diente als umfassende Einführung in die wissenschaftlichen, klinischen und regulatorischen Grundlagen von ATMPs. Dank der tatkräftigen Unterstützung von GMP-Experten konnte die Working Paper Series mit einer zweiten Auflage fortgesetzt werden: „Manufacturing of ATMPs – An Overview on the Applicable Regulations“. Dieses Paper bietet einen detaillierten Überblick über die regulatorischen Anforderungen in der Herstellung von ATMPs. Die Working Papers wurden gezielt innerhalb des Clusters auf Veranstaltungen verbreitet und stehen im internen Bereich der SaxoCell-Webseite zum Download zur Verfügung.

Am 16. und 17.03.2023 organisierte die Clinics-Plattform in Leipzig einen Workshop mit dem Scherpunkt „klinische Studien mit ATMPs“. Die Einführung in den Workshop übernahm die Leiterin des Koordinierungszentrums für klinische Studien in Dresden (KKS). Weiterhin gab ein Biometriker wichtige Hinweise zur Optimierung von Studiendesigns aus statistischer Sicht. Der erste Tag wurde durch zwei weitere Vorträge zur regulatorischen Einordnung und wichtigen Aspekten, die es bei der Entwicklung eines ATMPs zu beachten gilt, abgerundet. Der zweite Tag des Workshops startete mit einem Fokus auf GMP-Aspekte im Rahmen klinischer Studien mit ATMPs, u. a. mit einem Vortrag einer Referentin der Arzneimittelüberwachung der Landesdirektion Sachsen. Zum Ausklang wurden, u. a. von

Medizinern, verschiedene konkrete Studienbeispiele aus der Praxis vorgestellt. Die Veranstaltung wurde als sehr positiv und hilfreich bewertet und soll in dieser oder ähnlicher Form in der zweiten Förderphase weitergeführt werden.

Die Clinics-Plattform wurde darüber hinaus regelmäßig clusterintern vorgestellt und die Beratungsangebote wurden kontinuierlich untermauert.

Arbeitspaket 4: ATMP Register und Biobank (SaxoCellBio)

Im Bereich Register und Datenharmonisierung wurde eine zentrale Basis für eine strukturierte Proben- und Datensammlung etabliert, um annotiertes Material von Patienten mit zellulären Therapien systematisch zu erfassen. Insgesamt wurden n=62 Patientenproben erfasst. Auch wurde eine zentrale Lagerung der Proben inkl. Logistikkonzept geschaffen.

Die wichtigsten Positionen des zahlenmäßigen Nachweises:

- **Personal (0812 und 0817):**

Im Rahmen von SaxoCell Clinics konnten zwei Personalstellen erfolgreich besetzt werden. Die wissenschaftliche Personalstelle spielte eine entscheidende Rolle bei der Erstellung der Dokumente zur Vorbereitung der beiden PEI-Advices für das Projekt ECP-CAR. Zudem wurde wissenschaftlicher Input für die Prüfpläne des Projekts CAR-NK 4.0-Projekt bereitgestellt.

Ein weiteres Ergebnis war die Erarbeitung des ersten Working Papers, während beim zweiten Working Paper konzeptioneller Input eingebracht wurde. Zudem wurden Anfragen zu regulatorischen Fragestellungen innerhalb des Clusters bearbeitet.

Darüber hinaus wurde eine Bio-/Datenbank konzipiert und umgesetzt. Ein wissenschaftliches Programm für den Workshop „klinische Studien mit ATMPs“ wurde entwickelt. Zudem fand aktives Netzwerken mit externen Stakeholdern statt, insbesondere mit dem ZKS, KKS sowie relevanten Behörden als auch Patientenvertretern.

Die zweite, nicht wissenschaftliche, Personalstelle übernahm ergänzend zur wissenschaftlichen Personalstelle administrative Unterstützung. Dazu gehörten unter anderem das Vertragsmanagement mit externen Stakeholdern sowie die Planung und Durchführung von Veranstaltungen.

Aufgrund der erzielten Ergebnisse können die Positionen als erfolgreich und zielführend bewertet werden.

- **Gegenstände (0850):**

Zu Beginn der Projektlaufzeit wurden zwei Laptops als Hardware sowie Software angeschafft, um beiden Personalstellen eine effektive und reibungslose Arbeitsweise zu ermöglichen.

- **Reisekosten (0846):**

Um eine bestmögliche Beratung für clusterinterne Anfragen zu gewährleisten, wurden Weiterbildungsangebote genutzt und wahrgenommen sowie fachspezifische Konferenzen besucht.

- **Vergabe von Aufträgen (0835):**

Zu dieser Position zählen die Beratungen bei dem PEI. PEI-Advices sind mit hohen Kosten verbunden. Bei der Beantragung der Plattform wurden dementsprechende Kosten berücksichtigt und für zwei PEI-Advices genutzt.

- **Druckkosten für die Working Papers und Catering für diverse Veranstaltungen (0843):**

Die Working Papers wurden nicht nur digital im Mitgliederbereich der Website bereitgestellt, sondern auch als Druckexemplare zur Verfügung gestellt. Für den zweitägigen ATMP-Workshop im März 2023 wurden externe Referenten mit ausgewiesener Expertise aus Behörden, Industrie und klinischen Zentren (ZKS, KKS) eingeladen und entsprechend honoriert (über die Projektpauschale). Die Auswahl geeigneter und hochkarätiger Experten ist essentiell für den Mehrwert einer solchen Veranstaltung. Ebenfalls wurde das Catering für den genannten Workshop sowie für den parlamentarischen Abend in Berlin anteilig bezahlt.

Die Notwendigkeit und Angemessenheit der geleisteten Projektarbeiten:

Das Zukunftscluster SaxoCell verfolgt das Ziel, neue Produktionsmethoden und Anwendungsgebiete für innovative „lebende Arzneimittel“ zu erschließen. Diese sollen einerseits dazu beitragen, die Kosten für Gesundheitssysteme tragbar zu halten, und andererseits eine breitere medizinische Anwendung ermöglichen. So wird ein nachhaltiges Wirtschaftsmodell mit hohem Wertschöpfungspotenzial geschaffen. Dabei gehen die notwendigen Entwicklungsschritte über rein wissenschaftliche Fragestellungen hinaus und erfordern eine enge Verzahnung von Forschung, klinischer Anwendung und regulatorischer Umsetzung. Bei diesem letztgenannten Punkt setzt SaxoCell Clinics mit folgenden Projektzielen und erreichten Ergebnissen an, die innerhalb der ersten Förderphase erreicht werden konnten:

1. Aufbau einer zentralen Koordinierungsstruktur für klinische und regulatorische Aspekte der Gen- und Zelltherapie innerhalb des SaxoCell-Clusters
 - ➔ Ergebnis: Ein Team wurde gebildet und erfolgreich innerhalb des Clusters etabliert.
2. Beratung und Netzwerkbildung
 - ➔ Ergebnis: Durch die Erstellung der Working Papers, die Organisation eines Workshops zu klinischen Studien mit ATMPs sowie Veranstaltungen wie dem „parlamentarischen Abend“ sowie einem Patiententag in Leipzig wurde dieses Ziel erreicht. Zudem wurden clusterinterne Anfragen zu regulatorischen Anfragen bearbeitet.
3. Optimierung der Translation klinischer Studien der Phasen 1 bis 3 im Bereich Zell- und Gentherapie.
 - ➔ Ergebnis: Konkret wurde an zwei SaxoCell-Projekten (ECP-CAR und CAR-NK 4.0) diesbezüglich mitgewirkt.
4. Aufbau eines Registers und Harmonisierung des Biobankings für Zell- und Gentherapien in Sachsen.
 - ➔ Ergebnis: Das Register wurde erfolgreich aufgebaut.

Diese Ergebnisse unterstreichen sowohl die Notwendigkeit als auch den Erfolg der geleisteten Projektarbeiten und zeigen deutlich, dass die erarbeiteten Strukturen maßgeblich zur Weiterentwicklung des SaxoCell-Clusters beigetragen haben. Die erarbeiteten Strukturen und

Ergebnisse können in der nächsten Förderphase des Clusters fortgeführt und weiterentwickelt werden.

Der voraussichtliche Nutzen, insbesondere die Verwertbarkeit des Ergebnisses - auch konkrete Planungen für die nähere Zukunft - im Sinne des fortgeschriebenen Verwertungsplans:

Der voraussichtliche Nutzen und die Verwertbarkeit der Ergebnisse sind bereits eingetreten. Die Clinics-Plattform hat keine Produkte oder Verfahren hergestellt – die durch die Plattform erbrachten Leistungen und Ergebnisse sind vor allem indirekt für das Cluster und den Standort zu verwerten. Die erbrachten informativen Leistungen haben die Clustermitglieder in Bezug auf klinische Studien geschult und dazu beigetragen, dass das Verständnis für die entsprechenden Abläufe und Voraussetzungen, insbesondere bei Wissenschaftlern, die im Rahmen von grundlagenwissenschaftlichen oder translationalen Arbeiten im Forschungslabor tätig sind, entsteht und wächst. Dies wird in Zukunft dazu beitragen, wissenschaftliche Ergebnisse schneller und besser zu verwerten. Die Expertise des Clinics-Teams in klinischer Beratung, Projektentwicklung und Netzwerkbildung von F&E-Projekten wurde in die Strukturen des Clusters eingebracht und verspricht eine hohe Aussicht auf den Erfolg der langfristigen Umsetzung der SaxoCell-Ziele.

Der Zeithorizont für die Konzepte zur wirtschaftlichen Anschlussfähigkeit wurde initial auf 3 Jahre festgelegt, während für neue Produkte und Services am Markt ein langfristiger Zeithorizont von 8-12 Jahren gilt, abhängig von projektindividuellen Entwicklungszeiten und den regulatorischen Bedingungen der geplanten Produkte. Diese Aspekte sind laufend und noch nicht abschließend beurteilbar.

Die Ergebnisse des Projektes, wie Konzepte, Veranstaltungsreihen, die Bio-/Datenbank und Netzwerkstrukturen, wurden erfolgreich in die Innovationsprozesse des SaxoCell-Clusters und seiner kooperierenden Einrichtungen integriert. Diese Integration schafft eine einzigartige Möglichkeit für clusterinterne Partner, ihre Anforderungen und Stärken in die Konzeption und Ausgestaltung eines neuen Innovationsmodells einzubringen. Diese Ergebnisse wurden bereits erfolgreich umgesetzt und werden in der zweiten Förderphase innerhalb des Projektes SaxoCellutions, ehemals SaxoCell-Hub, nachhaltig erweitert und fortgeführt. Sie tragen dazu bei, die Zusammenarbeit und Innovationsfähigkeit der Partner kontinuierlich zu erhöhen, auch über die Projektdauer hinaus.

Das Ziel, klinisch-wissenschaftliche Projekte durch ein professionelles Beratungsangebot, den Zugang zu Netzwerkaktivitäten und optimiertes klinisches Projektmanagement gezielt einer wirtschaftlichen Verwertung näherzubringen und vorrangig wirtschaftlich anschlussfähig zu machen, wurde ebenfalls erreicht. In enger Abstimmung mit dem SaxoCell-Hub wurden die Verwertungsoptionen projektindividuell evaluiert und erfolgreich vorangetrieben. Der Zeithorizont für diese Maßnahmen liegt bei 3 bis 6 Jahren und ist bereits in die laufende Planung und Umsetzung integriert.

Der während der Durchführung des Vorhabens dem Zuwendungsempfänger bekannt gewordene Fortschritt auf dem Gebiet des Vorhabens bei anderen Stellen:

Da es sich um eine Plattform handelt, trifft dies auf SaxoCell Clinics nicht zu. Der während der Durchführung des Vorhabens dem Zuwendungsempfänger bekannt gewordene Fortschritt auf dem Gebiet des Vorhabens bei anderen Stellen ist für unser Projekt nicht relevant.

Die erfolgten oder geplanten Veröffentlichungen des Ergebnisses nach Nr. 5 der NKBF:

In unserem Projekt waren keine Veröffentlichungen geplant, da es sich um eine Plattform handelt, die vor allem zur Unterstützung, insbesondere in regulatorischen Fragen, konzipiert wurde, beispielsweise für klinische Studien.

Publiziert wurden in gewissem Sinne die beiden vorab genannten Working Paper.