12th Annual Personalized Medicine Conference

Personalisierte Medizin im Fokus

Die personalisierte Medizin ist in den letzten Jahren zunehmend stärker in den Mittelpunkt der Diskussionen gerückt. Zum einen, weil aufgrund des immer besseren molekularen Verständnisses der Tumorbiologie eine individuelle, auf den einzelnen Patienten exakt zugeschnittene, Behandlung häufiger möglich ist; zum anderen, weil die Kosten für die Behandlung die Möglichkeiten eines solidarischen Gesundheitswesens zu sprengen drohen. Darüber hinaus scheinen alte Studienkonzepte aufgrund der stärkeren Differenzierungen der Erkrankungen nicht mehr zu greifen.

Im Rahmen des 12. Kongresses der PMC (Personalized Medicine Coalition) diskutierten Onkologen, Diagnostiker, Investoren und Politiker über verschiedene Aspekte der personalisierten Medizin. Ein für die Forschung zentrales Thema ist die Konzeption klinischer Studien im Rahmen der personalisierten Medizin.

Für Janet Woodchuck, Direktorin des Center for Drug Evaluation and Research (CDER) an der Food and Drug Administration (FDA) in Silver Spring, MD/USA, stehen jedoch weniger neue Studienkonzepte im Mittelpunkt. Sie interessiert sich vielmehr für Daten, die den Erkrankungsverlauf einer neuen Subgruppe von Patienten beschreiben, in deren Tumor eine bestimmte Treibermutation entdeckt wurde: Welche Symptome kennzeichnen diese, wie aggressiv stellt sich dieser spezifische Tumor dar, wie beurteilen die Betroffenen die Symptome, wie ist ihre Prognose. Woodchuck zufolge gilt es, so früh wie möglich und so viele Daten wie möglich zu erheben und zwar nicht

nur im Hinblick auf die Wirkung eines Medikamentes, sondern auch im Hinblick auf den Verlauf jeder spezifischen Subgruppe einer Erkrankung. Denn ohne Kenntnis darüber, wie diese unterschiedlichen molekularen Marker beispielsweise die Prognose oder die Schwere der Symptome beeinflussen, so Woodchuck, ließen sich alte und neue Endpunkte nicht wirklich definieren. Für wichtig erachtet sie zudem Modelle, mit denen es möglich ist, aufgrund der gesammelten Daten den Verlauf der Erkrankung unter einer Therapie zu simulieren. Damit, so Woodchuck, bestünde auch die Möglichkeit, Studienkonzepte im Modell zu prüfen, um einen negativen Verlauf aufgrund eines fehlerhaften Studiendesigns auszuschließen.

Aus ihrer Sicht ist daher ein gut durchdachtes Entwicklungsprogramm Basis für den Erfolg eines zielgerichteten Medikaments, wobei die Einschätzung der Patienten ein wichtiger Baustein ist. Dabei, so Woodchuck, solle man die Patienten auch fragen, welche Risiken sie bereit sind, für eine erfolgreiche Therapie in Kauf zu nehmen.

Mehr als nur Diagnostik

Tieferes Tumorverständnis verbessert Patienten Chancen

Eine Transformation in der Behandlung von Krebspatienten, das hat sich Foundation Medicine zum Ziel gesetzt. Das 2010 gegründete Unternehmen versteht sich als „Anbieter molekularer Informationen“, denn neben der molekulardiagnostischen Ausrichtung des Unternehmens verfügt Foundation Medicine über eine riesige Datenbank mit Patientendaten, neuester Fachliteratur und Expertenwissen, mit dem die Ergebnisse der NGS („next generation sequencing“)-Diagnostik für jeden Patienten abgeglichen werden. Die behandelnden Ärzte erhalten nicht nur die molekulare Analyse, sondern gleichzeitig ein Dossier mit diesen Daten. Damit wolle man die behandelnden Ärzte bei ihrer Therapieentscheidung unterstützen, um für den Patienten den bestmöglichen Behandlungserfolg zu erwirken, erklärte Steven J. Kafka, Chief Business Officer (CBO) von Foundation Medicine, Cambridge, MA/USA, auf einem Workshop am Rande des PMC-Kongresses. Dabei, so Kafka, sieht sich Foundation Medicine als Partner für Arzt und Patient von der Diagnose über das Therapiemonitoring bis zur Nachsorge einer hoffentlich erfolgreichen Therapie.

Die molekulare Diagnostik basiert auf einer NGS-Analyse der Tumorgewebeproben, bei der derzeit auf über 300 bekannte genetische Veränderungen gescreent wird. Bei jedem Patienten wird somit ein umfassendes molekulares Tumorprofil erstellt. Für die Patienten, so Kafka, lasse sich dadurch nicht nur Zeit gewinnen, ihnen würden auch ineffektive Behandlungen erspart. Ein Beispiel: Bei einer Patientin mit kolorektalem Karzinom konnte aufgrund der umfassenden NGS-Analyse eine HER2-Mutation identifiziert werden. Sie wurde anschließend erfolgreich mit Trastuzumab behandelt. Hätte man sich auf die klassischen Genanalyse für das kolorektale Karzinom beschränkt, wäre die Patientin möglicherweise mit einer weniger effektiven Chemotherapie behandelt worden, erklärte Kafka.

Doris Berger

Der Wert der molekularen Diagnostik

Einen ganz anderen Aspekt der personalisierten Medizin sprach Peer M. Schatz, Chief Executive Officer (CEO) von Qiagen, Düsseldorf, an. Die medizinische Bedeutung, die eine umfassende genetische Analyse für den Behandlungserfolg eines Patienten hat, spiegelt sich seiner Meinung nach nicht in der Vergütung wider. So würden 70 % der Healthcare-Entscheidungen auf der Basis von diagnostischen Daten gefällt werden, aber nur 2 % der Ausgaben im Gesundheitswesen kämen der Diagnostik zugute. Die Vergütung von diagnostischen Leistungen folgt Schatz zufolge überholten Regeln. Bislang würden die Vergütungen sich an den Kosten des Produktes orientieren und nicht an dem Nutzen, den sie für den Patienten bedeuteten. Laut Schatz läuft man daher Gefahr, dass der Fortschritt im Hinblick auf die Biomarker-Forschung langsamer erfolgt als dies möglich wäre, wenn durch adäquate Vergütung mehr Ressourcen zur Verfügung stünden. Die Rolle der Diagnostik habe sich in der personalisierten Medizin vollkommen geändert. Während die klassische Diagnostik zur reinen Diagnosestellung eingesetzt worden sei, umfasse die molekulare Diagnostik sehr viel mehr, darunter die Therapieauswahl, die Messung von Therapieerfolgs und Prognose, die Beurteilung des Krankheitsverlaufes. Dies, so forderte Schatz, müsse sich künftig auch in der adäquaten Vergütung widerspiegeln.

Doris Berger

Bericht von der 12th Annual Personalized Medicine Conference vom 16. bis 18. November in Boston, MA/USA