

# Personalisierte Medizin – Chancen, Risiken und offene Fragen

GUDRUN SCHAICH-WALCH, STAATSSSEKRETÄRIN A.D. / DR. JÜRGEN BAUSCH



**F**ortschritte für Patienten sind nicht verbrieft, ein kontinuierliches Monitoring ist unverzichtbar.“ Mit dieser Grunderkenntnis haben wir über ein Kernergebnis der Frühjahrstagung des „Frankfurter Forums“ zur personalisierten Medizin berichtet, der dann im Herbst 2012 eine Präsentation konkreter Projekte folgte, über die in dieser Ausgabe zu berichten ist. Denn die Umsetzung der Forschungsergebnisse zur individualisierten Medizin in die Routineversorgung ist eine Herausforderung für die Pharma- und Diagnostikindustrie, aber auch für Ärzte, Patienten und Kostenträger.

Die forschende Pharmaindustrie wird sich in Zukunft wohl davon verabschieden müssen, dass Blockbuster für eine große Zahl von Patienten umsatzrelevant den Unternehmensgewinn bestimmen. Sie wird sich dem möglicherweise effizienteren Ansatz der Suche nach der besten Therapie für eine bestimmte Patientengruppe widmen.

Mit Hilfe von Biomarkern lassen sich bereits jetzt in ersten Ansätzen potenzielle Patientengruppen identifizieren, die von einer Behandlung profitieren. Diagnose und Therapie werden eine Einheit bilden, mit deren Hilfe die Patientengruppen herausgefiltert werden, denen das neue Medikament hilft. Was allerdings auch

bedeutet, dass Kranke mit negativem Testergebnis ohne therapeutische Alternative bleiben. Patienten werden sich beispielsweise darauf einstellen müssen, dass sie eventuell zu den 30 oder 40 Prozent gehören, deren Tumorerkrankung für die Behandlung mit einem neuen Medikament geeignet ist. Denkbar ist aber auch, dass sie zu den 60 oder 70 Prozent gehören, bei denen das neue Medikament wirkungslos sein wird. Mit diesen Folgen der stratifizierten Medizin müssen Ärzte und Patienten in gleichem Maße erst umgehen lernen. Ähnliches gilt für die Ergebnisse aus prognostischen und prädiktiven Gentests mit Hilfe der RT-PCR-Technik zur Genexpressionsanalyse aus Tumormaterial.

Die finanziellen Auswirkungen dieser Inventionen aus der Molekularbiologie auf das Gesundheitssystem sind kaum vorhersehbar. Es ist aber damit zu rechnen, dass die individualisierte Medizin nicht zur Reduzierung der Kosten, sondern eher zum Gegenteil führen wird. Selbstverwaltung und Politik werden prüfen müssen, ob und wie die vorhandenen gesetzlichen Bestimmungen der Qualitätssicherung, der Bewertung des Zusatznutzens und der Preisfindung auf diese neuen Entwicklungen anzuwenden sind. Wie schnell die insgesamt noch weitgehend virtuelle Problematik in die Versorgungswirklichkeit eindringt, zeigt sich an zwei aktuell bemerkenswerten Neuzulassungen:

1. Zur kausalen Behandlung eines angeborenen Defekts bei Mukoviszidose (Cystische Fibrose, CF) hat im März 2013 der G-BA dem Wirkstoff namens Ivacaftor einen beträchtlichen Zusatznutzen attestiert. Allerdings wirkt das Medikament lediglich bei den Trägern der G551D-Mutation. Das sind gerade nur fünf Prozent der Betroffenen. Die übrigen Patienten müssen sich weiter mit dem krankhaft zähen Schleim herumplagen, der Ursache aller Symptome der Cystischen Fibrose ist.

2. Ähnlich selten ist eine angeborene Störung des Fettstoffwechsels namens Lipoproteinlipase-Defizienz (LPLD). Bei dieser autosomal-rezessiv vererbten Erkrankung weist das LPL-Gen funktionshemmende Mutationen auf, weswegen ohne molekulargenetische Untersuchung eine exakte Diagnosestellung nicht möglich ist. Die EU-Kommission hat Ende Oktober 2012 erstmals für die Gentherapie dieses Leidens eine Marktzulassung für den Wirkstoff Glybera erteilt.

In beiden Fällen sprechen wir von Orphan diseases und dem Orphan drug-Status der Medikation – und über angedachte Jahrestherapiekosten von 200.000 bzw. 300.000 Euro pro Patient und Jahr. Eine extrem teure Therapie, von der nur 150 bis 200 Patienten profitieren werden. Die Möglichkeiten der individualisierten Medizin erzwingen deswegen auch eine Debatte darüber,

wie in Zukunft unsere Finanzmittel in Forschung und Gesundheitsversorgung eingesetzt werden sollen. Der alleinige Fokus auf den „neuen Weg“ wäre falsch. Denn auch die Weiterentwicklung bisher bewährter Therapien darf mit Blick auf die Patienten, die darauf angewiesen bleiben, nicht vernachlässigt werden. Es ist keineswegs so, dass bei den häufigsten Patientenproblemen alles Leid bereits gelindert oder gar geheilt wäre.

Es wird deswegen notwendig werden, über gesundheitliche Ziele und Setzung von Prioritäten zu diskutieren. Dabei darf der Umgang mit Innovationen bis hin zur Gentherapie extrem seltener angeborener Defekte einschließlich deren Finanzierung nicht ausgeklammert werden. Was nicht gehen wird: Innovationen in die Versorgung einzuführen und darauf zu hoffen, dass Ärzte es über die Verteilung schon richten werden.

Die Verantwortung für die künftigen Inhalte unserer Gesundheitsversorgung und deren Finanzierung ist eine gesamtgesellschaftliche Aufgabe. Die Politik sollte die notwendige Debatte anstoßen und begleiten. Bisher drückt sie sich vor dieser Verantwortung.

**Kontakt:**

**Dietmar Preding | Geschäftsstelle Frankfurter Forum e.V. | Mozartstraße 5 | 63452 Hanau | E-Mail: [dp-healthcarerelations@online.de](mailto:dp-healthcarerelations@online.de)**