

# HOUSE OF PHARMA

22. NOVEMBER 2018, HESSISCHE LANDESVERTRETUNG BERLIN



Fotos: © PHL Data

Über Zelltherapeutika als Chance für eine schnelle Translation sprachen: Peter Bader, Klinik für Kinder- und Jugendmedizin, Universitätsklinikum, Frankfurt a.M.; Jochen Maas, Geschäftsführer Forschung und Entwicklung, Sanofi-Aventis Deutschland GmbH; Martin Radtsch, Geschäftsführer INNOVECTIS GmbH; Manfred Schubert-Zsilavecz, Präsident House of Pharma & Healthcare; und Markus Pletsch, Vice President, Therapeutic Area Oncology, medac GmbH



Kontrovers diskutiert über Genomanalysen und Biomarker: Gisela Klatt, Präsidentin des Bundeselbsthilfeverbands für Osteoporose e.V.; Hans Lehrach, Direktor am Max-Planck-Institut für molekulare Genetik; Maximilian Schuier, Therapeutic Areas Director CNS and Mature Brands, Janssen Deutschland; Stefan Simianer, Geschäftsführer Forschung und Entwicklung der AbbVie Deutschland GmbH & Co. KG; und Jan Schweitzer, Redakteur Wissen, DIE ZEIT

## »Gentherapien sollten vorerst nur an wenigen Zentren stattfinden«

**Ob CRISPR/Cas oder CAR-T-Zellen: Innovative Gentherapien eröffnen spektakuläre Optionen für die Diagnostik, Prävention und Heilung von Krankheiten. Zugleich stellen sie die Medizin und die Gesellschaft vor historische Herausforderungen.**

In den letzten 20 Jahren hat sich in der Erforschung innovativer Zell- und Gentherapeutika eine epochemachende Umwälzung vollzogen: nicht nur in Hinblick auf deren Effektivität bei der Bekämpfung schwerer Krankheiten, sondern auch hinsichtlich ihrer Auswirkungen auf die Gesellschaft, die mit großen Fragen konfrontiert ist. Hier zu einem breit angelegten Diskurs mit Patienten, der pharmazeutischen Industrie und den Krankenkassen beizutragen, sei Anspruch des House of Pharma, er-

Anwendungsgebiete die Erb- und Infektionskrankheiten sowie Tumorerkrankungen. Beispiel für einen weltbekannten Heilungserfolg ist der Fall von Emily Whitehead, die als Sechsjährige ihre Akute Lymphatische Leukämie dank Gentherapie überwinden konnte und fünf Jahre später den Krebs besiegt hat. Bei der dabei angewandten Methode werden dem Körper T-Zellen entnommen und im Labor dahingehend modifiziert, dass sie als sogenannte CAR-T-Zellen Krebszellen erkennen und angreifen können, nachdem sie per Infusion dem Patienten wieder zugeführt wurden. Eine zweite Form der Gentherapie wird direkt im Körper durchgeführt: Dabei schleust man speziell aufbereitete therapeutische Gene in die Organe ein, die dort das mutierte Gen komplementieren. Darüber hinaus wurden vor fünf Jahren

vorsitzender der BARMER Versicherung, verwies darauf, dass solche Therapien Kosten im sechsstelligen Bereich nach sich ziehen, und noch einmal so hohe Kosten für ergänzende Medikamente. Umso wichtiger sei die kompetente Auswahl passender Patientengruppen – und die Qualität der Versorgung. »Unsere Rolle als Krankenkassen besteht darin, die Gentherapien zunächst an wenigen Zentren zu konzentrieren, die über hohe Frequenzen,

**»Die Hälfte unserer Ausgaben für 1,9 Prozent der Versicherten«**

einen geeigneten akademischen Hintergrund – und über die Fähigkeit zur translationalen Forschung und Versorgung verfügen.« Hinzu kommt, dass heute für immer spezifischere Patientengruppen Therapien entwickelt würden, was das

Stammzelltransplantation und Immunologie an der Klinik für Kinder- und Jugendmedizin vom Universitätsklinikum Frankfurt am Main gelang ihm eine spektakuläre Erfindung: ein innovatives Zell-Therapeutikum, das lebensbedrohliche immunologische Reaktionen des Transplantats gegen den Empfänger verhindert. Auf dieser Basis galt es, ein Medikament herzustellen, »das standardisiert und für viele Patienten einsetzbar ist und das einheitliche Wirkstärken erreicht«. Auf dem Weg der Entwicklung der Idee über die klinische Erforschung bis zur erfolgreichen Marktabklärung sei die Kooperation mit dem Paul-Ehrlich-Institut im Vorfeld der Patentanmeldung ebenso wichtig gewesen wie die Unterstützung durch Mittler und Start-ups, meinte Bader. Über eine der Hürden sprach Martin Radtsch,

»damit die Unternehmen und die akademische Forschung enger zusammenrücken.«

Wie Genomanalysen und Biomarker mithilfe der Disease Interception zur Krankheitsverhinderung eingesetzt werden können, erläuterte unter anderem Maximilian Schuier, Therapeutic Areas Director CNS and Mature Brands von Jans-

**Sind digitale Zwillinge zuverlässiger als Biomarker?**

sen Deutschland, am Beispiel der Alzheimer-Erkrankung: Sei bislang nur eine Behandlung der Symptome möglich, könnten heute sogenannte Biomarker als Indikatoren für Krankheiten prognostizieren, mit wie hoher Wahrscheinlichkeit eine Erkrankung später eintreten wird. Dadurch wird es möglich, früh in das Krankheitsstadium einzu-

Anwendung zu empfehlen ist, könne nur mittels datengestützter Analyse getroffen werden und bleibe kompliziert. Hier sei auch der Rat der Fachgesellschaften gefragt.

Jochen Maas sprach in Bezug auf Biomarker auch das Recht auf Nichtwissen seitens der Patienten an – sowie die Frage, ob es bald womöglich verpflichtend sein wird, persönliche Daten an Krankenkassen weiterzugeben. Damit stelle sich die Frage, ob man zukünftig höhere Beiträge zahlen müsse, wenn die eigenen Gene ein gewisses Krankheitsrisiko in sich tragen, was erneut das Solidaritätsprinzip der Krankenkassen unterminieren würde.

Zweifel an der Effizienz der Disease-Interception-Methode formulierte Hans Lehrach, Direktor am Max-Planck-Institut für molekulare Genetik. Vor dem Hintergrund der Verschiedenheit aller Menschen sei



Die schnellere Zulassung parallel entwickelter Diagnostika und Therapeutika forderte Peter-Andreas Löschmann, Direktor Medizin, Pfizer Pharma GmbH



Verschiedene Varianten der Gentherapie stellte Toni Cathomen, Direktor des Instituts für Transfusionsmedizin und Gentherapie vom Uni-Klinikum Freiburg, vor



Das Prozedere der Zulassung erläuterte Martina Schübler-Lenz, Paul-Ehrlich-Institut, Bundesinstitut für Impfstoffe und biomedizinische Arzneimittel



Erfolgsfaktor Regulation: Christoph Straub, Vorstandsvorsitzender BARMER, sprach sich für vorerst wenige und kompetente Zentren für Gentherapien aus



Behandlungen für alle: Stefan Grüttner, Hessischer Minister für Soziales und Integration, setzt sich politisch für einen fairen Zugang zu Gentherapeutika ein



»Wie können wir individualisierte Therapien für viele Patienten finanzieren?«, fragte Ulrike Köhl, Direktorin des Fraunhofer-Instituts für Zelltherapie und Immunologie

klärte dessen Präsident Manfred Schubert-Zsilavecz beim Hauptstadt Summit in der Hessischen Landesvertretung in Berlin. Zu Gast waren Entscheidungsträger aus der Industrie und Vertreter aus Politik, Wissenschaft und Verbänden. Stefan Grüttner, Hessischer Minister für Soziales und Integration, betonte die Bedeutung eines ressortübergreifenden Austauschs, wie ihn auch der Pharma-Dialog auf Bundesebene anstrebt. Ziel des Bundeslands Hessen sei, dessen herausragende Position als Pharma-Standort weiter auszubauen. »Über die Rahmenbedingungen diskutieren wir bereits im Rahmen der Initiative Gesundheitsindustrie (IGH) mit Wissenschaftlern, Arbeitgebern, -nehmern – und mit der Politik.« Verbesserte Behandlungsmöglichkeiten für alle durchzusetzen, sei die Aufgabe der Politik: »Ziel ist, dass alle ohne Zeitverzögerung den gleichen Zugang zu den Therapien erhalten.«

Über die Funktionsweise der Behandlungsmethoden referierte Toni Cathomen. Dabei nannte der Direktor vom Institut für Transfusionsmedizin und Gentherapie am Universitätsklinikum Freiburg als

noch präzisere Verfahren unter dem Namen Genschere bzw. Genom-Editierung bekannt. Diese können spezielle Genfunktionen ausschalten bzw. ausschneiden wie zum Beispiel auch CRISPR/Cas. Diese Methode verhalf vor fünf Jahren auch dem ehemals HIV-positiven Leukämiepatienten Timothy Brown zur Heilung, der seit der Transplantation genetisch modifizierter Stammzellen leukämiefrei und HIV-

**Genschere schneiden noch lange nicht präzise genug**

negativ ist. Die Herausforderung dabei bestehe in der Herstellung hochpräziser Instrumente, »die nur am gewünschten Zielort schneiden und nirgendwo sonst im Erbgut«, aber auch in der Prognose der Risiken und bezüglich der Frage der Kostenübernahme.

»Sobald sich diese individualisierten Therapien als Standard etablieren, steht die Diskussion an, wie sich diese Medikamente für eine große Patientenzahl finanzieren lassen«, ergänzte Ulrike Köhl, Direktorin vom Fraunhofer-Institut für Zelltherapie und Immunologie. Und Christoph Straub, Vorstands-

Solidaritätsprinzip der Krankenkassen untergrabe. »Als Versicherung geben wir schon heute 50 Prozent der acht Milliarden Arzneimittel-Ausgaben für 1,9 Prozent unserer Versicherten aus.« Zudem würden die Patientengruppen, die einheitlich behandelt werden, immer kleiner, sodass etablierte Modelle der Evidenzgenerierung ersetzt werden müssten.

Klaus H. Nagels, Inhaber des Lehrstuhls für Medizinmanagement und Versorgungsforschung an der Universität Bayreuth, verwies darauf, dass neue Diagnosetechniken und frühe Eingriffe Folgekosten beim Ausbruch der Krankheit einsparen könnten. Und Peter-Andreas Löschmann, Geschäftsführer und Direktor Medizin der Pfizer Pharma GmbH, konstatierte, dass das Gesundheitssystem die Parallelentwicklung von Diagnostika und Therapeutika noch immer nicht adäquat honoriere. »Die Zulassung erfolgt nicht gleichzeitig, sodass man Patienten auf Umwegen finden muss, die eigentlich der Behandlung bedürfen.«

Ein Beispiel für einen raschen Translationsprozess schilderte Peter Bader. Als Leiter Schwerpunkt

Geschäftsführer der INNOVECTIS GmbH, der Bader bei der Investition und dem Zulassungsprozess unterstützte. Spätestens nach der Präklinik gebe es stets eine ungewollte Unterbrechung im Pro-

**Was macht innovative Ideen für Big Pharma attraktiv?**

zess, »dann heißt es Partnerfindung, was schwierig ist!« Vielfach fehlten Inkubatoren für neue Behandlungs- und Produktionsmethoden. »Schließlich gilt es, für die Pharmaindustrie interessant genug zu sein, damit sie in Ideen investieren.«

Jochen Maas, Geschäftsführer Forschung & Entwicklung, Sanofi-Aventis Deutschland GmbH, plädierte für eine konzertierte Aktion aller Stakeholder im Gesundheitswesen, ohne die man große medizinische Probleme heute nicht mehr lösen könne. Dazu zählt er »Big Pharma«, das akademische Umfeld, Forschungsinstitute, aber auch kleine Biotech-Unternehmen, von denen ohnehin längst die meisten Innovationen stammten. Für einen produktiven Austausch sei es unabdingbar, neue Kooperationsmodelle für Wissenschaftler zu entwi-

greifen und Symptome zu verhindern oder hinauszuzögern. Erfolgreich kommen solche personalisierten Therapien zum Beispiel bei Diabetes und Stoffwechselerkrankungen zur Anwendung, aber auch in der Onkologie.

Zugleich stellen sich im Umgang mit Disease Interception aber auch große Herausforderungen. Schuier nannte hier etwa die schwierige Beantwortung der Frage, ob bereits ein dreißig- oder erst ein sechzigprozentiges Risiko als relevant erachtet wird, um einzugreifen. Und: Gesetzt den Fall, man würde die Symptome einer Alzheimer-Erkrankung erfolgreich drei Jahre nach hinten verschieben – gelten die betroffenen Patienten dann bereits als krank und behandlungsbedürftig? Schuier: »Was wäre zu tun, wenn die Kassen dann die Kostenübernahme mit Verweis auf die Pflegekasse verweigern?«

Die Frage, wie das Verhältnis von Nutzen und Risiken zu bewerten ist, thematisierte Stefan Simianer. Der Geschäftsführer Forschung und Entwicklung, Vice President International Development, AbbVie Deutschland GmbH & Co. KG, sagte, die Abwägung, ob eine allgemeine

der Versuch, mit Biomarkern diese Komplexität durch Gruppenbildung zu stratifizieren, extrem fehlerbehaftet. Schließlich würde dabei in hochkomplexe biologische Netzwerke eingegriffen, ohne dass man als Arzt deren Reaktion auf nicht minder komplexe Medikamente voraussagen könnte. Lehrachs Vorschlag: digitale virtuelle Zwillinge etwa von Krebspatienten, an denen man Gentherapien testen könnte.

### House of Pharma & Healthcare

2013 in Frankfurt gegründet, ist der Verein House of Pharma als Netzwerk öffentlich-privater Partnerschaft konzipiert, das verschiedene Interessen entlang der Wertschöpfungskette miteinander verknüpft, um Lösungen für die Herausforderungen im Gesundheitssystem zu entwickeln. Ziel ist, das Profil des Pharma- und Healthcare-Standorts Hessen zu schärfen und weltweit sichtbar machen. Zu diesem Zweck fördert es die Zusammenarbeit zwischen allen Akteuren der Gesundheits- und Pharmabranche in Deutschland.

Veranstalter:



Mit freundlicher Unterstützung:



Förderer:

