



Bundesministerium  
für Bildung  
und Forschung

# Aktionsplan Individualisierte Medizin

Ein neuer Weg in Forschung und Gesundheitsversorgung



FORSCHUNG



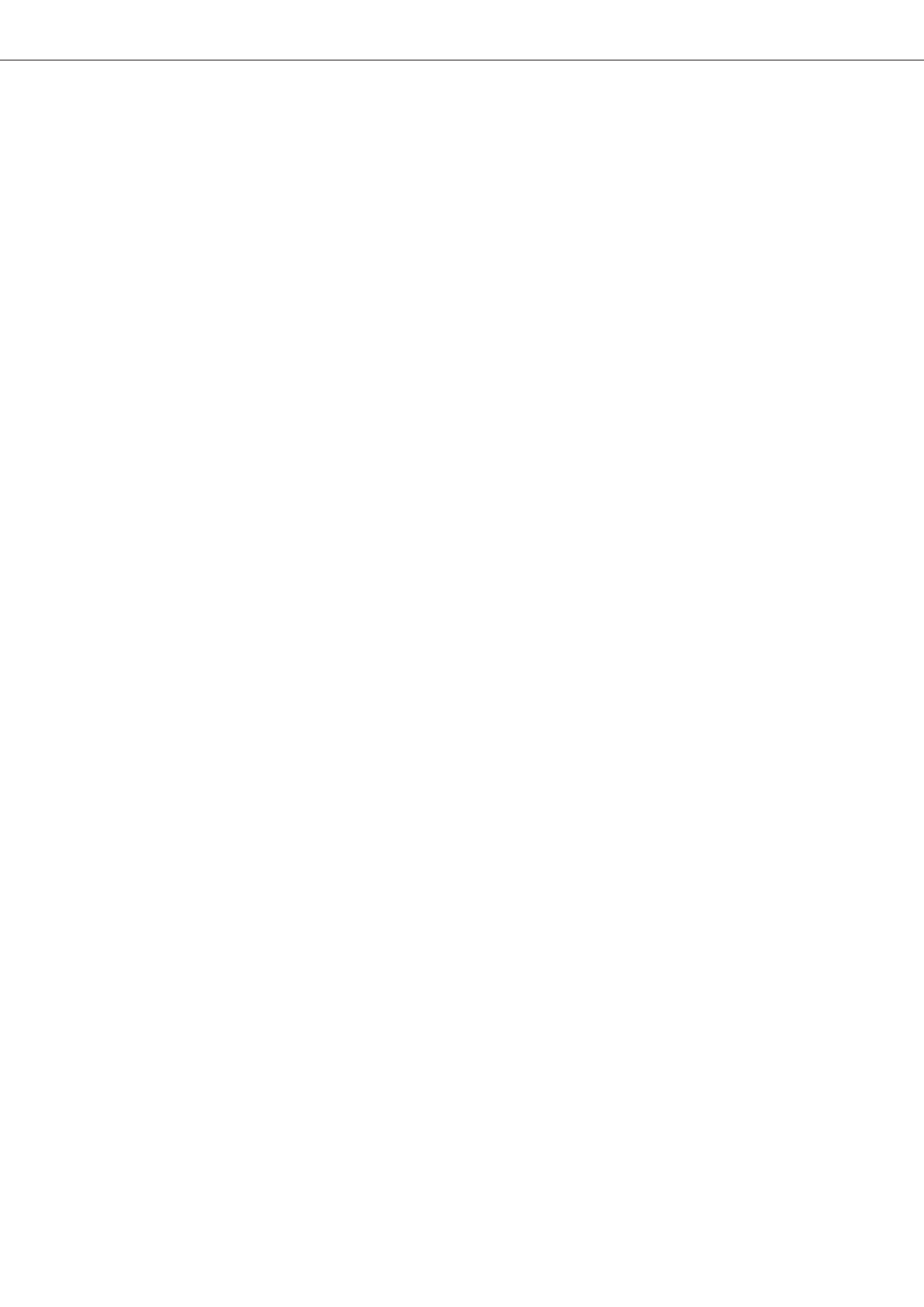


Bundesministerium  
für Bildung  
und Forschung

# Aktionsplan Individualisierte Medizin

Ein neuer Weg in Forschung und Gesundheitsversorgung

**FORSCHUNG**



# Inhalt

<b>Zusammenfassung</b> .....	<b>3</b>
<b>1. Perspektive: Was verstehen wir unter „Gesundheit“ und wie entsteht „Krankheit“? Bessere Heilungschancen durch ein neues Verständnis</b> .....	<b>4</b>
1.1 Patienten: Durch maßgeschneiderte medizinische Behandlung gezielter versorgen .....	5
1.2 Gesundheitssystem: Ressourcen nachhaltig und effizient nutzen .....	6
1.3 Gesundheitswirtschaft: Neue Produkte und Verfahren vorantreiben .....	6
1.4 Gesellschaft: Das eigene Handeln bewusster steuern .....	7
<b>2. Programm: Neue Schwerpunkte der BMBF-Förderung</b> .....	<b>8</b>
2.1 Förderziele .....	9
2.2 Fördermaßnahmen .....	10
2.2.1 Identifizierung: Besseres Verständnis von Krankheiten .....	10
2.2.2 Validierung und Implementierung: Prüfung und Überführung von Erkenntnissen in die klinische Praxis und die Gesundheitswirtschaft .....	11
2.2.3 Diskurs: Analyse gesellschaftlicher Auswirkungen .....	12



# Zusammenfassung

**Entstehung, Ausprägung und Verlauf einer Krankheit sind von vielen individuellen Faktoren abhängig, wie der genetischen Veranlagung, dem Lebensstil, dem Geschlecht und dem Alter. Die moderne Molekularbiologie ermöglicht es, eine Vielzahl von Daten zu genetischen Grundlagen und biologischen Prozessen im Körper eines einzelnen Menschen zu identifizieren. Die individualisierte Medizin nutzt diese Informationen, um Krankheiten frühzeitiger zu erkennen, wirksamer vorzubeugen und zu therapieren. Sie eröffnet damit eine neue Dimension in der Diagnose und Behandlung von Krankheiten.**

Die individualisierte Medizin – also die Anwendung molekularbiologischer Erkenntnisse und Verfahren in der Diagnose und Therapie von Erkrankungen in Patientengruppen mit gleichen oder ähnlichen genetischen Ausprägungen – ist ein Innovationstreiber sowohl für die Forschung und die Versorgung, als auch für das Gesundheitssystem und die Gesundheitswirtschaft. Um die Chancen dieses neuen Diagnose- und Therapiekonzeptes in der Zukunft auszuschöpfen, legt das Bundesministerium für Bildung und Forschung (BMBF) ein Maßnahmenpaket zur strategischen Forschungsförderung der individualisierten Medizin auf. Die Fördermaßnahmen sollen Projekte entlang der gesamten Innovationskette von Forschung und Entwicklung ansprechen – von der Identifizierung molekularer Schaltstellen über die Validierung und Implementierung von Biomarkern für die Diagnostik bis hin zur Entwicklung von individualisierten Therapieverfahren, Produkten und Dienstleistungen einschließlich ihrer Nutzenbewertung.

Oberstes Ziel ist, dass Patienten schneller von medizinischen Therapien und Produkten profitieren können. Dazu sollen kompetente Vertreter aus Wissenschaft, Kliniken und Unternehmen in neuen Partnerschaften zusammengebracht werden. Diese Kooperationen können ihre innovative Wirkung sowohl in der pharmazeutischen Industrie, den Biotechnologie- und den Medizintechnik-Unternehmen als auch in der Informationstechnologie-Branche entfalten. Um die Anwendung im Gesundheitssystem zu sichern, sollen Projektpartner aus der Gesundheitsversorgung einbezogen werden.

Die individualisierte Medizin wirft auch ethische, rechtliche und ökonomische Fragen auf, auf die Antworten formuliert werden sollen. Diesem Zweck dienen die Förderung einer entsprechenden Begleitforschung sowie die Unterstützung und Moderation von Informations- und Diskussionsplattformen unter breiter Beteiligung relevanter gesellschaftlicher Gruppen.

Das BMBF wird im Zeitraum von 2013 bis 2016 bis zu 360 Millionen Euro für Forschungs- und Entwicklungsprojekte zur Verfügung stellen. Davon werden zum einen bereits laufende Initiativen, wie z. B. zur Genomforschung und Systembiologie, finanziert und zum anderen neue Fördermaßnahmen gestartet. Hinzu kommen erhebliche Mittel, die im Rahmen der institutionellen Förderung der Erforschung und Entwicklung der individualisierten Medizin zugutekommen.

# 1. Perspektive: Was verstehen wir unter „Gesundheit“ und wie entsteht „Krankheit“? Bessere Heilungschancen durch ein neues Verständnis

In nur 100 Jahren haben wir – auch dank der Ergebnisse der Gesundheitsforschung und großer Fortschritte in der Gesundheitsversorgung – eine um 30 Jahre gestiegene Lebenserwartung gewonnen. Trotz eines aktuell hohen medizinischen, technischen und pharmazeutischen Versorgungsniveaus in Deutschland besteht ein Grundproblem der Medizin aber auch heute noch darin, spezifische, evidenzbasierte Behandlungsverfahren zu entwickeln, die bei jedem einzelnen Patienten optimal wirksam sind und so wenige Nebenwirkungen wie möglich hervorrufen. Tatsächlich kann in Abhängigkeit von genetischen Grundlagen, Geschlecht, Alter oder Mehrfacherkrankungen die Wirksamkeit eines Behandlungsverfahrens bis zur Unwirksamkeit abnehmen und/oder das Risiko unerwünschter Nebenwirkungen deutlich zunehmen. Heute sprechen je nach Erkrankung nur 25% bis 70% der Patienten auf die verabreichten Medikamente an. Allein für die Behandlung von unerwünschten Nebenwirkungen werden in Deutschland rund 2,5 Milliarden Euro jährlich ausgegeben.

Nach wie vor steht die Forschung deshalb vor großen Herausforderungen. Dabei sind die Voraussetzungen für nachhaltige Erfolge auf dem Weg zu einer individualisierten Medizin heute besser denn je: Mit der vollständigen Aufschlüsselung des menschlichen Genoms durch die rasante Entwicklung der Sequenzierertechnologie und anderer Verfahren zur Analyse von Biomaterialien (z. B. Blut, Zellen oder Tumorgewebe) sind die Grundlagen für ein besseres Verständnis der Entstehung von Krankheiten sowie deren Prävention, Diagnose und Behandlung geschaffen. Durch bioinformatische Verarbeitung und systemische Betrachtung vorhandener Daten sind bereits wichtige Bausteine für eine individualisierte Medizin entstanden. Dabei ist die Entwicklung von maßgeschneiderten Behandlungsansätzen in der Onkologie am weitesten fortgeschritten. Auch in der kardiovaskulären Medizin, der Neurologie, der Infektiologie und bei metabolischen Erkrankungen sind ähnliche Ansätze festzustellen.

Diese Entwicklungen aufgreifend, hat die Bundesregierung in ihrem Rahmenprogramm Gesundheitsforschung die individualisierte Medizin als eines der sechs Aktionsfelder definiert.

## **Definition: Die individualisierte Medizin im Aktionsplan**

Die individualisierte Medizin erfasst biologische Faktoren, die die Wahrscheinlichkeit zu erkranken, den Verlauf und die Heilung von Krankheiten sowie auch die Wirkung von Therapien bei jedem Menschen in einer einzigartigen und damit charakteristischen Weise bestimmen. Erfolge sind zunächst zu erhoffen für Gruppen von Patienten mit identischen oder ähnlichen Merkmalen und damit für eine sogenannte stratifizierte Medizin. Durch eine genaue Erforschung der Faktoren selbst und ein besseres Verständnis der komplexen Wechselwirkungen eröffnet sich die Chance, für den Einzelnen maßgeschneiderte Präventions- und Therapieverfahren zu entwickeln, die Nebenwirkungen von Arzneien zu minimieren und damit einen deutlich besseren Therapieerfolg zu erzielen. Der Aktionsplan und die abgeleiteten Aktivitäten berücksichtigen vorrangig den Einfluss von krankheits- und therapie-relevanten Genen, Proteinen und anderen Molekülen, aber auch weitergehende Anwendungen, wie individuelle apparative Lösungen etwa in der Medizintechnik (therapeutische Unikate). Der Begriff „Individualisierte Medizin“ ist erst vor wenigen Jahren entstanden, eine allgemeingültige Definition gibt es bislang nicht.

Mit der individualisierten Medizin eröffnen sich neue Perspektiven für die Behandlung von Patienten und für Innovationen in der Gesundheitswirtschaft. Deshalb soll in der Forschungsförderung zur individualisierten Medizin der Bogen von der Grundlagenforschung über die präklinische und klinisch-patientenorientierte Forschung bis zur Gesundheitswirtschaft gespannt werden. Mit dem Ziel einer schnelleren und effektiven Translation soll die systematische Entwicklung von Behandlungsverfahren und Produkten gefördert werden.



### 1.1 Patienten: Durch maßgeschneiderte medizinische Behandlung gezielter versorgen

Die individualisierte Medizin besitzt das Potenzial, eine neue Qualität in die Versorgung von Patienten zu bringen. Krebs, Bluthochdruck oder Alzheimer werden in Zukunft durch molekulare Parameter genauer definierbar. Nicht eine Krankheit, sondern der erkrankte Mensch mit seinen individuellen Eigenschaften und Voraussetzungen bildet den Ausgangspunkt für medizinische Interventionen.

Für viele Patienten bietet bereits eine schnelle, zutreffende Diagnose eine deutliche Verbesserung im Vergleich zur heutigen Situation: Die genaue Bestimmung und Klassifizierung einer Erkrankung kann mit langwierigen, belastenden Untersuchungen verbunden sein. Bestehende Diagnostika liefern nicht immer hinreichend eindeutige Ergebnisse. Dies bedeutet neben physischen und psychischen Belastungen auch einen Zeitverlust und damit ein Fortschreiten der Erkrankung bis zum Beginn einer geeigneten Therapie. Im Anschluss an eine hochspezifische Diagnose können Patienten dann präzise entsprechend ihrer molekularen Signatur und weiterer Einflussfaktoren behandelt werden. Für die medizinische Versorgung ergeben sich konkret folgende Perspektiven, deren Verwirklichung zeitlich von der genannten Reihenfolge abweichen kann (siehe S. 10 „Kurzfristige/Langfristige Erfolge“):

- *Krankheiten gezielt vorbeugen*  
Immer mehr Risikofaktoren können präzise für jeden Einzelnen bestimmt werden. Das Ziel ist, auf Basis dieser Informationen durch geeignete Maßnahmen dem Ausbruch von Erkrankungen vorzubeugen beziehungsweise diesen zeitlich zu verzögern oder abzumildern. So könnten im Rahmen von Vorsorgeuntersuchungen die individuellen Parameter erfasst und für jeden Einzelnen ein „Präventionsmodell“ entwickelt werden. Mithilfe dieses Modells würden Vorschläge zur Vermeidung von Erkrankungen simuliert und dann geeignete Maßnahmen empfohlen.
- *Krankheiten frühzeitig erkennen und behandeln*  
Die Früherkennung soll durch eine auf individuelle Faktoren ausgerichtete Diagnostik deutlich

verbessert werden. Sie schließt neben neu zu entwickelnden Biomarkern auch etablierte Methoden wie die Bildgebung und weitere diagnostische Verfahren ein. Durch eine eindeutige Zuordnung von ersten Krankheitsanzeichen soll eine frühzeitige Bestimmung einer Erkrankung und damit eine passgenaue Intervention möglichst zu Beginn oder sogar noch vor Ausbruch der Krankheit erreicht werden. Der Patient erhält – bereits bevor er eindeutige Symptome verspürt – eine gezielte Behandlung. Das Krankheitsleid wird gemindert und eine Heilung wird wahrscheinlicher.

#### Biomarker für Diagnostik und Therapie

Biomarker sind charakteristische biologische Merkmale, die valide gemessen werden können und auf einen normalen biologischen oder krankhaften Prozess im Körper hinweisen. Bei einem Biomarker kann es sich um Gensequenzen, Proteine, Stoffwechselprodukte oder andere Moleküle handeln. Krankheitsbezogene Biomarker könnten zukünftig als sogenannte Risikoindikatoren (prädiaktive Biomarker) Informationen darüber liefern, ob eine Erkrankung droht, ob die Krankheit bereits besteht (diagnostischer Biomarker) oder wie sich eine Erkrankung im Einzelfall wahrscheinlich entwickeln wird (prognostischer Biomarker).

- *Diagnostik präzisieren und wirksamere Therapien ableiten*  
Die engere Verzahnung von Diagnostik und Therapie – auch Theragnostik genannt – ermöglicht einerseits die Entscheidung über den Einsatz einer bestimmten Therapie sowie andererseits eine Überwachung der Dosierung und Wirkung von Heilverfahren im Rahmen der Therapiebegleitung. Muss der Arzt heute oft noch über „Versuch und Irrtum“ die für den Patienten geeignete Behandlung erproben, kann er zukünftig mit sehr viel höherer Wahrscheinlichkeit eine wirksame Therapie verordnen. Dem Patienten bleiben unwirksame Behandlungen und unerwünschte Nebenwirkungen erspart.
- *Neue Therapieverfahren und -produkte entwickeln*  
Für viele Erkrankungen stehen heute noch keine ursächlich wirkenden Behandlungsverfahren zur Verfügung. Neu entwickelte Arzneimittel und Heilverfahren könnten von der Frühver-

sorgung bis zur Nachsorge einer Erkrankung Patienten(-gruppen)-spezifischer eingesetzt werden. Als erster Schritt können bereits etablierte Verfahren auf ihre Wirksamkeit getestet werden, bevor das Medikament überhaupt verabreicht wird. Das Ziel ist eine deutlich verbesserte Wirkung von Behandlungsverfahren und Arzneimitteln bei Minimierung der Nebenwirkungen – insbesondere auch bei multimorbiden Patienten.

## 1.2 Gesundheitssystem: Ressourcen nachhaltig und effizient nutzen

Die Experten sind sich uneins, wie sich die individualisierte Medizin auf die Kostenentwicklung im Gesundheitssystem auswirken wird. Innovative Behandlungsverfahren und Produkte verursachen in der Regel zusätzliche Kosten. In der individualisierten Medizin könnten die intensivere, hochtechnisierte Diagnostik und die Herstellung von Medikamenten für kleine Patientengruppen, aber auch die intensivere Beratungsleistung oder der Bedarf an zusätzlicher technischer Ausstattung zu Kostensteigerungen führen. Zugleich besteht jedoch die Chance, dass spezifischere Diagnosen weitergehende, aufwendige Untersuchungen und nicht zielführende Behandlungen reduzieren und so die Kosten senken. Also: Gelänge auf breiter Basis eine verbesserte Prävention und Früherkennung sowie der gezieltere Einsatz von Medikamenten mit hoher Wirkwahrscheinlichkeit, würden sowohl das Gesundheitssystem als auch das Sozialsystem insgesamt entlastet, da Krankheitszeiten verkürzt oder sogar vermieden werden könnten.

Auch in der ärztlichen Praxis bedeuten die neuen Optionen eine zusätzliche Herausforderung. Um die nunmehr immer spezifischer werdenden Diagnose- und Therapieverfahren im Klinik- und Praxisalltag umsetzen zu können, wächst nicht nur der Bedarf an neuer geräte- und informationstechnischer Ausstattung; Ärzte und medizinisches Fachpersonal müssen auch spezifisch weitergebildet werden.

## 1.3 Gesundheitswirtschaft: neue Produkte und Verfahren vorantreiben

Die Gesundheitswirtschaft hat die individualisierte Medizin bereits für sich entdeckt. Kleine und mittlere Biotechnologie- und Medizintechnik-Unternehmen profilieren sich hier als Innovatoren und attraktive Partner für die mittelständischen und großen Pharmaunternehmen. Besonders in der Tumorthherapie gibt es bereits diagnostische Verfahren, die die Wirkung eines Arzneimittels voraussagen und so eine passgenaue Behandlung ermöglichen. Von den Erkenntnissen der individualisierten Medizin können alle Beteiligten profitieren, die innovative Diagnostik und Therapeutika in die klinische Anwendung bringen wollen. Für die Gesundheitswirtschaft ergeben sich konkret folgende Perspektiven:

- *Schließen von Innovationslücken*  
Sinkende Produktivität in der Medikamentenentwicklung und das sukzessive Auslaufen des Patentschutzes für viele bisherige „Blockbuster“-Medikamente sind weltweit eine Herausforderung für die Pharmaindustrie und gefährden die Wettbewerbsfähigkeit des Pharmastandortes Deutschland. Individualisierte Diagnostika und Therapieverfahren bieten ein enormes Potenzial, die Innovationslücken zu schließen. Insbesondere Akteure, die sich in Partnerschaften aus Unternehmen der Biotechnologiebranche, der Pharmawirtschaft, weiteren relevanten Industriezweigen und der akademischen Forschung engagieren, haben die Chance, sich am Markt als besonders innovativ und erfolgreich zu erweisen.
- *Verringerung der FuE-Kosten*  
Die Analyse individueller Profile – die von den Genen bis hin zum Lebensstil möglichst viele relevante Faktoren einbeziehen – bietet die Möglichkeit, Patientengruppen zu klassifizieren (Stratifizierung) und dadurch maßgeschneiderte klinische Studien mit weniger Probanden kostengünstiger durchzuführen. Dies kann den Zulassungsprozess beschleunigen und gleichzeitig das Ausfallrisiko bei der Arzneimittelentwicklung verringern. Neue Medikamente können schneller zugelassen und damit für den Patienten früher verfügbar werden.

- *Optimierung des Nutzen-Nachweises*  
Die parallele Entwicklung von Therapie und Diagnostik verbessert die Möglichkeit, die gestiegenen Anforderungen zum Nutzen-Nachweis einer Therapie zu erfüllen. Dieser Nachweis ist eine Voraussetzung für die Kostenerstattung durch die gesetzliche Krankenversicherung und damit die Zugänglichkeit innovativer Arzneimittel für die Mehrheit der Patienten. Darüber hinaus verspricht die therapiebegleitende Diagnostik für den Patienten eine verbesserte Kontrolle. Die Behandlung kann so schneller angepasst werden.
- *Erweiterte Nutzung zugelassener Medikamente*  
Die neuen molekularbiologischen Methoden erlauben es, bekannte Wirkstoffe zielgenauer einzusetzen beziehungsweise die Wirksamkeit für weitere Indikationen nachzuweisen. So können das Anwendungsgebiet und damit die Marktchancen zugelassener Arzneimittel erweitert werden.

dazu beitragen, einen gesellschaftlich akzeptierten Rahmen für den Umgang mit der individualisierten Medizin zu schaffen.

#### **1.4 Gesellschaft: Das eigene Handeln bewusster steuern**

Schließlich eröffnet die individualisierte Medizin auch neue Perspektiven für die Gesellschaft insgesamt und für jeden Einzelnen. Sie erschließt jedem Menschen einen wesentlich größeren Entscheidungsspielraum hinsichtlich seiner eigenen Gesundheit. Dies gilt vor allem bei der Erkennung von Krankheitsrisiken oder bei der Auswahl an Vorsorge- und Therapieverfahren. Daraus erwächst die Möglichkeit zu mehr Selbstbestimmung, aber womöglich auch die Erwartung der Gesellschaft an den Einzelnen zur Übernahme von mehr Verantwortung.

Ein weiteres Spannungsfeld entsteht zwischen dem Wunsch nach Schutz der eigenen Daten einerseits und der womöglich lebensrettenden Verfügbarkeit dieser Daten andererseits. Das Interesse an der individualisierten Medizin ist groß, der gesellschaftliche Informationsstand aber noch relativ gering. Hier gilt es, rasch einen Diskurs von Naturwissenschaftlern und Medizinern mit den geisteswissenschaftlichen, juristischen und sozialwissenschaftlichen Disziplinen zu beginnen und dabei die Öffentlichkeit kontinuierlich einzubinden. Der interdisziplinäre Dialog soll

## 2. Programm: Neue Schwerpunkte der BMBF-Förderung

Die individualisierte Medizin hat sich innerhalb weniger Jahre weltweit mit einer enormen Dynamik entwickelt und ist nun auf dem Weg, sich zu einer festen Größe zu etablieren. So werden beispielsweise im 7. Forschungsrahmenprogramm der EU für die individualisierte Medizin circa 1,2 Milliarden Euro Fördermittel zur Verfügung gestellt. Die US-amerikanischen National Institutes of Health (NIH) und die Food and Drug Administration (FDA) haben im Juni 2010 eine gemeinsame Roadmap erarbeitet, die die Entwicklung neuer Medikamente beschleunigen und die Sicherheit von Diagnostika und Gentests gewährleisten soll. In Großbritannien wurde im Jahr 2010 die „Stratified Medicine Innovation Platform“ (SMIP) etabliert. Sie ist eine gemeinsame Initiative des Department for Business, Innovation and Skills und des Medical Research Council (MRC). Auch die großen Stiftungen wie der Wellcome Trust nehmen sich des Themas an.

Seit Mitte der Neunzigerjahre fördert das BMBF mit erheblichen Mitteln Projekte, die wichtige Grundlagen für die individualisierte Medizin erarbeitet haben. Zu nennen sind hier Fördermaßnahmen wie das Nationale Genomforschungsnetz, die Innovationswettbewerbe zur Systembiologie, die Translationszentren für regenerative Medizin, kliniknahe Forschung zu innovativen Therapien oder molekularer Diagnostik sowie die Spitzencluster BioRN, m<sup>4</sup> und CI3<sup>1</sup>. Auf diese Weise wurden in Deutschland leistungsfähige Kooperationsnetze und Forschungsstrukturen etabliert und damit die Wissensbasis sowie die technologischen Grundlagen für die individualisierte Medizin geschaffen. Überdies hat die Förderung auch dazu geführt, dass Deutschland ein wichtiger und gefragter Partner in großen internationalen Projekten ist.

Um diese Entwicklungen weiter auszubauen und die Chancen zu nutzen, hat die Bundesregierung Ende 2010 die individualisierte Medizin zu einem von sechs prioritären Aktionsfeldern erklärt und als solches im Rahmenprogramm Gesundheitsforschung verankert.

Mit dem Aktionsplan „*Individualisierte Medizin: Ein neuer Weg in Forschung und Gesundheitsversorgung*“ werden neue Maßnahmen gestartet, z. T. aufbauend auf bereits erfolgreichen Förderaktivitäten. Empfehlungen des Gesundheitsforschungsrates und der Forschungsunion Wirtschaft-Wissenschaft wurden in der Konzeption der zukünftigen Forschungsförderung aufgegriffen. Für die Umsetzung des Aktionsplans sind im Zeitraum von 2013 bis 2016 bis zu 360 Millionen Euro Projektfördermittel vorgesehen. Hinzu kommen erhebliche Mittel aus der institutionellen Förderung.

Die großen nationalen Forschungsinstitutionen haben die Entwicklung hin zur individualisierten Medizin aufgegriffen und entwickeln zurzeit spezifische Konzepte und Strategien, um das Thema in ihre Forschungsaktivitäten zu integrieren. Bei den Deutschen Zentren der Gesundheitsforschung (DZG) ist das Thema integraler Bestandteil der Forschungsstrategie. Die komplementäre Ausrichtung dieser Konzepte zur Projektförderung wird dazu beitragen, effiziente Forschungskapazitäten zur individualisierten Medizin in Deutschland aufzubauen. Auch die Max-Planck-Gesellschaft leistet einen wesentlichen Beitrag zur individualisierten Medizin. Die dort betriebene Grundlagenforschung ermöglicht technologische Durchbrüche, die in Projekten der individualisierten Medizin zur Anwendung kommen. Die Helmholtz-Gemeinschaft beabsichtigt, das Feld als besondere strategische Querschnittsaufgabe im Rahmen ihrer programmorientierten Förderung auszubauen. In einem Querschnittverbund sollen die anwendungsbezogene Grundlagenforschung und die translationale Forschung gebündelt und koordiniert vorangetrieben werden. In der Fraunhofer-Gesellschaft haben sich Institute aus verschiedenen Fachbereichen zu interdisziplinären Kooperationen zusammengeschlossen, um zum Beispiel Biomarker für verschiedene Erkrankungen zu identifizieren. Mehrere Institute der Leibniz-Gemeinschaft liefern durch Ursachenforschung Beiträge zur Individualisierung in der Medizin. Besondere Stärken liegen in der Ernährungsforschung und der Analyse von Umweltfaktoren.

1 BioRN: Zellbasierte & molekulare Medizin in der Metropolregion Rhein-Neckar; m<sup>4</sup>: Münchner Biotech Cluster Personalisierte Medizin und zielgerichtete Therapien; CI3: Cluster für Individualisierte ImmunIntervention Rhein-Main

Ein Schwerpunkt universitärer Forschung ist die Identifizierung von Biomarkern. Dabei wird die universitäre Grundlagenforschung zur individualisierten Medizin insbesondere von der Deutschen Forschungsgemeinschaft, zum Beispiel im Rahmen von Sonderforschungsbereichen, unterstützt. Ausgewählte Universitätsstandorte sind Partner in BMBF-geförderten Spitzenclustern mit thematischem Fokus auf der individualisierten Medizin. Darüber hinaus sind Universitäten Partner in den Deutschen Zentren der Gesundheitsforschung.

Neben deutschen Forschungseinrichtungen und Universitäten beteiligen sich auch Forschungsförderer, wie Ministerien und Stiftungen, an internationalen Initiativen. So ist eine von Deutschland koordinierte „Coordination and Support Action“ (CSA) im 7. EU-Forschungsrahmenprogramm zur individualisierten Medizin zurzeit in Vorbereitung.

Als Querschnittsthema strahlt die individualisierte Medizin auf andere Aktionsfelder des Rahmenprogramms Gesundheitsforschung aus. Soweit eine Förderung sinnvoll ist, aber schwerpunktmäßig ein anderes Aktionsfeld betrifft, werden Maßnahmen dort eingeordnet. Eine Evaluation der Forschungsförderung im Aktionsfeld Individualisierte Medizin erfolgt im Rahmen der Bewertung des Rahmenprogramms Gesundheitsforschung der Bundesregierung.

## 2.1 Förderziele

Das BMBF will mit seinen Fördermaßnahmen vor allem dazu beitragen, das Verständnis individueller Faktoren der Krankheitsentwicklung zu verbessern und begünstigende Einflussmöglichkeiten zu erforschen. Die Anwendungschancen der Forschungsergebnisse sollen klinisch validiert und neue Verfahren und Produkte entwickelt werden. Dabei gilt es, Hürden zwischen den verschiedenen Phasen des Innovationszyklus abzubauen – zum Beispiel bei der Überführung von Erkenntnissen der Grundlagenforschung in die Klinik oder aus der klinischen Erprobung in die Produktentwicklung.

Die dynamischen Entwicklungen in der Grundlagenforschung, insbesondere in der Genomforschung, aber auch in anderen analytischen Techniken,

sind der Treiber der individualisierten Medizin. Durch gezielte Weiterentwicklung dieser Ansätze und ihre Anwendung auf medizinische Fragestellungen wird die Basis für genauere Diagnostik und innovative Therapien gelegt. Die Förderung der Systemmedizin, die dieses Wissen zum einen generiert und die zum anderen anstrebt, es zum Wohle der Patienten in die medizinische Versorgung zu übertragen, spielt deshalb eine prominente Rolle.

Der Nutzen der individualisierten Medizin für die Patienten, der Stellenwert innerhalb der Gesundheitsversorgung und das Marktpotenzial für die Gesundheitswirtschaft hängen entscheidend davon ab, ob es gelingt, leistungsfähige und aussagekräftige Biomarker für den Einsatz in der klinischen Praxis bereitzustellen. Neben der Identifizierung und Charakterisierung der Biomarker unter rein medizinischen Gesichtspunkten sind hierfür umfassende Analysen unter zulassungs- und marktrelevanten Kriterien erforderlich. Aus diesem Grund soll die Validierung vielversprechender Biomarker in klinischen Studien gefördert werden, die anschließend zur Entwicklung individualisierter Präventions- oder Therapieoptionen genutzt werden.

Auch die klinischen Studiendesigns müssen angepasst werden. Nur so kann die Sicherheit und Wirksamkeit von neuen Verfahren und Produkten für kleine Gruppen oder einzelne Patienten erprobt werden. Deswegen werden entsprechende Konzepte und Neuentwicklungen gefördert. Weiterhin sind bedarfsorientierte Studien zur Therapieoptimierung sowie Studien zu Normen und Standards mit Blick auf Zulassung und Nutzenbewertung erforderlich, um Innovationen zum Wohl der Patienten in die Klinik zu bringen.

Um die Implementierung von Verfahren und Produkten zu erleichtern und die wirtschaftlichen Potenziale der individualisierten Medizin zu heben, sollen Partnerschaften zwischen Akademie, Klinik und Unternehmen gefördert werden.

Einige wichtige Forschungsziele der individualisierten Medizin sind nur im Rahmen von internationalen Großprojekten erreichbar. Durch eine aktive Teilnahme können deutsche Wissenschaftlerinnen

und Wissenschaftler von den inhaltlichen und strukturellen Synergien profitieren, die durch die weltweite Vernetzung von Forschungseinrichtungen und der dort arbeitenden Wissenschaftler entstehen.

Der verantwortungsvolle Umgang mit neuen Entwicklungen wie der individualisierten Medizin erfordert auch, frühzeitig ethische, rechtliche und soziale Fragen zu untersuchen. Aus diesem Grund werden einschlägige Studien ausgeschrieben und Informations- und Kommunikationsplattformen entwickelt. Dazu gehören interaktive Informationsangebote im Internet, diskursive Veranstaltungen sowie Fachinformationen für Medien. Diese Angebote sind dialogisch angelegt und beinhalten alle Aspekte der individualisierten Medizin.

Die geplanten Fördermaßnahmen zielen auf Ergebnisse, die die Entwicklung neuer Ansätze zu Prävention und Behandlung vorantreiben und die gesellschaftlichen und rechtlichen Rahmenbedingungen für die Akzeptanz und den Einsatz der individualisierten Medizin schaffen. Im Folgenden sind Beispiele für zu erwartende kurzfristige sowie mittel- bis langfristige Erfolge zusammengestellt:

#### **Kurzfristige Erfolge (1–5 Jahre)**

- Schnellere und eindeutige Diagnostik auf der Grundlage validierter Biomarker
- Verbesserte Behandlungen durch enge Verzahnung von Diagnose und Therapie und Integration von Daten in Forschung und Klinik
- Erhöhte Investitionen der Gesundheitswirtschaft in die individualisierte Medizin
- Besseres gesellschaftliches Verständnis für die individualisierte Medizin

#### **Langfristige Erfolge (6–10 Jahre)**

- Verringerung von Nebenwirkungen durch zielgenaue Wirkstoffe
- Vermeidung unwirksamer Behandlungen
- Beschleunigter Marktzugang für Produkte und Dienstleistungen der individualisierten Medizin
- Mehr am einzelnen Patienten ausgerichtete Medizin

## **2.2 Fördermaßnahmen**

Die folgenden Fördermaßnahmen decken den Bereich der Innovationskette von der biomedizinischen Grundlagenforschung über die Translation bis hin zur wirtschaftlichen Verwertung ab. Sie berücksichtigen dabei die Notwendigkeit, eine gesellschaftliche Akzeptanz sowie den rechtlichen Rahmen für die Anwendung der individualisierten Medizin zu schaffen.

### **2.2.1 Identifizierung: Besseres Verständnis von Krankheiten**

#### **Das Forschungs- und Förderkonzept e:Med**

Deutlich wurde durch die bisherigen Forschungsanstrengungen vor allem eines: Durch isolierte Betrachtung einzelner Komponenten lässt sich die Entstehung vieler Krankheiten nur unvollständig aufklären. Gerade die großen Volkskrankheiten haben multifaktorielle Ursachen und eine individuelle Chronik. Ernährung, Bewegung und Umwelteinflüsse spielen eine große Rolle. Durch sie werden die individuellen genetischen und physiologischen Vorgänge im Menschen beeinflusst – der eine Mensch wird krank, ein anderer aber nicht. Im Mittelpunkt zukünftiger Forschungs- und Förderaktivitäten steht die Ergründung dieses komplexen Zusammenspiels. Wie greifen die verschiedenen Ebenen im System ineinander? Welche Mechanismen wirken wie, wo und unter welchen Voraussetzungen und wie werden sie reguliert bzw. lassen sie sich regulieren?

e:Med ist ein Forschungs- und Förderkonzept, das diese systemorientierte Erforschung von Krankheiten forciert, indem es die Lebens- und Informationswissenschaften verbindet. Die Systemmedizin braucht dazu nicht nur vielfältiges, sondern vor allem auch anwendungsgerecht aufbereitetes Datenmaterial – von Erbgutinformationen bis zum Blut- oder Röntgenbild. Inzwischen ist es leicht möglich, genetische, zellbiologische, physiologische und visuelle Datensätze zu erhalten, auch die Kosten dafür sinken. Wichtig ist nun ihre elektronische Prozessierung (e:Med), also die computergestützte Archivierung, Analyse und Integration der Daten.

Im Rahmen von „Demonstratoren zur individualisierten Medizin“ sollen deshalb Pilotprojekte gefördert werden, die den direkten Nutzen von Datensätzen aus der Genomforschung und weiterer systemorientierter Untersuchungsansätze für die individualisierte Prävention, Diagnose und Therapie demonstrieren. Solche modernen analytischen Verfahren und die Weiterentwicklung der Bioinformatik ermöglichen die systematische Erfassung und Analyse immer größerer medizinisch relevanter Datenmengen. Diese Datensätze haben einen enormen Informationsgehalt, dessen prognostischer, diagnostischer und therapeutischer Wert für die individualisierte Medizin bislang nur wenig erforscht ist. Gefördert wird deshalb die Entwicklung innovativer Methoden oder (bioinformatischer) Werkzeuge, die den unmittelbaren Nutzen und die Anwendbarkeit von systemorientierten Ansätzen für die individualisierte Medizin belegen. Die Schwerpunkte liegen auf dem Verfügbarmachen von Daten, ihrer Integration und Analyse und/oder dem Einsatz von mathematischen Modellen. Eine klinische Anwendungsperspektive muss gegeben sein. „Demonstratoren zur individualisierten Medizin“ sind dazu geeignet, Forschungsk Kooperationen von akademischen Einrichtungen mit Unternehmen aus der Biotechnologiebranche zu unterstützen.

### **2.2.2 Validierung und Implementierung: Prüfung und Überführung von Erkenntnissen in die klinische Praxis und die Gesundheitswirtschaft**

Die präventiven, diagnostischen und therapeutischen Ansätze der individualisierten Medizin sollen zum Wohle des Patienten in die klinische Praxis überführt werden. Dazu gehört ganz entscheidend die Validierung von Biomarkern. Bislang wurden zwar zahlreiche „potenzielle“ Biomarker identifiziert, der Nachweis ihres tatsächlichen klinischen Nutzens steht jedoch in den meisten Fällen noch aus. Für die kommenden Jahre besteht hier ein zentraler Forschungs- und Entwicklungsbedarf.

Validierte Biomarker sollen die Identifizierung von einzelnen Patienten oder Patientengruppen ermöglichen, bei denen bestimmte Präventions- oder Behandlungsstrategien Erfolg versprechen. Dabei geht die Entwicklung von diagnostischen Verfahren und Therapeutika Hand in Hand. Zukünftig wird der

Arzt die Behandlungsstrategie ganz wesentlich auf die Ergebnisse von Biomarker-Bestimmungen aufbauen. Bei der Identifizierung und Validierung neuer therapeutischer Angriffspunkte besteht eine Herausforderung darin, in Studien systematisch die molekularen, patientenspezifischen Informationen mit dem Auftreten von Wirkungen und Nebenwirkungen in Beziehung zu setzen. Diese Herausforderung bezieht sich sowohl auf Neuentwicklungen und zugelassene Wirkstoffe als auch auf Arzneimittelkombinationen, die bei der Behandlung von multimorbiden Patienten eingesetzt werden. So könnte die Anwendung dieser Medikamente individuell eingestellt werden, um sie verträglicher zu machen.

Für die Überführung von Forschungsergebnissen in die klinische Praxis sind strategische Partnerschaften verschiedener Akteure aus Wissenschaft und Gesundheitswirtschaft erforderlich. Gefördert werden Kooperationen und Verbünde, die gemeinsam das Ziel verfolgen, innovative Produkte und Verfahren für die Anwendung zum Nutzen des Patienten zu entwickeln und zu diesem Zweck (i) innovative molekulare Biomarker im Hinblick auf ihr Potenzial für eine individualisierte Medizin validieren, (ii) präklinische Untersuchungen und klinische Studien der Phasen I und II durchführen, um indikationsbezogene therapeutische und präventive Ansätze der individualisierten Medizin zu entwickeln, oder (iii) den klinischen Nutzen im Hinblick auf die Verbesserung der Versorgung bewerten.

In der ersten Phase der Maßnahme „Innovationen für die individualisierte Medizin“ werden Akteure aus Wissenschaft, Gesundheitsversorgung und Wirtschaft dazu aufgerufen, im Rahmen eines Workshops gemeinsam strategische Konzepte für die Entwicklung individualisierter, diagnostischer und therapeutischer Verfahren zu diskutieren. Ziel dieses „Innovationsmarktplatzes“ ist es, die Entwicklung neuer Ideen und die Teamfindung zu unterstützen. Auf diese Weise sollen Kooperationen unterschiedlicher Akteure entstehen, deren Vernetzung zur Umsetzung der Ideen erforderlich ist. Insbesondere für kleine und mittlere Unternehmen soll die Möglichkeit geschaffen werden, ihre Innovationsstärke in Partnerschaften mit anderen Akteuren aus Wissenschaft und Wirtschaft einzubringen.

Die Teams mit den erfolgversprechendsten Konzepten erhalten in einer zweiten Förderphase die Gelegenheit, ihre Konsortialkonzepte zu konkretisieren und auf Machbarkeit zu überprüfen. Gefördert wird die Ausarbeitung eines Forschungs- und Entwicklungsplans zur wissenschaftlichen und technischen Realisierung sowie einer Strategie zur wirtschaftlichen Verwertung der Projektidee. In der dritten Phase wird die Umsetzung der besten Projekte gefördert.

Mit Blick auf die Implementierung von Ansätzen der individualisierten Medizin sollen Absolventen lebenswissenschaftlicher Studiengänge die Gelegenheit erhalten, in einem Unternehmen selbst zu forschen. Dies dient nicht nur der Qualifizierung des wissenschaftlichen Nachwuchses für die Gesundheitswirtschaft, sondern unterstützt darüber hinaus die Entstehung neuartiger Partnerschaften zwischen Wissenschaft und Industrie.

Die Einführung der individualisierten Medizin zum nachweisbaren Nutzen der Patienten erfordert in verschiedenen Bereichen auch neue Methoden und Werkzeuge. Gefördert wird deren Entwicklung und Erprobung, sofern sie eine übergeordnete Bedeutung und breite Anwendbarkeit haben, etwa bei der Umsetzung von Erkenntnissen der individualisierten Medizin im Rahmen klinischer Studien.

### 2.2.3 Diskurs: Analyse gesellschaftlicher Aspekte

#### Studien zu ethischen, rechtlichen und sozialen Fragen

Um die Relevanz der individualisierten Medizin für die Patienten und das Gesundheitssystem zu erfassen, ist es notwendig, sich auch mit den ethischen, rechtlichen und sozialen Aspekten dieses innovativen Forschungsansatzes auseinanderzusetzen. Bei der individualisierten Medizin stehen besonders Rahmenbedingungen und normative Fragen im Fokus der gesellschaftlichen Debatte. Welche Anforderungen darf die Gesellschaft bezüglich der Gesundheitsvorsorge an den Einzelnen stellen, sobald ein erhöhtes Erkrankungsrisiko besteht? Ergibt sich aus der Kenntnis eines Risikos die Pflicht eines jeden Einzelnen zu einem individuell angepassten gesundheitsbezogenen

Verhalten? Wem dürfen Daten über ein individuelles Krankheitsrisiko zugänglich gemacht werden? Diese und weitere Fragen müssen interdisziplinär analysiert und Lösungsvorschläge erarbeitet werden.

Bereits seit 1997 fördert das BMBF in verschiedenen Förderlinien Forschungsprojekte zu Fragen, die sich aus den Fortschritten der modernen Lebenswissenschaften für die Gesellschaft ergeben. Zur Bearbeitung der sich aus der Entwicklung der individualisierten Medizin ergebenden Fragen können deshalb bereits etablierte Instrumente des Förderschwerpunkts herangezogen werden. Dabei erscheint die Förderung interdisziplinär vernetzter Forschungsverbünde besonders geeignet, sich mit den vielschichtigen Fragen im Zusammenhang mit der individualisierten Medizin auseinanderzusetzen. Aber auch andere Förderinstrumente, wie die Klausurwochen, bei denen junge, interessierte Wissenschaftlerinnen und Wissenschaftler ihre fächerübergreifende Arbeits- und Kommunikationsfähigkeiten trainieren, können eingesetzt werden.

Im Diskurs zwischen Gesellschaft, Politik, Wissenschaft, Versorgungsträgern und weiteren relevanten Akteuren gilt es, einen akzeptierten Rahmen für den Umgang mit der individualisierten Medizin zu schaffen und die Potenziale der individualisierten Medizin zum Wohle der Gesellschaft zu nutzen.







## **Impressum**

### **Herausgeber**

Bundesministerium für Bildung und Forschung (BMBF)  
Referat Gesundheitsforschung  
11055 Berlin

### **Bestellungen**

schriftlich an  
Publikationsversand der Bundesregierung  
Postfach 48 10 09  
18132 Rostock  
E-Mail: publikationen@bundesregierung.de  
Internet: <http://www.bmbf.de>  
oder per  
Tel.: 01805 77 80 90  
Fax: 01805 77 80 94  
(14 Cent/Min. aus dem deutschen Festnetz,  
Mobilfunk max. 42 Cent/Min.)

### **Stand**

Februar 2013

### **Druck**

BMBF

### **Gestaltung**

W. Bertelsmann Verlag, Bielefeld; Christiane Zay, Potsdam

### **Bildnachweis**

Titel: Thinkstock

### **Redaktion**

Projektträger im DLR, Gesundheitsforschung

Diese Druckschrift wird im Rahmen der Öffentlichkeitsarbeit vom Bundesministerium für Bildung und Forschung unentgeltlich abgegeben. Sie ist nicht zum gewerblichen Vertrieb bestimmt. Sie darf weder von Parteien noch von Wahlwerberinnen/Wahlwerbern oder Wahlhelferinnen/Wahlhelfern während eines Wahlkampfes zum Zweck der Wahlwerbung verwendet werden. Dies gilt für Bundestags-, Landtags- und Kommunalwahlen sowie für Wahlen zum Europäischen Parlament.

Missbräuchlich ist insbesondere die Verteilung auf Wahlveranstaltungen und an Informationsständen der Parteien sowie das Einlegen, Aufdrucken oder Aufkleben parteipolitischer Informationen oder Werbemittel. Untersagt ist gleichfalls die Weitergabe an Dritte zum Zwecke der Wahlwerbung.

Unabhängig davon, wann, auf welchem Weg und in welcher Anzahl diese Schrift der Empfängerin/dem Empfänger zugegangen ist, darf sie auch ohne zeitlichen Bezug zu einer bevorstehenden Wahl nicht in einer Weise verwendet werden, die als Parteinahme der Bundesregierung zugunsten einzelner politischer Gruppen verstanden werden könnte.



Bundesministerium  
für Bildung  
und Forschung

