



**Prof. Dr. med.  
Thomas Cerny**



**Prof. Dr. med.  
Roger von Moos**



**Prof. Dr. med.  
Urs Martin Lütolf**



**Prof. Dr. med.  
Jakob R. Passweg**

Mit dem tapferen Schneiderlein:

## Ein Weg aus dem Zulassungspoker

**D**as tapfere Schneiderlein hat sieben Mal getroffen auf einen Schlag! Ein erfolgreicher Ansatz der nun auch in der Medizin Schule macht!

Endlich ist es nämlich soweit: Erstmals in der Geschichte der modernen «personalisierten» Onkologie-Hämato-logie wird von der FDA eine neue Zulassung nicht mehr krankheitsspezifisch, sondern für eine rein Biomarker-definierte Indikation zugelassen. Dabei geht es konkret um den Einsatz von Pembrolizumab für alle Malignome mit MSI-H/dMMR Positivität. Und ebenso erfreulich: Die Zulassung gilt sowohl für Erwachsene als auch für Kinder. Grundsätzlich ist dies für Patienten und Ärzte eine gute Nachricht, ebenso wie für die innovativen Pharmafirmen.

Damit werden nun mehrere Fliegen auf einmal getroffen und diese Entwicklung ist ein wichtiger Paradigmenwechsel, welcher in unserem Alltag Konsequenzen haben wird:

1. Insbesondere für Patienten mit seltenen Erkrankungen mit definierten therapierelevanten molekularen Signaturen besteht nun die faire Chance auf einen raschen und rationalen Therapiezugang auch wenn keine direkt krankheitsspezifischen Daten dafür vorliegen.
2. Klinische Studien können nun für die Zulassung a priori als «Basket»-Studien konzipiert werden und damit mit viel weniger Forschungsaufwand und Zeitverlust zur breiten Anwendung führen.
3. Damit werden wenig motivierende und aufwendige «Pflichtstudien» für «de facto» evidente Zulassungserweiterungen vermieden und dies schafft mehr Kapazität für echte innovative Studien.
4. Auch der «off label»-Gebrauch wird dadurch zurückgehen, da die von den Firmen häufig aus Kostengründern gemiedenen Indikationserweiterungen obsolet werden dürften.

5. Es ist klar, dass hier auch noch ungelöste Probleme auf uns warten wie z. B. der Umgang mit Kombinationen, die Einschätzung der Reihenfolge des Therapie-einsatzes gegenüber anderen bereits zugelassenen Therapien. Auch die Kostenträger werden sich mit dieser neuen Situation anfreunden müssen.

6. Auch andere Zulassungsbehörden werden sich diesem neuen Paradigma anschliessen müssen.

7. Damit sollten die exorbitanten Medikamentenpreise unter Druck geraten, da der Zulassungsaufwand massiv abnehmen wird. Die Kostenspirale hat nun eine Chance, die Richtung zu ändern.

Diese «new policy», welche wir seit Anbeginn der «personalisierten Medizin» als rationale Zulassungsstrategie immer erwartet haben, hat einen sehr langen Geburtskanal hinter sich und umso mehr ist diese Entwicklung sehr zu begrüßen. Sie weckt auch alte Erinnerungen bei den Älteren unter uns: Vor einigen Dekaden wurden Krebsmedikamente lediglich mit der Indikationsdefinition für «solide und/oder hämatologische Neoplasien» zugelassen und es war selbstverständlich, dass der Arzt die Verantwortung für die korrekte Indikation hatte.

Und zu guter Letzt darf auch positiv ins Feld geführt werden, dass es natürlich die amerikanischen Behörden sind welche diesen wichtigen und mutigen Schritt machen: ein weiterer Weckruf für die Europäer und dazu gehören auch wir.

**Prof. Dr. med. Thomas Cerny, St. Gallen**  
thomas.cerny@kssg.ch