



Annette Dünninger

Manager Healthcare System and
Governmental Affairs,
Roche Pharma AG, Grenzach-Wyhlen

/// Längst nicht mehr zeitgemäß – die klassische Patientenakte

Mit Real World Daten den Fortschritt in der Forschung beschleunigen

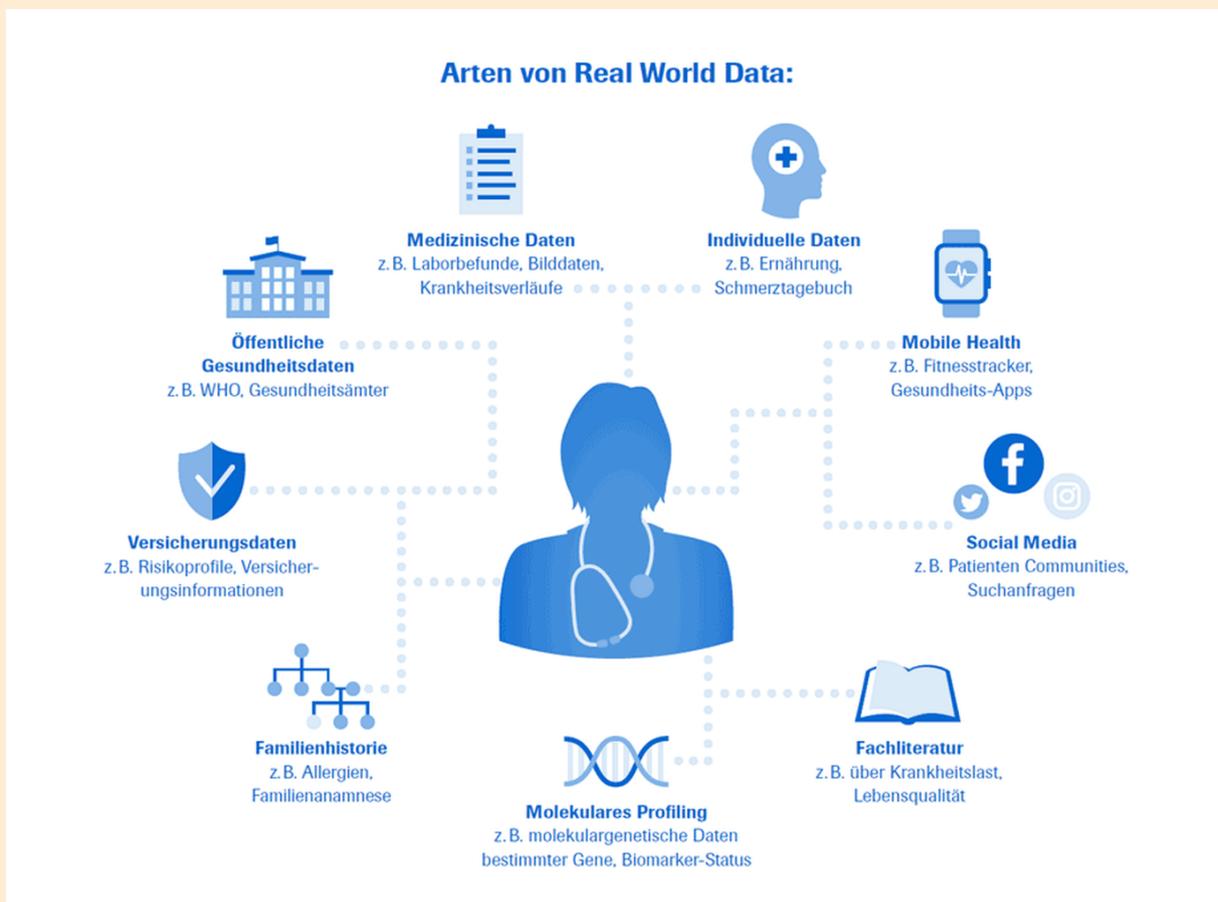
Eine personalisierte Gesundheitsversorgung, die mit jeder Behandlung heute neues Wissen für die Zukunft generiert – diese Perspektive eröffnet uns die digitale Transformation in der Medizin. Damit einher gehen eine Beschleunigung des Fortschritts in der medizinischen Forschung und eine Versorgung, die immer besser auf individuelle Bedürfnisse von Patienten zugeschnitten ist. Voraussetzung dafür: Ein pragmatischer und lösungsorientierter Umgang mit Gesundheitsdaten – und der Wille zu digitalen Austausch und Vernetzung.

Viele von uns kennen es noch: Vor der Urlaubsreise wurden Stapel von Landkarten gekauft, gecheckt, markiert – und zwischendurch wurde immer wieder angehalten, um zu prüfen, ob man noch *on track* ist. Auf die Idee kommt heute niemand mehr. Das Navi ist eingeschaltet, eine freundliche Stimme navigiert uns ans Ziel. Stressfrei, genau und unter Berücksichtigung der Straßenlage in Echtzeit. Die digitale schlägt die analoge Welt – und dies um Längen. Voraussetzung dieser Technologie ist die intelligente Nutzung von Daten. Es ist ein Fortschritt, den wir gerne mitnehmen – Landkarten sind etwas für Romantiker.

**Die intelligente
Nutzung von
Daten ist heute
selbstverständlich.**

Was das mit Gesundheit zu tun hat? Ganz einfach: Die Medizin, wie wir sie heute kennen, ist hierzulande größtenteils noch immer analog oder – um im Bild zu bleiben – Landkarten-basiert. Trotz aller Bemühungen in Richtung eines digitalen Gesundheitswesens gilt noch immer: Digitaler Austausch und die Vernetzung von Gesundheitsdaten und deren intelligente Nutzung finden zu wenig statt.

Abbildung 1: Beispiele für Real-World-Daten: Daten werden heute in der Versorgung in unterschiedlicher Qualität, Strukturierung und Tiefe gesammelt.



Quelle: Roche Pharma AG

Das Versprechen der digitalisierten Medizin

Warum sind aber Gesundheitsdaten plötzlich so wichtig, wo doch der Fortschritt der vergangenen Jahrzehnte offensichtlich fast ohne Vernetzung großer Datenseen vonstattengegangen ist? In der Tat hat das Zusammenwirken von modernster Diagnostik, immer präziser wirkenden Arzneimitteln und ärztlichem Handeln große Fortschritte in der Medizin ermöglicht. Gleichzeitig sind wir aber noch weit davon entfernt, die Komplexität der menschlichen Biologie gänzlich zu durchdringen – die Pathologie vieler Erkrankungen wirft noch immer eine Menge an Fragezeichen auf.

Das ist der Punkt, an dem das Versprechen der digitalisierten Medizin ansetzt. Denn basierte medizinischer Fortschritt grundsätzlich schon immer auf der Auswertung von Daten, so erreichen wir heute – dank digitaler Technologien – eine neue Qualität. Oder anders ausgedrückt: Die digitale Transformation in der Medizin macht unser Bild schärfer und vergrößert gleichzeitig unseren Ausschnitt. Sie lässt uns Prozesse erkennen, die wir bisher nicht sehen konnten oder nicht verstanden haben. Denn mit der digitalen Transformation stehen uns heute die Instrumente zur Verfügung, die es braucht, um große Datenmengen strukturiert zu erfassen, intelligent zu verknüpfen, in Beziehung zu setzen und daraus zu lernen, um Krankheitsgeschehen mit einer bislang unbekanntem Präzision zu entschlüsseln. Dank smarterer Algorithmen und Künstlicher Intelligenz wird aus Daten anwendbares Wissen. Aus Big Data werden Smart Data. Voraussetzung dafür ist jedoch die Auswertung umfangreicher Datenmengen. Jener Datenmengen, die täglich in der medizinischen Regelversorgung generiert werden – den sogenannten Real World Data (RWD). Denn insbesondere in der Versorgung liegen heute noch immer viele Erkenntnisse begraben, die dabei helfen können, medizinischen Fortschritt zu beschleunigen und kranken Menschen besser zu helfen.

Eine Digitalisierung von Patientendaten hilft bei der ganzheitlichen Diagnostik.

Daten als Voraussetzung für personalisierte Gesundheitsversorgung

Die Anamnese des Patienten ist allen behandelnden Ärzten zugänglich.

Datengetriebene Medizin macht personalisierte Gesundheitsversorgung im eigentlichen Sinne erst möglich. Sie ermöglicht es uns, den Menschen in seiner biologischen Komplexität zu sehen; also nicht nur die Pathologie einer Erkrankung, sondern auch andere Parameter wie zum Beispiel Vor- und Begleiterkrankungen oder die genetische Veranlagung. Jeder Mensch ist einzigartig – und damit ist es seine Erkrankung auch. Die Behandlungsstrategie für „seine“ Krankheit sollte es ebenso sein – das ist die Vision. Ohne intelligente Datennutzung ist das aber keine Vision, sondern bleibt nur ein Traum.

Teil dieser Vision ist auch ein neues Verständnis von Gesundheitsversorgung. Ein Verständnis, in dem die Gesundheit des individuellen Menschen tatsächlich im Mittelpunkt steht. Heute ist unsere Gesundheitsversorgung vor allem reaktiv ausgerichtet. Es geht um das Behandeln von Erkrankungen, das Lindern von Leiden. Mit einer datenbasierten Gesundheitsversorgung werden wir nicht nur immer bessere Behandlungsstrategien entwickeln können – wir werden zunehmend auch zu einer aktiven beziehungsweise vorausschauenderen Medizin kommen. Denn aus intelligent verknüpften Daten lassen sich zunehmend auch gesundheitliche Risiken herauslesen. Mit Smart Data können wir in Zukunft möglicherweise viele Krankheiten sogar verhindern, bevor sie entstehen beziehungsweise einen schweren Verlauf nehmen.

Mit Real World Data Forschung und medizinischen Fortschritt beschleunigen

Schon aufgrund aufwändiger klinischer Studien, die vor allem von Seiten der forschenden Gesundheitsindustrie durchgeführt werden, wissen wir heute viel darüber, wie Therapien und Behandlungsstrategien wirken. Da diese Studien in einem kontrollierten Setting stattfinden, können sie jedoch nur einen Teil der Versorgungsrealität abbilden. Aus der Onkologie wissen wir zum Beispiel, dass nur ein Bruchteil der Informationen, auf denen ein Großteil des heutigen Wissensstandes basiert, im Rahmen klinischer Studien generiert wird. Mehr als 90 Prozent der Daten werden im Versorgungsalltag – in der „Real World“ – generiert: In Kliniken, bei behandelnden Ärzten, zunehmend auch über Gesundheits-Apps. Das Potenzial dieses exponentiell wachsenden Wissens für Forschung und medizinischen Fortschritt lässt sich kaum hoch genug einschätzen. Denn in jedem einzelnen Datensatz, der

in der Versorgung generiert wird, stecken Informationen, mit denen Therapien potenziell verbessert werden können. Gesundheitsinformationen „aus dem richtigen Leben“ sind gemachte und dokumentierte Erkenntnisse und Lernprozesse. Sie ermöglichen uns eine retrospektive Analyse dessen, wie eine Behandlung bei wem angeschlagen hat – und eröffnen Ansätze für die Erforschung und Entwicklung künftiger Behandlungsstrategien. Wenn es den Akteuren im Gesundheitssystem gelingt, die Daten aus der Versorgung strukturiert zu erfassen und über Sektorengrenzen hinweg zu vernetzen, erreichen wir eine Wissen-generierende Gesundheitsversorgung, in der wir aus jedem einzelnen Krankheitsfall lernen, um es beim nächsten Mal besser zu machen.

Ein Blick in die USA: Flatiron Health

Um zu sehen, was die intelligente Nutzung von Daten verändern kann, lohnt ein Blick in die USA. Unsere US-Tochter Flatiron Health hat dort, in Kooperation mit Kliniken, Arztpraxen, Forschungseinrichtungen, Patienten und Gesundheitsbehörden innerhalb weniger Jahre eine Plattform etabliert, die heute die Daten aus mehr als 3 Millionen Akten von Patienten mit Krebs standardisiert erfasst, miteinander vernetzt und für Forschung und Versorgung nutzbar macht. Diese umfassenden Informationen aus der onkologischen Versorgung in den USA werden heute von Zulassungsbehörden, Kliniken, der Wissenschaft und den forschenden Gesundheitsunternehmen genutzt. Das gemeinsame Credo: Die Erkenntnisse aus der Behandlung eines jeden einzelnen Krebspatienten kann die Behandlung anderer Patienten verbessern – und die Erkenntnisse sind zu wertvoll, als dass diese Informationen in irgendwelchen analogen Patientenakten verstauben oder auf Servern vergessen werden dürfen. Denn ausgehend von der Krankheitsgeschichte des Individuums entsteht ein Kreislauf, der den Fortschritt entlang der gesamten Wertschöpfungskette beschleunigen kann. Von der frühen Forschung bis zur Routineversorgung erlaubt uns eine digital vernetzte Medizin, schneller zu lernen, gezielter in laufende Therapien einzugreifen und immer mehr Patienten individueller zu behandeln.

Die Plattform von Flatiron Health hat bereits über 3 Millionen Akten für die Krebsforschung nutzbar gemacht.

Für die Prognose zur Überlebenswahrscheinlichkeit von Krebspatienten verwendet Roche 27 verschiedene Parameter.

Beispiel 1: Der Real World Prognostic Score (ROPRO)

Wie Real World Data die Forschung beschleunigen und Versorgung verbessern können, zeigt unter anderem das Beispiel des Real World Prognostic Score (ROPRO). Dabei handelt es sich um ein von Roche entwickeltes digitales Tool, das auf Basis der anonymisierten Daten von mehr als 100.000 Krebspatienten aus der Flatiron Datenbank entwickelt wurde. Mit Hilfe des auf Künstlicher Intelligenz entwickelten Scores lässt sich die Überlebenswahrscheinlichkeit bei unterschiedlichen Krebsarten prognostizieren. Dafür wird der Score mit individuellen Daten der Patienten gespeist. Das sind einerseits Tumor-bezogene Daten, andererseits aber auch Informationen zur Fitness oder zu Lebensgewohnheiten der Patienten. Insgesamt sind es 27 Parameter, die erfasst werden. Der ROPRO kommt heute sowohl in der Versorgung als auch in der Forschung zum Einsatz. In der Versorgung kann er bei der individuellen Therapieentscheidung unterstützen. In der Forschung hilft er unter anderem dabei, Daten aus der klinischen Forschung besser zu verstehen und so die Erforschung und Entwicklung vielversprechender Moleküle schneller voranzutreiben.

Beispiel 2: Virtuelle Studienarme

Auch im Rahmen klinischer Studien können Real World Data dazu beitragen, Forschungs- und Entwicklungsprozesse zu beschleunigen und effektiver zu gestalten. Bleiben wir beim Beispiel der Onkologie, so zeigt sich, dass moderne Krebstherapien heute immer präziser für immer spezifischere Patienten-Gruppen entwickelt werden. Die Folge: Das klassische Konzept der randomisierten, klinischen Studien (RCTs), in denen der Nutzen einer Prüfsubstanz im Rahmen eines kontrollierten, klinischen Settings mit dem Nutzen einer bestehenden Standardtherapie verglichen wird, stößt zunehmend an seine Grenzen. Denn eine zentrale Voraussetzung für die Durchführung einer RCT ist es, überhaupt ein ausreichend großes Patienten-Kollektiv für die Studie rekrutieren zu können. Je spezifischer eine Therapie ist, desto größer diese Herausforderung.

Beispiel: Bei den sogenannten NTRK-fusionspositiven Tumoren (Die NTRK-Gene sind eine Familie aus drei verschiedenen Genen, die drei ähnliche Proteine kodieren) spielt eine spezifische genetische Veränderung eine entscheidende Rolle bei der Entstehung und dem Fortschreiten der Tumorerkrankung. Diese Veränderung lässt sich bei nur etwa 0,5 Prozent aller Patienten mit soliden Tumoren nachweisen, ist bei diesen Patienten gleichzeitig aber klinisch hochrelevant. Ein Großteil der Betroffenen spricht stark auf zielgerichtete Wirkstoffe gegen NTRK an – und dies unabhängig von der Lokalisation des Tumors. Klassische RCTs lassen sich angesichts der entitätsübergreifend niedrigen Prävalenz realistisch kaum verwirklichen. Gleichzeitig wäre es auch ethisch nicht vertretbar, Patienten in dieser Therapiesituation im Rahmen eines Vergleichsarms mit einer klassischen Chemotherapie zu behandeln. Gerade in diesen Situationen, die uns mit dem Fortschritt der personalisierten Medizin in der Onkologie immer häufiger begegnen werden, können Real World Data lösungsorientiert zum Einsatz kommen.

Denn auf Basis historischer Daten lassen sich heute externe beziehungsweise virtuelle Vergleichsarme modellieren. Statistische Balancierungs- oder Matchingverfahren ermöglichen es dabei trotz fehlender Randomisierung, die Vergleichbarkeit beobachtbarer Variablen zwischen einer einarmigen Studie und dem externen Kontrollarm herzustellen. Aus Real World Data lässt sich so eine wichtige Evidenz generieren, um Therapieeffekte vergleichend beurteilen zu können und medizinische Forschung und Fortschritt zu beschleunigen. Zentrale Voraussetzung dafür bleibt aber, dass diese Daten aus der Versorgung überhaupt vorliegen und den Gegebenheiten der klinischen Studie möglichst nahekommen.

Gleichzeitig braucht es die Akzeptanz dieser sogenannten Real World Evidence. Hier gehen die Zulassungsbehörden voran: So haben beispielsweise sowohl die Europäische Arzneimittel Agentur (EMA) als auch die US-Zulassungsbehörde FDA Real World Data als externe Kontrolle im Rahmen von Zulassungsverfahren berücksichtigt. In den USA wurde 2019 sogar ein Brustkrebsmedikament für den Einsatz bei Männern ausschließlich auf Basis von Real World Data zugelassen. Demgegenüber findet Real World Evidence im deutschen Nutzenbewertungsprozess bei der Beurteilung von Therapieeffekten bislang nahezu keine Akzeptanz.

Das deutsche Verfahren zur Preisregulierung muss Real World Daten besser berücksichtigen.

Was hindert uns daran, Gesundheitsdaten intelligent zu nutzen?

Die Frage, die sich aufdrängt, lautet: Was hindert uns daran? Ein Mangel an Erkenntnis ist es nicht – so wird beim Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) derzeit ein Forschungsdatenzentrum aufgebaut und auch in Brüssel arbeitet man unter Hochdruck an einem europäischen Gesundheitsdatenraum. Ein Mangel an Daten ist es auch nicht. Die sind in vielen Fällen vorhanden; etwa als pseudonymisierte Abrechnungsdaten der gesetzlich Krankenversicherten, als Daten in speziellen Registern oder in Patientenakten. Nur an der Qualität der Daten, der strukturierten Erfassung, der Vernetzung und dem Austausch hapert es. So ist der industriellen Gesundheitswirtschaft beim Forschungsdatenzentrum weiterhin ein direktes Antragsrecht zur Nutzung der Gesundheitsinformationen verwehrt. Damit leistet sich Deutschland den Luxus, diejenige auszuschließen, die hierzulande rund 80 Prozent der klinischen Forschung trägt: die forschende pharmazeutische Industrie.

Dabei hat uns gerade die Pandemie gezeigt, wie wichtig Gesundheitsinformationen in „Echtzeit“ für das Management von Krankheitsgeschehen sind. Epidemiologisch legt unser Land weiterhin einen Blindflug hin – und profitiert davon, dass Länder wie Israel Gesundheitsdaten nutzen, um zu verstehen, was zum Beispiel ein neu entwickelter Impfstoff zu leisten vermag.

Die Nutzung von Real World Data als Patientenschutz

Die Nutzung von Real World Data kann die Patientenversorgung verbessern.

Wir müssen dringend umdenken. Denn die Nutzung von Real World Data – immer vorausgesetzt, dass geeigneten Sicherheitsmaßnahmen höchste Priorität eingeräumt wird – dient dem Schutz grundlegender Patienteninteressen, von der Prävention bis zur Behandlung und ihrem Recht, die bestmögliche Behandlung zu erhalten. Sie kann die personalisierte Patientenversorgung verbessern und damit eine auf das Individuum angepasste Therapie möglich machen. Darüber hinaus ermöglicht sie die Gewährleistung hoher Qualitäts- und Sicherheitsstandards in der Gesundheitsversorgung, weil sie Rückschlüsse auf die laufende Behandlung und gegebenenfalls deren Korrektur erlaubt – eine „Medizin in Echtzeit“ wird möglich. Damit ist sie im öffentlichen Interesse, denn sie kann das Gesundheitssystem effizienter und damit nachhaltiger machen. Daraus ergibt sich zwangsläufig: Die Nichtnutzung gesundheitsbezogener Daten birgt Gesundheitsrisiken. Darüber hinaus ist sie unwirtschaftlich und schadet dem Gesundheitssystem, weil sie Transparenz, Effizienz und die Fähigkeit, sich stetig zu verbessern, verhindert.

Mehr Datensolidarität

Wir brauchen mehr Datensolidarität. In der öffentlichen Diskussion darüber, wie wir solche Daten nutzen, müssen die Interessen der Patienten in den Fokus gerückt werden. Wir sollten gleichzeitig einen Ausgleich finden zwischen dem Recht des Einzelnen, über seine persönlichen Gesundheitsdaten selbst bestimmen zu können, und dem Nutzen einer besseren Gesundheitsversorgung für alle, der sich durch ihre anonymisierte oder pseudonymisierte Verwendung ergibt. Denn von einer smarten Nutzung von Real World Data profitieren unterm Strich alle Beteiligten im Gesundheitssystem. Unsere Leitlinie muss sein: Gesundheitsschutz mit Datenschutz und Datensicherheit – anstatt eines eng interpretierten Verständnisses von Datenschutz.

So, wie wir heute in Deutschland unser Gesundheitsdaten-Ökosystem denken, behindern wir den Fortschritt. Wir lassen zu, dass die Medizin ihren Möglichkeiten hinterherläuft. Wir bei Roche fühlen uns deshalb verpflichtet, die Überführung von Real World Data in nutzbare Informationen voranzutreiben. Wir setzen uns aktiv dafür ein und unterstützen, dass sie – unter strenger Berücksichtigung der notwendigen Sicherheitsmaßnahmen – systematisch und qualitativ hochwertig gesammelt, strukturiert und im Sinne der Interoperabilität standardisiert werden.

Digitale Medizin ist die Voraussetzung für steile Lernkurven. Diese Lernkurven zu behindern, bedeutet, dass wir kranke Menschen allein lassen. Auch dieser Aspekt gehört zu einer ehrlichen Debatte über das Für und Wider der Nutzung von Gesundheitsinformationen. Es geht schlicht darum, wie wir in Zukunft Krankheiten behandeln und verhindern können.

Die Gesundheitsversorgung der Zukunft ist personalisiert, smart und digital. Die Kombination aus modernster Diagnostik, hochpräzisen Therapien und intelligenten Algorithmen wird dazu beitragen, dass immer mehr Patienten genau die Gesundheitsversorgung erhalten, die auf ihre individuellen Bedürfnisse abgestimmt ist.

Daten zu schützen bedeutet keineswegs, sie nicht zu teilen.

///