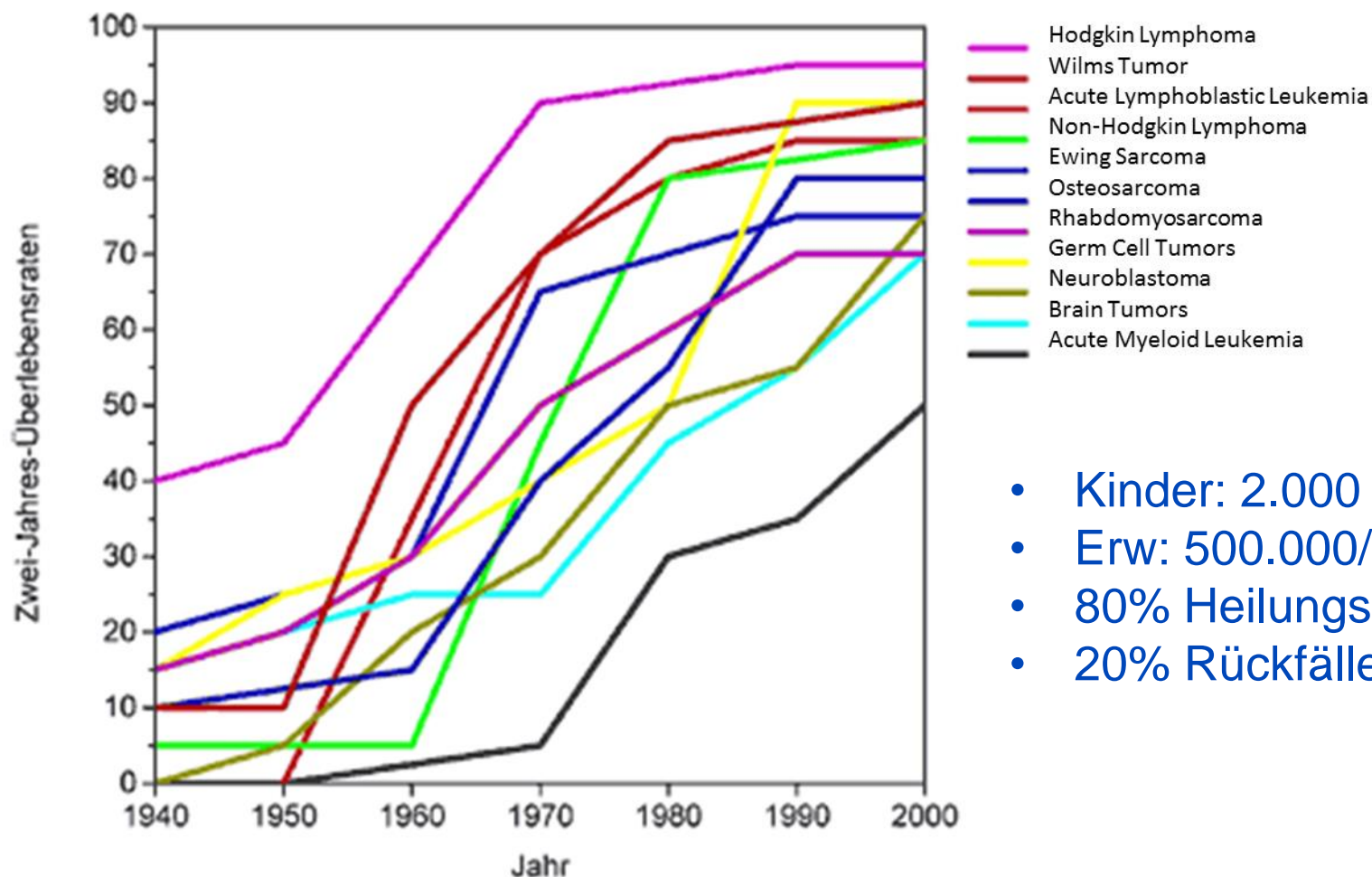


# Moderne Medikamente für Kinder: Teuer und nicht zugelassen



Prof. Dr. Olaf Witt  
Abteilung KKE Pädiatrische Onkologie, DKFZ  
Zentrum für Individualisierte Pädiatrische Onkologie (ZIPO), NCT  
Pädiatrische Onkologie, Zentrum für Kinder- und Jugendmedizin, Uniklinikum

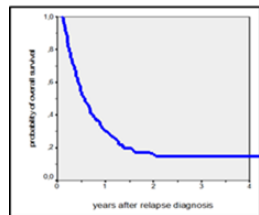


- Kinder: 2.000 /Jahr
- Erw: 500.000/Jahr
- 80% Heilungsraten
- 20% Rückfälle

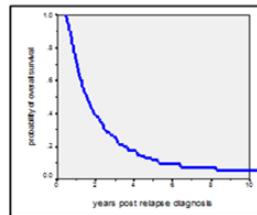
# Rückfall nach Krebsdiagnose bei Kindern

## INFORM cohorts - Survival at relapse

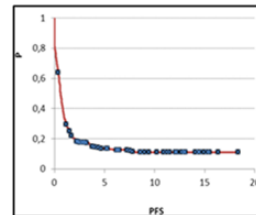
ALL-HR



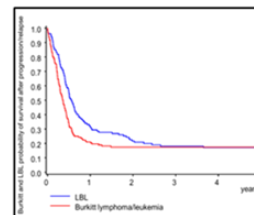
ALL post-SCT



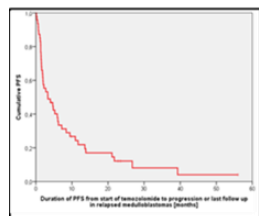
AML



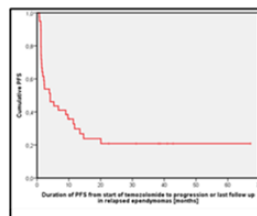
NHL



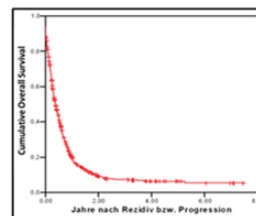
Medulloblastoma



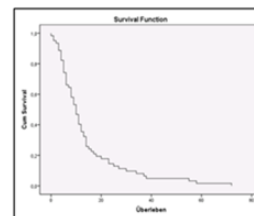
Ependymoma



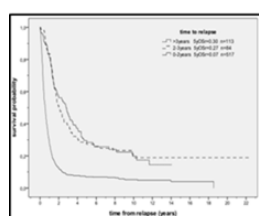
HGG (incl. DIPG)



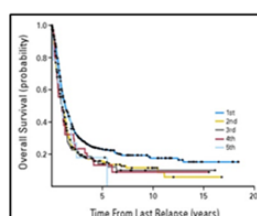
Rhabdoid Tumors



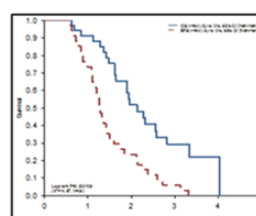
Ewing Sarcoma



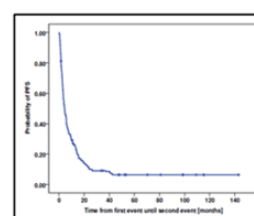
Osteosarcoma



Rhabdomyosarcoma

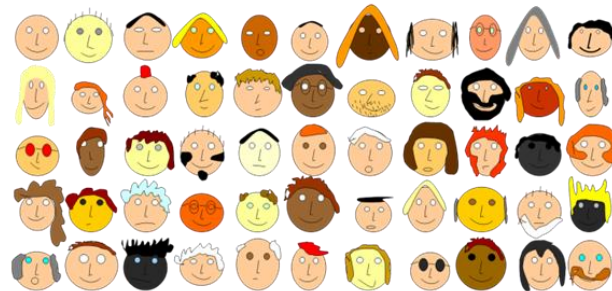


Neuroblastoma



- Überleben 0-20%
- Trotz Operation, Chemotherapie und Bestrahlung

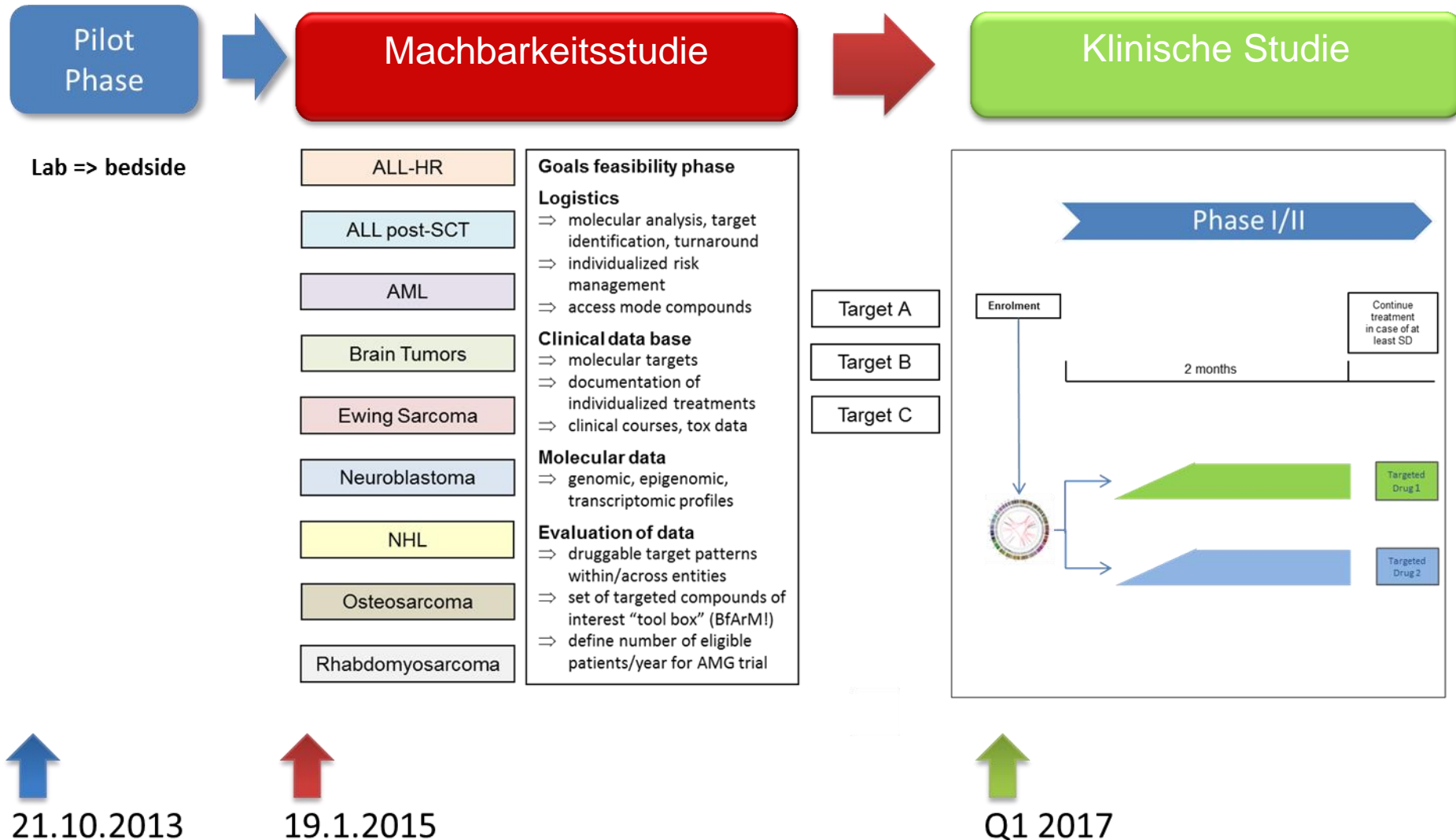
## INFORM: Targetidentifizierung für Kinder mit Rückfall einer Tumorerkrankung



INdividualized therapy FO  
Relapsed Malignancies in childhood

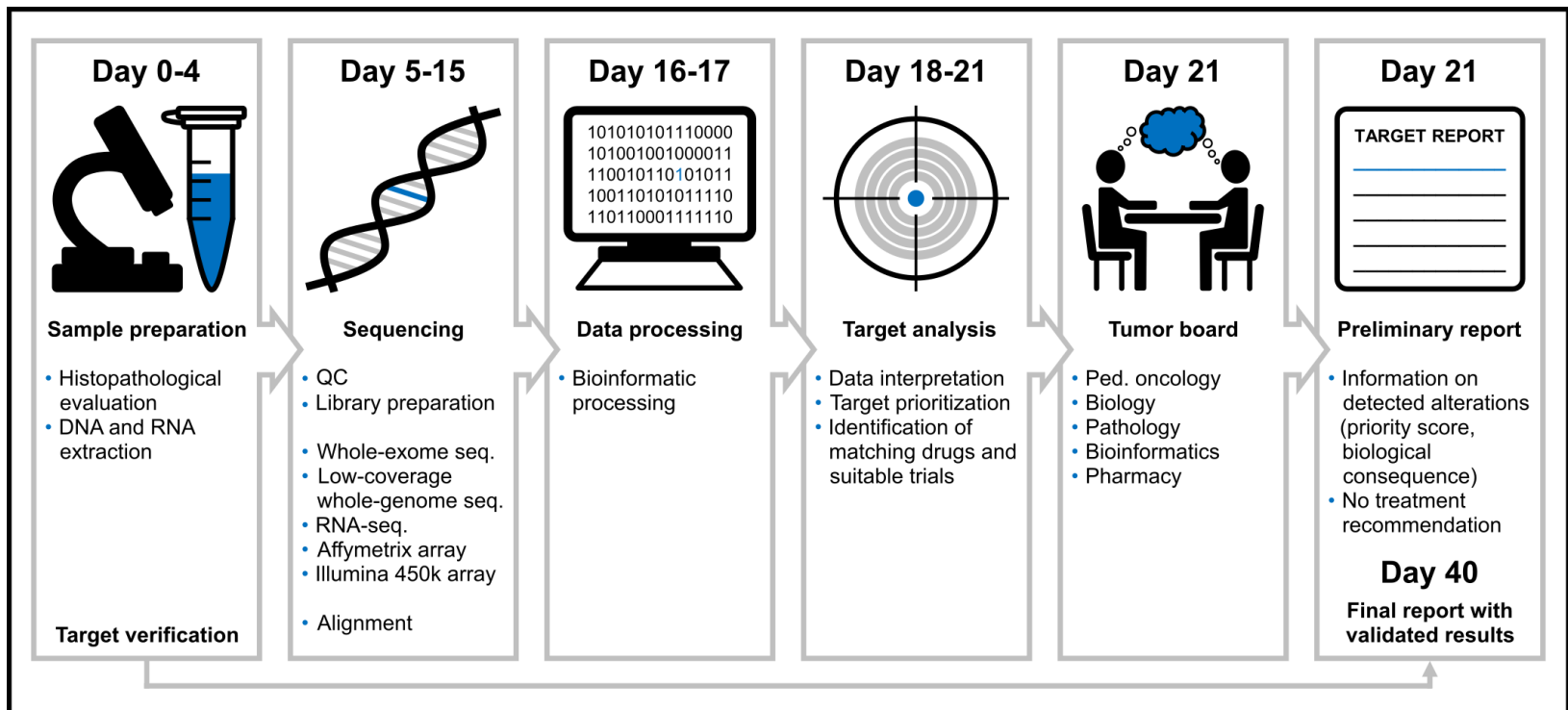


# INFORM-Studie: 3 Schritte



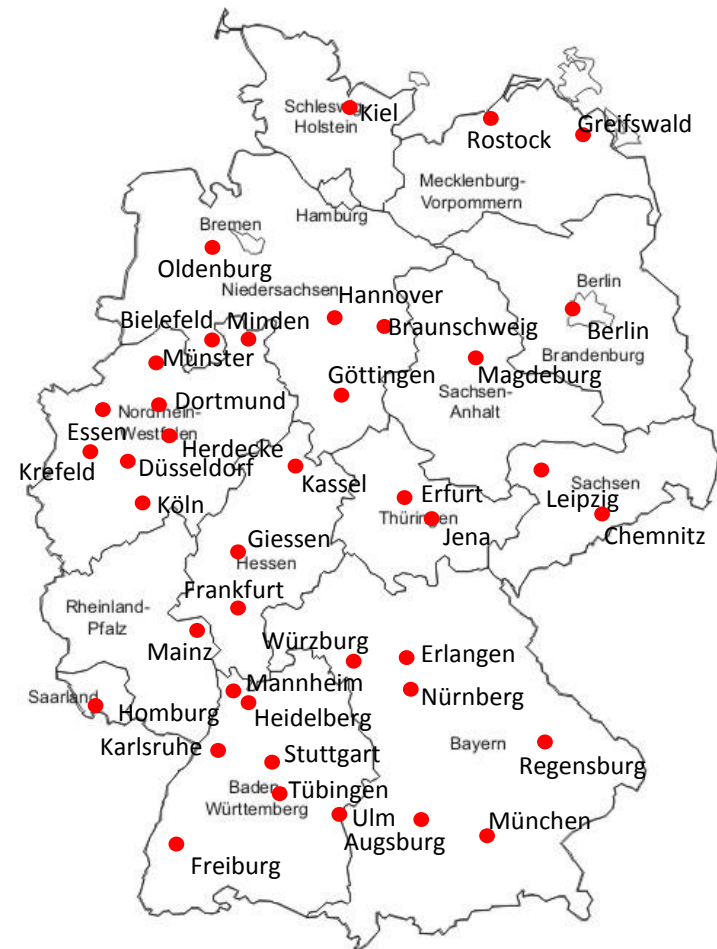
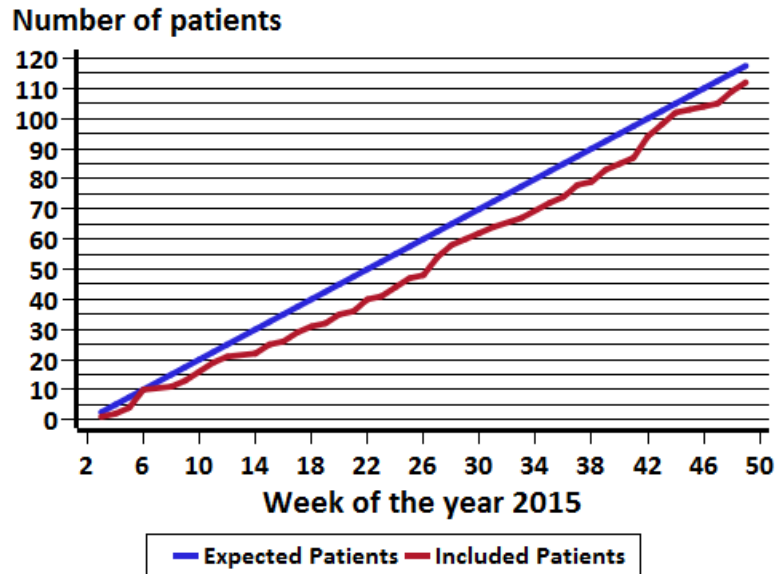
## Kind mit Rückfall einer Krebserkrankung

↓  
**Operation**  
↓

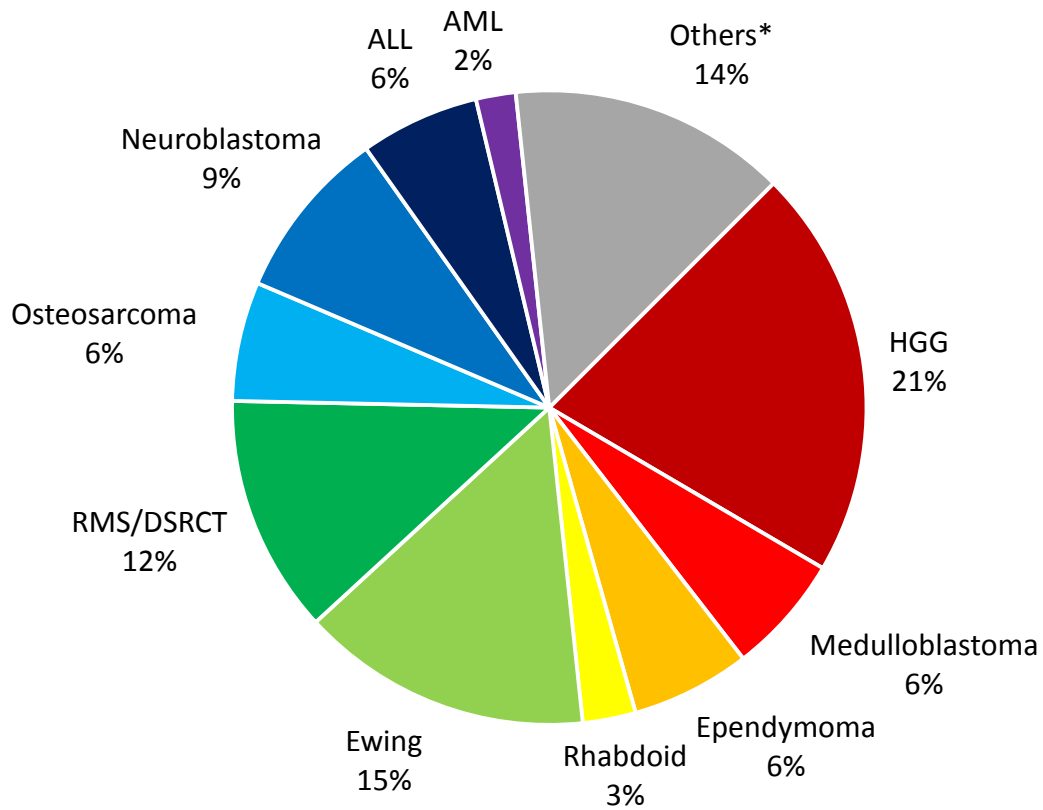


# Zahl und Herkunft der Patienten

Anzahl Patienten  
Period: 29.1. - 14.12.2015



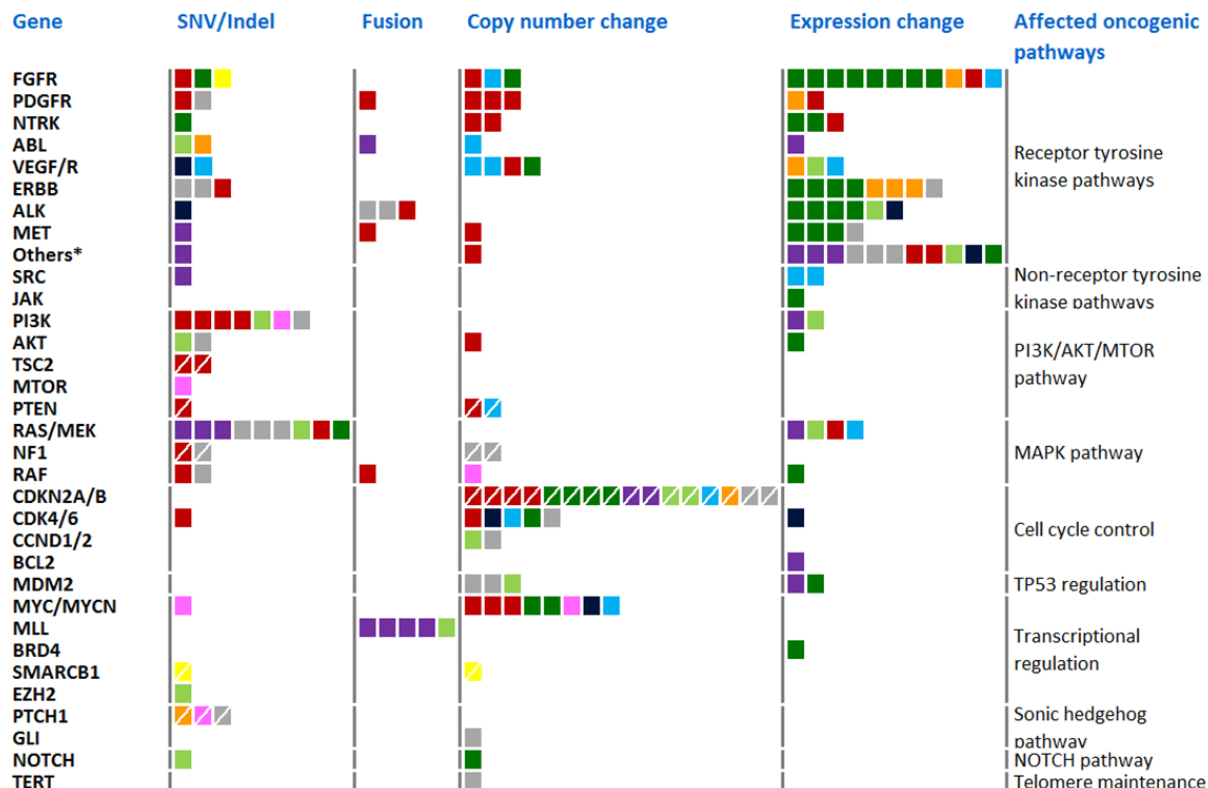
# Was für Arten an Krebs?



1/3 Hirntumore  
1/3 Weichteil/Knochen  
1/3 andere



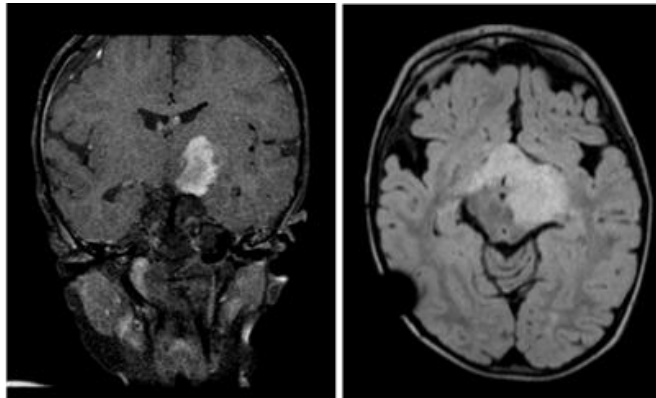
## Was finden wir für Veränderungen?



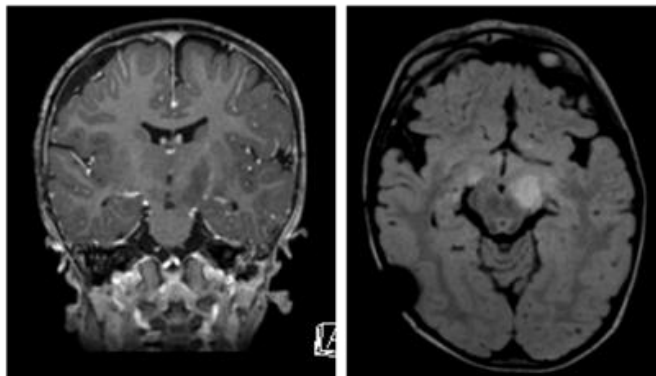
- Insgesamt 50 Gene im Erbgut betroffen (von 20.000)
- Pro Krebs „nur“ 1-5 Veränderungen (Erwachsene 100-1000)
- Gleiche Veränderungen in verschiedenen Krebsarten
- Im Rückfall neue Veränderungen im Vergleich zur ersten Diagnose
- 50% der Fälle: neuer Therapieansatz

- 3 monatiger Junge mit Hirntumor (Gliom)
- Mehrere OPs
- Chemotherapie => Tumor wächst weiter
- Molekulare Untersuchung: BRAFV600E
- Behandlung mit Vemurafenib: Tumor wird kleiner
- Kosten des Medikamentes: 5.000€/Monat

Vor Behandlungsbeginn

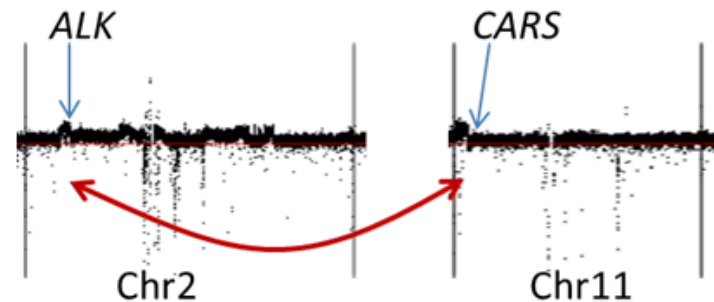
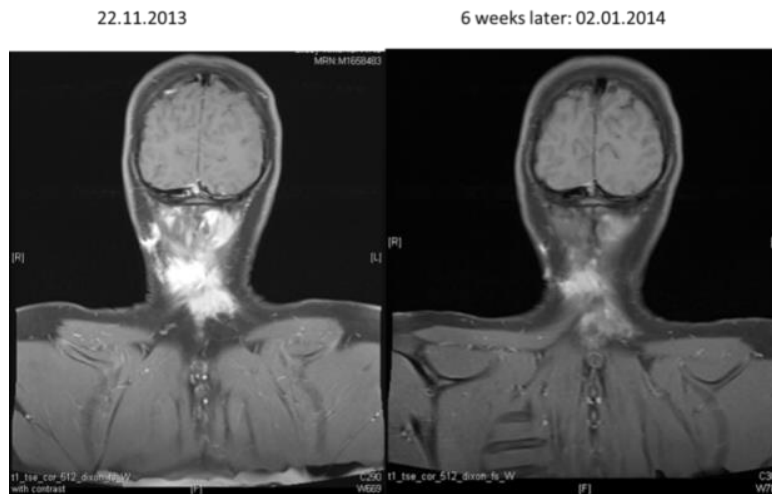


Nach 3 Monaten  
Behandlung mit  
zielgerichteter Therapie



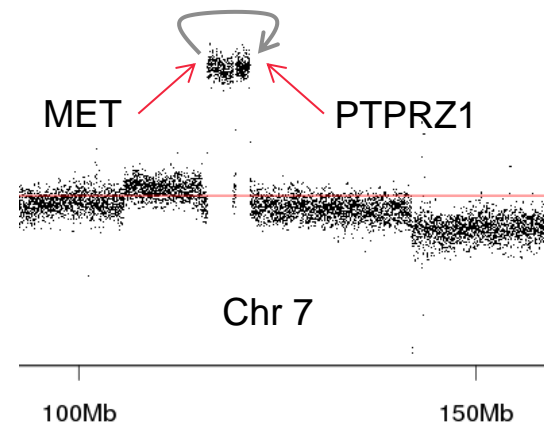
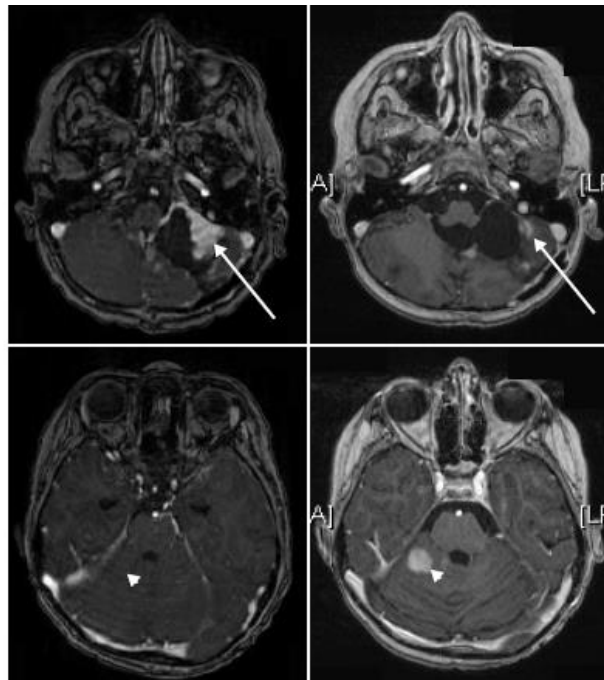
# Fallbeispiel 2

- 7 jähriger Junge mit Weichteiltumor des Halses
- Kein Ansprechen auf Chemotherapie
- Operation nicht möglich
- Molekulare Untersuchung: ALK Fusion
- Behandlung mit Ceritinib: Tumor wird kleiner und kann vollständig entfernt werden
- Kosten des Medikamentes: 9.100€/Monat



# Fallbeispiel 3

- 5 jähriger Junge mit Kleinhirntumor (Medulloblastom)
- Operation, Chemotherapie und Bestrahlung für 1 Jahr
- Geheilt entlassen
- Rückfall: anderer Hirntumor im Bestrahlungsgebiet (Glioblastom)
- Molekulare Untersuchung: MET Fusion
- Behandlung mit Crizotinib: Tumor wird kleiner aber neue Metastasen, die resistent sind
- Kosten des Medikamentes: 7.400€/Monat



# Wer bezahlt die INFORM-Studie?

## Team INFORM & funding



Stefan Pfister



Peter Lichter



Angelika Eggert



Olaf Witt

A. v. Deimling, D. Capper, P. Fiesel, S. Wolf, S. Schmidt, R. Eils, M. Schlesner, T. Milde, L. Taylor, T. Borst, E. Pfaff, P. Balasubramanian, A. Freitag, A. Rupp, M. Boudalil, V. Hovestadt, S. Henze, M. Schick, M. Hudler, M. Beyerle-Hudler, M. Schick, J. Boos, M. Schwab

Team INFORM



David Jones



C. Van Tilburg



Ruth Witt



Barbara Worst



Elke Pfaff

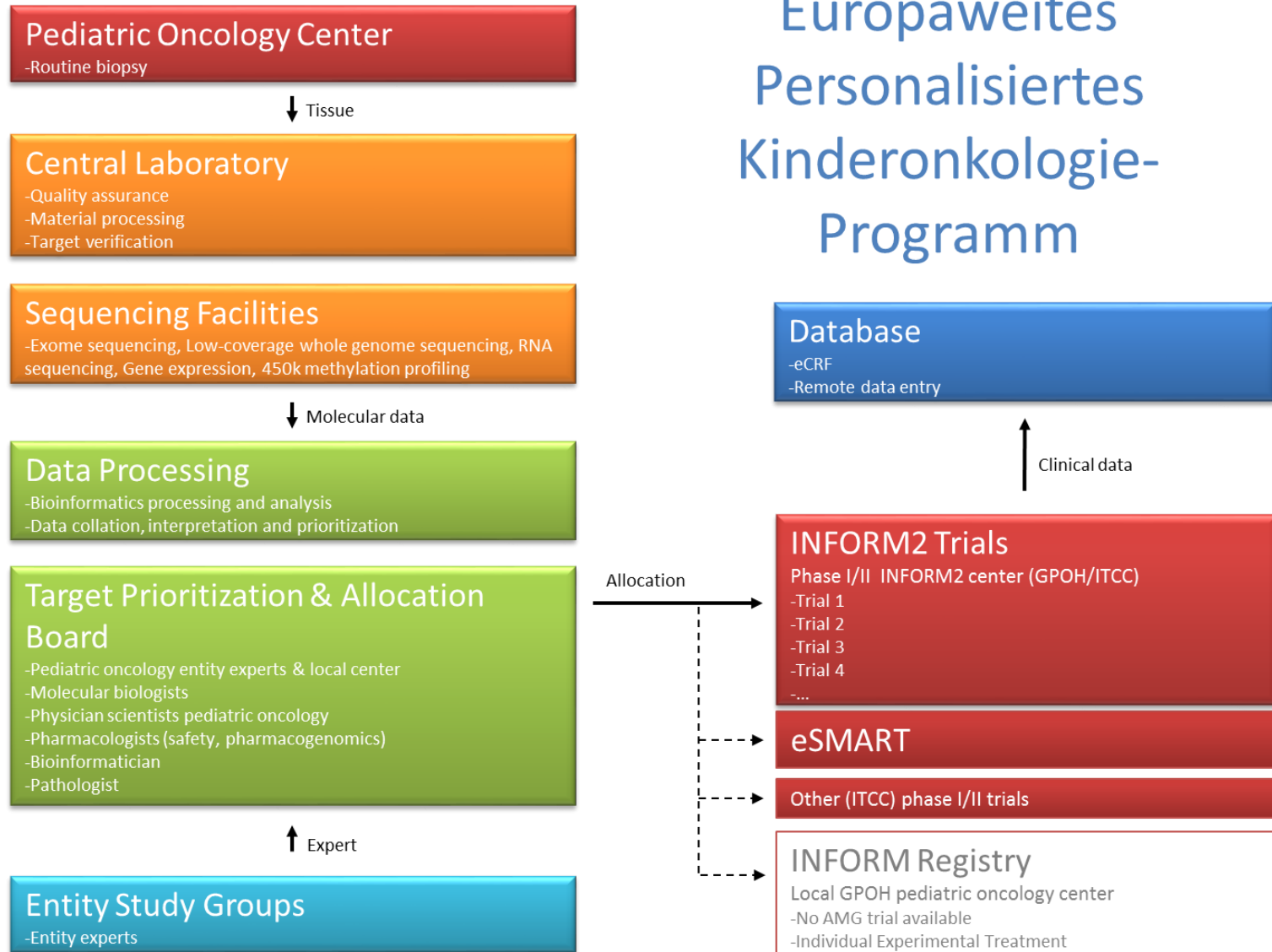


## INFORM financial support (Insgesamt 4 Millionen €)

- 12 von 16 Fällen: Krankenkasse nach Antrag und Einzelfallentscheidung  
(Bearbeitungsdauer: 1 – 60 Tage)
- 3 von 16 Fällen: Ein Herz für Kinder Stiftung
- 1 von 16 Fällen: Klinische Studie Pharmaindustrie
- Alle Medikamente nicht zugelassen für die Behandlung von Krebs bei Kindern („off-label“ Anwendung)
- Kosten: 5-20.000€ pro Monat und Medikament



# Wie geht's jetzt weiter?



- Zielgerichtete Medikamente sind teuer
- Ihr Einsatz muss rational sein: nur nach entsprechender molekularer Diagnostik des Tumors einsetzen!
- Keine Wirksamkeit wenn Therapieziel nicht vorhanden ist oder Tumor das Therapieziel nicht für sein Überleben braucht
- Kaum zielgerichtete Medikamente für die Behandlung von Kinderkrebs zugelassen
- Generika in Zukunft günstiger ?



# Kostenreduktion durch Individualisierung?



Stefan Pfister



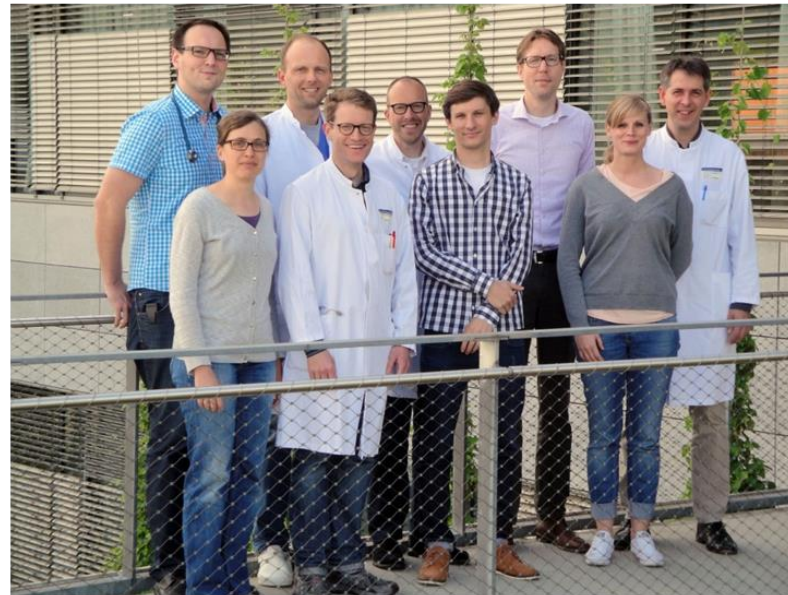
Olaf Witt



C. Van Tilburg



Till Milde



Ruth Witt, Stefanie  
Schönfeld, Sabine Brokmeier,  
Jessica Bräunling, NN  
Projektmanagement, NN  
Arzt in Weiterbildung

**ZIPO financial support: NCT 3.0 Programm**



A wide-angle photograph of the German Cancer Research Center (DKFZ) building. The building is a modern, multi-story structure with a central glass-enclosed tower and wings on either side. The facade is primarily light-colored panels with large windows. In the foreground, there is a paved plaza with several water fountains spraying upwards. Orange benches are arranged in the middle ground. The sky is blue with some white clouds.

**Danke fürs Zuhören!**

**Further information on [www.dkfz.de](http://www.dkfz.de)**

**dkfz.**

GERMAN  
CANCER RESEARCH CENTER  
IN THE HELMHOLTZ ASSOCIATION



50 Years – Research for  
A Life Without Cancer