

Genetische Therapien vermehrt im Fokus von BB Biotech



Dr. Daniel Koller
Head Investment Team

Einen frühzeitigen Einstieg, bevor ein Anlage-thema Fahrt aufnimmt und die Kurse steil nach oben gehen, suchen viele Investoren. Dafür nehmen sie auch häufig höhere Risiken in Kauf. Innerhalb der Gesundheitsbranche setzen zur Zeit genetische Therapien erste Akzente, auch wenn viele dieser Ansätze sich in früher klinischer Entwicklung befinden und noch Jahre vor einer möglichen Markteinführung stehen.

Während langer Zeit prägten die grossen und erfolgreichen Medikamente auf Basis von chemischen Substanzen den Medikamentenmarkt. Diese wurden in den letzten beiden Jahrzehnten immer mehr von den Biologika verdrängt – ersichtlich durch den Fakt, dass von den zehn meistverkauften Medikamenten mittlerweile acht auf Basis von Antikörpern und therapeutischen Proteinen entwickelt werden.

Der Anteil genetischer Therapien an der letztjährigen Rekordzahl von 59 Medikamentenzulassungen in den USA zeigt ist gering. Die tiefe Zulassungsquote der neuen Technologien ist allerdings auf den allgemein langen Medikamentenentwicklungszyklus zurückzuführen. Die zunehmenden Investitionen in gentherapeutische Entwicklungskandidaten spiegeln sich sowohl in der Vielzahl von klinischen Studien als auch in den Aussagen von Scott Gottlieb, dem kürzlich zurückgetretenen Leiter der US-Zulassungsbehörde, der in den kommenden Jahren mit einer steigenden Anzahl Zulassungen von genetischen Produkten rechnet. Nebst dem vielversprechenden Potenzial und dem Anreiz, schwerwiegende Erkrankungen mit einer Einmaltherapie behandelbar zu machen, sorgen Zukäufe von Pharmaunternehmen zu hohen Prämien für zusätzliches Interesse. 2018 übernahm Novartis das Gentherapieunternehmen Avexis für USD 8.7 Mrd. und kürzlich verkündete Roche seine Absicht, Spark Therapeutics für USD 4.3 Mrd. kaufen zu wollen.

Neue therapeutische Indikationen haben Potenzial für Patienten und Biotechbranche

1x Tag	\$ - \$\$\$ pro Tablette	Chemische Substanz
1x Woche/Monat	\$\$\$ - \$\$\$ \$\$\$\$ pro Injektion	Biologika RNA-basierte Therapie
1x Jahr/Leben	\$\$\$ \$\$\$ - \$ \$\$\$ \$\$\$ pro Infusion	Zellbasierte Therapie Gentherapie Geneditierung

Quelle: Bellevue Asset Management

Klinische Forschung an neuen Technologien läuft auf Hochtouren

Zielen die meisten bisherigen Arzneien darauf ab, bestimmte krankheitsverursachende Proteine temporär zu blockieren, so soll mit den Gentherapien das Gegenteil erzielt werden – eine fehlende oder fehlerhafte Funktion soll langfristig mit einer einmaligen Therapiegabe ersetzt werden. Als Transportmittel für das zu verwendende Genmaterial werden meist Viren benützt, häufig Adeno-assoziierte Viren, aber auch Retroviren, die das gewünschte Gen in die Zelle transportieren, wo die Information gelesen und umgesetzt wird. Die Gentherapie erzielt einen stabilen Effekt, teilweise über Jahre, ohne sich aber in das menschliche Erbgut zu integrieren. Die noch komplexere Technologie der Geneditierung benutzt als Transportmittel für das genetische Material ebenfalls Viren, hat aber das Ziel, das menschliche Erbgut in Zellen und Organen permanent zu verändern und somit bestehende Fehler zu korrigieren oder fehlende Informationen zu ersetzen.

«BB Biotech investiert erfolgreich in die Pioniere der Gentherapie-Entwicklung»

Neben dem Potenzial bestehen auch Risiken und Herausforderungen wie etwa die Langzeitsicherheit, Dosierung der Einmalgabe, Effizienz der Erreichung von Zielorganen und Zellen als auch der Integration ins menschliche Genom bei den Geneditierungen bis hin zu den initial hohen Herstellungskosten.

BB Biotech investiert vermehrt in genetische Therapien

Im Bereich der Gentherapie hat BB Biotech mit dem höchst erfolgreichen Investment in Avexis begonnen, die 2018 von Novartis übernommen wurde. Danach konzentrierte sich das Portfolio zunächst auf Voyager Therapeutics, bevor im 4. Quartal 2018 weitere Unternehmen mit genetischen Therapien neu ins Portfolio aufgenommen wurden – darunter Audentes und Sangamo.

GENTHERAPIEN IN ENTWICKLUNG

2 805

(per August 2018)

Audentes entwickelt AT132 zur Behandlung von X-linked myotubularer Myopathie, einer schwerwiegenden Erberkrankung. Bei Säuglingen mit Mutationen im MTM1-Gen kann das Protein Myotubularin nicht richtig hergestellt werden und führt zu schwerwiegenden Defekten der Skelettmuskulatur. Sangamo entwickelt mit Partnern Gentherapieprojekte und fokussiert selbst auf die Geneditierung im Bereich von schweren genetischen Erberkrankungen, die lebenslang mit Enzyersatztherapien behandelt werden müssen.

RNA-Therapien sind den genetischen Therapien einige Schritte voraus

Nicht zu vergessen ist eine weitere wichtige Produktkategorie – die RNA-basierten Therapien, die nach unserer Einschätzung aufgrund der durch Übernahmen getriebenen Fantasie im Bereich der genetischen Therapien etwas in den Hintergrund gerückt sind. Dabei kann mit verschiedenen genetischen Bausteinen gezielt die Produktion von Eiweissen reduziert oder gesteigert werden, ohne das menschliche Erbgut zu beeinflussen. Die dabei entwickelten Substanzen lassen sich in vielen Indikationen passgenau einsetzen, angefangen bei Stoffwechselstörungen und genetisch bedingten seltenen Erkrankungen bis hin zu Krebs, Infektionskrankheiten und Nervenerkrankungen.

Ionis Pharmaceuticals beispielsweise hat sich als weltweiter Vorreiter in der Antisense-Technologie etabliert und hat mehr als 30 Kandidaten in der eigenen Entwicklungspipeline. Der Vertriebspartner Biogen Idec hat mit dem Ionis-Präparat Spinraza zur Behandlung der spinalen Muskelatrophie, einer seltenen Muskelerkrankung, eine der erfolgreichsten Umsatzentwicklungen im Bereich der seltenen Erkrankungen erreicht. Alnylam wiederum erhielt die Zulassung für Onpattro, das erste Präparat, das auf der Basis der siRNA-Technologie entwickelt wurde. Das Unternehmen hat weitere Produkte in der späten klinischen Entwicklung, darunter Fitusiran, das einen neuen Ansatz in der Therapie von seltenen Blutbildungsstörungen verfolgt. Darüber hinaus arbeitet Alnylam in einer Kooperation mit The Medicines Company an einem Produkt zur Senkung des Cholesterinspiegels.

ANTISENSE-KANDIDATEN IN DER PIPELINE

>30
(Ionis)

Fakten zur Aktie

Verwaltungsrat	Dr. Erich Hunziker (Präsident) Dr. Clive A. Meanwell Prof. Dr. Klaus Strein Thomas von Planta
Management	Bellevue Asset Management
Juristische Struktur	Aktiengesellschaft
Gründung	9. November 1993
Art der Titel	Namenaktien
Nominalwert	CHF 0.20
Aktien im Umlauf	55.4 Mio. Namenaktien
Ort der Notierung	Schweizer Börse Deutsche Börse Börse Italien
ISIN-Nummer	CH0038389992
Valorennummer (CH)	3 838 999
WKN (D/I)	AONFN3
Investor Relations	Dr. Silvia Siegfried-Schanz: Telefon +41 44 267 72 66 E-Mail ssc@bellevue.ch Claude Mikkelsen: Telefon +41 44 267 67 26 E-Mail cmi@bellevue.ch E-Mail Maria-Grazia Iten-Alderuccio: Telefon +41 44 267 67 14 E-Mail mga@bellevue.ch
Media Relations	Tanja Chicherio: Telefon +41 44 267 67 07 E-Mail tch@bellevue.ch

Kontakt

BB Biotech AG
Schwertstrasse 6
CH - 8200 Schaffhausen
T +41 52 624 08 45
www.bbbiotech.com

DISCLAIMER

Das vorliegende Informationsmaterial wird von Bellevue Asset Management AG herausgegeben, die als Vermögensverwalter zugelassen ist, von der Eidgenössischen Finanzmarktaufsichtsbehörde (FINMA) beaufsichtigt wird und als Anlageverwalter der Gesellschaft fungiert. Das vorliegende Dokument ist nicht für die Verteilung an oder die Verwendung durch Personen oder Einheiten bestimmt, welche die Staatsangehörigkeit oder den Wohn- oder Geschäftssitz an einem Ort, in einem Staat, Land oder einer Rechtsordnung haben, in denen eine solche Verteilung, Veröffentlichung, Bereitstellung oder Verwendung gegen Gesetze oder andere Bestimmungen verstösst. Insbesondere ist es nicht für US Personen im Sinne von Regulation S des US-Wertpapiergesetzes von 1933 bestimmt. Die im vorliegenden Dokument enthaltenen Informationen und Daten stellen in keinem Fall ein Kauf- oder Verkaufsangebot oder eine Aufforderung zum Kauf von Wertpapieren oder Finanzinstrumenten dar. Die im vorliegenden Dokument enthaltenen Informationen, Meinungen und Einschätzungen geben eine Beurteilung zum Zeitpunkt der Ausgabe wieder und können jederzeit ohne entsprechende Mitteilung geändert werden. Diese Informationen berücksichtigen weder die spezifischen noch künftigen Anlageziele noch die finanzielle oder steuerrechtliche Lage oder die individuellen Bedürfnisse des einzelnen Empfängers. Insbesondere die steuerliche Behandlung hängt von individuellen Umständen ab und kann sich ändern. Dieses Dokument ist kein Ersatz für eine unabhängige Beurteilung. Anlegern wird empfohlen, vor jeder Anlageentscheidung zu prüfen, ob diese Anlage in Anbetracht ihrer Kenntnis und Erfahrung im Finanzsektor, ihrer Anlageziele und ihrer finanziellen Lage angemessen ist, oder sich professionell beraten zu lassen. Die Angaben und Einschätzungen in diesem Dokument stellen keine Empfehlung oder Anlageberatung dar.