

Die mRNA-Impfstoffe waren erst der Anfang

Die Corona-Pandemie hat dem bislang größten kommerziellen Erfolg von prophylaktischen Impfstoffen den Weg bereitet. Doch die aktuellen Verfahren sind dennoch nur eine Zwischenetappe beim Durchbruch neuer Therapieansätze. Das sind gute Nachrichten für Investoren

Gastautor
Daniel Koller

Der Biotechnologiesektor ist durch Covid-19 wieder in das Rampenlicht der Investoren gerückt. Die von Moderna und Biontech/Pfizer entwickelten Präparate haben sich bislang als die beiden wirksamsten Impfstoffe zur Eindämmung der Pandemie erwiesen und damit der neuartigen mRNA-Technologie zur Marktreife verholfen.

Dieser bahnbrechende Erfolg spiegelt sich auch an der Börse wider. Moderna, die

aktuell größte Position im Portfolio von BB Biotech, ist mit Kursgewinnen von mehr als 250 Prozent seit Jahresanfang zum Biotechunternehmen mit der weltweit höchsten Marktkapitalisierung aufgestiegen.

Der Einsatz des Corona-Impfstoffs gegen neue Virusmutationen wird Moderna auch in den nächsten Jahren hohe Mittelzuflüsse bescheren. Zugleich arbeitet das Unternehmen in klinischen Studien daran, in den nächsten Jahren die Marktzulassung von mRNA-Vakzinen gegen andere Infek-

tionskrankheiten wie Grippe oder das Cytomegalovirus zu erhalten. Darüber hinaus werden Impfstoffe auf Basis dieser Technologie gegen Krebs, Herz-Kreislauf- und Stoffwechselerkrankungen entwickelt.

Gentherapien revolutionieren Medizin

Die mRNA-Technologie ist nur ein aktuelles Beispiel dafür, wie innovative Therapien aus den Labors von Biotechunternehmen Anlegern überdurchschnittliche Renditen generieren können. Schlussendlich ist hier

Impfung: Neue Impfstoffe sind die Vorboten weiterer Innovationen



erfolgsentscheidend, den richtigen Zeitpunkt zu erkennen, wann eine neue Technologie vor dem großen klinischen Durchbruch zur kommerziellen Marktreife steht. Gentherapien, zellbasierte Therapien, Gene Editing, Antisense und mRNA-Technologien sind Paradebeispiele für neue Ansätze, auf die BB Biotech in den vergangenen Jahren erfolgreich gesetzt hat.

Einige dieser Ansätze sind der genetischen Medizin zuzuordnen. Das Spannende an ihnen ist, dass sie zielgerichteter sind und besser wirken. Möglich machen es neue Technologien, die mithilfe der Genomanalyse den Patientenkreis genauer eingrenzen – zum Beispiel aufgrund bestimmter Gendefekte, bei denen die Substanzen wirken und auf molekularer Ebene die Krankheitsursachen ausschalten können.

Da die Tumorbildung häufig genetische Ursachen hat, werden nach aktuellen Schätzungen der Fachzeitschrift „Journal of Gene Medicine“ rund zwei Drittel aller Gentherapien in der Onkologie getestet. Seltene genetisch bedingte Erkrankungen, Stoffwechselerkrankungen und Nervenkrankungen folgen in größerem Abstand.

Unter den gentechnischen Verfahren für die Medikamentenentwicklung haben sich die Antisense- und RNAi- beziehungsweise die Small interfering RNA (siRNA-) Technologie mit zugelassenen Arzneien etabliert. Ihnen gemein ist, dass sie einzelne Schritte in der Übertragung und Codierung von genetischen Informationen unterbinden. Damit verhindern sie, dass krankheitsauslösende Proteine ihre Wirkung entfalten.

Was ist Genome Editing?

Noch einen Schritt weiter geht die Genom-Editierung. Hier geht es darum, einen Gendefekt eines betroffenen Patienten zu korrigieren. Dabei werden im sogenannten CRISPR/Cas-System fehlerhafte Sequenzen aus dem DNA-Strang herausgeschnitten und durch neue Fragmente mit dem korrekten genetischen Bauplan ersetzt. Auf diese Weise soll eine Heilung bei den jeweiligen Erbkrankheiten herbeigeführt werden.

Aktuell enthält das Portfolio von BB Biotech verschiedene Biotechunternehmen, die mit unterschiedlichen Verfahren der Gentherapie Medikamente entwickeln. Mit CRISPR Therapeutics ist BB Biotech erstmals in einen Spezialisten für Genome Editing investiert. Das Unternehmen führt derzeit bereits klinische „Ex vivo“-Studien an Patienten mit genetischen Bluterkrankungen durch.

Am weitesten fortgeschritten ist das zusammen mit dem Partner Vertex Phar-

ma entwickelte Präparat CTX-001 zur Behandlung von Sichelzellenanämie und Beta-Thalassämie. Vielversprechende klinische Wirksamkeitsdaten haben den Aktienkurs zuletzt beflügelt.

Beam Therapeutics wiederum verfolgt im Rahmen der genetischen Präzisionsmedizin den Ansatz des „In vivo“-Base Editing. Hier werden Punktmutationen im Genom durchgeführt, ohne dass die DNA-Stränge wie bei CRISPR/Cas durchtrennt werden müssen. Obwohl sich die Beam-Pipeline in früher Entwicklung befindet, hat sich der Aktienkurs seit dem Börsengang Anfang 2020 verfünffacht.

Wenn die laufenden klinischen Studien die Möglichkeit untermauern, dass Patienten komplett geheilt werden können, und sich langfristig ein sauberes Sicherheitsprofil zeigt, könnte Gene Editing langfristig nicht nur bei seltenen Erbkrankheiten, sondern auch bei chronischen Erkrankungen eine Behandlungsoption werden.

Zahlreiche Kurstreiber

Ein weiterer Zukunftsmarkt sind digitalisierte Verfahren für das Identifizieren von Wirkstoffkandidaten. Einer der Protagonisten ist unsere Portfolioposition Relay Therapeutics, die in den nächsten Monaten klinische Daten für ihr erstes Molekül vorlegen wird. Eine firmeneigene Plattform verwendet computerbasierte, auf künstliche Intelligenz und maschinelles Lernen gestützte Verfahren, um Proteinbewegungen innerhalb von Molekülen zu modellieren.

Derartige Computersimulationen werden auf absehbare Zeit noch keine klinischen Studien mit Patienten ersetzen können. Gut denkbar aber ist, dass sie in Zukunft als Hilfsmittel für klinische Studien aber auch für die regulatorische Bewertung von Produkten in Zulassungsverfahren angewendet werden.

Für das zweite Halbjahr 2021 ist zu erwarten, dass die Weiterentwicklungen im globalen Roll-out von Covid-19-Impfstoffen weiterhin im Blickpunkt der Investoren stehen werden. Vor allem aber werden Auffrischungsimpfungen (dritte Abgabe des Wirkstoffs) entwickelt, um die Immunabwehr bereits vollständig geimpfter Personen zu stärken oder eine gezielte Abwehr gegen die komplexen neu auftretenden Mutanten zu entwickeln.

Das zweite große Thema für Biotechinvestoren wird sein, wie der Absatz des nach kontroverser wissenschaftlicher und regulatorischer Diskussion zugelassenen Alzheimermedikaments Aduhelm von Biogen anlaufen wird. ■



Dr. Daniel Koller

Leiter Investmentteam,
BB Biotech

Der Autor ist seit 2004 bei Bellevue Asset Management tätig und seit 2010 Leiter des Investmentteams von BB Biotech. Nach dem Studium der Biochemie promovierte er in Biotechnologie an der ETH Zürich.

GENOMEFORSCHUNG

Dank der Fortschritte in der Genforschung lassen sich gewisse Krankheiten immer besser diagnostizieren und immer präziser behandeln. Die größten klinischen Fortschritte und die meisten zugelassenen Produkte haben Biotechfirmen in der Onkologie und den seltenen erblich bedingten Erkrankungen erzielt. Dementsprechend groß ist die Preissetzungsmacht der Unternehmen, die diese Therapien zur Marktreife entwickelt haben. Vor allem das Genome Editing eröffnet in Zukunft die Möglichkeit auf Heilung von bislang nicht behandelbaren Krankheiten mit häufig tödlichem Ausgang.

Die Gen-Schere CRISPR ermöglicht es, krebstreibende Mutationen zu erkennen und zielgerichtet zu reparieren. Diese schnellere Diagnostik leistet einen Beitrag für eine personalisierte Krebstherapie, die zukünftig die Heilungschancen verbessern und aufgrund geringerer Nebenwirkungen auf gesunde Körperzellen besser verträglich sein soll. Zudem trägt die maßgeschneiderte Therapie dazu bei, dass Patienten nur erfolgversprechende Behandlungen bekommen.