

# Biotechnologie von Kopf bis Fuß #2: Seltene Krankheiten

**Der Biotech-Sektor ist nicht nur vielschichtig und spannend, sondern schafft durch neue Medikamente und Therapieansätze immer wieder attraktive Anlagechancen. Im zweiten Teil unserer Serie geht es um Therapien, Chancen und Potenziale bei seltenen Krankheiten.**

In Deutschland sind es rund vier Millionen, in Europa etwa 30 Millionen und weltweit sind es sogar mehr als 300 Millionen Menschen: Sie alle leiden an einer sogenannten seltenen Krankheit. Eine Erkrankung gilt als selten, wenn 1 von 2.000 Menschen oder weniger betroffen ist. Die Diagnosen erstrecken sich über viele Therapiegebiete, so etwa im Bereich Onkologie, Neurologie oder Bluterkrankung. In der Medizin werden die „orphan diseases“ dennoch als eigener Sektor verwendet.

Weltweit soll es Schätzungen zufolge mehr als 6000 verschiedene seltene Erkrankungen geben. Die meisten betreffen nur wenige, zusammengenommen sind die Seltenen aber gar nicht so rar. Die Patienten leiden oft viele Jahre unter unspezifischen Symptomen, bis die Diagnose gestellt und – möglicherweise – eine Therapie gestartet werden kann.

## Großer Bedarf an neuen Therapien

Doch bislang sind erst rund fünf Prozent dieser seltenen Erkrankungen mit zugelassenen Medikamenten behandelbar. Der Bedarf an neuen und innovativen Therapien ist entsprechend enorm. Doch die gute Nachricht lautet: Es tut sich was im Sektor. Schrittmacher für diese Entwicklung sind zahlreiche neue Behandlungsansätze wie die Immuntherapie oder Gen- und Zelltherapien.

Damit sind seltene Krankheiten für die Branche kein Randthema mehr, sondern ein zunehmend wichtiger Teil der Aktivitäten – auch weil es zahlreiche regulatorische und steuerliche Anreize gibt. So etwa den Orphan Drug Act in den USA, der beispielsweise Unternehmen über sieben Jahre eine exklusive Vermarktung zugelassener Produkte sichert. Auch die Europäische Union hat mit der Verordnung für Orphan Drugs Hindernisse abgebaut und die Bedingungen in einem sehr schwierigen Markt verbessert.

## Antikörper-Technologie mit großem Potenzial

Davon profitieren innovative Biotech-Firmen wie Argenx. Das belgische Unternehmen erforscht und entwickelt mit Hilfe seiner zahlreichen Antikörper-Plattformen gezielte Therapien für seltene Krankheiten. „Argenx hat mit einer bahnbrechenden Antikörper-Technologie den Durchbruch geschafft und eine erste Zulassung für die Behandlung einer seltenen neurologischen Autoimmunerkrankung erwirkt“, erläutert Ivo Staijen,

Biotech-Experte und Portfoliomanager bei HBM Partners, einer auf den globalen Gesundheitssektor spezialisierten Vermögensverwaltungs-Boutique aus der Schweiz. Die Aktie zählt zu den erfolgreichsten Positionen im [HBM Global Biotechnology Fund](#). Denn das Unternehmen hat es in wenigen Jahren geschafft, ein Portfolio von Arzneimittelkandidaten mit großem Potenzial für Patienten zu entwickeln.

Das Besondere: Argenx nutzt die Vielfalt des Immunsystems von Lamas. Weil die Antikörper von Lamas rund 90 Prozent kleiner als die des Menschen sind, ermöglichen sie es dem Immunsystem besser gegen eindringende Bakterien und Viren vorzugehen. Das Argenx-Hauptprodukt Vyvgart - auch bekannt als Efgartigimod - wird zur Behandlung der seltenen Muskelkrankheit Myasthenia gravis vermarktet. Der neue Wirkmechanismus lässt sich gleich auf mehrere Autoimmunkrankheiten ausweiten und ermöglicht es dem Unternehmen, neue Antikörper-Medikamente schneller zu entwickeln. Experten zufolge hat das Medikament ein Milliarden-Dollar-Potenzial.

## **Bedeutung von Orphan Drugs nimmt zu**

Das Beispiel zeigt die enormen Chancen des Sektors. Laut dem Londoner Marktforschungsinstitut Evaluate werden die Präparate für seltene Krankheiten bis 2026 rund ein Fünftel des gesamten Umsatzes mit verschreibungspflichtigen Medikamenten und fast ein Drittel des Wertes der weltweiten Medikamentenpipeline ausmachen.

Ein anderes erfolgsversprechendes Beispiel ist die von der Firma Alnylam entwickelte Arznei Patisiran. Auch hier versprechen sich die HBM-Experten für das Unternehmen in Zukunft jährliche Milliardeneinnahmen. „Patisiran wird eingesetzt bei der seltenen genetisch bedingten Erkrankung ATTR Amyloidose mit Kardiomyopathie, bei der in der Regel das Herz und Nervensystem betroffen sind und die lebensbedrohlich ist“, erläutert Staijen.

## **Small- und Mid-Caps als Innovations-Rückgrat**

In seinem Fonds, dem [HBM Global Biotechnology Fund](#) favorisiert er solche Small- und MidCaps wie Alnylam. Aus gutem Grund: „Junge Biotechnologie-Unternehmen sind zum Innovations-Rückgrat der großen Pharmakonzerne geworden. Bereits heute stammen 70 Prozent aller sich in der klinischen Entwicklung befindenden Arzneimittel von Biotech-Unternehmen“, erläutert der erfahrene Portfolio-Manager.

Große Hoffnungen der Patienten mit seltenen Krankheiten gibt es vor allem angesichts der Fortschritte in der Genomsequenzierung. Dank der biotechnologischen Forschungsergebnisse aus der Genom-Entschlüsselung sowie

des zunehmenden Know-hows über die Funktionsweisen von menschlichen Zellen und Krankheitserregern richtet sich der Fokus auch auf weniger bekannte Krankheitsbilder. Die Methoden könnten den Behandlungsstandard für Betroffene drastisch verbessern.

„Die nächste Generation der Sequenzierung beschleunigt die Revolution im Biotech-Sektor“, glaubt Biotech-Experte Staijen. So sorgen neueste Forschungen für ein besseres Verständnis der Funktionsweise von Genen und ihrer Rolle bei Krankheiten. „Gendefekte können behoben und durch Zelltherapie Beschwerden gelindert oder sogar ganz beseitigt werden“, erläutert der Fondsmanager.