

Biotechnologie von Kopf bis Fuß #5: Die Zukunft der Therapie bei Bluterkrankungen

Die Hämatologie ist ein Fachgebiet der Medizin, das sich auf das Studium des Blutes, des blutbildenden Systems und der damit verbundenen Erkrankungen konzentriert. Im fünften Teil unserer Serie befassen wir uns mit der Frage, wie Anleger in Unternehmen investieren können, die einen Fokus auf die Diagnose und Behandlung verschiedener Bluterkrankungen legen.

Krankheiten, die das Blut betreffen, werden Bluterkrankungen oder hämatologische Störungen genannt. Bei manchen Bluterkrankungen nimmt die Anzahl der Blutzellen ab, bei anderen steigt die Anzahl der Blutzellen an. Bei wiederum anderen Bluterkrankungen sind die Proteine in den Blutzellen oder im Plasma (das heißt dem flüssigen Teil des Blutes) betroffen. Anämien, also die Verringerung der Zahl der roten Blutkörperchen, gehören zu den häufigsten Bluterkrankungen weltweit. Die Weltgesundheitsorganisation (WHO) schätzt, dass mehr als 1,6 Milliarden Menschen an irgendeiner Form von Anämie leiden. Eisenmangelanämie ist dabei die häufigste. Leukämien wiederum sind Krebserkrankungen, die im Knochenmark und im Blut beginnen und eine übermäßige Produktion von weißen Blutkörperchen verursachen. Auch Lymphome sind weit verbreitet. Das sind Krebserkrankungen des lymphatischen Systems, die von den Lymphozyten, einer Art von weißen Blutkörperchen, ausgehen.

Das Multiple Myelom steht im Fokus der Forschung

Die zweithäufigste hämatologische maligne Erkrankung in den westlichen Industriestaaten ist dabei das Multiple Myelom. Es macht ungefähr zehn Prozent aller hämatologischen Erkrankungen aus und gehört zu den häufigsten Tumoren von Knochen und Knochenmark. Weltweit leben etwa 750.000 Menschen mit dieser Erkrankung. Das Multiple Myelom, oft einfach als Myelom bezeichnet, ist eine Art von Blutkrebs, der sich aus den Plasmazellen im Knochenmark entwickelt. Es ist eine sehr heterogene Erkrankung mit stark variierenden genetischen Ursachen und dementsprechend unterschiedlichen Anspruchsdaten auf Therapien.

Daher ist die hämatologische Forschung ein dynamisches und sich rasch entwickelndes Gebiet, die in den vergangenen Jahren erhebliche Fortschritte gemacht hat. Das macht Unternehmen, die sich mit hämatologischer Diagnostik und Therapie befassen, für Investoren besonders interessant. Um das Beispiel des Multiplen Myeloms aufzunehmen: Betroffene haben Symptome wie Blutarmut, Nierenversagen und Osteoporose zu erwarten und weniger als ein Drittel lebt fünf Jahre nach der Diagnose noch. Allerdings hat sich die Überlebenserwartung mit der Einführung verschiedener neuer Therapien schrittweise verbessert.

Medikament als Standardbehandlung für das Multiple Myelom

Ein führendes Unternehmen in der Behandlung dieser Erkrankung ist Genmab aus Dänemark. Genmab entwickelt und produziert monoklonale Antikörper für die onkologische Therapie und hat gemeinsam mit Johnson & Johnson das Medikament „Darzalex“ entwickelt, das als Standardbehandlung für das Multiple Myelom gilt und das führende Produkt von Genmab ist. Der Wirkstoff in „Darzalex“, Daratumumab, ist ein monoklonaler Antikörper (eine Art von Protein), der speziell dafür entwickelt wurde, an das Protein CD38 zu binden, das sich in einer hohen Anzahl auf Multiplen Myelomzellen findet. Indem Daratumumab an das CD38 auf den multiplen Myelomzellen bindet, aktiviert es das Immunsystem, um die Krebszellen abzutöten.

Ivo Staijen, Biotech-Experte und Portfoliomanager des [HBM Global Biotechnology Fund](#) bei HBM Partners, einer auf den globalen Gesundheitssektor spezialisierten Vermögensverwaltungs-Boutique aus der Schweiz, verweist auf die Erfolgsgeschichte von Genmab. „Genmab ist eine unserer erfolgreichsten Firmen und seit Jahren im Portfolio. Es gilt als eines der führenden europäischen Unternehmen in diesem Segment und hat in den vergangenen fünf Jahren mehr als 150 Prozent an Wert gewonnen.“

CAR-T-Therapie gegen spezielles Zelloberflächenprotein

Die Behandlung des Multiplen Myeloms steht auch bei Legend Biotech im Fokus. Das Unternehmen hat gemeinsam mit Janssen Biotech die zellbasierte CAR-T-Therapie „CARVYKTI“ entwickelt. Diese Therapie modifiziert T-Zellen des Patienten, um Krebszellen effektiver angreifen zu können und wird bereits erfolgreich bei bestimmten Arten von Leukämie und Lymphomen eingesetzt. „CARVYKTI“ richtet sich gegen das Zelloberflächenprotein „B-Cell Maturation Antigen“, das hauptsächlich auf reifen B-Zellen und Plasmazellen herausgedrückt (exprimiert) wird. In der Hämatologie spielt BCMA eine wichtige Rolle im Überleben und Wachstum dieser Plasmazellen und ist daher ein attraktives Ziel für die Therapie des Multiplen Myeloms.

„Und auch das US-Biotech-Unternehmen Arcellx zeigte bisher in klinischen Studien mit seiner CART-ddBCMA Zelltherapie ermutigende Wirksamkeit bei der Behandlung des rezidierten und refraktären Multiplen Myeloms“, betont Ivo Staijen. Der Wert hat in den zurückliegenden zwölf Monaten mehr als 90 Prozent gewonnen und steht auf fünf Jahre gesehen 115 Prozent im Plus.

Seltene Erkrankungen wie Sichelzellenanämie und Beta-Thalassämie sollen therapiert werden

Ebenso interessant ist laut dem Fondsmanager die Entwicklung von Therapien auf Basis der revolutionären Genscheren-Technologie CRISPR. Mit den CRISPR-Cas-Systemen können sich die Zellen vor einer erneuten Infektion schützen, denn CRISPR-Cas verleiht der Infektionsabwehr der Bakterien eine Art Gedächtnis. Vertex Pharmaceuticals entwickelt mit dem Forschungspartner Crispr Therapeutics das Medikament „Exa-cel“. Die US-Behörde FDA wird bis spätestens am 8. Dezember einen Entscheid zu „Exa-cel“ für die Behandlung der Bluterkrankung Sichelzellenanämie fällen. Die Sichelzellanämie ist eine erbliche genetische Anomalie des den Sauerstoff tragenden Proteins in den roten Blutkörperchen (Hämoglobin), bei der eine chronische Anämie durch sichelförmige rote Blutkörperchen hervorgerufen wird. Zur Behandlung der Bluterkrankung Beta-Thalassämie wird ein weiterer FDA-Beschluss bis zum 30. März erwartet. Weder für die Sichelzellanämie noch für die Beta-Thalassämie gibt es bislang ausreichend gute und genügende Behandlungsoptionen.

Behandlung von schwerer Hämophilie A nun möglich

Ivo Staijen weist auch auf die Erfolge von Biomarin und Incyte hin. Biomarin hat die erste zugelassene Gen-Therapie für Hämophilie entwickelt, auch als Bluterkrankheit bekannt. Hämophilie ist eine Erbkrankheit, bei der die Blutgerinnung gestört ist. Das Blut aus Wunden gerinnt nicht oder nur langsam. Das Medikament „Roctavian“ wird in der Behandlung von schwerer Hämophilie A bei erwachsenen Patienten angewendet und hat bereits eine bedingte Zulassung der Europäischen Arzneimittelagentur erhalten. Die Hämophilie A ist die häufigste Form der sogenannten Bluterkrankheit und tritt aufgrund der zugrundeliegenden Genetik fast ausschließlich bei Männern auf.

„Incyte hat seit einigen Jahren eine Behandlung gegen Myelofibrose, eine seltene Erkrankung des Knochenmarks, die zur Gruppe der myeloproliferativen Neoplasien gehört, auf dem Markt zugelassen. Bei dieser Krankheit kommt es zu einer unkontrollierten Vermehrung von Blutzellen, die gleichzeitig eine zunehmende Fibrosierung, also Vernarbung des Knochenmarks, verursacht. Diese Vernarbung erschwert die normale Blutzellproduktion, was zu einer Reihe von Symptomen und Komplikationen führen kann“, erklärt Ivo Staijen. In dem Bereich sei es kürzlich auch zu Unternehmensübernahmen wie bei Sierra Oncology und CTI Biopharma gekommen, die Börsenwerte zusätzlich treiben könnten.

Auch auf dem Gebiet der Behandlung von Bluterkrankungen spielen kleine und mittelgroße Gesellschaften eine zunehmend bedeutendere Rolle. Großkonzerne sichern sich mit Partnerschaften oder mit Übernahmen Zugang zu den vielversprechenden Anwendungsgebieten. Dafür sind sie bereit substanzielle

Beträge zu investieren – Anleger können mit einer Investition in ein Portfolio von Firmen der „zweiten Reihe“ von dieser Entwicklung profitieren.

Der [HBM Global Biotechnology Fund](#) ist insgesamt in vier unterschiedlichen Anteilsklassen erhältlich. So ist der Fonds neben der Euro-Anteilsklasse auch in US-Dollar erhältlich. [Hierüber](#) erhalten sie alle weiteren Informationen zur US-Dollar-Anteilsklasse.