

# Biotechnologie von Kopf bis Fuß #6: Gen- und Zelltherapien als Anlagethema

**Gen- und Zelltherapien sind revolutionäre medizinische Verfahren, die auf die Behandlung und möglicherweise Therapie von Krankheiten abzielen, die bislang als unheilbar galten. Im sechsten Teil unserer Serie befassen wir uns mit Unternehmen aus der Gen- und Zelltherapie, die interessante Investmentziele für langfristig orientierte Anleger darstellen können.**

Thalassämie, Sichelzellenanämie, Muskeldystrophie, Hämophilie, Diabetes-Typ-1 und, und, und: Die Liste der Erbkrankheiten ist lang, und nicht selten haben diese Erkrankungen schwerwiegende gesundheitliche und lebensverändernde Folgen für die Betroffenen. Viele genetische Erkrankungen erfordern daher eine lebenslängliche Behandlung. Das Stichwort ist dabei die Gen- und Zelltherapie. Das sind innovative medizinische Verfahren, um bislang nicht oder nur begrenzt behandelbare Erkrankungen zu therapieren. Ziel ist, Krankheiten an ihrem Ursprung behandeln und nicht nur die Symptome von Krankheiten zu bekämpfen.

## Genetisches Ausgangsmaterial soll verändert werden

Bei Gen- und Zelltherapien geht es darum, genetisches Material zu verändern, um Krankheiten zu bekämpfen. Bei einer Gentherapie fügt man DNA in die Zellen eines Patienten ein, um dort etwa ein defektes Gen zu ersetzen. Bei der Zelltherapie bringen Mediziner ganze Zellen in den Körper ein, um so geschädigtes Gewebe zu ersetzen oder zu reparieren. Ein Beispiel ist die Stammzelltherapie. Diese bezieht sich auf die Verwendung von Stammzellen zur Behandlung oder Vorbeugung einer Krankheit oder eines Zustands. Stammzellen sind die Grundbausteine des Lebens, die einzigartige Fähigkeit zur Selbsterneuerung besitzen und sich in verschiedene Zelltypen differenzieren können. Aufgrund dieser Eigenschaften bieten sie das Potenzial, beschädigte oder erkrankte Gewebe im Körper zu regenerieren oder zu reparieren.

## Fortschritt personalisierter Medizin und der Entwicklung neuer Technologien

Diese neuen Therapien, die Krankheiten mit einem innovativen Ansatz bekämpfen sollen, sind auch aus Anlegersicht besonders interessant. „Derzeit befinden sich rund 400 Gen- und Zelltherapien in der klinischen Entwicklung, und viele internationale Unternehmen wollen sich in diesem Markt positionieren. Die Forschung in den Bereichen der Gen- und Zelltherapie entwickelt sich ständig weiter. Mit dem Fortschritt personalisierter Medizin und der Entwicklung neuer Technologien wie des Genom-Editings stehen wir möglicherweise an der Schwelle zu einer neuen Ära der Medizin, in der Krankheiten auf zellulärer und genetischer Ebene

heilbar werden“, sagt Ivo Staijen. Er ist Biotech-Experte und Portfoliomanager des [HBM Global Biotechnology Fund](#) bei [HBM Partners](#), einer auf den globalen Gesundheitssektor spezialisierten Vermögensverwaltungs-Boutique aus der Schweiz.

## Medikament gegen Hämophilie A

BioMarin Pharmaceutical beispielsweise hat die erste zugelassene Gen-Therapie für Hämophilie entwickelt, auch als Bluterkrankheit bekannt. Hämophilie ist eine Gruppe von erblichen Blutgerinnungsstörungen, die durch das Fehlen oder die Fehlfunktion eines der Blutgerinnungsfaktoren charakterisiert ist. Es handelt sich um eine X-chromosomal-rezessive Erkrankung, was bedeutet, dass sie hauptsächlich Männer betrifft, während Frauen oft Trägerinnen des defekten Gens sind. Die Behandlung von Hämophilie hat sich in den letzten Jahrzehnten deutlich verbessert. Früher basierte die Behandlung auf der Transfusion von Blut oder plasma-basierten Konzentraten der fehlenden Gerinnungsfaktoren. Heute sind gereinigte Faktorenkonzentrate oder gentechnisch hergestellte Faktorenpräparate verfügbar, welche die Behandlung sicherer und effektiver machen. Diese werden prophylaktisch (zur Vorbeugung von Blutungen) oder zur Behandlung akuter Blutungsepisoden eingesetzt. Roctavian (basierend auf dem gentherapeutisch wirksamen Arzneistoff Valoctocogen roxaparvovec) wird zur Behandlung von schwerer Hämophilie A verwendet.

## Kerninvestments kombiniert mit kleineren Holdings

BioMarin gehört für Ivo Staijen zu den Kernpositionen in seinem Portfolio, genauso wie Vertex Pharmaceuticals, welche neben ihrem Kernbereich der zystischen Fibrose eine erste auf Basis der Genschere Crispr/Cas reguläre Anwendung, in Zusammenarbeit mit Crispr Therapeutics, kurz vor der Marktzulassung hat. Zudem verfügt die Gesellschaft über ein spannendes Frühphasen-Programm für eine potenzielle Diabetes-Therapie. Bei VX-880 handelt es sich um eine auf Stammzellen basierende Zellersatztherapie für Menschen mit Diabetes-Typ-1. VX-880 könnte die glukoseregulierte Insulinproduktion wiederherstellen und die Blutzuckerkontrolle verbessern.

„Diese Kerninvestments kombinieren wir mit kleineren Holdings wie Rocket Pharmaceuticals, Arcellx und Legend Biotech. Die Strategie setzt auf Unternehmen, welche etabliert sind und über ein breites Produktangebot kombiniert mit einer aussichtsreichen Medikamentenpipeline verfügen, sowie auf sehr innovative Akteure, die an der Transformation des Sektors beteiligt sind“, betont Ivo Staijen und hebt beispielsweise Rocket Pharmaceuticals als spannendes Unternehmen hervor. Rocket Pharmaceuticals hat den Wirkstoff RP-A501 zur Behandlung der sogenannten „Danon-Krankheit“ entwickelt. Dabei handelt es sich um eine

vererbliche Multisystemerkrankung, die meist tödlich aufgrund von Herzversagen endet. An der Börse ist Rocket Pharmaceuticals aktuell rund 1,7 Milliarden US-Dollar wert. Ein weiteres interessantes Unternehmen, allerdings nicht im Portfolio des Fonds, ist Verve Therapeutics. Es hat als erstes im vergangenen Jahr eine Studie mit einer Therapie gestartet, die das Gen ausschaltet, das für die Produktion von „schlechtem“ LDL-Cholesterol verantwortlich ist. Bei Millionen von Menschen könnte damit künftig das Risiko für Herzattacken und Schlaganfälle reduziert werden. Das wäre ein milliardenschwerer Markt.

## Rückschläge bei Einzeltitelinvestments gehören zum Geschäft

Wichtig für Investoren: Auch im Biotech-Segment gehören Rückschläge zum Geschäft – im Bereich der Gen- und Zelltherapie kamen diese in letzter Zeit sogar häufiger vor. Es verläuft laut Ivo Staijen eben nicht immer alles geradlinig, da die großflächige und vergleichsweise ökonomisch attraktive Herstellung oft der „Bottleneck“ für Unternehmen der Gen- und Zelltherapien ist. Zudem können auch unerwünschte Nebenwirkungen oder fehlende Wirksamkeit quasi erst auf der Zielgeraden auftreten. So ist beispielsweise kürzlich die Aktie von Sarepta stark gefallen. Es ist derzeit unklar, ob die bereits gewährte konditionale Zulassung von Elevidys, einem Medikament zur Behandlung der Duchenne Muskeldystrophie (DMD), nach einer primär nicht positiv verlaufenen Phase-III-Studie, weiter aufrechterhalten werden kann. „Rückschläge bei Einzeltitelinvestments sind somit nie auszuschließen, selbst bei einem einigermaßen gestandenen Unternehmen wie Sarepta, dessen Medikament schon eine konditionale Zulassung erhalten hatte.“ Anleger sollten daher eher auf ein diversifiziertes Portfolio setzen.

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