

Biotech-Investments: Was sind die wichtigsten klinischen Katalysatoren 2024?

Klinische Katalysatoren bestimmen den Verlauf oder das Ergebnis zukünftiger klinischer Studien und damit die Entwicklung, Zulassung und Vermarktung von Medikamenten. Damit sind sie vor allem bei Unternehmen mit Arzneimittel in der klinischen Entwicklung Haupttreiber der Kursentwicklung. Das Aufspüren potenziell erfolgsversprechender Studienresultate ist eine bedeutende Aufgabe für den Erfolg eines aktiv verwalteten Aktienfonds. Eine Übersicht über die spannendsten anstehenden Studienresultate in der Biotechnologie.

Ein aktuelles Beispiel zum Einstieg: Cytokinetics konzentriert sich insbesondere auf Therapien, die die Muskel- und Herzfunktion verbessern können, und verfügt über eine Reihe von Wirkstoffkandidaten in verschiedenen Phasen der klinischen Entwicklung. Im Dezember hat das Unternehmen einen rasanten Kurssprung hingelegt. Warum? Cytokinetics hatte eine vielversprechende Phase-3-Daten aus der Studie SEQUOIA-HCM bekanntgegeben. Das Ergebnis: Aficamten, ein neuartiger Inhibitor des kardialen Myosins (Motorprotein), verbessert die Ergebnisse für Patienten mit symptomatischer obstruktiver hypertropher Kardiomyopathie (HCM), eine Herzmuskelerkrankung. Mit dem Kurssprung von rund 75 Prozent gehörte Cytokinetics zu den absoluten Top-Performern im Dezember.

Cytokinetics hat bei HBM für eine Outperformance gesorgt

Auch im [HBM Global Biotechnology Fund](#) von [HBM Partners](#), einer auf den globalen Gesundheitssektor spezialisierten Vermögensverwaltungs-Boutique aus der Schweiz, hat der Wert für eine Outperformance gesorgt. „Unser Bestreben ist das Aufspüren solcher Unternehmen, die über das Potenzial verfügen mit ihrer Innovation neue Standards in ihrem Therapiegebiet zu setzen. Neben der Konkurrenzsituation klären wir außerdem ab, ob das Unternehmen dann auch in der Lage ist, das Medikament auf den Markt zu bringen. Diversifikation ist ein wichtiger Aspekt, dazu braucht es eine gute Balance von etablierteren und weniger reifen Unternehmen mit einem attraktiven Risiko-/Renditeprofil im Portfolio“, sagt Ivo Stajen, Portfoliomanager des [HBM Global Biotechnology Fund](#). Überdies sind für den Spezialisten eine robuste Datenlage und positive regulatorische Aussichten wichtige Kriterien bei der Auswahl der Portfoliopositionen.

Die Studiendaten von Cytokinetics hatten damit einen großen Einfluss auf die Überperformance im Dezember. Cytokinetics wurde auch bereits als Übernahmekandidat gehandelt. Denn die innovative Therapie könnte ein ernsthafter

Konkurrent für Camzyos (Mavacamten) von Bristol-Myers Squibb werden, dem einige Milliarden US-Dollar Umsatzpotenzial pro Jahr zugetraut werden. Das zeigt, wie wichtig die sogenannten klinischen Katalysatoren für den Erfolg eines Biotech-Unternehmens sind.

Viele interessante Ergebnisse zu erwarten

Ivo Staijen verweist auf die spannendsten anstehenden Studienresultate in der Biotechnologie in diesem Jahr, und viele der Unternehmen sind bereits Bestandteil des Fondsportfolios. Vertex Pharmaceuticals beispielsweise befindet sich derzeit in einer Phase-III-Studie der VX-121-Kombinationstherapie (Vanzacaftor) bei Teilnehmenden mit zystischer Fibrose (CF). Zystische Fibrose ist eine genetisch bedingte Störung, die vor allem die Lungen und das Verdauungssystem betrifft. Die Kombinationstherapie besteht aus drei Wirkstoffen, die darauf abzielen, die Funktion des defekten CFTR-Proteins zu verbessern und damit die Symptome der Krankheit zu lindern. Vertex ist bereits führend in der Behandlung von zystischer Fibrose und erzielt jährlich mehrere Milliarden Umsatz mit vier verschiedenen Behandlungen für unterschiedliche Patientenprofile. Patienten, die mit der aktuellen Therapie nicht behandelt werden können, erhalten mit Vanzacaftor eine therapeutische Option. Im Weiteren befindet sich ihre VX-548-Behandlung gegen akute und neuropathische (chronische) Schmerzen in der letzten Entwicklungsphase und könnte eine neue Alternative zu Opioiden ohne Suchtrisiko und weniger Nebenwirkungen sein.

Das Unternehmen Ultragenyx, in das HBM ebenso investiert, befindet sich in Phase III für die Gentherapie zur potenziellen Behandlung von Glykogenspeicherkrankheit Typ Ia (GSDIa) mit dem Namen DTX401. GSDIa wird durch Mutationen im Gen für das Enzym Glukose-6-Phosphatase (G6Pase) verursacht. Die experimentelle AAV8-Gentherapie DTX401 befindet sich im beschleunigten Zulassungsverfahren der US-Gesundheitsbehörde FDA und wurde in das Priority Medicines-Programm (PRIME) der EMA aufgenommen, was das Potenzial für eine beschleunigte Zulassung in Europa ermöglicht.

Bei BridgeBio wird mit einer zeitnahen Zulassung von Acoramidis, das als Mittel zur Behandlung einer seltenen Erkrankung, die zu einer Herzinsuffizienz führen kann, gerechnet. Für Rocket Pharmaceuticals spricht die erste kommerzielle Gentherapie-Zulassung von RP-L201 für schwere LAD-I, die kurz bevorsteht. Zudem hat Neurocrine für seine Behandlung der angeborenen Nebennierenhyperplasie von der Zulassungsbehörde FDA den Status einer bahnbrechenden Therapie erhalten. Das Unternehmen ist auf dem besten Weg, einen neuen Arzneimittelantrag für Crinecerfont zur Behandlung der angeborenen Nebennierenhyperplasie, einer genetischen Störung, einzureichen.

Multiples Myelom, Fettleibigkeit und Atemwegserkrankungen im Fokus

Bei Genmab deuten erste klinische Ergebnisse von GEN3014 (HexaBody-CD38), einem neuen monoklonalen Antikörper, der bei Patienten mit rezidiviertem oder refraktärem Multiplem Myelom (eine bösartige Tumorerkrankung) eingesetzt wird, die zuvor noch keine Antikörpertherapie gegen CD38 erhalten haben, darauf hin, dass GEN3014 wirksam und sicher bei der Behandlung des Multiplen Myeloms sein könnte. GEN3014 unterscheidet sich von anderen Methoden durch eine spezielle Mutation (E430G), die die Bildung von Hexameren fördert und damit die Fähigkeit des Antikörpers erhöht, Krebszellen durch Aktivierung des Komplementsystems zu töten.

Survodutide (BI 456906), das aus einer Kooperation von Zealand Pharma und Boehringer Ingelheim entstanden ist, repräsentiert eine innovative therapeutische Option in der Behandlung von zwei bedeutenden gesundheitlichen Herausforderungen: Fettleibigkeit und nichtalkoholischer Steatohepatitis (NASH), einer fortschreitenden Lebererkrankung. Survodutide durchläuft derzeit drei globale Phase-III-Studien bei übergewichtigen oder fettleibigen Personen und eine Phase-II-Studie bei NASH-Patienten.

Die ASPEN-Studie von Insmed ist eine wichtige klinische Prüfung, die darauf abzielt, die Wirksamkeit und Sicherheit von Brensocatib, einem neuen Medikament bei der Behandlung von nicht-zystischer Fibrose-Bronchiektasie, zu evaluieren. Diese Erkrankung ist durch eine anhaltende Erweiterung der Atemwege in der Lunge gekennzeichnet, was zu wiederkehrenden Lungeninfektionen und Atembeschwerden führt. Die Ergebnisse der Studie werden im zweiten Quartal 2024 erwartet und könnten die Behandlungslandschaft für Betroffene erheblich beeinflussen.

Aktiver Fondsmanager nutzt seine Expertise breit aus

Der HBM-Portfoliowert Amgen, der über eine breite Pipeline von zugelassenen und sich in der Entwicklung befindenden Medikamente verfügt, unterhält eine zweite klinische Studienphase für das Arzneimittel Maridebart cafraglutide (AMG 133) zur Behandlung von Adipositas (Übergewicht) bei Patienten mit oder ohne Diabetes mellitus. Die Ergebnisse dieser Studie legen nahe, dass AMG 133 eine potenziell geeignete therapeutische Option für das Gewichtsmanagement sein könnte, angesichts seines günstigen Sicherheitsprofils, der verlängerten Halbwertszeit und des erheblichen und anhaltenden Gewichtsverlusts.

Spannend wird es demnächst auch beim Pionier in der RNAi-Technologie Alynlam Pharmaceuticals. Das Unternehmen konzentriert sich auf die ATTR-Amyloidose. Die durch eine genetische Mutation verursachte Erkrankung führt unter anderem zur Ablagerung toxischer Proteine im Nervensystem. Hierfür hat Amvuttra (Vutrisiran) von der US-FDA 2022 die Marktzulassung erhalten. Von Interesse ist es nun, ob der

Ansatz auch bei Patienten funktioniert, die an solchen toxischen Ablagerungen in der Herzregion leiden. Die Phase-III-Studienresultate sollten noch im ersten Quartal dieses Kalenderjahres vorliegen.

Für Portfoliomanager Ivo Staijen ist ein breiter Ansatz wichtig, um langfristig erfolgreich zu sein. Schwankungen von Einzeltiteln können im Biotechnologie-Bereich enorm sein. „Klinische Katalysatoren treiben die Kursentwicklung. Daher ist das zusammengestellte Portfolio auf zukünftig potenziell eintretende Erfolge fokussiert. Und Biotech-Gesellschaften, die über eine umfangreiche Pipeline an Kandidaten verfügen, werden bei einer Schlappe in der klinischen Phase weniger abgestraft. Bei Unternehmen, die nur einen Kandidaten entwickeln, geht es um alles oder nichts. Mehr als 50-prozentige Kursverluste sind bei enttäuschenden Ergebnissen keine Seltenheit.“ Ein guter aktiver Fondsmanager kann dieses Wissen für seine Investoren nutzen und sollte in der Lage sein, die Mehrkosten gegenüber einer passiven Anlage, wie einer Investition in einen ETF, zu rechtfertigen.