

# Superkonvergenz in der Biorevolution 2024: Ein Blockbuster unter den Gentherapien?

Veröffentlicht am 2. September 2024

**Christopher Gannatti, CFA**

Global Head of Research

## Die wichtigsten Erkenntnisse

- Das Konzept der „Reparatur eines Gens oder von Genen“ macht intuitiv Sinn, wenn man aber ein reales Unternehmen mit einer zugelassenen Therapie sieht, wird es noch viel konkreter.
- Duchenne-Muskeldystrophie ist eine verheerende Krankheit für die Betroffenen. Daher ist es beachtlich, ihnen mehr Möglichkeiten zu geben.
- Im Juni 2024 erteilte die FDA eine erweiterte Zulassung für eine Gentherapie von Sarepta Pharmaceuticals zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie.
- Sarepta Pharmaceuticals hat eine Gentherapie für Duchenne-Muskeldystrophie, die mehr als 3 Millionen US-Dollar kostet.
- Es gibt Hinweise darauf, dass Krankenkassen die zugelassene Therapie von Sarepta Pharmaceuticals für Menschen mit Duchenne-Muskeldystrophie übernehmen werden.
- Verbundene Produkte WisdomTree BioRevolution UCITS ETF – USD Acc, WisdomTree Artificial Intelligence UCITS ETF – USD Acc Mehr erfahren

Bei der Entwicklung unserer [Strategie zur Biorevolution](#) arbeiteten wir mit dem Zukunftsforscher [Dr Jamie Metzl](#) zusammen, einem Mitglied des Expertenausschusses der Weltgesundheitsorganisation für Genome Editing am Menschen. Wir befinden uns an der Schwelle zu einer bemerkenswerten Phase, die mehrere Jahrzehnte dauern könnte und in der wir unsere Arbeitsweise hinterfragen und letztlich weiterentwickeln werden. Dazu zählt:

- Wie wir die menschliche Gesundheitsversorgung handhaben
- Wie wir Lebensmittel für eine wachsende Weltbevölkerung anbauen
- Wie wir neue Materialien, Chemikalien und Energie aus biologischen Quellen gewinnen
- Wie wir riesige Datenmengen mit höherer Dichte und Genauigkeit als in der Vergangenheit speichern

Dr. Metzl veröffentlichte vor Kurzem das Buch [Superconvergence: How the Genetics, Biotech, and AI Revolutions will Transform our Lives, Work and World](#). (Zu Deutsch: Superkonvergenz: Wie die Revolutionen in Genetik, Biotechnologie und KI unser Leben, unsere Arbeit und unsere Welt verändern werden). Im

Laufe des Sommers werden wir verschiedene Blogs veröffentlichen, in denen wir auf einige der im Buch vorgestellten Ideen eingehen.

Bei thematischen Anlagen geht es in gewisser Weise um das Erzählen von Geschichten. *Superkonvergenz* ist ein hervorragender Ansatz zur Darstellung der Geschichte hinter dem [WisdomTree BioRevolution ESG Screened Index](#).

### **Vorbereitung auf eine Blockbuster-Gentherapie**

Zu Beginn des Jahres 2024 waren wir von den Aussichten im Bereich der Biotechnologie an den Aktienmärkten sehr angetan. Unser Denkansatz war einfach: Dieses Gebiet hat das Potenzial, das Leben so vieler Menschen zu beeinflussen, und wir als globale Gesellschaft wollen hier Fortschritte sehen. Nach mehreren Jahren mit relativ schwachen Anlageergebnissen vertraten wir die Ansicht, dass in diesem Bereich ein Aufschwung bevorstand.

Für den größten Teil der ersten acht Monate des Jahres 2024 hat sich unsere Einschätzung nicht bewahrheitet. Biotechnologiewerte haben sich in Schüben entwickelt, eine nachhaltige Rallye in diesem Bereich ist jedoch nicht zu erkennen. Zu Beginn des Jahres 2024 war der Blick des Markts in der Hoffnung auf Zinssenkungen auf die Politik der US-Notenbank gerichtet – und während wir diesen Beitrag Mitte August 2024 schreiben, blickt der Markt auf genau das Gleiche.

Die Unternehmen machen jedoch weiterhin Fortschritte.

### **Der Fall von Sarepta Therapeutics: Ein 3 Millionen USD teures Medikament**

Angesichts der Hürden, die Biotech-Unternehmen überwinden müssen, um erfolgreiche Therapien zu entwickeln und herzustellen, ist es erstaunlich, dass wir diese Medikamente haben. Es gibt so viele Risiken, und viele passen nicht zu den Fundamentaldaten oder Finanzberichten der Unternehmen.

Sarepta Therapeutics konzentriert sich auf die Duchenne-Muskeldystrophie (DMD). Hierbei handelt es sich um eine seltene, schwächende Krankheit, von der weltweit nur einige hunderttausend Menschen betroffen sind. Sie wird durch eine Mutation auf einem der X-Chromosomen der Mutter verursacht und führt zu Schwierigkeiten bei der körpereigenen Produktion von Dystrophin, das die Muskeln vor dem Abbau in Gegenwart von Enzymen schützt.

Sarepta entwickelte Elevidys, eine Gentherapie, die – einfach ausgedrückt – ein Gen einfügt, das das Problem der Dystrophin-Produktion lindern soll. Es ist ein großartiges Beispiel dafür, dass eine genetische Ursache ermittelt wurde und Wissenschaftler einen Punkt erreicht haben, an dem sie das Problem im Prinzip „beheben“ können.

Die Kosten für die Therapie belaufen sich auf 3,2 Millionen US-Dollar. In einer Mitteilung vom 20. Juni 2024 erweiterte die Food & Drug Administration (FDA) die ursprüngliche Zulassung für diese Therapie. Wichtig ist, dass die erweiterte Zulassung nicht genehmigt wurde, weil Menschen diese Therapie erhalten und geheilt werden. Da es sich um eine schwere und seltene Krankheit handelt, besteht ein echter Mangel

an Behandlungsmöglichkeiten, weshalb die FDA sicherstellen möchte, dass die Therapieoption verfügbar ist<sup>2</sup>.

Auf dem US-Markt würden sich viele bei einer Therapie, die mehrere Millionen Dollar kostet, fragen: Wird sie von der Versicherung übernommen? Es gibt Anhaltspunkte dafür, dass einige der großen Versicherer und Medicaid Policen für die Indikation verfasst haben und dass sie sich im Falle einer Verschreibung der Durchführung der Therapie nicht durch Verweigerung der Zahlung widersetzen werden<sup>3</sup>.

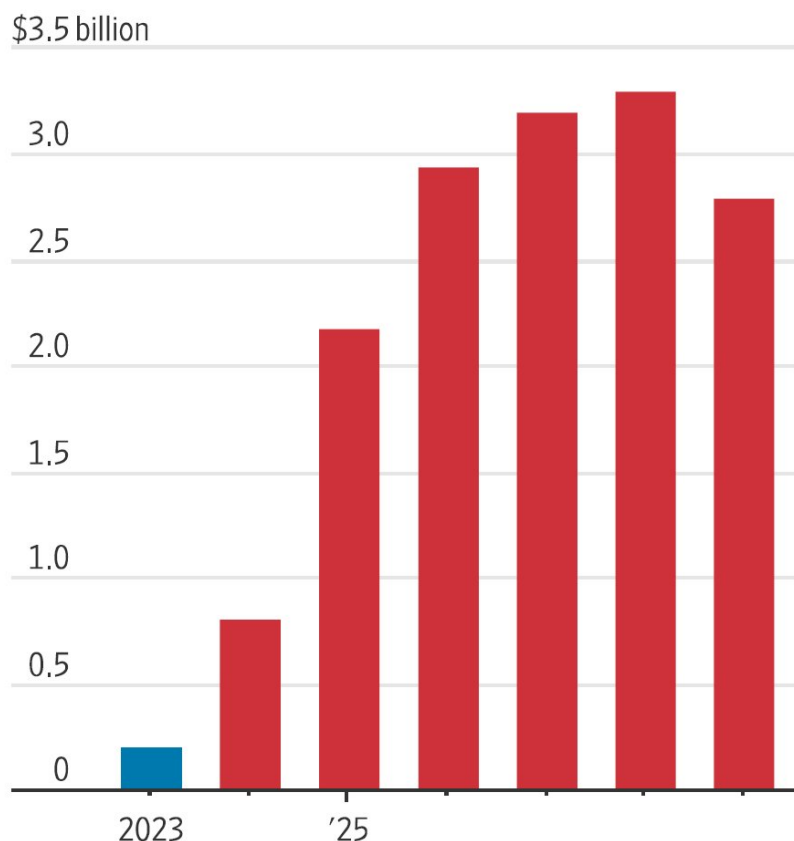
### **Umsetzung von Projektionen in die Realität**

Wenn wir Unternehmen im Bereich der Biotechnologie betrachten, wird deutlich, dass es so viele Möglichkeiten gibt, zu scheitern. Es gibt keine Garantie, dass eine Therapie entwickelt werden kann. Es gibt keine Garantie, dass eine solche Therapie alle Phasen durchlaufen und von der FDA zugelassen werden kann. Dann ist abzuwägen, ob die Krankenkassen die Kosten für die Therapie übernehmen. Während all das geschieht, besteht immer die Möglichkeit, dass ein Konkurrenzunternehmen einen anderen, effektiveren Ansatz findet und den potenziellen Markt untergräbt. Oder dass im Laufe der Zeit unerwünschte Nebenwirkungen entdeckt werden.

Jede Therapie erfordert talentierte Menschen, die über viele Jahre hinweg extrem hart arbeiten und viel Zeit und Geld investieren. Die meisten von ihnen werden nie einen Umsatz in Milliardenhöhe erreichen, d. h. den Status eines „Blockbusters“.

Während wir diesen Artikel im August 2024 verfassen, ist Elevidys noch weit vom Status eines echten Blockbusters entfernt. Wenn es jedoch nach den Projektionen der Analysten geht (siehe Abbildung 1), könnte die Therapie in nur wenigen Jahren zu Einnahmen in Höhe von einigen Milliarden führen. Die Zahl der Menschen in den USA, die an DMD erkrankt sind, ist eine bekannte Größe, ebenso wie die typische Zahl der zunehmenden Fälle in einem bestimmten Jahr. Wie vorgesehen, handelt es sich derzeit um eine einmalige Therapie. Daher ist es sinnvoll, verschiedene Arten von potenziellen Umsatzschätzungen in Betracht zu ziehen.

### **Abbildung 1: Elevidys-Umsatzprognose (ganze Jahre, bis 2029)**



Note: 2024-2029 are analyst projections on FactSet.

Quelle: Wainer, David. „A \$3 Million Gene-Therapy Maker at a Bargain Price.“ Wall Street Journal. 19. August 2024. **Prognosen sind kein Hinweis auf die künftige Wertentwicklung, und alle Anlagen sind mit Risiken und Ungewissheiten verbunden.**

Angesichts der zahlreichen Risiken, die bei jedem einzelnen Biotechnologietitel drohen, kann es sinnvoll sein, das so genannte „größte Risiko“ zu einem bestimmten Zeitpunkt zu betrachten. Im Jahr 2024 konzentrierten sich die Investoren von Sarepta darauf, die erweiterte Zulassung durch die FDA zu erwirken. Diese Zulassung wurde erteilt, und der Aktienkurs reagierte mit rund 30 % positiv auf diese Nachricht. Seitdem – und natürlich vom 20. Juni 2024 bis zur zweiten Augushälfte – hat der Titel einen Teil dieser Gewinne wieder abgegeben<sup>4</sup>.

### Der WisdomTree BioRevolution UCITS ETF (WDNA)

Denken Sie an alle Aspekte, nach denen Analysten Sarepta Pharmaceuticals in den letzten Jahren bewerten mussten:

- Da ist zum einen die Wissenschaft über DMD und die Wahrscheinlichkeit, dass eine Therapie entwickelt werden kann.
- Dann kommt noch die Wahrscheinlichkeit, dass die Therapie die verschiedenen Phasen des klinischen Zulassungsverfahrens bei der FDA erfolgreich durchläuft und zugelassen wird<sup>5</sup>.

- Vor Kurzem wurde über die „erweiterte Zulassung“ debattiert, die etwa ein Jahr nach der ursprünglichen Zulassung erfolgte<sup>6</sup>.
- Während all das geschieht, bleibt die übliche Finanzanalyse von Einnahmen, Ausgaben und Cashflows bestehen.
- Auch die Fortschritte auf den verschiedenen Märkten außerhalb der USA müssen bedacht werden, denn sie können die Größe des Zielmarkts drastisch beeinflussen.

Anleger können natürlich jedes einzelne Unternehmen betrachten. Aber einer der Gründe für die Entwicklung des [WisdomTree BioRevolution UCITS ETF \(WDNA\)](#) ist die Erkenntnis, dass Diversifikation in diesem sehr risikoreichen Bereich von besonderer Bedeutung sein kann. Zum 16. August 2024 belief sich die Zahl der Einzelbeteiligungen auf 89. Sarepta war eine davon – mit einer Gewichtung von etwa 1,6 %<sup>7</sup>.

Ein einziges Unternehmen mit einer Gewichtung von 1,6 % wird ein Portfolio von fast 90 Aktien nicht zu einem bestimmten Ergebnis führen. Dennoch möchten wir anmerken, dass die Geschichte von Sarepta und Elevidys veranschaulicht, wo wir unserer Meinung nach in der Biotechnologie stehen. Unseres Erachtens trägt die Konvergenz von Bereichen wie künstliche Intelligenz und Cloud-Computing dazu bei, dass wir mehr und schneller interessante Forschungswege beschreiten können und dass wir immer mehr von potenziellen Gentherapien hören werden. Für Anleger, die die nötige Geduld mitbringen, könnten die kommenden Jahre sehr spannend werden.

1 Quelle: Wainer, David. „A \$3 Million Gene-Therapy Maker at a Bargain Price.“ Wall Street Journal. 19. August 2024.

2 Quelle: Wainer, 19. August 2024.

3 Quelle: Wainer, 19. August 2024.

4 Quelle: Wainer, 19. August 2024.

5 Quelle: „FDA Approves First Gene Therapy for Treatment of Certain Patients with Duchenne Muscular Dystrophy.“ Pressemitteilung der FDA. 22. Juni 2023.

6 Quelle: „FDA Expands Approval of Gene Therapy for Patients with Duchenne Muscular Dystrophy.“ Pressemitteilung der FDA. 20. Juni 2024.

7 Quelle: <https://www.wisdomtree.eu/de-de/etfs/thematic/wdna---wisdomtree-biorevolution-ucits-etf---usd-acc>

## Important Risks Related to this Article

### Wichtige Informationen

**Im Europäischen Wirtschaftsraum („EWR“) herausgegebene Marketingkommunikation:** Dieses Dokument wurde von WisdomTree Ireland Limited, einer von der Central Bank of Ireland zugelassenen und regulierten Gesellscha, herausgegeben und genehmigt.

**In Ländern außerhalb des EWR herausgegebene Marketingkommunikation:** Dieses Dokument wurde von WisdomTree UK Limited, einer von der United Kingdom Financial Conduct Authority zugelassenen und regulierten Gesellscha, herausgegeben und genehmigt.

WisdomTree Ireland Limited und WisdomTree UK Limited werden jeweils als „WisdomTree“ bezeichnet. Unsere Richtlinie über Interessenkonflikte und unser Verzeichnis sind auf Anfrage erhältlich.

**Nur für professionelle Kunden. Die in diesem Dokument enthaltenen Informationen dienen ausschließlich Ihrer Information und stellen weder ein Angebot zum Verkauf bzw. eine Auorderung oder ein Angebot zum Kauf von Wertpapieren oder Anteilen dar. Dieses Dokument sollte nicht als Basis für eine Anlageentscheidung verwendet werden. Anlagen können an Wert zunehmen oder verlieren und Sie können einen Teil oder den gesamten Betrag der Anlage verlieren. Die Wertentwicklung in der Vergangenheit ist nicht notwendigerweise ein Hinweis auf zukünftige Ergebnisse. Anlageentscheidungen sollten auf den Angaben im entsprechenden Prospekt sowie auf unabhängiger Anlage-, Steuer- und Rechtsberatung basieren.**

Die Anwendung von Verordnungen und Steuergesetzen kann o zu unterschiedlichen Interpretationen führen. Alle in dieser Mitteilung dargestellten Ansichten oder Meinungen spiegeln die Auassung von WisdomTree wider und sollten nicht als aufsichtsrechtliche, steuerliche oder rechtliche Beratung ausgelegt werden. WisdomTree übernimmt keine Garantie oder Zusicherung hinsichtlich der Richtigkeit der in dieser Mitteilung geäußerten Ansichten oder Meinungen. Anlageentscheidungen sollten auf den Angaben im entsprechenden Prospekt sowie auf unabhängiger Anlage-, Steuer- und Rechtsberatung basieren.

Bei diesem Dokument handelt es sich nicht um Werbung bzw. eine Maßnahme zum öentlichen Angebot von Anteilen oder Wertpapieren in den USA oder einer zugehörigen Provinz bzw. einem zugehörigen Territorium der USA, und es darf unter keinen Umständen als solche verstanden werden. Weder dieses Dokument noch etwaige Kopien dieses Dokuments sollten in die USA mitgenommen, (direkt oder indirekt) übermittelt oder verteilt werden.

Obwohl WisdomTree bestrebt ist, die Richtigkeit des Inhalts dieses Dokuments sicherzustellen, übernimmt WisdomTree keine Gewährleistung oder Garantie für seine Richtigkeit oder Genauigkeit. Die Drittanbieter, deren Dienste in Anspruch genommen werden, um die in diesem Dokument enthaltenen Informationen zu beziehen, übernehmen keine Gewährleistung oder Garantie jeglicher Art bezüglich dieser Daten. Dort, wo WisdomTree seine eigenen Ansichten in Bezug auf Produkte oder Marktaktivitäten äußert, können sich diese Auassungen ändern. Weder WisdomTree, noch eines seiner verbundenen Unternehmen oder einer seiner jeweiligen leitenden Angestellten, Verwaltungsratsmitglieder, Partner oder Mitarbeiter übernimmt

irgendeine Haftung für direkte Schäden oder Folgeschäden, die durch die Verwendung dieses Dokuments oder seines Inhalts entstehen.