

Serie superconvergenza e rivoluzione delle biotecnologie 2024: una terapia genica “blockbuster”?

Pubblicato il 2 settembre 2024

Christopher Gannatti, CFA

Global Head of Research

Principali insegnamenti

- L'idea di “correggere uno o più geni” ha intuitivamente senso, ma vedere un'azienda vera e propria con una terapia approvata la rende molto più concreta.
- La distrofia muscolare di Duchenne è una malattia devastante per le persone che ne sono colpite, quindi dare a chi ne soffre più opzioni è straordinario.
- A giugno 2024 la FDA ha approvato in via accelerata una terapia genica per il trattamento della distrofia muscolare di Duchenne realizzato da Sarepta Pharmaceuticals.
- Sarepta Pharmaceuticals ha una terapia genica per la distrofia muscolare di Duchenne che costa più di 3 milioni di dollari.
- Sembra che le assicurazioni copriranno la terapia approvata di Sarepta Pharmaceuticals per aiutare le persone affette da distrofia muscolare di Duchenne.
- Prodotti correlati WisdomTree BioRevolution UCITS ETF – USD Acc, WisdomTree Artificial Intelligence UCITS ETF – USD Acc Scopri di più

Nel costruire la nostra [strategia dedicata alla rivoluzione delle biotecnologie](#), abbiamo collaborato con il futurista [dott. Jamie Metzl](#), membro del comitato di esperti sull'editing del genoma umano dell'Organizzazione mondiale della sanità. Riteniamo di essere alla vigilia di un periodo straordinario, che potrebbe durare qualche decennio, in cui metteremo in discussione e infine trasformeremo il nostro modo di fare le cose, ad esempio:

- come gestiamo l'assistenza sanitaria per gli esseri umani;
- come coltiviamo il cibo per una popolazione globale in espansione;
- come generiamo materiali, prodotti chimici ed energia innovativi da fonti biologiche;

- come pensiamo di memorizzare enormi quantità di dati con una densità e una fedeltà superiori a quelle del passato.

Il dott. Metzl ha recentemente pubblicato il libro *Superconvergence: How the Genetics, Biotech, and AI Revolutions will Transform our Lives, Work and World*. (Superconvergenza: in che modo la rivoluzione della genetica, delle biotecnologie e dell'IA trasformerà le nostre vite, il nostro lavoro e il nostro mondo). Nel corso dell'estate, pubblicheremo una serie di post che illustreranno alcune delle idee presentate nella sua opera.

I risultati

In un certo senso, l'investimento tematico consiste nel raccontare una storia e Superconvergence è riuscito a trasmettere in modo eccellente quella alla base del [WisdomTree BioRevolution ESG Screened Index](#).

Prepariamoci a una terapia genica di successo

All'inizio del 2024 eravamo estremamente entusiasti per le prospettive dell'area dei mercati azionari riguardante le biotecnologie. La nostra idea era semplice: si tratta di un campo che ha il potenziale di produrre un impatto su moltissime vite e che noi, come società globale, vogliamo veder progredire. Dopo anni in cui la performance degli investimenti è stata relativamente scarsa, pensavamo che il settore fosse destinato a riprendersi.

Per buona parte dei primi otto mesi del 2024, la nostra opinione non si è rivelata corretta. Le azioni relative alle biotecnologie hanno ottenuto performance altalenanti, ma senza registrare alcun tipo di rally duraturo. All'inizio del 2024, era vero che il mercato tendeva a guardare alla politica della Federal Reserve degli Stati Uniti sperando in un taglio dei tassi, e continua a fare lo stesso anche mentre scriviamo queste parole, a metà di agosto.

Tuttavia, i progressi delle aziende non si arrestano.

Il caso di Sarepta Therapeutics: un farmaco da 3 milioni di dollari

Considerando gli ostacoli che le aziende del settore delle biotecnologie devono superare per sviluppare e produrre terapie di successo, è sorprendente che esistano questi farmaci. I rischi sono tanti e molti di essi non trovano posto nei fondamentali o nei bilanci aziendali.

Sarepta Therapeutics si concentra sulla distrofia muscolare di Duchenne (DMD), una malattia rara e invalidante che colpisce poche centinaia di migliaia di persone in tutto il mondo. È causata da una mutazione di uno dei cromosomi X della madre e comporta difficoltà nella produzione di distrofina, che protegge i muscoli dalla degenerazione in presenza di enzimi¹.

Sarepta ha sviluppato Elevidys, una terapia genica che, in parole povere, inserisce un gene che cerca di mitigare il problema della produzione di distrofina. È un ottimo esempio di come, dopo aver determinato una causa genetica, i ricercatori siano arrivati al punto di poter, essenzialmente, "risolvere" il problema.

Il costo di questa terapia è di 3,2 milioni di dollari. La Food & Drug Administration (FDA) ha accelerato la sua approvazione iniziale, concedendola il 20 giugno 2024. È importante notare che lo scopo dell'approvazione

accelerata non è quello di somministrare la terapia alle persone affinché guariscano. Si tratta di una malattia grave e rara e, poiché non esistono altre opzioni, l'FDA vuole assicurarsi di offrire una possibilità di trattamento².

Nel mercato statunitense, di fronte a una terapia medica che costa diversi milioni di dollari, molti penseranno: è coperta dalle assicurazioni? Sembra che alcune grandi società di assicurazione e Medicaid abbiano redatto politiche pertinenti e che, se prescritta, non si opporranno all'autorizzazione della terapia rifiutandone il pagamento³.

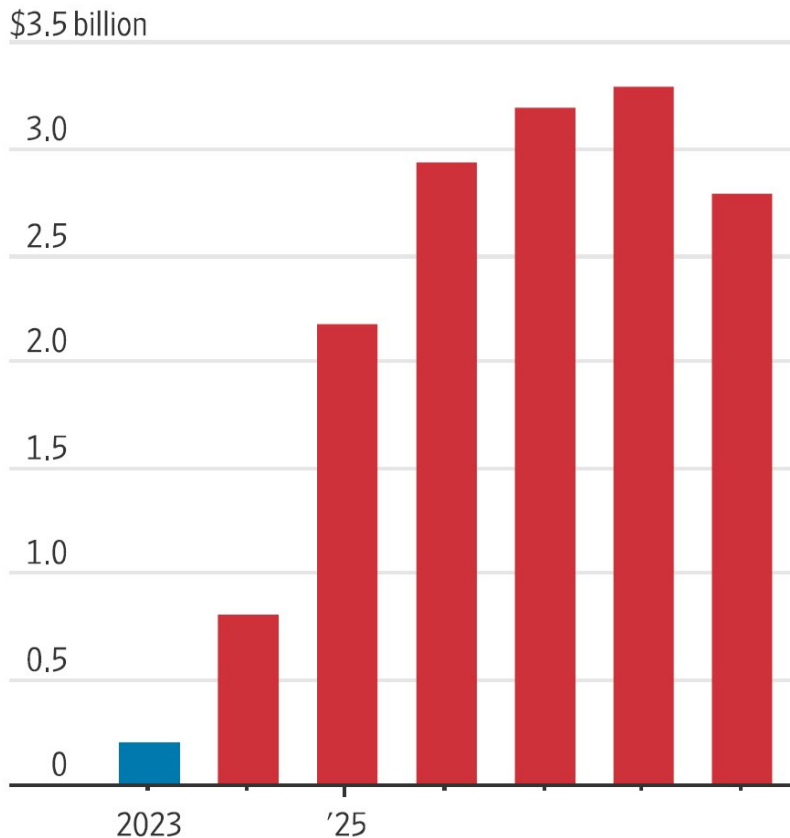
Tradurre le proiezioni in realtà

Osservando le aziende del settore delle biotecnologie, risulta chiaro che il fallimento è sempre dietro l'angolo. Non c'è alcuna garanzia che una terapia possa essere sviluppata. Non è detto che tale terapia possa superare tutte le fasi e ottenere l'approvazione della FDA. Bisogna poi valutare se le assicurazioni la copriranno. Nel frattempo, c'è sempre la possibilità che un'altra azienda trovi un approccio diverso e più efficace, accaparrandosi il mercato potenziale, oppure che si scoprano effetti collaterali negativi lungo il percorso.

Ogni terapia richiede l'impiego di persone competenti che lavorano con grande impegno, investendo tempo e denaro per molti anni. La maggior parte non raggiungerà mai un fatturato di miliardi di dollari, in pratica lo status di "blockbuster".

Elevidys, nel momento in cui scriviamo queste parole ad agosto del 2024, è ben lontana dall'essere un vero e proprio blockbuster. Tuttavia, se le cose andranno secondo le proiezioni degli analisti (illustrate nella Figura 1), la terapia potrebbe generare un fatturato di qualche miliardo di dollari nel giro di un paio d'anni. Il numero di persone affette da DMD negli Stati Uniti è noto, così come il numero tipico di casi aggiuntivi in un determinato anno. Per come è stata concepita, al momento si tratta di una terapia unica. È quindi ragionevole considerare diversi tipi di stime sui potenziali ricavi.

Figura 1: Vendite di Elevidys previste (anni completi, fino al 2029)



Note: 2024-2029 are analyst projections on FactSet.

Fonte: Wainer, David. "A \$3 Million Gene-Therapy Maker at a Bargain Price." Wall Street Journal. 19 agosto 2024. **Le previsioni non sono indicative della performance futura e qualsiasi investimento è soggetto a rischi e incertezze.**

È possibile che, con così tanti rischi all'orizzonte per ogni singolo titolo biotecnologico, sia opportuno considerare il cosiddetto "rischio maggiore" in ogni singolo momento. Nel 2024, gli investitori di Sarepta si concentravano sul raggiungimento dell'approvazione accelerata da parte della FDA. L'approvazione è arrivata e il prezzo delle sue azioni ha reagito favorevolmente alla notizia, con un incremento di circa il 30%. Da allora, considerando anche la volatilità del mercato dal 20 giugno 2024 fino alla seconda metà di agosto, le azioni hanno perso una parte di tali guadagni.

Il WisdomTree BioRevolution UCITS ETF (WDNA)

Pensiamo a tutte le valutazioni che un analista avrebbe dovuto compiere su Sarepta Pharmaceuticals negli ultimi anni:

- c'è la scienza generale della DMD e la probabilità di sviluppare una terapia;
- c'è poi la probabilità che la terapia sia sufficientemente efficace da superare le varie fasi del processo di approvazione clinica della FDA per essere autorizzata;

- recentemente si è parlato di “approvazione accelerata”, avvenuta circa un anno dopo l'approvazione iniziale⁶;
- mentre questi eventi si susseguono, la consueta analisi finanziaria dei ricavi, delle spese e dei flussi di cassa continua;
- occorre inoltre considerare i progressi nei diversi mercati al di fuori degli Stati Uniti, che possono avere un impatto notevole sulle dimensioni del mercato indirizzabile.

Gli investitori hanno la possibilità di valutare ogni singola società, ma uno dei motivi per cui abbiamo sviluppato il [WisdomTree BioRevolution UCITS ETF \(WDNA\)](#) è quello di riconoscere che la diversificazione potrebbe essere particolarmente importante in questo settore ad alto rischio. Al 16 agosto 2024, c'erano 89 partecipazioni individuali. Sarepta era una di queste, con una ponderazione di circa l'1,6%⁷.

Una sola società con una ponderazione dell'1,6% non guiderà un portafoglio di quasi 90 azioni verso un particolare risultato, ma vorremmo sottolineare che la storia di Sarepta ed Elevidys rappresenta un'importante illustrazione del punto in cui crediamo di trovarci nel settore delle biotecnologie. Riteniamo che la convergenza di quanto stiamo vedendo in aree come l'intelligenza artificiale e il cloud computing contribuisca a permetterci di perseguire più percorsi di ricerca interessanti più velocemente, e che continueremo a sentir parlare di un numero sempre maggiore di potenziali terapie geniche. Per gli investitori dotati di un adeguato livello di pazienza, i prossimi anni potrebbero essere molto interessanti.

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

2 Fonte: Wainer, 19 agosto 2024.

3 Fonte: Wainer, 19 agosto 2024.

4 Fonte: Wainer, 19 agosto 2024.

5 Fonte: “FDA Approves First Gene Therapy for Treatment of Certain Patients with Duchenne Muscular Dystrophy”. FDA Press Release. 22 giugno 2023

6 Fonte: “FDA Expands Approval of Gene Therapy for Patients with Duchenne Muscular Dystrophy.” FDA Press Release. 20 giugno 2024

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

Important Risks Related to this Article

Informazioni importanti

Comunicazioni di marketing emesse all'interno dello Spazio economico europeo ("SEE") Il presente documento è stato emesso e approvato da WisdomTree Ireland Limited, società autorizzata e regolamentata dalla Central Bank of Ireland.

Comunicazioni di marketing emesse in giurisdizioni non appartenenti al SEE: Il presente documento è stato emesso e approvato da WisdomTree UK Limited, società autorizzata e regolamentata dalla Financial Conduct Authority del Regno Unito.

Per fare riferimento a WisdomTree Ireland Limited e a WisdomTree UK Limited si utilizza per entrambe la denominazione "WisdomTree" (come applicabile). La nostra politica sui conflitti d'interesse e il nostro inventario sono disponibili su richiesta.

Solo per clienti professionali. Le informazioni contenute nel presente documento sono fornite a titolo meramente informativo e non costituiscono né un'offerta di vendita né una sollecitazione di un'offerta di acquisto di titoli o azioni. Il presente documento non deve essere utilizzato come base per una qualsiasi decisione d'investimento. Gli investimenti possono aumentare o diminuire di valore e si può perdere una parte o la totalità dell'importo investito. Le performance passate non sono necessariamente indicative di performance future. Qualsiasi decisione d'investimento deve essere basata sulle informazioni contenute nel Prospetto informativo di riferimento e deve essere presa dopo aver richiesto il parere di un consulente d'investimento, fiscale e legale indipendente.

L'applicazione di regolamenti e leggi fiscali può spesso portare a una serie di interpretazioni diverse. Eventuali punti di vista o opinioni espresse in questa comunicazione rappresentano le opinioni di WisdomTree e non devono essere interpretate come consulenza normativa, fiscale o legale. WisdomTree non fornisce alcuna garanzia o dichiarazione circa l'accuratezza di qualsiasi punto di vista o opinione espressa in questa comunicazione. Qualsiasi decisione di investimento dovrebbe essere basata sulle informazioni contenute nel prospetto appropriato e dopo aver richiesto una consulenza finanziaria, fiscale e legale indipendente.

Il presente documento non è, e in nessun caso deve essere interpretato come, una pubblicità o qualsiasi altro strumento di promozione di un'offerta pubblica di azioni o titoli negli Stati Uniti o in qualsiasi provincia o territorio degli Stati Uniti. Né il presente documento né alcuna copia dello stesso devono essere acquisiti, trasmessi o distribuiti (direttamente o indirettamente) negli Stati Uniti.

Benché WisdomTree si adoperi per garantire l'esattezza del contenuto del presente documento, WisdomTree non garantisce né assicura la sua esattezza o correttezza. Qualsiasi terzo fornitore di dati di cui ci si avvalga per reperire le informazioni contenute nel presente documento non rilascia alcuna garanzia o dichiarazione di sorta in relazione ai suddetti dati. Laddove WisdomTree abbia espresso dei pareri relativamente al prodotto o all'attività di mercato, si ricorda che tali pareri possono cambiare. Né WisdomTree, né alcuna consociata, né alcuno dei rispettivi funzionari, amministratori, partner o dipendenti,

accetta alcuna responsabilità per qualsiasi perdita, diretta o indiretta, derivante dall'uso del presente documento o del suo contenuto.