

Pressemitteilung vom 21. Mai 2024

## Der Einfluss von Algorithmen und Big Data auf die Entwicklung neuer Arzneimittel: Eine empirische Erhebung

Algorithmen und Big Data-Plattformen spielen in der Forschung und Entwicklung von neuen Arzneien eine zunehmende Rolle. Eine in Nature Computational Science publizierte Studie<sup>1</sup>, an der das BB Biotech Team zusammen mit führenden Experten der amerikanischen Duke University mitgewirkt hat<sup>2</sup>, hat sich mit der Frage beschäftigt, welchen medizinischen, finanziellen und kommerziellen Mehrwert der Einsatz dieser neuen Technologien liefern kann.

Computational Science, das heisst die Anwendung von künstlicher Intelligenz und computergestützten Simulationen, wird in immer mehr Bereichen der Arzneimittelentwicklung eingesetzt. Biotechunternehmen sind hier die Protagonisten. Von der Entwicklung von Algorithmen und Big-Data-Plattformen versprechen sich die Unternehmen vielfältige Vorteile für die eigene Forschung und Entwicklung. Durch die Vernetzung und Auswertung von Daten mithilfe von KI sollen präklinische und klinische Phasen zeit- und kostensparender durchgeführt werden können. Gleichzeitig wollen die Unternehmen durch immer genauere Datenanalysen das Risiko klinischer Fehlschläge kontinuierlich reduzieren. Nicht zuletzt sollen durch KI-optimierte Verfahren in der Wirkstoffsuche klinische Kandidaten identifiziert werden, deren molekulare Strukturen deutlich verbesserte Wirkmechanismen in den unterschiedlichsten Krankheitsfeldern aufweisen.

Zur Erweiterung der eigenen KI- und Data-Computing-Pipeline entwickeln die Unternehmen Algorithmen, Big-Data-Plattformen für ihre eigenen klinischen und wissenschaftlichen Daten sowie neue Hardware. Dabei setzen sie einerseits auf maschinelles Lernen in der Datenanalyse. Zum anderen führen sie Simulationen für das Design, die Entwicklung und die klinische Erprobung neuer Medikamente durch. In der Praxis kommen die Technologien in den verschiedenen präklinischen und klinischen Phasen zum Einsatz - von der Targetauswahl über die Identifikation und Optimierung von Leads bis hin zur Auswahl von Patienten für klinische Studien.

### Studie analysiert KI und Drug Discovery

BB Biotech hat frühzeitig erkannt, wie sich durch automatisierte Algorithmen die wachsenden Datenmengen in der biopharmazeutischen Industrie für die eigenen Investments effizienter nutzen lassen. Drei eigens eingestellte Datenwissenschaftler spielten dabei eine zentrale Rolle im firmeninternen Projekt BioCarta, mit dem ein Datenpool aus Analysesoftware, Big Data-Anwendungen und Hardware aufgebaut wurde.

Um einen Überblick zu erhalten, wie und in welchem Umfang Computational Science die zukünftige Medikamentenentwicklung verbessern kann, haben das Investment Management Team und externe Experten eine Studie durchgeführt. Dabei wurden insgesamt 90 Unternehmen berücksichtigt, bei denen Computational Science nach eigenen Angaben ein zentraler Bestandteil des operativen Geschäfts ist und die gleichzeitig die von BB Biotech vorgegebenen Kriterien erfüllen.

Untersucht wurden das Geschäftsmodell, die strategische Ausrichtung sowie die Art der Finanzierung. Die Geschäftsmodelle unterscheiden sich zum Teil deutlich. Mehr als die Hälfte aller Firmen sind Service-Anbieter. Die verbleibenden 41% aller Unternehmen haben 49% ihrer Pipeline an Pharmakonzerne

verpartnert. Im Umkehrschluss bedeutet das: Lediglich 21% aller untersuchten Firmen entwickeln und finanzieren eine eigene Pipeline mithilfe von computerbasierten Technologien.

### Fokus Algorithmen und Frühforschung

93% der in der Studie analysierten Unternehmen geben an, dass sie dank ihrer neuen Algorithmen einen Vorteil gegenüber der Konkurrenz bei der Medikamentenentwicklung haben. Dagegen glauben nur 6.5% der Unternehmen, einen solchen Vorteil durch die eingesetzte Hardware zu haben. Ein wesentlicher Grund für diese Diskrepanz ist der Kostenfaktor. Während neue Algorithmen kostengünstig entwickelt werden können, ist der Kapitalbedarf für Hardware um ein Vielfaches höher. Diese Hardware wird vor allem im Drug Design und bei der Target-Identifizierung eingesetzt. Dabei werden vor allem Wechselwirkungen zwischen Molekülen simuliert. Daraus lassen sich Rückschlüsse auf das Bewegungs- und Bindungsverhalten von Molekülen ziehen. Die Biotechunternehmen Relay Therapeutics, in das auch BB Biotech investiert ist, und Modulus Discovery nutzen diese Verfahren für die Studien in ihrer Pipeline.

Bei 37% aller untersuchten Gesellschaften bringt die Integration von KI-basierten Datensätzen in die experimentelle Pipeline Vorteile für das biologische und klinische Verständnis. Mit wenigen Ausnahmen (z. B. Recursion) befinden sich die meisten Unternehmen, die KI-basierte Daten in ihre Pipeline integrieren, noch im frühen Stadium der klinischen Entwicklung.

Nur 28% aller in der Studie berücksichtigten Medikamentenentwickler haben eigene Produkte in fortgeschrittenen klinischen Entwicklungsstadien mit nachgewiesener Wirksamkeit. Am häufigsten angewendet werden die Computational-Science-Verfahren in der Profilerstellung von klinischen Studien und Patienten. Wirkstoff-Formulierungen und Sicherheitsaspekte spielen bei der KI-basierten Entwicklung von Medikamenten derzeit eine untergeordnete Rolle: Ganze 2.2% beziehungsweise 4.1% aller untersuchten Firmen greifen hier auf computerbasierte Daten zurück. Als grösste Hindernisse gelten die physiologische Komplexität der Moleküle für In-Silico-Verfahren (computergestützte Methoden) und die hohen Kosten der In-vivo-Tests, das heisst Experimente, die in lebenden Organismen durchgeführt werden. Noch stossen Toxizitätsstudien auf In-Silico-Basis in neuen therapeutischen Anwendungen bei regulatorischen Behörden auf geringe Akzeptanz. Das könnte sich in den USA ändern. Dort will die FDA die Anforderungen für In-vivo-Studien erleichtern, was dazu führen könnte, dass die In-Silico-Protokolle stärker standardisiert werden. Damit könnten sie in regulatorischen Prozessen vermehrt berücksichtigt werden.

### Mehr Partnering Deals und Börsengänge

Die Analyse der Finanzierung von Unternehmen mit einer eigenen oder verpartnerten Produktpipeline ergab, dass die meisten Gelder von Private-Equity- und Aktienfonds in Unternehmen fließen, die sich im klinischen Frühstadium befinden und eigene Algorithmen entwickeln. USD 237 Mio. beträgt die durchschnittliche Finanzierung bei Unternehmen, die ihre KI-Technologien für die präklinische Wirkstoffsuche oder Projekte im frühklinischen Stadium einsetzen. Etwas höher liegt die durchschnittliche Finanzierung mit USD 300 Mio. bei Unternehmen, die Algorithmen für die Analyse von Patientendaten entwickeln. Ganz anders sieht es bei Unternehmen aus, die auf kapitalintensive Hardware setzen: Hier liegt die durchschnittliche Finanzierung bei über USD 622 Mio.

Die Tatsache, dass die Zahl der Börsengänge in den letzten drei Jahren ebenso zugenommen hat wie der allgemeine Mittelzufluss, deutet darauf hin, dass das Segment der Biotechunternehmen, die im Bereich

der Computational Science tätig sind, einen Reifeprozess durchläuft. Bei den Partnering-Deals mit der Pharmaindustrie liegt der Fokus eindeutig auf dem Servicegeschäft, was sich in der hohen Zahl von Unternehmen widerspiegelt, die Dienstleistungen und nicht die eigene Wirkstoffsuche als Geschäftsmodell definiert haben. Spannend für die Zukunft wird sein, ob und wie die Zahl der Kooperationen zunehmen wird, bei denen computerbasierte Verfahren in fortgeschrittene klinische Entwicklungsprojekte integriert werden. Ein wesentliches Argument werden mögliche Kosteneinsparungen bei zulassungsrelevanten klinischen Studien sein: In dieser Entwicklungsphase fällt der grösste Teil der F&E-Kosten für ein potenzielles Medikament an.

#### Die Frage nach dem kommerziellen Mehrwert

Damit sind wir bei einer zentralen Frage angelangt, die bereits bei der Planung der Studie formuliert wurde: Inwiefern wird Computational Science einen Mehrwert für die zugelassenen Medikamente schaffen, sowohl in Bezug auf die Anzahl als auch auf den therapeutischen Nutzen der zugelassenen Produkte? Die Studienergebnisse lassen hier noch keine eindeutigen Schlüsse zu. 71% aller Projekte befinden sich noch in der präklinischen Phase. Die Substanzen, die sich derzeit in den klinischen Phasen I und II befinden, sind der Schlüssel dafür, ob in Zukunft mithilfe von KI und Big Data besser wirkende und kostengünstigere Medikamente auf den Markt kommen. Derzeit konzentrieren sich die meisten der untersuchten Unternehmen auf Algorithmen und Target-Validierung, vor allem in den beiden Krankheitsfeldern Onkologie und Neurologie. Antikörper und Peptide sind molekulare Strukturen, bei denen KI angesichts der steigenden Zulassungszahlen gut aufgestellt ist, um in Zukunft eine prägende Rolle zu spielen, etwa um die hohen Produktionskosten zu senken. Derzeit machen niedermolekulare Substanzen noch 61% aller laufenden klinischen Projekte aus, in denen KI-basierte Technologien integriert sind.

Daher ist es noch zu früh, konkrete Schlussfolgerungen zu ziehen, um den Erfolg von Computational Science mit den Erfolgsraten klinischer Produkte zu vergleichen, die auf anderen Technologien basieren. Die wachsende Zahl von Kooperationen ist ein deutliches Indiz dafür, dass Computational Science einen neuen Reifegrad erreicht hat. Insgesamt werden die Entwicklungen und Ergebnisse der nächsten Jahre zeigen, wie der Einsatz von Computational Science die Entwicklung und Kommerzialisierung innovativer Therapien beschleunigt. Das Investment Management Team von BB Biotech wird die Entwicklungen weiterhin eng verfolgen, früh mit Firmen hinsichtlich neuer Herangehensweisen und Plattformtechnologien interagieren und sich letzten Endes basierend auf spezifischen Assets und nicht aufgrund des generellen Potenzials einer Plattform für eine Investition entscheiden.

#### Drei Spezialisten im Portfolio von BB Biotech

Derzeit umfasst das Beteiligungsportfolio drei Biotechunternehmen, bei denen Computational Science eine wichtige Rolle in Forschung und Entwicklung spielt. Relay Therapeutics nutzt seine Entwicklungsplattform «Dynamo» für experimentelle und computergestützte Ansätze, um ein differenziertes Verständnis der Strukturen und Bewegungen von Proteinen zu erlangen. Das Unternehmen konzentriert sich auf die Präzisionsmedizin mit dem Ziel, krankheitsauslösende Zielproteine auszuschalten, die als Zielmoleküle für Therapien bisher als nicht zugänglich galten. Das Unternehmen hat drei Krebstherapien in der frühen klinischen Entwicklung.

Black Diamond ist ebenfalls in der Präzisionsonkologie tätig. Das Unternehmen nutzt maschinelle Lernverfahren, um Therapien gegen genetisch bedingte Krebsarten zu entwickeln, die unabhängig von bestimmten Tumorarten wirken. Die firmeneigene Plattform MAP ermöglicht die Analyse genetischer Sequenzierungsdaten auf Populationsebene. In einem ersten Schritt sollen onkogene Mutationen

identifiziert werden, die in einzelnen Tumorarten krankheitsfördernd wirken. Anschliessend werden diese Mutationen anhand ähnlicher Proteinstrukturen in Familien kategorisiert. Darauf aufbauend sollen tumorunabhängige individuelle Therapien mit niedermolekularen Substanzen entwickelt werden, die gegen diese spezifischen Mutationsfamilien gerichtet sind.

Die Kernbeteiligung Moderna bedient sich digitaler Technologien, um den Prozess von der Konzeption einer Arznei bis zu ihrer klinischen Entwicklung von mRNA-basierten Medikamenten wie dem COVID-19-Impfstoff SpikeVax deutlich zu beschleunigen. Eine zentrale Rolle spielt dabei das mRNA Design Studio. Dabei handelt es sich um eine webbasierte Plattform, die sich auf cloudbasierte Rechenkapazitäten stützt und bei der digitale Tools für das Arzneimitteldesign und eine hoch automatisierte Produktionsanlage integriert sind. Mittels Sequenz-Designer-Modellen können Forscher damit schnell mehrere massgeschneiderte mRNAs entwerfen, indem sie Proteine spezifizieren, die anschliessend automatisch in optimierte mRNA-Sequenzen umgewandelt werden.

Für weitere Informationen:

#### Investor Relations

Bellevue Asset Management AG, Seestrasse 16, 8700 Küsnacht, Schweiz, Tel. +41 44 267 67 00

Dr. Silvia Siegfried-Schanz, [ssc@bellevue.ch](mailto:ssc@bellevue.ch)

Maria-Grazia Alderuccio, [mga@bellevue.ch](mailto:mga@bellevue.ch)

Claude Mikkelsen, [cmi@bellevue.ch](mailto:cmi@bellevue.ch)

#### Media Relations

Bellevue Asset Management AG, Seestrasse 16, 8700 Küsnacht, Schweiz, Tel. +41 44 267 67 00

Tanja Chicherio, [tch@bellevue.ch](mailto:tch@bellevue.ch)

TE Communications AG, Bleichestrasse 11, 9000 St. Gallen, Schweiz, Tel. +41 79 423 22 28

Thomas Egger, [teg@te-communications.ch](mailto:teg@te-communications.ch)

[www.bbbiotech.com](http://www.bbbiotech.com)

#### Quelle:

<sup>1</sup> Characterizing emerging companies in computational drug development publiziert am 26. Februar 2024

<sup>2</sup> Chloe Markey, Samuel Croset, Olivia Ruth Woolley, Can Martin Buldun, Christian Koch, Daniel Koller und Daniel Reker

#### Unternehmensprofil

BB Biotech AG ist eine Investmentgesellschaft mit Sitz in Schaffhausen/Schweiz, die an der Schweizer und deutschen Börse notiert ist. Seit 1993 investiert das Unternehmen in innovative Unternehmen der Medikamentenentwicklung, die hauptsächlich in den USA und Westeuropa ansässig sind. BB Biotech AG ist eine der führenden Investoren in diesem Sektor. Der kompetente Verwaltungsrat mit seiner langjährigen Erfahrung legt die Anlagestrategie und -richtlinien fest. Die Anlageentscheide werden durch das erfahrene Investment Management Team der Bellevue Asset Management AG auf der Basis von umfassendem Investment Research getroffen.

#### Haftungsausschluss

Diese Veröffentlichung enthält zukunftsgerichtete Aussagen und Erwartungen sowie Beurteilungen, Ansichten und Annahmen. Diese Aussagen beruhen auf den aktuellen Erwartungen von BB Biotech, ihren Direktoren und leitenden Mitarbeitenden und sind daher mit Risiken und Unsicherheiten verbunden, die sich mit der Zeit ändern können. Da die tatsächlichen Entwicklungen erheblich abweichen können, übernehmen BB Biotech, ihre Direktoren und leitenden Mitarbeitenden diesbezüglich keine Haftung. Alle in dieser Veröffentlichung enthaltenen Aussagen werden nur mit Stand vom Zeitpunkt dieser Veröffentlichung getätigt, und BB Biotech, ihre Direktoren und leitenden Mitarbeitenden gehen keinerlei Verpflichtung ein, zukunftsgerichtete Aussagen aufgrund neuer Informationen, künftiger Ereignisse oder sonstiger Faktoren zu aktualisieren.