

## Genomforschung: Innovationsbeschleunigung im Gesundheitswesen

Von Jenny Chang, Portfolio Manager, GS Global Future Health Care Equity Portfolio, bei Goldman Sachs Asset Management

Frankfurt/London, 4.8.2021 – Eine revolutionär neue Technologie namens Genom-Editierung erreichte vor Kurzem einen wichtigen Meilenstein: Zum ersten Mal ist es mit der Genom-Editierung gelungen, einen Gendefekt in betroffenen Patienten erfolgreich zu verändern – sodass für eine tödliche Erbkrankheit nun eine Aussicht auf Heilung besteht. Genom-Editierung ist nur ein Beispiel für die Beschleunigung der Innovationen im Gesundheitswesen.

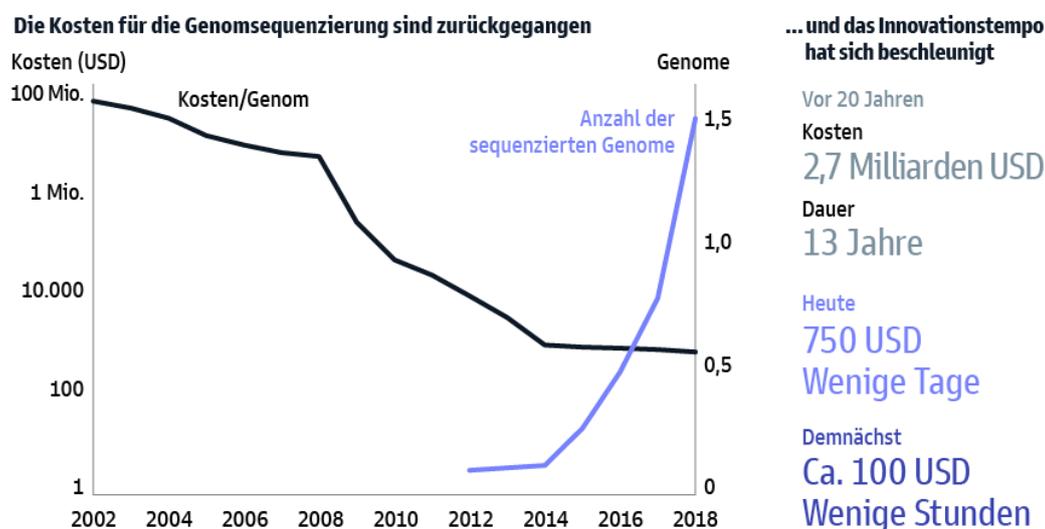
Die Ansicht, dass Genom-Editierung nicht nur eine Technologie ist, sondern eine Innovation, die ein neues Ökosystem entstehen lässt, ist ein zentraler Aspekt unserer Investmentstrategie. Jeder Schritt besteht aus hochkomplexen und spezialisierten Prozessen. Angefangen bei Forschung und Technologie, die nötig sind, um Mutationen zu erkennen und ein Medikament durch den menschlichen Körper zu transportieren, bis hin zu den Diagnosegeräten und Spezialherstellern zur Skalierung kommerziell verfügbarer Behandlungen.

### Forschungsdurchbruch dank CRISPR-Technologie

Als vor 20 Jahren das erste menschliche Genom sequenziert wurde, kostete der Vorgang 2,7 Milliarden USD und dauerte 13 Jahre. Heute kostet eine Sequenzierung rund 750 USD – in nur wenigen Tagen. Diese Fortschritte ermöglichen es, in kritischer Masse Datensätze auszubauen, die weitere Erkenntnisse für personalisiertere und effektivere Therapien und Heilungen liefern.

Dank der CRISPR-Cas9-Technologie befindet sich die Genom-Editierung bereits auf dem besten Weg zu diesen Heilbehandlungen. Im Grunde können Genetiker und Medizinforscher mit der CRISPR-Cas9-Methode Teile des Genoms verändern, indem sie Abschnitte der DNA-Sequenz entfernen, einfügen oder verändern. Die Möglichkeit, sehr präzise Änderungen an der DNA-Sequenz vorzunehmen und individuell in das Erbgut einzugreifen, stellt die Weichen, um Gendefekte zu entfernen oder auszuschalten und dadurch Krankheiten zu heilen.

Grafik 1: Durch starken Kostenrückgang ist die Zahl der sequenzierten menschlichen Genome exponentiell gestiegen



Quelle: Illumina, NHGRI, US Census Bureau; Stand: 2019.

Die kontinuierlich wachsende Menge an Genom-Datensätzen bildet die Grundlage für mehrere wichtige Biotechnologien, deren Wachstum zu potenziellen Chancen für Investoren führen kann. Eine kürzlich durchgeführte klinische Studie, bei der die CRISPR-Cas9-Genom-Editierung direkt im Körper eingesetzt wurde, erzielte sehr vielversprechende Ergebnisse bei Menschen, die unter der seltenen tödlichen Krankheit Transthyretin-Amyloidose leiden. Nach einer einzigen Behandlung mit der Genschere waren die

---

Blutwerte für das abnormale Protein, das diese tödliche Krankheit verursacht, innerhalb von vier Wochen um 80 % gesunken. Diese Daten sind der erste stichhaltige Beleg, dass CRISPR-Cas9 bei systematischer Anwendung erfolgreich sein kann. Die Möglichkeit, Gene nun direkt im Körper zu editieren, bahnt den Weg für die Behandlung eines breiteren Spektrums an Krankheiten. Das könnte Auswirkungen auf eine ganze Reihe von Unternehmen haben.

### **Genbasierte Medikamente – auch aus dem Mittelstand**

Bei Betrachtung der Anlagemöglichkeiten in diesem Ökosystem gehen wir davon aus, dass kleine und mittelständische Wachstumsunternehmen, die mit Genom-Editierungstechnologien und Herstellungsprozessen zu tun haben, interessanter werden. Zu den Genom-Editierungstechnologien, in die wir investieren, gehört eine Technologie der nächsten Generation namens Base-Editing, die auf dem CRISPR-Cas9-Konstrukt aufbaut, aber weniger invasiv in das Erbgut eingreift.

Andere Unternehmen arbeiten an der Verbesserung von Standard-Krebstherapien durch Genom-Editierung oder der Entwicklung einer wichtigen Technologie für RNAi-Medikamente. Ähnlich wie die Genom-Editierungskonstrukte verwendet letztere Technologie Lipidnanopartikel, um das Medikament durch den menschlichen Körper zur Leber zu transportieren. Diese werden auch für die heutigen COVID-Impfstoffe verwendet, die auf der mRNA-Technologie basieren – und die viele von uns gerade erst erhalten haben.

Viele Unternehmen entlang der Lieferkette sind als „Enabler“ gut aufgestellt – also Unternehmen, die an allen Aspekten des Genom-Editierungsökosystems beteiligt sind. Von Forschung und Entwicklung, um Mutationen erkennen und ein Medikament gezielt durch den menschlichen Körper transportieren zu können, bis hin zu diagnostischen Tests sowie der Herstellung und Produktion zur Skalierung kommerziell verfügbarer Behandlungen. Die Welt wird sich darauf einstellen müssen, dass genbasierte Medikamente in großem Umfang kommerziell verfügbar sein werden.

Klar ist: Die akademische Forschung im Bereich der genetischen Medizin läuft auf Hochtouren. Unsere Investments fließen daher in Unternehmen, die sich zum Beispiel der Herstellung von Instrumenten zur Vereinfachung und Beschleunigung von CRISPR-Cas9-Experimenten und -Analysen widmen oder die an einer effizienteren Herstellung der Reagenzien für Gentherapien arbeiten, auch zur Befriedigung der sicherlich exponentiell steigenden Nachfrage.

1. Quelle: Forbes, „How Human Genome Sequencing Went From \$1 Billion A Pop To Under \$1,000“; Stand: Oktober 2020.

## **ÜBER GOLDMAN SACHS ASSET MANAGEMENT**

Goldman Sachs Asset Management ist die Investmentsparte der The Goldman Sachs Group, Inc. (NYSE: GS). Wir bieten Anlage- und Beratungsdienstleistungen für einige der weltweit führenden Institutionen, Finanzberater und Privatpersonen. Wir investieren in öffentliche und private Märkte über eine erstklassige Investmentplattform mit einem verwalteten Vermögen von mehr als 2 Billionen US-Dollar. 1869 gegründet, bietet Goldman Sachs als führendes globales Finanzunternehmen einem großen und diversifizierten Kundenstamm Finanzdienstleistungen in den Bereichen Investment Banking, Wertpapiere, Investment Management und Consumer Banking. Mehr dazu auf [LinkedIn](#).

### **Medienkontakt:**

Friederike Walle, Goldman Sachs  
Unternehmenskommunikation Deutschland, Österreich, Schweiz  
Tel.: +49 69 7532 2650  
E-Mail: [friederike.walle@gs.com](mailto:friederike.walle@gs.com)

Johannes Zenner, Instinctif Partners  
Tel.: +49 69 133 896 21  
E-Mail: [johannes.zenner@instinctif.com](mailto:johannes.zenner@instinctif.com)

Paul Oberhofer, Instinctif Partners  
Tel.: +49 69 133 896 22  
E-Mail: [paul.oberhofer@instinctif.com](mailto:paul.oberhofer@instinctif.com)