

# Zellbasierte Gentherapien sind im Aufwind

apceth Biopharma ist ein Pionier in der Entwicklung von zellbasierten Gentherapien und bietet sowohl Lohnherstellung als auch eigene Produktentwicklung an.

Im Jahr 2017 hat die Food and Drug Administration (FDA) erstmals zwei bahnbrechende neue Krebsimmuntherapien, sogenannte CAR-T-Therapien, zugelassen. Diese haben das gesamte Feld der zellbasierten Gentherapie bei Investoren und Pharmazeuten in den Mittelpunkt des Interesses gerückt. Aufsehen erregten unter anderem der Börsengang (IPO) von Magenta Therapeutics, der 100 Mio. US\$ einbrachte, und die Übernahme von Juno Therapeutics durch Celgene Corp. für die Rekordsumme von 9 Mrd. US\$.

## apceth Biopharma ist ein führender Hersteller von Zelltherapeutika

Den Aufbruch in der Zelltherapie spürt apceth Biopharma an der stark steigenden

Nachfrage im Geschäftsfeld Auftragsforschung und Lohnherstellung (CDMO). Um den steigenden Bedarf der Kunden zu decken, wurden 2018 die Kapazitäten für die Herstellung um zwei neue Reinräume der Klasse B erweitert. apceth verstärkt fortlaufend seine Teams für die Herstellung und die Qualitätskontrolle. In diesem Jahr erhielt apceth von der Regierung von Oberbayern eine erweiterte generelle Herstellungserlaubnis für Zell- und Gentherapeutika für die klinische und kommerzielle Anwendung. Dies erlaubt mehr Flexibilität, verringert den Aufwand zum Erlangen einer Herstellungserlaubnis und verkürzt die Zeitpläne der Auftraggeber. apceths Kunden profitieren von der langjährigen Erfahrung mit autologen und allogenen, nativen und genetisch modifizierten Stammzellen

verschiedener Typen und der umfassenden Expertise in der Vektorentwicklung.

Zu apceths Partnern zählt unter anderem das US-amerikanische Unternehmen bluebird bio. Seine zwei am weitesten fortgeschrittenen Produktkandidaten sind Gentherapien zur kurativen Therapie von schweren Erbkrankheiten: Lenti-D zur Behandlung der zerebralen Adrenoleukodystrophie und LentiGlobin zur Behandlung der transfusionsabhängigen  $\beta$ -Thalassämie sowie schweren Sichelzellanämie. Seit 2016 ist apceth der europäische Partner von bluebird bio für die klinische und zukünftige kommerzielle Herstellung von Lenti-D und LentiGlobin. Beide Therapien beruhen auf hämatopoetischen, also blutbildenden, Stammzellen, die *ex vivo* mit einer funktionellen Kopie des defekten Gens ausgestattet werden.

Die für 2019 erwartete Marktzulassung für LentiGlobin wäre ein großer Schritt: Nach heutigem Stand wäre apceth Biopharma eines von nur vier Unternehmen weltweit, die Zell- und Gentherapeutika für Patienten außerhalb von klinischen Studien herstellen.

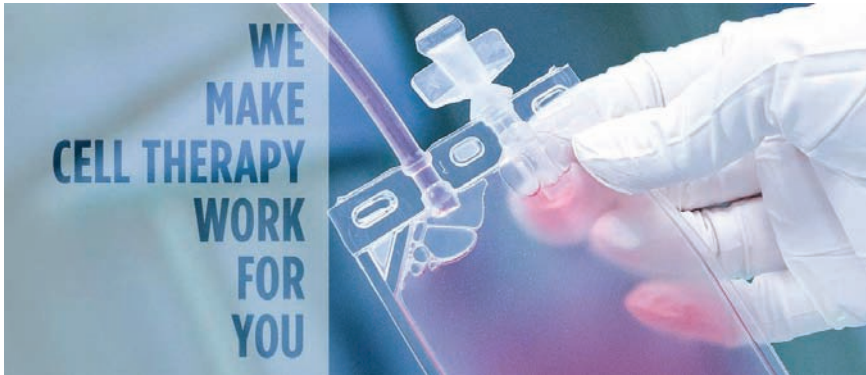
## Mesenchymale Stammzellen haben enormes Potential

Seit der Gründung 2007 ist apceth ein Pionier in der Entwicklung von zellbasierten Gentherapien. Die eigenen Produktkandidaten beruhen auf dem Einbringen von therapeutischen Transgenen in mesenchymale Stammzellen. Mesenchymale Stammzellen werden aus verschiedenen Gewebearten wie Knochenmark, Blut oder Fettzellen gewonnen und haben anti-inflammatorische sowie regenerative Eigenschaften.



Abb.: apceth Biopharma

apceth Biopharma entwickelt und produziert zellbasierte Gentherapeutika.



formtechnologie zu werden. Ein Pluspunkt ist ihre geringe Immunogenität. Zudem bietet die allogene Therapie wirtschaftliche Vorteile: Aus dem Knochenmark eines Spenders können ausreichend Stammzellen vermehrt werden, um eine große Anzahl von Patienten zu versorgen. Sicherheit, starke Wirksamkeit, Wirtschaftlichkeit, Lagerfähigkeit und schnelle Verfügbarkeit werden entscheidende Erfolgsfaktoren sein, um Zell- und Gentherapien langfristig im Standardrepertoire der Gesundheitsversorgung zu verankern. ●

Das zelltherapeutische Produkt apceth-201 exprimiert das immunmodulatorische Protein Alpha-1-Antitrypsin und wird zur Behandlung von entzündlichen und Autoimmun-Erkrankungen entwickelt. Für 2019 plant apceth den Beginn einer klinischen Phase I/IIa-Studie in der Indikation Transplantat-gegen-Wirt-Reaktion (Graft-versus-Host Disease). Diese Komplikation tritt bei Knochenmark- und Stammzelltransplantationen auf. Etwa 10% der Patienten erleiden einen schweren bis tödlichen Verlauf.

Das zweite Produkt, apceth-301, exprimiert einen immunstimulierenden „Cocktail“ von Zytokinen, die das Immunsystem lokal im Tumor aktivieren. Der duale Wirkmechanismus beruht auf der Zerstörung der Tumorzellen sowie einer langfristigen Anti-Tumor-Immunantwort. apceth-301 wird derzeit in der Indikation Glioblastom sowie für die Therapie weiterer solider Tumore entwickelt.

Mesenchymale Stammzellen haben das Potential, zu einer vielseitig einsetzbaren Platt-



#### Kontakt

**Dr. med. Christine Günther, CEO**  
**apceth Biopharma, München**  
**[www.apceth.com](http://www.apceth.com)**  
**Email: [contact@apceth.com](mailto:contact@apceth.com)**  
**Tel.: +49 (0)89 7009608-0**

Abb.: apceth Biopharma (oben), Broad Institute (unten)

## IMPROVING LIVES WITH NEXT GENERATION CELL THERAPIES

- More than 10 years experience in GMP-manufacturing of cell and gene therapies
- Pioneer in genetically modified cell products
- We excel in quality and safety



[contact@apceth.com](mailto:contact@apceth.com)  
[www.apceth.com](http://www.apceth.com)

