

# Genové terapie

## Co je drží při zemi?

**S**polečnosti zaměřené na genovou terapii byly donedávna horké zboží. Firmy jako Sarepta therapeutics, Bluebird bio, Biomarin nebo Ultragenyx se obchodovaly na mnohonásobcích budoucích tržeb. Není divu, výsledky jejich léků slibovaly vyléčení zákeřných a neléčitelných chorob, někdy za použití pouze jedné dávky léku. Všechny se v nedávném období dostaly do útlumu. Co hledat za zmenšeným zájmem investorů o tento sektor?

Společnosti byly do nedávné doby pouze o bezpečnosti a efektivitě léku a investoři neřešili, jak se z něj vydělají peníze. To se pomalu mění a do popředí se dostávají komerční schopnosti biotechnologických firem.

V první řadě je nejasná cenotvorba u tohoto typu léků. Jak bylo zmíněno, někdy postačí jedná dávka k vyléčení nemoci. Na tento způsob léčby nejsou pojišťovny připravené a mnohé těžko akceptují astronomické ceny genového řešení. Novartis nedávno způsobil poprask při zveřejnění ceny \$2.1 milionu dolarů za lék Zolgensma – jednorázovou léčbu spinální svalové atrofie. Druhý problém je výrobní kapacita společností. Například společnost Bluebird oznámila pomalejší rozjezd prodeje léku Zynteglo, právě kvůli zádrhelům ve výrobním procesu. Zajištění plynulé a kvalitní výroby bude výzva i pro ostatní.

Poradci z PwC v novém reportu odhadují, že zvyšující se zájem o genové terapie povede k většímu zájmu o služby výrobních sub kontraktorů. Ten povede k dražším službám za outsourcing a přinutí společnosti investovat do vlastní výroby. Touto cestou už se vydal Novartis, Pfizer, Sarepta a Bluebird. Avšak vytvoření vlastního výrobního zázemí, týmu a know-how bude dalším nákladem navíc. Přemrštěné ceny v sektoru byly dány velkou pravděpodobností fúzi a akvizic ze strany zavedených hráčů. Zde jako zádrhel působí akvizice Spark Therapeutics, která po půl roce stále není uzavřená, kvůli antitrustovým problémům. Od té doby nebyl žádný další obchod oznámen a očekává se, že potencionální zájemci počkají až budou mít více vzhledu do rozhodnutí regulátora. Domníváme se, že společnosti vyvíjející genové terapie mají vysokou přidanou hodnotu a v budoucnosti zásadně ovlivní zdravotnictví. Je možné, že si na nový zájem ze strany investorů počkáme do doby, než se vyřeší některé zásadní problémy v jejich fungování.