

UniQure

Sázka na nejistotu

Zdravotnické společnosti jsou v roce 2020 žhavým zbožím. Trhy totiž doufají, že pokud zdravotnické společnosti pomohou vyřešit pandemii Covid-19, tak vlády v následujících letech budou benevolentní v otázce regulace ceny nových léků. Pro běžného českého investora se investice do zdravotnictví, nebo přímo biotechnologií jeví výstředně. My to vidíme jako promarněnou šanci, protože biotechnologické společnosti, reprezentované indexem SPDR S&P Biotech za poslední tři roky vydělaly v průměru 12,5 % ročně a porazily tak největších 500 amerických firem v indexu S&P500. Rozhodli jsme se proto svět biotechnologií českému investorovi přiblížit. Sérii analýz začneme společností uniQure, která je průkopníkem v novém odvětví genových terapií.

UniQure je biotechnologická společnost, která se snaží pomocí **genové terapie léčit Hemofilii B a především pak Huntingtonovu nemoc („HN“)**. Hlavní hodnotu společnosti vidíme v novém léku na Huntingtonovu nemoc, který může dosáhnout statusu „blockbuster“ tedy tržeb přes \$1 mld. Proto se soustředíme zejména na tuto indikaci.

Huntingtonova nemoc je dědičné onemocnění mozku, které zapříčiňuje postupné poškození nervové tkáně. To se projeví v náhodných a nekontrolovaných pohybech různých částí těla. Protein, který onemocnění způsobuje, byl pojmenován Huntington – podle amerického lékaře, který chorobu v roce 1872 popsal.

V současné době na tuto nemoc neexistuje léčba, ale příznaky se dají tlumit zklidňujícími léky (neuroleptiky). V USA je postiženo 30 000 pacientů, kteří mají symptomy nemoci, předpokládá se, že u dalších 70 000 se nemoc teprve projeví. V Česku trpí nemocí asi 1 000 pacientů a průměrně postihuje 7 z 100 000 lidí. Pacienti jsou většinou diagnostikováni mezi 30 a 40 rokem života a umírají po 10 až 20 letech od diagnózy, kvůli oslabenému imunitnímu systému.

UniQure se snaží nemoc vyléčit za pomoci vědců z Česka

V roce 2009, uniQure ve spolupráci s výzkumným Centrem PIGMOD v Ústavu živočišné fyziologie a genetiky AV ČR v Liběchově, provedl první pokusy nového léku na samici miniprasete. Miniprase se podle vědců podobá člověku průměrnou váhou a velikosti orgánů. Vědci Adéle, jak byla samice pojmenována, zavedli zmutovaný gen, který zapříčinil Huntingtonovu chorobu. Na jejích potomcích pak studovali účinnost genové terapie uniQure. Závěry studie prokázaly, že je metoda léčby bezpečná a efektivní. Léčba byla úspěšně testována v pre-klinických studiích včetně 5 zvířecích modelů ze 4 různých zvířecích druhů. Tyto studie potvrdily výsledky českých vědců, že AMT – 130 snižuje hladinu zmutovaného Huntingtonova proteinu, zlepšuje motorické funkce a prodlužuje délku života.

V současné době probíhají testy léku AMT-130 v klinické studii, která zahrne 26 pacientů. Studie začala dvěma pacienty, kteří byli po 90 dnech zkontrolováni Radou pro bezpečnost léčby, ta rozhodla o zahrnutí dalších pacientů. To nám indikuje, že by bezpečnost léku měla být na přijatelné úrovni. Příští schůze rady proběhne na začátku 2021 a dojde k vyhodnocení dosavadního průběhu a bezpečnosti studie. Výsledky toho zasedání budou zveřejněny do konce prvního kvartálu 2021 a budou mít velký vliv na cenu akcie.

Konkurence ve vývoji léku na Huntingtonovu chorobu

V současné době je hned několik genetických terapií, které se snaží o vyléčení HN. Nejdále ve svém výzkumu je kromě uniQure společnost Voyager, která testuje lék v pre-klinických studiích a používá jiný způsob implementace léku. Nicméně před začátkem testování na lidech v říjnu 2020, americký regulátor (FDA) pozdržel další testování, kvůli nesrovnalostem ve výrobě a chemickém složení léku. V reakci na tuto událost se akcie Voyageru propadly o 11%.

Kromě genové terapie vyvíjí společnosti Roche a Wave Life Sciences léčbu pomocí protismyslných oligonukleotidu. Nejblíže komerčnímu schválení je léčba od Roche, která je ve třetí fázi klinických testů. Hlavní nevýhodou oproti genové terapii zůstává pravidelné dávkování. Testovaný lék RG6042 musí být podáván 1x každé 2-4 měsíce. Taky není ještě jasné, jestli bude zabírat na zlepšení motorických funkcí, a ne pouze na zhoršené mentální schopnosti.

Jak jsme zmínili výše, trh pro Huntingtonovu nemoc je obrovský. Credit Suisse při 15 % pravděpodobnosti schválení léčby předpokládá současnou hodnotu léků \$43 na akcii. uniQure by mělo reportovat výsledky Ph1/2 v 1Q2020. Pokud zde bude alespoň náznak toho, že léčba funguje, tak akcie můžou vylézt o \$50-\$75 (více než zdvojnásobit současnou hodnotu společnosti). Nutno říct, že velké potencionální zhodnocení sebou nese také velké riziko, protože rozhoduje experimentální léčba, která se liší od ostatních genových terapií.

Krátce k hemofilii

Hemofilie je dědičné onemocnění, které se projevuje poruchou srážlivosti krve. Porucha se objevuje hlavně u mužského pohlaví, zatímco ženy jsou nosičkami. Je několik typů hemofilie, nicméně za hlavní kategorie se považuje „A“ a „B“. Hemofilie A se vyskytuje u 1 z 5 000 chlapců, zatímco hemofilie u 1 z 30 000 chlapců. UniQure vyvíjí lék na Hemofilii B a úspěšně prošla druhou fází testování. V březnu 2020 pak dokončila dávkování pacientu ve třetí fázi testování. Šesti měsíční data by měla být zveřejněna ve čtvrtém kvartále 2020. V případně dobrých výsledků chce společnost podat BLA (Biologic License Application; žádost o prodej léku) v první polovině 2021. V červnu 2020 uniQure uzavřela dohodu o licencování léku s CSL Behring, která zaplatila \$450 miliónu v hotovosti možnost utržit až \$1,6 miliardy při splnění určitých milníků. CSL Behring je v současné době leader v léčbě hemofilie, což ušetří uniQure náklady na distribuci a prodej léku v případě jeho schválení.

Americký regulátor FDA v srpnu zamítl konkurenční genový lék na hemofilii A od společnosti Biomarin (Roctavian). Důvod bylo nedostatek dlouhodobých dat. Konkrétně FDA požaduje alespoň dva roky klinických dat pro schválení Roctavianu. Tento požadavek může být také tím, že prozatímní data z fáze 3 pro Roctavian ukazují nižší FVIII úroveň než u Ph1/2. Co se týče uniQure, tak oba tyto důvody by neměly být problém. V době, kdy bude uniQure žádat o schválení, bude mít data za pět let a výsledky mezi jednotlivými klinickými studiemi jsou konzistentní.

Závěr

Výhodou biotechnologických společností je, že vývoj léku a jeho schválení není obecně korelováno s finančními trhy. uniQure má do konce 1Q21 dva důležité milníky, které značně ovlivní cenu akcie. To sebou přináší velký potencionální výnos, ale také velké riziko. Pro sofistikovanější investory může dávat smysl investice pomocí opcí, které mohou limitovat případnou ztrátu.