

PMS-Workshop, Berlin am 12. Mai 2009



Enzymersatz-Therapien bei
seltenen Stoffwechselstörungen –

Herausforderungen und Chancen
Sicht der Industrie

Dr. Hans-Peter Schulz

*Direktor Lysosomale Speicherkrankheiten
Genzyme GmbH*

genzyme

Wer ist Genzyme?

Genzymes Historie

Henri A Termeer

Chairman, President and CEO of Genzyme

Member of the Corporation, MIT

Director, Massachusetts General Hospital

Deputy Chairman, The Federal Reserve of Boston

Impressed by what you have accomplished for Cerezyme

Impressed by what Cerezyme patients
have accomplished for themselves



Handwritten signature in black ink, appearing to read "Henri A. Termeer".

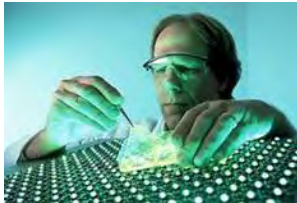


Genzymes Historie

- 1981 Gründung von Genzyme durch Henry Blair und Sherry Snyder
- 1983 Henri Termeer übernimmt die Leitung von Genzyme
- 1984 Beginn der Entwicklung von rekombinanter Glukozerebrosidase (Cerezyme)
- 1989/1990 Erstmalige Behandlung von Gaucher-Patienten vor der Zulassung im Rahmen klinischer Studien
- 1994 Zulassung und Einführung von Ceredase in Europa
- 1997 Einführung von Cerezyme in Deutschland

Unsere “Kern”-Werte

Unternehmergeist



Leidenschaft

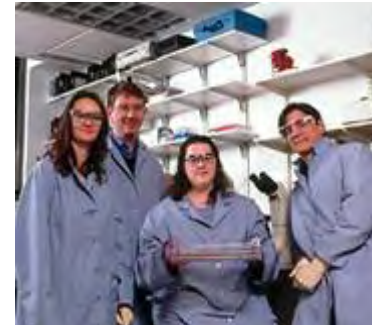


Zusammenarbeit

Innovation



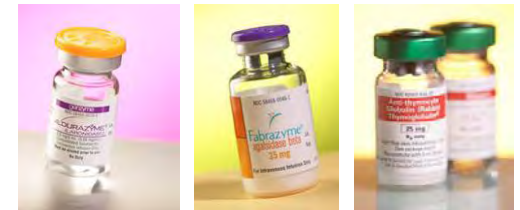
Integrität



Antrieb

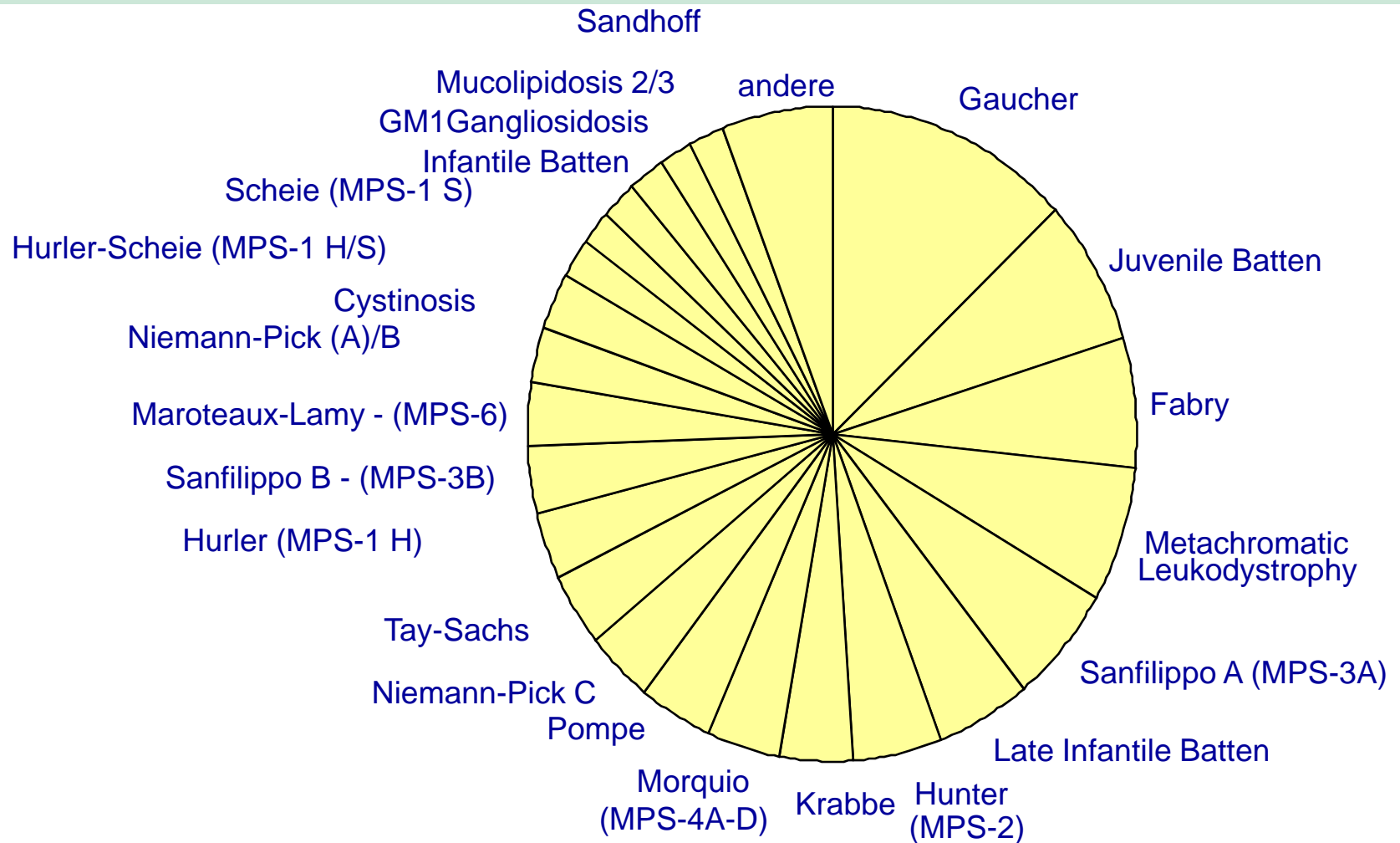
Wer ist Genzyme heute?

- Gehört zu den führenden global tätigen Biotech Unternehmen weltweit
- Über 11.000 Mitarbeiter weltweit
- 85 Organistionen / Niederlassungen in mehr als 25 Ländern
- 17 Produktionsstätten weltweit
 - Davon 8 europäische Produktionsstätten
- Weltweit mehr als 16 vermarktete Produkte
- 16 Neu-Zulassungen zwischen 2009 und 2012 erwartet, davon bereits 6 wichtige Produkte in späten klinischen Entwicklungsphasen



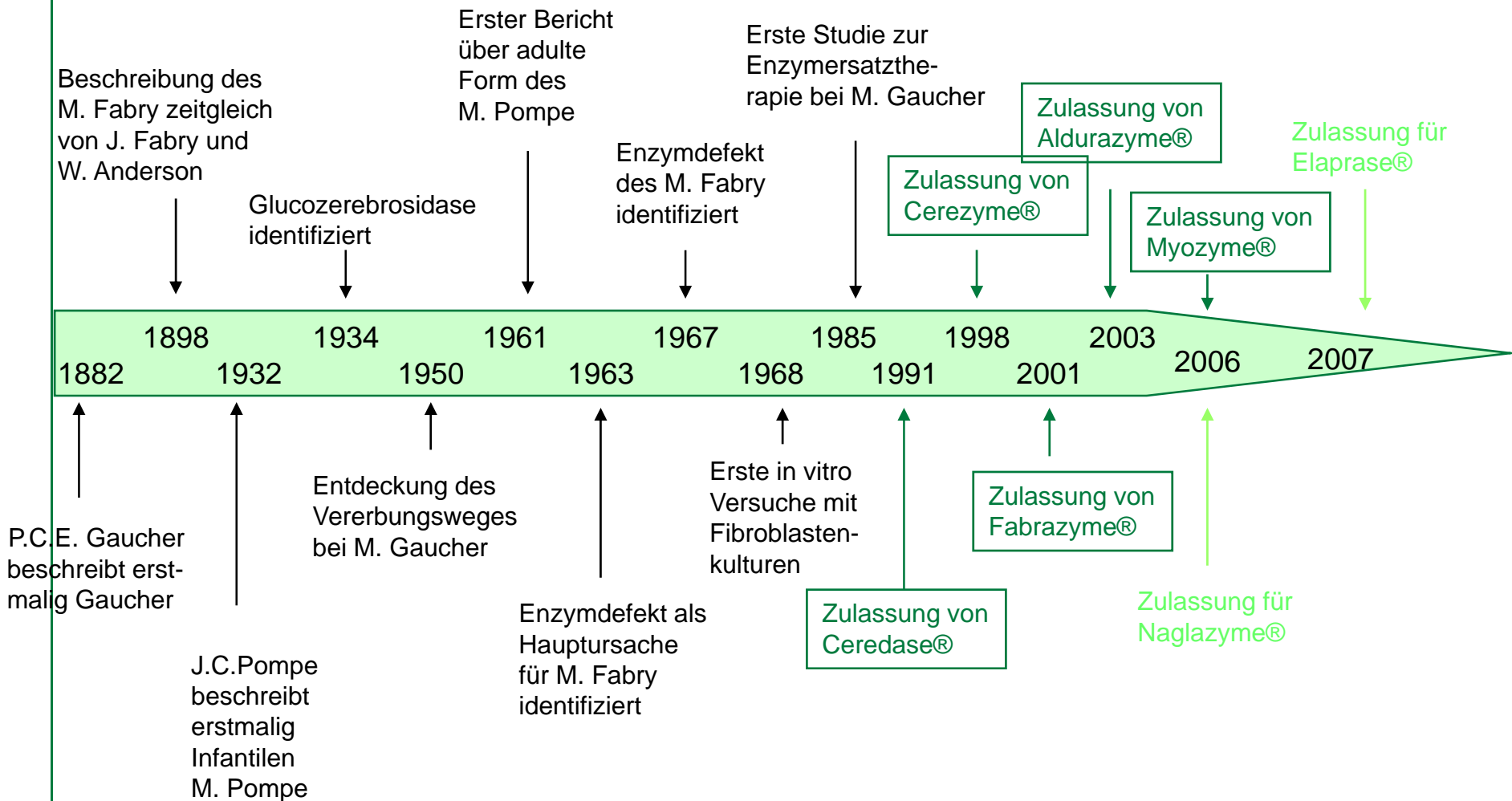
Die Geschichte der Lysosomalen Speicherkrankheiten

Übersicht Lysosomale Speicherkrankheiten



- Über 40 verschiedene Lysosomale Speicherkrankheiten!
- Inzidenzen $\geq 1:40.000$

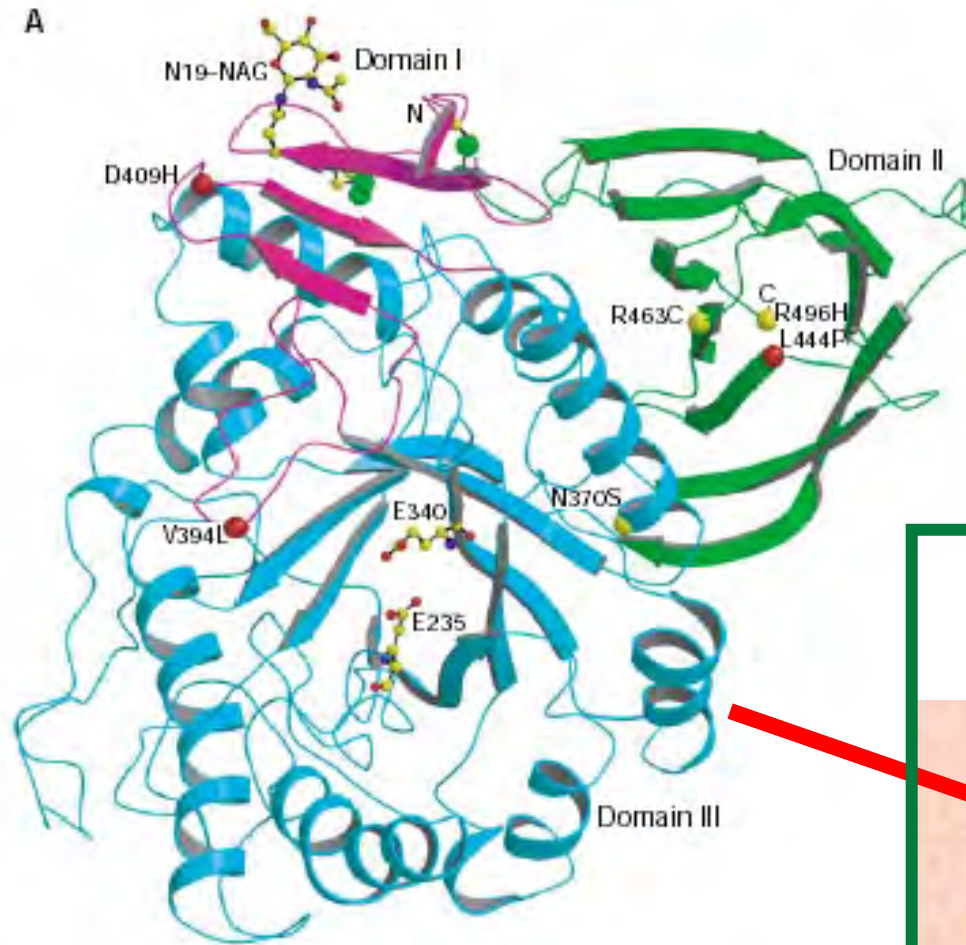
Historie der Lysosomalen Speicherkrankheiten



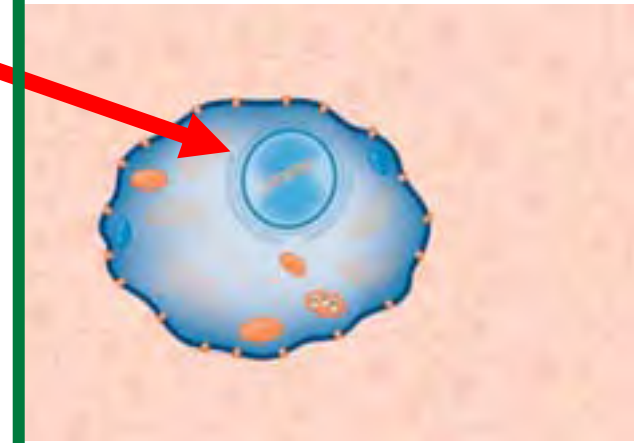
Mit welchem Know-how
konnten Therapien für
Lysosomale Speicherkrank-
heiten entwickelt werden?

Röntgenstruktur der Glukozerebrosidase

Großes
Molekül



Ziel Lysosom

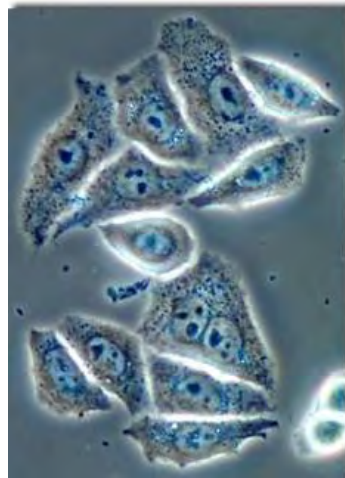


Produktion der Wirkstoffe - Kohlenhydratmodifikation



Moderne Biotechnologie

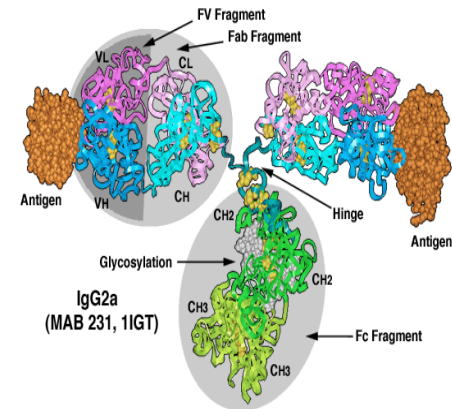
- Rekombinante Zellen werden eingesetzt für die Produktion von therapeutischen Proteinen.



Eine Lösung mit
Zuckern, Salzen,
Spurenelementen
und
unterschiedlichen
Wachstumsfaktoren

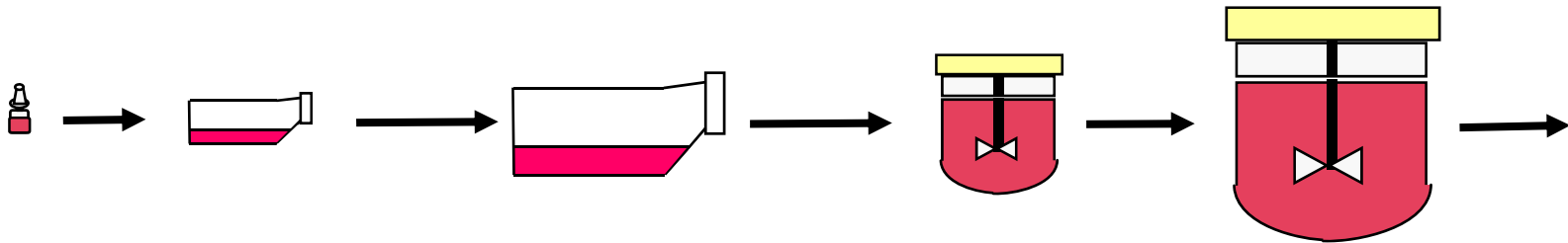
+

Zellen



Proteine

Sehr aufwendiges Produktionsverfahren



1 ml	• 1 ml + 9 ml GM	• 10 ml + 90 ml GM	• 100 ml + 900 ml	• 1 L + 9 L
	• 3 Tage Wachstum	• 3 Tage Wachstum	• 3 Tage Wachstum	• 3 Tage Wachstum
	• 10 Mio. Zellen	• 100 Mio. Zellen	• 1 Billion Zellen	• 10 Billionen Zellen



4000L Bioreaktor



Wenig Patienten / Hohe Kosten bei der Entwicklung der EET

1. Produktionskosten

- Herstellung rekombinanter Enzyme ist zeit- und ressourcenintensiv
- Hohes finanzielles Investment für den Bau der Produktionsanlage

2. Forschungskosten

- Die Entwicklung eines neuen Medikamentes erfordert jahrelanges Investment und kostet mehrere hundert Mio. USD (ca. 500 Mio \$ für Myozyme)
- Kosten fallen auch nach der Zulassung an (Register, Post-Zulassungsstudien)

3. Seltenheit der Erkrankung

- Die Prävalenz der Lysosomalen Speichererkrankungen ist 100mal geringer als die Prävalenz um als "Orphan Drug" eingestuft zu werden
- Verteilung hoher Entwicklungs- und Produktionskosten auf sehr wenige Patienten

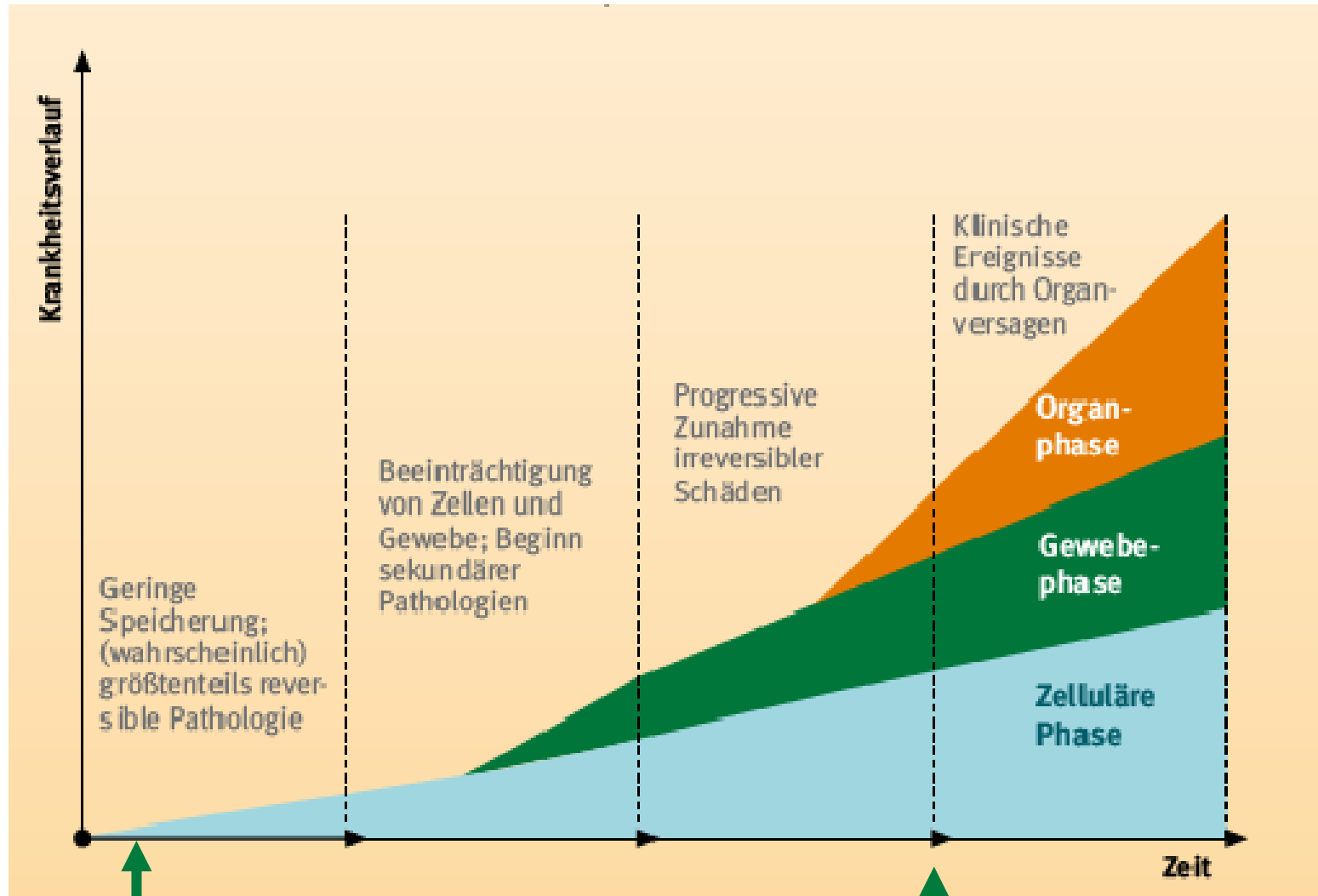


Verantwortung

- ✓ für Patienten, deren Therapie oftmals allein von Genzyme abhängig ist
- ✓ für den Aufbau eines zukunfts-sicheren Geschäftsmodells
 - ⇒ Genzyme reinvestiert ca. 20% seines Umsatzes in Forschung & Entwicklung. Genzyme zahlt keine Dividenden.
 - ⇒ Reinvestitionen bringen Hoffnung für neue Patientengruppen.
 - ⇒ Innerhalb von zehn Jahren hat Genzyme Therapien für vier lebensbedrohliche Erkrankungen entwickelt.

Was kann Enzymersatztherapie leisten?

Morbus Fabry Krankheitsprogression



Was konnte
wissenschaftlich erreicht
werden?

Publikationen und Leitlinien

- Mehrere Tausend Publikationen (ca. 6.500) zu Lysosomalen Speicherkrankheiten seit der Zulassung von Ceredase
- Etablierung von LSD-Zentren weltweit
- Leitlinien zur Therapie und Diagnostik wurden etabliert

Herausforderung Pharmacovigilance Register

■ Gaucher Registry

- Einführung in 1991
- 5.543 Patienten weltweit erfasst (8.5.09)



■ Fabry Registry

- Einführung in 2001
- 3.161 Patienten weltweit erfasst (8.5.09)



■ MPS I Registry

- Einführung in 2003
- 820 Patienten weltweit erfasst (8.5.09)

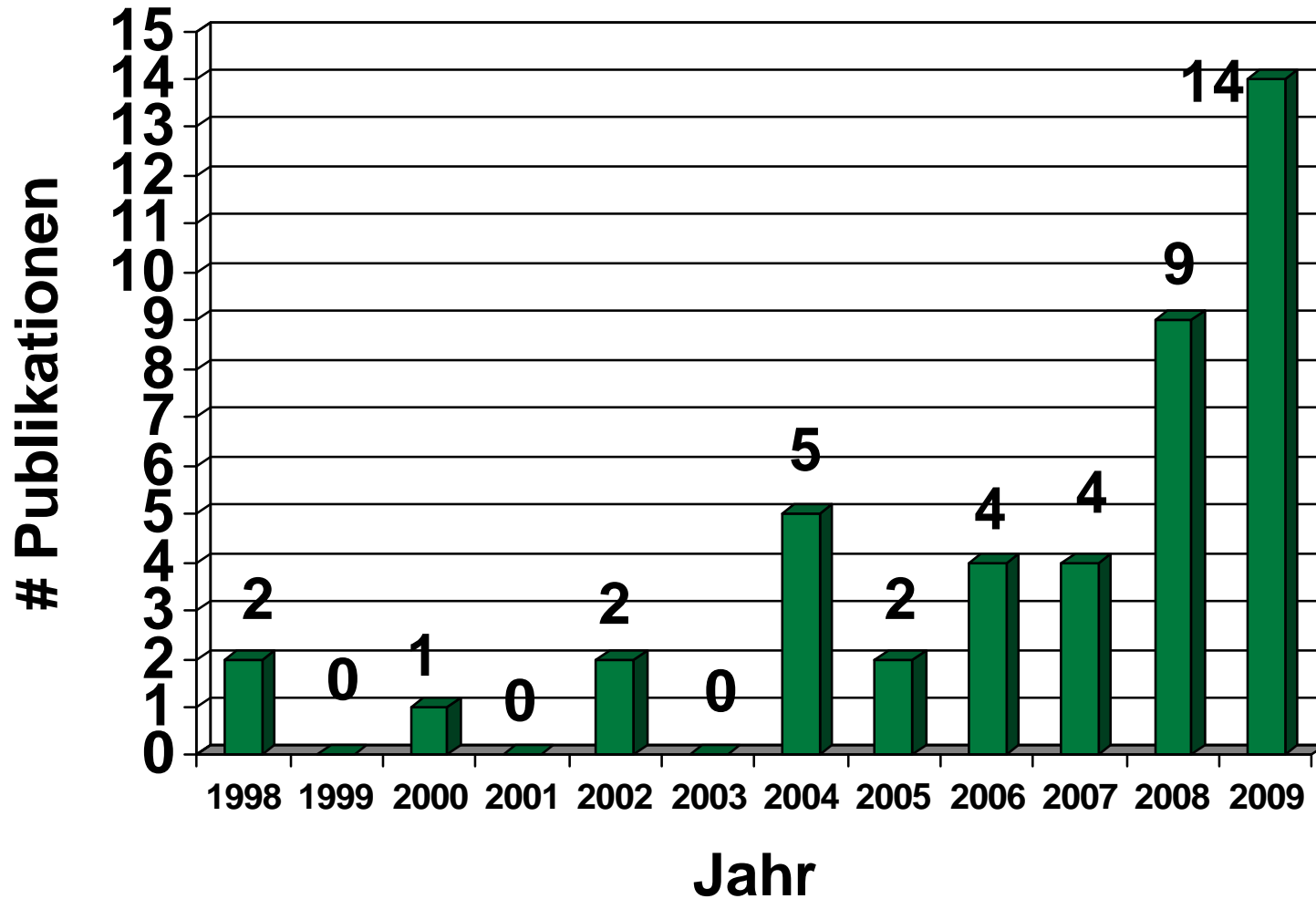


■ Pompe Registry

- Einführung bereits vor Zulassung in 2004
- 682 Patienten weltweit erfasst (8.5.09)

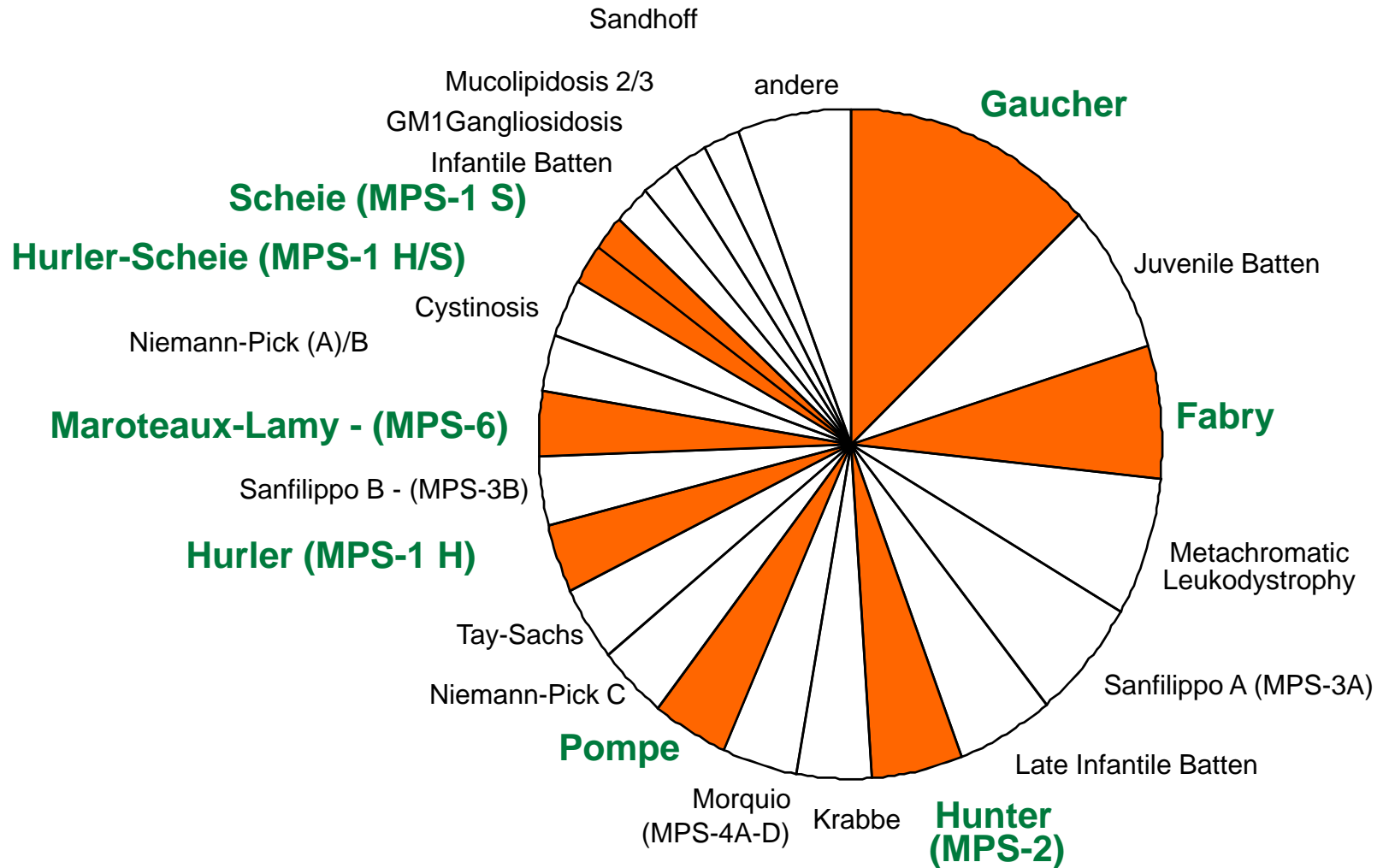


Gaucher Register Publikationen 1998 - 2009

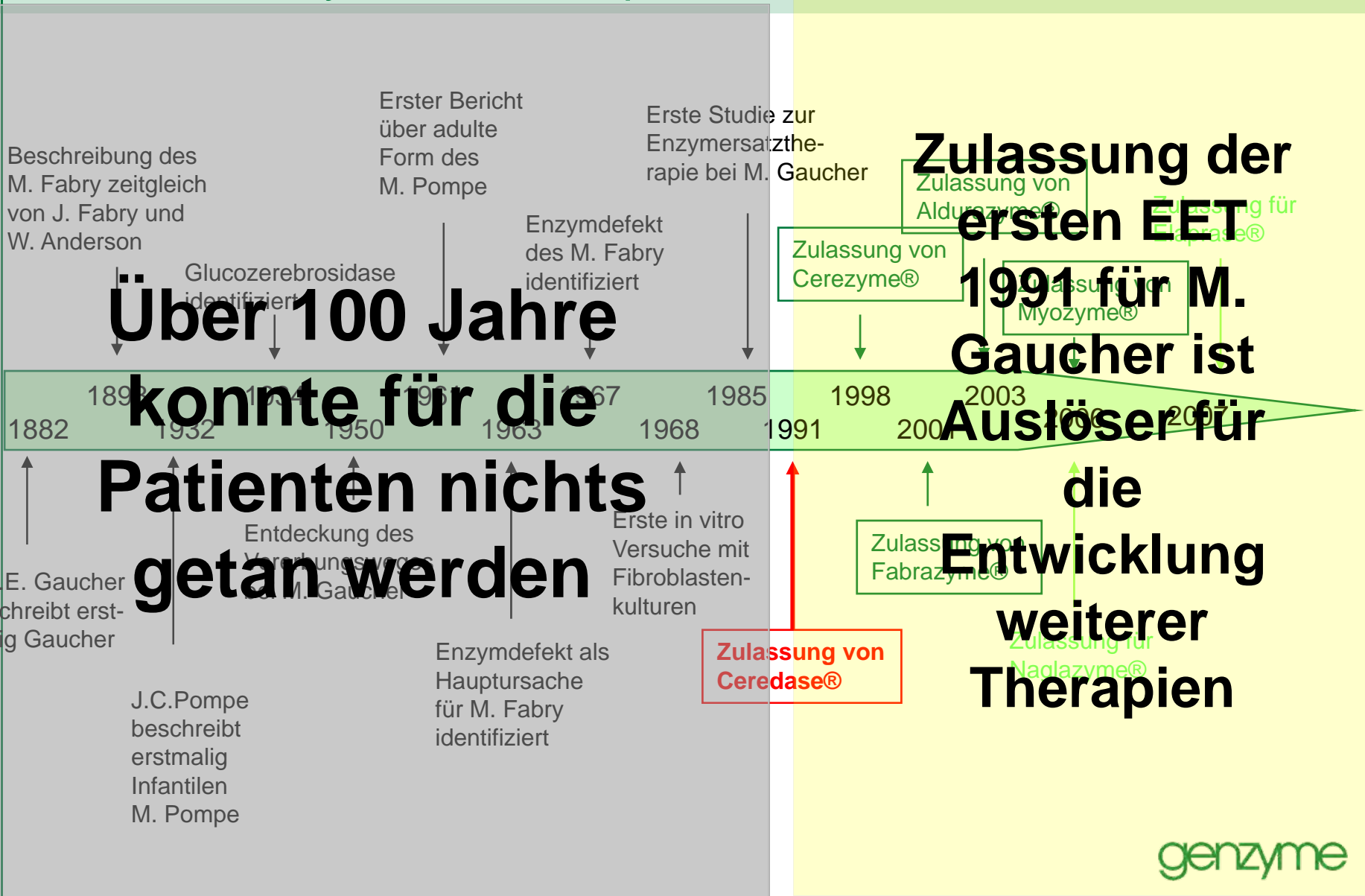


Was konnten wir für die
Patienten erreichen?

Verfügbare Therapien für 6 Speicherkrankheiten



Historie der Lysosomalen Speicherkrankheiten



Erfolgreiche Behandlung von Gaucher-Patienten

ca. 4.300 Patienten auf Therapie



**1. Gaucher-Patient
Brian bei der
Diagnose 1983**

**1. Gaucher-Patient
Brian unter Therapie 2001**

Erfolgreiche Behandlung von Pompepatienten

Justina vor Therapiebeginn



Justina nach 18 Monaten Therapie



Danke für Ihre Aufmerksamkeit !

genzyme

Lösungen für lysosomale Speicherkrankheiten



Genzyme GmbH
Siemensstrasse 5 b
63263 Neu-Isenburg

☎ 06102-36 74-0

📠 06102-36 74-100

web: www.genzyme.de

genzyme