

# Primary Focus Gentherapie

Wir entwickeln Gentherapien, um das Leben von Menschen mit genetisch bedingten Erkrankungen entscheidend zu verändern.

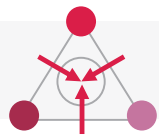


## Unsere Mission

Mit unserem Primary Focus *Gentherapie* stellen wir uns der Aufgabe der **Identifizierung, Entwicklung und Bereitstellung innovativer, genbasierter Therapien** für Patient:innen mit genetisch bedingten Erkrankungen. Gemeinsam mit unseren weltweit renommierten Kooperationspartner:innen bauen wir ein Kompetenzzentrum mit wettbewerbsfähigen Ressourcen über die gesamte Wertschöpfungskette hinweg auf. Damit wollen wir eine führende Rolle bei Medikamenten zur genetischen Regulation übernehmen. Unser Ziel ist die Entwicklung von Medikamenten, die das Leben von Patient:innen mit Erkrankungen, für die es keine oder nur wenige Behandlungsoptionen gibt, verändern.

## Strategischer Ansatz

Wir bauen eine neue multidisziplinäre Geschäftseinheit für Astellas auf und investieren dabei in die Entwicklung von Kapazitäten, die für den gesamten Innovationsprozess der Gentherapie hinweg notwendig sind:



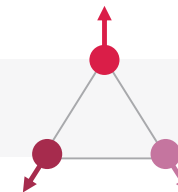
### Fokussieren

Wir richten unseren Fokus auf die schnelle Entwicklung von Gensatz- und Genregulationstherapien durch Adeno-assoziierte-Viren (AAV) für Erkrankungen mit hohem ungedecktem medizinischem Bedarf, die durch das Fehlen oder die Fehlsteuerung eines Gens hervorgerufen werden.



### Optimieren

Wir erarbeiten lückenlose Prozesse zur Entdeckung, Entwicklung, Herstellung und Vermarktung, um ein Portfolio an Kandidaten aufzubauen. Dabei setzen wir zunächst bei neuromuskulären Erkrankungen an und wollen den Fokus später dann auf andere Organe und häufiger auftretende Krankheiten erweitern.



### Erweitern

Wir arbeiten eng mit unseren Partner:innen aus dem Biotechsektor und dem akademischen Bereich zusammen. Dadurch erhalten wir Zugang zu Methoden und Technologien, mit denen wir unser Portfolio an wettbewerbsfähigen Projekten erweitern können.



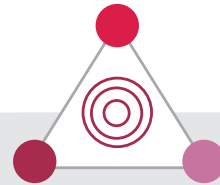
**ca. 7.000**  
Krankheiten

## Hintergrund

Fast 7.000 Erkrankungen, die häufig bereits bei Geburt vorliegen und kleine Kinder betreffen, werden durch Mutationen oder Fehler im genetischen Code verursacht.<sup>1</sup> Indem wir fehlende Gene ersetzen oder abnorme Gene regulieren, können wir mit einem einzigen Eingriff die **Therapieergebnisse** für **schwere, das Leben einschränkende und potenziell tödlich verlaufende Krankheiten** signifikant verbessern.

<sup>1</sup>U.S. Department of Health & Human Services, Rare Diseases FAQ, Version 1/26/2021. <https://rarediseases.info.nih.gov/diseases/pages/31/faqs-about-rare-diseases>. Letzter Zugriff: April 2022.

# Primary Focus Gentherapie



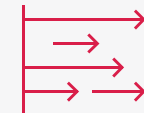
## Pipeline

Wir entwickeln genbasierte Therapien zur Behandlung seltener neuromuskulärer Erkrankungen und Erkrankungen des zentralen Nervensystems.



## Integrierte Produktionsanlagen

Voll integrierte unternehmenseigene Produktions- und Laboranlagen (USA)



## Effektive Durchführung zahlreicher Programme

Wir bauen ein Kompetenzzentrum auf, in dem wir ein umfassendes Verständnis und die Kompetenz für die Anwendung der AAV-Technologie zusammenführen. Dazu arbeiten wir agil und kombinieren die Ausdauer eines Biotechunternehmens mit den Stärken und globalen Erfahrungen von Astellas.

aAVC: artificial adjuvant vector cells (artifizielle adjuvante Vektorzellen)

## Kompetenzzentrum Astellas Gene Therapies

Astellas Gene Therapies (vormals Audentes Therapeutics) gehört seit Januar 2020 zur Astellas-Gruppe. Das Unternehmen entwickelt genbasierte Medikamente, die das Potenzial haben, Patient:innen einen anhaltenden Nutzen zu bieten. Audentes Genes Therapies ist mit seinem innovativen wissenschaftlichen Ansatz, internen Produktionskapazitäten und seiner Expertise heute ein Astellas Kompetenzzentrum. Astellas Gene Therapies erforscht verschiedene AAV-basierte Gentherapietechnologien zur Regulation von Genen. Dazu gehören Gensubstitution, Gentherapien zum Exon-Skipping sowie vektorbasierter RNA-Knockdown.

Sie wollen mehr  
über Forschung  
und Innovation bei  
Astellas erfahren?



Weitere Informationen finden Sie auf  
<https://www.astellas.com/de/ueber-astellas/forschung-und-innovation>