



MAGGIO 2025

25 anni di innovazione biotecnologica: Riflettendo su molti successi e prevedendone altri



Linden Thomson,
CFA

Senior Portfolio Manager

Nel 2000 Candriam prese una posizione coraggiosa, lanciando una strategia di investimento all'avanguardia, interamente dedicata al settore emergente della biotecnologia. Negli ultimi due decenni la biotecnologia è diventata un pilastro fondamentale e centrale del settore sanitario. Abbiamo assistito a un'esplosione di scoperte scientifiche e di innovazioni terapeutiche, supportate da una solida ricerca iniziale e da solidi finanziamenti.

Oggi, il settore comprende centinaia di aziende in numerose aree terapeutiche e piattaforme tecnologiche, da aziende focalizzate sulla ricerca e sviluppo ad aziende completamente commercializzate. Gli investimenti di Candriam si sono evoluti di pari passo con questi cambiamenti, anticipando le tendenze e individuando i principali attori che plasmano il futuro della medicina.

La nostra strategia di investimento è implementata da un team di gestione che unisce competenza finanziaria e specializzazione scientifica, con esperienza nella ricerca biotecnologica. Si basa su un'analisi rigorosa e su una conoscenza approfondita del settore e ha generato performance accattivanti sul lungo termine (Figura 1).

25 anni di scoperte scientifiche: Un momento per riflettere sul loro valore

Negli ultimi due decenni si sono verificate scoperte senza precedenti nel settore della biotecnologia, con innovazioni e successi che hanno cambiato la vita e ridefinito l'aspettativa di vita di milioni di pazienti. Mentre celebriamo questa pietra miliare, riflettiamo su alcuni dei principali progressi che hanno reso la biotecnologia indispensabile per la longevità e la qualità della vita odierna.

Questo riconoscimento e questa riflessione sono particolarmente rilevanti oggi, in quanto il settore biofarmaceutico si trova ad affrontare sfide che impattano direttamente le sue fondamenta. Il valore della rigorosa ricerca scientifica, della trasparenza e della revisione paritaria, insieme al desiderio di ampliare la nostra comprensione e cercare prove, è al centro di questo settore guidato dalla scienza.

Questi principi sono alla base di tutto: dalla scienza di base, alla nostra comprensione delle malattie, alla scoperta e allo sviluppo di farmaci di successo, fino al ruolo degli enti regolatori che garantiscono la sicurezza e l'efficacia dei farmaci che entrano nei mercati commerciali. In un mondo in cui questi principi fondamentali rischiano di essere trascurati o messi in discussione, è più che mai fondamentale che vengano rispettati e sostenuti.

La rivoluzione genetica: una tecnologia marchiata Keystone

Negli ultimi 25 anni abbiamo assistito al completamento del Progetto Human Genome, che ha mappato l'intero codice genetico umano: un'impresa internazionale di grandi dimensioni che ha riunito decenni di innovazioni e scoperte scientifiche.

La nostra comprensione delle origini genetiche di molte malattie ha aperto la strada a molti trattamenti rivoluzionari, tra cui oltre 180 farmaci antitumorali approvati dalla FDA che agiscono specificatamente sul difetto genetico sottostante. Sono state finora identificate oltre un milione di malattie aventi un'origine genetica, molte delle quali sono rare e colpiscono solo un numero limitato di pazienti, ma spesso comportano complicazioni gravi e costose.

Inoltre, i rapidi miglioramenti nella tecnologia di sequenziamento hanno ridotto significativamente sia i tempi che i costi del sequenziamento genico. Il Progetto Human Genome è durato 13 anni e costato 2,7 miliardi di dollari¹. Oggigiorno, un genoma può essere sequenziato in un giorno e può venire a costare anche solo 200\$². Ciò ha già avuto e continuerà ad avere un profondo impatto sulla nostra comprensione delle malattie e sul futuro della scoperta di farmaci.

Oncologia: una rivoluzione nelle terapie

In nessun altro ambito la genetica ha avuto un impatto maggiore che nella diagnosi precoce, nel trattamento e nel monitoraggio del cancro. Un tempo dominato interamente dalla chemioterapia tradizionale, il trattamento del cancro si è progressivamente spostato verso terapie che prendono di mira specifiche mutazioni che causano il cancro, nonché verso approcci immuno-oncologici che sfruttano il sistema immunitario del paziente.

Keytruda (pembrolizumab), sviluppato da Merck³, è stato il farmaco più venduto al mondo nel 2024⁴. Approvato per la prima volta negli Stati Uniti nel 2014, agisce su un marcatore presente sulle cellule immunitarie attivando il sistema immunitario affinché riconosca e combatta il cancro. È ora approvato per il trattamento di più di 18 diversi tipi di cancro⁵. Ripensando ad alcune delle prime indicazioni approvate, come il melanoma metastatico, risalenti a oltre un decennio fa, i dati mostrano ora che metà dei pazienti trattati può aspettarsi di vivere almeno dieci anni⁶.

Il mieloma multiplo è un altro esempio di tipo di cancro che ha visto un'importante innovazione che ha portato a notevoli benefici in termini di sopravvivenza. Laddove alla fine degli anni '90 l'aspettativa di vita media dei pazienti era di soli due o tre anni, ora disponiamo di più di 17 terapie mirate approvate per questa malattia, tra cui terapie cellulari all'avanguardia derivate dai pazienti⁷. In molti paesi, tra cui l'Europa, queste misure hanno contribuito a prolungare la sopravvivenza a più di otto anni.

Dal 1991, la mortalità per cancro è diminuita del 34%⁸, grazie soprattutto alla diagnosi precoce e ai notevoli progressi nelle cure. Tuttavia, con l'aumento dell'aspettativa di vita della popolazione generale, aumenta anche la probabilità di sviluppare un cancro; oggi, il rischio nel corso della vita è stimato intorno al 40%⁹. Il cancro rimane una delle principali cause di morte a livello mondiale e continua a essere al centro degli investimenti in ricerca e sviluppo nel settore sanitario.

1 - Fonte: [Il costo del sequenziamento del genoma umano](#)

2 - Fonte: Candriam

3 - Titoli non presenti in portafoglio

4 - Fonte: [110 farmaci più venduti del 2024 incassano miliardi tra le minacce di esclusività - BioSpace](#)

5 - Fonte: Etichetta del prodotto Keytruda

6 - Fonte: ESMO 2024

7 - Fonte: <https://www.myeloma.org/multiple-myeloma-drugs>

8 - Fonte: Centro nazionale per le statistiche sanitarie (NCHS), Centri per il controllo e la prevenzione delle malattie, 2022

9 - Fonti: Istituto Nazionale di Sanità (NIH), Organizzazione Mondiale della Sanità (OMS)

Obesità: una svolta storica

L'aumento dell'obesità e il suo impatto sulla morbilità e mortalità della popolazione a partire dagli anni '80 è diventato una delle sfide più importanti per la salute pubblica a livello globale. Tuttavia, grazie soprattutto all'innovazione biofarmaceutica, per la prima volta stiamo iniziando a vedere un calo nei tassi di obesità negli Stati Uniti, il mercato in cui i nuovi farmaci anti-obesità sono disponibili su larga scala da più tempo.

Ampi e completi studi clinici condotti in tutto il settore hanno dimostrato che questi agenti dimagranti approvati offrono ulteriori e sostanziali benefici per la salute e dimostrano un collegamento tra l'obesità e molte altre condizioni croniche. È stato dimostrato che riducono significativamente il rischio di eventi cardiovascolari, come gli infarti, rallentano la progressione della malattia renale cronica, proteggono il fegato dalle malattie metaboliche del fegato e attenuano la gravità dell'apnea notturna ostruttiva. Entro la fine dell'anno prevediamo di avere dati relativi all'impatto di

questi farmaci sulla malattia di Alzheimer.

Sebbene il collegamento tra obesità e cancro possa sembrare intuitivo, alcuni dei primi dati che dimostrano che la perdita di peso può ridurre l'incidenza dei tumori correlati all'obesità sono stati presentati da diversi ricercatori indipendenti al congresso annuale dell'American Society of Clinical Oncology (ASCO) dello scorso anno. Secondo l'American Cancer Society, l'8% dei casi di cancro negli adulti statunitensi è attribuibile al sovrappeso. Alla conferenza ASCO, i dati hanno dimostrato che i pazienti sottoposti a terapia con GLP1 avevano un rischio inferiore del 39% di sviluppare un cancro rispetto a quelli che non avevano ricevuto alcun intervento.

Queste nuove terapie, supportate da approfondite ricerche, hanno il potenziale di rimodellare la salute pubblica andando oltre la semplice perdita di peso e probabilmente ridurranno anche la spesa sanitaria totale nel lungo termine.

Virologia: Enormi progressi negli ultimi 25 anni

Anche la virologia ha ottenuto negli anni successi ampiamente riconosciuti. Ciò include il trattamento dell'AIDS, il controllo a lungo termine dell'HIV (e ora la prevenzione), nonché terapie curative per l'infezione cronica da epatite C. Forse meno noto, l'introduzione del vaccino contro il papilloma virus umano (HPV) ha avuto un profondo impatto sulla prevenzione del cancro cervicale. Uno studio pubblicato sulla rivista Lancet nel 2021 ha segnalato una sostanziale riduzione dell'incidenza del cancro

cervicale tra le giovani donne a seguito dell'introduzione del programma di vaccinazione contro l'HPV in Inghilterra. I risultati suggeriscono che il programma ha quasi eliminato il cancro cervicale nelle donne nate dal 1° settembre 1995¹⁰.

Dopo l'approvazione dei primi antivirali ad azione diretta con alti tassi di guarigione, il governo del Regno Unito si è impegnato a eliminare l'epatite C entro il 2030. Queste terapie innovative offrono tassi di guarigione superiori al 90% in meno di tre

¹⁰ - Lancet, Falcaro et al 2021 Vol 398 p 2084

mesi¹¹. Secondo l'ultimo aggiornamento del governo del Regno Unito (marzo 2025), il numero di persone affette da epatite C cronica in Inghilterra è diminuito del 56,7% tra il 2015 (quando il Regno Unito ha iniziato a rimborsare il Sovaldi) e il 2023.

Uno studio del 2023 pubblicato su *The Lancet HIV*² ha riportato che l'aspettativa di vita delle persone affette da HIV sottoposte a terapia antiretrovirale (ART) è aumentata notevolmente negli ultimi 25 anni. Nei primi anni '80, quando fu scoperto l'AIDS, l'aspettativa di vita era di appena uno o due anni. Oggi, per i pazienti diagnosticati precocemente e

sottoposti a terapia antiretrovirale, l'aspettativa di vita è solo leggermente inferiore a quella della popolazione generale. Nel corso del tempo, l'efficacia del trattamento è migliorata e anche il profilo degli effetti collaterali è notevolmente migliorato. Ora siamo in attesa dell'approvazione normativa statunitense per un'iniezione semestrale per prevenire l'infezione da HIV.

Questi successi dimostrano la capacità della biotecnologia di trasformare malattie precedentemente incurabili in condizioni gestibili a lungo termine.

Pandemia di covid-19: Mobilitazione e reattività senza precedenti

Un caso di successo antivirale attualmente più controverso, ma che riteniamo importante sottolineare, è la straordinaria agilità dimostrata dal settore biofarmaceutico nel rispondere efficacemente all'emergenza sanitaria COVID-19. Questo periodo ha evidenziato il ruolo decisivo della biotecnologia e della ricerca clinica nell'affrontare rapidamente e su larga scala le sfide globali della salute pubblica.

Ci sono voluti 63 giorni dal ricevimento della sequenza genetica iniziale del virus affinché Moderna¹³ e l'NIH¹⁴ avviassero i test clinici sull'uomo di un vaccino basato sull'mRNA. In meno di un anno, questi vaccini hanno ricevuto l'approvazione con dati di efficacia che hanno superato le aspettative. Un articolo del 2022 di *The Lancet Infectious Diseases*¹⁵ ha stimato che nel primo anno di disponibilità del vaccino sono stati prevenuti oltre 14 milioni di decessi, modificando sostanzialmente il corso della pandemia.

11 - Fonte: Etichetta del farmaco Sovaldi

12 - Trickey et al, Vol 10 p E295

13 - Titoli in portafoglio

14 - Istituti nazionali di sanità con sede negli Stati Uniti e finanziati prevalentemente dal governo statunitense

15 - Fonte: *The Lancet Infectious Diseases*, Watson et al, Vol 22, p 1293

Guardando al futuro: I prossimi 25 anni

Se gli ultimi 25 anni hanno portato profonde trasformazioni, gli anni a venire promettono scoperte che potrebbero rivelarsi altrettanto rivoluzionarie. La proposta di valore a lungo termine della biotecnologia rimane intatta. L'industria biotecnologica esiste per migliorare i risultati clinici dei pazienti, una missione che è intrinsecamente allineata sia con l'impatto etico che con il successo commerciale. Candriam continua ad impegnarsi nell'individuazione delle tecnologie, della scienza e delle esigenze dei pazienti che plasmeranno la medicina di domani, integrandole nella nostra strategia di investimento.

Oggi, la maggior parte dei farmaci più venduti al mondo sono prodotti biotecnologici¹⁶, a testimonianza del ruolo centrale del settore nel rimodellare il panorama medico. Il settore biotecnologico, sostenuto da una capitalizzazione di mercato di 1.300 miliardi di dollari,¹⁷ rimane solido in termini di finanziamenti e innovazione scientifica. È inoltre destinato a diventare uno dei settori più positivamente trasformati dall'applicazione dell'intelligenza artificiale.

Parallelamente, i continui progressi nella genomica e nell'integrazione di data stanno aprendo la strada a una medicina veramente personalizzata, vale a dire trattamenti pensati su misura per i singoli pazienti a livello molecolare. Le innovazioni nella biologia sintetica e le terapie geniche e cellulari di nuova generazione stanno ampliando i confini di ciò che la medicina può realizzare, offrendo potenzialità curative per malattie che in precedenza erano incurabili.

Sarà inoltre da tenere d'occhio il contributo che paesi al di fuori degli Stati Uniti, in particolare la Cina, daranno al futuro del settore biotecnologico. Inoltre, riteniamo che sia inevitabile che la crescente attenzione rivolta al prezzo dei farmaci e un più ampio accesso ai medicinali spingeranno le aziende a rendere queste priorità parte integrante delle loro strategie di sostenibilità.

Spesso ci viene chiesto su cosa stiamo concentrando la nostra attenzione dal punto di vista terapeutico: ecco tre ambiti che stiamo monitorando attentamente, tra i tanti!

Neurologia e sistema nervoso centrale: Un nuovo orizzonte

Proprio come è accaduto con l'oncologia 20 anni fa, i progressi nella nostra comprensione del funzionamento del cervello e del ruolo svolto dalla genetica stanno aprendo la strada a trattamenti innovativi per un'ampia gamma di disturbi neurologici. Cobenfy, approvato negli Stati Uniti lo scorso anno, è stato il primo agente in 50 anni ad offrire un nuovo meccanismo d'azione per la schizofrenia. Allo stesso modo, sono stati approvati nuovi farmaci per la malattia di Alzheimer, anche se non hanno ancora ottenuto il successo commerciale che molti avevano previsto. Strumenti diagnostici promettenti basati

¹⁶ - Fonte: Candriam

¹⁷- Fonte: Indice di biotecnologia NASDAQ, marzo 2025

sul sangue potrebbero essere prossimi all'approvazione, consentendo potenzialmente una diagnosi più precoce e accessibile delle patologie neurodegenerative.

Nei prossimi anni ci aspettiamo di vedere dati importanti in più aree: nel morbo di Parkinson, ulteriori trattamenti per l'Alzheimer basati su nuovi meccanismi d'azione, sperimentazioni in fase avanzata che indagano gli psichedelici per la depressione, nonché nuove terapie per la sindrome di Angelman. La ricerca sta procedendo sui farmaci per le forme comuni e rare di epilessia, nonché su nuove opzioni per la narcolessia, il morbo di Huntington e molte altre. Nel 2023, la neurologia è stata seconda solo all'oncologia come area terapeutica che ha generato la maggior parte delle attività di M&A nel settore biofarmaceutico¹⁸.

Cardiometabolismo e obesità: una rivoluzione in divenire

Come già sottolineato in precedenza, l'obesità e le malattie metaboliche interconnesse rappresentano una crisi di sanità pubblica e siamo solo nelle prime fasi dell'intervento con le nuove terapie anti-obesità. Ci aspettiamo che i farmaci per il trattamento delle malattie metaboliche che interessano cuore, fegato e reni continueranno a progredire e a rimodellare il campo delle malattie cardiometaboliche.

Allergie: una sfida crescente

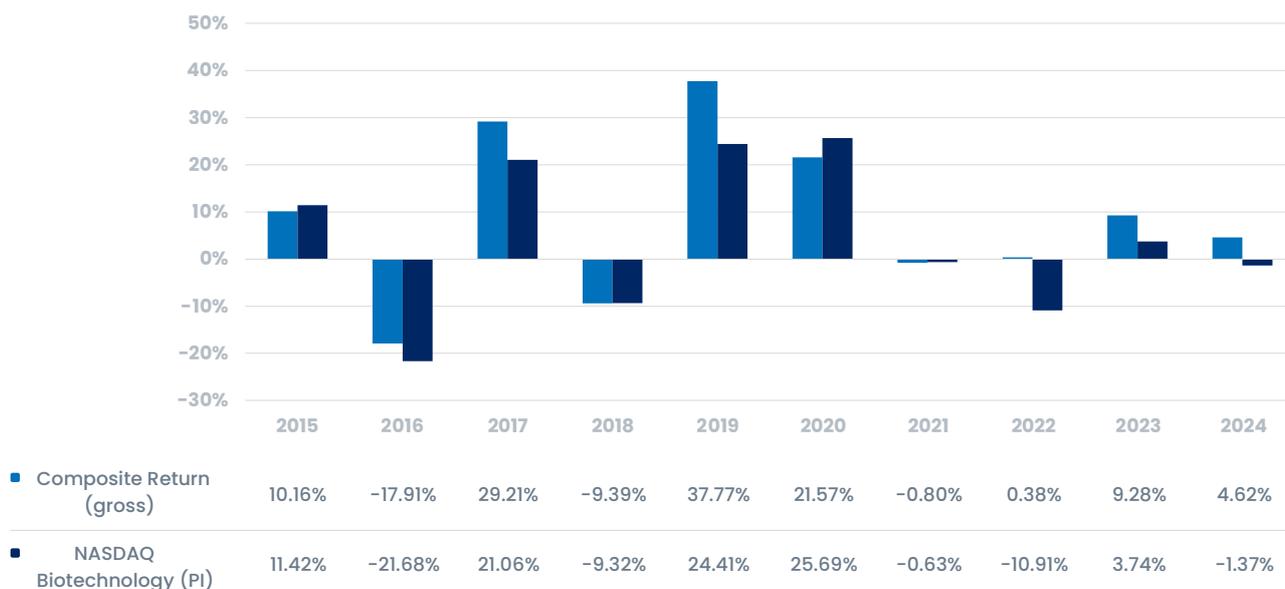
L'aumento delle allergie e delle malattie infiammatorie nel mondo occidentale si sta scontrando con una comprensione più approfondita dei meccanismi sottostanti, rendendo questo un settore di innovazione sempre più importante nell'ambito della biotecnologia. Abbiamo già riscontrato un notevole successo con prodotti come Dupixent, approvato per una serie di patologie, tra cui la dermatite atopica, l'asma, l'esofagite eosinofila e la broncopneumopatia cronica ostruttiva (BPCO). Anche se queste malattie possono sembrare indipendenti, condividono percorsi biologici comuni.

Finora i progressi nel trattamento delle allergie più comuni sono stati limitati, lasciando aperte notevoli opportunità di innovazione. A nostro avviso, questo rappresenta un ambito fertile per un impatto a lungo termine.

La prova del tempo

Da 25 anni la nostra strategia di investimento nel settore biotecnologico si basa su un'analisi approfondita delle tendenze scientifiche e delle innovazioni rivoluzionarie, con l'obiettivo di cogliere le opportunità di investimento più interessanti nel settore biotecnologico. L'evoluzione naturale del nostro team e delle sue competenze collettive riflette questa mentalità lungimirante, garantendo la continuità di un approccio rigoroso e dinamico. Questa coerenza è stata un pilastro della performance della strategia sin dall'inizio.

Figure 1:
Una strategia a lungo termine



La performance passata non costituisce una garanzia per i risultati futuri e non è costante nel tempo.
Fonte: Candriam dicembre 2024

Mentre la biotecnologia continua a rimodellare il futuro della medicina, noi restiamo impegnati più che mai a restare all'avanguardia. Supportare l'innovazione, migliorare la vita e offrire valore a lungo termine ai nostri investitori.



Tutti gli investimenti nella nostra strategia biotecnologica comportano dei rischi. I principali rischi associati all'investimento nella strategia sono:

- **Rischio di perdita di capitale**
- **Rischio di liquidità**
- **Rischio di sostenibilità**
- **Rischio azionario**
- **Rischio di concentrazione**
- **Rischio di investimento ESG**
- **Rischio di valuta**
- **Rischio legato a derivati**

I rischi elencati non sono esaustivi e ulteriori dettagli sui rischi associati all'investimento nella strategia sono disponibili nei documenti normativi.

La presente comunicazione di marketing viene fornita a scopo esclusivamente informativo. Essa non costituisce un'offerta di acquisto o vendita di strumenti finanziari né rappresenta una raccomandazione di investimento o conferma alcun tipo di transazione, eccetto laddove espressamente concordato. Sebbene Candriam selezioni attentamente i dati e le fonti dei propri documenti, errori e omissioni non possono essere esclusi a priori. Candriam non può essere considerata responsabile per eventuali danni diretti o indiretti derivanti dall'uso del presente documento. I diritti di proprietà intellettuale di Candriam devono essere sempre rispettati e il contenuto del presente documento non può essere riprodotto senza previa approvazione scritta. Candriam consiglia vivamente agli investitori di consultare, tramite il nostro sito web www.candriam.com, il documento "informazioni chiave per gli investitori", il prospetto e tutte le altre informazioni pertinenti, inclusi i NAV del fondo, prima di investire in uno dei nostri fondi, in quanto, oltre alla commissione di gestione, possono essere applicate commissioni e spese aggiuntive. Questi documenti sono disponibili in inglese o nelle lingue locali per ogni paese in cui è consentita la commercializzazione del fondo.

Attenzione - i risultati passati di uno strumento finanziario o indice, o di un servizio o di una strategia di investimento, ovvero le simulazioni di risultati passati, o le previsioni di risultati futuri non costituiscono indicatori affidabili dei risultati futuri. Le performance lorde possono subire l'impatto di commissioni, competenze ed altri oneri. Le performance espresse in una valuta diversa da quella del paese di residenza dell'investitore sono soggette alle fluttuazioni del tasso di cambio, con un impatto negativo o positivo sui guadagni. Nel caso in cui il presente documento si riferisse ad un trattamento fiscale specifico, tali informazioni dipenderebbero dalla singola situazione di ciascun investitore e potrebbero subire variazioni. Per quanto riguarda i fondi del mercato monetario, si ricorda che un investimento in un fondo è diverso da un investimento in depositi e che il capitale dell'investimento può essere soggetto a fluttuazioni. Il fondo non si affida a un supporto esterno per garantire la propria liquidità o stabilizzare il proprio NAV per quota o azione. Il rischio di perdita del capitale è a carico dell'investitore.