



THE SCIENCE *of* POSSIBILITY

**6. Int. Tag der Seltenen Krankheiten**

***“Den ersten Schritt wagen”***

***Public Private Partnership bei der  
Entwicklung transformativer Therapien***

**Reto Kessler, PhD**

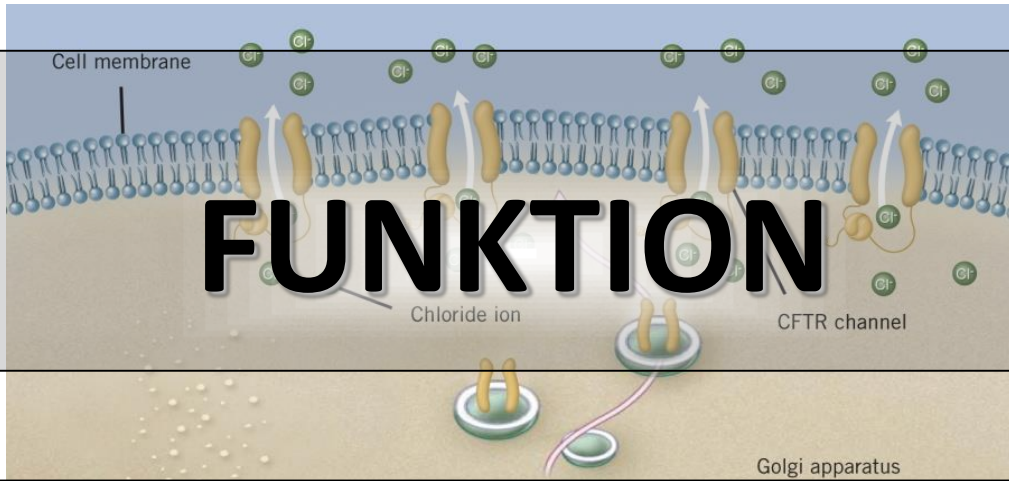
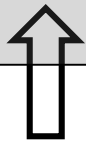
**Country Manager, Vertex Pharmaceuticals (CH) GmbH**

**27. Februar, 2016**

©2015 Vertex Pharmaceuticals Incorporated

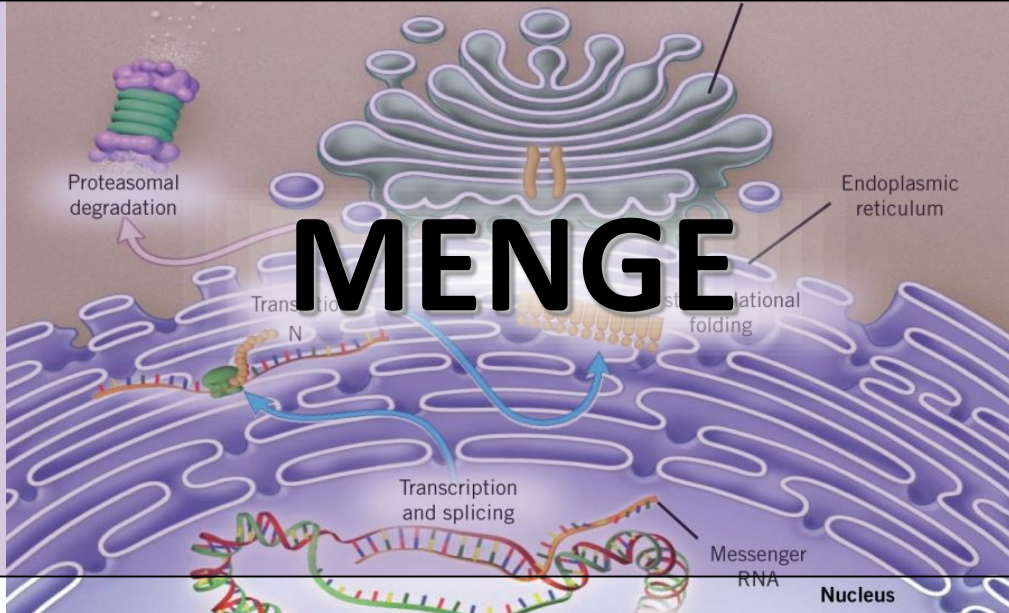
# Mutationen im CFTR Gen können zu reduzierter Proteinmenge und/oder -funktion führen<sup>1</sup>

**FUNKTION**



**Fehlerhafte Kanalfunktion;  
reduzierter Ionen-transport**

**VERARBEITUNG /  
TRANSPORT**



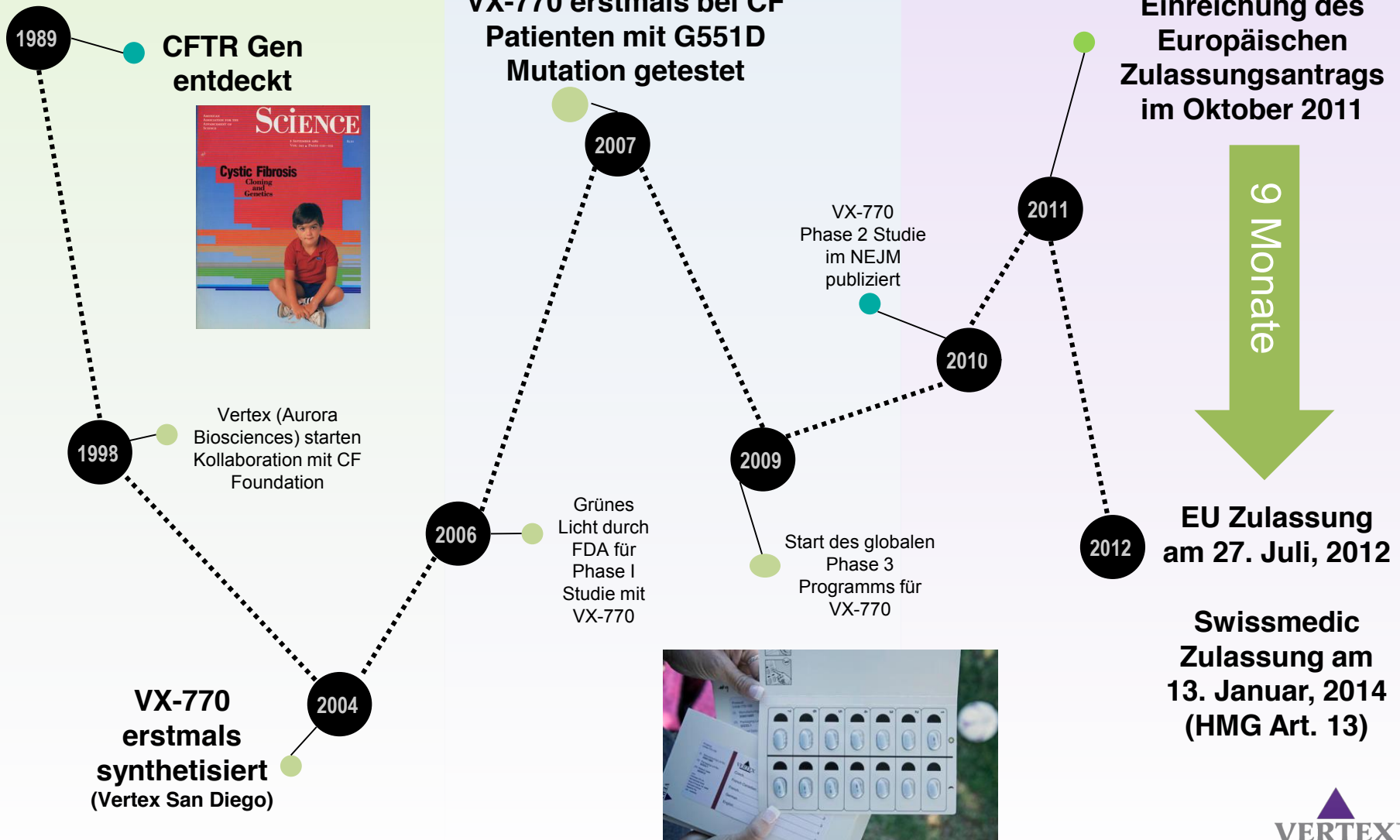
**Fehlerhafte Proteinfaltung;  
Abbau**

**Unvollständige Proteine;  
geringere Menge**

1. Lukacs GL et al. *N Engl J Med.* 2003;349:1401-1404.

CFTR: Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator; CF transmembranärer Chlorid Ionenkanal

# 23 Jahre von der Entdeckung des CFTR Gens bis zum ersten gezielten Medikament für den Patienten!



# Erfolg wird möglich durch Partnerschaft und Kollaboration

*...mit Firmen*



*...mit Patientenorganisationen*



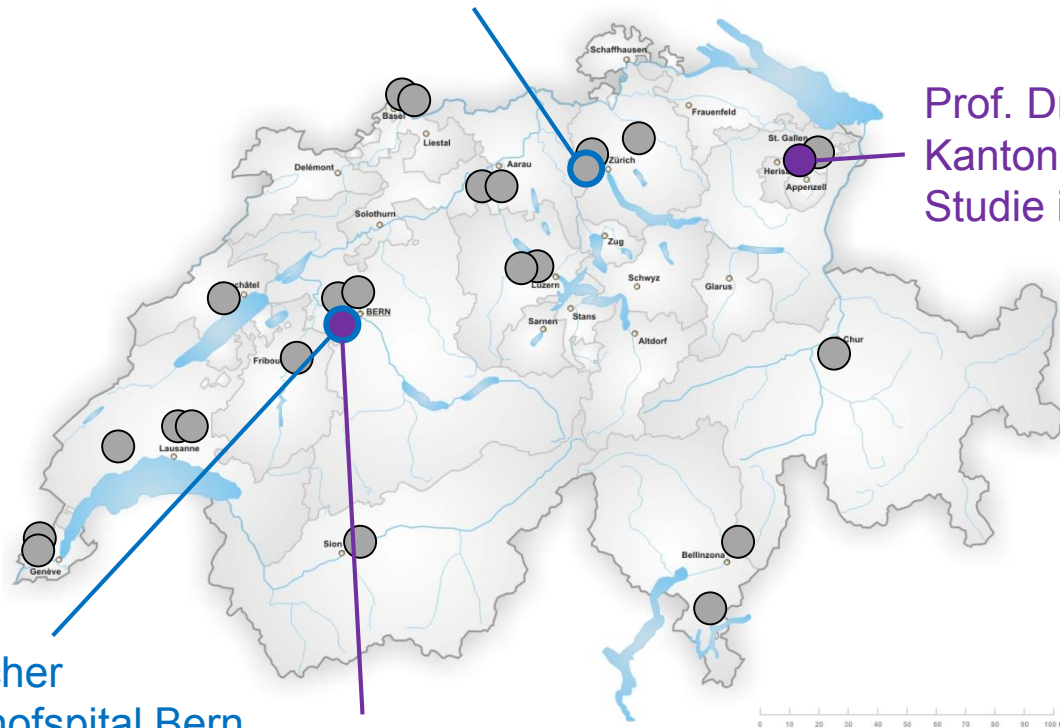
*...mit der Akademie*



# Erfolgreiche Kollaboration mit CF Referenzzentren in der Schweiz

PD Dr. Möller  
Kinderspital Zürich  
Studie läuft

Prof. Dr. Schoch  
Kantonsspital St. Gallen  
Studie in Startphase



Dr. Fischer  
Lindenhofspital Bern  
Studie läuft




Dr. Fischer  
Lindenhofspital Bern  
Studie in Startphase

○ VX14-661-106  
● VX14-661-108



# Unser Ziel: Stetig mehr CF Betroffenen neue und weiter optimierte Therapieoptionen zur Verfügung stellen

Estimates of potential addressable populations ages 6 and older in North America, Europe and Australia over time

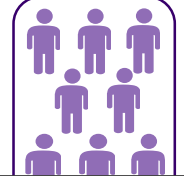
-  Ivacaftor
-  Lumacaftor + Ivacaftor
-  Zwei- oder dreifach Kombination

F508del  
Homozygot  
Alter 6-11J

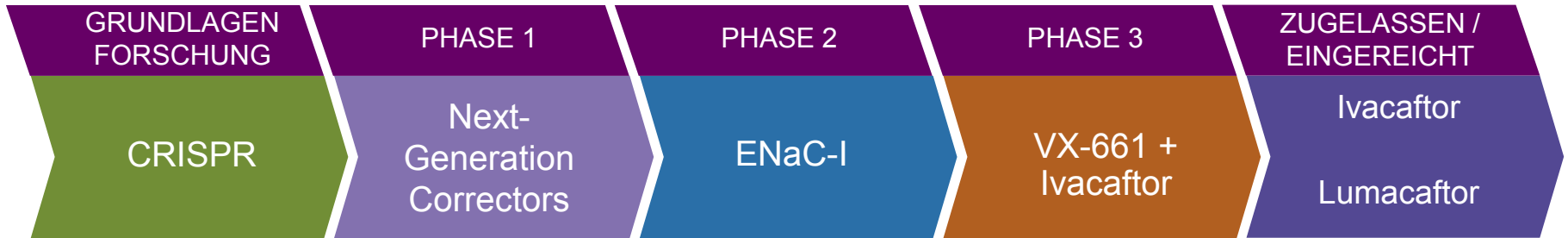
F508del/  
minimal Funktion



Grosse  
Mehrheit aller  
CF Patienten



## CF Pipeline

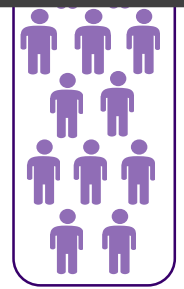


Zugelassen oder eingereicht

R117H & Peds



Klinische Studien



Vertex  
Regime

en

Adres

# Für die besten Lösungen braucht es alle Köpfe

**Verfügbarkeit von zuverlässigen Informationen, um kompetente Entscheide zu ermöglichen**

Familien/  
Pflege

Patienten

Lehre und  
Forschung

Akademische  
Labors

**Nachhaltige Finanzierung der Grundlagenforschung und der Ausbildung von Naturwissenschaftlern und Ärzten**

Patient  
Organi-  
sation

**Entwicklung neuer, transformativer Therapien**

Spitäler

Gesund-  
heits  
Dienst-  
leister

**Schneller, zuverlässiger gemeinschaftlicher**

Swissmedic  
/  
Regulator

**Beschleunigte Zulassung und rascher, fairer Zugang zu innovativen Medikamenten**

Biotech

Politik

**Kostenübernahme, um zukünftige Investitionen zu gewährleisten**

Pharma

Krankenver-  
sicherer

Investoren