

Karen Aiach zu Hause mit ihrer Tochter. Nachdem bei Ornella die seltene Stoffwechselkrankheit Sanfilippo A diagnostiziert wurde, gründete Aiach ein Start-up, das an einer Therapie gegen das tödliche Leiden forscht



Das Tochter-Unternehmen

Im Jahr 2005 erfuhr Karen Aiach, dass ihre Tochter einen tödlichen Gendefekt hat. Daraufhin gründete sie die Biotechfirma Lysogene – um ihr Kind zu retten

**TEXT: LEO KLIMM
FOTOS: STEPHANIE FÜSSENICH**

Als der Wettlauf mit dem Tod beginnt, ist Ornella wenige Monate alt. Die Diagnose lautet: Sanfilippo-Syndrom, Typ A. Ihr Baby, erklären die Ärzte Ornellas niedergeschmetterten Eltern, werde sich bis zum Alter von etwa zwei Jahren wie ein gesundes Kind entwickeln. Dann aber werde es sehr schnell alles wieder verlernen. Das Sprechen, das Laufen, die Orientierung im Raum; Ornella werde taub werden, schlaflos, hyperaktiv. Die Lebenserwartung von Kindern mit dieser seltenen Krankheit betrage 15 Jahre.

Das war 2005. Heute ist Ornella elf. Sie sitzt in einem Rollstuhl, der Kopf wird von einer Lehne gestützt. Ornella starrt an die Wohnzimmerwand der Villa nahe Paris, in der sie mit ihrer Familie lebt. Neben ihr sitzt ihre Mutter, Karen Aiach. Sie streichelt die Hand des Mädchens und ruft ihm Kosenamen zu. „Bibi, Bibi!“ Es ist nicht klar, was bei Ornella ankommt. Das Kind deutet ein Lächeln an. „Sie ist stabil“, sagt die Mutter. „Sie spürt die Gefühle der anderen und kann ihre eigenen Gefühle zeigen.“ Ornella sei nicht mehr so zappelig wie früher, nachts schlafe sie durch. Gut sei nichts, nein. Aber es gehe besser. Zu verdanken ist das einem Eingriff, der 2011 an Ornellas Gehirn vorgenommen wurde.

Die Operation wäre nicht möglich gewesen, hätte Karen Aiach nicht ein Unternehmen gegründet: Lysogene. Die Biotechfirma entwickelt Gentherapien zur Heilung von Sanfilippo A und anderen Erkrankungen

des zentralen Nervensystems. Aiach hat Lysogene gegründet, um Ornella zu retten, die ältere ihrer zwei Töchter. Zugleich hat sie eines der vielversprechendsten Start-ups geschaffen auf dem Gebiet neurodegenerativer Pathologien, zu denen auch Volkskrankheiten wie Alzheimer oder Parkinson gehören. „Wir haben den Ehrgeiz, so viele neurodegenerative Krankheiten wie möglich zu heilen“, sagt die Unternehmerin.

Karen Aiach, 44, hatte sich ihr Leben anders vorgestellt. Mit ihrem Mann wollte sie zwei oder drei Kinder haben, als Unternehmensberaterin gut verdienen, im grünen Westen von Paris ein ruhiges Familienleben führen. Banale Träume vom Glück. Dann kam der „Fluch“, wie Aiach es nennt. „Die Krankheit ist eine Prüfung für die ganze Familie“, sagt sie – nicht im Klage-ton, sondern mit beinahe befremdlicher Nüchternheit. Es ist dieselbe Nüchternheit, mit der sie aus dem Leiden ihrer Tochter ein Geschäft gemacht hat.

UNTERNEHMEN STATT VEREIN

Als die Diagnose kam, erklärten alle Sanfilippo-Spezialisten, die sie aufsuchte, eine Therapie werde es frühestens in 20 Jahren geben. Wenn überhaupt. „Das konnte ich nicht hinnehmen. Ich hatte keine 20 Jahre, ich musste das Leben meiner Tochter retten“, erzählt sie. „Mir wurde ziemlich schnell klar, dass ich selbst entwickeln musste, was es noch nicht gab.“ →



Aiach hatte keine Ahnung von Medizin. Sie war Beraterin, Spezialgebiet: Bankenregulierung. Üblicherweise schließen Eltern schwer kranker Kinder sich zu einem Verein zusammen, um Aufmerksamkeit zu erlangen und Geld für die Bekämpfung des Leidens einzuwerben. Sie entschied sich gegen diesen Weg. Und für die Gründung eines Unternehmens. Davon hatte sie Ahnung.

Sie wusste, dass die Suche nach einer Therapie für Ornella viele Millionen kosten würde. „Um sich dieses Geld zu beschaffen, war eine kapitalistische Struktur nötig“, sagt Aiach. Sie nimmt die Pharmabranche, wie sie ist. „Medikamente werden entwickelt, weil damit Geld verdient werden kann“, sagt sie. Also verspricht sie ihren Investoren Rendite. Die zu erzielen aber ist schwierig, denn seltene Krankheiten bringen es mit sich, dass die Forschung teuer ist, der Markt jedoch klein.

An Sanfilippo A, im Medizinerjargon auch MPS IIIA genannt, leiden Schätzungen zufolge weltweit 3 000 bis 4 000 Kinder. In Frankreich sind es etwa 100, in Deutschland ebenso viele. Nach Angaben der US-Patientenorganisation Global Genes sind bisher rund 7 000 seltene Krankheiten bekannt – an denen insgesamt 350 Millionen Menschen leiden. Nur für 500 der Krankheiten gebe es bereits eine Behandlungsmöglichkeit.

ERFOLGE IM REKORDTEMPO

Aiachs Firma Lysogene hat sich auf neurodegenerative Schäden spezialisiert – ein Gebiet, auf dem der Mangel besonders groß ist. Neben einer Therapie für Sanfilippo A suchen die Wissenschaftler von Lysogene ein Mittel gegen Landig, ein anderes seltenes Leiden, das Kinder früh sterben lässt.

Anfangs steckten Karen Aiach und ihr Mann all ihre Ersparnisse in die Firma, etwa 200 000 Euro. Das reichte bei Weitem nicht. Aber Aiach war den Umgang mit Finanzleuten gewohnt. Und so überzeug-

te sie über die Jahre eine Reihe von Risikokapitalgebern von Lysogenes kommerziellem Potenzial: In zwei Finanzierungsrunden hat sie insgesamt 20,5 Mio. Euro eingesammelt – bei Fonds, Förderbanken und Beteiligungsfirmen. Die Geldgeber loben Aiachs Entschlossenheit: „In weniger als fünf Jahren hat sie vollbracht, was keine andere Biotechfirma geschafft hat“, sagt Rafaële Tordjman, Managing Partner bei Sofinnova, einem der Geldgeber. „Sie hat die weltweit ersten experimentellen Studien bei einer seltenen Krankheit am Gehirn durchführen lassen.“

ELTERN-INITIATIVE

Für Tausende Leiden gibt es keine Behandlung. Immer häufiger versuchen sich deshalb Eltern kranker Kinder selbst als Biotechunternehmer. Voraussetzung: Startkapital und gute Kontakte. Drei Beispiele

JOHN CROWLEY

war Manager bei einem US-Pharmakonzern, als bei zweien seiner Kinder Morbus Pompe festgestellt wurde. Die seltene Erbkrankheit greift die Muskulatur an. Crowley gründete das Start-up Novazyme und entwickelte binnen vier Jahren eine Therapie. 2001 wurde die Firma für 137 Mio. Dollar verkauft.

ILAN GANOT

war Fondsverwalter bei JP Morgan, bevor er 2012 Solid Biosciences ins Leben rief. Die US-Firma forscht nach einem Mittel gegen die tödliche Muskeldystrophie Duchenne, an der sein Sohn leidet. Er unterhält eine Partnerschaft mit Pfizer, für 2017 peilt er erste klinische Studien an.

MATT WILSEY

hat eine Tochter mit dem Gendefekt NGLY1, der unter anderem zu Nervenschäden führt. Wilsey arbeitete für das Weiße Haus und hat Erfahrung als Entrepreneur. Dennoch setzte er anfangs auf eine Stiftung, um eine Therapie zu entwickeln. Um aber mehr Geld von Investoren zu bekommen, gründet er nun auch ein gewinnorientiertes Unternehmen.

Es war der Versuch an Aiachs eigener Tochter, an dem auch drei weitere Sanfilippo-Kinder teilnahmen. Der Erfolg des Tests war relativ: Ein Kind wies ein Jahr lang eine verbesserte Wahrnehmung auf, dann verschlechterte sich sein Zustand wieder. Die anderen legten zumindest ihre ständige Unruhe ab.

Ursache des Syndroms ist ein Gendefekt bei der Gehirnsteuerung, der dazu führt, dass dem Körper ein bestimmtes Enzym zum Abbau von Zuckermolekülen fehlt. Die Therapie von Lysogene setzt direkt im Gehirn an: In einer Operation führen Chirurgen mithilfe eines präparierten Virus ein gesundes Gen ein, das das fehlende Enzym produzieren soll. Es geht nicht um Symptombehandlung, sondern um Reparatur. Das ist Karen Aiachs Wette: dass Lysogene ein bahnbrechender Fortschritt zur Heilung neurodegenerativer Leiden gelingt. Mit einer Methode, die irgendwann auch bei Alzheimer oder Parkinson helfen könnte.

Der Versuch an Ornella hat nur mäßig gut funktioniert. Wohl auch, weil sie mit damals sechs Jahren eigentlich schon zu alt war für die Therapie. Karen Aiach wollte es trotzdem versuchen. Nicht um Gott zu spielen, sondern um als Mutter alles Menschenmögliche für ihr Kind zu tun. Und es ging ihr auch darum, das eigene Leben erträglicher zu machen. „Wir haben sechs Jahre lang kaum geschlafen. Es waren fürchterliche Jahre. Sie schrie, zappelte, machte alles kaputt.“ Wieder beißt sich die Dramatik ihrer Worte merkwürdig mit der Regungslosigkeit, mit der sie sie ausspricht. Aber ihre Augen verraten Traurigkeit.

Mehr als einmal hat Aiach den Vorwurf gehört, sie wolle sich mit Lysogene am Unglück ihrer Tochter bereichern. „Das ist verletzend“, sagt sie. „Hätte ich vor allem Gewinn machen wollen, hätte ich mir was anderes gesucht. Ich werde nicht vor 2020 Geld verdienen.“ Dann, so der Businessplan, wird Lysogene eine Gentherapie auf den Markt bringen.

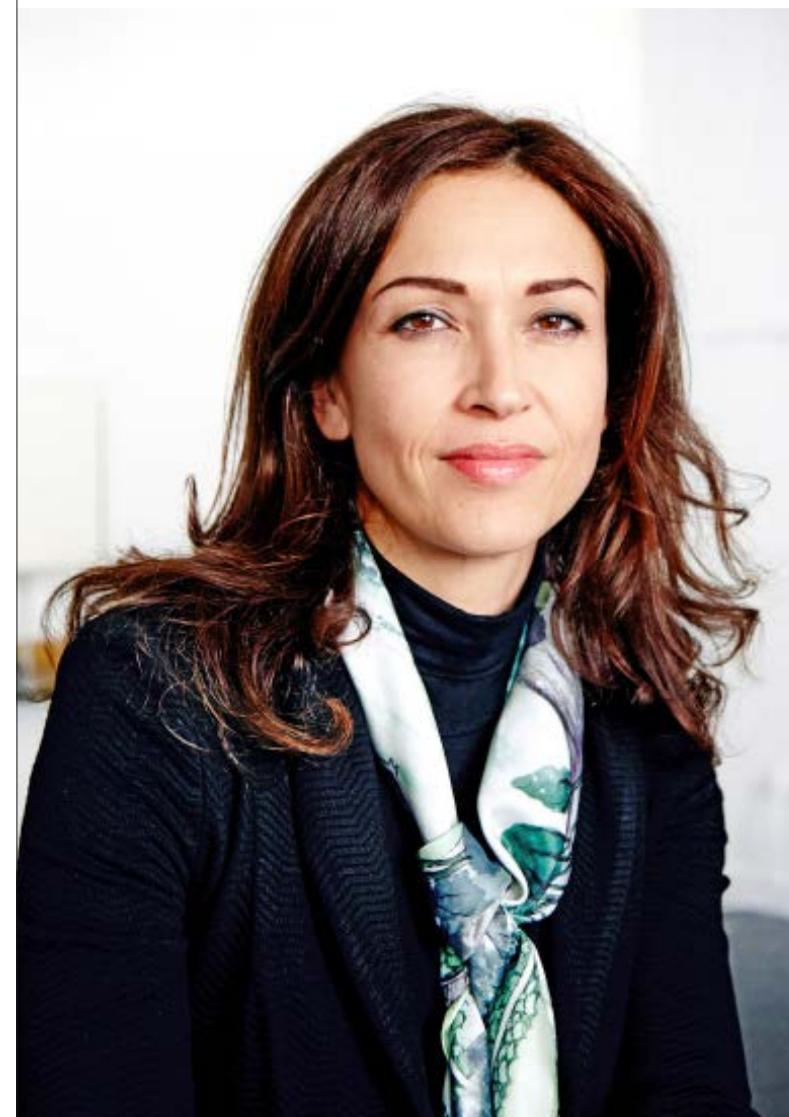
Dass sich eine Pharmafirma per definitionem im moralischen Spannungsfeld zwischen Gewinnstreben und Patientenhilfe bewegt, dazu steht Aiach: „Ich verfolge ein kapitalistisches Modell, keinen philanthropischen Ansatz. Aber genau das erlaubt es uns voranzukommen.“

KEIN RAUM FÜR EMOTIONEN

Wenn sich Karen Aiach in ihrer Firma aufhält, ist sie nicht mehr die liebende, aufopferungsvolle Mutter. Dann ist sie nur Unternehmenslenkerin. Eine elegante Geschäftsfrau auf zehn Zentimeter hohen High Heels der Marke Christian Louboutin, die ihren Mitarbeitern freundlich, aber bestimmt Arbeitsanweisungen gibt.

Als ob sie den Kontrast zur von warmen Farben geprägten Ornella-Welt zu Hause betonen wollte, hat sie die Büroräume im Pariser Vorort Neuilly auffallend nüchtern gehalten. Alle Wände sind kahl und weiß, die Räume, in denen ihre zehn Mitarbeiter sitzen, steril. Auch in Aiachs Chefbüro, dem größten Zimmer, fehlen persönliche Gegenstände. Nichts erinnert hier an Ornella. „Mit Geschäftspartnern und Investoren spreche ich kaum über meine Geschichte“, sagt Aiach. Pharmaprofis wollten keine rührenden Storys von ihr hören. Im Gegenteil, sie wollten sichergehen, dass sie trotz persönlicher Betroffenheit das Unternehmen gut führen kann.

Was Aiach bisher vorzuweisen hat, spricht dafür: Mit Novo Seeds, einer Beteiligungsfirma des dänischen Pharmakonzerns Novo Nordisk, ist es ihr gelungen, ein Schwergewicht der Branche in den Lysogene-Eigenkreis zu holen. Für die Laborentwicklung und die Patientenstudien konnte sie in den USA und in Europa Partnerschaften mit namhaften Kliniken schließen – darunter das Universitätsklinikum Hamburg-Eppendorf. Weltweit arbeiten gut 150 Forscher an der Lysogene-Gentherapie. →



Karen Aiach arbeitete als Beraterin in der Finanzbranche, bevor sie das Biotech-Start-up Lysogene gründete

3 000 bis 4 000
Kinder leiden Schätzungen
zufolge weltweit an
der Krankheit Sanfilippo A –
davon jeweils etwa 100 in
Frankreich und Deutschland



Ornella mit ihrer Betreuerin zu Hause. Die Lebenserwartung von Sanfilippo-Patienten beträgt 15 Jahre. Ornella ist heute elf

1 Mio. Euro zahlen Patienten für die Genkur Glybera – pro Spritze

Kürzlich hat nach der europäischen auch die US-Arzneimittelaufsicht Aiachs Therapieansatz einen Status zuerkannt, der Lysogene für mindestens sieben Jahre exklusiven Marktzugang garantiert, sobald der Verkauf des Mittels startet. Das bedeutet, dass die Behörden die medizinische Wirkungswahrscheinlichkeit der Therapie anerkennen.

Richtig stolz ist Karen Aiach auf einen Termin im Juni: Obwohl sie keine Medizinerin ist, wird sie als Keynote-Speaker eine Konferenz der Harvard Medical School eröffnen. Dabei will sie auch über ihren Ansatz referieren, bei der Entwicklung über das Labor hinauszuschauen. „Die Arzneimittelforschung gewinnt an Effizienz, wenn man die Patienten einbezieht.“ Auch hier will Aiach innovativer sein als der Wettbewerb.

Den gibt es durchaus. Als Aiach anfing, interessierte sich die Industrie nicht für Gentherapie bei seltenen Krankheiten. Heute schon. Viele Patente auf umsatzstarke Arzneien laufen aus, Pharmariesen wie Pfizer und GlaxoSmithKline machen Lysogene jetzt Konkurrenz. Auch um die hoch spezialisierten Mitarbeiter, die das Start-up braucht. Eine Topkraft, die Aiach angeheuert hatte, ging neulich im letzten Moment doch lieber woanders hin. Ein Rückschlag.

Doch umgekehrt wirbt sie auch Leute bei Branchengrößen wie Sanofi oder Merck ab. In Boston hat sie Anfang des Jahres eine Filiale eröffnet, sie soll schnell wachsen. Die Kommunikation im Unternehmen läuft – auch auf den Fluren in Neuilly – ohnehin auf Englisch.

MEHR GELD IST NÖTIG

Noch ist nichts gewonnen, Lysogene ist an einem kritischen Punkt. Das Start-up muss schnell wachsen, um nicht überholt zu werden. Es braucht frisches Geld. Rund 30 Mio. Euro muss Aiach bis zum kommenden Jahr aufreiben. Sei es über direkte Kapitalspritzen von Investoren oder über einen Börsengang. 2017 ist ein

neuer Versuch mit dem Genmedikament bei etwa 25 Kindern geplant. Und der wird teuer.

Aiach vertraut darauf, dass sie die Investoren wieder einmal überzeugen wird. Nach der Finanzierung muss dann allerdings auch bei der klinischen Studie alles gutgehen: Nur wenn die Ergebnisse medizinisch überzeugen, wird Lysogene ein Erfolg. Nur dann wird das Unternehmen die Gentherapie 2020 auf den Markt bringen. Ansonsten könnte Lysogene, wie so viele Biotech-Startups, als Millionenflop enden.

Die Preise für die Therapie könnten in sechsstelliger Höhe liegen. Ganz normale Summen für so ein Produkt. Die in Deutschland bereits zugelassene Genkur Glybera der Firma Uniqure, die Patienten mit einer seltenen Stoffwechselerkrankung seit vorigem Jahr in den Oberschenkel gespritzt wird, kostet fast 1 Mio. Euro. Pro Spritze.

Aiach kann kaum erwarten, dass es so weit ist. Sie hat sich immer noch nicht daran gewöhnt, wie lange alles dauert in der stark regulierten Pharmabranche. Wie oft hat sie sich darüber aufgeregt, dass die Entwicklung einer lebensrettenden Medizin für manche nur eine bürokratische Prozedur ist? „Seit mehr als zehn Jahren renne ich der Zeit hinterher“, sagt sie. Früher tat sie das, um Ornella zu retten. Heute nicht mehr.

Karen Aiach weiß, dass sie den Wettlauf mit dem Tod verlieren wird. Lysogene wird Ornella nicht retten. Das Mädchen ist zu alt, als dass die Gentherapie noch wirken könnte. „Meine Tochter hat eine Behandlung bekommen“, sagt Aiach. „Mehr war nicht zu machen.“ Zum ersten Mal klingt sie, als würde ihre Stimme gleich kippen. „Lysogene“, sagt Aiach, „ist auch eine Art, Ornellas Krankheit einen Sinn zu geben.“

Allein deshalb muss Lysogene ein Erfolg werden. Karen Aiachs Ziel ist es, in absehbarer Zeit vier bis fünf Therapien zu entwickeln. Ein respektierter Player in der Branche zu sein. Und, ja, Geld zu verdienen. ◇