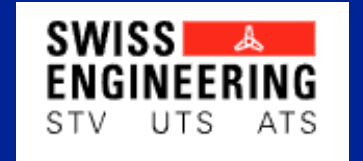


Zell- und Gentherapien

Neue Möglichkeiten in der personalisierten Medizin



Alexander Huber | 04. September 2025

Business Use Only



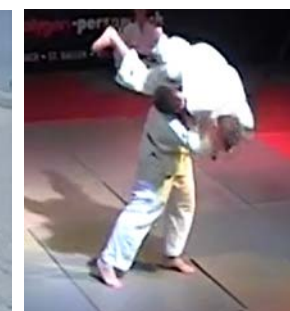
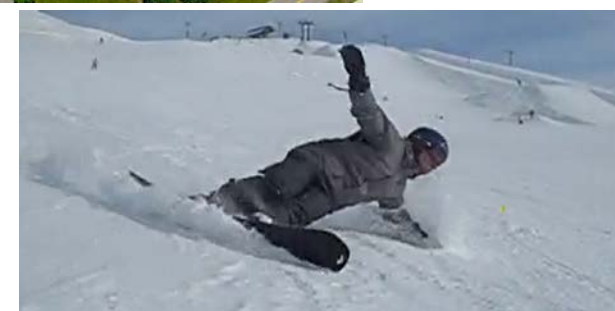
Agenda

- Lonza Specialized Modalities Platform: Eine kurze Übersicht
- Neue Möglichkeiten mit Zell und Gentherapien
- Was macht diese Therapien so besonders?
- Herausforderungen in der technischen Umsetzung



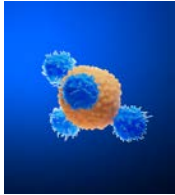
Alexander Huber

- Verheiratet mit Esther, 3 Kinder
- Studium ETH Zürich: Molekularbiologie / MBA
- Doktorarbeit ETH: Gentherapie gegen Epilepsie
- Seit 2002 in verschiedenen Firmen tätig:
 - 2002: Roche Post-Doc / GMP Herstellung
 - 2009: Novartis: Head Manufacturing Pilot Plant Stein
 - 2013: Novartis: Project Leader Cell and Gene Therapy Unit
 - 2018: Novartis: Site Head Japan and China for Kymriah
 - 2022: Lonza: Global Head Commercial and Strategic Programs, Specialized Modalities Platform
- Academic Editor «Swiss Medical Weekly», Zürich
- Scientific Advisor, Life Science Fund, Rietweg & Hrovat AG, Basel



Specialized Modalities is where we bring the full power of Lonza to the more-focused segments of pharma manufacturing

Cell & Gene



Partner of choice for early, late-phase and commercial cell and gene manufacturing

Autologous

Allogeneic

Viral vector

Exosomes

Tissue Acquisition

mRNA



End-to-end services for manufacturing and development of mRNA/LNP products

mRNA

LNPs

Microbial



Manufacturing next-gen biologics in advanced microbial strains and industry leading scales

E Coli

Pichia

Recombinant Protein

New Molecular Formats

Conjugated Vaccine

Bioscience



Providing researchers with tools to develop and test therapeutics, from research to final product release

Discovery Tools

Cell Culture Media

Endotoxin & Pyrogen Testing

MODA® Software

Cocoon® Platform



An integrated and turnkey solution for efficient and highly tailored cell therapy manufacturing

Fully automated process

Single-use sterile cassettes

User friendly software

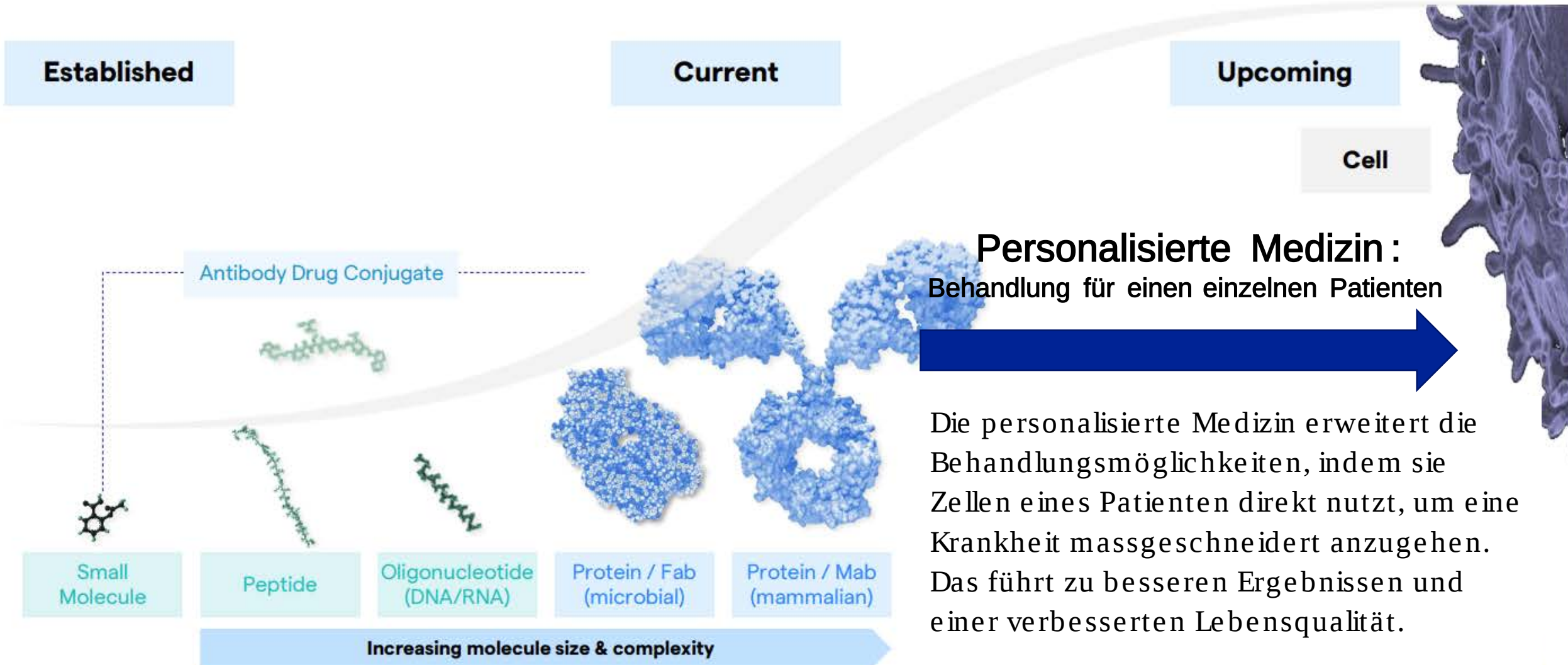
Superior scalability

Modality Leadership

Established experience in Cell & Gene (25+ years), mRNA (5+ years), and Microbial (30+ years))

Agenda

- Lonza Specialized Modalities Platform: Eine kurze Übersicht
- Neue Möglichkeiten mit Zell und Gentherapien
- Was macht diese Therapien so besonders?
- Herausforderungen in der technischen Umsetzung



Agenda

- Lonza Specialized Modalities Platform: Eine kurze Übersicht
- Neue Möglichkeiten mit Zell und Gentherapien
- Was macht diese Therapien so besonders?
- Herausforderungen in der technischen Umsetzung

A man with a mustache and a dark baseball cap is lying in a hospital bed, looking upwards with a hopeful expression. The background is slightly blurred, showing a hospital room setting.

"I was given three to six months to survive and I'm 16 months in remission ... I'm a walking miracle."

Scott McIntyre
Patient
September 2017

A man with a beard and a mustache, wearing a dark suit and a yellow tie, is smiling. A young girl with brown hair, wearing a purple top, is leaning her chin on his shoulder and smiling. They are standing in front of a brick wall.

"Our daughter was going to die and now she leads a normal life...she's standing right beside me and it's because of this treatment."

Tom Whitehead
Father of Emily Whitehead

Von Krebs geheilt dank der ersten CAR-T Zelltherapie

Die Geschichte von Emily Whitehead

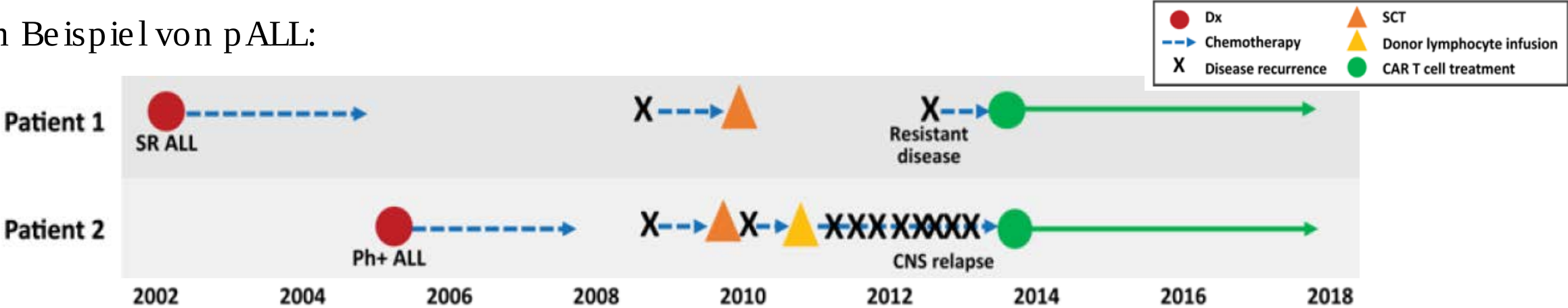
Emily Whitehead, who was the first pediatric patient in the world to receive CAR T-cell therapy, is cancer free since 2012.

This was a game changer for cell & gene therapies, establishing efficacy and bringing in the excitement and funding.



Was macht die CAR-T Zelltherapie so besonders?

Am Beispiel von pALL:



PEDIATRIC ALL

PATIENT

- 14-year-old male
- Initial diagnosis: B-cell precursor ALL at 8 years old
- Underwent induction therapy with complete response
- Bone marrow relapse at 40 months after diagnosis
- Underwent reinduction chemotherapy and obtained complete response; continued with maintenance chemotherapy
- 2 months after completion of therapy, patient presented with CD19+ bone marrow relapse

2

Was macht die CAR-T Zelltherapie so besonders?

- Eine neue Therapieform für diejenigen, welche keine Optionen mehr haben
- Ersetzt in einem zweiten Schritt die Stammzell-Transplantation
 - Bis zu 17% sterben am Transplantat
 - Bis zu 60% erleiden eine Graft vs. Host Disease
- In einem dritten Schritt wird sie die hochgiftige Chemotherapie ersetzen, welche oft über Jahre / Jahrzehnte dauert
- Wenn CAR-T zu «Firstline» wird: Grosse Einsparungen!

Clinical Value

Lanzettwirkung :
ORR 83% in r/r
pedALL;
64% probability of
relapse-free survival
in r/r DLBCL

Patient Value

Einmalige
Behandlung

System Value

Stammzellen
Transplantation
\$500 -800k (pedALL).
Keine Chemotherapie
über Jahre (Ms \$)

Societal Value

Eltern und
Familienmitglieder
führen ein normales
Leben.

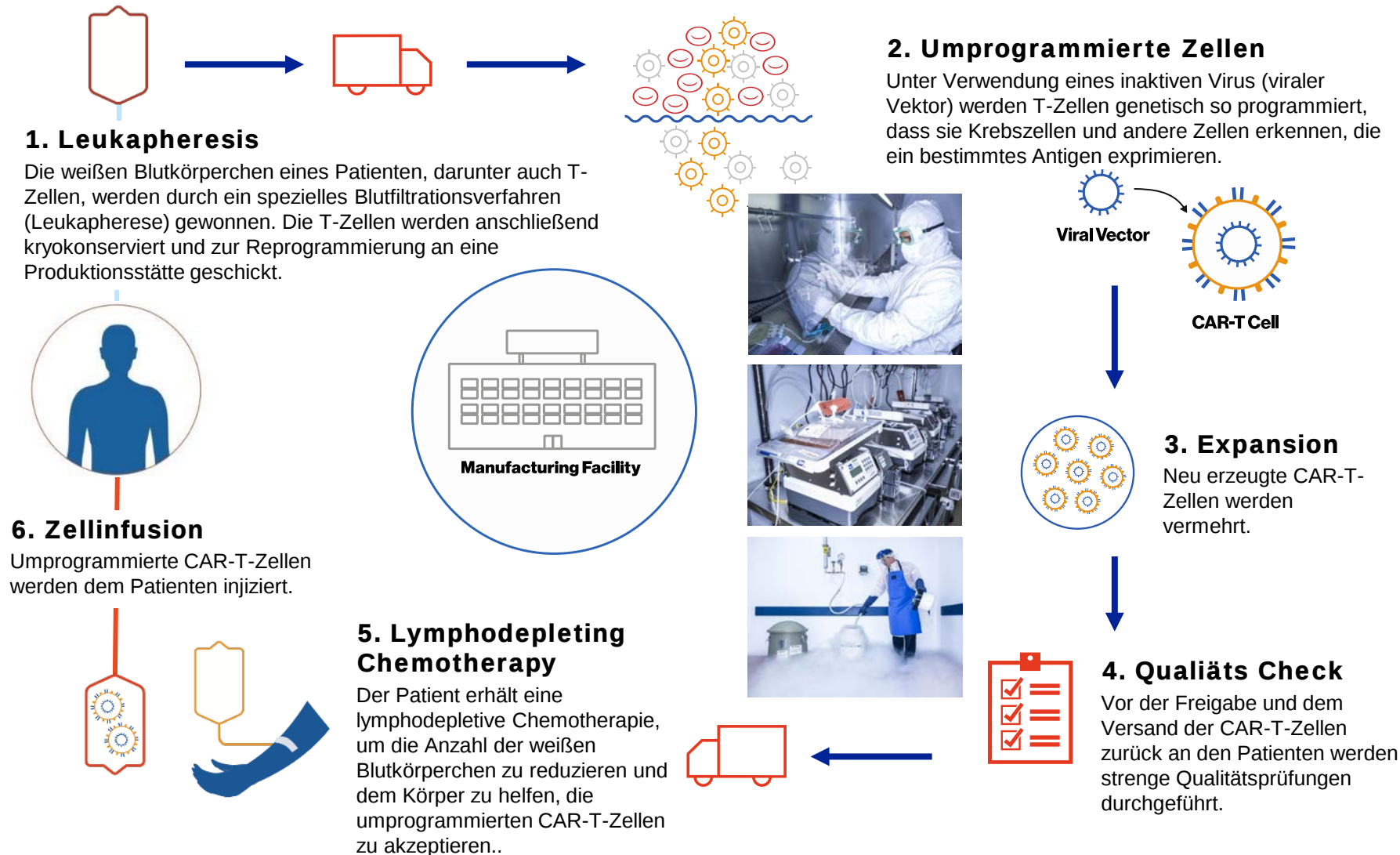
Zell und Gentherapien verändern die Behandlungsperspektiven

Disease	Patients (relapsed/ refractory)	Overall response rate* (without cell & gene therapy)	Overall response rate* (based on gene therapy study)
ALL (Kymriah, Novartis)			
DLBCL (Yescarta, Gilead)			
Disease	Patients (complete immobility)	Head control & roll over* (without cell & gene therapy)	Head control & roll over* (based on cell & gene therapy)
Spinal muscular atrophy (Zolgensma, Novartis)			
Disease	Patients (Transfusion- dependent beta thalassaemia)	Transfusion independent* (without cell & gene therapy)	Transfusion independent* (based on cell & gene therapy)
beta thalassemia (Zynteglo, Bluebird)			

Agenda

- Lonza Specialized Modalities Platform: Eine kurze Übersicht
- Neue Möglichkeiten mit Zell und Gentherapien
- Was macht diese Therapien so besonders?
- Herausforderungen in der technischen Umsetzung

Ein sehr komplexer Herstellprozess



CAR-T unterscheidet sich stark von den typischen Therapien (small molecule or biologics): Es wird für einen Patienten individuell hergestellt unter Verwendung seiner eigenen Zellen

- Bei einer individuellen Therapie wie CAR-T braucht es eine sehr komplexe Lieferkette mit über 100 Materialien.
- Wegen den neuen Technologien gibt es oft (noch) keine Backups in den Lieferketten
- IT Lösungen für eine Identitätskette: Die eindeutige Kennzeichnung von Patientematerial über die ganze Lieferkette braucht neue Softwarelösungen.
- Scale up means scale out: Für mehr Batches braucht es im Moment mehr Personal. Automatisierung ist wichtig, hier effizienter zu werden.
- In den Medien: Kosten im Vordergrund, niemand denkt hier 2 Schritte weiter. Kosteneinsparungen in Millionen pro Patient möglich.
- Therapie Effizienz: Vermeidung jahrelange Chemotherapie oder lebenslange Medikamenteneinnahme.

Vielen Dank

