



IM DIALOG MIT PATIENT:INNEN-, SELBSTHILFE- UND ANGEHÖRIGEN-ORGANISATIONEN

Patient:innen zu helfen – das ist Amgens Mission.

Für ein vertrauensvolles Miteinander und
einen offenen und konstruktiven Austausch.

AMGEN



	Seite
Willkommen bei Amgen, einem führenden globalen Biotechnologie-Unternehmen	4
Wir stellen uns vor	5
Unsere Therapiegebiete	
Onkologie und Hämatologie	14
Herz-Kreislauf-Erkrankungen	20
Seltene Erkrankungen	22
Chronisch-entzündliche Erkrankungen	26
Knochengesundheit	30
Nephrologie	32
Hilfreiche Links	34
Impressum	35

Willkommen bei Amgen, einem führenden globalen Biotechnologie-Unternehmen

Mit allem, was wir tun, verfolgen wir ein klares Ziel: Patient:innen zu helfen.

Wir gehören zu den Pionieren der Biotechnologie und sind heute eines der global führenden, unabhängigen Unternehmen unserer Branche. Seit Jahrzehnten forschen wir auf dem neuesten Stand der Medizin, entwickeln wirksame Therapien und stellen sie den Patient:innen zuverlässig zur Verfügung. Dabei nutzen wir unsere einzigartige Expertise in den Bereichen Biologie und Technologie zur Erforschung, Entwicklung und Produktion von innovativen Therapien für Menschen mit schweren Erkrankungen.

Wir leben in einer Ära bahnbrechender medizinischer Möglichkeiten. Und Amgen beschleunigt weiterhin das Tempo des Fortschritts – wir arbeiten nachhaltig und nutzen unser Wissen, um die Grenzen des Möglichen weiter zu verschieben.



Meine eigene Erfahrung mit akuter Leukämie hat mir gezeigt, wie wichtig medizinischer Fortschritt ist. Als Geschäftsführerin von Amgen in Deutschland sehe ich es als unsere Verantwortung, Patient:innen nicht nur mit innovativen Therapien zu versorgen, sondern ihnen auch zuzuhören und von ihnen zu lernen. Durch den engen Austausch mit Patient:innen und Patient:innenorganisationen gewinnen wir ein tieferes Verständnis für ihre Bedürfnisse und können gemeinsam Lösungen entwickeln, die Hoffnung geben und die Lebensqualität nachhaltig verbessern.

Carolina Correa
Geschäftsführerin
Amgen GmbH

Wir stellen uns vor

Liebe Leser:innen,

wir bei Amgen haben es uns zur Aufgabe gemacht, Patient:innen zu helfen, weil wir möchten, dass Sie und Ihre Lieben jeden Moment gemeinsam genießen können. Wir arbeiten daran, Barrieren zu beseitigen, die den gerechten Zugang zur Gesundheitsversorgung einschränken, um unsere Arzneimittel mehr Patient:innen weltweit zur Verfügung stellen zu können.

Wir möchten ein vertrauensvolles Miteinander und einen offenen sowie konstruktiven Austausch schaffen. Daher suchen wir den Dialog mit Patient:innen-, Selbsthilfe- und Angehörigen-Organisationen. Uns ist es wichtig, Ihre Anliegen, Bedürfnisse und Erwartungen besser zu verstehen und voneinander zu lernen. So können wir Sie bei Ihren Aufgaben besser und individuell unterstützen. Wir freuen uns über Ihr Interesse.

Nehmen Sie gerne Kontakt mit uns auf.

Mit herzlichen Grüßen

Nicole Janicki & Johannes Eichler



Nicole Janicki

Patient:innenbeauftragte

nicole.janicki@amgen.com



Johannes Eichler

Patient:innenbeauftragter

johannes.eichler@amgen.com

Weitere Informationen finden Sie im Internet unter www.amgen.de und www.patienten.amgen.de.



Amgen in Deutschland

Seit der Gründung unseres Unternehmens im Jahr 1980 in den USA haben wir uns auf Biotechnologie spezialisiert. Mit unseren innovativen Therapieansätzen verfolgen wir das Ziel, nicht nur die Erkrankungen zu bekämpfen, sondern auch die Lebensqualität von Patient:innen zu verbessern.



Unser Fokus liegt auf innovativen, biopharmazeutischen Therapien. Wir erforschen und produzieren aber auch niedermolekulare Wirkstoffe (small molecules) sowie Biosimilars und entwickeln bereits zugelassene Arzneimittel in neuen Indikationen weiter. Dabei konzentrieren wir uns auf Therapiebereiche mit einem hohen Bedarf für neue Behandlungsoptionen: Hämatologie und Onkologie, Herz-Kreislauf-Erkrankungen, chronisch-entzündliche Erkrankungen, seltene Erkrankungen, Knochengesundheit und Nephrologie.

An unseren beiden deutschen Standorten in München arbeiten rund 680 Mitarbeitende verteilt auf die Amgen GmbH und die Amgen Research (Munich) GmbH.

Der Fokus der **Amgen GmbH** liegt auf der klinischen Forschung, der Zulassung und dem Vertrieb von Arzneimitteln.

Die **Amgen Research (Munich) GmbH** ist unser größter Forschungsstandort außerhalb der USA. Sie ist auf die Entwicklung der BiTE® Technologie (bi-specific T-cell engager) spezialisiert. Ziel der Technologie ist es, die T-Zellen des Körpers zu befähigen, Krebszellen zu erkennen und gezielt zu eliminieren. Die Forscher:innen sind für die Entwicklung der BiTE® Technologie verantwortlich und für die Entwicklung weiterer Anwendungen der T-cell

engager vom Konzept bis zu den klinischen Studien. Darüber hinaus unterstützen sie weitere Forschungsprojekte.

In Deutschland haben wir im Jahr 2024 mit 247 Studienzentren zusammengearbeitet und 42 aktive Studien in verschiedenen Phasen und bei unterschiedlichen Indikationen durchgeführt.

Biologie an erster Stelle

Wir fokussieren uns auf die menschliche Biologie und dabei auf die Forschung zu schweren, teils auch seltenen Erkrankungen, für die es keine oder nicht ausreichende Therapiemöglichkeiten gab oder gibt. Ausgangspunkt für die Entwicklung einer neuen Therapie ist das grundlegende Verständnis der komplexen biologischen Mechanismen einer Erkrankung – ein Ansatz, der als „**biology first**“ bezeichnet wird. Um die beste Lösung für Patient:innen und die effektivsten Therapieansätze zu identifizieren, verbinden wir das tiefe Verständnis von menschlicher Genetik und Krankheitsbiologie mit modernsten Technologien wie unter anderem Protein-Engineering und künstlicher Intelligenz (KI). Ist der Ansatzpunkt gefunden, führt der Weg bis zum zugelassenen Arzneimittel über weitere Forschung als Grundlage für die Entwicklung, klinische Prüfung und schließlich Zulassung eines Wirkstoffs bis zur Produktion eines Arzneimittels.

Hochwertige Biopharmazeutika

Die Herstellung von Biopharmazeutika – Originale und Biosimilars – ist ein anspruchsvoller Prozess, der nach einem streng kontrollierten Herstellungsverfahren mit hohen Qualitätsstandards erfolgt.

Biopharmazeutische Arzneimittel werden in lebenden Zellen produziert, beispielsweise in Bakterien, Hefepilzen oder humanen Zellkulturen. Mithilfe gentechnischer Methoden wird diesen Zellen das Gen für das zu produzierende Protein eingesetzt. Sie stellen das gewünschte Protein in kontrollierter Umgebung in großen Behältern – den Bioreaktoren – her. Jedoch reagieren Biopharmazeutika auf Abweichungen bei den Zelllinien sowie bei der Kultivierung, Gewinnung, Reinigung und Formulierung. Sie reagieren auch empfindlich auf Schwankungen bei den Rohstoffen und den physikalischen Parametern wie Temperatur, pH-Wert und Druck.

Amgen ist Vorreiter bei der Nutzung lebender Zellen zur Herstellung biologischer Arzneimittel. Wir bringen unser technisches und medizinisches Know-how sowie langjährige Erfahrungen als Erfolgsfaktoren ein, um Biopharmazeutika nach hohen, gleichbleibenden Qualitätsstandards zu produzieren und verlässlich auszuliefern. Zugleich entwickeln wir unsere Produktionsprozesse kontinuierlich weiter und sind Vorreiter bei effizienteren,



umweltfreundlicheren und produktiveren Biomanufacturing-Prozessen.

Biosimilars vom Pionier der Biotechnologie

Ein Biosimilar (biologisches Nachahmerprodukt) ist das Nachahmerpräparat eines Biopharmazeutikums und wird ebenso wie das Referenzprodukt in lebenden Zellen produziert. Der Herstellungsprozess ist daher ähnlich komplex wie bei den biopharmazeutischen Originalen und erfordert ein hohes Maß an biotechnologischer Expertise.

Ein Biosimilar kann auf den Markt gebracht werden, wenn das Patent des Originalpräparats abgelaufen ist. Für die Zulassung von Biosimilars gelten,



ebenso wie für biopharmazeutische Originalpräparate, strenge Regulierungen und Standards. So darf das Biosimilar in Bezug auf Qualität, Wirksamkeit und Sicherheit keine klinisch signifikanten Unterschiede zum Referenzprodukt aufweisen.

Aus einer Hand: Wir bei Amgen nutzen unsere Erfahrung aus über 45 Jahren in der Erforschung, Entwicklung, Produktion und Bereitstellung von innovativen Biopharmazeutika auch zur Herstellung von Biosimilars. Denn wir sind überzeugt, dass Biosimilars einen Beitrag zur nachhaltigen Gesundheitsversorgung leisten und in ausgewählten Bereichen den Zugang zu innovativen Therapieansätzen erleichtern können.

Für uns ist es wesentlich, dass die Therapieentscheidung – ob für Originalpräparat oder Biosimilar – bei der behandelnden Ärztin bzw. beim Arzt liegt. Als Partner des Gesundheitssystems stellen wir Informationen und Services bereit, um die Akzeptanz von Biosimilars und den sachgerechten Einsatz unserer Produkte zu fördern.

Unsere Biosimilars kommen bislang in der Onkologie und Ophthalmologie sowie bei chronisch-entzündlichen Erkrankungen zum Einsatz; weitere Biosimilars befinden sich in der Pipeline.

AMGEN

Unser Engagement für Patient:innen ...



Im Zentrum unserer Arbeit stehen Patient:innen. Das geht über die Erforschung und Bereitstellung von lebensnotwendigen Arzneimitteln hinaus. Wir engagieren uns für eine Vielzahl von Patient:innenprogrammen und legen Wert auf gut verständliches Informationsmaterial für Betroffene und Angehörige.

Ein Beispiel hierfür ist **AmgenCare** (www.amgencare.de), das unter anderem Patient:innen mit chronisch-entzündlichen, gastroenterologischen, dermatologischen und rheumatologischen Erkrankungen begleitend zu ihrer ärztlichen Behandlung zur Seite steht.

Dabei reicht das Spektrum von Fragen zur Therapie über Inspiration rund um einen bewussten Lebensstil bis hin zu einem offenen Ohr. Die entsprechenden Links finden Sie im Kapitel chronisch-entzündliche Erkrankungen.

Mehr erfahren:
www.amgencare.de



... und Gesellschaft



Zu unserer werteorientierten Unternehmenskultur gehört es auch, dass wir einen nachhaltigen Beitrag zur Gestaltung unserer Gesellschaft leisten möchten.

Als Forschungsunternehmen ist es uns eine Herzensangelegenheit, für **Naturwissenschaften** zu begeistern. Dazu unterstützt die Amgen Foundation weltweit **Ausbildungsprogramme**, um den wissenschaftlichen Nachwuchs zu fördern. Seit 2009 besteht für Bachelorstudierende im Rahmen des Amgen Scholars Europe Programm die Möglichkeit, unter Anleitung herausragender Wissenschaftler:innen erste Erfahrungen in den Forschungseinrichtungen der Ludwig-Maximilians-Universität (LMU) München zu sammeln. Zudem wurde 2016 die **Amgen Biotech Experience** ins Leben gerufen, die Lehrkräfte dabei unterstützt, biotechnologische Methoden in den Schulunterricht zu

integrieren. Die beiden **Online-Lernplattformen** LabXchange und Khan Academy stellen interessierten Schüler:innen, Studierenden und Lehrkräften vielseitige Lehrinhalte zu Biologie und Biotechnologie zur Verfügung.

Außerdem unterstützt Amgen in Deutschland auch lokale Projekte und Initiativen. So fördern wir im Rahmen des 2011 ins Leben gerufenen **Deutschlandstipendiums** Studierende an verschiedenen deutschen Universitäten. Zudem sind wir Partner des **Deutschen Museums** in München und machen mit unserer Amgen-Themeninsel die jüngste biotechnologische Arzneimittelforschung erlebbar.



Transparenz und Richtlinien

Eine vertrauensvolle Zusammenarbeit ist uns wichtig. Eine Voraussetzung dafür ist Transparenz. Wir sind überzeugt, dass Transparenz die Grundlage für Glaubwürdigkeit, Akzeptanz und Vertrauen im Gesundheitswesen ist. Seit vielen Jahren veröffentlichen wir Spenden über 10.000 Euro sowie alle Leistungen an Patient:innenorganisationen. Wir unterstützen zudem den Transparenzkodex der „European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations“ (EFPIA) auf europäischer Ebene und den des deutschen Vereins „Freiwillige Selbstkontrolle für die Arzneimittelindustrie e. V.“ (FSA).



Mit unseren **Transparenzreporten** legen wir einmal jährlich offen, welche Leistungen im vergangenen Jahr von Amgen weltweit an Angehörige der Fachkreise, Gesundheits- und Patientenorganisationen in Deutschland erbracht wurden. Wir möchten, dass die Öffentlichkeit versteht, wie sich die Zusammenarbeit von Industrie und Ärzt:innen gestaltet und welchem Zweck sie dient. Denn der Wissens- und Erfahrungsaustausch zwischen Ärzt:innen und Unternehmen verbessert die Qualität der Medizin und hilft bei der bestmöglichen Versorgung der Patient:innen.

Die Veröffentlichung von **personenbezogenen Daten** ist gemäß **Datenschutz**-Grundverordnung sowie Bundesdatenschutzgesetz nur möglich, wenn eine freiwillige Einwilligungserklärung der betroffenen Personen vorliegt.

Bei Fragen können Sie uns gerne direkt kontaktieren:
transparenzkodex-deutschland
@amgen.com



UNSERE THERAPIEGEBIETE

Onkologie und Hämatologie

Krebs ist die zweithäufigste Todesursache in Deutschland. Jährlich erkranken ca. 500.000 Menschen und die Prognose ist ernüchternd: Bis 2030 wird die Anzahl der Krebsneuerkrankungen voraussichtlich um rund 23 % steigen. Grund dafür ist vor allem der demografische Wandel.¹ Aufgrund dieses hohen medizinischen Bedarfs zählt die Hämatologie und Onkologie seit Jahren unverändert zu den wichtigsten Bereichen der biopharmazeutischen Forschung² – auch bei Amgen.



Amgen ist mit 13 in Deutschland im Bereich Hämatologie und Onkologie zugelassenen Arzneimitteln (Stand: Juli 2025) ein wichtiger Akteur in diesem Therapiefeld. Unser Portfolio umfasst Arzneimittel zur Behandlung der Primärerkrankung sowie Supportivtherapien und geht von Blutkrebs über Knochenmetastasen bis zu soliden Tumoren.

Entschlüsselung der Erkrankungsmechanismen

Viele Krebserkrankungen unterscheiden sich von Patient:in zu Patient:in. Dies macht sich die personalisierte Medizin zunutze.

Antikörpertherapie gegen EGFR – Der epidermale Wachstumsfaktor-Rezeptor EGFR ist unter anderem beim metastasierten Kolorektalkarzinom am Wachstum der Tumorzellen beteiligt. Unsere Wissenschaftler haben einen Antikörper entwickelt, der diesen Mechanismus hemmt, indem er an den Wachstumsfaktor-Rezeptor bindet. Dieser Antikörper ist nur bei Tumoren ohne *RAS*-Mutation wirksam, so dass im Vorfeld eine Testung auf diesen Biomarker unbedingt erforderlich ist.

Inhibition statt „unbehandelbar“ – Zur Familie dieser *RAS*-Mutationen gehören *KRAS*-Mutationen, die bei vielen Krebserkrankungen Treiber für das Tumorstromwachstum sind. *KRAS G12C*, eine besondere *KRAS*-Mutation, die lange als nicht gezielt behandelbar galt, kommt unter anderem bei Lungenkrebs, Darmkrebs und anderen soliden Tumoren vor. Wir konnten einen Ansatz identifizieren, um das Tumorstromwachstum zu unterbinden und somit erstmals zielgerichtete Therapien für diese spezielle Krebsmutation entwickeln.

Der RANK-Ligand-Signalweg – Mit der Entdeckung des RANK-Ligand-Signalwegs haben wir wichtige Erkenntnisse über das körpereigene System des Knochenaufbaus und -abbaus gewonnen. Diese werden sowohl zur Behandlung von Knochenmetastasen als auch für Osteoporosetherapien (siehe auch Seite 30) genutzt.





Weiterentwicklung der Proteasom-inhibition

– In der Behandlung des Multiplen Myeloms, einer seltenen, unheilbaren Form des Blutkrebses, haben wir den Ansatz der sogenannten Proteasominhibitoren weiterentwickelt. Krebszellen bilden vermehrt und oft falsch aufgebaute Eiweiße. Proteasominhibitoren hemmen den natürlichen Abbau dieser Eiweiße, die sich infolgedessen in den Krebszellen anreichern. Durch den Überschuss an falsch gebildeten Eiweißen sterben die von der Krebserkrankung betroffenen Zellen ab.

Viren mit antitumoraler Wirkung

– Viren benötigen die Hilfe von Körperzellen, um sich zu vermehren. Das hilft uns im Kampf gegen das metastasierte maligne Melanom, den schwarzen Hautkrebs. Speziell ver-

änderte Herpes-Viren werden injiziert und dringen gezielt in die Krebszelle ein. Dort vermehren sie sich rasant und zerstören die Krebszelle („Onkolyse“). Die onkolytischen Viren aktivieren zudem die Immunabwehr der Patient:innen, so dass auch entfernt im Körper gelegene Tumorherde und Metastasen erkannt und zerstört werden können.

Chemotherapie und Immunabwehr

– Die Neutropenie ist eine der häufigsten Komplikationen nach einer Chemotherapie. Bei den Betroffenen sinkt die Anzahl einiger wichtiger weißer Blutzellen – das Immunsystem wird dadurch geschwächt und das Risiko für eine potenziell lebensbedrohliche febrile Neutropenie steigt. Wir haben Möglichkeiten zur Prophylaxe der febrilen Neutropenie etabliert.



Wir entwickeln Arzneimittel für Krebspatientinnen und -patienten auf der Grundlage des BiTE® Wirkmechanismus. Er ermöglicht den T-Zellen, den stärksten Abwehrzellen in unserem Immunsystem, Krebszellen zu erkennen und zu zerstören. Mich treibt dabei eine gewisse Ungeduld, denn Patientinnen und Patienten mit lebensbedrohlichen Erkrankungen haben häufig nicht viel Zeit. Für unsere Mission, diesen Patientinnen und Patienten zu helfen, ist es deshalb sehr wichtig, dass wir solche innovativen Therapiemöglichkeiten, die wir bereits jetzt in den Händen halten, zügig ausschöpfen.

Prof. Dr. Peter Kufer

Geschäftsführer

Amgen Research (Munich) GmbH

Mein Arbeitsplatz ist die Abteilung BiTE® Technologie. Wir beschäftigen uns dort mit der Herstellung und Charakterisierung neuer BiTE® Moleküle für den Einsatz in verschiedensten Tumorindikationen. Das umfasst komplexe Fragestellungen und viele interessante Herausforderungen, denen wir uns jeden Tag mit großem Engagement stellen. Für mich und meine Kolleg:innen ist es ein enormer Ansporn, dass wir durch unsere Arbeit einen Beitrag zur Bekämpfung von so schweren Erkrankungen wie Krebs leisten und Patient:innen dadurch neue Hoffnung geben können.

Dr. Virginie Nägele
Principal Scientist
Amgen Research (Munich) GmbH



Hämatologie – bei der Immunthrombozytopenie (ITP) werden vermehrt Blutplättchen (Thrombozyten) abgebaut. Die Blutgerinnung der Patient:innen ist gestört und es kommt zu einer erhöhten Blutungsneigung. Wir haben eine Möglichkeit gefunden, die ITP zu behandeln, indem wir am Thrombopoetin ansetzen, das der wichtigste Regulator bei der Entstehung von Thrombozyten ist.

Die BiTE® Technologie – Unter gewissen Voraussetzungen ist das körpereigene Immunsystem in der Lage, bestimmte Krebsarten selbst zu heilen. Das machen sich neuartige Immuntherapien gezielt zunutze. Als stärkste Waffe gelten dabei die T-Zellen. Diese Abwehrzellen bekämpfen im

Körper vor allem Viren, indem sie infizierte Zellen erkennen und zerstören. Unter bestimmten Umständen können T-Zellen auch Krebszellen erkennen und zerstören. Krebszellen entwickeln jedoch häufig Mechanismen, um unerkannt zu bleiben und so der Immunantwort zu entgehen. Um dieses Schlupfloch zu schließen, hat das Team der Amgen Research (Munich) GmbH die BiTE® (bispecific T-cell engager) Moleküle entwickelt. Ausgestattet mit zwei unterschiedlichen Bindungsstellen, fungieren BiTE® Konstrukte als Verbindungsmoleküle zwischen T- und Krebszellen, indem sie gleichzeitig an beide Zelltypen binden. Dadurch sind T-Zellen in der Lage, zuvor unerkannte Krebszellen zu erkennen und zu zerstören.



Biosimilars in der Hämatologie und Onkologie

Neben der Erforschung von neuen, innovativen Therapien setzen wir auch auf die Entwicklung und Produktion von Biosimilars. Bereits heute sind drei Biosimilars von Amgen im Bereich der Onkologie und Hämatologie zugelassen, weitere sind in der Pipeline.

HER2-Inhibition gegen Brustkrebszellen – Das erste von Amgen in der EU eingeführte Biosimilar richtet sich gegen Brustkrebszellen, die eine erhöhte Anzahl von HER2-Rezeptoren auf der Zelloberfläche aufweisen. Diese Zellen zeigen typischerweise ein schnelleres Wachstum und eine erhöhte Teilungsrate als gesunde Körperzellen. Durch die Blockade des HER2-Rezeptors kann das Wachstum der Krebszellen gehemmt werden.

VEGF-Inhibitor bei soliden Tumoren – Dieses Biosimilar wird bei verschiedenen Krebserkrankungen eingesetzt. Sein Wirkstoff blockiert den Gefäßwachstumsfaktor VEGF (Vascular Endothelial Growth Factor). Dadurch kann der Krebs keine ausreichende eigene Blutversorgung aufbauen, den Krebszellen werden Sauerstoff und Nährstoffe entzogen und so das Tumorwachstum gehemmt.

Biosimilarer Wirkstoff in der Hämatologie – Diese Therapie blockiert gezielt einen Teil des Immunsystems: das sogenannte Komplementsystem. Es hilft normalerweise dabei, Krankheitserreger zu erkennen und zu zerstören, soll jedoch die körpereigenen Zellen verschonen. Beim atypischen hämolytisch-urämischem Syndrom (aHUS) führt eine übermäßige Aktivierung des Komplementsystems zu Schädigungen der Gefäßwände, wodurch sich Blutgerinnsel in kleinsten Gefäßen bilden können. Das kann die Durchblutung wichtiger Organe, etwa der Nieren, beeinträchtigen und schwere Komplikationen verursachen. Bei der paroxysmalen nächtlichen Hämoglobinurie (PNH) fehlen auf den roten Blutkörperchen (Erythrozyten) bestimmte Schutzproteine, die sie normalerweise vor Angriffen des Komplementsystems bewahren. Dadurch kommt es zur Zerstörung roter Blutkörperchen (Hämolyse). Das Biosimilar hemmt die Aktivierung des Komplementsystems und schützt so die roten Blutkörperchen und Blutgefäße vor Schäden.

Referenzen:

1. https://www.krebsdaten.de/Krebs/DE/Content/Publikationen/Krebs_in_Deutschland/kid_2021/krebs_in_deutschland_2021.pdf?__blob=publicationFile (Zugriff am 09.12.2025)
2. <https://www.vfa.de/download/biotech-report-2024.pdf> (Zugriff am 09.12.2025)





UNSERE THERAPIEGEBIETE

Herz-Kreislauf-Erkrankungen

Herz-Kreislauf-Erkrankungen, wie etwa Herzinfarkte und Schlaganfälle, sind die häufigste Todesursache in Deutschland – auch bei Frauen.¹ Einer der Hauptrisikofaktoren für diese Erkrankungen ist eine Fettstoffwechselstörung in Form eines erhöhten Low-Density-Lipoprotein(LDL)-Cholesterin-Spiegels.

Ein erhöhtes LDL-Cholesterin (LDL-C) ist an der Bildung arterieller Plaques beteiligt, die die Gefäße verengen können. Es kommt zur Atherosklerose („Arterienverkalkung“), die einen Gefäßverschluss begünstigen kann. Die Folgen können ein Herzinfarkt, Schlaganfall oder eine periphere arterielle Verschlusskrankheit sein.

Besonders gefährdet sind Patient:innen, die aufgrund einer erblichen Erkrankung, der familiären Hypercholesterinämie (FH), hohe LDL-C-Werte haben. Bei ihnen reicht eine cholesterinsenkende Therapie mit Statinen häufig nicht aus.

Genmutation als Ursache entdeckt

Die der Erkrankung zugrunde liegende Mutation betrifft meist das Gen für die LDL-C-Rezeptoren, die der Leber helfen, LDL-Cholesterin aus dem Blut zu entfernen. Der Cholesterinabbau wird zudem durch das PCSK9-Protein (Proteinkonvertase Subtilisin/Kexin Typ 9) beeinflusst. Dieses Protein bindet die LDL-C-Rezeptoren und bewirkt deren Abbau. Somit stehen die Rezeptoren nicht mehr für die Aufnahme von LDL-Cholesterin in die Leberzellen zur Verfügung. Ist die Aktivität von PCSK9 stark erhöht und die der LDL-C-Rezeptoren im Verhältnis zu schwach ausgeprägt, erhöhen sich die Cholesterinwerte im Blut, was zu einem erhöhten kardiovaskulären Risiko führt.

Von der Biologie zur Therapie

Dank der Entdeckung der Genmutation und dem Verständnis für die Biologie dieser Erkrankung identifizierten wir einen zielgerichteten Wirkstoff gegen das Protein PCSK9. Bei diesem monoklonalen Antikörper, der das Protein PCSK9 hemmt, handelte es sich um eine neue Wirkstoffklasse. Ein PCSK9-Antikörper kann die Wirkung des PCSK9 „neutralisieren“ und dadurch zu einer Senkung des LDL-Cholesterin-Spiegels führen.

Gemeinsam für eine bessere Versorgung bei Herz-Kreislauf-Erkrankungen

Rund 348.000 Menschen in Deutschland sterben jährlich an kardiovaskulären Erkrankungen. Damit verursachen sie rund jeden dritten Todesfall.² Diese Erkrankungen haben nicht nur schwerwiegende Folgen für die Betroffenen, sondern belasten auch das Gesundheitssystem erheblich.

Wir bei Amgen setzen uns aktiv für die Prävention, Früherkennung und bessere Versorgung von Herz-Kreislauf-Erkrankungen ein. Unser Ziel ist es, das Gesundheitssystem langfristig zu entlasten, vor allem aber den Patient:innen mehr wertvolle Lebensjahre zu ermöglichen.

Teil der Herz-Hirn-Allianz

Um die Auswirkungen von Herz-Kreislauf-Erkrankungen auf Patient:innen und die Gesellschaft zu reduzieren, haben sich verschiedene Akteure des Gesundheitswesens wie z. B. Fachgesellschaften, Patient:innenorganisationen, Krankenkassen und die pharmazeutische Industrie – unter anderem auch Amgen – zur Herz-Hirn-Allianz zusammengeschlossen. Gemeinsames Ziel ist es, kardiovaskuläre Ereignisse deutschlandweit bis 2030 um 30 Prozent zu reduzieren.

Referenzen:

1. https://www.destatis.de/DE/Themen/Gesellschaft-Umwelt/Gesundheit/Todesursachen/_inhalt.html (letzter Zugriff am 31.10.2025)
2. https://www.destatis.de/DE/Presse/Pressemitteilungen/2024/08/PD24_317_23211.html (letzter Zugriff: 31.10.2025)



Mehr erfahren:

<https://www.cholesterin-neu-verstehen.de/>



UNSERE THERAPIEGEBIETE

Seltene Erkrankungen

Weltweit gibt es über 10.000 verschiedene seltene Erkrankungen, die rund 400 Millionen Menschen betreffen. Das zeigt: Jede einzelne dieser Erkrankungen ist selten, doch zusammen betreffen sie Millionen von Leben. Bei Amgen setzen wir uns dafür ein, wissenschaftliche Erkenntnisse voranzubringen und neue Therapien für diese Patient:innen zu entwickeln.



Seltene Erkrankungen sind oft komplex, schwer zu diagnostizieren und bleiben in Forschung und Versorgung häufig unterrepräsentiert. Doch Fortschritte in Genomforschung, Biomarker-Entwicklung und internationalen Netzwerken tragen zunehmend dazu bei, Wissen zu bündeln und innovative Behandlungsansätze voranzutreiben. Auch bei Amgen tragen wir dazu bei, denn seltene Erkrankungen sind ein zentraler und wachsender Bestandteil unserer Mission, Patient:innen zu helfen.

B-Zell-Depletion – B-Zellen sind wichtige Bestandteile des Immunsystems. Sie produzieren Antikörper, die normalerweise helfen, Krankheitserreger zu bekämpfen. Bei bestimmten **Autoimmunerkrankungen** bilden B-Zellen jedoch fehlgeleitete Antikörper, die sich gegen körpereigene Strukturen richten und Entzündungsreaktionen auslösen können. Hier setzt unsere gezielte Therapie an. Bei dieser bindet der Wirkstoff an den spezifischen Oberflächenmarker CD19 auf den B-Zellen und veranlasst so deren Zerstörung (Depletion). Die entzündliche B-Zell-Aktivität wird reduziert.

Als **Neuromyelitis-optica-Spektrum-Erkrankungen (NMOSD)** werden seltene, chronisch-entzündliche Autoimmunerkrankungen des zentralen Nervensystems bezeichnet.¹ Sie betreffen vor allem Sehnerven und das Rückenmark und können wiederkehrende Entzündungsschübe auslösen, die häufig nur unvollständig abheilen. Bei NMOSD sind B-Zellen für die Bildung fehlgeleiteter Autoantikörper (gegen das Wasserkanalprotein Aquaporin-4 (AQP4)) verantwortlich. Durch eine gezielte Reduktion (Depletion) von B-Zellen, die CD19 auf ihrer Oberfläche tragen, kann die Antikörperproduktion gesenkt und die autoimmune Entzündung im zentralen Nervensystem deutlich abgeschwächt werden.

Bei der **IgG4-assoziierten Erkrankung** handelt es sich um eine chronische, systemische, fibroinflammatorische Erkrankung, die mehrere Organe betreffen kann, unter anderem die Bauchspeicheldrüse, Leber und Gallenwege.² IgG4-positive B-Zellen (Plasmablasten und Plasmazellen) infiltrieren das Gewebe und verursachen tumorartige Schwellungen mit entzündlichen Prozessen, die in Fibrose (Vernarbung) übergehen können.³

Die B-Zell-Depletion hilft, autoimmunbedingte Entzündungen zu kontrollieren und erneute Krankheitsschübe zu verhindern.⁴



Die **generalisierte Myasthenia gravis (gMG)** ist eine seltene, chronische, B-Zell-vermittelte neurologische Autoimmunerkrankung. B-Zellen mit dem CD19-Antigen können Antikörper produzieren, die die neuromuskuläre Kommunikation stören und bei gMG unter anderem gegen Anti-AChR (Acetylcholin-Rezeptor)-oder Anti-MuSK (Muskelspezifische Tyrosinkinase) gerichtet sind.⁵⁻⁷ Das führt zu einer fluktuierenden, belastungsabhängigen Muskelschwäche mit deutlich ausgeprägter Ermüdbarkeit, die sich im Laufe des Tages oder bei Belastung verstärkt. Da grundsätzlich alle quergestreiften Muskeln betrof-

fen sein können, kommt es zu einem breiten Spektrum unterschiedlicher Beschwerden.⁸⁻¹¹ Die B-Zell-Depletion verbessert die neuromuskuläre Kommunikation und lindert so die Beschwerden.¹²

Blockade des IGF-1-Signalwegs – Die **endokrine Orbitopathie** (EO, engl. Thyroid Eye Disease, TED) ist eine autoimmune Entzündung des Gewebes hinter dem Auge, die häufig auch mit einer Schilddrüsenüberfunktion in Verbindung steht: Bei 90 Prozent der EO-Patient:innen wurde zuvor Morbus Basedow diagnostiziert.¹³

Orbitale Fibroblasten besitzen auf ihrer Oberfläche zwei miteinander verbundene Rezeptoren, den Insulin-like-Growth-Factor-1-Rezeptor (IGF-1R) und den Thyreotropinrezeptor (TSHR). Gemeinsam bilden sie einen Signalkomplex, der wie ein molekularer Schalter wirkt. Bei der endokrinen Orbitopathie bilden sich Autoantikörper, die diese Rezeptoren aktivieren und damit die pathologischen Signalkaskaden auslösen. Es kommt zu einer vermehrten Zellteilung, Freisetzung von Entzündungsbotenstoffen und zur Gewebezunahme hinter dem Auge. Die Folge sind Schwellungen, Schmerzen, Rötungen und in schweren Fällen ein Hervortreten der Augen (Exophthalmus) sowie eine Beeinträchtigung der Sehkraft (beispielsweise durch das Sehen von Doppelbildern (Diplopie)).

Ein modernes Behandlungskonzept blockiert den IGF-1-Rezeptor und unterbricht so die durch Autoantikörper ausgelöste Signalkaskade. Das Ziel ist, die überaktive Immunreaktion zu regulieren und so Symptome wie Schwellung, Druckgefühl und das Hervortreten der Augen nachhaltig zu lindern.

Engagement und Partnerschaften – Wir engagieren uns als Teil von **colour-Up4RARE**, einer gemeinsamen Initiative von führenden Forschungs- und Gesundheitsunternehmen. Ziel der Kampagne ist es, das Bewusstsein für seltene Erkrankungen zu erhöhen und dadurch schnelle Diagnosen und Versorgung zu gewährleisten.

Referenzen:

1. Jarius S et al. Nat Rev Dis Primers 2020;6(1):85
2. Pinheiro FAG et al. Adv Rheumatol 2024;64(1):35
3. Stone JH. Rheumatology (Oxford). 2025;6 (Supplement_1):i24-i27
4. Lanzillotta M et al. Rheumatology (Oxford). 2025; 64(4):2290-2294
5. Yi JS et al. Muscle Nerve 2018;57(2):172-184
6. Willcox HNA et al. Clin Exp Immunol 1984;58(1):97-106
7. Stathopoulos P et al. JCI Insight 2017;2(17):e94263
8. Schneider-Gold C et al. Ther Adv Neurol Disord 2019; 12:1756286419832242
9. Gilhus NE. N Engl J Med 2016;375(26):2570-2581
10. Saccà F et al. Eur J Neurol 2024;31(6):e16180
11. S2k-Leitlinie Diagnostik und Therapie myasthener Syndrome; Registernummer 030 – 087; Stand: 12.11.2024. Online veröffentlicht unter: <https://register.awmf.org/de/leitlinien/detail/030-087>. Letzter Zugriff: November 2025
12. Fachinformation UPLIZNA®
13. Bartley GB. Trans Am Ophthalmol Soc 1994;92:477-588

Weiterführende Links zu den Krankheitsbildern:

www.nmosd-in-focus.com/de
<https://www.ich-und-eo.de/>
<https://www.igg4assoziiert.de/>





UNSERE THERAPIEGEBIETE

Chronisch-entzündliche Erkrankungen

Die Ursache chronisch-entzündlicher Erkrankungen liegt im Immunsystem. Es ist zwar lebenswichtig für den Menschen, kann sich in seltenen Fällen aber auch gegen den eigenen Körper richten. In den betroffenen Organen werden entzündungsfördernde Botenstoffe, die Zytokine (z.B. Interleukine, Tumornekrosefaktor, Interferone), produziert. Wir erforschen die Mechanismen, die zu Entzündungen führen, um innovative Therapien und Biosimilars für Autoimmun- und chronisch-entzündliche Erkrankungen zu entwickeln.



Wir setzen dort an, wo Patientinnen und Patienten neue Behandlungsoptionen besonders dringend benötigen:

- Neovaskuläre altersbedingte Makuladegeneration
- Colitis ulcerosa
- Morbus Crohn
- Axiale Spondyloarthritis
- Morbus Behçet
- Plaque-Psoriasis
- Psoriasis-Arthritis
- Rheumatoide Arthritis
- Hidradenitis suppurativa (Akne inversa)
- Uveitis

Für die Behandlung dieser Erkrankungen werden unterschiedliche Konzepte eingesetzt.

Unsere therapeutischen Ansätze

PDE-4-Inhibition – Der zelluläre Botenstoff cAMP (zyklisches Adenosinmonophosphat) spielt in vielen biologischen Prozessen eine wichtige Rolle, unter anderem in Entzündungsprozessen. Das Enzym Phosphodiesterase 4 (PDE-4) baut cAMP in den Zellen ab, wodurch entzündungsfördernde Signalwege aktiviert werden können.

Hier setzen sogenannte PDE-4-Hemmer an: Sie blockieren das Enzym PDE-4, wodurch die cAMP-Konzentration in den Zellen ansteigt und überschießende Entzündungsreaktionen des Immunsystems reguliert werden. So kann das Gleichgewicht der Immunantwort wiederhergestellt werden.

Diesen Mechanismus nutzen wir im Bereich **Psoriasis-Arthritis**, **Plaque-Psoriasis** und beim **Behçet-Syndrom**.





Unsere Biosimilars bei chronisch-entzündlichen Erkrankungen

Blockade des Wachstumsfaktors

VEGF – Das Protein VEGF (Vascular Endothelial Growth Factor) wird von Körperzellen gebildet, um das Wachstum und die Neubildung von Blutgefäßen zu fördern. Wird es jedoch in zu hoher Menge produziert, kann es dazu führen, dass Blutgefäße übermäßig wachsen und Flüssigkeit durch erhöhte Durchlässigkeit der Gefäße austritt. Dies kann unter anderem im Auge auftreten. Durch die gezielte Hemmung von VEGF kann verhindert werden, dass neue, undichte Blutgefäße gebildet werden und Flüssigkeit in der Netzhaut austritt. So lässt sich das Fortschreiten von Netzhautschäden verlangsamen und die Sehkraft bestmöglich erhalten.

Dieser Mechanismus wird bei Augen-erkrankungen wie der **neovaskulären (feuchten) altersbedingten Makula-degeneration (AMD)**, dem **Makula-ödem infolge eines retinalen Venen-verschlusses**, dem **diabetischen Makulaödem** sowie der **diabetischen Retinopathie** eingesetzt.



TNF- α -Blockade – Der Tumornekrosefaktor-alpha (TNF-alpha) ist ein Zytokin, das bei chronisch-entzündlichen Erkrankungen eine wichtige Rolle spielt. Durch den Einsatz sogenannter TNF-alpha-Blocker kann der Botenstoff gezielt neutralisiert werden, wodurch die Entzündungsreaktion abgeschwächt wird. Dieser Mechanismus wird u.a. bei **rheumatoider Arthritis**, **Psoriasis-Arthritis**, **Plaques-Psoriasis**, **Morbus Crohn** und **Colitis ulcerosa** genutzt.



Interleukin-Blockade – Bestimmte Botenstoffe des Immunsystems, sogenannte Interleukine, insbesondere Interleukin-12 (IL-12) und Interleukin-23 (IL-23), spielen eine wichtige Rolle beim Auslösen und der Aufrechterhaltung von Entzündungen.

Durch eine gezielte Blockade dieser Signalstoffe wird verhindert, dass sie an ihre Rezeptoren auf Immunzellen binden und entzündliche Reaktionen weiter verstärken. So können die Entzündungssignale im Körper unterbrochen und das Immunsystem ins Gleichgewicht gebracht werden.

Dieser Mechanismus wird bei der Behandlung beispielsweise von **Plaques-Psoriasis, Psoriasis-Arthritis** und **Morbus Crohn** genutzt.

Weiterführende Links zu einzelnen Krankheitsbildern finden Sie unter:
<https://www.amgencare.de/>





UNSERE THERAPIEGEBIETE

Knochengesundheit

Über sechs Millionen Menschen in Deutschland leiden an Osteoporose. Jedes Jahr kommen 885.000 Neuerkrankungen hinzu.¹ Häufig bleibt die Erkrankung unerkannt und unbehandelt. Unserem Forschungsteam gelang die Entwicklung einer Therapieoption, die das natürliche Gleichgewicht zwischen Knochenaufbau und -abbau wiederherstellt.



Knochen ist ein Gewebe, das sich in einem stetigen Umbauprozess befindet. Durch spezialisierte Zellen wird die Grundsubstanz des Knochens kontinuierlich ab- und neu aufgebaut. Dabei sorgen Osteoklasten für den Abbau von Knochensubstanz, Osteoblasten für den Aufbau. Die Aktivität der beiden Zelltypen wird durch Botenstoffe reguliert.

Als unsere Wissenschaftler:innen den RANK-Ligand-Signalweg entdeckten, konnten wir nachvollziehen, wie der Körper dieses Verhältnis von Knochenaufbau und -abbau reguliert. Dabei treffen als Gegenspieler vor allem die beiden Proteine RANK-Ligand (RANKL) und Osteoprotegerin (OPG) aufeinander: RANKL ist für die Entwicklung der Osteoklasten sowie für ihre Aktivierung und Lebensdauer wichtig. OPG bindet und neutralisiert RANKL und hemmt auf diese Weise die Osteoklastenaktivität. Mit sinkendem Hormonspiegel – etwa nach der Menopause – und bei malignen oder anderen Erkrankungen gerät das Verhältnis zwischen der Produktion von RANKL und OPG aus der Balance. Es kommt zu einem Überschuss an RANKL, der Knochenabbau nimmt zu.

Hemmung von RANKL

Nachdem der biologische Mechanismus der Erkrankung erforscht war, gelang es uns, ein Wirkprinzip gegen RANKL zu entwickeln. Dadurch wird RANKL daran gehindert, seinen Rezeptor RANK auf der Oberfläche von Osteoklasten und deren Vorläuferzellen zu aktivieren. Durch die Unterbrechung der RANKL/RANK-Interaktion werden die Bildung, die Funktion und das Überleben der Osteoklasten gehemmt und dem durch Osteoklasten vermittelten Knochenabbau entgegengewirkt.



Referenzen

1. Hadji P et al. Dtsch Arztebl Int 2013; 110(4): 52-7;DOI:10.3238/arztebl.2013.0052



UNSERE THERAPIEGEBIETE

Nephrologie

Erythropoetin wird in der Niere gebildet. Eine gesunde Niere nimmt einen Mangel an roten Blutkörperchen wahr und schüttet daraufhin vermehrt Erythropoetin aus. Eine kranke Niere hat nicht nur eine geringere Filterleistung, sie produziert auch weniger Hormone. Aufgrund des Mangels an Erythropoetin leiden nierenkranke Patient:innen häufig an Blutarmut (Anämie).

Unser erstes Arzneimittel hat genau diesen Menschen geholfen: 1985 gelang es unseren Forscher:innen, mit Erythropoetin ein menschliches Hormon herzustellen, das gezielt die Bildung roter Blutzellen anregt.

Unseren Forscher:innen gelang es, das menschliche Erythropoetin und sein Gen zu isolieren und zu klonen. Mit der Entwicklung von rekombinantem Erythropoetin war erstmals ein Ansatz gefunden, der Krebs- und Nierenpatient:innen mit Anämien eine Alternative zu Bluttransfusionen bot.

Sekundärer Hyperparathyreoidismus

Eines unserer weiteren Forschungsgebiete in der Nephrologie ist der sekundäre Hyperparathyreoidismus (sHPT). Er geht häufig mit der chronischen Nierenerkrankung einher und betrifft etwa 80 – 90 Prozent der Dialysepatient:innen.¹ Wenn die Nierenfunktion durch sHPT abnimmt, wird auch die Regulation der Vitamin D-, Calcium- und Phosphatspiegel beeinträchtigt. Die Konzentration von Calcium im Blut sinkt, wodurch es nicht mehr an den Calcium-Rezeptor der Nebenschilddrüse binden kann. Die Nebenschilddrüse bildet dann vermehrt Parathormon (PTH), das wiederum die Freisetzung von Calcium und Phosphat aus den Knochen stimuliert.

Es kommt zu schweren Osteoporose-ähnlichen Schäden an den Knochen. Zudem sind mit einer sHPT-Erkrankung Verkalkungen der Gefäße und damit ein erhöhtes kardiovaskuläres Risiko verbunden.

Freisetzung von Calcium reduzieren

Wir haben einen Ansatz gefunden, die übermäßige Freisetzung von Calcium aus den Knochen zu hemmen. Unser Wirkstoff bindet an die Calcium-Rezeptoren der Nebenschilddrüse und ahmt die Funktion des Calciums nach. Die Herstellung von PTH wird blockiert, wodurch geringere Mengen Calcium und Phosphat aus den Knochen freigesetzt werden.

Referenzen

1. Prävalenzangaben basieren auf: US DOPPS and EURO DOPPS registry. Conducted since 1996 (Arbor Research Collaborative for Health)

Hilfreiche Links



Amgen.de



Seltene Erkrankungen:

<https://www.colourup4rare.com/>



Verband Forschender Arzneimittelhersteller (vfa):

<https://www.vfa.de/>



Patientenportal des vfa:

<https://www.vfa-patientenportal.de/>



**Verein Freiwillige Selbstkontrolle für die
Arzneimittelindustrie e.V. (FSA):**

<https://www.fsa-pharma.de/>



**European Federation of Pharmaceutical Industries
and Associations (EFPIA):**

<https://www.efpia.eu/>



Aktionsbündnis Patientensicherheit e.V.:

<https://www.aps-ev.de/>



**BundesArbeitsGemeinschaft der Patientenstellen
und -Initiativen:**

<https://www.bagp.de/>



Deutsche Arbeitsgemeinschaft Selbsthilfegruppen e.V.:

<https://www.dag-shg.de/>



EUPATI – European Patients Academy on Therapeutic Innovation:

<https://eupati.eu/>

Patient:innen zu helfen – das ist Amgens Mission.

Impressum

Herausgeber:
Ein Service der Amgen GmbH
Abteilung Advocacy Relations
Riesstraße 24
80992 München

Weitere Informationen finden Sie
auch auf www.amgen.de
und www.patienten.amgen.de

Copyrights/Bildquellen: Alle Bilder von Amgen GmbH außer
iStock: S.1 Brauns · S. 10xijian · S.11 pcess609 · S.12-13 hirun · S.14 KatarzynaBialasiewicz · S.20 Diane Gralnick ·
S.22 nortonrsx · S.24 mixetto · S.26 Abraham Gonzalez Fernandez · S.30 izusek · S.32 stefanamer

