

Teknologier for celle- og genterapi

Hva er AAV, CAR-T og CRISPR?

Hos Novartis ser vi på medisinfaget på en ny måte og prøver å skape gjennombrudd der vi tar hensyn til store udekkede behov hos pasienter med alvorlige sykdommer, blant annet genetiske sykdommer og visse dødelige kreftformer. Denne innsatsen gjør vi i samarbeid med forskere, leger, akademiske institusjoner, bransjepartnere og pasienter.

I 2017 fikk Novartis godkjenning for den første CAR-T-celleterapien, som er både celleterapi og genterapi. Det finnes for tiden tre hovedfokusområder for forskning på og utvikling av potensielt revolusjonerende celle- og genterapi hos Novartis: AAV-baserte terapier, CAR-T-celleterapi og CRISPR-baserte teknologier.

AAV-baserte¹

Terapier basert på AAV (adenoassosiert virus) gir mulighet til å tilføre nye eller fungerende kopier av et manglende eller ikke-fungerende gen til humane celler. Siden det virker som AAV ikke er knyttet til noen sykdom, anses det som en sikker og attraktiv vektor for tilførsel av gener. Novartis utforsker bruken av AAV-baserte terapier innen nevrologi og oftalmologi ved å tilføre nye gener til celler hos pasienten.



Nevrologi



Oftalmologi

CAR-T²

Individualisert CAR-T-celleterapi (CAR = chimeric antigen receptor) bruker pasientens eget immunsystem til å bekjempe visse typer av kreft. T-celle til en pasient blir hentet ut og omprogrammert utenfor kroppen for å gjenkjenne og bekjempe kreftceller og andre celler som uttrykker et bestemt antigen. Novartis har en omfattende CAR-T-produktutviklingskjede. Vårt fokus er å øke effekten av celleterapi innen kreftbehandling ved å studere ondartede celler nærmere, potensielt nå frem til pasienter innen blodrelaterte kreftformer og faste svulster og studere potensielle neste generasjons CAR-T-behandlinger som fokuserer på nye mål og benytter nye teknologier.



Onkologi



Hematologi

CRISPR-baserte³

Med teknologi basert på CRISPR (clustered regularly interspaced short palindromic repeats) dannes brudd i begge DNA-trådene. Terapien fungerer som en molekylær saks som kan brukes til å sette inn, fjerne eller erstatte spesifikke deler av en persons eksisterende DNA. Novartis er i en tidlig fase av forskning på bruk av CRISPR-baserte terapier innen hematologi og oftalmologi der vi har potensial til å behandle sykdommer ved å korrigere genetiske defekter.



Oftalmologi



Hematologi

Referanser

1. Davis S, Bierne KJ. Gene therapy using adeno-associated virus vectors. *Clin Microbiol Rev.* 2008;21(4):563-593.
2. Tisagenlecleucel prescribing information. East Hanover, New Jersey, USA: Novartis Pharmaceuticals Corporation; May 2018.
3. Ran FA, et al. Genome engineering using the CRISPR-Cas9 system. *Nat Protoc.* 2013;8(11):2281-2308.