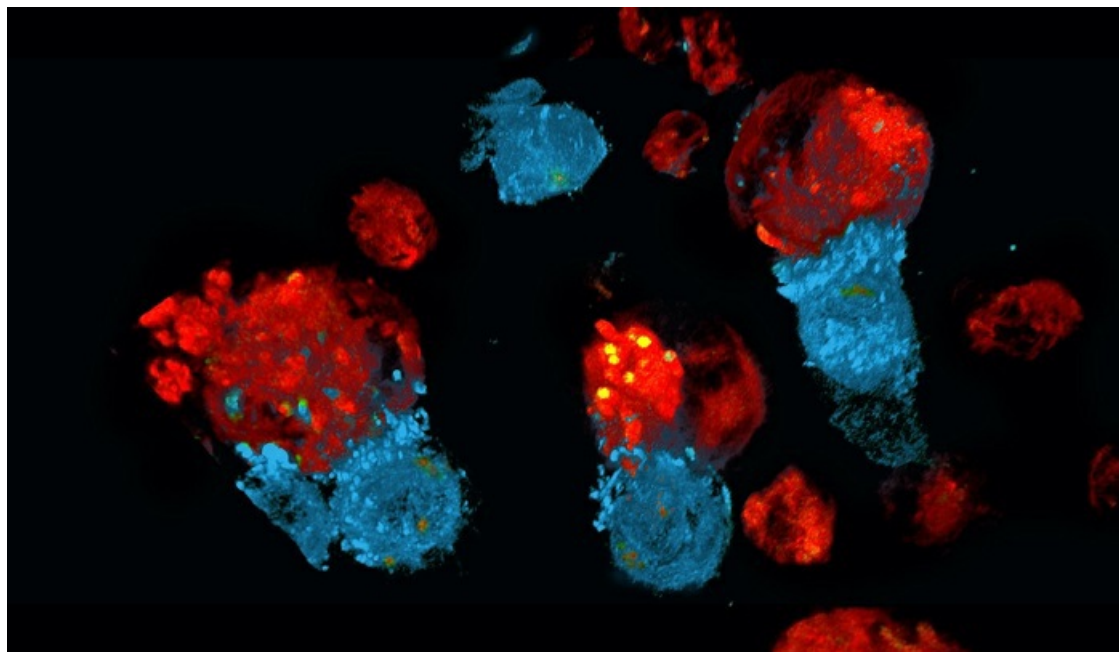


Teknologier for celle- og genterapi: Hva er AAV, CAR-T og CRISPR?

jan 20, 2021

Det finnes for tiden tre hovedfokusområder for utvikling av revolusjonerende celle- og genterapier hos Novartis: AAV-baserte terapier, CAR-T-celleterapier og CRISPR-baserte teknologier.



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.

Det finnes for tiden tre hovedfokusområder for forskning på og utvikling av potensielt revolusjonerende celle- og genterapier hos Novartis: AAV-baserte terapier, CAR-T-celleterapier og CRISPR-baserte teknologier.

AAV-basert¹

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

CAR-T²

Individualisert CAR-T-celleterapi (CAR = chimeric antigen receptor) bruker pasientens eget immunsystem til å bekjempe visse typer av kreft. T-cellene 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 på å øke effekten av celledterapi innen kreftbehandling

ved å studere ondartede celler nærmere, for potensielt å nå frem til pasienter innen både blodrelaterte kreftformer og faste svulster. Vi studerer potensielle neste generasjons CAR-T-behandlinger som fokuserer på nye mål og benytter nye teknologier.

CRISPR-baserte³

Med teknologi basert på CRISPR (clustered regularly interspaced short palindromic repeats) dannes brudd i begge DNA-trådene. Teknologien 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 teknologier innen hematologi og oftalmologi der vi har potensial til å behandle sykdommer ved å korrigere genetiske defekter.

Last ned infografikk ved å klikke på tittelen: [Teknologier for celle- og genterapi \(PDF 9.1 MB\)](#)

Referanser

1. Daya S, Berns KI. Gene therapy using adeno-associated virus vectors. Clin Microbiol Rev. 2008;21(4):583–593.
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.

Source URL: <https://www.novartis.com/no-no/stories/teknologier-celle-og-genterapi-hva-er-aav-car-t-og-crispr>

List of links present in page

- <https://www.novartis.com/no-no/no-no/stories/teknologier-celle-og-genterapi-hva-er-aav-car-t-og-crispr>
- <https://www.novartis.com/no-no/taxonomy/term/46>
- https://www.novartis.com/no-no/no-no/sites/novartis_no/files/Cell%20and%20gene%20therapy%20technologies_NO.pdf