

Cell- och genterapitekniker Vad är AAV, CAR-T och CRISPR?

Novartis ambition är att tänka nytt för att göra medicinska genombrott och hitta nya lösningar för patienter med svåra sjukdomar, inklusive genetiska defekter och vissa dödliga cancersjukdomar. Detta arbete sker i samarbete med forskare, läkare, akademiker, företagspartners och patienter.

År 2017 godkändes Novartis första CAR-T-cellterapi, som är både en cell- och en genterapi. I dagsläget har Novartis fokus på tre huvudområden vad gäller forskning och utveckling av potentiellt transformativ cell- och genterapi: AAV-baserade terapier, CAR-T-cellterapi och CRISPR-baserade tekniker.

AAV-baserade¹

Med hjälp av AAV-baserade terapier (adeno-associated virus) går det att göra fungerande kopior av saknade eller icke fungerande gener i mänskliga celler. Eftersom adenovirus inte tycks vara kopplade till någon sjukdom anses de vara säkra att använda för genterapier. Novartis studerar hur AAV-baserade terapier kan användas inom neurologi och oftalmologi för att lägga till nya gener i patienters celler.



Neurologi



Oftalmologi

CAR-T²

Individualiserad cellterapi baserad på CAR-T (chimeric antigen receptor T-cell) innebär att patientens eget immunsystem används för att bekämpa vissa cancerformer. Patientens T-celler extraheras och omprogrammeras utanför kroppen så att de lär sig att bekämpa cancerceller och andra celler som utsöndrar en specifik antigen. CAR-T-cellterapi för behandling av vissa former av avancerad B-cellsleukemi har fått myndighetsgodkännande. Novartis har flera pågående CAR-T-projekt. Vi strävar efter att öka cellterapiens effektivitet inom onkologi så att malignitet i B-celler kan åtgärdas hos patienter med hematologisk cancer och solida tumörer samt utforska potentiella nya CAR-T-terapi med fokus på nya användningsområden och tekniker.



Onkologi



Hematologi

CRISPR-baserade³

Med hjälp av CRISPR-baserade tekniker (clustered regularly interspaced short palindromic repeats) går det att klippa av DNA-strängar. Tekniken kan beskrivas som en gensax som kan användas för att lägga till, ta bort eller byta ut specifika delar av en persons DNA. Novartis har inlett studier av CRISPR-baserade tekniker för användning inom hematologi och oftalmologi. Dessa kan potentiellt behandla sjukdomar genom korrigering av genetiska defekter.



Oftalmologi



Hematologi

Referenser
1 Davis S, Berry 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; maj 2018.
3 Ran FA, et al. Genome engineering using the CRISPR-Cas9 system. *Nat Protoc*. 2013;8(11):2281-2308.