

Hur skiljer sig cell- och genterapier från konventionella terapier?

Cell- och genterapier kan minska eller eliminera behovet av behandlingar som måste genomföras regelbundet, ofta under resten av livet

Novartis ambition är att tänka nytt och hitta cell- och genterapier som endast behöver genomföras en gång för patienter med allvarliga, ovanliga och livshotande sjukdomar. Tack vare dessa nya terapier går det att omvärdera hur sjukvården kan hantera diagnostik, behandling, vård och kostnader relaterade till dessa patienter.

Konventionella terapier



Använder små molekyler, peptider och proteiner

Behandlingen utnyttjar en liten (oftast läkemedel) eller stor (biologisk) molekyl som imiterar eller avbryter processer som är kopplade till ett tillstånd eller sjukdom



Kronisk terapi

Många konventionella behandlingar innebär regelbundet tablettintag, injektioner eller infusioner, och vanligtvis upphör effekten när medicineringen avbryts

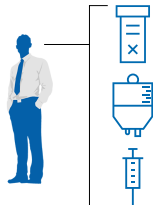


Långsiktigt hantera eller behandla symptom

Minskar tecknen och symptomen på sjukdomen

LEVERERAD IN VIVO

Traditionella mediciner intas, injiceras eller infuseras och verkar inuti kroppen



SAMMA FÖR ALLA

Behandlingar som är utformade för vanliga sjukdomsförlopp eller sjukdomsvägar och som ska fungera för stora patientgrupper



Utgår från bredare kunskaper om sjukdomar för behandling av många patienter

Cell- och genterapier



Använder DNA, RNA och celler

Omprogrammerar kroppen för att bekämpa sjukdom



Engångsbehandling

Effekten kan kvarstå efter en enda behandling



Potentiellt botande

Potential att förändra behandlingssätt, bromsa ett sjukdomsförlopp eller komma åt den underliggande orsaken till en sjukdom

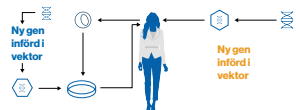
LEVERERAD EX VIVO ELLER IN VIVO¹

EX VIVO

Gener eller celler modifieras eller byts ut utanför kroppen och återförs sedan till patienten

IN VIVO

Gener eller celler förs in i eller förändras direkt inuti patienten



GENETISKT ANPASSAD

Utformad för att behandla varje patient på genetisk nivå



Utgår från unik information om en patients celler och gener, samt från sjukdomsspecifika egenskaper

Referenser
1 High NA. The Jeremiah Meltzer lecture: gene therapy for inherited disorders: from Christmas disease to Leber's amaurosis. Trans Am Clin Climatol Assoc. 2009; 120: 331-359.