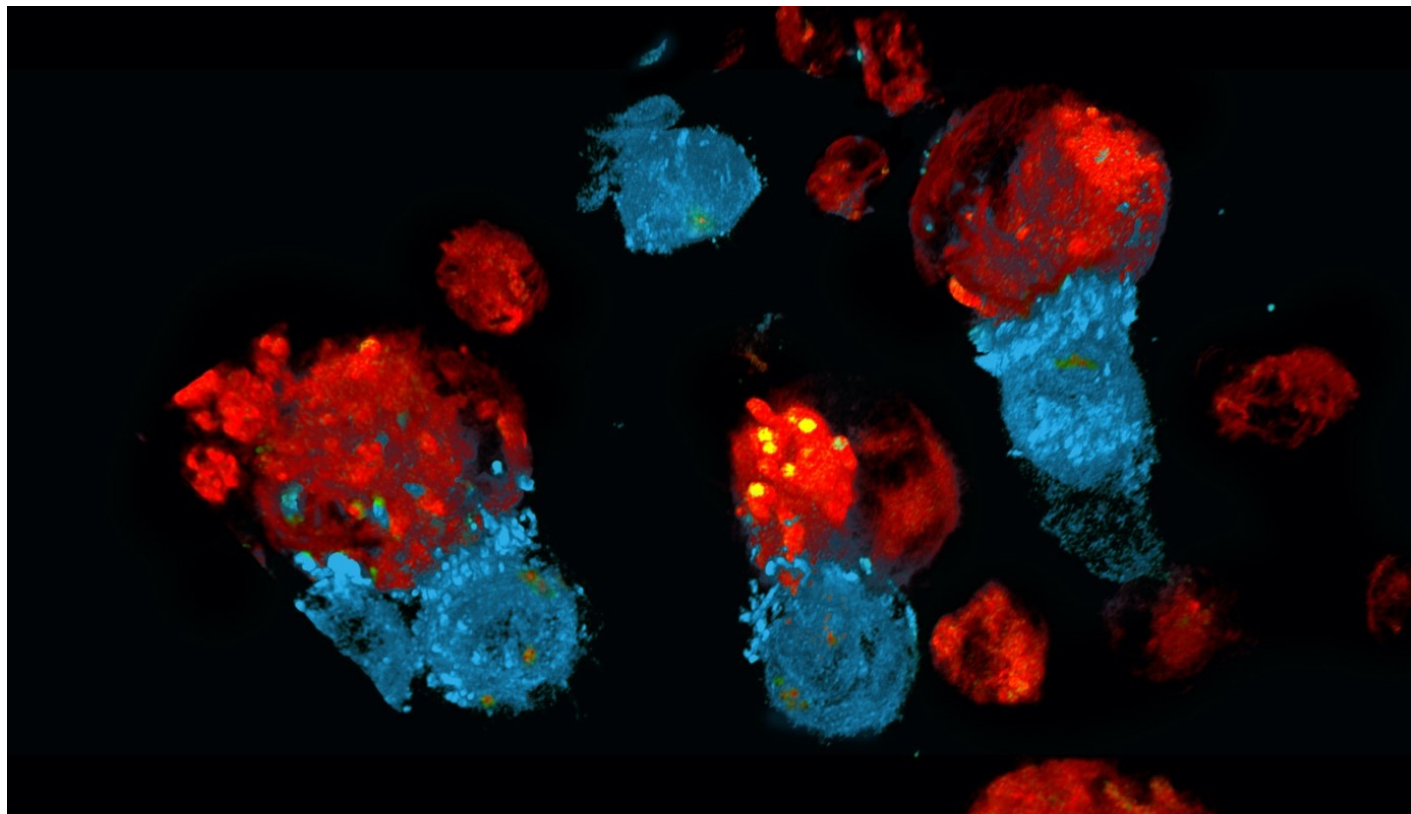


Celle- og genterapeutiske teknologier: Hvad er AAV, CAR-T og CRISPR?

På nuværende tidspunkt har Novartis tre centrale fokusområder for udvikling af transformative celle- og genterapier: AAV-baserede terapier, CAR-T-celleterapier og CRISPR-baserede teknologier.

feb 03, 2021



Hos Novartis har vi taget lægevidenskaben op til revision i vores bestræbelser på at udvikle gennembrud og opfylde hidtil udækkede behov hos patienter med alvorlige sygdomme, herunder genetiske lidelser og visse livstruende kræftformer. Disse bestræbelser udføres i samarbejde med videnskabsfolk, læger, universiteter, industrielle samarbejdspartnere og patienter.

På nuværende tidspunkt har Novartis tre centrale fokusområder for forskning i og udvikling af potentielt transformative celle- og genterapier: AAV-baserede terapier, CAR-T-celleterapier og CRISPR-baserede teknologier.

AAV-baserede terapier¹

AAV (adeno-associerede virus)-baserede behandlinger har potentiale til at indføre nye eller velfungerende kopier af et manglende eller defekt gen til menneskeceller. Eftersom AAV ikke synes at være relateret til nogen bestemt sygdom, betragtes det som en sikker og attraktiv vektor til i forhold til at levere gener. Novartis forsker i brugen af AAV-baserede terapier i snitfladerne mellem neurologi og oftalmologi ved at føre ny gener ind i en patients celler.

CAR-T terapier²

Individualiseret CAR-T-celleterapi (CAR = chimeric antigen receptor) udnytter en patients eget immunsystem til at bekæmpe bestemte kræftformer. En patients T-celler udtages og omprogrammeres uden for kroppen til at genkende og bekæmpe kræftceller og andre celler ved at udtrykke et bestemt antigen. Novartis har en solid forskning og udvikling inden for CAR-T. Vi sætter fokus på at styrke cellederapiens position inden for kræftforskningen ved forskningsmæssigt at trænge dybere ned i B-celle-misdannelser, for potentielt at kunne styrke anvendelsen til patienter med hæmatologiske kræftformer og solide tumorer og dermed udvikle potentialet inden for næste generations CAR-T-behandling, som har fokus på nye behandlingsmål samt udnyttelse af nye teknologier.

CRISPR-baserede terapier³

CRISPR (clustered regularly interspaced short palindromic repeats)-baserede teknologier danner dobbeltstrengede klip i DNA, og fungerer dermed som en molekylesaks, der kan benyttes til at indsætte, slette eller udskifte specifikke dele af en persons eksisterende DNA. Novartis gennemfører tidlig forskning i brugen af CRISPR-baserede teknologier i snitfladen mellem hæmatologi og oftalmologi for potentielt at behandle sygdomme ved at rette genfejl.

[Se infografikken \(PDF 8.9 MB\) →](#)

Referencer:

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

DK2102030561

Source URL: <https://www.novartis.com/dk-da/stories/celle-og-genterapeutiske-teknologier-hvad-er-aav-car-t-og-crispr>

List of links present in page

- <https://www.novartis.com/dk-da/dk-da/stories/celle-og-genterapeutiske-teknologier-hvad-er-aav-car-t-og-crispr>
- <https://www.novartis.com/dk-da/taxonomy/term/46>
- https://www.novartis.com/dk-da/dk-da/sites/novartis_dk/files/cell-and-gene-therapy-technologies-dk.pdf