

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

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

I 2017 opnåede Novartis godkendelse af den første CAR-T-celleterapi, der på én gang er en celleterapi og en genterapi. På nuværende tidspunkt er der tre centrale fokusområder for forskning i og udvikling af potentielt transformative celle- og genterapier hos Novartis: AAV-baserede terapier, CAR-T-celleterapi og CRISPR-baserede teknologier.

## AAV-baseret<sup>1</sup>

AAV (adeno-knyttede 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.



Neurologi



Oftalmologi

## CAR-T<sup>2</sup>

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. CAR-T-celleterapi er for nærværende godkendt af flere landes lægemiddelstyrelser til behandling af bestemte former for fremskredne B-celle-leukæmier. Novartis har en solid forskning og udvikling inden for CAR-T. Vi sætter fokus på at styrke celleterapiens 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



Hæmatologi



Onkologi

## CRISPR-baseret<sup>3</sup>

CRISPR (clustered regularly interspaced short palindromic repeats)-baserede terapier 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 terapier i snitfladen mellem hæmatologi og oftalmologi for potentielt at behandle sygdomme ved at rette genfejl.



Oftalmologi



Hæmatologi

Referenceer  
1 Davis S, Bessis KI. Gene therapy using adeno-associated virus vectors. *Clin Microbiol Rev.* 2008;21(4):563-593.  
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.