

# Solu- ja geenihoitojen teknologia

## Mitä AAV, CAR-T ja CRISPR ovat?

Novartis pyrkii saavuttamaan läpimurtoja luomalla uudenlaista lääketiedettä sekä tarjoamaan hoitoa esimerkiksi vakavia geneettisiä sairauksia tai vaikeahoitoista syöpää sairastaville potilaille, joita ei tähän mennessä ole voitu hoitaa. Teemme tavoitteiden hyväksi yhteistyötä tutkijoiden, fyysikoiden, yliopistomaailman, teollisuuden ja potilaiden kanssa.

Vuonna 2017 Novartis sai hyväksynnän ensimmäiselle CAR-T-soluhoidolle, joka edustaa sekä solu- että geeniterapiaa. Novartis keskittyy tutkimus- ja kehitystyössään pääasiassa kolmeen geeninsiirtoon perustuvaan solu- ja geeniterapian potentiaaliseen osa-alueeseen: AAV-pohjaisiin hoitoihin, CAR-T-soluhoihoihin ja CRISPR-pohjaiseen teknologiaan.

### AAV-menetelmät<sup>1</sup>

Adenoassioituneeseen virukseen perustuvilla AAV-hoitomenetelmillä voidaan siirtää ihmisen soluihin uusia geneejä tai puuttuvien tai toimimattomien geenien toimivia kopioita. Koska AAV:n ei tiedetä kantavan mitään sairauksia, sitä pidetään turvallisena ja kiinnostavana vektorina geenien kuljettamiseen. Novartis tutkii AAV-pohjaisten hoitomenetelmien käyttöä uusien geenien kuljettamisessa potilassoluihin neurologian ja silmäsairauksien alalla.



Neurologia



Silmätaudit

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

Yksilöllisessä CAR-T-menetelmässä (CAR = kimeerinen antigeenireseptori) torjutaan tiettyjä syöpäsoluja potilaan oman immuunijärjestelmän avulla. Potilaan T-soluja eristetään ja ohjelmoidaan uudelleen kehon ulkopuolella syöpäsolujen ja muiden tiettyyn antigeeniin liittyvien solujen tunnistamiseksi ja torjumiseksi. CAR-T-soluhoidoilla on monien sääntelyviranomaisten hyväksyntä tiettyjen pitkälle edenneiden B-soluleukemioiden hoidossa. Novartis on tehnyt paljon CAR-T-tutkimusta. Pyrimme laajentamaan soluhoidojen käyttöaluetta syöpähoitoissa perehtymällä pahanlaatuisiin B-solumuutoksiin ja tarjoamaan hoitoa mahdollisesti myös muihin verisyöpäin ja kiinteän kudoksen kasvaimiin. Tutkimme potentiaalisia seuraavan sukupolven CAR-T-menetelmiä, joita voidaan käyttää uusiin tarkoituksiin uusien tekniikoiden avulla.



Syöpätaudit



Verisairaudet

### CRISPR-menetelmät<sup>3</sup>

CRISPR-menetelmissä (CRISPR = clustered regularly interspaced short palindromic repeats) luodaan kaksijuosteiseen DNA:han katkoksia, eli molekyyliä ikään kuin leikataan saksilla. Näillä "geenisaksilla" voidaan siirtää, poistaa tai korvata tiettyjä geenipätkiä potilaan DNA:ssa. Novartis tekee CRISPR-hoitomenetelmien varhaisvaiheen tutkimusta veri- ja silmäsairauksien alalla, jotta sairauksia voitaisiin hoitaa geenivirheitä korjaamalla.



Silmätaudit



Verisairaudet

Lähteet  
1. Davis, Berni K. Gene therapy using adeno-associated virus vectors. *Clin Microbiol Rev.* 2008;21(4):563-590.  
2. Tisagenlecleucel prescribing information. East Hanover, New Jersey, USA: Novartis Pharmaceuticals Corporation; toukokuu 2018.  
3. Ran FA, et al. Genome engineering using the CRISPR-Cas9 system. *Nat Protoc.* 2013;8(11):2281-2308.