

Solu- ja geeniterapian menetelmät: Mitä AAV, CAR-T ja CRISPR ovat?

Keskiviikko, 13 Tammikuu 2021

Novartis keskittyy kehitystyössään pääasiassa kolmeen geeninsiirtoon tai -muokkaukseen perustuvaan solu- ja geeniterapian osa-alueeseen: AAV-pohjaisiin hoitoihin, CAR-T-soluhoidoihin ja CRISPR-pohjaiseen teknologiaan.

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, lääkärien, yliopistomaailman, teollisuuden ja potilaiden kanssa.

Novartis keskittyy tutkimus- ja kehitystyössään pääasiassa kolmeen geeninsiirtoon tai -muokkaukseen perustuvaan solu- ja geeniterapian lupaavaan osa-alueeseen: AAV-pohjaisiin hoitoihin, CAR-T-soluhoidoihin ja CRISPR-pohjaiseen teknologiaan.

AAV-menetelmä¹

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

CAR-T2

Yksilöllisessä CAR-T-hoidossa (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. Novartis on tehnyt paljon CAR-T-tutkimusta. Pyrimme laajentamaan soluhoidojen käyttöaluetta syöpähoidoissa perehtymällä pahanlaatuisiin solumuutoksiin sekä tarjoamaan hoitoa myös verisyöpiin ja kiinteän kudoksen kasvaimiin. Tutkimme potentiaalisia seuraavan sukupolven CAR-T-menetelmiä, joita voidaan käyttää uusiin tarkoituksiin uusien tekniikoiden avulla.

CRISPR-menetelmät³

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-tekniikoiden varhaisvaiheen tutkimusta veri- ja silmäsairauksien alalla, jotta sairauksia voitaisiin hoitaa geenivirheitä korjaamalla.

Novartis keskittyy kehitystyössään pääasiassa kolmeen geeninsiirtoon tai -muokkaukseen perustuvaan solu- ja geeniterapian osa-alueeseen: AAV-pohjaisiin hoitoihin, CAR-T-soluhoidoihin ja CRISPR-pohjaiseen teknologiaan.

Lähteet

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

Source URL: <https://www.novartis.com/fi-fi/stories/solu-ja-geeniterapian-menetelmat-mita-aav-car-t-ja-crispr-ovat>

List of links present in page

- <https://www.novartis.com/fi-fi/fi-fi/stories/solu-ja-geeniterapian-menetelmat-mita-aav-car-t-ja-crispr-ovat>
- <https://www.novartis.com/fi-fi/stories/discovery>
- https://www.novartis.com/fi-fi/fi-fi/sites/novartis_fi/files/up-3-cell-and-gene-therapy-technologies-fi-web.pdf