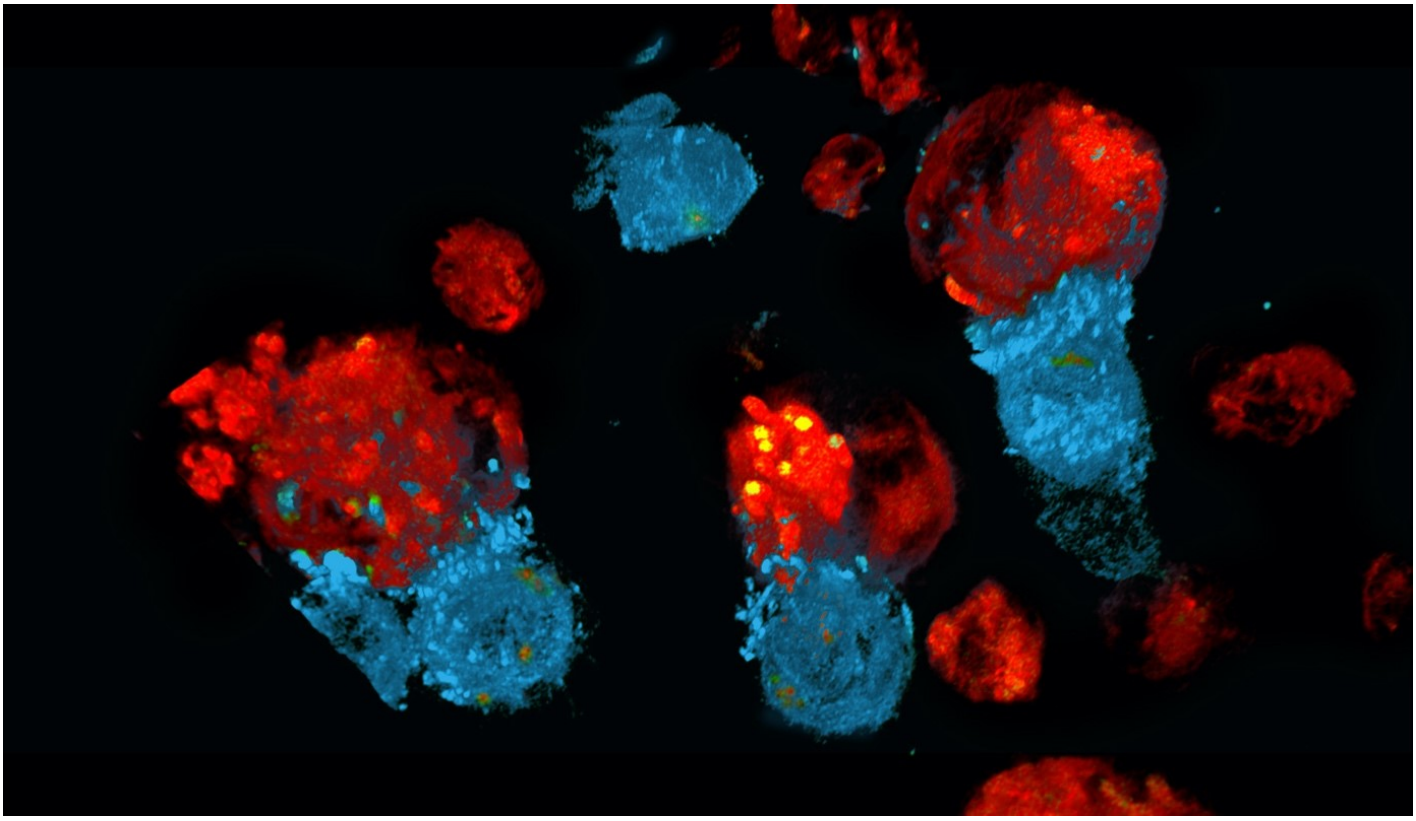
Cell- och genterapitekniker: Vad är AAV, CAR-T och CRISPR?

I dagsläget fokuserar Novartis på tre huvudområden vad gäller utveckling av transformativa cell- och genterapier: AAV-baserade terapier, CAR-T-cellterapier och CRISPR-baserade tekniker.

Jan 13, 2021



Novartis ambition är att tänka nytt för att göra medicinska genombrott och hitta nya lösningar för patienter med svåra sjukdomar, inklusive genetiska defekter och vissa dödliga cancersjukdomar. Detta arbete sker i samarbete med forskare, läkare, akademiker, företagspartners och patienter.

I dagsläget fokuserar Novartis på tre huvudområden vad gäller forskning och utveckling av potentiellt transformativa cell- och genterapier: AAV-baserade terapier, CAR-T-cellterapier och CRISPR-baserade tekniker.

AAV-baserade[1]

Med hjälp av AAV-baserade terapier (adeno-associated virus) går det att göra nya eller fungerande kopior av saknade eller icke fungerande gener i mänskliga celler. Eftersom adenovirus inte tycks vara kopplade till någon sjukdom anses de vara säkra och attraktiva vektorer att använda för genterapier. Novartis studerar hur AVV-baserade terapier kan användas inom neurologi och oftalmologi för att föra in nya gener i patienters celler.

CAR-T[2]

Individualiserad cellterapi baserad på CAR-T (chimeric antigen receptor T-cell) innebär att patientens eget immunsystem används för att bekämpa vissa cancerformer. Patientens T-celler extraheras och omprogrammeras utanför kroppen så att de lär sig att bekämpa cancerceller och andra celler som utsöndrar en specifik antigen. Novartis har flera pågående CAR-T-projekt. Vi strävar efter att öka cellterapins effektivitet inom onkologin så att maligniteter potentiellt kan åtgärdas hos patienter med hematologisk cancer och solida tumörer samt utforska potentiella nya CAR-T-terapier med fokus på nya användningsområden och tekniker.

CRISPR-baserad[3]

Med hjälp av CRISPR-baserade tekniker (clustered regularly interspaced short palindromic repeats) går det att klippa av DNA-strängar. Tekniken kan beskrivas som en gensax som kan användas för att lägga till, ta bort eller byta ut specifika delar av en persons DNA. Novartis har inlett studier av CRISPR-baserade tekniker för användning inom hematologi och oftalmologi. Dessa kan potentiellt behandla sjukdomar genom korrigering av genetiska defekter.

Ladda ner infografik (PDF 9.0 MB) →

Referenser

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; maj 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/se-se/stories/cell-och-genterapitekniker-vad-ar-aav-car-t-och-crispr*

List of links present in page

- https://www.novartis.com/se-se/se-se/stories/cell-och-genterapitekniker-vad-ar-aav-car-t-och-crispr
- https://www.novartis.com/se-se/se-se/taxonomy/term/46
- https://www.novartis.com/se-se/se-se/sites/novartis_se/files/Cell-%20och%20genterapitekniker.pdf