

# Schwerpunkte der Gen- und Zelltherapie bei Novartis

Wir bei Novartis entwickeln innovative Medikamente, um Patientinnen und Patienten neue Therapieoptionen für schwere Erkrankungen zu bieten: Dazu zählen etwa Gendefekte und bestimmte Krebsarten mit hoher Mortalitätsrate.

Derzeit gibt es bei Novartis drei Schwerpunktbereiche in der Erforschung und Entwicklung von potenziell lebensverändernden Zell- und Gentherapien:

- AAV-basierte Therapien
- CAR-T Zelltherapien
- CRISPR-basierte Technologien

## AAV<sup>1</sup>

Therapien basierend auf adeno-assoziierten Viren (AAV) nutzen diese Viren, um neue oder funktionierende Kopien eines fehlenden oder nicht funktionierenden Gens in menschliche Zellen ein zu schleusen. Die Forschungslage deutet daraufhin, dass AAV nicht in Verbindung mit Erkrankungen stehen. Daher gelten AAV als sichere und attraktive Vektoren – also Vehikel, um Gene in menschliche Zellen einzuschleusen. Vor allem für neurologische und onkologische Therapien werden AAV-basierte Ansätze bei Novartis erforscht.



Neurologie



Ophthalmologie

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

Bei CAR-T (Chimäre Antigenrezeptoren / T-Zellen) werden dem Patienten T-Zellen entnommen, um in diese Zellen mittels eines Vektors ein umprogrammiertes Gen einzubringen. Dieses Gen der T-Zellen wird außerhalb des Körpers so umprogrammiert, dass die T-Zellen nun spezielle Krankheitsmarker (Antigen) an der Zelloberfläche erkennen und so Krebszellen identifizieren können. Diese veränderten T-Zellen (CAR-T-Zellen) werden in den Blutkreislauf des Menschen rückgeführt, wo sie Krebszellen mit dem spezifischen Oberflächenmarker aufspüren und unschädlich machen können.



Onkologie



Hämatologie

## CRISPR<sup>3</sup>

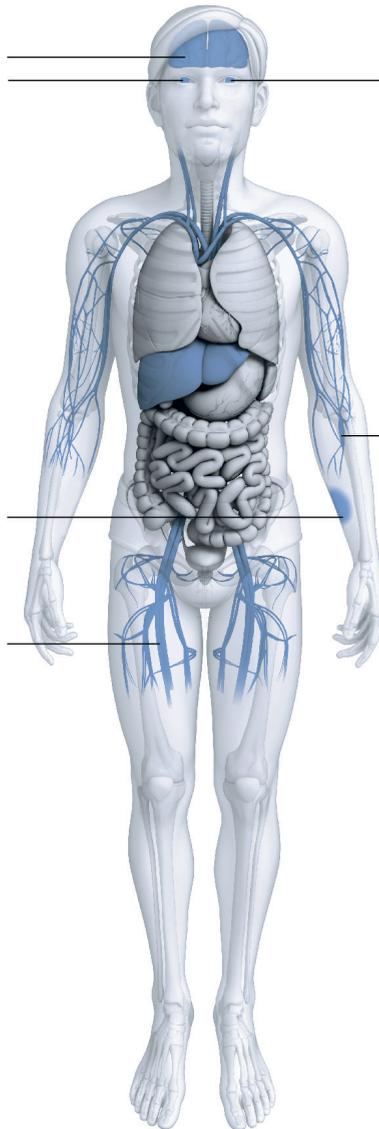
Technologien, die auf CRISPR (clustered regularly interspaced short palindromic repeats) basieren, erzeugen doppelsträngige Brüche in der DNA. Sie wirken wie eine molekulare Schere, mit der bestimmte Teile der vorhandenen DNA einer Person eingefügt, entfernt oder ersetzt werden können. Novartis erforscht bereits den Einsatz von CRISPR-basierten Technologien in der Hämatologie und Ophthalmologie, um Krankheiten durch die Korrektur von Gendefekten zu behandeln.



Ophthalmologie



Hämatologie



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

<sup>2</sup> American Cancer Society. CAR T-cell therapy to treat cancer. <https://www.cancer.org/treatment/treatments-and-side-effects/treatmenttypes/immunotherapy/car-t-cell1.html>. Letzte Aktualisierung am 24. Juli 2020. Letzter Zugriff am 01.02.2021.

<sup>3</sup> Ran FA, et al. Genome engineering using the CRISPR-Cas9 system. Nat Protoc. 2013;8(11):2281–2308.