

# Terapia celular e gênica: Uma nova era da medicina

**Terapias celulares e gênicas podem ajudar a reduzir ou eliminar a necessidade de tratamentos que precisam ser feitos de forma contínua, normalmente durante toda a vida**

A Novartis está reimaginando a medicina com terapias celulares e gênicas de dose única, potencialmente curativas que precisam ser administradas apenas uma vez para pacientes com doenças graves, raras ou fatais. Essas novas terapias apresentam a oportunidade de reexaminar como o nosso sistema de saúde administra o diagnóstico, o tratamento, o cuidado e os custos associados para esses pacientes.

## Terapia Convencional

**UTILIZA PEQUENAS MOLÉCULAS, PEPTÍDEOS, PROTEÍNAS**  
O tratamento contém uma pequena (a maioria dos medicamentos) ou uma grande (biológicos) molécula que imita ou interrompe processos associados com a condição ou doença



**TERAPIA CRÔNICA**  
Muitos tratamentos convencionais devem ser administrados por pílula, injeção ou infusão de forma contínua, e normalmente o efeito do tratamento passa quando a medicação é interrompida

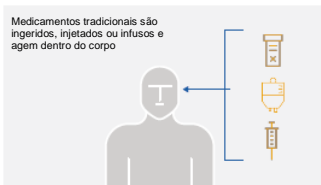


**ADMINISTRAR OU TRATAR OS SINTOMAS A LONGO PRAZO**  
Normalmente alivia os sinais e os sintomas da doença



### ADMINISTRADA IN VIVO

Medicamentos tradicionais são ingeridos, injetados ou infusos e agem dentro do corpo



## Terapia Celular e Gênica



**UTILIZA DNA, RNA, CÉLULAS**  
Reprograma o corpo para combater diretamente a doença



**TRATAMENTO DE DOSE ÚNICA**  
O efeito do tratamento pode ser permanente após uma única administração



**POTENCIALMENTE CURATIVA**  
Potencial de transformar a medicina, impedindo o progresso de uma doença ou aliviando a causa subjacente de uma doença.

### ADMINISTRADA EX VIVO OU IN VIVO<sup>1</sup>

#### EX VIVO

Genes e células são modificadas ou substituídas fora do corpo e então são devolvidas ao paciente

Novo gene está inserido no vetor

#### IN VIVO

Genes ou células são inseridos ou alterados diretamente dentro do paciente

Novo gene está inserido no vetor



**Este recurso foi fornecido para tradução e para aprovação local. Se você deseja utilizá-lo, assegure-se de seguir as políticas de conformidade local aplicáveis e obter todas as aprovações legais, regulatórias ou outras necessárias antes do uso.**

#### IDÊNTICO PARA TODOS

Tratamento uniforme projetado para beneficiar grandes grupos de pacientes, tratando processos comuns da doença ou percursos específicos da doença

Utiliza conhecimento amplo sobre as doenças para tratar muitos pacientes



#### GENETICAMENTE FOCADA

Projetada para tratar cada paciente em nível genético

Utiliza informações únicas sobre os genes e as células do paciente, juntamente com as características individuais de sua doença



#### Referência

1. High KA. The Jeremiah Metzger lecture: gene therapy for inherited disorders: from Christmas disease to Leber's amaurosis. *Trans Am Clin Climatol Assoc.* 2009; 120: 331-359.

**Este recurso foi fornecido para tradução e para aprovação local. Se você deseja utilizá-lo, assegure-se de seguir as políticas de conformidade local aplicáveis e obter todas as aprovações legais, regulatórias ou outras necessárias antes do uso.**

