

# Terapias Celulares e Genéticas - Áreas de foco Novartis

**Na Novartis, estamos a reimaginar a medicina para desenvolver inovação transformadora em áreas de maior necessidade para doentes que vivem com doenças graves, como doenças genéticas ou determinados tipos de cancro. Um esforço conjunto em colaboração com cientistas, médicos, academia, unidades de produção e doentes.**

**Em 2017, a Novartis recebeu aprovação para a primeira terapia com células T, a qual é simultaneamente uma terapia celular e genética. Atualmente, existem três grandes áreas de foco de investigação e desenvolvimento de terapias potencialmente transformadoras na Novartis: as terapias com base nos AAV, terapias com células T e tecnologias com base nos CRISPR.**

## AAVs<sup>1</sup>

Os AAV (vírus adeno-associados) podem ser preenchidos com carga - incluindo genes humanos funcionais - e direccionados a tipos específicos de células. Este é um método considerado seguro, uma vez que os AAV têm a particularidade de não causar doença. A Novartis está a investigar o uso destas terapias nas áreas de neurologia e oftalmologia, pela perspectiva de introdução de novos genes nas células dos doentes.



### Neurologia



### Oftalmologia

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

A terapia com células T do receptor de antígeno quimérico (*chimeric antigen receptor T-cell - CAR-T*) é gerada a partir das células T do próprio doente, para que seu sistema imunitário consiga combater determinados tipos de cancro. As células T são separadas de uma amostra de sangue e reprogramadas para reconhecer e combater células cancerígenas, ou outras que contenham determinado antígeno. A Novartis tem um extenso pipeline nesta área. O nosso objetivo é expandir o impacto destas terapias em oncologia e potencialmente criar resposta para outras formas de cancro hematológico e tumores sólidos, e potencialmente alcançar uma nova geração de terapias com células T.



### Oncologia



### Hematologia

## CRISPR<sup>3</sup>

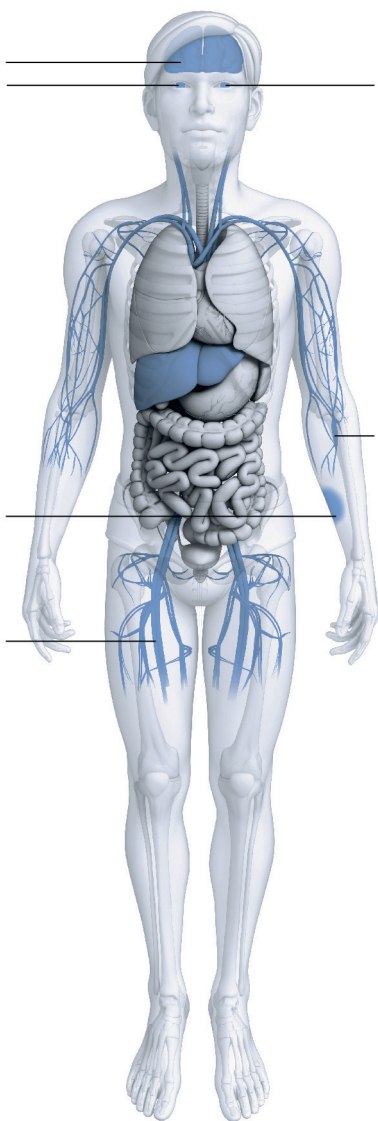
As terapias com base nos CRISPR (*clustered regularly interspaced short palindromic repeats*) atuam ao nível do ADN, como "tesouras moleculares" que podem ser utilizadas para introduzir, remover ou substituir determinadas partes do ADN de um doente. A Novartis está a investigar a possibilidade da aplicação destas terapias nas áreas de neurologia e oftalmologia para, potencialmente, criar resposta para determinadas doenças, pela possibilidade de correção de defeitos genéticos.



### Oftalmologia



### Hematologia



## Referências

<sup>1</sup> Daya S, Berens KJ. Gene therapy using adeno-associated virus vectors. *Clin Microbiol Rev*. 2008;21(4):593-603.  
<sup>2</sup> Therapeutic protein information. East Hanover, New Jersey USA: Novartis Pharmaceuticals Corporation; May 2018.  
<sup>3</sup> Ran FA, et al. Genome engineering using the CRISPR-Cas9 system. *Nat Protoc*. 2013;8(11):2281-2308.