

Terapias Celulares e Genéticas

Representam o grande salto na medicina personalizada, criando um ponto de viragem na nossa capacidade de tratar, e potencialmente curar, muitas doenças atualmente sem resposta.

O termo “medicina personalizada” cativa a nossa imaginação. Sabendo que cada indivíduo é único, há muito que sonhamos com a existência de um tratamento à medida de cada doente. As terapias celulares e genéticas representam o grande salto na medicina personalizada, criando um ponto de viragem na nossa capacidade de tratar, e potencialmente curar, muitas doenças atualmente sem resposta.

Cada terapia celular e genética é desenhada com base em informação detalhada sobre a origem de uma determinada doença. Atuam sobre a fonte do problema, reparando ou ajustando as células ao nível genético. Na Novartis, estamos empenhados em chegar mais longe na investigação em torno das terapias celulares e genéticas, com o objetivo de desenvolver uma resposta transformadora para várias patologias, como doenças genéticas ou determinados tipos de cancro.



O que são terapias celulares e genéticas?

As terapias celulares e genéticas são pensadas para parar o avanço de uma doença ou mesmo reverter o seu progresso, em vez de apenas controlar os seus sintomas. Estes tratamentos são, na maioria dos casos, de Administração única, em contraste com a maioria das terapêuticas convencionais de toma contínua durante um longo período de tempo, ou durante toda a vida.

Com a terapia celular, as células são cultivadas ou modificadas fora do corpo antes de serem injetadas ou

infundidas no doente, onde se tornam um "medicamento vivo". Com a terapia genética, os genes são substituídos, inativados ou introduzidos nas células - fora ou dentro do corpo - para tratar uma doença. Ambas as abordagens têm o potencial de aliviar a causa subjacente de doenças genéticas e doenças adquiridas. Isto pode ocorrer substituindo a(s) proteína(s) ou células ausentes, que causam os sintomas da doença, suprimindo a expressão de proteínas tóxicas para as células ou eliminando as células cancerígenas.

As primeiras terapias genéticas foram aprovadas pelas autoridades de saúde nos últimos anos. Para que a terapia genética funcionasse, os investigadores precisavam de desenvolver sistemas de entrega fiáveis para transportar o gene correto para as células corretas, dentro ou fora do corpo. Algo que já foi alcançado, com vírus projetados para transportar e entregar em segurança genes específicos, com o potencial de restaurar ou aumentar a função de certas células.

Conheça as três áreas de foco da nossa investigação em terapias celulares e genéticas.

[Ver pdf \(PDF 0.6 MB\).](#)

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.

AAVs¹

Os AAV (vírus adeno-associados) podem ser preenchidos com carga - incluindo genes humanos funcionais - e direcionados a tipos específicos de células. Este é um método considerado seguro, uma vez que os AAV têm a particularidade de não causar



CRISPR³

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

doença. A NOVARTIS esta a investigar o uso destas terapias nas áreas de neurologia e oftalmologia, pela perspetiva de introdução de novos genes nas células dos doentes.



Neurologia



Oftalmologia

CAR-T²

A terapia com células T do recetor 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

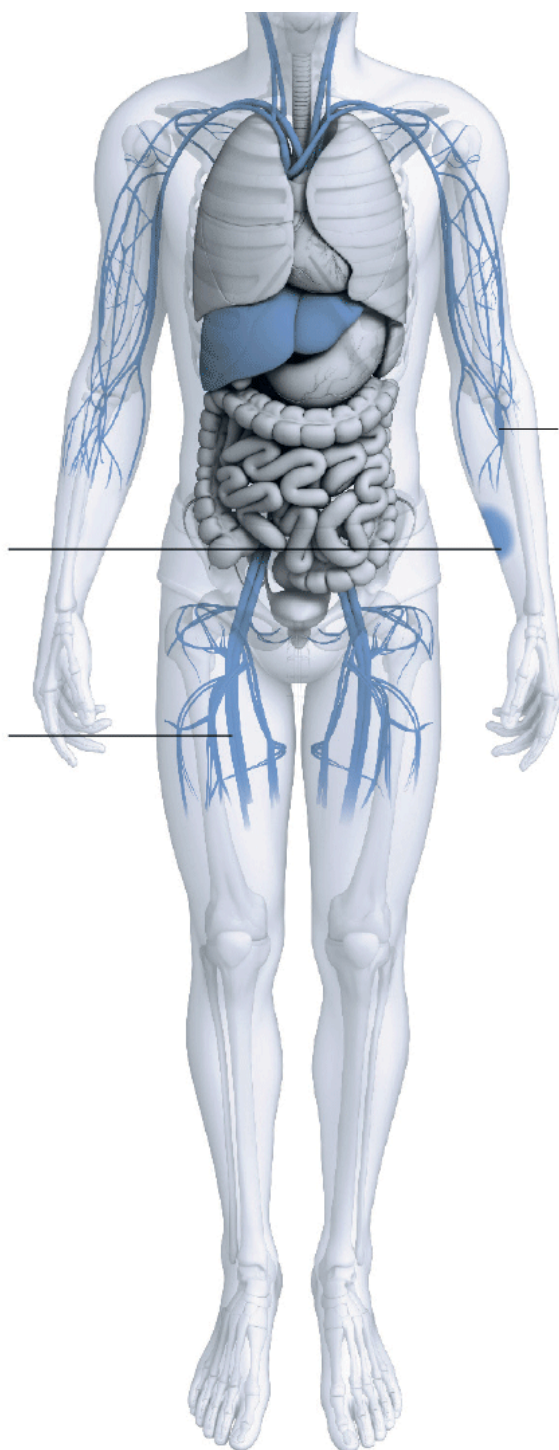
de um doente. A NOVARTIS esta a investigar a possibilidade da aplicação destas terapias nas áreas de neurologia e oftalmologia para, potencialmente, criar resposta para determinadas doenças, pela possibilidade de correção de defeitos genéticos.



Oftalmologia



Hematologia



Referências

1. Daya S, Berra 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; May 2018.
3. Ran FA, et al. Genome engineering using the CRISPR-Cas9 system. *Nat Protoc*. 2013;8(11):2281-2308.

Novartis Farma - Produtos Farmacêuticos, S.A.

Avenida Professor Doutor Cavaco Silva, n.º 10E, Taguspark, 2740-255 Porto Salvo
NIPC 500063524

Colaborar numa nova fronteira

Enquanto procuramos reinventar a medicina, os atuais sistemas de saúde estão construídos para a gestão de condições crónicas, que necessitam de tratamentos numa base regular, frequentemente durante muitos anos ou décadas. Não estão ainda adaptados para terapêuticas desenvolvidas para fornecer benefícios durante toda a vida, após uma infusão única. As terapias celulares e genéticas únicas introduzem uma série de complexidades, sem precedentes, no diagnóstico, tratamento, prestação de cuidados e, ao mesmo tempo, têm o potencial para contribuir para que o sistema consiga economizar como um todo. A Novartis está a colaborar com governos, hospitais e médicos para encontrar soluções, inclusive explorando novos modelos de pagamento. As terapias celulares e genéticas oferecem uma oportunidade para toda a indústria visitar a maneira como o medicamento chega aos doentes.

A Novartis está comprometida em continuar este esforço de investigação em terapias celulares e genéticas, acreditando que é nesta área que conseguiremos desenvolver importantes avanços para o tratamento de doenças hoje ainda sem resposta. Acreditamos na promessa destes novos e emocionantes tratamentos e continuaremos a trabalhar para os fazer chegar aos doentes.

Source URL: <https://www.novartis.com/pt-pt/profissionais-de-saude/terapias-celulares-e-geneticas>

List of links present in page

- <https://www.novartis.com/pt-pt/pt-pt/profissionais-de-saude/terapias-celulares-e-geneticas>
- https://www.novartis.com/pt-pt/pt-pt/sites/novartis_pt/files/infografia-terapias-celulares-e-geneticas.pdf