

Novartis e Fundação Bill & Melinda Gates colaboram para descobrir e desenvolver uma terapia genética *in vivo* acessível para a doença falciforme

Fev 25, 2021

- *O projeto alia a experiência da Novartis no desenvolvimento de medicamentos e terapia genética ao financiamento da Fundação*
- *Este acordo tem por objetivo reduzir a disparidade no acesso a tratamentos e dar prioridade às populações e regiões onde a doença falciforme tem maior impacto*
- *Este envolvimento reforça o compromisso da Novartis com a doença falciforme, que inclui um pipeline terapêutico e uma abordagem holística do diagnóstico, tratamento e gestão da doença na África Subsaariana*

Porto Salvo, 25 de fevereiro, 2021 – A Novartis anunciou a formalização de um acordo com a Fundação Bill & Melinda Gates. No âmbito deste acordo, a Fundação disponibilizará um apoio financeiro para a descoberta e desenvolvimento de uma terapia genética *in vivo* de toma única para o tratamento da doença falciforme. O projeto junta a experiência da Novartis no desenvolvimento de medicamentos e terapia genética com os objetivos de carácter social da Fundação Gates de aumentar o acesso aos cuidados de saúde em contextos com poucos recursos, num esforço para lidar com esta doença genética potencialmente fatal.

“As abordagens de terapia genética disponíveis para a doença falciforme são difíceis de aplicar em grande escala e há muitos entraves para chegar à grande maioria das pessoas afetadas por esta doença incapacitante”, declarou Jay Bradner, hematologista e Presidente do Novartis Institute for BioMedical Research (NIBR). *“Este é um desafio que exige uma ação coletiva, e estamos entusiasmados em poder contar com o apoio da Fundação Bill & Melinda Gates para dar resposta a esta necessidade médica global não atendida.”*

A doença falciforme é uma doença hereditária do sangue - uma das doenças genéticas identificadas há mais tempo e das mais comuns. A doença afeta milhões em todo o mundo, sendo que todos os anos nascem mais de 300.000 crianças com esta doença^{1,2}. Afeta desproporcionalmente os afrodescendentes, a África Subsaariana representa cerca de 80% da incidência desta doença³. Também é comum entre os ascendentes da América do Sul, América Central e Índia, bem como de vários países mediterrâneos, como a Itália e a Turquia.

A doença falciforme é uma doença genética complexa que afeta a estrutura e a função da hemoglobina, reduz a capacidade dos glóbulos vermelhos de transportar oxigênio de forma eficiente e, precocemente, evolui para uma doença venosa crónica^{1,4,5,6}. A doença pode levar a episódios agudos de dor identificados como crises de dor falciforme ou crises vaso-oclusivas, bem como a complicações potencialmente fatais^{7,8,9}. As hospitalizações frequentes associadas à doença falciforme, combinadas com a falta de atendimento especializado, representam um peso significativo para os doentes e as suas famílias, os sistemas de saúde e a economia geral. Mesmo com os melhores cuidados disponíveis atualmente, a doença falciforme continua a

causar mortes prematuras e incapacidade.

Embora a causa genética da doença seja conhecida há décadas, só recentemente a comunidade científica desenvolveu as ferramentas para corrigir o gene que está na sua origem. As atuais terapias genéticas em desenvolvimento clínico exigem a extração de células de um doente, a sua modificação em laboratório, para em seguida reintroduzi-las no doente através de um procedimento complexo semelhante a um transplante de medula óssea. Os laboratórios, as unidades de produção e as infraestruturas hospitalares necessárias para tais procedimentos normalmente não existem em zonas onde a doença falciforme é mais prevalente, afastando a grande maioria dos doentes das terapias genéticas que podem mudar a sua vida.

“As terapias genéticas podem ajudar a acabar com a ameaça de doenças como a doença falciforme, mas só se conseguirmos torná-las muito mais acessíveis e práticas em locais com poucos recursos”, salienta Trevor Mundel, presidente de Saúde Global na Fundação Gates. “O que é empolgante neste projeto é o facto de trazer a ambição científica para lidar com o desafio. Trata-se de satisfazer necessidades das pessoas em países de baixo rendimento como um impulsionador do progresso científico e médico, não como uma consequência. Significa também a possibilidade de aplicar as aprendizagens para ajudar a desenvolver opções potencialmente curativas para outras doenças debilitantes que afetam as populações de países com baixo rendimento, como é o caso do VIH”.

A Novartis ambiciona o desenvolvimento de uma terapia genética acessível *in vivo* para a doença falciforme que pode ser administrada uma vez, diretamente no doente, sem a necessidade de modificar as células em laboratório. Este processo traz a vantagem de diminuir a necessidade de internamentos hospitalares longos ou repetidos ou de infraestruturas de laboratórios especializados. Para facilitar a investigação, a Fundação Gates concordou em disponibilizar apoio financeiro para uma equipa de investigadores do NIBR totalmente dedicada ao desenvolvimento de uma abordagem para disponibilizar este tratamento. A Novartis vai disponibilizar tecnologias e recursos.

Além do financiamento para a investigação, a Fundação Gates disponibiliza a sua longa história e experiência em saúde global para esta colaboração. Como parte da estratégia inicial de desenvolvimento de medicamentos, a Novartis priorizará resolver os problemas de acesso e distribuição impostos pela infraestrutura de saúde limitada em países de baixo e médio rendimento e o acordo de financiamento inclui disposições específicas para apoiar o acesso global a quaisquer inovações.

“A Novartis tem orgulho em liderar este esforço para encontrar uma terapia genética acessível para a anemia falciforme, com o apoio da Fundação Bill & Melinda Gates”, disse Lutz Hegemann, responsável no Grupo Novartis pela área Corporate Affairs & Global Health. “Para manter o nosso compromisso, acreditamos verdadeiramente que podemos usar a ciência e a inovação para reimaginar a forma como a doença falciforme é tratada em todo o mundo.”

O acordo enquadra-se no compromisso da Novartis em contribuir para melhorar a vida dos doentes com doença falciforme através do desenvolvimento de novos tratamentos, incluindo o crizanlizumabe, da criação de parcerias estratégicas com organizações governamentais e não governamentais e do apoio interventivo em rastreios neonatais e distribuição de medicamentos.

Sobre a Novartis

A Novartis está a reimaginar a medicina para melhorar e prolongar a vida das pessoas. Como uma empresa global líder em medicamentos, usamos a ciência inovadora e tecnologias digitais para criar terapêuticas transformadoras em áreas com grandes necessidades médicas. Na procura para descobrir novos medicamentos, posicionamo-nos de forma consistente como uma das empresas que mais investe em

investigação e desenvolvimento. Os produtos da Novartis chegam a 800 milhões de pessoas em todo o mundo e procuramos continuamente soluções inovadoras para expandir o acesso às nossas terapêuticas. Cerca de 109.000 pessoas de mais de 145 nacionalidades trabalham na Novartis, em todo o mundo. Saiba mais em <https://www.novartis.com/pt-pt>

Referências:

1. Saraf SL, et al. Paediatr Respir Rev. 2014;15(1):4-12.
2. Novartis AG. Sickle Cell Disease Around the World. Basel, Switzerland: 2019:1-6
3. Piel FB, et al. Lancet. 2013;381(9861):142-151
4. Stuart MJ, et al. Lancet. 2004;364(9442):1343-1360.
5. National Institutes of Health (NIH). Sickle cell disease. Bethesda, MD. U.S. National Library of Medicine. 2018:1-7.
6. Conran N, Franco-Penteado CF, Costa FF. Hemoglobin. 2009;33(1):1-16.
7. Ballas SK, et al. Blood. 2012;120(18):3647-3656.
8. Elmariah H, et al. Am J Hematol. 2014(5):530-535.
9. Steinberg M. New England Journal of Medicine. 1999;340(13):1021-1030.

Source URL: <https://www.novartis.com/pt-pt/news/media-releases/novartis-e-fundacao-bill-melinda-gates-colaboram-para-descobrir-e-desenvolver-uma-terapia-genetica-vivo-acessivel-para-doenca-falciforme>

List of links present in page

- <https://www.novartis.com/pt-pt/pt-pt/news/media-releases/novartis-e-fundacao-bill-melinda-gates-colaboram-para-descobrir-e-desenvolver-uma-terapia-genetica-vivo-acessivel-para-doenca-falciforme>
- <https://www.novartis.com/our-impact/sickle-cell-disease>
- <https://www.novartis.com/pt-pt/pt-pt/node/431>