

Medicamentos inovadores na Novartis

Estamos reinventando a medicina na Novartis para produzir inovações e abordar as principais necessidades não atendidas para pacientes com doenças devastadoras, incluindo distúrbios genéticos e alguns cânceres fatais. Esses esforços são feitos em colaboração com cientistas, médicos, meio acadêmico, parceiros da indústria e pacientes.

Atualmente, há três áreas de foco principal para o desenvolvimento de terapias celulares e genéticas transformadoras na Novartis: terapias baseadas em AAV, terapias de células CAR-T e terapias baseadas em CRISPR.

BASEADA EM AAV¹

Terapias baseadas em AAV (vírus adeno-associado) possuem a capacidade de liberar cópias novas e funcionais de um gene ausente ou inativo nas células humanas. Como o AAV não parece estar associado a nenhuma doença, é considerado um vetor seguro e atrativo para a liberação genética. A Novartis está explorando o uso de terapias baseadas em AAV na neurologia e oftalmologia, liberando novos genes nas células de pacientes.



Neurologia



Oftalmologia

BASEADA EM CRISPR³

Terapias baseadas em CRISPR (repetições palindrômicas curtas agrupadas e regularmente espaçadas) criam quebras de fita dupla no DNA, atuando como uma par de tesouras moleculares que pode ser utilizado para inserir, remover ou substituir partes específicas do DNA existente de uma pessoa. A Novartis está conduzindo uma pesquisa precoce sobre o uso de terapias baseadas em CRISPR na hematologia e na oftalmologia para potencialmente tratar doenças corrigindo as deficiências genéticas.



Oftalmologia



Hematologia

CAR-T²

A terapia de células CAR (receptor de antígeno quimérico)-T individualizada utiliza o próprio sistema imunológico do paciente para combater certos tipos de câncer. As células T do paciente são extraídas e reprogramadas fora do corpo para reconhecer e combater as células cancerígenas e outras células expressando um antígeno específico. Terapias celulares CAR-T estão atualmente aprovadas por vários órgãos regulatórios para tratar certos tipos de câncer no sangue de células B. A Novartis possui um pipeline amplo para CAR-T. Nosso foco é expandir o impacto da terapia celular em oncologia ao se aprofundar nas malignidades de células B, potencialmente alcançando pacientes em outros cânceres hematológicos e tumores sólidos e pesquisando a potencial próxima geração de CAR-T que focam em novos objetivos e utilizam novas tecnologias.



Oncologia



Hematologia

Referência

1. Daya S, Bems KI. Gene therapy using adeno-associated virus vectors. Clin Microbiol Rev. 2008;21(4):583-593.
2. Tsigenileleusol prescribing information. East Hanover, Nova Jersey, EUA: Novartis Pharmaceuticals Corporation; maio de 2018.
3. Ran FA, et al. Genome engineering using the CRISPR-Cas9 system. Nat Protoc. 2013;8(11):2281-2308.