

11. hafta

Gen tedavisi ürünleri

- Gen tedavisi, genel anlamda, bir hastalığı tedavi etmek ya da en azından bir hastanın klinik durumunu iyileştirmek amacıyla genetik materyalin hücrelere transferi olarak tanımlanır. Gen tedavisinin temel amacı, hedef hücrelere bir vektör aracılığı ile terapötik geni transfer etmektir.

Çok uzun zamandan beri bilim adamlarının hedefi olan genetik hastalıkların tedavisi ve bununla paralel gelişen gen tedavisi, genetik hastalıkların nükleotidler düzeyinde tedavi edilmesini sağlar. Ancak gen tedavisi fikri ilk kez 1970 yılında, retrovirüslerin RNA'ları üzerinde çalışan, Martine Cline tarafından ortaya konmuştur.

Gen tedavisi alıřmalarının oęu, belli bařlı ortak basamaklardan oluřur;

- Hastalıęa neden olan genin belirlenmesi,
- Saęlam genin klonlanması,
- Uygun bir vektör seimi veya gen kümesinin (gen kasetleri) düzenlenmesi,
- Genin hedeflenen hücrelere transferi ve protein ifadesinin saęlanması,
- İřlenmiř hücrenin seimi ve hastaya nakli (in vitro gen tedavisi durumunda),
- Olası yan etkilerin belirlenmesi.

Gen taşıyıcı sistemde kullanılan İdeal Vektörün Özellikleri

- DNA parçalarını aktarabilmesi için yeterli kapasiteye sahip olmalı,
- Kolaylıkla yüksek konsantrasyona ulaşabilmeli,
- Hedef dokuya spesifik olmalı,
- Stabil olmalı,
- İmmun yanıt oluşturmamalı, toksik olmamalı,
- Etkinliği yüksek olmalı,
- Uzun süreli gen ifadesi sağlamalı.

Approved Products

- **ALLOCORD, HPC Cord Blood**
SSM Cardinal Glennon Children's Medical Center
- **Autologous Cultured Fibroblasts**
Laviv (Azficel-T), Fibrocell Technologies
- **Autologous Cultured Chondrocytes**
Carticel, Genzyme BioSurgery
- **BCG Live (Intravesical)**
TheraCys, Sanofi Pasteur Limited
- **GINTUIT (Allogeneic Cultured Keratinocytes and Fibroblasts in Bovine Collagen)**
Organogenesis Incorporated
- **Hematopoietic Progenitor Cells, Cord Blood**
Hemacord, New York Blood Center
- **Hematopoietic Progenitor Cell**
Ducord, HPC Cord Blood, Duke University School of Medicine
- **HPC, Cord Blood**
Clinimmune Labs, University of Colorado Cord Blood Bank
- **HPC, Cord Blood BLA 125432**
LifeSouth Community Blood Centers, Inc.
- **HPC, Cord Blood - BLA 125585**
Bloodworks
- **IMLYGIC**
BioVex, Inc., a subsidiary of Amgen Inc.
- **PROVENGE (sipuleucel-T)**
Dendreon Corp.

Yandaki liste hücresel, doku ve gen tedavisi için pazarda bulunan ürünlerdir.

Glybera[®]

3 x 10¹² genome copies/ml
solution for injection
alipogene tiparvovec

Intramuscular use.

Store and transport vial frozen at -25°C to -15°C.
Keep the vial in the outer carton in order to protect from light.
Read the package leaflet before use.

Chiesi

uniQure

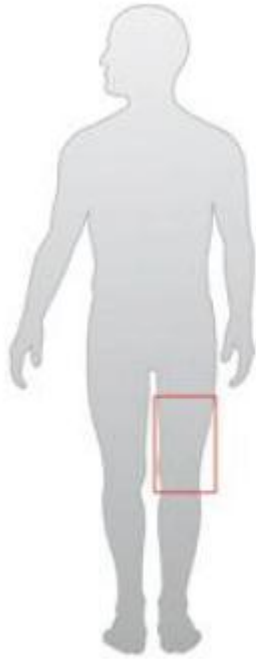
Glybera[®]

3 x 10¹² genome copies/ml solution for injection
alipogene tiparvovec

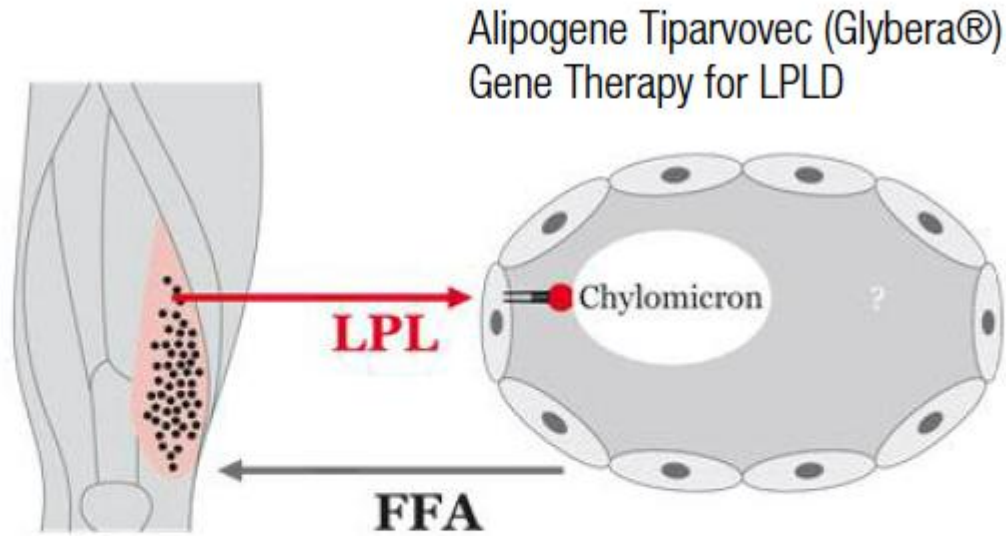
Chiesi

uniQure





Single administration
into leg muscle



uniQure

Company	Ticker	Number of drugs approved	R&D Spending Per Drug (\$Mil)	Total R&D Spending 1997-2011 (\$Mil)
<u>AstraZeneca</u>	AZN	5	11,790.93	58,955
<u>GlaxoSmithKline</u>	GSK	10	8,170.81	81,708
Sanofi	SNY	8	7,909.26	63,274
<u>Roche Holding AG</u>	RHHBY	11	7,803.77	85,841
<u>Pfizer Inc.</u>	PFE	14	7,727.03	108,178
<u>Johnson & Johnson</u>	JNJ	15	5,885.65	88,285
Eli Lilly & Co.	LLY	11	4,577.04	50,347
Abbott Laboratories	ABT	8	4,496.21	35,970
Merck & Co Inc	MRK	16	4,209.99	67,360
Bristol-Myers Squibb Co.	BMY	11	4,152.26	45,675
Novartis AG	NVS	21	3,983.13	83,646
Amgen Inc.	AMGN	9	3,692.14	33,229

Sources: InnoThink Center For Research In Biomedical Innovation; Thomson Reuters Fundamentals via FactSet Research Systems

21. yüzyılın en dikkat çekici keşiflerinden biri olan kök hücre tedavisi, tıp ve eczacılık uygulamalarında yeni bir devrim başlatmıştır.

