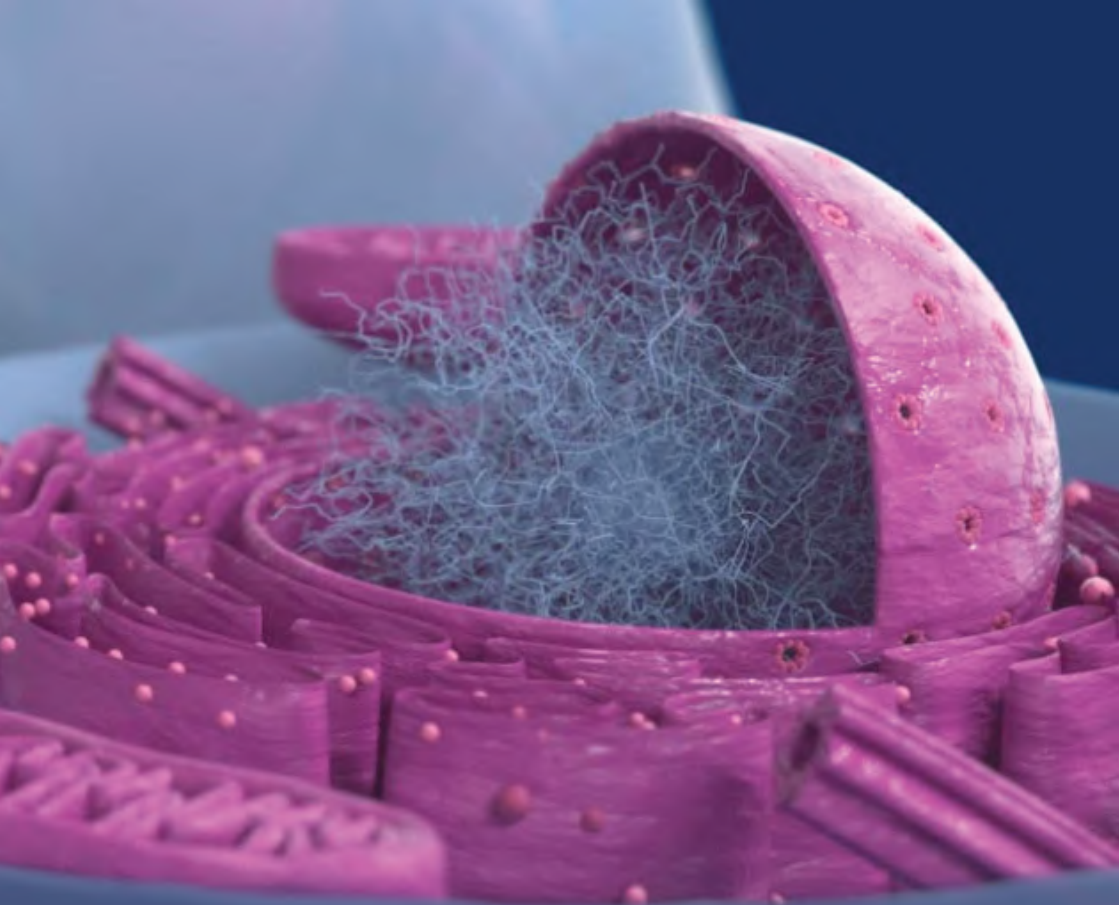




Center za tehnologije genske in celične terapije

MOST MED BIOMEDICINSKIMI RAZISKAVAMI O NAPREDNEM
ZDRAVLJENJU IN NJIHOVEM PRENOSU DO PACIENTOV

GOSTUJOČA INŠTITUCIJA



PARTNERJI ODLIČNOSTI



Poznamo več sto tipov raka
1 od **2000** Slovencev
ima redko bolezen,
od tega polovica otrok.



Za večino redkih bolezni in rakavih obolenj še ni na voljo učinkovitih zdravil. Izjemen napredek na področju ved o življenju obeta, da bomo v prihodnjih letih znali odpraviti vzrok številnih bolezni. **Napredni pristopi zdravljenja, kot sta genska in celična terapija, so izjemno učinkoviti, ker so ciljani, prilagojeni posameznim pacientom ali skupinam pacientov** in lahko omogočijo celo trajno ozdravitev.

Pristop do vsakega pacienta je središčna točka pri razvoju novih terapij. V tem času je še posebej pomembna dostopnost do najnovejših metod zdravljenja.

S tehnologijami za urejanje genoma v celice vnesemo želen genski zapis ali popravimo del genoma, ki povzroča bolezen.

Danes poznamo genski vzrok več tisoč bolezni. Sodobne tehnologije, ki nam omogočajo precizno popravljanje DNK ali RNK ali vnos nadomestnega gena, se izjemno hitro razvijajo, zato lahko za različne genske bolezni uporabimo najustreznejše tehnologije.

Pri celični genski terapiji v telo vnašamo celice s terapevtskim učinkom, ki predstavljajo zdravilo, ki lahko v telesu opravlja svojo nalogo tudi več desetletij.



Terapevtske celice za imunoterapijo
raka, kot so celice CAR-T,
prepoznajo in uničijo rakave celice.

Raziskovalci Kemijskega inštituta so z izjemnimi dosežki na področjih sintezne biologije, nevrobiologije, genetike in imunologije pomembno pripomogli k razumevanju mehanizmov nastanka bolezni in razvoju tehnologij za gensko in celično terapijo.



O tem pričata tudi dva ERC-projekta za uveljavljene raziskovalce in projekt ERC PoC za razvoj tehnologij.

Pridobljena znanja, tehnološka ekspertiza in odlično osebje predstavljajo komparativno prednost, na kateri bomo gradili uspešen center, v okviru katerega želimo omogočiti prenos tega znanja do pacientov.

V Centru odličnosti CTGCT bomo razvijali tehnologije genske in celične terapije ter skrbeli za pripravo naprednih zdravil do začetka kliničnih raziskav za zdravljenje bolezni, za katere še nimamo učinkovitih zdravil. S tem želimo omogočiti boljše možnosti preživetja in izboljšanje kakovosti življenja bolnikov.

Center bo povezoval raziskovalce na področju biomedicine z zdravniki, pacienti ter družbo za razvoj in prenos tehnologij v klinične raziskave. Spodbujal bo razvoj biotehnoloških podjetij z visoko dodano vrednostjo in se povezoval s farmacevtsko industrijo.



Več kot **1400 m²**
napredne raziskovalne
infrastrukture, povezane
z raziskovalnim okoljem
Kemijskega inštituta



Cilj investicije je zagotavljanje dostopnosti do najsodobnejših metod zdravljenja in naprednih zdravil s personaliziranim zdravljenjem od zasnove zdravljenja do kliničnega testiranja z vzpostavitvijo ustreznih prostorov in opreme.

Z naložbo bomo zagotovili ustrezno organizacijo, delovne prostore in zahtevno opremo. Center bo omogočal vrhunsko opravljanje raziskovalne dejavnosti, pripravo naprednih produktov genske in celične terapije, primernih za zdravljenje in njihov prenos v klinične raziskave.

To bo prispevalo k višji kakovosti terapij in storitev zdravljenja v slovenskem in mednarodnem prostoru. Hkrati bo Center spodbujal nastanek visokotehnoloških zagonskih podjetij, kar bo imelo pozitiven učinek na razvoj slovenskega gospodarstva. Zaradi odličnosti in globalne konkurenčnosti bo Center k sodelovanju privabil tudi mednarodna farmacevtska podjetja.

Partnerji v projektu

NOSILEC PROJEKTA



Kemijski inštitut bo v Center prispeval vrhunsko znanje na področju razvoja terapije raka in genetskih bolezni v povezavi s sintezno biologijo.

PARTNERJI ODLIČNOSTI



UMC Utrecht



Utrecht
University ICAT



TECHNISCHE
UNIVERSITÄT
DRESDEN



CHARITÉ
UNIVERSITÄT
BERLIN

UCL, ki ima odlično razvit prenos znanja do klinike na področju biomedicine, bo prek več svojih enot (IoN, Biochem Eng, IIT, TRO) predstavljal ključno mednarodno strateško zavezništvo. Svetovali bodo pri organizaciji Centra, nudili podporo pri prenosu terapij iz laboratorijev proti pacientom in trgu, z znanijsko usposabljaljo osebje Centra, povezovali z regulatorji, podjetji in klinikami. Prek svojih izkušenj in kontaktov bodo podpirali translacijo slovenskega znanja do klinike. V okviru centra bodo potekali tudi skupni raziskovalni projekti.

UMC Utrecht, glavna bolnišnica mesta Utrecht na Nizozemskem, je pravkar zaključila s postavitvijo GMP objekta na svoji lokaciji. Njihovo znanje bo ključnega pomena pri vzpostavitvi obrata GMP saj ima dostop do najnovejših ponudnikov tehnologije pri vzpostavitvi takšnega obrata. Center za translacijsko imunologijo (Center for Translational Immunology, CTI) UMC Utrecht združuje vrhunsko strokovno znanje o imunoloških boleznih in bo prispeval k razvoju in oceni inovativnih metodologij celic CAR T.

Charité, ena največjih univerzitetnih bolnišnic v Evropi, bo kot partner okrepil zmogljivosti CTGCT z izpopolnitvijo prakse prenosa rezultatov raziskav v prvo klinično fazo in okrepil dostopnost ATMP kot ene od možnosti zdravljenja. Omogočil bo dostop do slovenskih organizacij za zastopanje pravic pacientov, in raziskovalnih talentov v regiji. Poleg tega ima Berlinski center za napredne terapije (Berlin Centre for Advanced Therapies - BeCAT) dovoljenje za proizvodnjo za različne obrate GMP, ki izpolnjujejo najvišje kakovostne in etične standarde.

TU Dresden bo zagotovil strokovno znanje, tehnologijo in opremo za urejanje genoma in regeneracijo za razvoj novih terapij kot so nevrodegenerativne in hematološke bolezni, ter tako povečal prenos raziskav v kliniko in podprl znanstveno učinkovitost CTGCT.

KONTAKTNA OSEBA PROJEKTA CTGCT

Izr. prof. dr. Mojca Benčina

(organizacija centra)

mojca.bencina@ctgct.si

Kemijski inštitut

Hajdrihova ulica 19

1000 Ljubljana, Slovenija

www.ctgct.si

Prof. dr. Roman Jerala

(znanstvena vsebina)

vodja Odseka za sintezno

biologijo in imunologijo

+386 1 4760 335

roman.jerala@ctgct.si

Raziskave in prenos v kliniko

Center bo omogočil razvoj naprednih terapij predvsem na področju genskega zdravljenja bolezni, vključno z redkimi nevrorazvojnimi boleznimi, imunoterapijo raka, zdravljenje nevrodegenerativnih bolezni in drugih naprednih biomedicinskih zdravil.



Ozko grlo translacije biomedicinskih raziskav do pacientov je priprava zdravil oz. reagentov za izvedbo kliničnih študij, ki morajo izpolnjevati visoke zahteve glede čistosti in varnosti po merilih dobre proizvodne prakse (GMP). To zajema proizvodnjo produktov za pripravo terapevtskih celic v t. i. čistih sobah pod strogim nadzorom kakovosti. V okviru Centra bo vzpostavljen večnamenski akademski GMP proizvodni laboratorij.



Izvajanje dobrih poslovnih praks in odprtost za razvoj inovacij bosta ključni točki Centra. Zasledovali bomo cilje vključenosti vseh deležnikov v podporo in sprejemanje novih terapevtskih tehnologij in razvoja strokovnjakov. Pri razvoju zdravil in kliničnih raziskav bomo tesno sodelovali z zdravniki. Pacienti in njihovi najbližji bodo s Centrom pridobili glasnika ter dostop do informacij o najnovejših terapevtskih pristopih.





Trajnostno doseganje ciljev in konkurenčnost Centra bosta temeljila na vrhunski znanosti slovenskih raziskovalcev na področjih sintezne biologije, imunologije in genetike. Usposabljanje raziskovalcev bo potekalo v Centru, kot tudi v programih univerze UCL in drugih partnerjev na področjih, ki so ključna za razvoj in prenos naprednih terapij do pacientov.



V šestih letih delovanja bomo vzpostavili platformo za pripravo reagentov za klinične študije terapij proti raku in genskih terapij. Znanje o proizvodnji genskih in celičnih terapij bo omogočalo možnosti za pripravo terapij na različnih področjih medicine. **Center bo deloval kot osrednja nacionalna točka za širjenje nabora terapij, razvitih v Sloveniji, s širšim regionalnim in svetovnim vplivom.**



Center bo omogočal nastajanje biotehnoloških podjetij z visoko dodano vrednostjo. Zaradi visoke kakovosti dela, od razvoja, predkliničnih do kliničnih raziskav, bodo razvite tehnologije in terapije privlačne tudi za farmacevtsko industrijo. S tem bomo Slovenijo vpeli v najnovejšo razvojno ter tržne smernice.

Slovenija se kot država članica EU13 s slabše razvito infrastrukturo raziskav in razvoja v primerjavi z raziskovalno intenzivnejšim članicam uvršča pod evropsko povprečje v segmentu raziskav in razvoja.

Kot odgovor na ta izziv vzpostavljamo Center za tehnologije genske in celične terapije, kar bo omogočilo tako strokovni napredek kot boljši prenos znanja v slovensko zdravstveno panogo. Biotehnoška podjetja, ustanovljena na osnovah znanja Centra, bodo povečevala število novih delovnih mest na izjemno perspektivnem področju.

Genske in celične terapije so visoko učinkovite, vendar so stroški zdravljenja za vsakega pacienta visoki:

- CAR T-celična imunoterapija raka (Yescarta), okoli 327.000 evrov,
- zdravljenje spinalne mišične atrofije z enkratnim odmerkom (Zolgensma), okoli 2 milijona evrov,
- zdravljenje distrofije očesne mrežnice (Luxturna), okoli 345.000 do 680.000 evrov.

Razlog za visoke cene zdravljenja so visoke cene proizvodnje zdravila, ki mora biti prilagojeno posameznemu pacientu, kar bi lahko naslovili z lastno proizvodnjo v Centru odličnosti CTGCT, s čimer bi domačemu zdravstvenemu sistemu omogočili dostopnejše terapije.

V raziskovalno intenzivnejših državah priložnosti krepite nacionalnih zdravstvenih sistemov z lastnim razvojem in proizvodnjo naprednih terapij že učinkovito naslavlja z ustanavljanjem visokotehnoloških biomedicinskih organizacij.



Naložbo v pripravo tiskanega promocijskega materiala sofinancirata Republika Slovenija in Evropska unija iz Evropskega sklada za regionalni razvoj.

CTGCT