Bioteknologirådet

Genteknologi og medisinsk behandling

Ole Johan Borge
Direktør, Bioteknologirådet

LOS, Bodø, 7. september 2018

Vil det bli mindre behov for operasjonssykepleiere ?

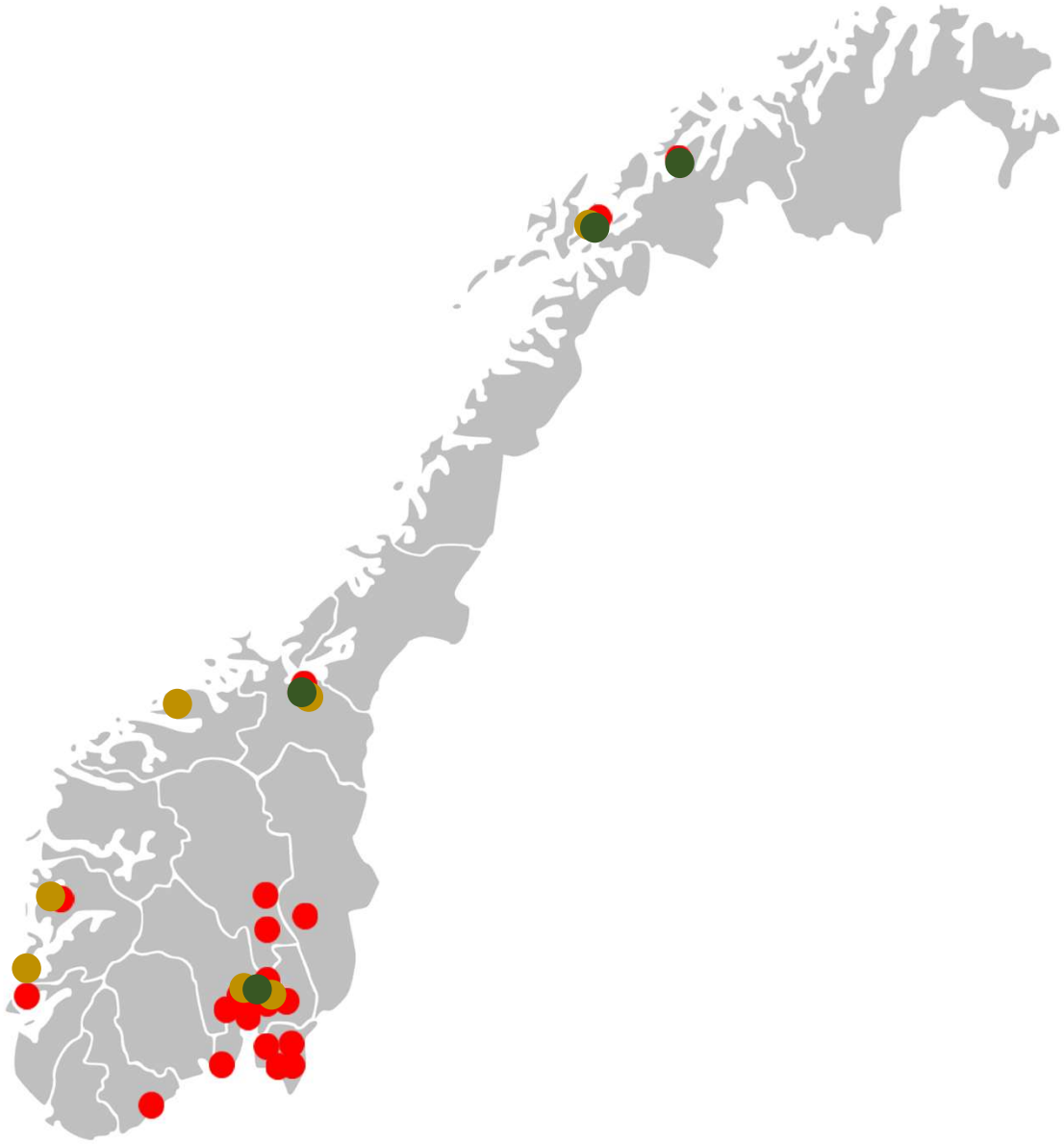
Mest sannsynlig ikke

Bioteknologirådet

Bestemmer ingenting:

- Men, gir gode råd som mange velger å følge.

2017



81 foredrag
5600 tilhørere
108 timer med foredrag

490 lærere på kurs
8 ulike kurs
30 timer undervisning

24 åpne møter
>2400 deltakere

WEB
440 000 – besøk på web

Media
>860 unike saker i media

Bioteknologirådet

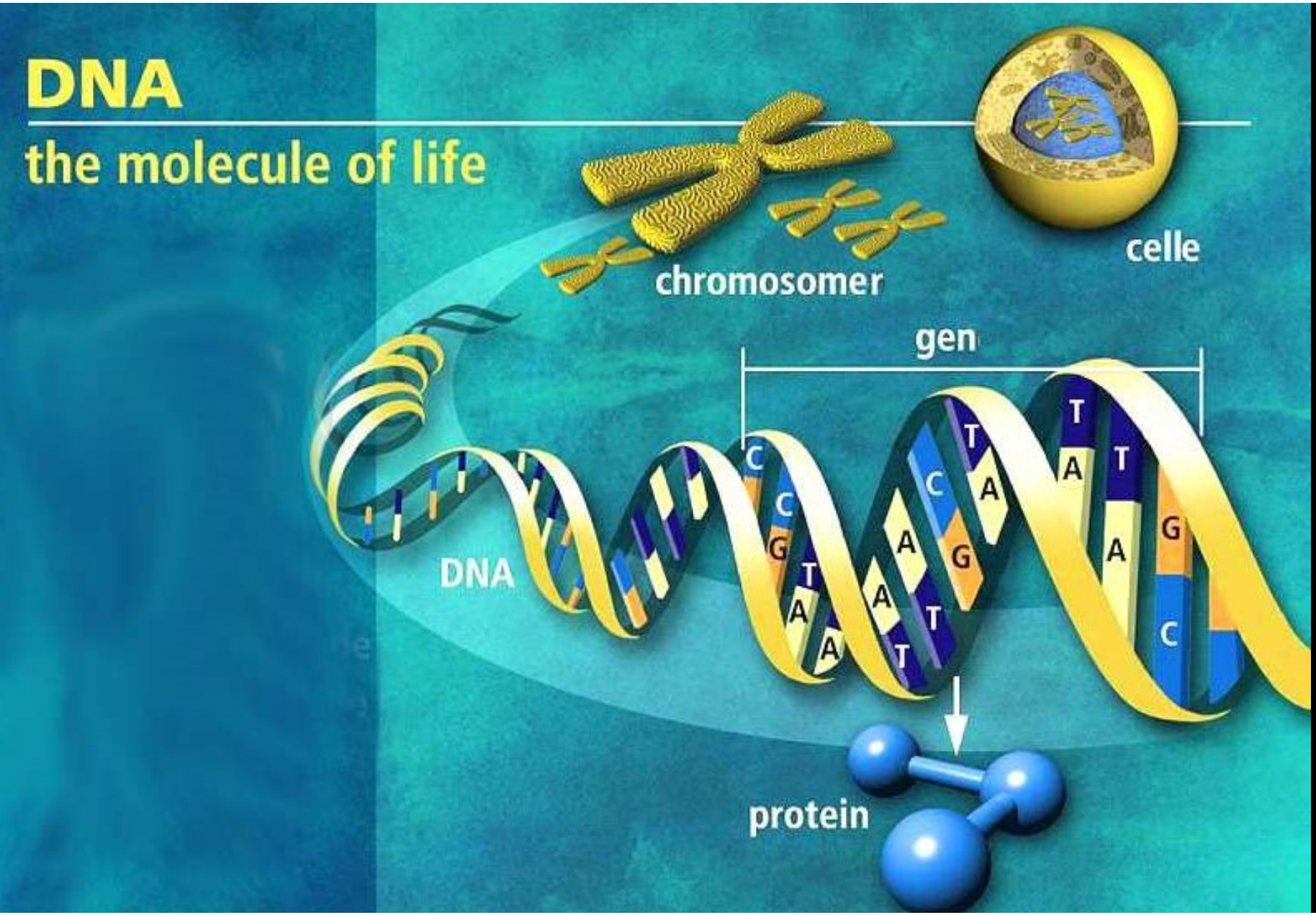
Vil du bli medlem i Bioteknologirådet?

(søknadsfrist 15. september)

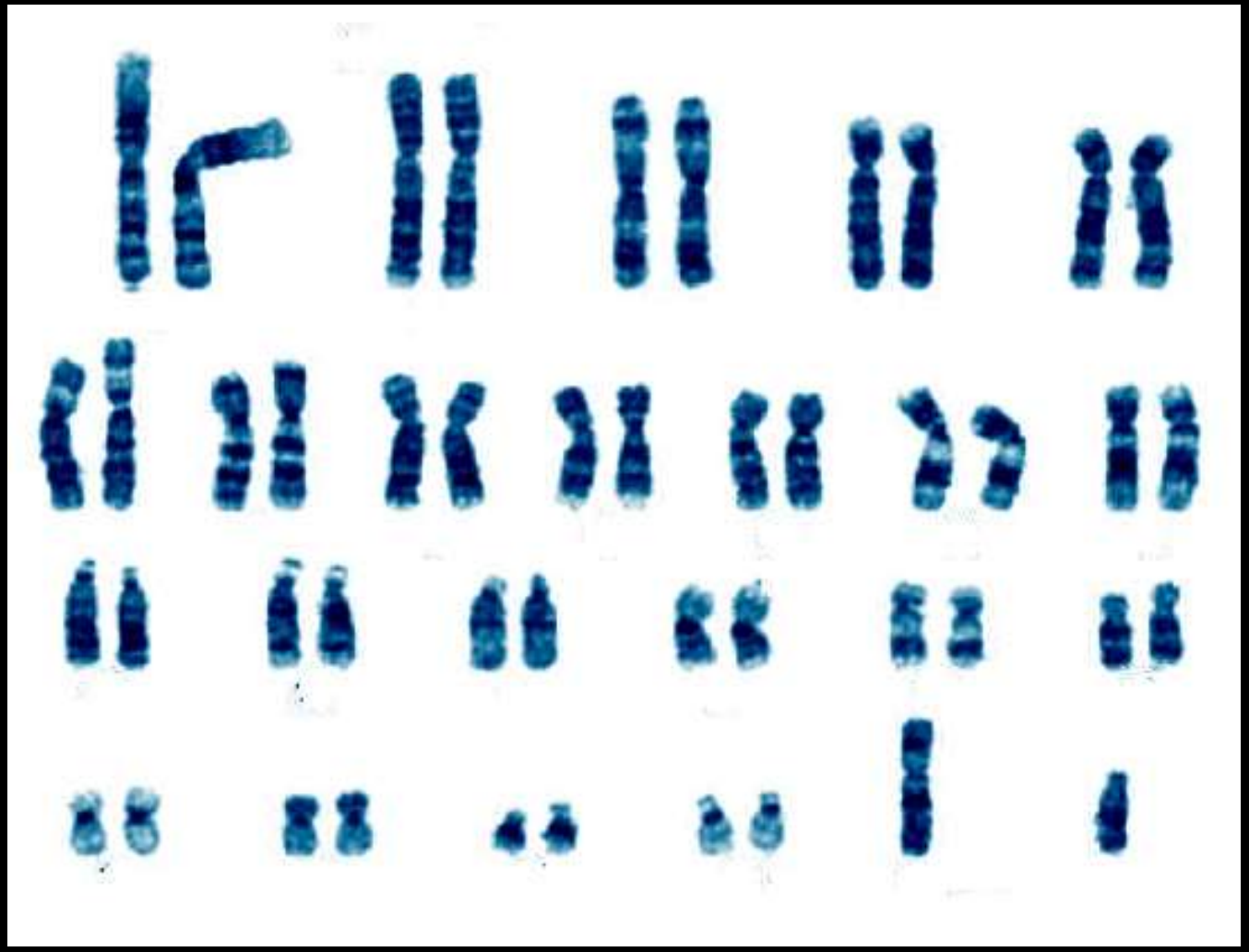
Mange sykdommer skyldes feil i gener

Mål med genterapi:

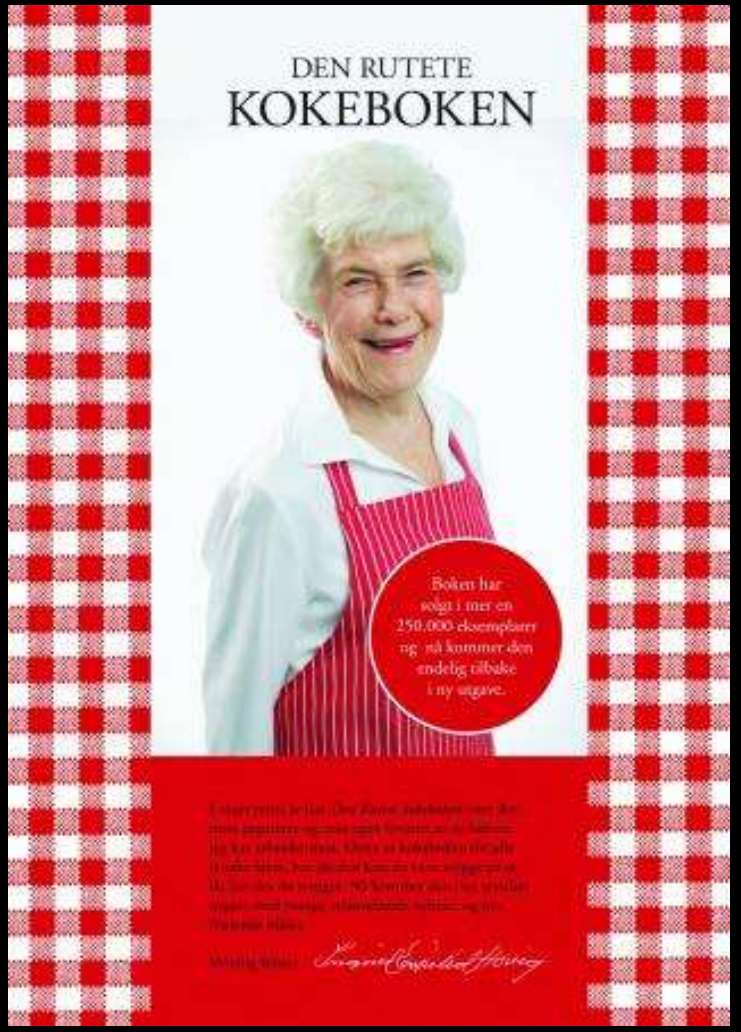
Korrigere genfeilen og dermed kurere sykdommen


DNA
the molecule of life
chromosomer
celle
gen
DNA
protein

20 310 oppskrifter



1800 oppskrifter



Definisjon på genterapi:

Overføring av genetisk materiale for å påvirke biologiske funksjoner.

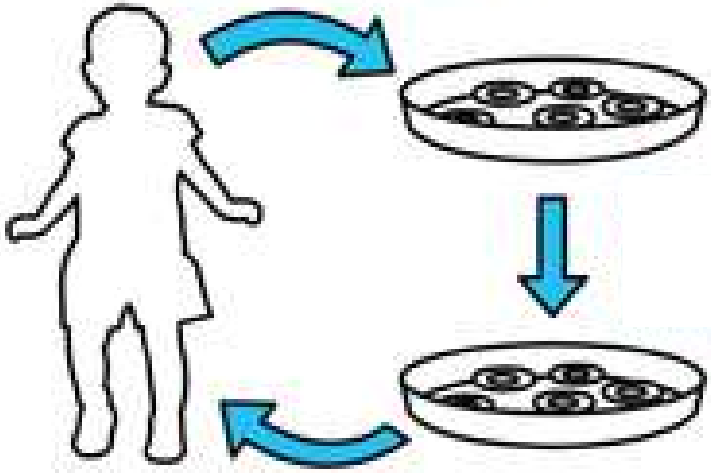
DNA **RNA**

Dr. W. French Anderson og pasienten Ashanti Desilva med immunsvikt
14. september 1990, NIH Bethesda, USA

Fotografi: pbs.org

In Vivo

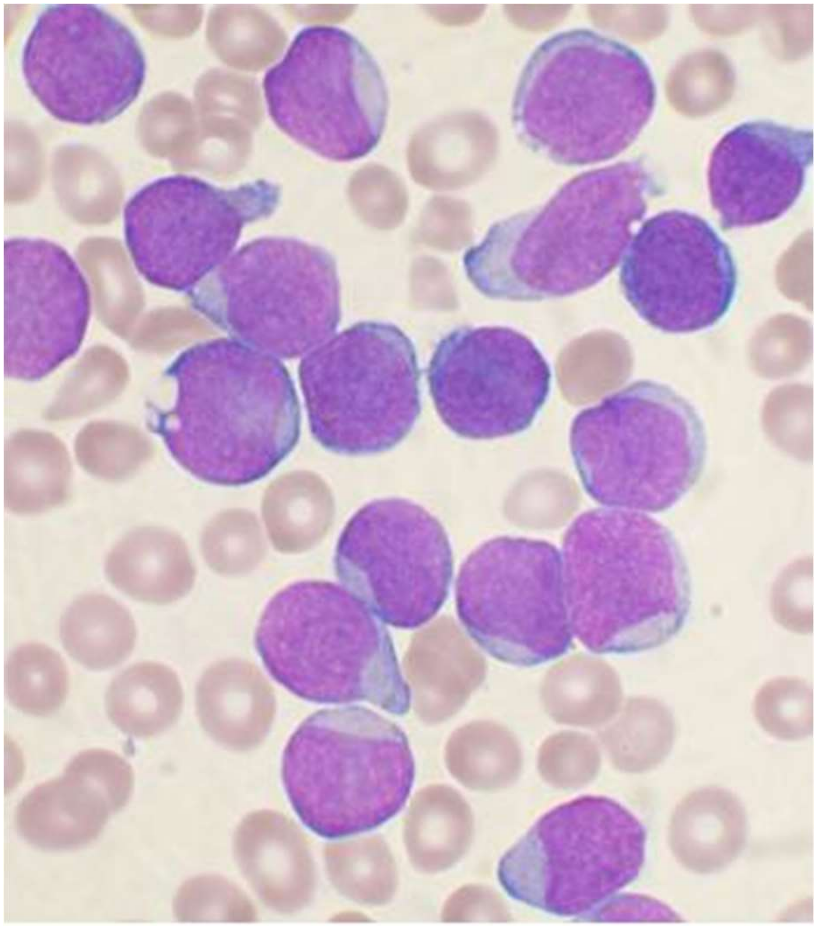
Ex Vivo



Forutsetninger for suksess med genterapi:

1. Få genet inn i et tilstrekkelig antall celler
2. Genet må virke på rett måte
3. Cellene som endres må leve lenge nok til å gi effekt
4. Behandlingen må ikke gi uønskede effekter

Uforutsette hendelser etter genterapi



Barn med immunsvikt utviklet leukemi

Jesse Gelsinger døde
17. september 1999

Rewriting Life

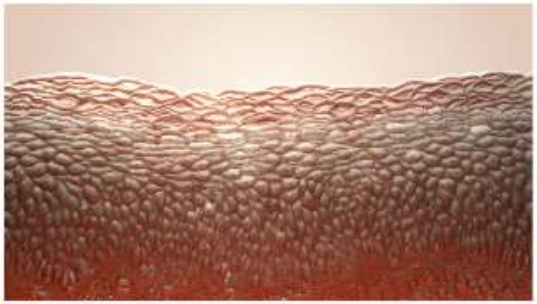
Gene Therapy's First Out-and-Out Cure Is Here

A gene therapy for an inherited immune disease completes a 27-year journey.

by Antonio Regalado May 6, 2016

Science

SHARE



A boy with a rare disease gets new skin, thanks to gene-corrected stem cells

Rewriting Life

How a Boy's Lazarus-like Revival Points to a New Generation of Drugs

SPINRAZA®
(nusinersen) injection 12 mg/5 mL

FDA approves first gene therapy for rare blindness

Representational Image | Photo Credit: Infinitome

LUXTURNA™
voretigene neparvovec-rzyl
for subretinal injection

Gene therapy 'cures' boy of blood disease that affects millions

LIVING

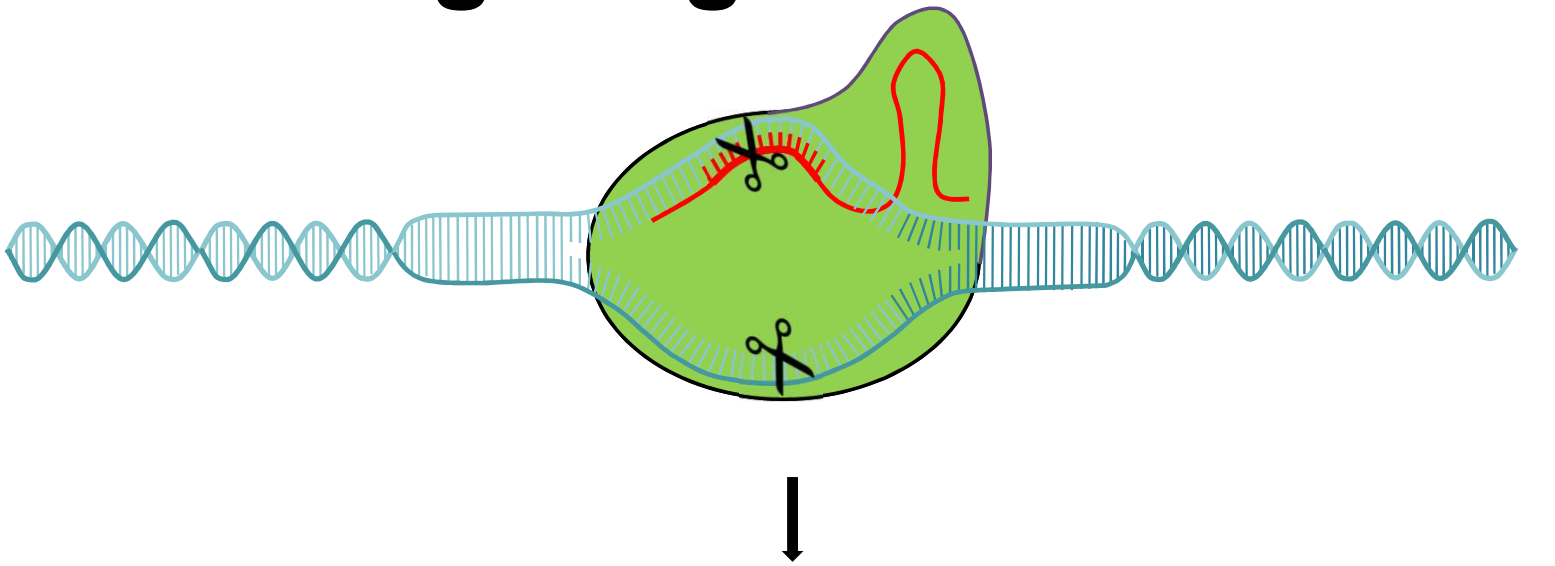
Leukemia patients in complete remission after gene therapy

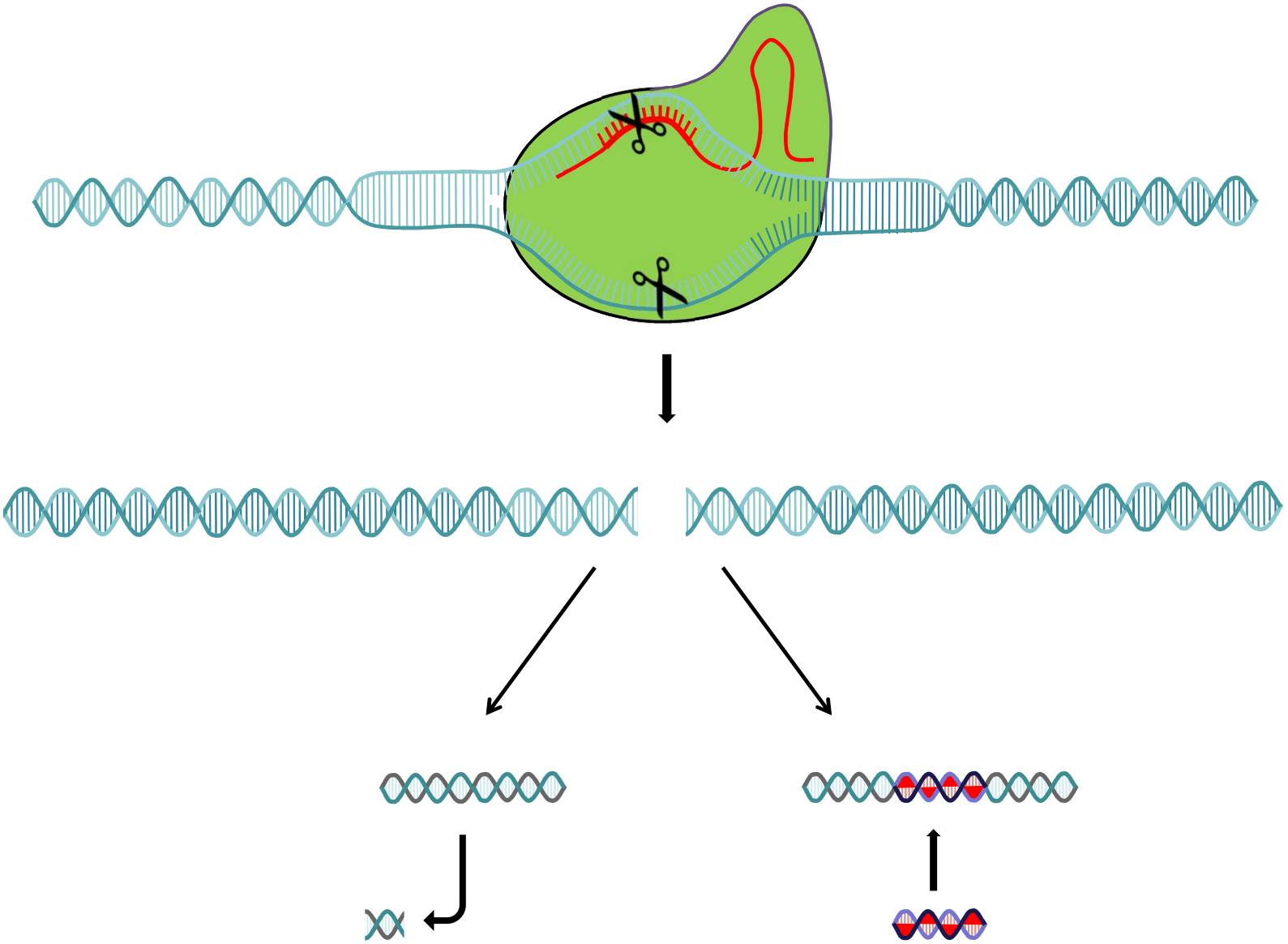
Introducing the first FDA-approved CAR-T cell therapy:
CTL019 is now
KYMRIAH™
(tisagenlecleucel)

Genterapi 2.0

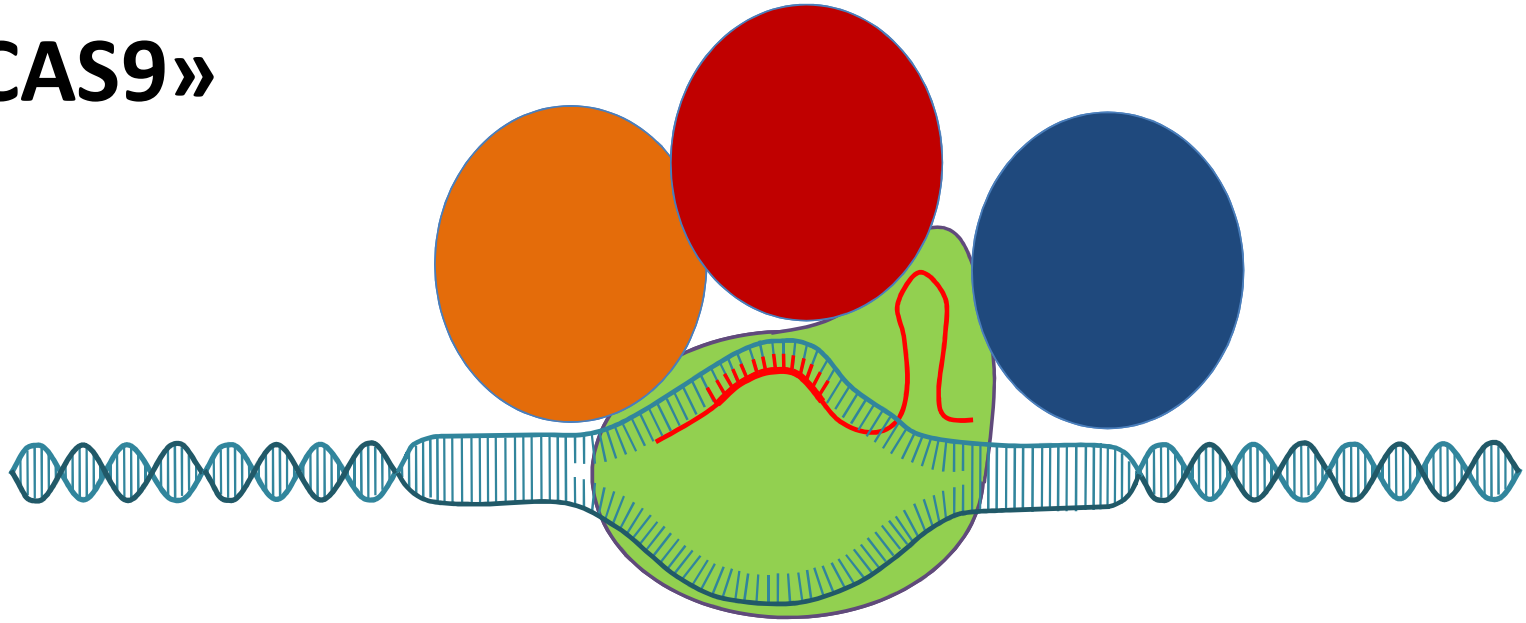
CRISPR
«The disruptor»

Redigering i arvestoffet





«Død CAS9»



1. Aktivere/inaktivere gener
2. Korrigere enkeltbaser uten å kutte i DNA

NRK Viten

Har gjennomført første genendring inne i et menneske

Amerikanske forskere har for første gang forsøkt å permanent endre gener inne i kroppen til et menneske. Målet er å kurere en sykdom.

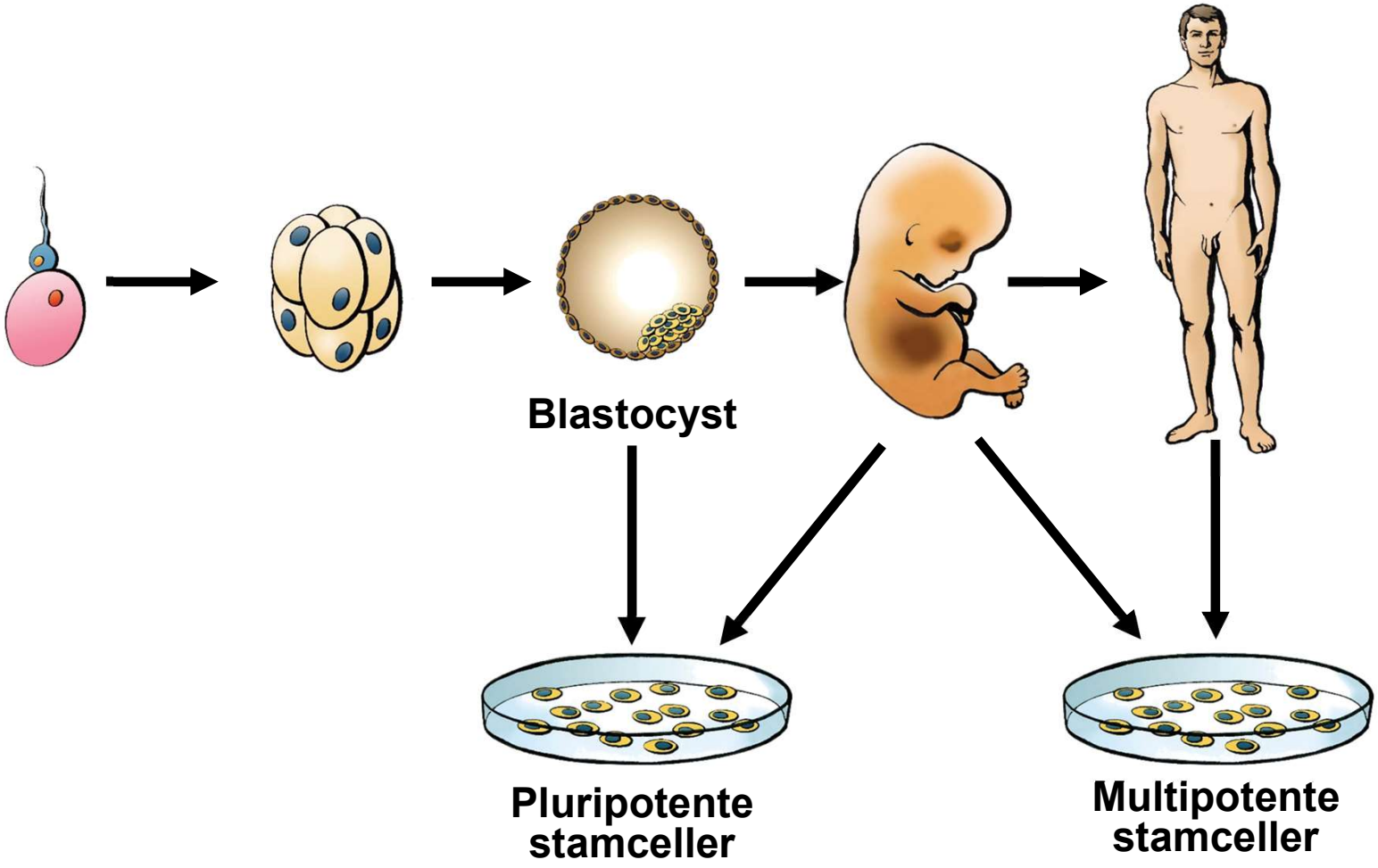
Brian Madeux sier han er beæret over å få være den første som får behandlingen han selv håper skal være revolusjonerende.
FOTO: ERIC RISBERG / AP

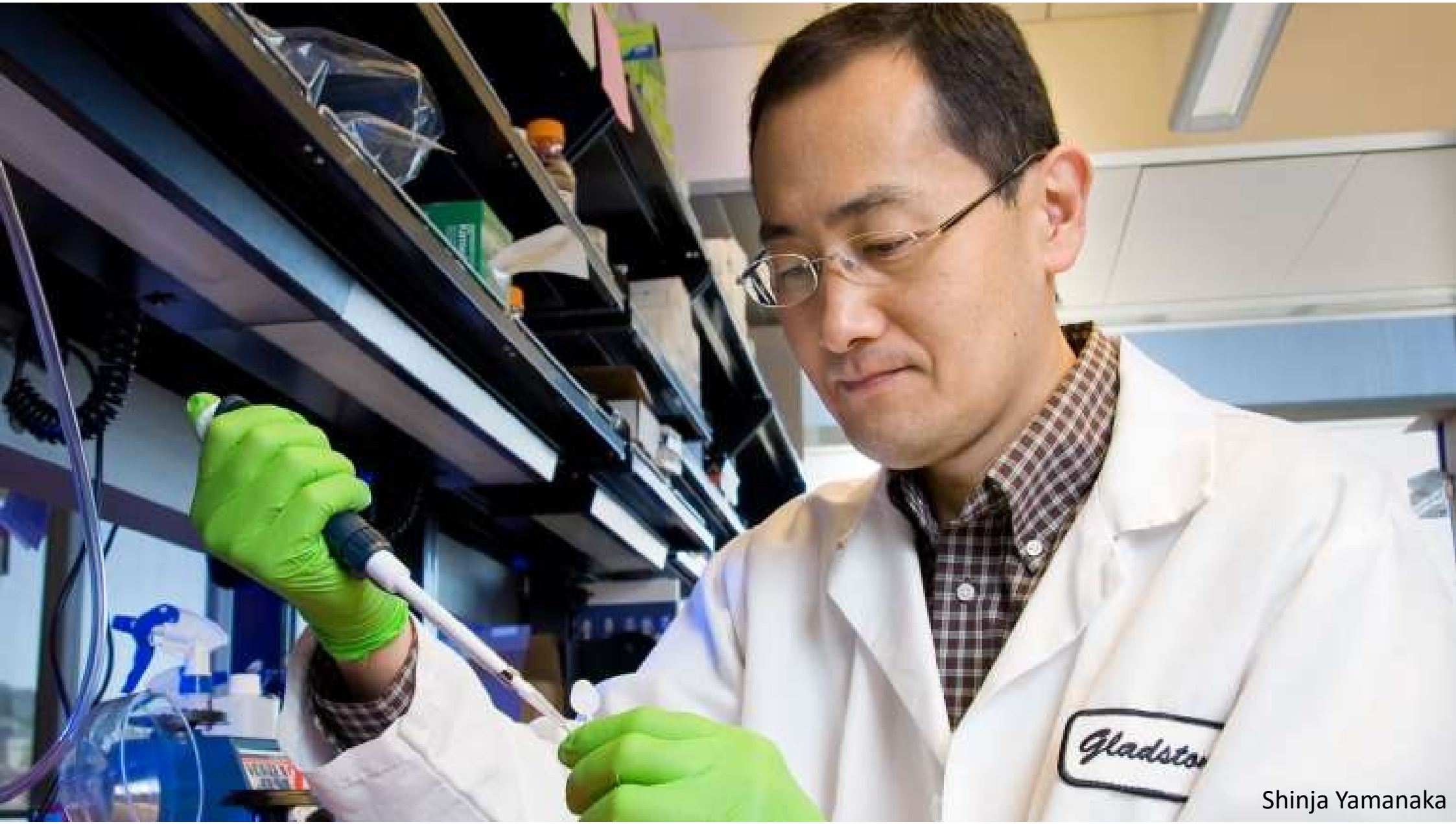
- Hunters sykdom
- Intravenøs injeksjon
- AAV (målstyrt til lever)
- Zinkfingernuklease
- Kutter i albumingenet
- Cellenes eget reparasjonssystem (?)

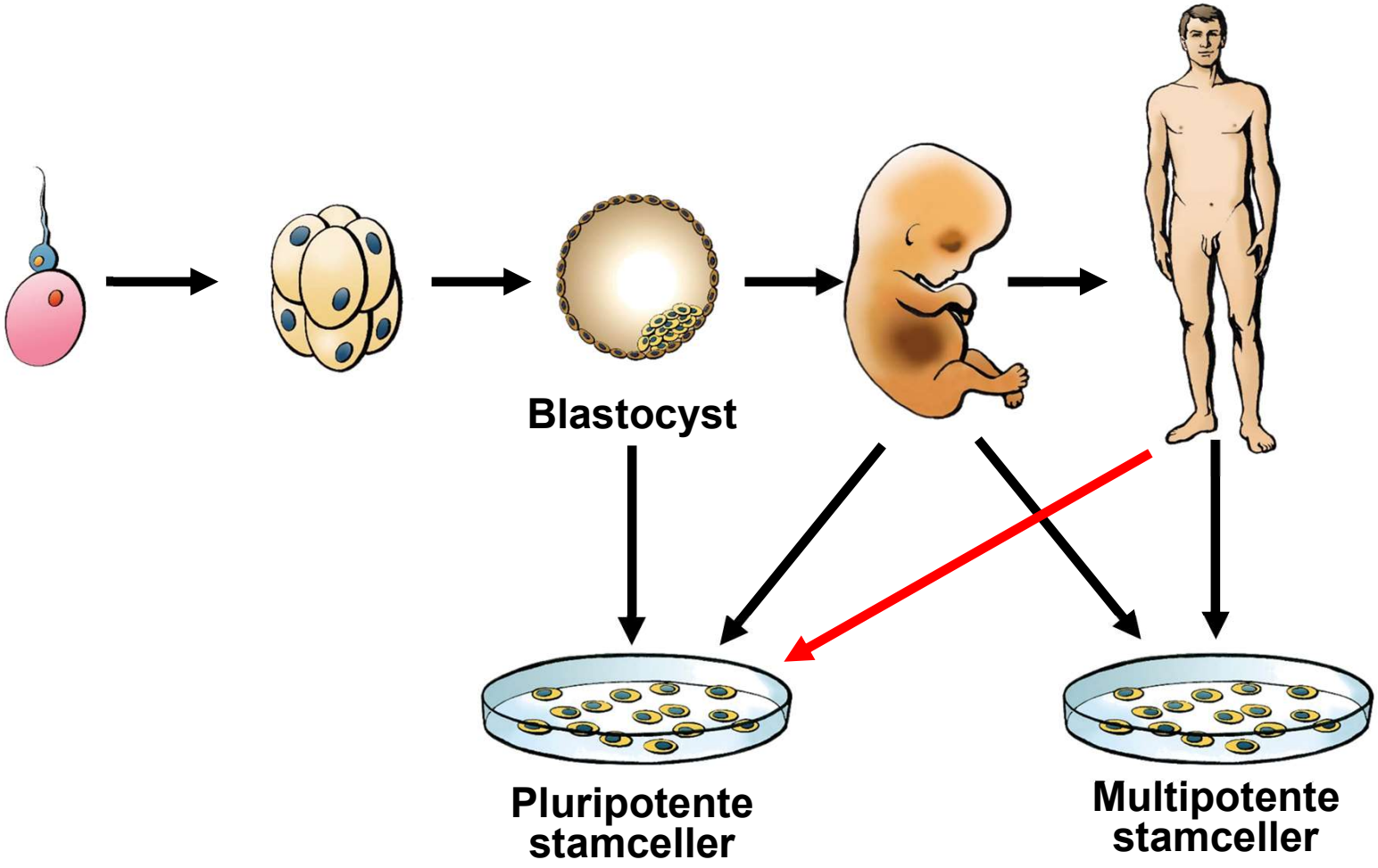
We may be nearing the beginning of the end of genetic diseases.
Jennifer Doudna
Professor of Chemistry and
Molecular and Cell Biology
University of California

HYPE?

Stamceller


Blastocyst
Pluripotente stamceller
Multipotente stamceller


Shinja Yamanaka



2005 iPS-celler på mus
2006 iPS-celler på mennesker

geron

2005 – annonserer planer om start av klinisk studie på ryggmargskade (lamme) i 2007

2010 – første pasient (av 10) behandles

2011 – studien stoppes etter 3 pasienter

- Godkjent i 2010 for øyesykdom og 12 pasienter
- Studien er stoppet og resultatene ikke rapportert

- Har en ny studie gående nå

VIACYTE

- Fase I/II – studie på pasienter med diabtes type I og II
- Første pasient i 2014
- Skal rekruttere 40 pasienter
- Ingen sluttrapport enda

The London Project to Cure Blindness

Lovende resultater på to pasienter (AMD) etter transplantasjon av pigmentceller fra embryonale stamceller (2018)

Flere andre studier også,
men uten rapporterte resultater.

Kliniske forsøke med iPS-celler

- **2014**:
  - Første pasient behandlet i Japan
  - Behandlet med egne celler
  - Aldersrelatert maculadegenerasjon (AMD)
  - Fant genfeil og stoppet studien

- **2017**:
  - 2. pasient behandlet i Japan
  - Behandlet med iPS-celler fra bank (anonym donor)

Masayo Takahashi

RIKEN/Foundation for Biomedical Research and Innovation

Parkinson

August 2018:

SCIENCE

Japan approves clinical trials of stem cell treatment for Parkinson's disease

Kyoto University to conduct first-ever iPS-based test for incurable disease

July 30, 2018 12:08 JST

Kyoto University has stockpiled induced pluripotent stem cells or iPS and provided them to universities and research institutions in Japan.

nature International weekly journal of science

Home | News & Comment | Research | Careers & Jobs | Current Issue | Archive | Audio & Video | For

Archive > Volume 548 > Issue 7669 > Letters > Article

ARTICLE PREVIEW

view full access options

NATURE | LETTER

日本語要約

Human iPS cell-derived dopaminergic neurons function in a primate Parkinson's disease model

Tetsuhiro Kikuchi, Asuka Morizane, Daisuke Doi, Hiroaki Magotani, Hirotaka Onoe, Takuya Hayashi, Hiroshi Mizuma, Sayuki Takara, Ryosuke Takahashi, Haruhisa Inoue, Satoshi Morita, Michio Yamamoto, Keisuke Okita, Masato Nakagawa, Malin Parmar & Jun Takahashi

+ Kina

(og Sverige)

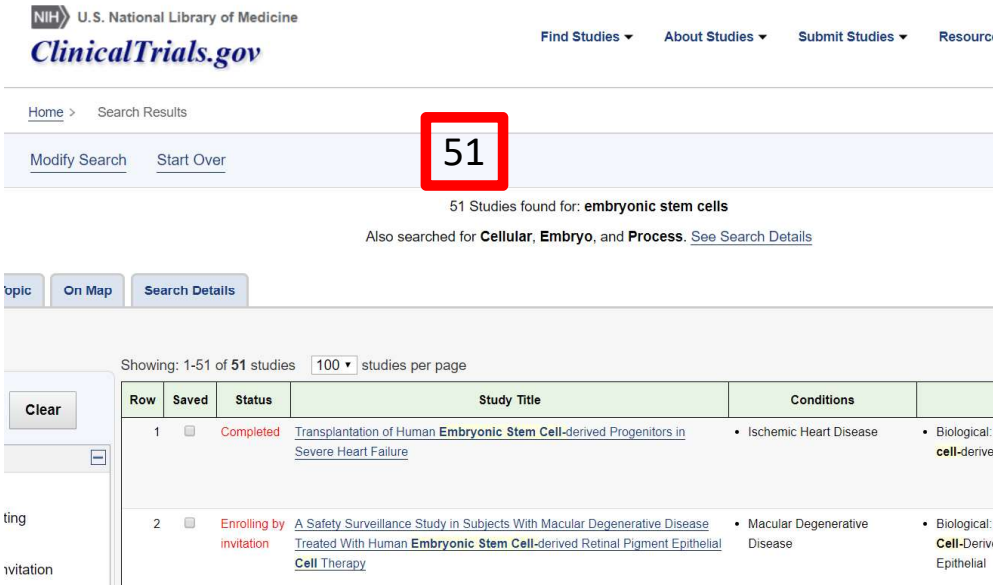
Hjerteinfarkt

NEWS · 29 MAY 2018

- iPS-celler fra bank
- Svært lav terske for godkjenning i Japan

Uetiske kliniske forsøk

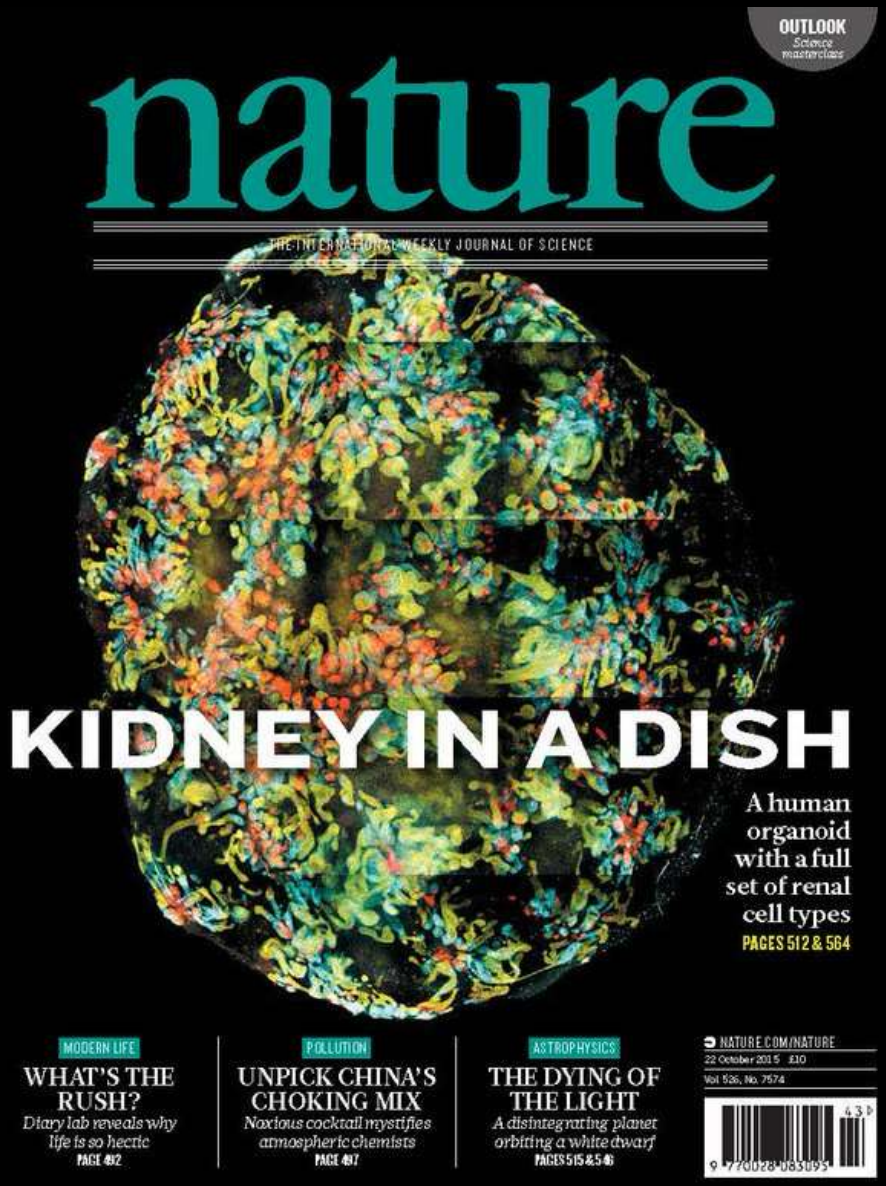
- Svakt kunnskapsgrunnlag
- Overselger mulige fordeler
- Svak kontroll på cellene bruk i forsøket
- Pasientene betaler (dyrt) for behandlingen
- Ikke åpenhet om bivirkninger



- Pasienter har blitt blinde etter å deltatt i «studie»

Direct-to-Consumer Industry (351 klinikker)

Miniorganer (organoider)



Tarm

Magesekk

Bukspyttkjertel

Miniorganer:

1. Grunnforskning
2. Forstå hvordan sykdommer oppstår
3. Teste kostbare medisiner

xx. For behandling (3D-printing)

Dyrke en hjerne?

AUGUST 1, 2016

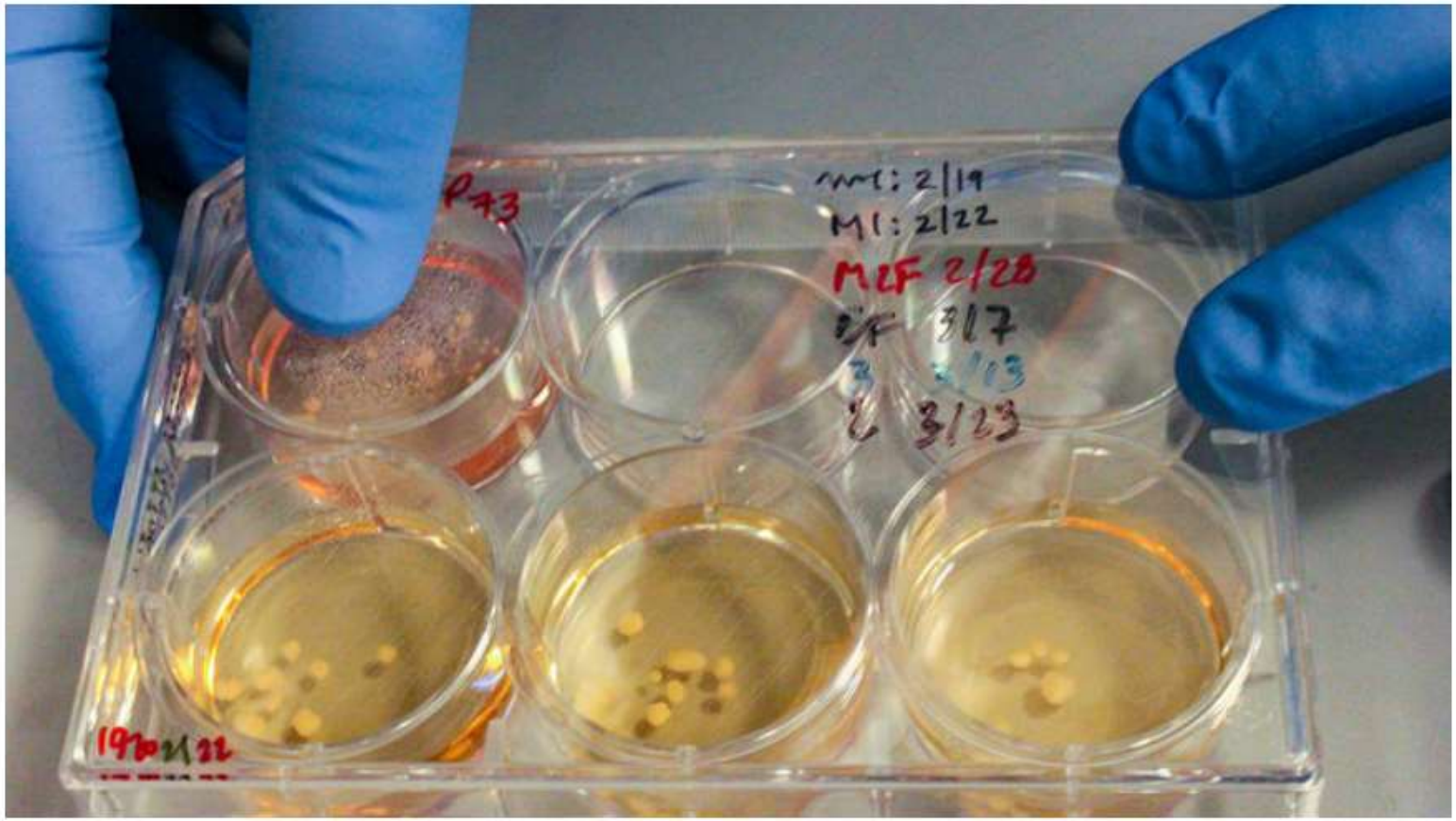
Scientists create ‘Minibrains’ to research Parkinson’s disease

by Brett Smith

Scientists in Singapore have developed small functional replicas of the human midbrain that could help with research into Parkinso
’s disease and other brain diseases.

These ‘organoids’ are miniature tissues that have essential properties of the human midbrain. The researchers said their work represents the first time the essential black pigment neuromelanin has been seen in an organoid model. A major cause of Parkinso symptoms is a sharp drop in neuromelanin production.

The human midbrain regulates hearing, eye movements, perspective, and movement. It contains unique dopaminergic neurons th



Alysson Muotri's lab grew these brain organoids from human stem cells that had a developmental gene edited into the version once possessed by Neanderthals. J. COHEN/*SCIENCE*

Exclusive: Neanderthal 'minibrains' grown in dish

By Jon Cohen | Jun. 20, 2018 , 12:35 PM

Hva skjer hvis vi lykkes med å forlenge alderdom?

Ian Wilmut og den klonede sauen Dolly

Nakenrotte

Manet

Grønlandshai

Grantre

Vil det bli mindre behov for operasjonssykepleiere ?

Mest sannsynlig ikke

Takk for oppmerksomheten!

Nyhetsbrev