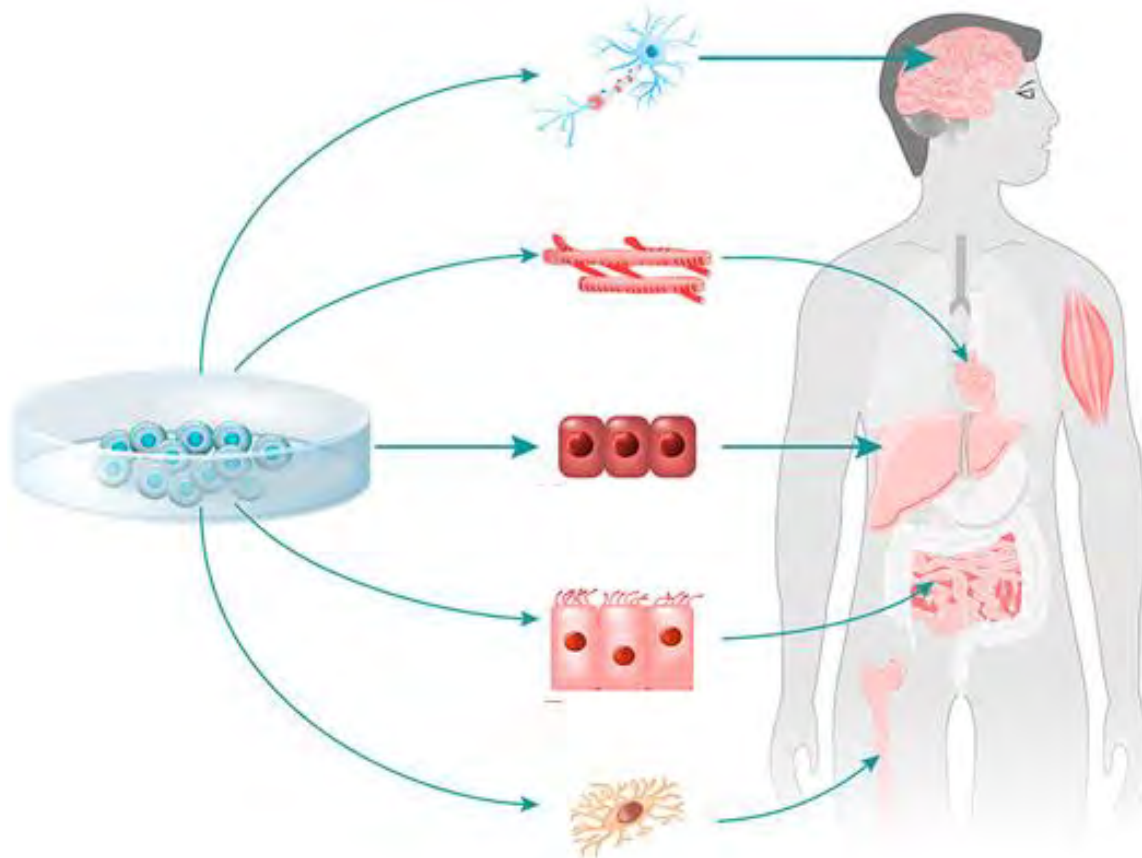


## رصد فناوری‌های نوظهور

# علوم و فناوری‌های سلول‌های بنیادی و پزشکی بازساختی

سلسله گزارش‌های برنامه ملی آینده‌نگاری علم و فناوری ایران



  
 ریاست جمهوری  
 معاونت علمی، فناوری و اقتصاد دانش بنیان

  
 آینده‌نگاری

  
 دانشگاه بوعلی سینا  
 ۱۳۳۸



السلامة



سلسله گزارش‌های برنامه ملی آینده‌نگاری علم و فناوری ایران

رصد فناوری‌های نوظهور: علوم و فناوری‌های سلول‌های بنیادی و پزشکی بازساختی

ترجمه و تلخیص گزارش‌های بین‌المللی: طوبی برامکی و رسول برامکی

تحلیل مقالات و پتنت‌های بین‌المللی: راحله فتح‌الهی

ناشر: دانش‌بنیان فناور

شمارگان: ۱۰۰ نسخه

سال نشر: ۱۴۰۲

شابک: ۹۷۸-۶۲۲-۹۱۲۹۱-۱-۱

کلیه حقوق محفوظ و متعلق به دبیرخانه برنامه ملی آینده‌نگاری علم و فناوری است

# فهرست

۸.....	پزشکی بازساختی با استفاده از سلول‌های بنیادی.....
۳۱.....	گزارش صنعت ژن‌درمانی.....
۵۶.....	پزشکی بازساختی: برهم زدن وضعیت موجود.....
۷۸.....	توصیه‌هایی برای دسترسی به موقع به محصولات دارویی درمان پیشرفته در اروپا.....
۹۵.....	تجزیه و تحلیل شکاف برای بخش سلول و ژن‌درمانی.....
۱۰۷.....	گزارش چشم‌انداز ژن، سلول و RNA درمانی.....
۱۲۵.....	پزشکی بازساختی.....
۱۵۱.....	گزارش استارت‌آپ‌ها در سال ۲۰۲۳.....
۱۷۳.....	روندهای بین‌المللی برای بخش خون.....
۱۸۶.....	ژن‌درمانی یکبار برای همیشه.....
۱۹۸.....	جمع‌بندی فناوری‌ها و حوزه‌های اولویت‌دار سلول‌های بنیادی و پزشکی بازساختی.....
۲۲۶.....	تحلیل پتنت و مقالات حوزه فناوری‌های پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی.....
۳۰۸.....	فرایند اجرایی گزارش.....
۳۱۸.....	منابع.....

## معرفی برنامه ملی آینده نگاری علم و فناوری ایران

لزوم تفکر آینده‌نگر و حرکت به سوی جامعه دانشی، موضوعی است که مورد توجه سیاست‌گذاران حوزه علم، فناوری و نوآوری در کشورهای مختلف قرار گرفته است. در سال‌های اخیر، تجربه کشورهای توسعه‌یافته نشان داده است که برنامه‌هایی مانند برنامه آینده‌نگاری در حوزه علم و فناوری، با ارائه اطلاعات و خلق هوشمندی در میان ذینفعان مختلف، سعی در حرکت به این مقصد مهم که همان ساختن جامعه مطالبه‌گر و آگاه، جامعه هوشمند و آشنا به فرصت‌ها و تهدیدهای آینده و جامعه دارای اطلاع از پاسخ‌هایی که حوزه علم و فناوری می‌تواند به چالش پیش‌رو پاسخ دهد، داشته‌اند. از این‌رو «برنامه ملی آینده‌نگاری علم و فناوری» با تدوین مدل اجرایی در معاونت سیاست‌گذاری و توسعه معاونت علمی، فناوری و اقتصاد دانش‌بنیان ریاست جمهوری آغاز شد و بعد از آن با تصویب هیات محترم وزیران در تاریخ ۱۳۹۳/۱۲/۱۷ جهت اجرا به این معاونت و کلیه دستگاه‌های اجرایی کشور ابلاغ شد. براساس این مصوبه، معاونت علمی، فناوری و اقتصاد دانش‌بنیان ریاست جمهوری متولی اجرای برنامه ملی آینده‌نگاری علم و فناوری است که این مهم را از طریق معاونت سیاست‌گذاری و توسعه به عنوان «دبیرخانه» برنامه ملی آینده‌نگاری، و با همکاری دستگاه‌های اجرایی به انجام رساند.

دبیرخانه برنامه ملی آینده‌نگاری علم و فناوری

معاونت علمی، فناوری و اقتصاد دانش‌بنیان ریاست جمهوری

## مقدمه

سلول‌های بنیادی و پزشکی بازساختی به‌عنوان دو زمینه حیاتی و پیشرفت‌بخش در علم پزشکی و تحقیقات بیولوژیک، اهمیت بسیاری دارند. این بخش‌ها از اهمیت ویژه‌ای برخوردارند زیرا توانایی ارائه راهکارهای نوین برای درمان بیماری‌های مزمن و حاد را دارند. با استفاده از سلول‌های بنیادی، امکان درمان بسیاری از بیماری‌ها که پیشتر به عنوان غیرقابل درمان معرفی می‌شدند، فراهم می‌شود. همچنین، پزشکی بازساختی به دانش و فناوری‌هایی اشاره دارد که امکان بازسازی و بهبود عملکرد انواع اندام‌ها و بافت‌های بدن انسان را فراهم می‌کند.

با توجه به اهمیت این بخش‌ها، در این گزارش تلاش شده است تا با ارائه‌ی خلاصه‌ای از ۱۰ گزارش، حوزه‌های اولویت‌دار به همراه فناوری‌های ذیل هر حوزه، مشخص شود. این گزارش به منظور ارائه مروری اجمالی و کارآمد از وضعیت فعلی و پیشرفت‌های اخیر در این بخش‌ها تدوین شده است و هدف اصلی آن ارائه یک منبع مفید و سازنده برای علاقه‌مندان به دنیای پژوهش و فناوری در بخش سلول‌های بنیادی و پزشکی بازساختی می‌باشد.

# ۱- پزشکی بازساختی با استفاده از سلول‌های بنیادی





# پزشکی بازساختی با استفاده از سلول‌های بنیادی



✓ عنوان گزارش:

پزشکی بازساختی با استفاده از سلول‌های بنیادی

✓ ناشر:

University of Cincinnati

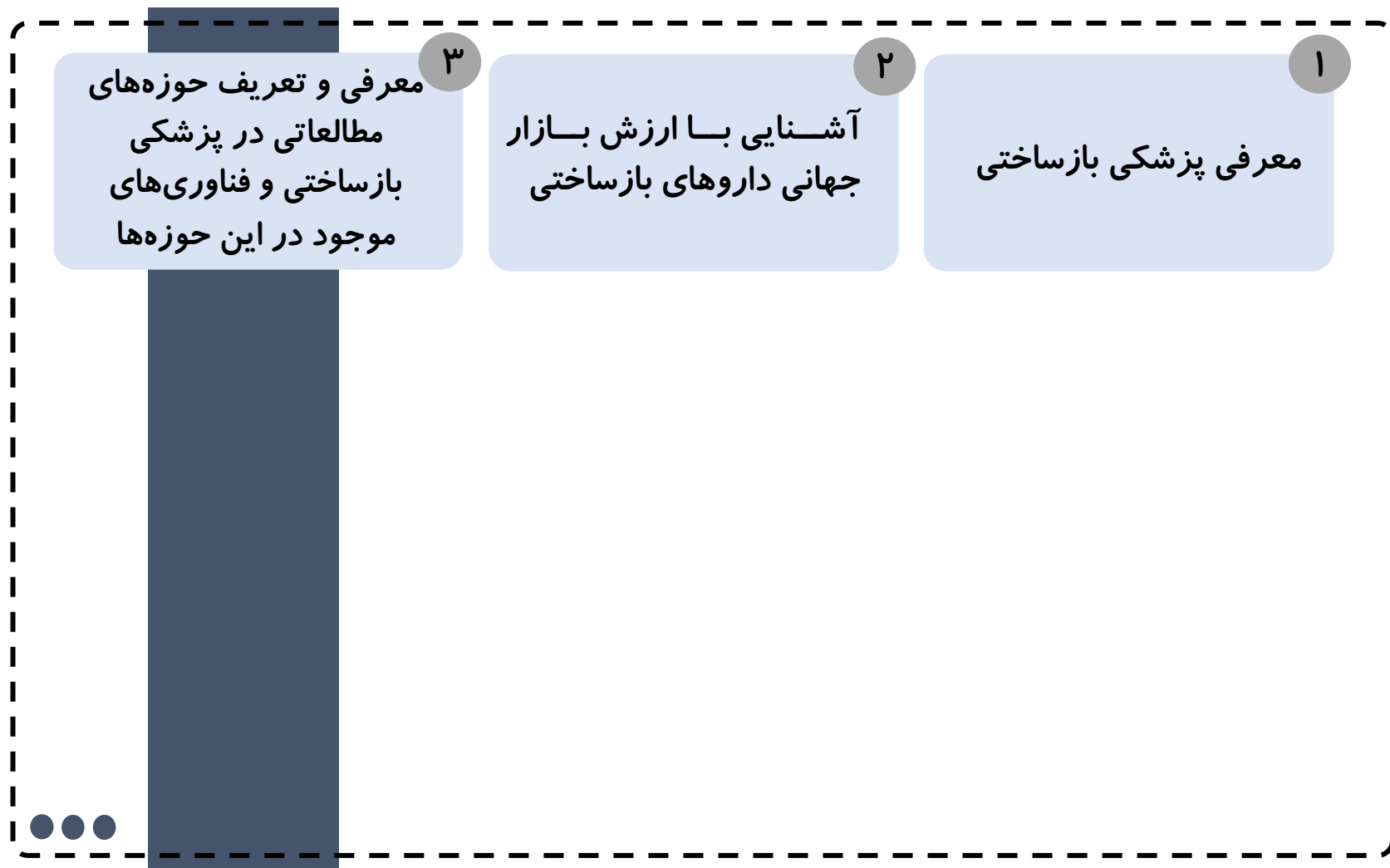
✓ سال نشر:

۲۰۲۱

✓ هدف و مخاطبین:

معرفی پزشکی بازساختی، ارزش بازار جهانی داروها و حوزه‌های درمانی آن برای آشنایی پژوهشگران، پزشکان و بازاریابان با این حوزه.

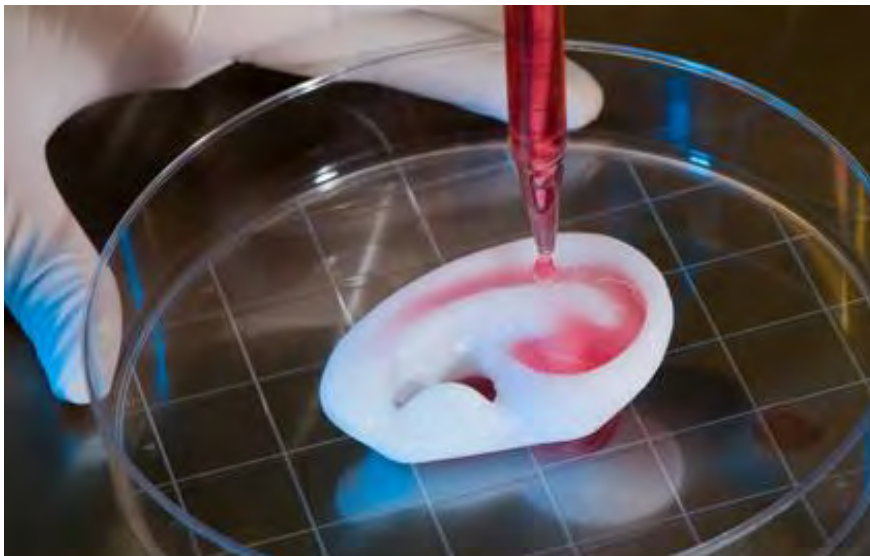
# فرایند نگارش گزارش



# پزشکی بازساختی

پزشکی بازساختی یکی از جدیدترین و نوظهورترین شاخه‌ی علم پزشکی است که روش‌هایی را برای رشد مجدد، ترمیم یا جایگزینی سلول‌ها، اندام‌ها یا بافت‌های آسیب دیده یا بیمار برای بازگرداندن عملکرد طبیعی ایجاد می‌کند.

پزشکی بازساختی شامل ایجاد و استفاده از سلول‌های بنیادی درمانی برای ترمیم یک ناحیه مشکل دار در بدن، مهندسی بافت و تولید اعضای مصنوعی بدن می‌شود.



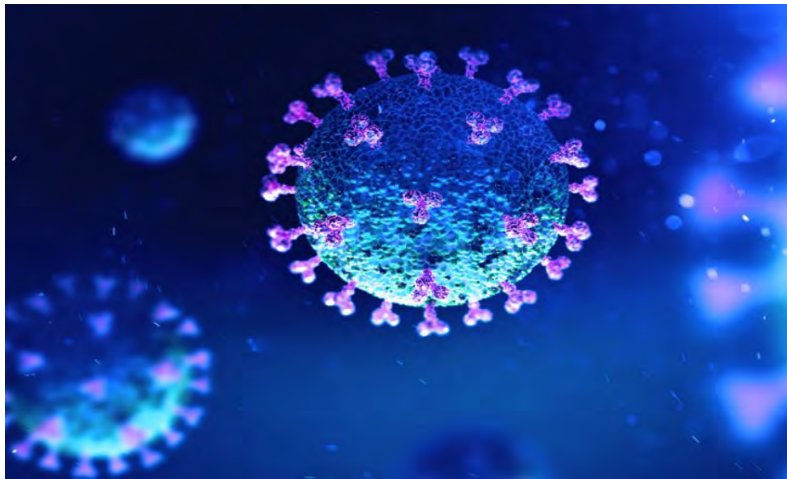
# ارزش بازار جهانی داروهای بازساختی

ارزش بازار جهانی داروهای بازساختی در سال ۲۰۱۹، ۳۵ میلیارد دلار بود و قرار است تا سال ۲۰۲۵ به بیش از ۱۲۴ میلیارد دلار برسد.

بیش از ۹۰۰ شرکت تحقیقاتی پزشکی روی محصولات پزشکی بازساختی کار می‌کنند.

۱	۲	۳	۴	۵	۶	۷	
							۱- درمان با سلول‌های CAR-T
							۲- درمان با سلول‌های CAR-NK
							۳- ژن درمانی
							۴- سلول‌های بنیادی درمانی
							۵- آگزوزوم درمانی
							۶- مهندسی بافت و مواد زیستی
							۷- چاپ زیستی سه بعدی

# حوزه‌های مطالعاتی در پزشکی بازساختی



سلول‌های بنیادی درمانی

ایمونودرمانی‌های سلولی

مهندسی سلولی / سلول درمانی

مهندسی بافت و مواد زیستی

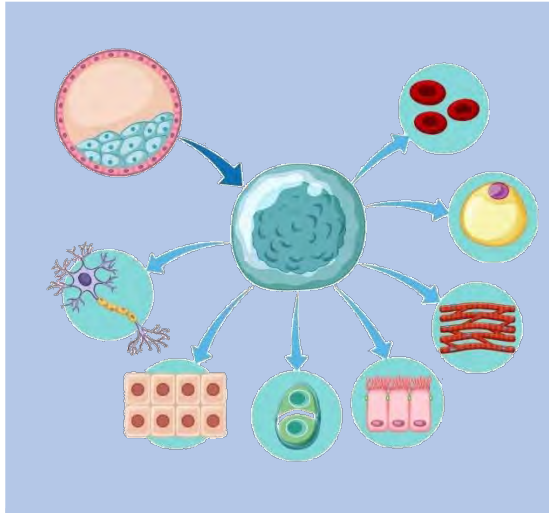
برنامه‌ریزی مجدد سلولی

اگزوزوم درمانی

داربست‌های سلولی و ماتریکس

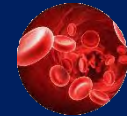
چاپ زیستی سه بعدی

# سلول بنیادی چیست؟



سلول‌های بنیادی سلول‌هایی با پتانسیل تبدیل شدن به انواع مختلفی از سلول‌ها در بدن هستند. آن‌ها به عنوان یک سیستم ترمیم کننده برای بدن عمل می‌کنند.

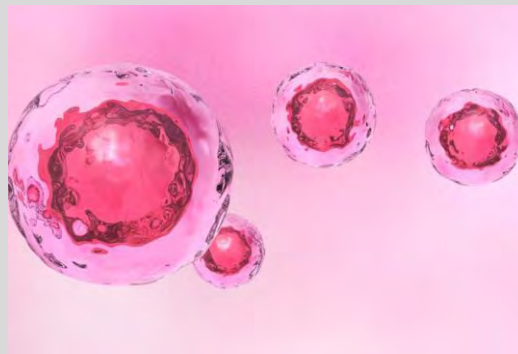
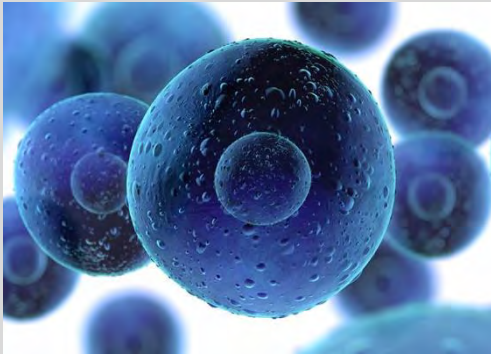
دو نوع اصلی سلول‌های بنیادی وجود دارد:



سلول‌های بنیادی بالغ

و

سلول‌های بنیادی جنینی

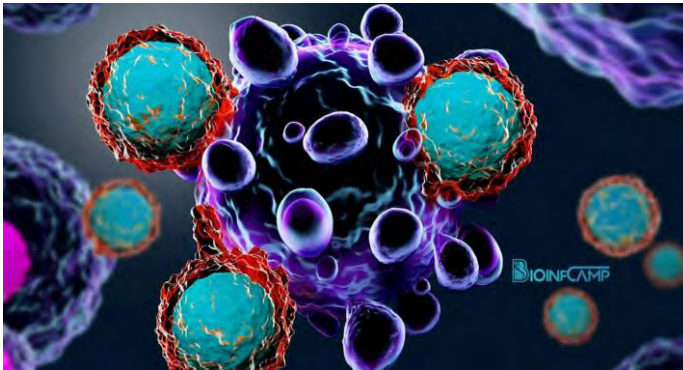


# انواع سلول‌های بنیادی

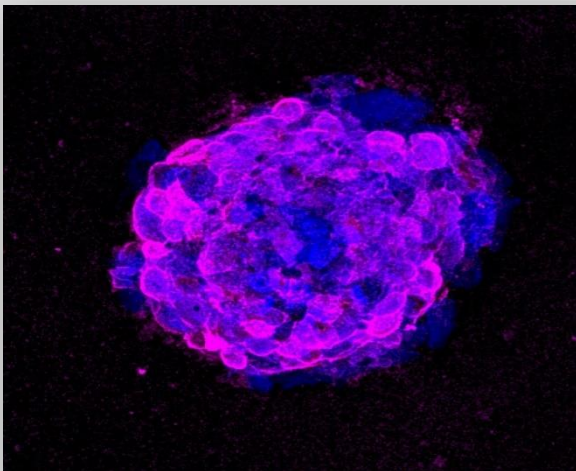
دو نوع اصلی سلول‌های بنیادی وجود دارد: سلول‌های بنیادی جنینی و سلول‌های بنیادی بالغ

سلول‌های بنیادی بالغ سلول‌های تمایز نیافته‌ای هستند که در میان سلول‌های تمایز یافته در یک بافت یا اندام قرار دارند. آن‌ها توانایی تجدید خود و تمایز به انواع سلول‌های تخصصی را دارند.

سلول‌های بنیادی جنینی، سلول‌های بنیادی پرتوانی هستند که از توده سلولی داخلی یک بلاستوسیست، یک جنین در مراحل اولیه قبل از لانه‌گزینی به دست می‌آیند. جنین‌های انسانی ۴ تا ۵ روز پس از لقاح به مرحله بلاستوسیست می‌رسند که در این زمان از ۵۰ تا ۱۵۰ سلول تشکیل شده است.



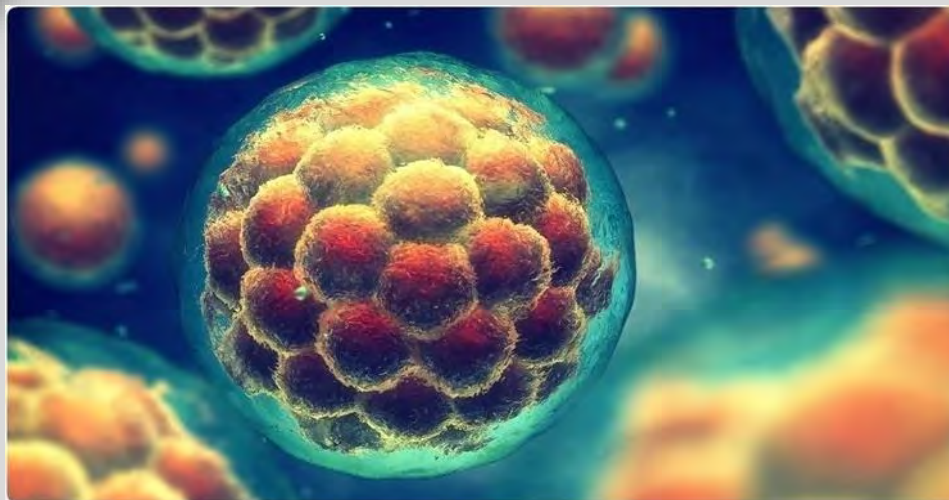
# محدودیت استفاده از سلول‌های بنیادی جنینی



از زمان کشف سلول‌های بنیادی جنینی انسان، دانشمندان امید زیادی به استفاده از آن‌ها در درمان طیف وسیع‌تری از بیماری‌ها داشته‌اند، زیرا این سلول‌ها "قدرت کامل" هستند، به این معنی که قادر به تمایز (تغییر) به هر یک از ۲۲۶ نوع سلول بدن هستند.

با این حال استفاده از این سلول‌ها باعث از بین رفتن جنین می‌شود.

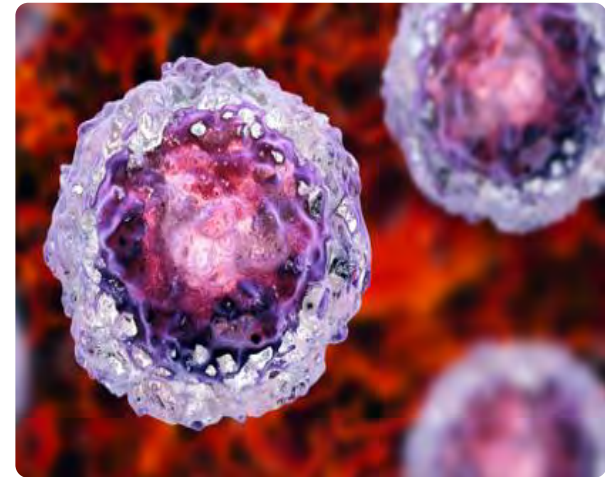
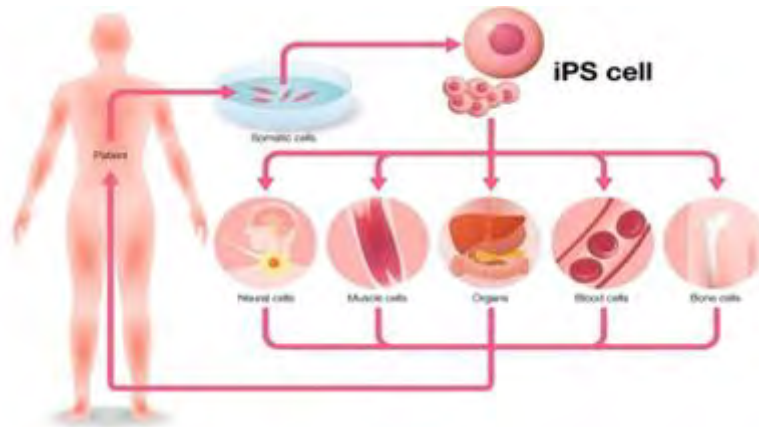
در سال ۲۰۰۶، محققان جایگزینی برای برداشت سلول‌های بنیادی جنینی به نام سلول‌های بنیادی پرتوان القایی (induced pluripotent stem) معرفی کردند.



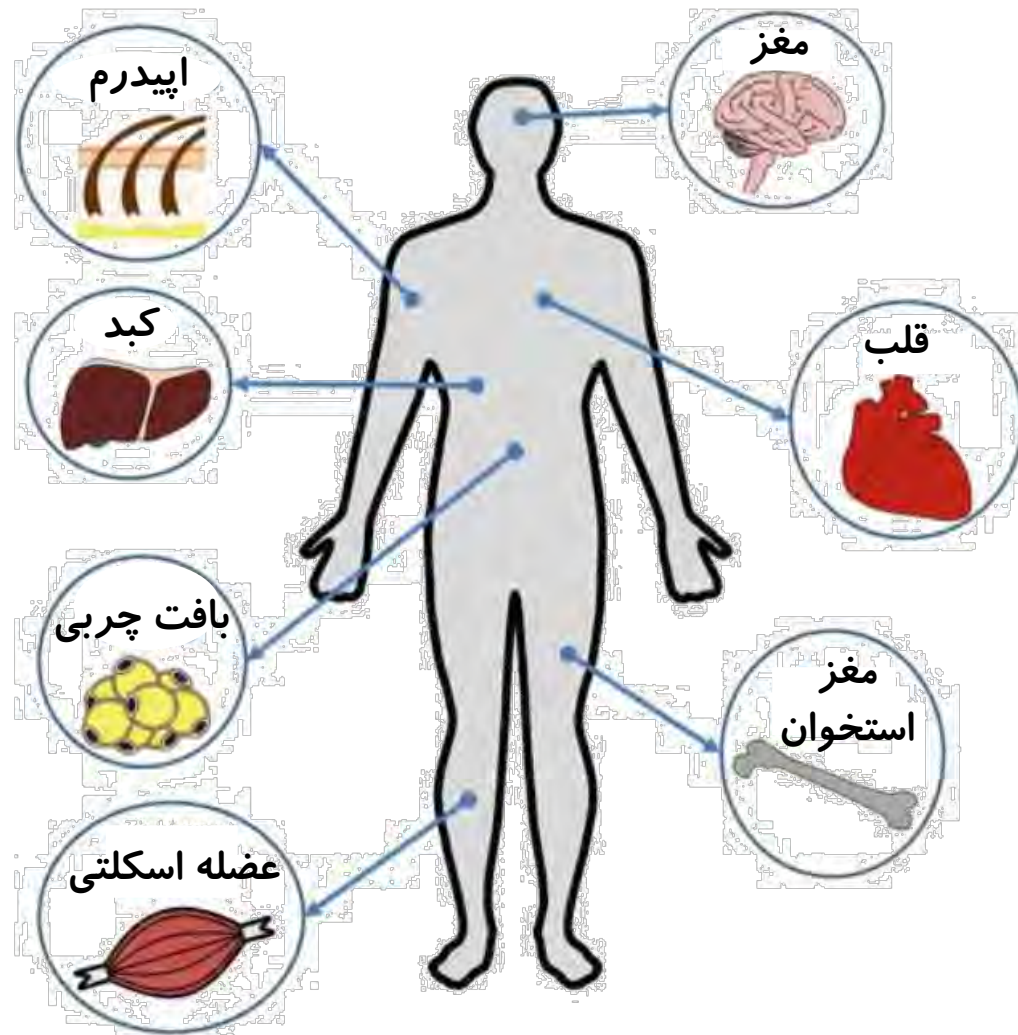


# سلول‌های بنیادی پر توان القایی (iPSCs)

سلول‌های بنیادی جنینی سلول‌های بنیادی پر توانی هستند که علاوه بر قابلیت خودنوزایی نامحدود، دارای توانایی تمایزی بالایی به دودمان‌های سلولی مختلف هستند که به این قابلیت، پر توانی می‌گویند. این سلول‌ها به خاطر داشتن این دو ویژگی مهم، کاربردهای بالقوه‌ی بسیاری در مطالعات و تحقیقات بنیادین و حوزه‌های درمانی دارند. اما سلول‌های مشتق از سلول‌های بنیادی جنینی با مشکل رد پیوند در هنگام پیوند زدن روبه‌رو هستند. در سال ۲۰۰۶ میلادی، پژوهشگران ژاپنی تولید نوع جدیدی از سلول‌های بنیادی پر توان را گزارش کردند که مشکل ایمونولوژیک سلول‌های بنیادی جنینی در مورد آن‌ها مطرح نبود، زیرا از سلول‌های خود فرد دهنده تولید می‌شدند. آن‌ها این سلول‌ها را که با بیان ویروسی چهار ژن مهم پر توانی در سلول‌های سوماتیک تولید شده بودند، سلول‌های بنیادی پر توان القایی نامیدند. این سلول‌ها تمام قابلیت‌های سلول‌های بنیادی جنینی از جمله توانایی تولید یک جاندار کامل را دارند، از این رو در ضمن نداشتن مشکل ایمونولوژیک، دارای تمامی کاربردهای بالقوه‌ی سلول‌های بنیادی جنینی شامل غربالگری داروها و مدل‌سازی بیماری‌ها هستند.

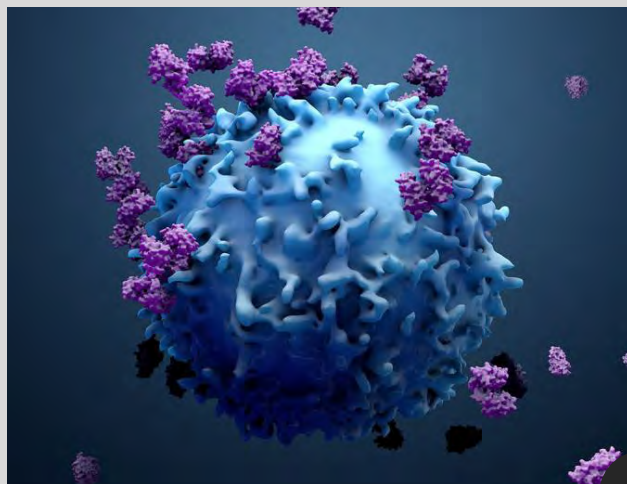


# منابع سلول‌های بنیادی بالغ

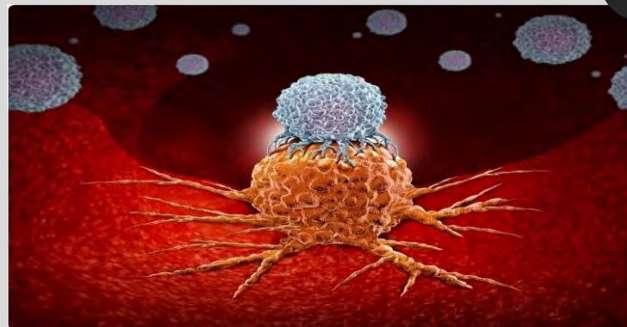


REGENERATIVE MEDICINE USING STEM CELLS (2021). University of Cincinnati. Available at: <https://www.uc.edu/content/dam/refresh/cont-ed-62/olli/stem-cells-regenerative-medicine.pdf>

# ایمونودرمانی‌های سلولی



ایمونودرمانی سلولی یک روش درمانی بیولوژیک است که برای تحریک سیستم ایمنی بدن برای شناخت و مبارزه با سلول‌های سرطانی استفاده می‌شود. این روش شامل استفاده از آنتی‌بادی‌های مونوکلونال و فعال‌سازی سلول‌های T است. در این روش، سیستم ایمنی بدن به عنوان بخشی از عملکرد طبیعی خود، سلول‌های غیرطبیعی را شناسایی و نابود می‌کند و ایمونوتراپی این فرایند را تقویت می‌کند.

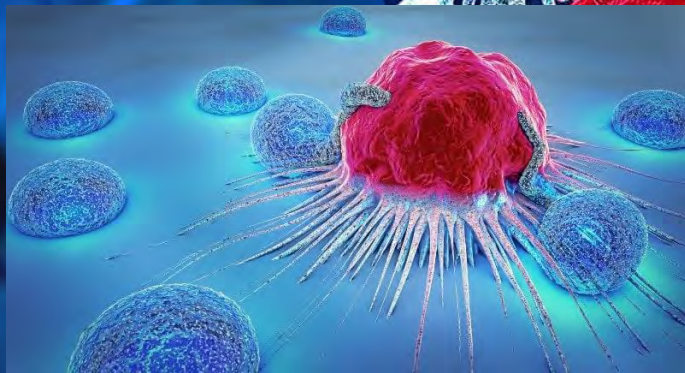


ایمونودرمانی سلولی شامل استفاده از سلول‌های ایمنی مانند سلول‌های T است که به مارکرهای مشخص سلول‌های توموری متصل شده و آن‌ها را شناسایی و نابود می‌کنند. این روش می‌تواند به عنوان یک روش درمانی مؤثر برای برخی از بیماران با سرطان باشد.

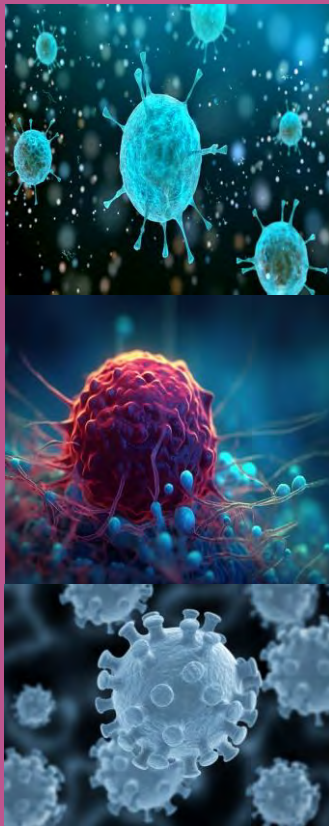
# ویروس درمانی با عوامل انکولیتیک

ویروس‌های انکولیتیک مورد استفاده در برابر ایمونوتراپی‌های سرطان شامل آدنووایروس، ویروس واکسینیا، ویروس هرپس سیمپلکس، ویروس سرخک، ویروس ریو، ویروس بیماری نیوکاسل، ویروس کوکساکسی، ویروس استوماتیت تاولی و سودوویروس است.

ویروس‌های انکولیتیک در درمان سرطان نویدبخش بوده‌اند. در این روش ویروس‌های خاصی که می‌توانند در سلول‌های سرطانی تکثیر شوند، حملات ایمنی ضد توموری را در تومور تحریک می‌کنند. ویروس‌ها از نظر ژنتیکی اصلاح شده‌اند تا به سلول‌های تومور حمله کنند و آن‌ها را از بین ببرند.

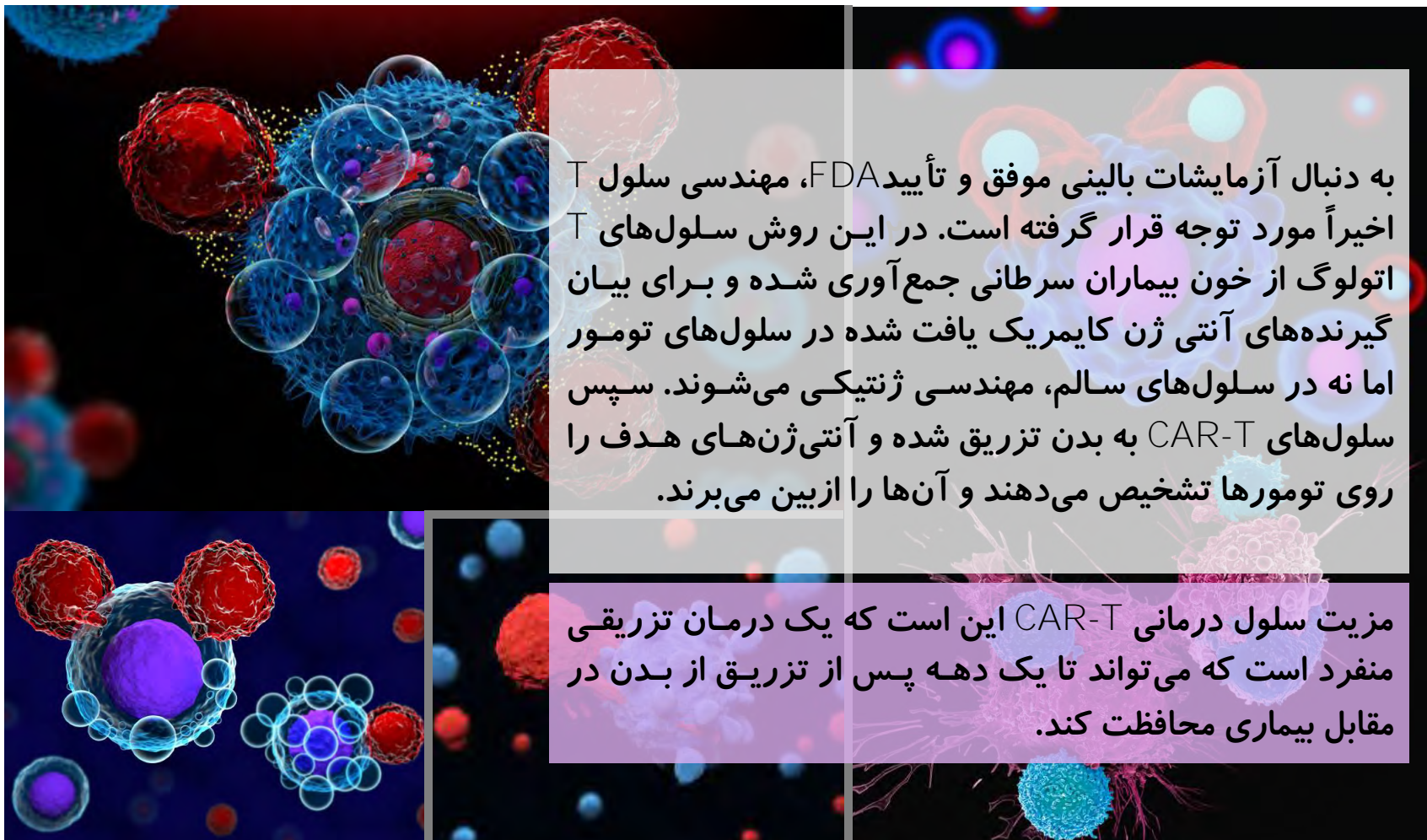


## چند مثال از ویروس درمانی با عوامل انکولیتیک



- تقویت ضد تومور در آدنوویروس انکولیتیک CG0070 با بیان GM-CSF برای درمان سرطان مثانه.
- ترکیبی آدنوویروس انکولیتیک IC0VIR-5 با سلولهای بنیادی مزانشیمی برای تثبیت بیماری در بیماران نوروبلاستوما.
- ویروس واکسینیا مهندسی شده برای درمان سرطان متاستاتیک کبد.
- T-VEC، یک ویروس هرپس سیمپلکس انکولیتیک مهندسی شده با ترشح GM-CSF، برای درمان ملانوم پیشرفته.

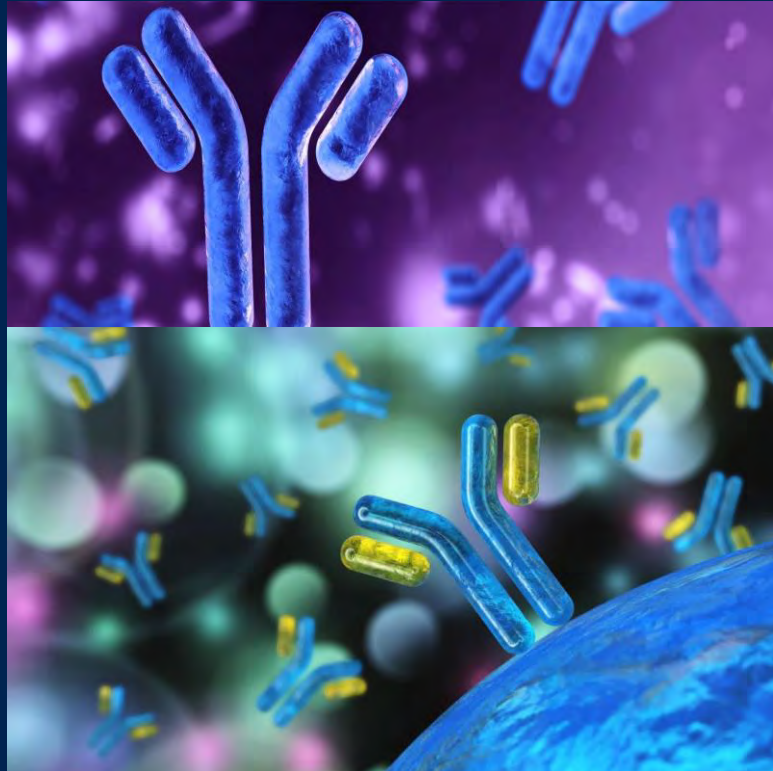
# درمان با سلول‌های CAR-T



به دنبال آزمایشات بالینی موفق و تأیید FDA، مهندسی سلول T اخیراً مورد توجه قرار گرفته است. در این روش سلول‌های T اتولوگ از خون بیماران سرطانی جمع‌آوری شده و برای بیان گیرنده‌های آنتی ژن کایمیریک یافت شده در سلول‌های تومور اما نه در سلول‌های سالم، مهندسی ژنتیکی می‌شوند. سپس سلول‌های CAR-T به بدن تزریق شده و آنتی‌ژن‌های هدف را روی تومورها تشخیص می‌دهند و آن‌ها را از بین می‌برند.

مزیت سلول درمانی CAR-T این است که یک درمان تزریقی منفرد است که می‌تواند تا یک دهه پس از تزریق از بدن در مقابل بیماری محافظت کند.

# آنتی بادی‌های آگونیست

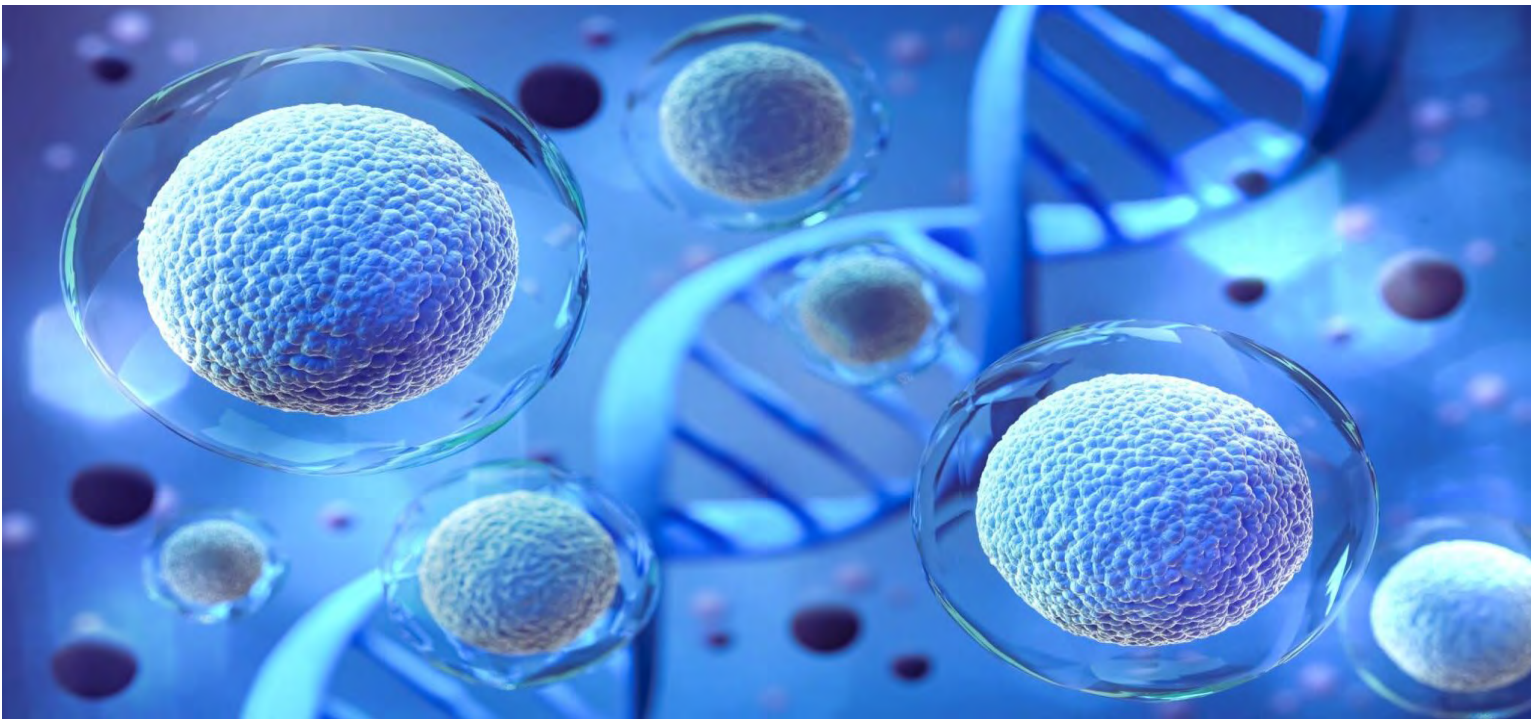


آنتی بادی‌های آگونیست به طور خاص برای اتصال به گیرنده‌های سلول T و فعال کردن مسیرهای سیگنال دهی داخل سلولی به منظور مبارزه مؤثر با سلول‌های سرطانی طراحی شده‌اند. آنتی بادی‌های مونوکلونال (mAbs) که نقاط بازرسی ایمنی مانند CTLA-4 و PD1/PD-L1 را هدف قرار می‌دهند، اخیراً برای فعالیت ضد توموری ساخته شده اند.

mAbs آگونیست که علیه گیرنده ایمنی CD40 ایجاد شده‌اند می‌توانند سلول‌های T نفوذ کننده تومور (TILs) را افزایش دهند و به طور مؤثر سلول‌های سرطانی را از بین ببرند.

# مهندسی سلولی / سلول درمانی

سلول درمانی / مهندسی سلولی (cell therapy/ cellular engineering) نوعی درمان است که در آن سلول‌های بنیادی به بیمار پیوند زده می‌شود. گاهی این کار با تزریق سلول‌های زنده و دست نخورده انجام می‌شود.



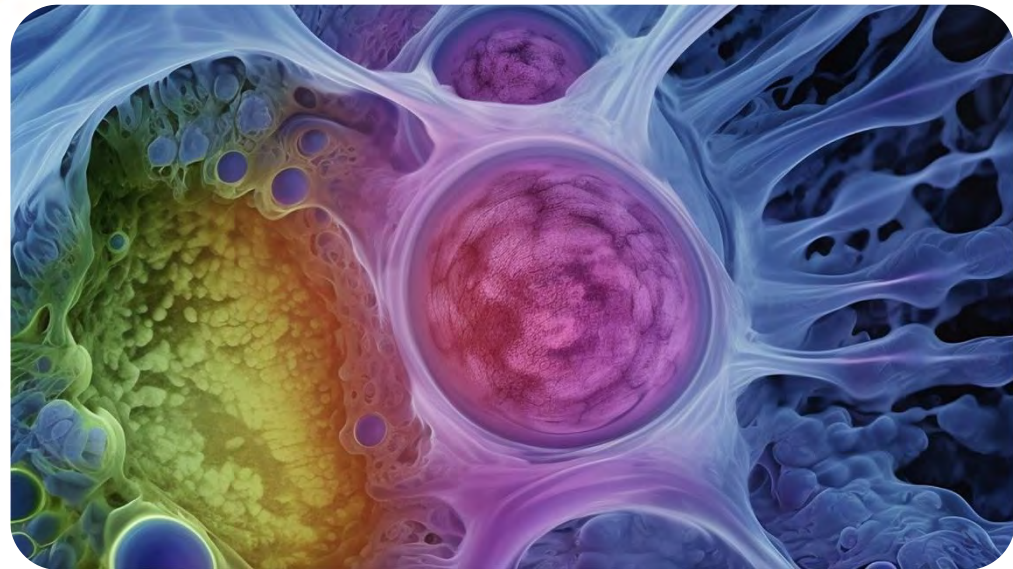
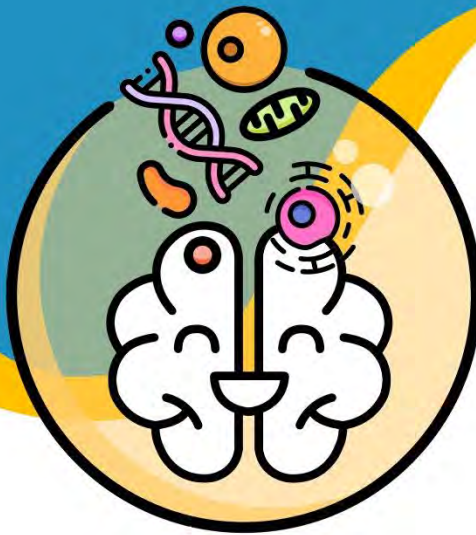
REGENERATIVE MEDICINE USING STEM CELLS (2021). University of Cincinnati. Available at: <https://www.uc.edu/content/dam/refresh/cont-ed-62/olli/stem-cells-regenerative-medicine.pdf>



# مهندسی بافت



هدف مهندسی بافت (tissue engineering) جمع آوری ساختارهای کاربردی است؛ به طوری که بافت‌ها یا کل اندام‌های آسیب‌دیده بازسازی، حفظ یا بهبود بخشیده شوند.

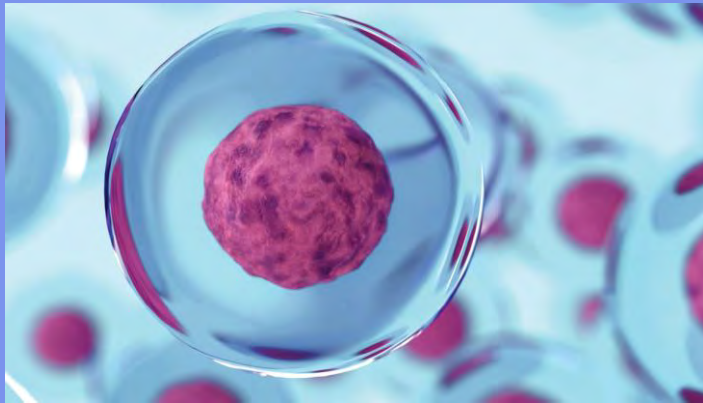


با این حال، در حال حاضر استفاده محدودی در بیماران انسانی دارند.

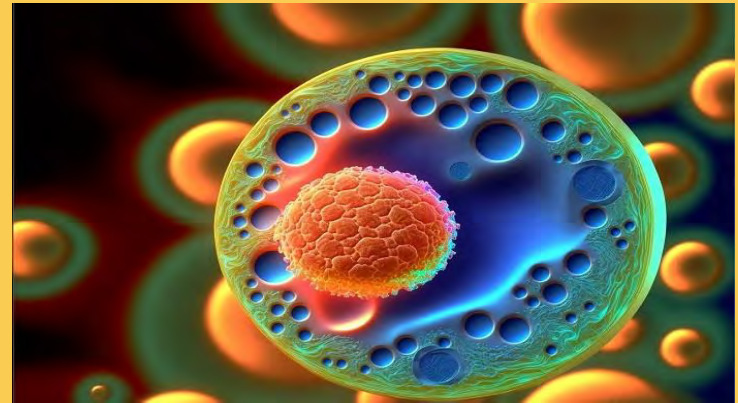
پوست و غضروف مصنوعی نمونه‌هایی از بافت‌های مهندسی شده هستند که توسط FDA تأیید شده‌اند.

## برنامه ریزی مجدد سلولی

در این روش، سلول‌ها می‌توانند از منابع مختلف مانند خود بیمار یا افراد دیگر، استخراج شوند و سپس به مناطق مورد نیاز منتقل شوند. از جمله روش‌های استفاده شده در این حوزه می‌توان به تزریق سلول‌های بنیادی، کشت سلولی و فناوری‌های ژنتیکی اشاره کرد. این روش‌ها می‌توانند بهبود قابل توجهی در بازسازی بافت‌های بدن ایجاد کنند و بهبودی در وضعیت بیماران داشته باشند.



برنامه‌ریزی مجدد سلولی یک روش درمانی است که در آن سلول‌های بدن برای بازسازی بافت‌های آسیب دیده یا از بین رفته استفاده می‌شود. این روش معمولاً در حوزه‌هایی مانند بیماری‌های قلبی، سوختگی، زخم‌های عمیق و برخی بیماری‌های دیگر مورد استفاده قرار می‌گیرد.

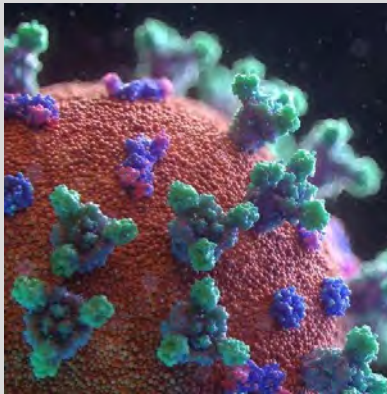


# اگزوزوم درمانی



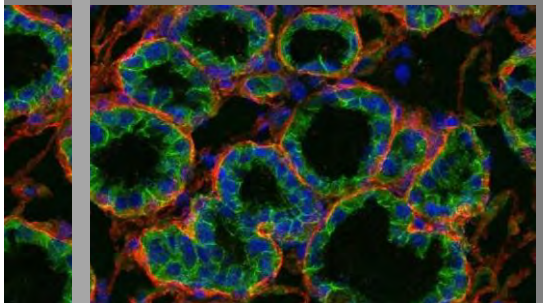
اگزوزوم سلول های بنیادی

روش اگزوزوم درمانی یکی از جدیدترین و نوین ترین روش های موجود در حال حاضر برای درمان بیماری های مختلف مفاصل و عضله می باشد. در واقع این روش درمان، جایگزینی برای عمل های جراحی سنگین و همچنین مصرف طولانی مدت دارو محسوب می شود.



با استفاده از این روش درمان می توان مفاصل و استخوان های آسیب دیده را بازپرووی کرد و سبب بهبود آنها شد. در واقع اگزوزوم با کمک سلول های بنیادی به تقسیم بیشتر و سریع تر سلول در نواحی آسیب دیده کمک کرده و سبب می شود تا مفاصل در مدت زمان بسیار سریع به حالت اول خود بازگردند.

# داربست‌های سلولی و ماتریکس

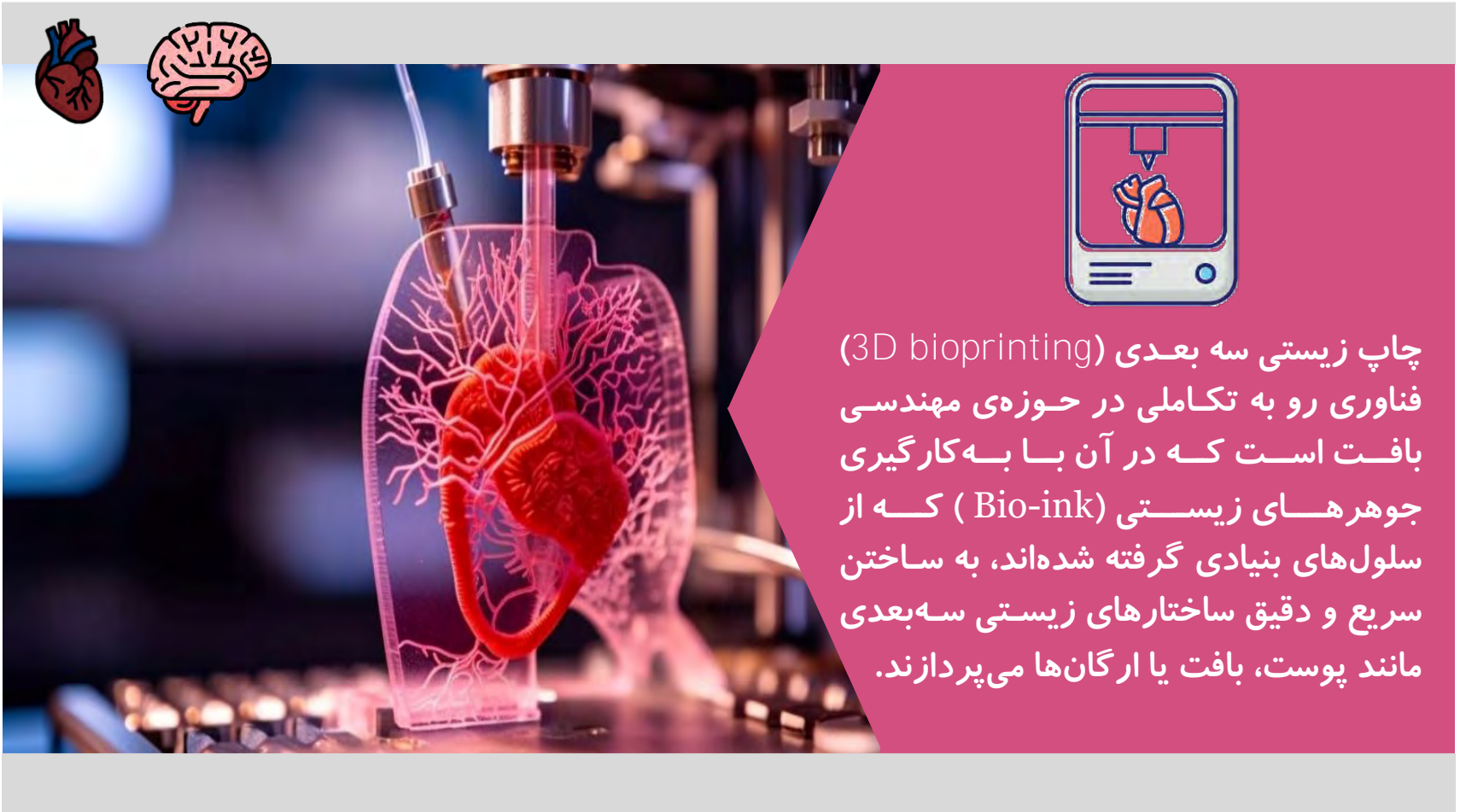


در حوزه پزشکی بازساختی، داربست‌های سلولی و ماتریکس‌ها نقش مهمی در بازسازی بافت‌ها و سازه‌های بدن دارند. داربست‌های سلولی، ساختارهای سه‌بعدی هستند که از سلول‌های زنده تشکیل شده‌اند و می‌توانند به عنوان بستری برای رشد و تکثیر سلول‌ها استفاده شوند. این سازه‌ها می‌توانند از سلول‌های بنیادی یا سلول‌های زدایی شده تهیه شوند و در فرایندهای مهندسی بافت مورد استفاده قرار بگیرند.

ماتریکس ساختاری است که سلول‌ها درون آن جای می‌گیرند و از آن برای تعامل با سایر سلول‌ها و انجام وظایف خود استفاده می‌کنند. این ساختارها می‌توانند شامل انواع مختلفی از پروتئین‌ها، فیبرونکتین، کلاژن و سایر مولکول‌های مهم برای رشد و تکثیر سلولی باشند. ماتریکس‌ها می‌توانند به عنوان یک بستر حمایتی برای سلول‌ها عمل کرده و در فرایندهای بازسازی و ترمیم بافت‌ها نقش داشته باشند.



# چاپ زیستی سه بعدی



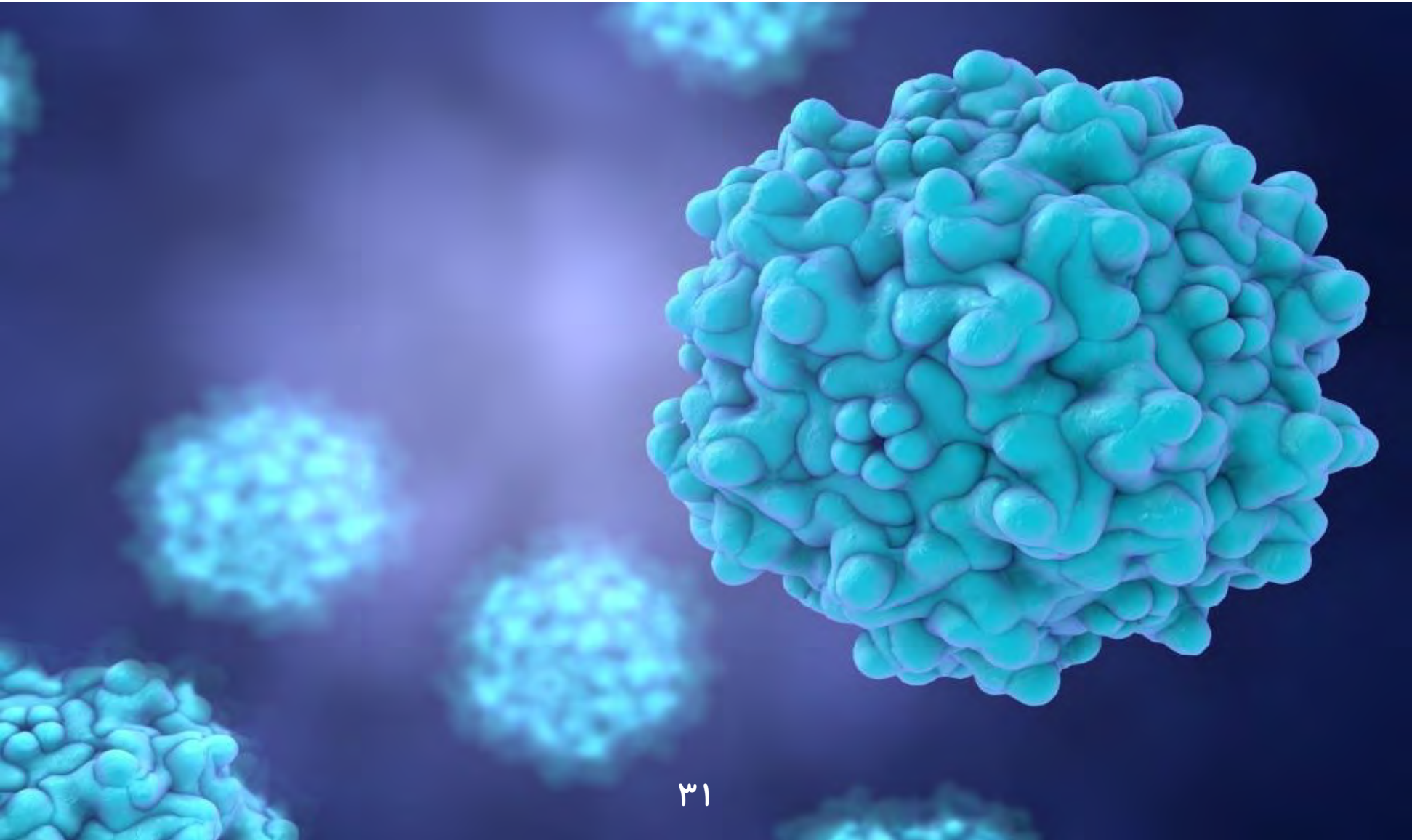
REGENERATIVE MEDICINE USING STEM CELLS (2021). University of Cincinnati. Available at: <https://www.uc.edu/content/dam/refresh/cont-ed-62/olli/stem-cells-regenerative-medicine.pdf>

# جمع‌بندی

ژن درمانی	ایمونو درمانی‌های سلولی	حوزه‌های اولویت دار فناوری‌های اولویت دار
✓		استفاده از ویروس درمانی با عوامل انکولیتیک برای درمان سرطان <span style="float: right;">■</span>
✓	✓	CAR-T درمانی برای درمان سرطان <span style="float: right;">■</span>
	✓	CAR-NK درمانی برای درمان سرطان <span style="float: right;">■</span>



## ۲- گزارش صنعت ژن درمانی



# گزارش صنعت ژن‌درمانی



✓ عنوان گزارش:

گزارش صنعت ژن‌درمانی

✓ ناشر:

PerkinElmer

✓ سال نشر:

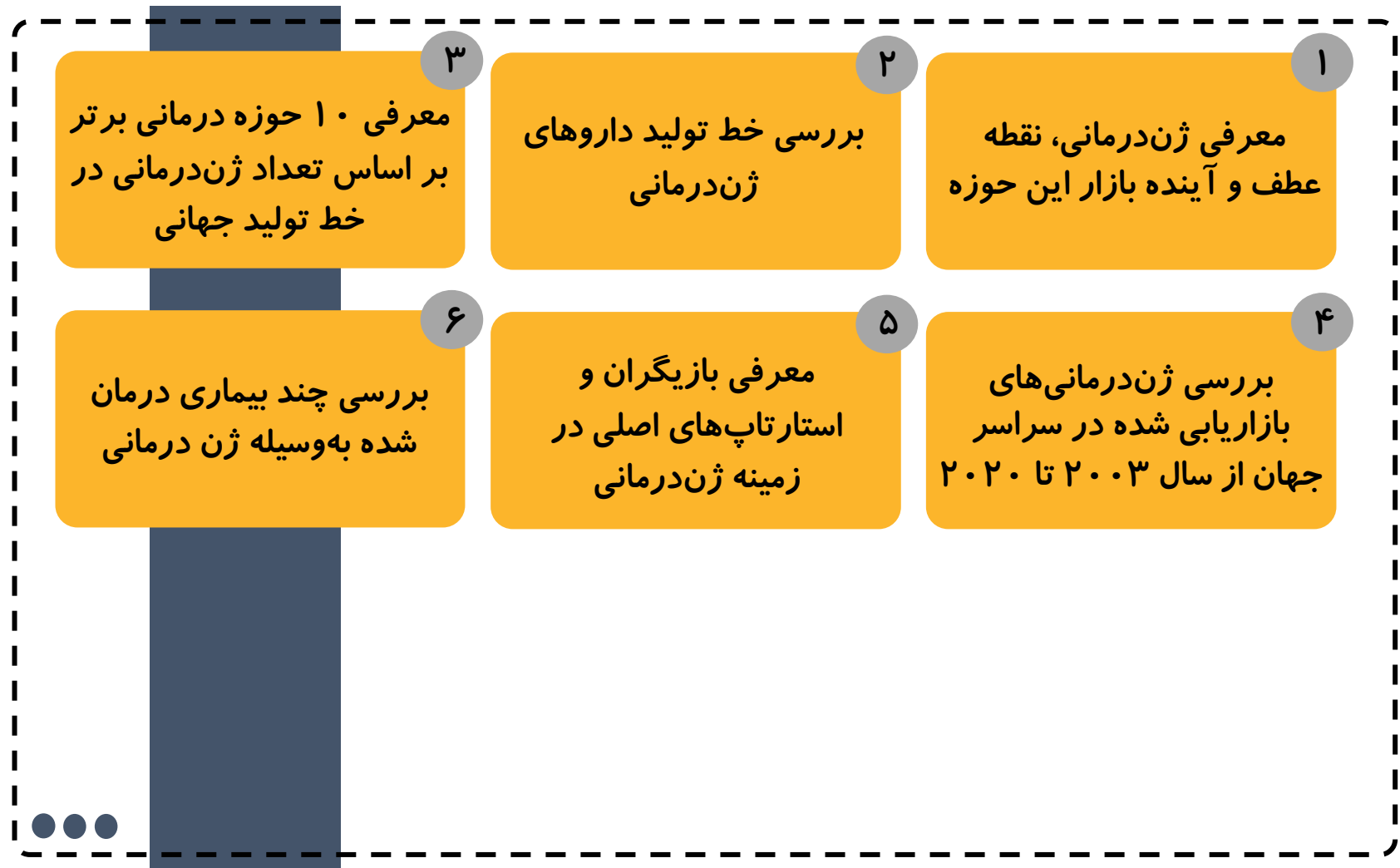
۲۰۲۱

✓ هدف و مخاطبین:

آشنایی با حوزه ژن‌درمانی، داروهای تولید شده و در دست تولید این حوزه برای آشنایی متخصصان حوزه سلول‌های بنیادی با درمان‌های به روز به منظور بهبود سطح درمان در جهان.



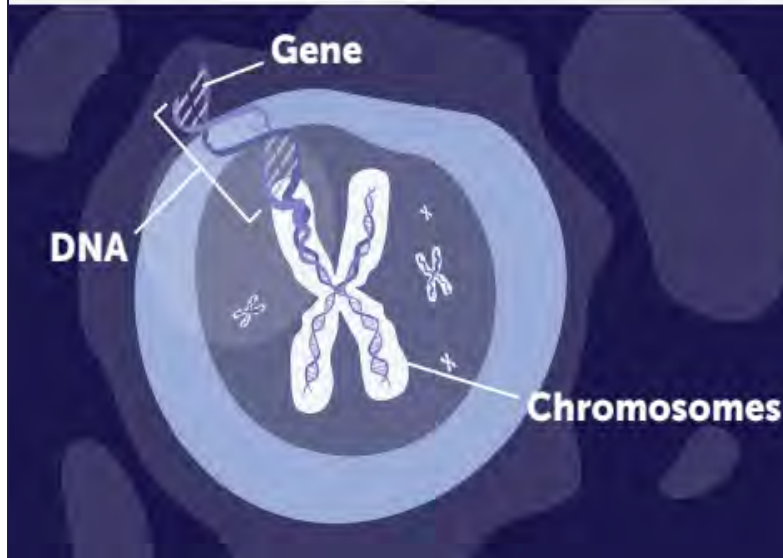
# فرایند نگارش گزارش



GENE THERAPY INDUSTRY REPORT (2021). PerkinElmer. Available at: <https://resources.perkinelmer.com/lab-solutions/resources/docs/whp-gene-therapy-industry-report-2021.pdf>

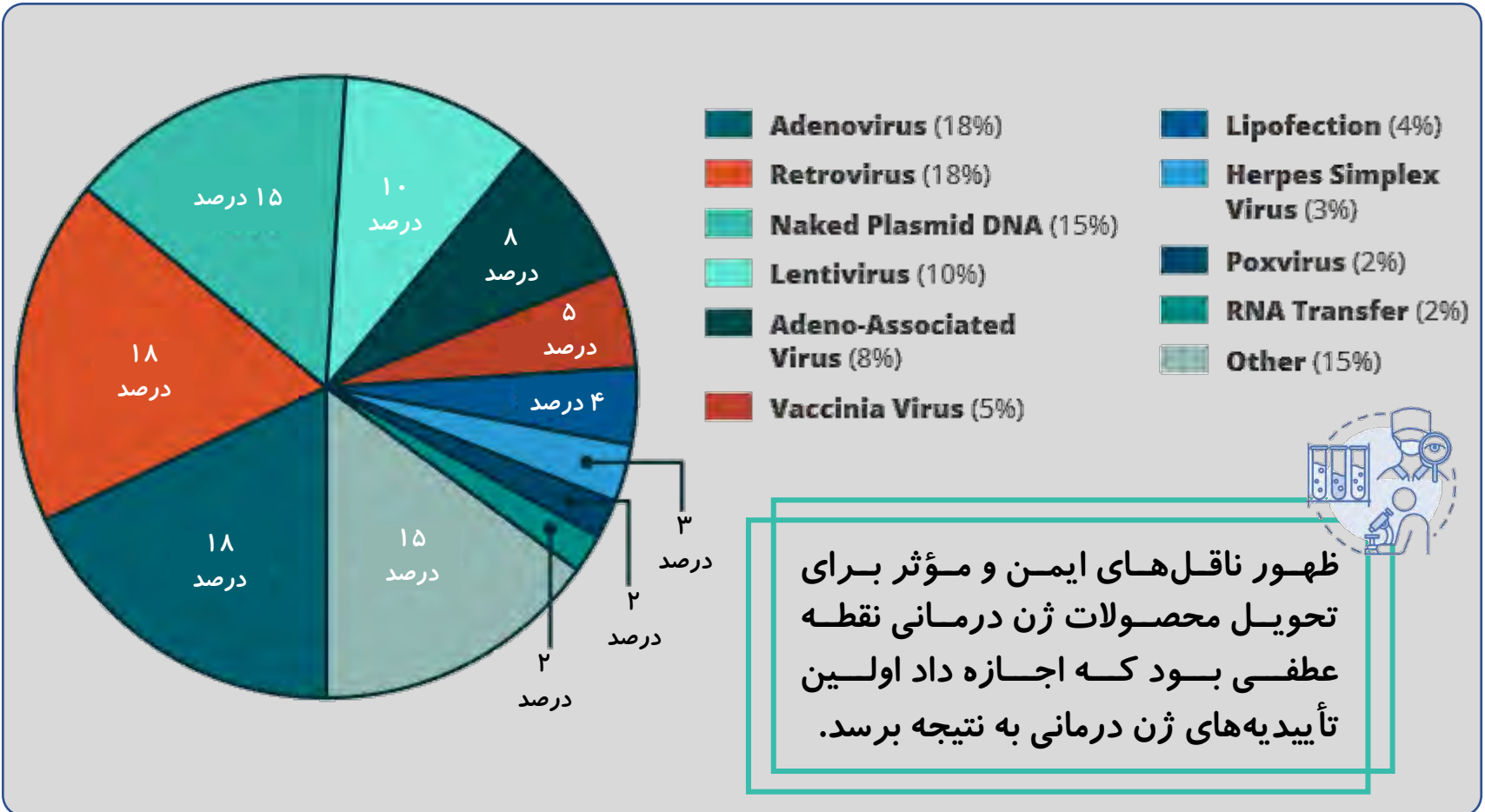
# ژن‌درمانی چیست؟

ایده اصلی ژن‌درمانی، وارد کردن مواد ژنتیکی به سلول‌ها برای جایگزینی ژن‌های جهش یافته یا ارائه دستورالعمل‌هایی برای تولید پروتئین مفید است.



به عنوان مثال، در برخی بیماری‌های ژنتیکی، پروتئین خاصی وجود ندارد یا معیوب است. در این مورد، ژن‌درمانی می‌تواند یک نسخه سالم از یک ژن را به سلول‌ها وارد کند و سپس این ژن وارد شده توسط خود سلول رونویسی شده و به نسخه‌ای فعال از پروتئین گم شده یا معیوب ترجمه می‌شود.

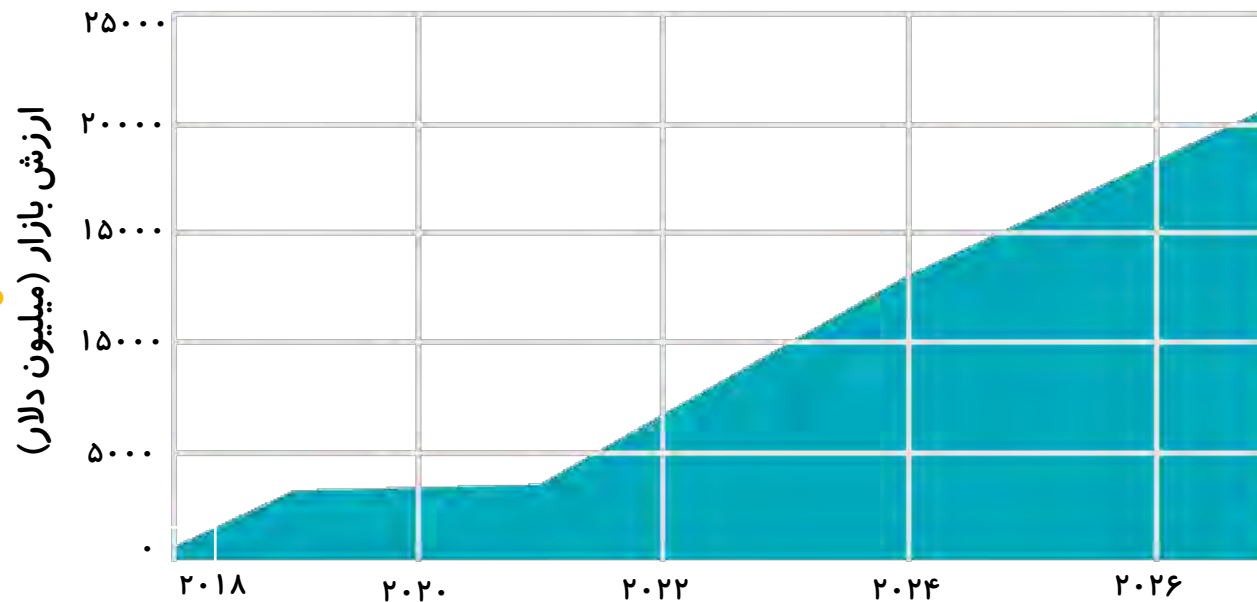
# نقطه عطف اصلی: افزایش تمرکز بر ایمنی



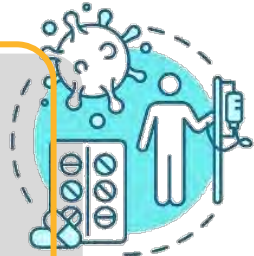
# آینده بازار ژن درمانی



با وجود شکست بازار ژن درمانی بر اثر همه‌گیری کرونا، پیش بینی می‌شود که درآمد این بازار تا سال ۲۰۲۶، ۱۰.۸ میلیارد یورو (۱۳ میلیارد دلار) در سراسر جهان برسد.

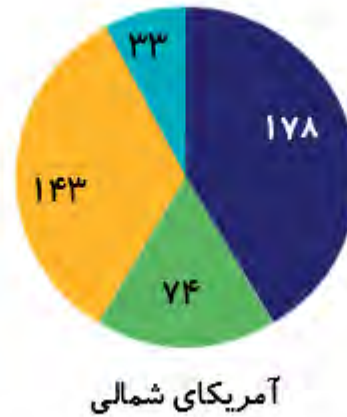
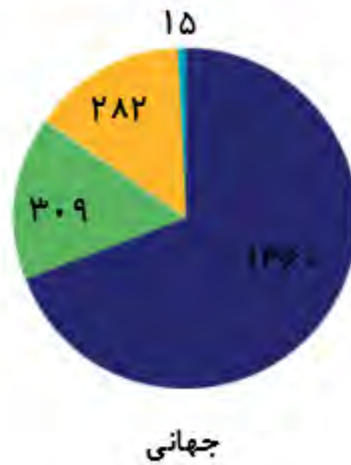


# خط تولید داروهای ژن درمانی

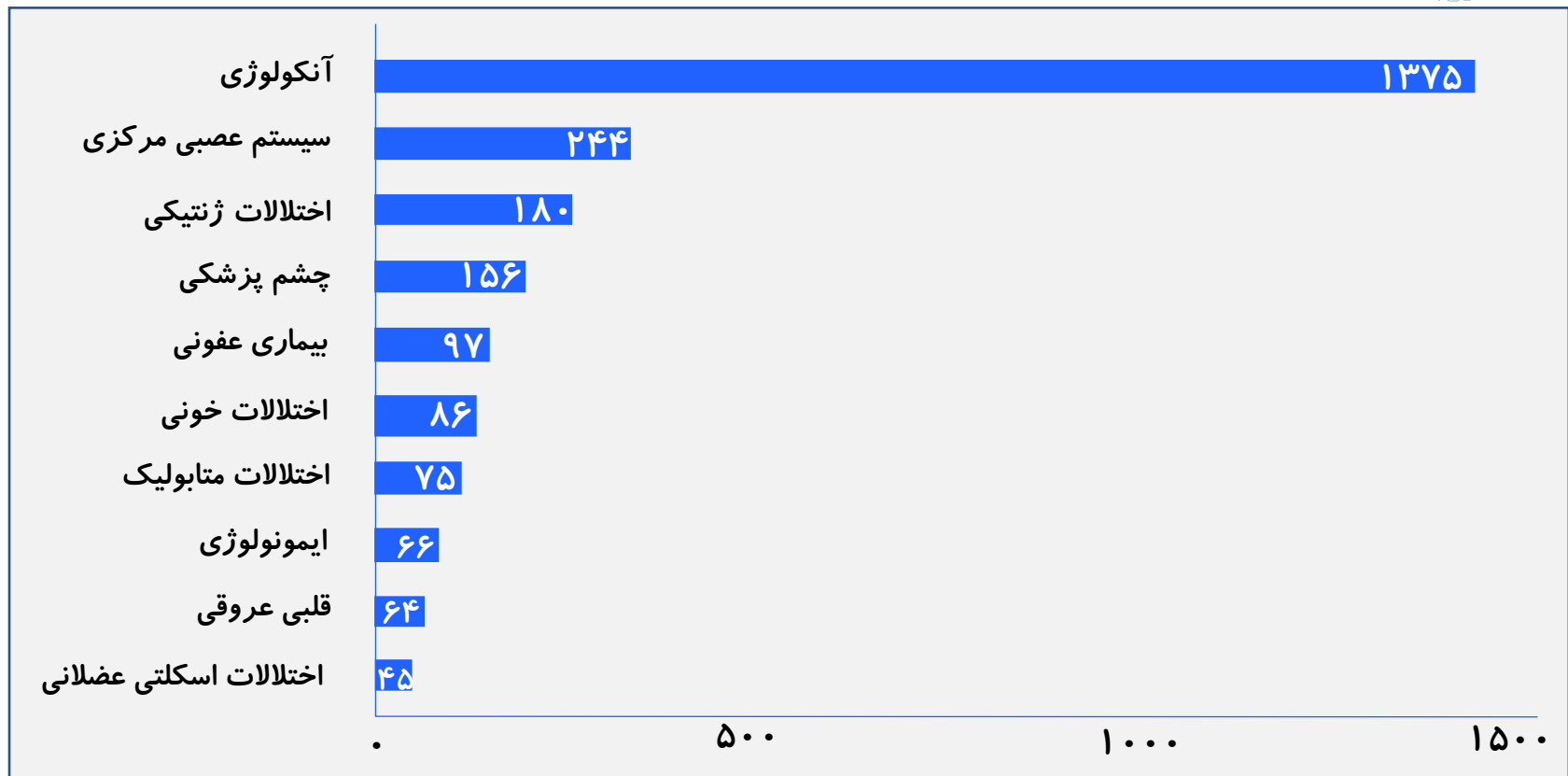
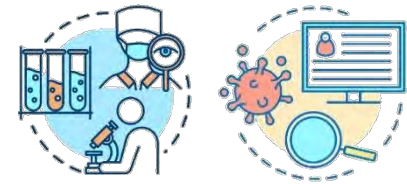


در اروپا، ۱۷۶ داروی ژن درمانی در دست تولید است که بیشتر آن‌ها اختلالات ژنتیکی را هدف قرار می‌دهند. اکثر ژن‌درمانی‌های در حال توسعه در اروپا در حال حاضر در فاز I و در مرحله پیش بالینی هستند. در آمریکای شمالی نیز، ۴۱۴ داروی ژن‌درمانی در دست تولید است که تمرکز اصلی آن بر سرطان شناسی می‌باشد. مشابه اروپا، اکثر ژن‌درمانی‌های آمریکای شمالی نیز در فاز I و توسعه پیش بالینی هستند. بیشتر داروهای ژن‌درمانی جهانی نیز سرطان را هدف قرار می‌دهند، در حالی که سایر حوزه‌های درمانی شامل اختلالات سیستم عصبی مرکزی، اختلالات ژنتیکی و بیماری‌های چشمی نیز نیاز به توجه دارند و نباید نادیده گرفته شوند.

● فاز ۱ ● پیش‌بالینی ● فاز ۲ ● فاز ۳



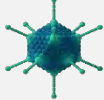
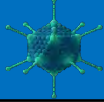



# ۱۰ حوزه درمانی برتر بر اساس تعداد ژن درمانی در خط تولید جهانی








The history and Future of gene therapy (2022). BioAgilytix. [content/uploads/2022/10/BioAgilytix\\_Infographic\\_History-of-Gene-Therapy.pdf](https://www.bioagilytix.com/wp-content/uploads/2022/10/BioAgilytix_Infographic_History-of-Gene-Therapy.pdf)

Available at: [https://www.bioagilytix.com/wp-content/uploads/2022/10/BioAgilytix\\_Infographic\\_History-of-Gene-Therapy.pdf](https://www.bioagilytix.com/wp-content/uploads/2022/10/BioAgilytix_Infographic_History-of-Gene-Therapy.pdf)

# ژن‌درمانی‌های بازاریابی شده در سراسر جهان بین سال‌های ۲۰۰۳ تا ۲۰۱۲

نام دارو	نوع وکتور	شرکت	نشان	تاریخ تأیید
ژندیسین (Gendicine)	آدنووایروس 	Shenzhen SiBiono	سرطان سلول سنگفرشی سر و گردن؛ سرطان نازوفارنکس	چین، ۲۰۰۳
اونکورین (Oncorine)	آدنووایروس 	Shanghai Sunway Biotech	سرطان رینوفارنکس	چین، ۲۰۰۶
دلتا رکس-جی (DeltaRex-G)	رترو ویروس 	Epeius Biotechnologies	تومورهای جامد	فیلیپین، ۲۰۰۷
Neovasculgen	پلاسمید DNA 	Human Stem Cells Institute	بیماری شریانی / عروقی محیطی	روسیه، ۲۰۱۱
گلابیرا (Glybera)	ویروس مرتبط با آدنو 	UniQure	کمبود لیپوپروتئین لیپاز خانوادگی	EMA, 2012

# ژن‌درمانی‌های بازاریابی شده در سراسر جهان بین سال‌های ۲۰۱۴ تا ۲۰۱۷

نام دارو	نوع وکتور	شرکت	نشان	تاریخ تأیید
Imlygic	ویروس هرپس سیمپلکس ۱ 	Amgen	ملانوم متاستاتیک	EMA, 2014 FDA, 2015
استریمولیس (Strimvelis)	رترو ویروس 	Orchard Therapeutics	کمبود آدنوزین دامیناز	EMA, 2016
اسپینرازا (Spinraza)	بدون وکتور 	Biogen	آتروفی عضلانی نخاعی	FDA, 2016 EMA, 2017
اینوسا (Invossa)	رترو ویروس 	Kolon Life Science	آرتروز زانو	کره، ۲۰۱۷
زالموکسیس (Zalmoxis)	ویروس رترو 	MolMed	سرطان خون هماتولوژیک	EMA, 2017

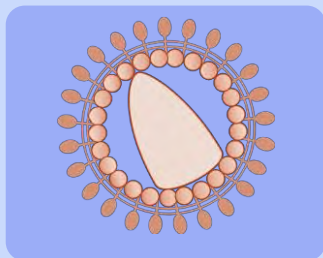


# ژن‌درمانی‌های بازاریابی شده در سراسر جهان بین سال‌های ۲۰۱۷ تا ۲۰۲۰

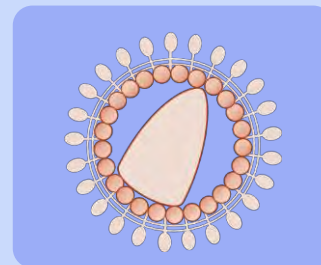
تاریخ تایید	نشان	شرکت	نوع وکتور	نام دارو
FDA, 2017 EMA, 2018	دیستروپی شبکیه	Spark Therapeutics	ویروس مرتبط با آدنو 	لوکستورنا (Luxturna)
FDA, 2019 EMA, 2020	آتروپی عضلانی نخاعی نوع ۱	AveXis	ویروس مرتبط با آدنو 	زولگنسما (Zolgensma)
ژاپن، ۲۰۱۹	ایسکمی بحرانی اندام	AnGes	پلاسمید DNA 	Collategene
FDA, 2017 EMA, 2018	تالاسمی بتا	Bluebird Bio	لنتی ویروسی 	Zynteglo/Lenti Globin
FDA, 2017 EMA, 2018	لوکودیستروپی متاکروماتیک	Orchard Therapeutics	لنتی ویروسی 	لیبملدی (Libmeldy)

## چهار نوع اصلی ناقل ویروسی برای ژن درمانی

لنتی ویروس (Lentivirus)



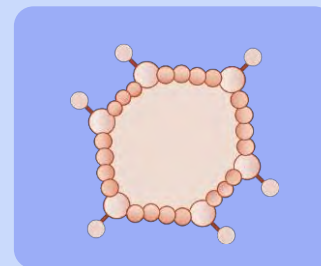
رتروویروس (Retrovirus)



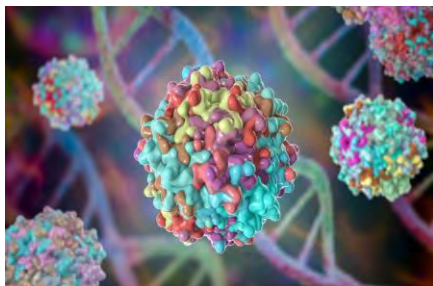
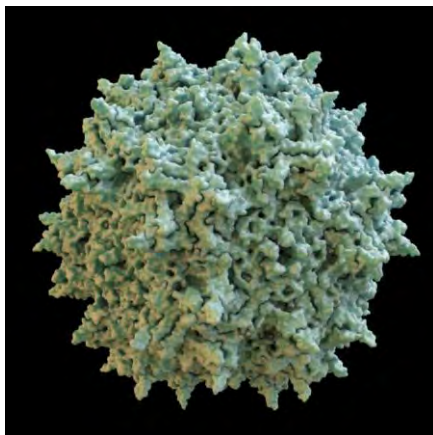
ویروس مرتبط با آدنو  
(Adeno-associated virus)



آدنوویروس (Adenovirus)



# بازیگران و استارت‌آپ‌های اصلی در زمینه ژن‌درمانی

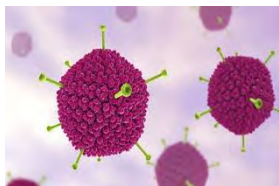


بر اساس گزارش گلوبال دیتا، بیش از ۳۰۰ شرکت زیست‌فناوری و داروسازی در اروپا و ۶۰۰ شرکت زیست‌فناوری و داروسازی در آمریکای شمالی در زمینه ژن‌درمانی کار می‌کنند.

تعداد زیادی از شرکت‌های کوچک و متوسط زیست‌فناوری نیز در حال توسعه ژن‌درمانی هستند و بسیاری از شرکت‌های بزرگ داروسازی نیز در این زمینه کار می‌کنند.

در ادامه به معرفی نمونه‌هایی از غول‌های دارویی اروپایی که در زمینه ژن‌درمانی کار می‌کنند پرداخته می‌شود.

# شرکت Genespire



Genespire یک شرکت زیست فناوری ایتالیایی است که در زمینه ویرایش ژن پیشرفته فعالیت می کند.



پلتفرم ویرایش ژن پیشرفته Genespire امکان ادغام ژن های هدفمند با کارایی بالا و دائمی را در ژنوم سلول های خونی بیمار برای کاربردهای گسترده در بیماری های ژنتیکی و فراتر از آن فراهم می کند. این پلتفرم برای سلول های T و سلول های بنیادی و پیش ساز خون ساز (HSPC) قابل استفاده است و برای ارائه سطوح بی سابقه ای از ادغام هدفمند در HSPC ها به لطف فناوری تقویت کننده ویرایش ژن به کار می رود.

# شرکت Epsilen Bio



Epsilen Bio یکی دیگر از استارت‌آپ‌های ژن‌درمانی ایتالیایی است که در سال ۲۰۲۰ از Sofinnova Partners بودجه دریافت کرد. Epsilen Bio که در اواخر سال ۲۰۱۹ تأسیس شد، در حال توسعه ژن‌درمانی است که می‌تواند ژن‌های خاص مرتبط با بیماری را خاموش کند.

خاموشی اپی‌ژنتیک (Epigenetic Silencing) به تنظیم بیان ژن از طریق تغییرات DNA، RNA یا پروتئین‌های هیستون اشاره دارد. این یک پدیده طبیعی است که می‌تواند در دفاع از ژنوم میزبان در برابر عفونت ویروسی، تعدیل بیان اعضای خانواده ژنی تکراری و خاموش کردن تارریخته‌ها نقش داشته باشد.

# شرکت GeneQuine



**GQ BIO**  
THERAPEUTICS

شرکت آلمانی GeneQuine در حال توسعه ژن درمانی برای درمان آرتروز است، یک اختلال مفصلی که با التهاب و از دست دادن غضروف مشخص می شود. ژن درمانی این شرکت می تواند مستقیماً به مفصل ملتهب تزریق شود.



محصول اصلی این شرکت GQ-303 نام دارد.



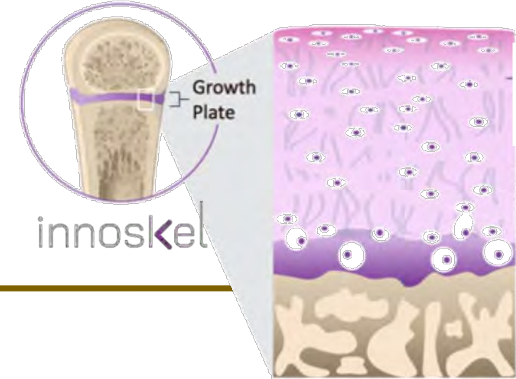
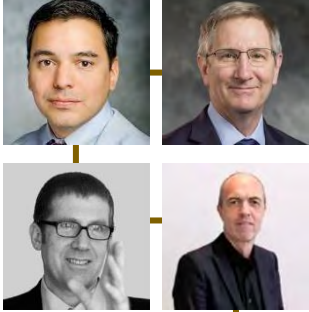
هدف این محصول تبدیل سلول های مفصلی به کارخانه هایی برای تولید پروتئین درمانی پروتئوگلیکان ۴ است که بیماری را بهبود می بخشد و مسیرهای مولکولی را که باعث پیشرفت بیماری در استئوآرتریت می شوند، مهار می کند.



The history and Future of gene therapy (2022). BioAgilytix. [content/uploads/2022/10/BioAgilytix\\_Infographic\\_History-of-Gene-Therapy.pdf](https://www.bioagilytix.com/wp-content/uploads/2022/10/BioAgilytix_Infographic_History-of-Gene-Therapy.pdf)

Available at: [https://www.bioagilytix.com/wp-](https://www.bioagilytix.com/wp-content/uploads/2022/10/BioAgilytix_Infographic_History-of-Gene-Therapy.pdf)

# شرکت Innoskel



Innoskel یک شرکت زیست فناوری فرانسوی است.

این شرکت در اوایل سال ۲۰۲۰ با تامین مالی ۲۰ میلیون یورویی (۲۴ میلیون دلاری) راه اندازی شد. در حالی که نام دقیق محصول به صراحت در منابع موجود ذکر نشده است، واضح است که Innoskel در حال توسعه درمان‌های دگرگون‌کننده برای بیماری‌های اسکلتی نادر با تمرکز بر اختلالات کلاژن نوع (II) است.



# Oribiotech

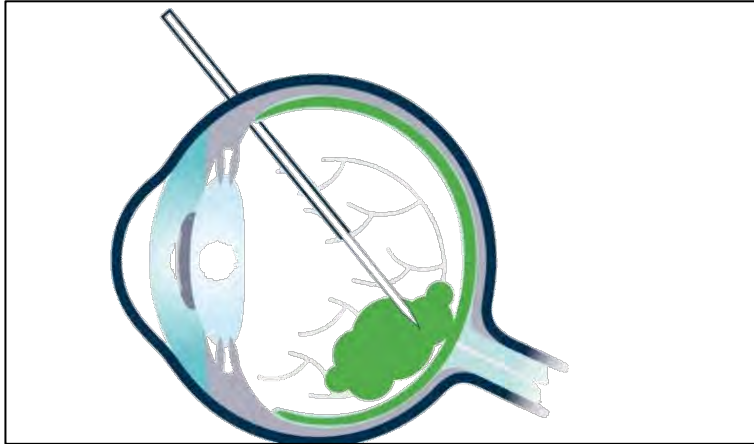


شرکت بریتانیایی Ori Biotech با توسعه یک سیستم رباتیک خودکار که وظایف پر مشغله مانند انتقال ژن و گسترش سلول را بر عهده می گیرد، به گلگاه های تولید در تولید سلول و ژن درمانی رسیدگی می کند.

در اکتبر ۲۰۲۰ این شرکت ۲۵ میلیون یورو (۳۰ میلیون دلار) برای کمک به عرضه پلت فرم خود به بازار سرمایه گذاری کرد.



## شرکت ViGeneron



ViGeneron یک شرکت زیست فناوری آلمانی است که به تعدادی از محدودیت‌هایی که ناقل‌های ویروسی مرتبط با آدنو معمولاً دارند، می‌پردازد.

این شرکت در حال توسعه فناوری ژن‌درمانی پیش‌بالینی خود برای درمان دو بیماری نابینایی است.

در ژانویه ۲۰۲۱، این شرکت قرارداد همکاری با Biogen را امضا کرد که شامل استفاده از پلتفرم ناقل ویروسی اختصاصی آدنو مرتبط برای توسعه محصولات ژن‌درمانی برای درمان بیماری‌های چشمی ارثی می‌شود.

# ژن‌درمانی برای درمان بیماری صرع (۱)



ژن‌درمانی می‌تواند به بیماران مبتلا به صرع کمک کند.



یک گروه تحقیقاتی در دانشگاه کالج لندن به سرپرستی دیمیتری کولمان در حال مطالعه روش‌های مختلفی هستند که ژن‌درمانی می‌تواند به بیماران مبتلا به صرع کمک کند. در حال حاضر، درمان‌های صرع نه تنها بر مناطق صرعی مغز بلکه بر تمام قسمت‌های بدن تأثیر می‌گذارند. بر همین اساس کولمن و تیمش در حال توسعه یک ژن‌درمانی هستند که می‌تواند مستقیماً به ناحیه مغزی که باعث تشنج می‌شود تزریق شود. این گروه اکنون در حال آماده شدن برای شروع تحقیقات بر روی انسان است.



## ژن‌درمانی برای درمان بیماری صرع (۲)



رویکرد مشابهی توسط شرکت زیست‌فناوری سوئدی CombiGene استفاده می‌شود که در حال توسعه ژن‌درمانی مبتنی بر آدنو ویروس است که یک انتقال‌دهنده عصبی خاص و گیرنده‌اش را به سلول‌های مغزی بیش از حد تحریک‌پذیر تحویل می‌دهد، جایی که می‌تواند تعداد تشنج‌های صرعی را کاهش دهند. در سال ۲۰۲۱، CombiGene مطالعات پیش‌بالینی خود تکمیل کرد و در سال ۲۰۲۲ اولین مطالعات بالینی خود را آغاز کند.

## ژن‌درمانی برای درمان بیماری صرع (۳)

روش دیگری که کولمن و همکارانش در حال تحقیق هستند، به عنوان کموژنتیک شناخته می‌شود. با استفاده از ژن‌درمانی، آن‌ها می‌توانند گیرنده خاصی را به سلول‌های مغز وارد کنند، که به دارویی پاسخ می‌دهد که می‌تواند فعالیت نورون‌های تحریک‌کننده را کاهش دهد و در نتیجه تشنج‌ها را سرکوب کند. در نهایت، این رویکرد به این معنی است که بسته به اینکه دارو تجویز شود یا نه، اثر درمانی را می‌توان خاموش یا روشن کرد.

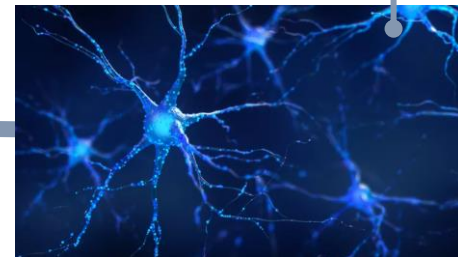
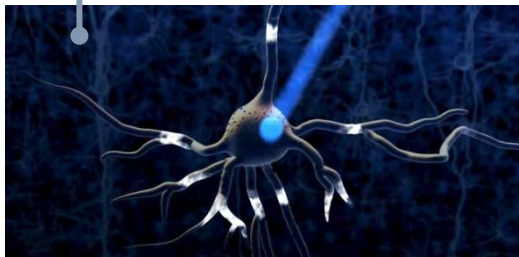
اگرچه این تحقیق در مراحل اولیه است، اما می‌تواند درمان طیف وسیعی از شرایط مؤثر بر سیستم عصبی مرکزی، از جمله اشکال متعدد صرع، و همچنین پارکینسون، اسکروز جانبی آمیوتروفیک یا درد را امکان‌پذیر کند.



# ژن‌درمانی برای درمان بیماری‌های چشمی



دیگر رویکردهای جدید ژن‌درمانی شامل اپتوژنتیک است که در آن پروتئینی که به نور واکنش نشان می‌دهد می‌تواند به سلول‌ها برای کاهش از دست دادن بینایی وارد شود، یا ترموژنتیک، جایی که سلول‌ها برای ساختن پروتئین‌هایی اصلاح می‌شوند که به گرمای نور مادون قرمز واکنش نشان می‌دهند.



# فناوری ویرایش ژن CRISPR

در اوایل دهه ۲۰۰۰، محققان شروع به مطالعه روش‌های مختلف ویرایش ژنوم برای ایمن‌تر و دقیق‌تر کردن ژن‌درمانی کردند. در سال‌های اخیر، فناوری ویرایش ژن CRISPR در سرتاسر جهان خبرساز شده است. یکی از مزیت‌های اصلی ویرایش ژنوم این واقعیت است که می‌تواند بیماری‌های چند ژنی را هدف قرار دهد.

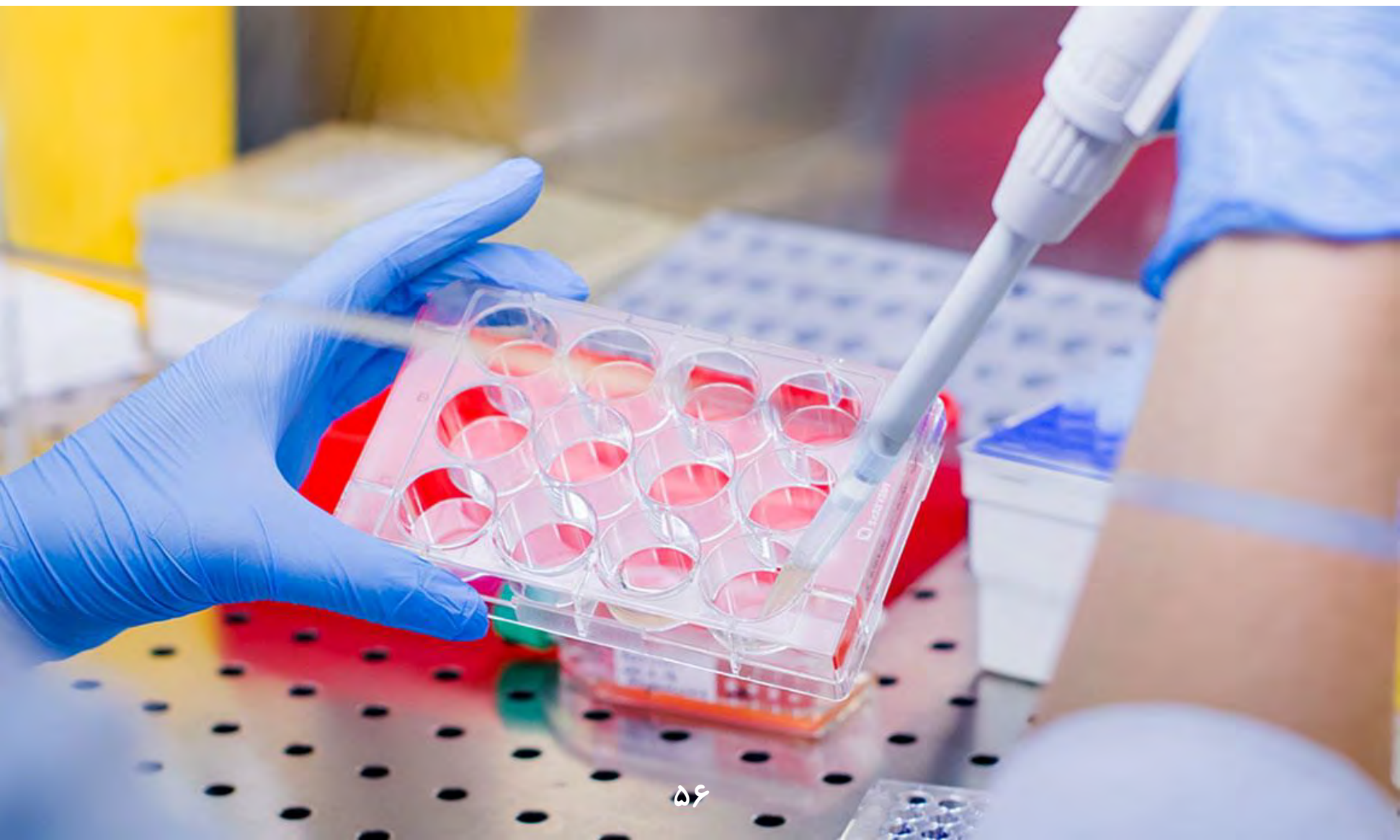
به عنوان مثال می‌توان به سرطان، اختلالات خونی، ناینبایی، ایدز، فیروز کیستیک و دیستروفی عضلانی اشاره کرد. شرکت‌هایی مانند CRISPR Therapeutics، Vertex Pharmaceuticals و Editas Medicine در حال حاضر درمان‌های مبتنی بر CRISPR خود را در آزمایش‌های بالینی آزمایش می‌کنند.

# جمع‌بندی

ژن درمانی	سلول‌های بنیادی درمانی	حوزه‌های اولویت دار	فناوری‌های اولویت دار
		پلتفرم ویرایش ژن پیشرفته برای درمان بیماری‌های ژنتیکی	■
		پلتفرم ناقل ویروسی اختصاصی آدنو مرتبط برای توسعه محصولات ژن‌درمانی برای درمان بیماری‌های چشمی ارثی	■
		ژن‌درمانی مبتنی بر آدنو ویروس برای درمان بیماری صرع	■
		فناوری کموژنتیک برای درمان بیماری صرع	■
		فناوری اپتوژنتیک برای درمان بیماری‌های چشمی	■
		فناوری ویرایش ژن CRISPR برای درمان بیماری‌هایی همچون سرطان، اختلالات خونی، نایبایی، ایدز، فیبروز کیستیک و دیستروفی عضلانی	■

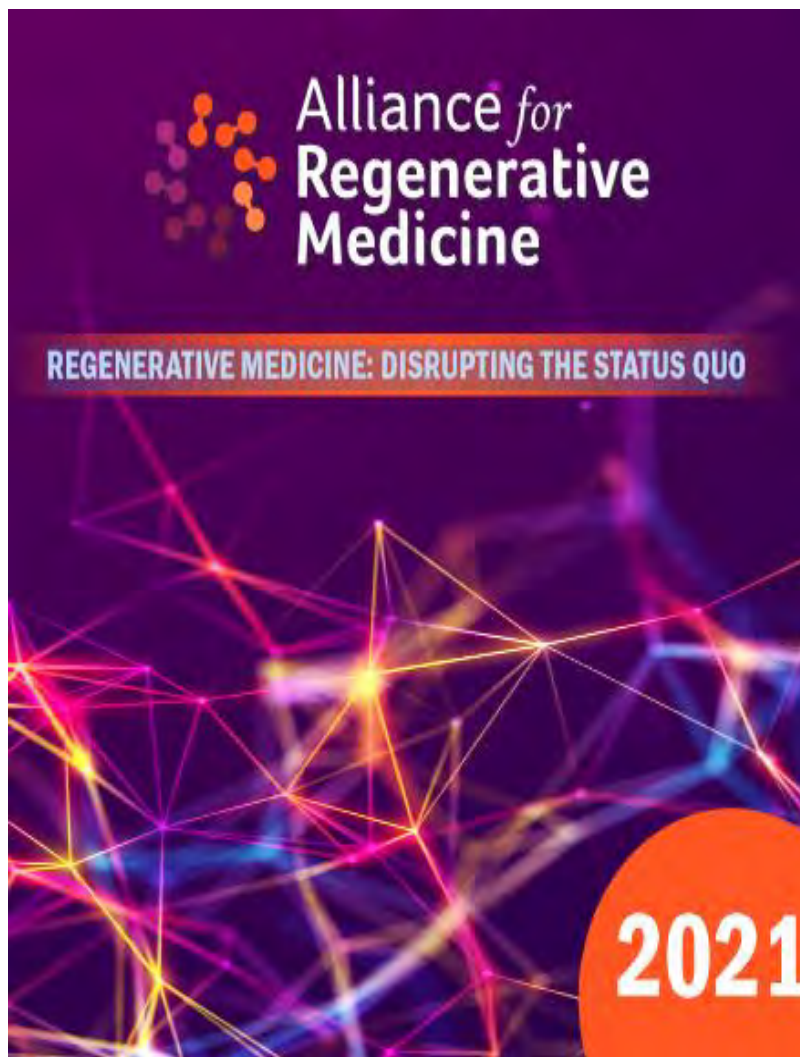


## ۳- پزشکی بازساختی: برهم زدن وضعیت موجود





# پزشکی بازساختی: برهم زدن وضعیت موجود



✓ عنوان گزارش:

پزشکی بازساختی: برهم زدن وضعیت موجود

✓ ناشر:

Alliance for Regenerative Medicine

✓ سال نشر:

۲۰۲۱

✓ هدف و مخاطبین:

آشنایی پزشکان و مدیران مربوطه با حوزه‌ی پزشکی بازساختی، محصولات درمانی جدید و آزمایشان بالینی در حال انجام این حوزه و همچنین بازار رو به رشد آن، به منظور بهره‌گیری از درمان‌های جدید برای بهبود حال بیماران.

REGENERATIVE MEDICINE: DISRUPTING THE STATUS QUO (2021). Alliance for Regenerative Medicine. Available at: [http://alliancerm.org/wp-content/uploads/2022/03/ARM\\_AR2021\\_FINAL-singles.pdf](http://alliancerm.org/wp-content/uploads/2022/03/ARM_AR2021_FINAL-singles.pdf)

# فرایند نگارش گزارش



REGENERATIVE MEDICINE: DISRUPTING THE STATUS QUO (2021). Alliance for Regenerative Medicine. Available at: [http://alliancerm.org/wp-content/uploads/2022/03/ARM\\_AR2021\\_FINAL-singles.pdf](http://alliancerm.org/wp-content/uploads/2022/03/ARM_AR2021_FINAL-singles.pdf)

# تأییدیه‌های محصول در سال ۲۰۲۱ (۱)

۲

■ آبعما (Abecma) (CAR-T درمانی)

■ Bio Bristol Myers Squibb & bluebird

■ مولتیپل میلوم

ایالات متحده (مارس ۲۰۲۱)، کانادا (می ۲۰۲۱)

۱

■ بریانزی (Breyanzi) (CAR-T درمانی)

■ Bristol Myers Squibb

■ لنفوم سلول B بزرگ

ایالات متحده (فوریه ۲۰۲۱)، ژاپن (مارس ۲۰۲۱)

۳

■ اسکایسونا (Skysona) (ژن درمانی)

■ bluebird bio

■ آدرنولوکودیستروفی مغزی

اتحادیه اروپا (ژوئیه ۲۰۲۱)



## تأییدیه‌های محصول در سال ۲۰۲۱ (۲)

۵

- یس کارتا (Yescarta) (درمان CAR-T)
- Fosun Kite Biotechnology / Kite Pharma
- لنفوم فولیکولی
- ایالات متحده (مارس ۲۰۲۱)
- لنفوم سلول B بزرگ
- چین (ژوئن ۲۰۲۱)

۴

- زولگنسما (Zolgensma) (ژن درمانی)
- Novartis Gene Therapies
- آتروفی عضلانی نخاعی
- استرالیا (مارس ۲۰۲۱)، کره جنوبی (مه ۲۰۲۱)

۶

- استراتاگرافت (Stratagraft) (بافت درمانی)
- Mallinckrodt
- سوختگی شدید
- ایالات متحده (ژوئن ۲۰۲۱)



## تأییدیه‌های محصول در سال ۲۰۲۱ (۳)

۸

رتیمیک (Rethymic) (بافت درمانی)

Enzyvant

آتیمی مادرزادی

ایالات متحده (اکتبر ۲۰۲۱)

۷

کارتیوا (Carteyva) (درمان CAR-T)

JW Therapeutics

لنفوم سلول B بزرگ

چین (سپتامبر ۲۰۲۱)

۹

کارویکتی (Carvykti) (درمان CAR-T)

Legend Biotech & Janssen

مولتیپل میلوم

ایالات متحده (فوریه ۲۰۲۱)



# درمان‌های پیشرفته پزشکی بازساختی (۱)

<ul style="list-style-type: none"> <li>■ رنو (ReNu) (بافت درمانی)</li> <li>■ Organogenesis</li> <li>■ آرتروز زانو</li> </ul>	۲	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ لیملدی (Libmeldy) (ژن درمانی)</li> <li>■ Orchard Therapeutics</li> <li>■ لوکودیستروفی متاکروماتیک</li> </ul>	۱
<ul style="list-style-type: none"> <li>■ والروکس (Valrox) (ژن درمانی)</li> <li>■ BioMarin</li> <li>■ هموفیلی A</li> </ul>	۴	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ آر پی- ال ۲۰۱ (RP-L201) (ژن درمانی)</li> <li>■ Rocket Pharmaceuticals</li> <li>■ کمبود چسبندگی لکوسیت-ا</li> </ul>	۳



REGENERATIVE MEDICINE: DISRUPTING THE STATUS QUO (2021). Alliance for Regenerative Medicine. Available at: [http://alliancerm.org/wp-content/uploads/2022/03/ARM\\_AR2021\\_FINAL-singles.pdf](http://alliancerm.org/wp-content/uploads/2022/03/ARM_AR2021_FINAL-singles.pdf)

## درمان‌های پیشرفته پزشکی بازساختی (۲)

۶ اف تی ۵۱۶ (FT516) (سلول درمانی NK)

Fate Therapeutics

R/R لنفوم سلول B بزرگ

۵ سی تی ایکس ۱۱۰ (CTX110) (درمان CAR-T)

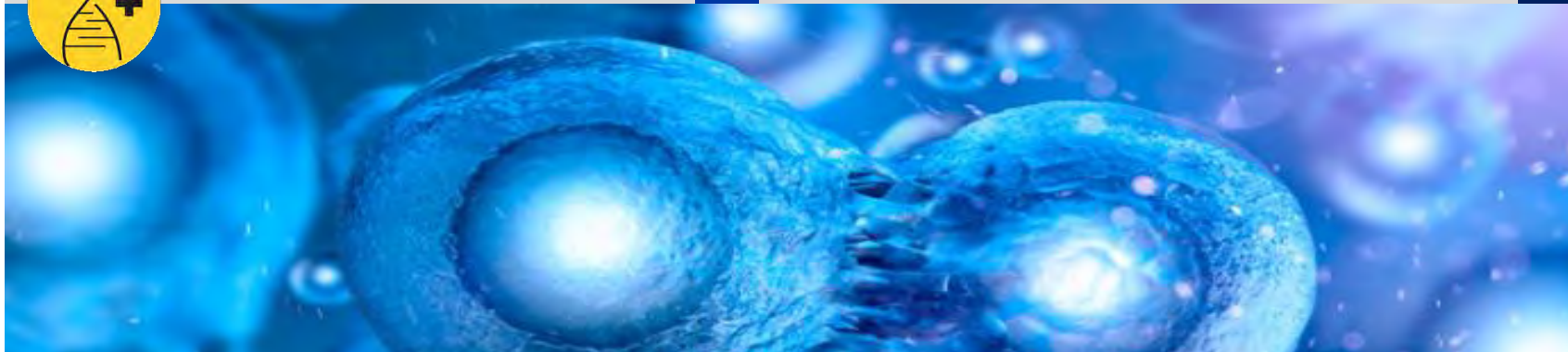
CRISPR Therapeutics

بدخیمی های R/R سلول B

۷ ای ال ۷۱۵ (ALLO-715) (درمانی CAR-T)

Allogene Therapeutics

R/R مولتیپل میلوم



REGENERATIVE MEDICINE: DISRUPTING THE STATUS QUO (2021). Alliance for Regenerative Medicine. Available at: [http://alliancerm.org/wp-content/uploads/2022/03/ARM\\_AR2021\\_FINAL-singles.pdf](http://alliancerm.org/wp-content/uploads/2022/03/ARM_AR2021_FINAL-singles.pdf)

# درمان‌های جدید پزشکی بازساختی (۱)

۲

- ARU-1801 (ژن درمانی)
- Aruvant Sciences
- بیماری سلول داسی شکل

۱

- CT-041 (درمان CAR-T)
- CARsgen Therapeutics
- سرطان معده

۴

- RP-L201 (ژن درمانی)
- Rocket Pharmaceuticals
- کمبود چسبندگی لکوسیت-۱

۳

- CTX-001 (درمان کریسپر)
- CRISPR Therapeutics
- بتا تالاسمی



## درمان‌های جدید پزشکی بازساختی (۲)

۶

- ARI-0001 (درمان CAR-T)
- Unknown academic center
- لوسمی لنفوبلاستیک حاد

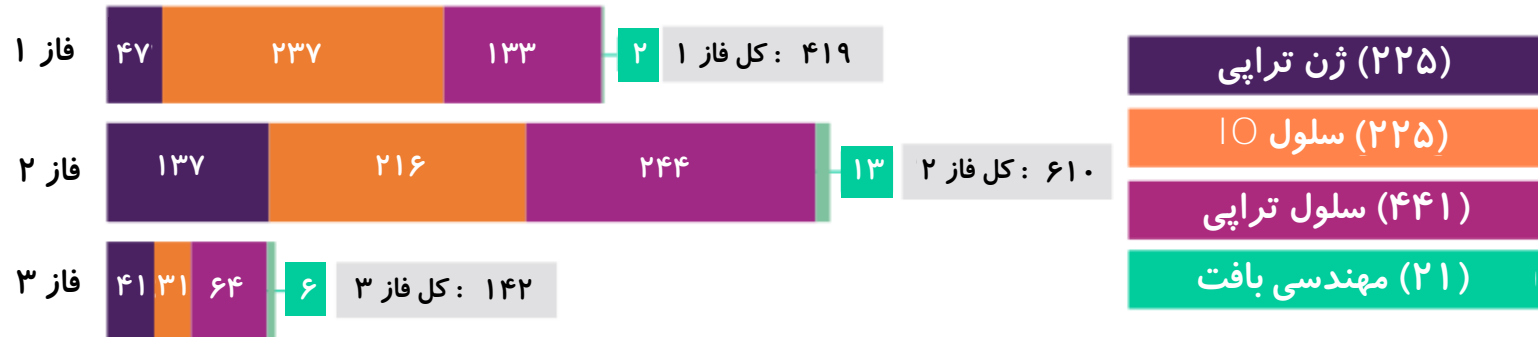
۵

- MB-107 (ژن درمانی)
- Mustang Bio
- بیماری مرتبط با نقص ایمنی

۷

- AUTO1 (درمانی CAR-T)
- Autolus Therapeutics
- لوسمی لنفوبلاستی حاد

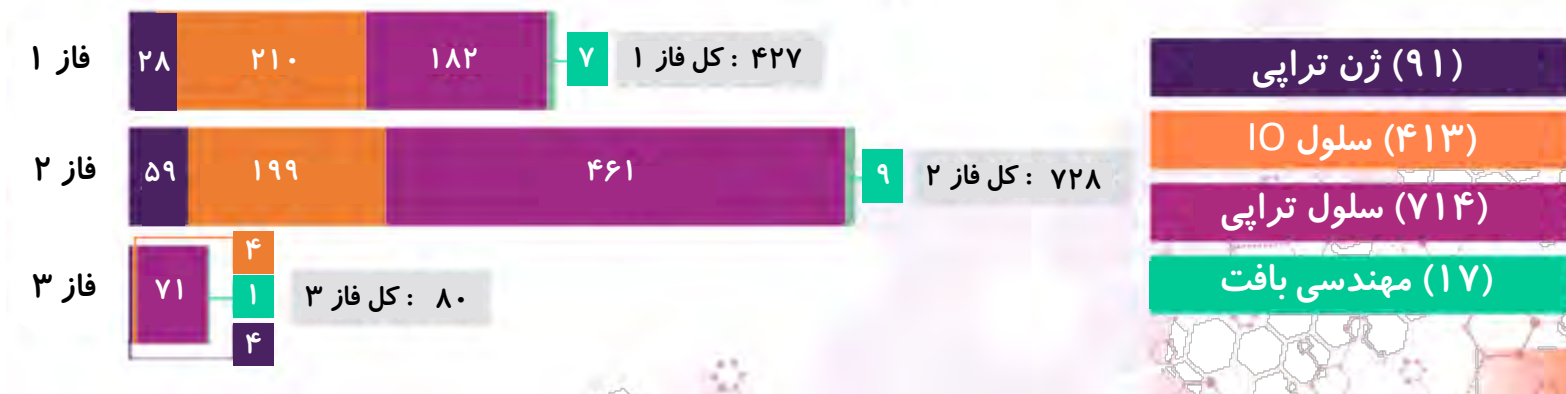
# آزمایشات حمایت مالی شده توسط صنعت



در حال حاضر ۱۱۷۱ کارآزمایی با حمایت صنعت در زمینه پزشکی بازساختی در حال انجام است. حدود ۱۲ درصد از این کارآزمایی‌ها (۱۴۲ آزمایش) در فاز ۳ هستند.

کارآزمایی‌های ایمونوآنکولوژی مبتنی بر سلول (سلول IO) بیشترین نسبت کارآزمایی‌های صنعتی (۴۱ درصد) را تشکیل می‌دهند که برای اولین بار از تعداد کارآزمایی‌های سلول درمانی پیشی می‌گیرد. تعداد کارآزمایی‌های IO سلولی احتمالاً به رشد خود ادامه خواهد داد.

# آزمایشات حمایت مالی شده توسط دانشگاه و دولت



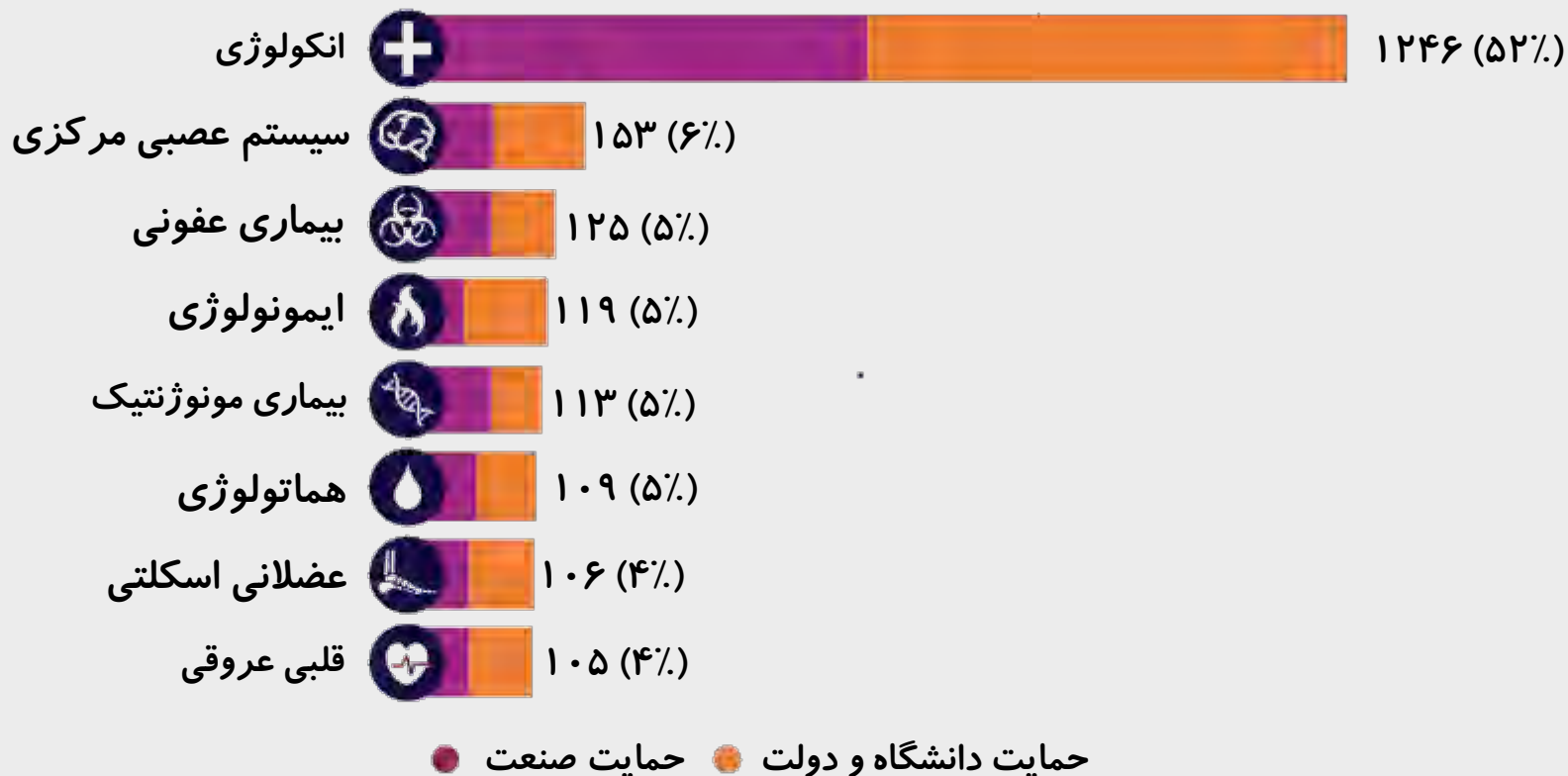
تنها ۶ درصد از کارآزمایی‌های دانشگاهی و تحت حمایت دولت در فاز ۳ هستند.

برای کارآزمایی‌های آکادمیک و تحت حمایت دولت، سلول‌درمانی بزرگ‌ترین دسته است که حدود ۵۸ درصد کارآزمایی‌ها را تشکیل می‌دهد.

۱۲۳۵ کارآزمایی در حال انجام است که توسط مؤسسات دانشگاهی و دولتی حمایت می‌شوند. به طور متوسط، این درمان‌ها در مقایسه با آزمایش‌های صنعتی، عموماً با سرعت بالاتری توسعه می‌یابند.

در حالی که بخش قابل توجهی از کارآزمایی‌های سلولی دانشگاهی و حمایت شده توسط دولت نیز وجود دارد، این گروه نسبت به طور قابل توجهی کمتر از آزمایش‌های ژن‌درمانی دارند.

## اندیکاسیون‌ها با فعالیت بالینی قابل توجه



REGENERATIVE MEDICINE: DISRUPTING THE STATUS QUO (2021). Alliance for Regenerative Medicine. Available at: [http://alliancerm.org/wp-content/uploads/2022/03/ARM\\_AR2021\\_FINAL-singles.pdf](http://alliancerm.org/wp-content/uploads/2022/03/ARM_AR2021_FINAL-singles.pdf)

# درمان سرطان

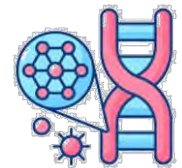
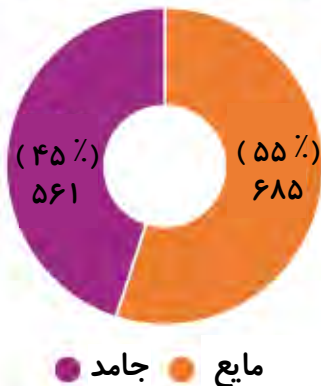
شایع ترین نوع تومور جامد که هدف قرار می گیرد، سرطان های دستگاه گوارش است که حدود ۲۳ درصد از کارآزمایی هایی را که تومورهای جامد را هدف قرار می دهند، تشکیل می دهند.

انکولوژی نشانه اصلی این بخش است و تقریباً نیمی از آزمایشات در حال انجام را تشکیل می دهد. در حالی که بدخیمی های هماتولوژیک از لحاظ تاریخی هدف اصلی درمان های سلولی و ژنی بوده اند، تمرکز بر تومورهای جامد در حال افزایش است. آزمایشات روی تومورهای جامد اکنون ۴۵ درصد از کل آزمایشات انکولوژی را تشکیل می دهند.


تومورهای جامد بر اساس نوع تومور



مایع



# درمان‌های CAR-T



درمان‌های CAR-T در سال ۲۰۲۱ پیشرفت‌های قابل توجهی داشتند. علاوه بر تأیید درمان‌های جدید CAR-T در سطح جهانی، این فناوری همچنین به عنوان یک درمان خط اولیه نویدبخش بود. Bristol Myers Squibb و Gilead هر دو داده‌های بالینی را گزارش کردند که نشان می‌دهد CAR-Tها در مقایسه با استاندارد خط دوم مراقبت - پیوند سلول‌های بنیادی خونساز و شیمی‌درمانی - در بیماران مبتلا به لنفوم سلول B عودکننده یا مقاوم به درمان، عملکرد مطلوبی دارند.

REGENERATIVE MEDICINE: DISRUPTING THE STATUS QUO (2021). Alliance for Regenerative Medicine. Available at: [http://alliancerm.org/wp-content/uploads/2022/03/ARM\\_AR2021\\_FINAL-singles.pdf](http://alliancerm.org/wp-content/uploads/2022/03/ARM_AR2021_FINAL-singles.pdf)

## آزمایش‌های آلورژیک سلول-۱۰

کارآزمایی‌های آلورژیک تقریباً یک چهارم (۲۷٪) از کل کارآزمایی‌های ۱۰ مبتنی بر سلول را تشکیل می‌دهند.

در گزارش توجه فزاینده‌ای به توسعه روش‌های ایمنی درمانی مبتنی بر سلول آلورژیک برای سرطان شده است. تعداد آزمایشات در این حوزه فناوری طی پنج سال گذشته ۳۰ درصد افزایش یافته است.

این درمان‌ها را می‌توان با استفاده از سلول‌های اهداکننده به صورت "حاضر و آماده" انجام داد، به این معنی که می‌توان آن‌ها را در مقادیر بیشتری تولید کرد و سریع‌تر به بیماران تحویل داد.

نسبت کمی کمتر از آزمایشات تومور جامد (۲۲٪) از رویکردهای آلورژیک استفاده می‌کنند.

انتظار می‌رود که تعداد آزمایش‌های آلورژیک سلول-۱۰ همچنان رو به رشد باشد زیرا شرکت‌ها برای کاهش پاسخ‌های ایمنی به این درمان‌ها تلاش می‌کنند "نسبت بالاتر درمان‌های آلورژیک در فاز ۱ (۲۸٪ از تمام آزمایشات ۱۰ مبتنی بر سلول فاز ۱) در مقابل فاز ۳ (فقط ۱۱٪) نمایانگر این مورد است".

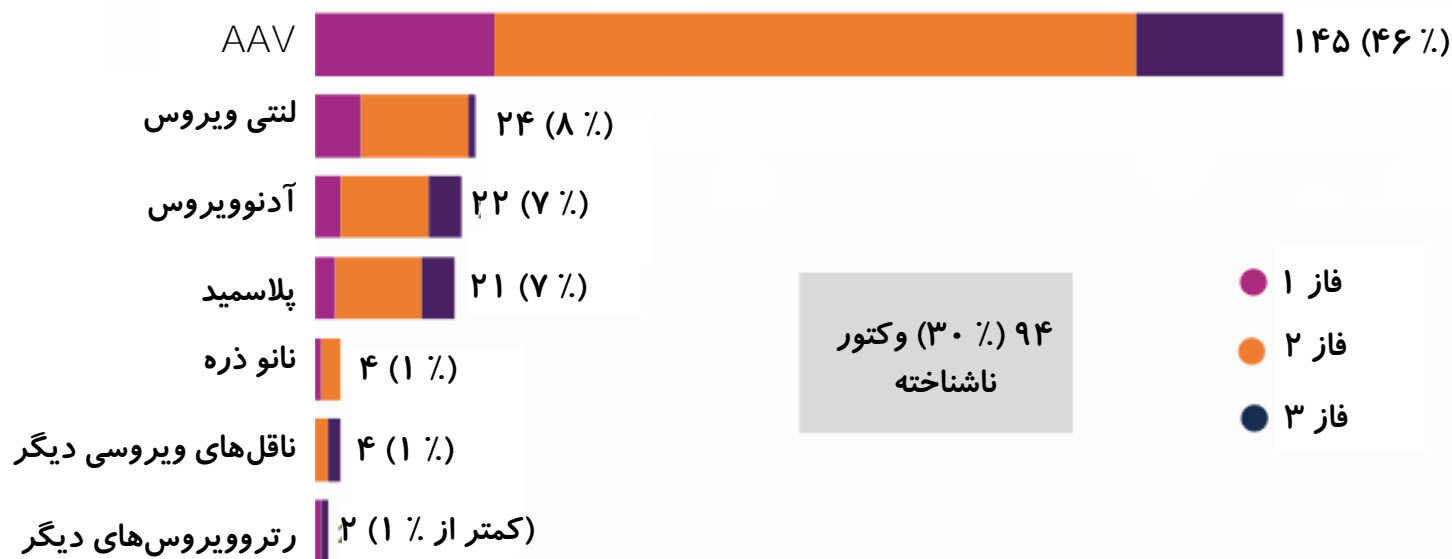


# روندهای ارائه ژن درمانی

در میان کارآزمایی‌های ژن درمانی، AAVها در حداقل ۴۶ درصد از کل کارآزمایی‌های ژن درمانی و ۶۶ درصد کارآزمایی‌ها با ناقل ویروسی شناخته شده استفاده می‌شوند. پس از AAVها، لنتی ویروس‌ها شایع ترین ناقل شناخته شده بعدی هستند که حداقل ۸ درصد از کل آزمایشات ژن درمانی و ۱۱ درصد از کارآزمایی‌ها را با ناقل شناخته شده تشکیل می‌دهند.

آدنوویروس‌ها از لنتی ویروس‌ها پیروی می‌کنند و حداقل ۷ درصد از آزمایش‌های ژن درمانی و ۱۰ درصد کارآزمایی‌ها با ناقل شناخته شده را تشکیل می‌دهند.

روش‌های تحویل غیر ویروسی برای ژن درمانی نیز مورد توجه قرار گرفته است. حداقل ۸ درصد از کل کارآزمایی‌های ژن درمانی و ۱۱ درصد از کارآزمایی‌ها با ناقل شناخته شده از روش‌های انتقال غیر ویروسی، از جمله نانوذرات و پلاسمیدها استفاده می‌کنند.



REGENERATIVE MEDICINE: DISRUPTING THE STATUS QUO (2021). Alliance for Regenerative Medicine. Available at: [http://alliancerm.org/wp-content/uploads/2022/03/ARM\\_AR2021\\_FINAL-singles.pdf](http://alliancerm.org/wp-content/uploads/2022/03/ARM_AR2021_FINAL-singles.pdf)



# ویرایش ژن

در حال حاضر ۴۱ کارآزمایی در زمینه ویرایش ژن در حال انجام است که حدود یک سوم آنها در فاز ۱ و بقیه در فاز ۲ هستند. اکثریت قریب به اتفاق این کارآزمایی‌ها (۸۰ درصد) از CRISPR استفاده می‌کنند که نشان دهنده جایگاه قوی این فناوری است.

داده‌های اولیه ژوئن ۲۰۲۱ از کارآزمایی درمان مبتنی بر CRISPR Intellia Therapeutics و Regeneron برای آمیلوئیدوز transthyretin، که بیماری نادری که کبد را تحت تأثیر قرار می‌دهد، نشان داد که درمان‌های ویرایش ژن می‌توانند در داخل بدن ارائه شوند. از آن زمان، داده‌های اضافی منتشر شده در فوریه سال جاری یک مزیت درمانی وابسته به دوز را تأیید کرد و داده‌های اولیه دوام را تا یک سال پس از درمان نشان داد.

شروع اولین آزمایش ویرایش ژن CRISPR در سال ۲۰۱۹.



REGENERATIVE MEDICINE: DISRUPTING THE STATUS QUO (2021). Alliance for Regenerative Medicine. Available at: [http://alliancerm.org/wp-content/uploads/2022/03/ARM\\_AR2021\\_FINAL-singles.pdf](http://alliancerm.org/wp-content/uploads/2022/03/ARM_AR2021_FINAL-singles.pdf)

## ویرایش ژن و درمان بیماری

کمی بیش از نیمی از آزمایشات ویرایش ژن (۲۳ از ۴۱) سرطان را هدف قرار می‌دهند. ویرایش ژن یکی از ابزارهای به کار گرفته شده در توسعه ایمنی درمانی مبتنی بر سلول آلوژنیک است. از ۲۳ کارآزمایی ویرایش ژنی که سرطان‌ها را هدف قرار می‌دهند، ۱۳ مورد آلوژنیک و تنها ۶ مورد اتولوگ هستند (بقیه نامشخص هستند).

علاوه بر از سرطان، دومین ناحیه نشانه‌ای که اغلب مورد هدف قرار می‌گیرد، اختلالات هماتولوژیک ارثی مانند بیماری سلول داسی شکل و بتا تالاسمی است و به دنبال آن سایر اختلالات ارثی از جمله موکوپلی ساکاریدوز، آنژیوادم ارثی، آموروز مادرزادی Leber و غیره قرار دارند.



REGENERATIVE MEDICINE: DISRUPTING THE STATUS QUO (2021). Alliance for Regenerative Medicine. Available at: [http://alliancerm.org/wp-content/uploads/2022/03/ARM\\_AR2021\\_FINAL-singles.pdf](http://alliancerm.org/wp-content/uploads/2022/03/ARM_AR2021_FINAL-singles.pdf)

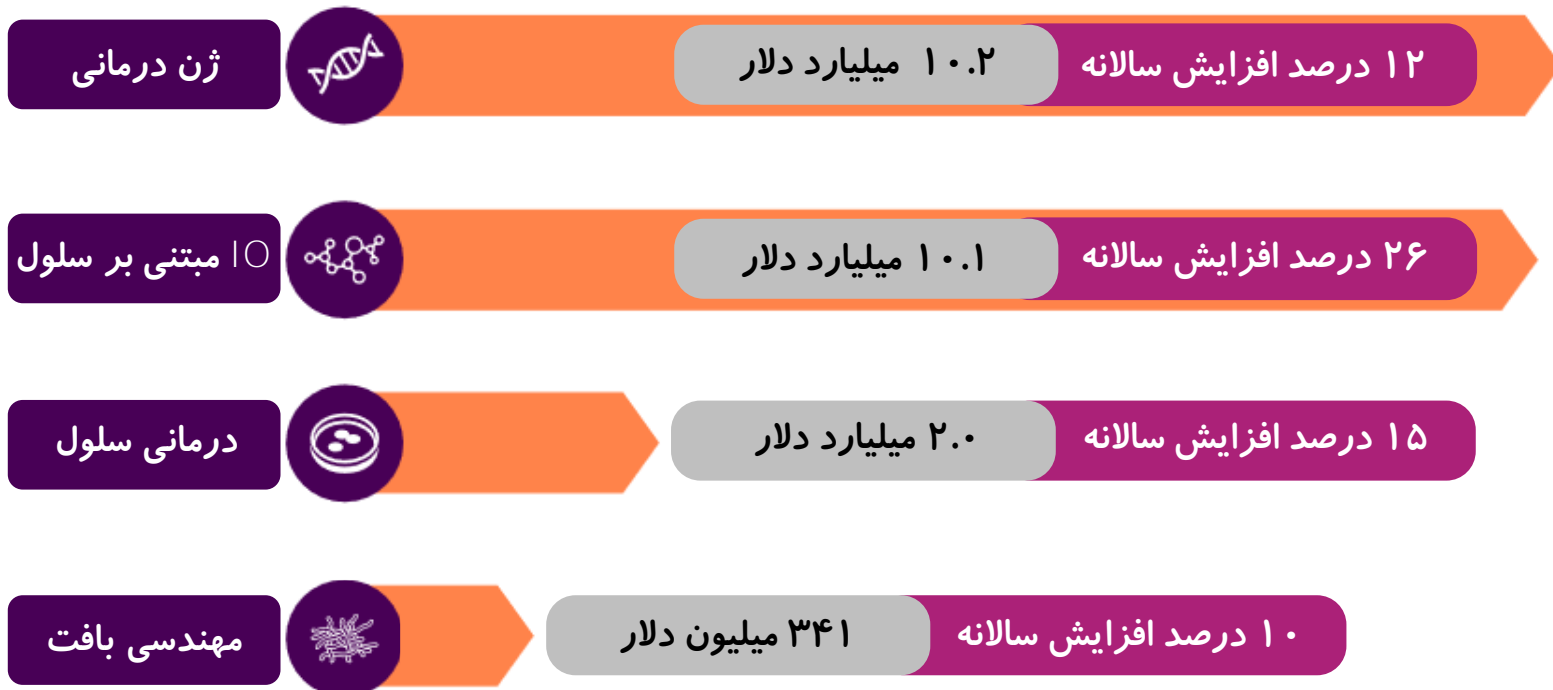
# ویرایش ژن‌های جدید

در سال ۲۰۲۱، اولین آزمایش ویرایش ژن برای یک بیماری شایع انجام شد: CRISPR و ViaCyte درمانی برای دیابت نوع ۱










در سال ۲۰۲۲، دو کارآزمایی جدید با استفاده از یک رویکرد ویرایش پایه انجام شد: درمان Beam Therapeutics برای بیماری سلول داسی شکل و درمان Verve Therapeutics برای هیپرکلسترولمی خانوادگی هتروزیگوت که یک بیماری قلبی بالقوه کشنده است.

# بازار پزشکی بازساختی

بازار محصولات ژن درمانی و توسعه دهندگان  $\circ$  مبتنی بر سلول هر کدام به ترتیب ۱۰.۲ میلیارد دلار و ۱۰.۱ میلیارد دلار درآمد داشتند. ژن درمانی در طول تاریخ بیشترین میزان سرمایه گذاری را به خود جلب کرده است و این روند در سال ۲۰۲۱ نیز ادامه یافت. با این حال، سرمایه گذاری در شرکت های سلولی-ایمونوآنکولوژی (IO) با سرعت بیشتری نسبت به تأمین مالی ژن درمانی در حال رشد است. توسعه دهندگان سلول درمانی ۲۰۰ میلیارد دلار و توسعه دهندگان مهندسی بافت نیز ۳۴۱ میلیون دلار سرمایه گذاری داشته اند.



## جمع‌بندی

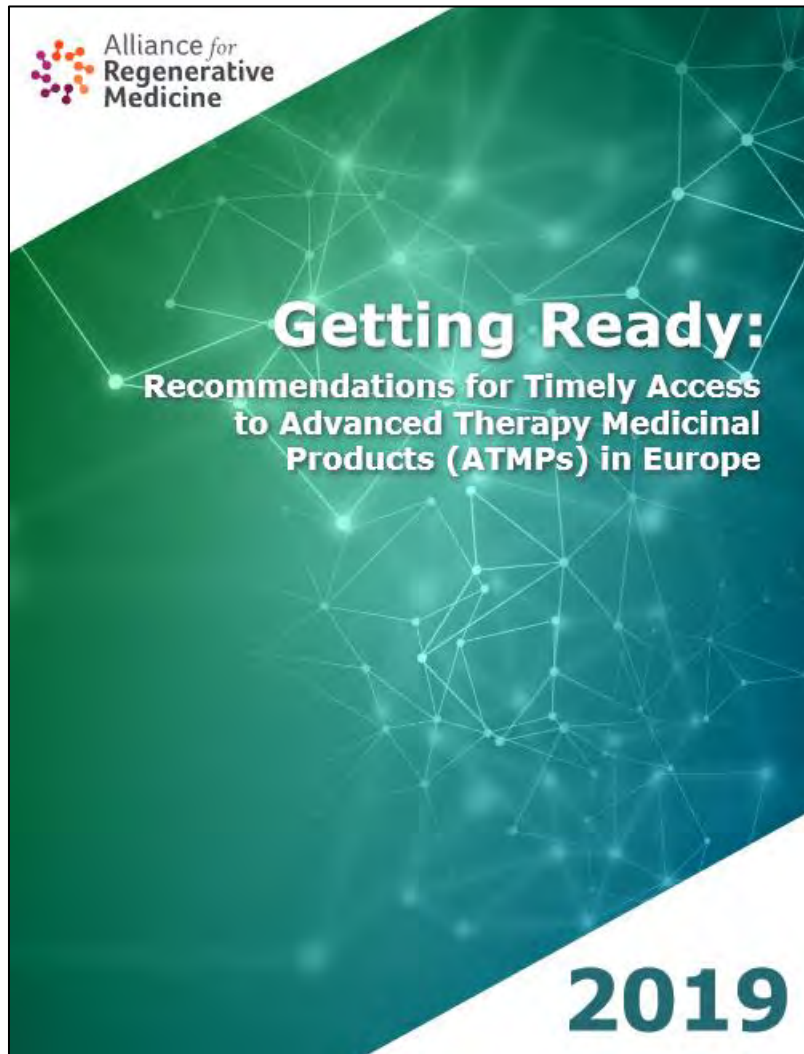
ژن درمانی	ایمونو درمانی‌های سلولی	سلول‌های بنیادی درمانی	حوزه‌های اولویت دار
			فناوری‌های اولویت دار
			CAR-T درمانی برای درمان بیماران مبتلا به لنفوم سلول B عودکننده یا مقاوم به درمان 
			استفاده از فناوری مبتنی بر سلول‌های آلوژنیک برای درمان سرطان 
			استفاده از فناوری ویرایش ژن ViaCyte برای درمان دیابت نوع ۱ 
			استفاده از فناوری ویرایش ژن CRISPR برای درمان دیابت نوع ۱ 



# ۴- توصیه‌هایی برای دسترسی به موقع به محصولات دارویی درمان پیشرفته در اروپا



# توصیه‌هایی برای دسترسی به موقع به محصولات دارویی درمان پیشرفته در اروپا



✓ عنوان گزارش:

توصیه‌هایی برای دسترسی به موقع به محصولات دارویی درمان پیشرفته در اروپا

✓ ناشر:

Alliance for Regenerative Medicine

✓ سال نشر:

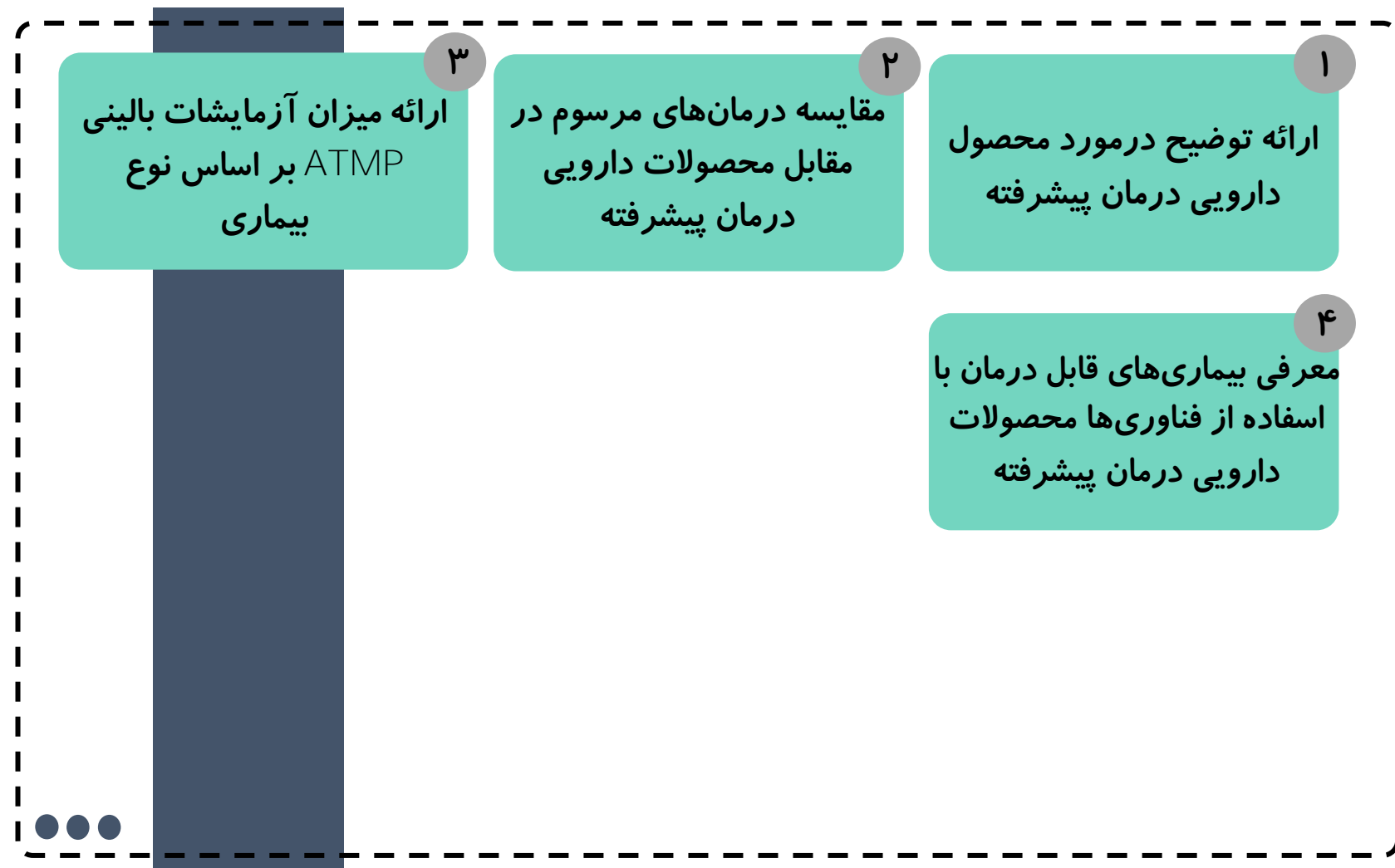
۲۰۱۹

✓ هدف و مخاطبین:

آشنایی پزشکان و متخصصین حوزه سلول‌های بنیادی و پزشکی بازساختی با محصولات دارویی درمان پیشرفته با هدف به‌کارگیری این محصولات در روند درمان.

Recommendations for Timely Access to Advanced Therapy Medicinal Products (ATMPs) in Europe (2019). Alliance for Regenerative Medicine. Available at: <http://alliancerm.org/wp-content/uploads/2019/07/ARM-Market-Access-Report-FINAL.pdf>

# فرایند نگارش گزارش



Recommendations for Timely Access to Advanced Therapy Medicinal Products (ATMPs) in Europe (2019). Alliance for Regenerative Medicine. Available at: <http://alliancerm.org/wp-content/uploads/2019/07/ARM-Market-Access-Report-FINAL.pdf>



# محصول دارویی درمان پیشرفته (ATMP) چیست؟



محصولات دارویی درمان پیشرفته (ATMPs) دسته‌ی نسبتاً جدیدی از داروها هستند و شامل درمان‌هایی همچون سلول درمانی، ژن درمانی و محصولات مهندسی بافت می‌شوند. این درمان‌های بسیار پیچیده با داروهای سنتی خوراکی و تزریقی، هم از نظر نحوه ساخت و تجویز و هم از نظر نوع فوایدی که ممکن است ارائه کنند، متفاوت هستند.

# درمان‌های مرسوم در مقابل محصولات دارویی درمان پیشرفته

ATMP	درمان مرسوم	
سلول درمانی و ژن درمانی سفارشی شده هستند.	برای جمعیت وسیعی تهیه و تجویز می‌شوند.	درجه شخصی‌سازی
معمولاً یک بار تجویز می‌شوند.	اکثر آن‌ها به عنوان درمان طولانی مدت یا مادام‌العمر تجویز می‌شوند.	مدت زمان درمان
نتایج در دراز مدت مشاهده می‌شود.	نتایج پس از تجویز مشاهده می‌شود.	دوام نتایج

Recommendations for Timely Access to Advanced Therapy Medicinal Products (ATMPs) in Europe (2019). Alliance for Regenerative Medicine. Available at: <http://alliancerm.org/wp-content/uploads/2019/07/ARM-Market-Access-Report-FINAL.pdf>

# آزمایشات بالینی ATMP بر اساس نوع بیماری

بیماری		تعداد کارآزمایی‌های بالینی
	انکولوژی (به استثنای هماتولوژی)	۶۱۸ (۵۸.۳٪)
	قلبی عروقی	۶۷ (۶.۳٪)
	عضلانی اسکلتی	۶۰ (۵.۷٪)
	سیستم عصبی مرکزی	۵۶ (۵.۳٪)
	اختلالات غدد درون ریز، متابولیک و ژنتیکی	۴۴ (۴.۲٪)
	پوست	۳۸ (۳.۶٪)
	هماتولوژی	۳۶ (۳.۴٪)
	ایمونولوژی و التهاب	۳۶ (۳.۴٪)
	چشم پزشکی	۳۵ (۳.۳٪)

بیماری		تعداد کارآزمایی‌های بالینی
	بیماری‌های عفونی	۲۱ (۲.۰٪)
	اختلالات دستگاه تناسلی	۱۵ (۱.۴٪)
	گوارش	۱۴ (۱.۳٪)
	تنفسی	۱۰ (۰.۹٪)
	عمل جراحی	۳ (۰.۳٪)
	بیماری‌های لنفاوی	۳ (۰.۳٪)
	بیماری‌های گوش	۲ (۰.۲٪)
	بیماری‌های سالمندان	۲ (۰.۲٪)

Recommendations for Timely Access to Advanced Therapy Medicinal Products (ATMPs) in Europe (2019). Alliance for Regenerative Medicine. Available at: <http://alliancerm.org/wp-content/uploads/2019/07/ARM-Market-Access-Report-FINAL.pdf>

## ارزش ATMP برای بیماران

در ادامه نمونه‌هایی از تأثیرات ATMP بر سلامت و کیفیت زندگی بیماران مبتلا به اختلالات بینایی، سرطان‌های پیشرفته خون، بیماری‌های اسکلتی-عضلانی و عصبی-عضلانی و اختلالات لخته شدن خون ارائه شده است.

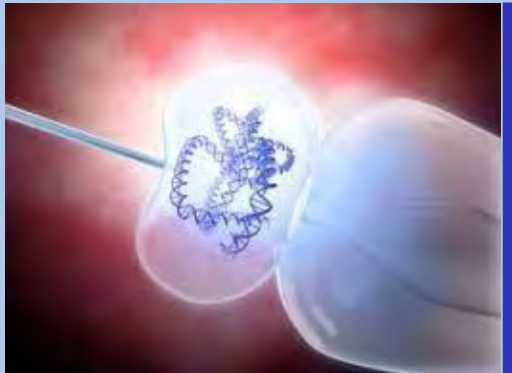
برخی از این درمان‌ها تأیید شده‌اند. برخی دیگر نشانه‌های قوی از اثربخشی را در کارآزمایی‌های مرحله آخر نشان داده‌اند.



ATMP ها در حال حاضر ارزش قابل توجهی را برای بیمارانی که از طیف وسیعی از شرایط تهدید کننده زندگی رنج می‌برند، ارائه کرده‌اند. این درمان‌ها می‌توانند با کاهش چشمگیر بار بیماری‌ها و درمان‌های مزمن بیماران، زندگی آن‌ها را تغییر دهند. ATMP ها همچنین ممکن است با حذف یا به حداقل رساندن نیاز به درمان یا رویه‌های منظم و کاهش تقاضای مراقبت‌های روزمره در درازمدت هزینه‌های سیستم سلامت را نیز کاهش دهند.

# درمان ADA-SCID

## ADA-SCID



درمان ADA-SCID در سال ۲۰۱۶ در اروپا برای کودکان مبتلا به نقص ایمنی ترکیبی شدید ناشی از کمبود آدنوزین دآمیناز (ADA-SCID) که فاقد اهداکننده مغز استخوان منطبق هستند، تأیید شد. این درمان شامل جمع آوری سلول‌های CD34+ مشتق از مغز استخوان بیماران و اصلاح آنها برای تولید نسخه‌های عملکردی آنزیم آدنوزین دآمیناز است. یک کارآزمایی بالینی نشان داد که اکثر بیماران تحت درمان دیگر نیازی به درمان جایگزین آنزیمی لازم ندارند.

# درمان بیماری چشمی



LUXTURNA یک محصول ژن درمانی یک بار مصرف است که برای درمان بیماران مبتلا به بیماری ارثی شبکیه به دلیل جهش در هر دو نسخه از ژن RPE65 استفاده می‌شود که فقط از طریق آزمایش ژنتیکی قابل تأیید است.

این درمان یک کپی از ژن RPE65 را ارائه می‌دهد تا به جای ژن جهش یافته عمل کند.

LUXTURNA تنها محصول ژن درمانی است که هم در ایالات متحده (۲۰۱۷) و هم در اروپا (۲۰۱۸) تأیید شده است. این دارو توسط شرکت Spark و Novartis Therapeutics به بازار عرضه می‌شود.

بدون درمان، اکثر بیماران مبتلا به بیماری ارثی شبکیه با واسطه RPE65 به سمت نابینایی پیشرفت می‌کنند.

LUXTURNA با کند کردن یا متوقف کردن انحطاط شبکیه، بینایی و توانایی انجام وظایف روزمره زندگی را که به بینایی بستگی دارد، بسیار بهبود می‌بخشد.

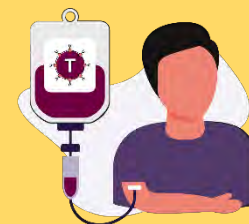
# ارائه گزینه‌هایی برای بیماران سرطانی پیشرفته



Novartis' Kymriah که با همکاری دانشگاه پنسیلوانیا ساخته شده است، در اوت ۲۰۱۷ در ایالات متحده برای بیماران تا ۲۵ سال مبتلا به سرطان خون لنفوبلاستیک حاد پیش ساز سلول (ALL) B و عودکننده یا مقاوم به درمان تأیید شد.



داروی مشابه، Yescarta نیز در همان سال برای اشکال پیشرفته DLBCL نیز تأیید شد. این داروها شامل جمع‌آوری و اصلاح سلول‌های T خود بیمار، نوعی سلول سیستم ایمنی است. این سلول‌ها در شرایط خارج از بدن برای هدف قرار دادن پروتئینی که مخصوص سلول‌های سرطانی است، مهندسی شده‌اند. سپس سلول‌های تزریق شده مجدد سلول‌های سرطانی را هدف قرار داده و از بین می‌برند.



تجویز درمان CAR-T هم برای بیماران و هم برای متخصصان پیچیده و وقت‌گیر است. خطرات قابل توجهی در ارتباط با درمان وجود دارد. با این حال، با چند مورد پاسخ کامل (بدون هیچ نشانه‌ای از سرطان) تا یک سال بعد، به طور قابل توجهی در برخی بیماران مؤثر است.

# درمان بالقوه برای بیماری هموفیلی (۱)



چندین گزینه ژن درمانی برای بیماران مبتلا به هموفیلی در مراحل آخر توسعه هستند. افراد مبتلا به هموفیلی فاقد پروتئین مورد نیاز برای لخته شدن خون هستند یا سطح بسیار پایینی از آن دارند. آن‌ها در حال حاضر باید به طور منظم نسخه‌های جایگزینی از این فاکتورهای انعقادی را تجویز کنند تا خطر خونریزی کنترل نشده را کاهش دهند.

اکثر بیماران مبتلا به هموفیلی A هستند و بنابراین نیاز به مصرف فاکتور انعقادی هشت دارند. کسانی که دارای فرم نادرتر، هموفیلی B هستند، به فاکتور انعقادی X نیاز دارند. ژن درمانی‌ها ممکن است درمان یک‌باره‌ای را ارائه دهند که نیاز بیماران را به انجام تزریق‌ها یا انفوزیون‌های منظم برطرف می‌کند و به آن‌ها اجازه می‌دهد تا نزدیک به زندگی عادی داشته باشند.



## درمان بالقوه برای بیماری هموفیلی (۲)

هموفیلی BioMarin A فاز ۳، valoctocogene roxaparvovec، ژن گمشده مورد نیاز برای تولید فاکتور VIII را تحویل می‌دهد. این درمان ممکن است پس از یک بار مصرف، نیاز به درمان مداوم فاکتور VIII را برطرف کند.

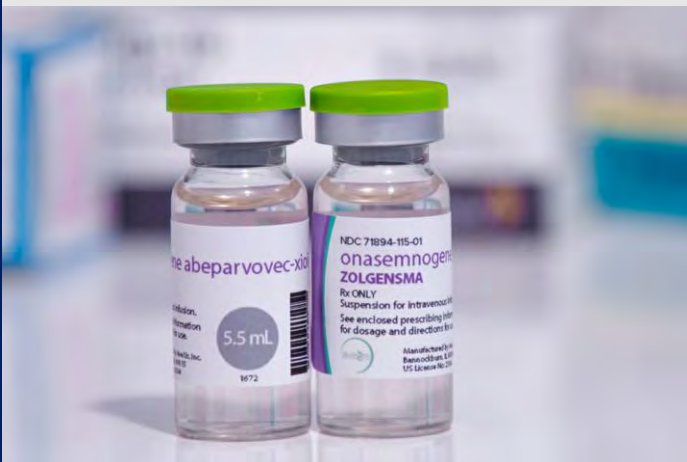
این امر بیماران را از بار دریافت انفوزیون دو تا سه بار در هفته و خطرات مرتبط با آن، مانند ایجاد آنتی بادی علیه پروتئین، که از کارکرد آن جلوگیری می‌کند، رها می‌کند. بنابراین، ژن درمانی ممکن است هزینه‌های طولانی مدت درمان بیماران هموفیلی را نیز کاهش دهد.

سایر کاندیدهای ژن درمانی هموفیلی در مراحل بعدی شامل برنامه هموفیلی B فاز III اسپارک/فایزر، فیداناکوژن elaparvovec و برنامه هموفیلی اسپارک A است که در آستانه فاز III قرار دارد.

## افزایش طول عمر بیماران مبتلا به SMA

آتروفی عضلانی نخاعی (SMA) یک اختلال عصبی عضلانی ارثی است که توسط ژن SNM1 معیوب یا از بین رفته است.

نوزادانی که با نوع شدید این بیماری (SMA نوع ۱) متولد می‌شوند، به سرعت عملکرد عضلانی خود را از دست می‌دهند و امید به زندگی آن‌ها را به ۲۴ ماه یا کمتر محدود می‌کند.



محصول ژن درمانی شرکت Novartis، Zolgens (onasemnogene abeparvovec) که توسط FDA ایالات متحده تأیید شده است، یک کپی جایگزین از SNM1 ارائه می‌دهد که علت اصلی این بیماری را درمان می‌کند.

## افزایش طول عمر بیماران مبتلا به XLMTM



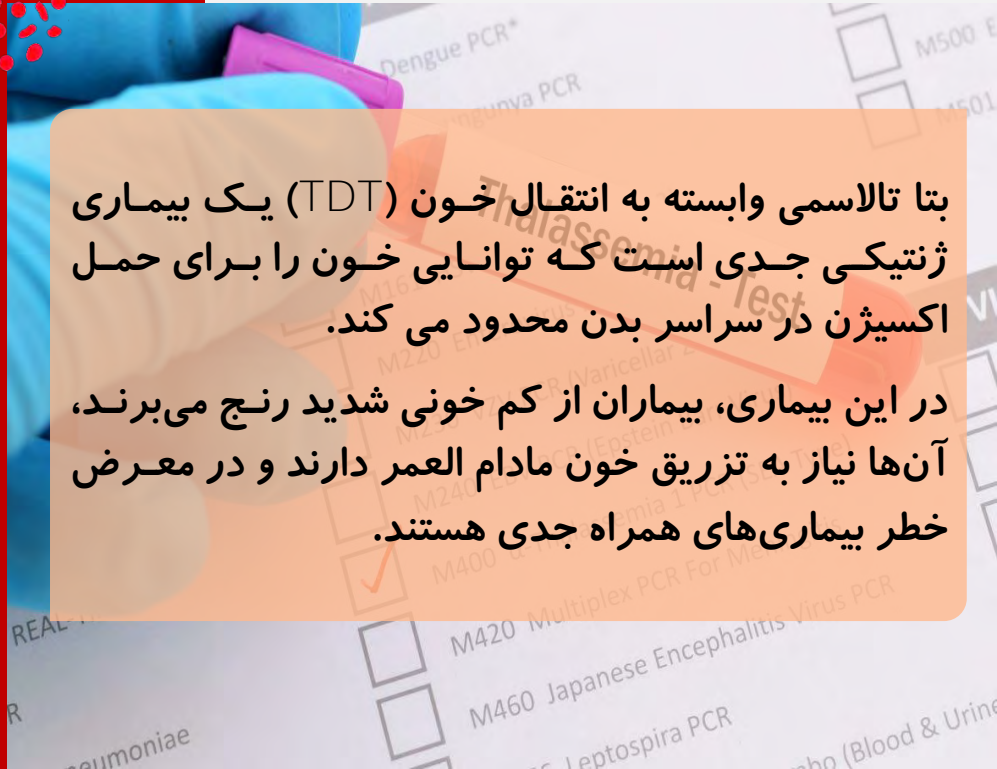
میوپاتی میوتوبولار (XLMTM) یکی دیگر از اختلالات عصبی عضلانی ژنتیکی نادر است که باعث مشکلات تنفس، بلع و تغذیه می شود و امید به زندگی را به ماه‌ها یا چند روز محدود می کند.

شرکت Audentes Therapeutics مستقر در کالیفرنیا، که در ابتدا با Genethon توسعه یافت، یک کپی کاربردی از ژن MTM1 را ارائه می کند که پروتئین myotubularin را که برای عملکرد ماهیچه‌های اسکلتی حیاتی است، کد می کند. در اکتبر ۲۰۱۸، این شرکت داده‌های موقتی اثربخشی و ایمنی را در هشت بیمار ارائه کرده است.

# درمان جدید برای مبتلایان به تالاسمی بتا (۱)

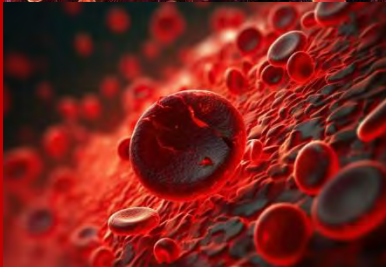
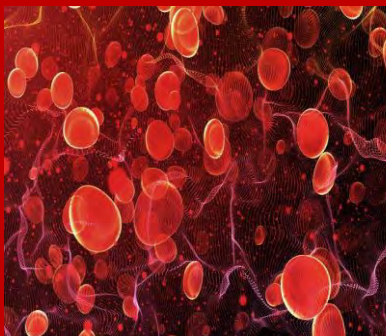


پیوند مغز استخوان یک گزینه برای درمان برخی از این بیماران است اما می‌تواند منجر به عوارض جدی شود.



بتا تالاسمی وابسته به انتقال خون (TDT) یک بیماری ژنتیکی جدی است که توانایی خون را برای حمل اکسیژن در سراسر بدن محدود می‌کند. در این بیماری، بیماران از کم خونی شدید رنج می‌برند، آن‌ها نیاز به تزریق خون مادام‌العمر دارند و در معرض خطر بیماری‌های همراه جدی هستند.





## درمان جدید برای مبتلایان به تالاسمی بتا (۲)



Zynteglo، یک ژن درمانی که توسط Bluebird bio با استفاده از فناوری بردار LentiGlobin توسعه یافته است. این فناوری نوعی سلول بنیادی خونساز را با ژن کدکننده بخشی از پروتئین حامل اکسیژن (هموگلوبین)، که در بیماران TDT وجود ندارد، تحویل می‌دهد.

داده های فاز III منتشر شده در دسامبر ۲۰۱۸ نشان داد که بیماران شروع به تولید سطوح تقریباً طبیعی هموگلوبین مشتق از ژن درمانی کردند. ۱۰ نفر از ۱۶ بیمار ۳ تا ۱۸ ماه پس از درمان دیگر تزریق خون دریافت نمی‌کردند.

## جمع‌بندی

ژن درمانی	حوزه‌های اولویت دار	
	فناوری‌های اولویت دار	
	به کارگیری فناوری جایگزینی ژن در داروی LUXTURNA برای درمان بیماری چشمی	<input type="checkbox"/>
	به کارگیری فناوری‌های مبتنی بر سلول‌های CAR-T در داروی Yescarta برای درمان بیماران سرطانی	<input type="checkbox"/>
	به کارگیری فناوری مبتنی بر ژن درمانی AAV5 برای درمان هموفیلی شدید A	<input type="checkbox"/>
	استفاده از ژن درمانی Zynteglo برای درمان بیماری تالاسمی بتا	<input type="checkbox"/>



## ۵- تجزیه و تحلیل شکاف برای بخش سلول و ژن درمانی



# تجزیه و تحلیل شکاف برای بخش سلول و ژن درمانی



✓ عنوان گزارش:

تجزیه و تحلیل شکاف برای بخش سلول و ژن درمانی

✓ ناشر:

Alliance for Regenerative Medicine

✓ سال نشر:

۲۰۲۳

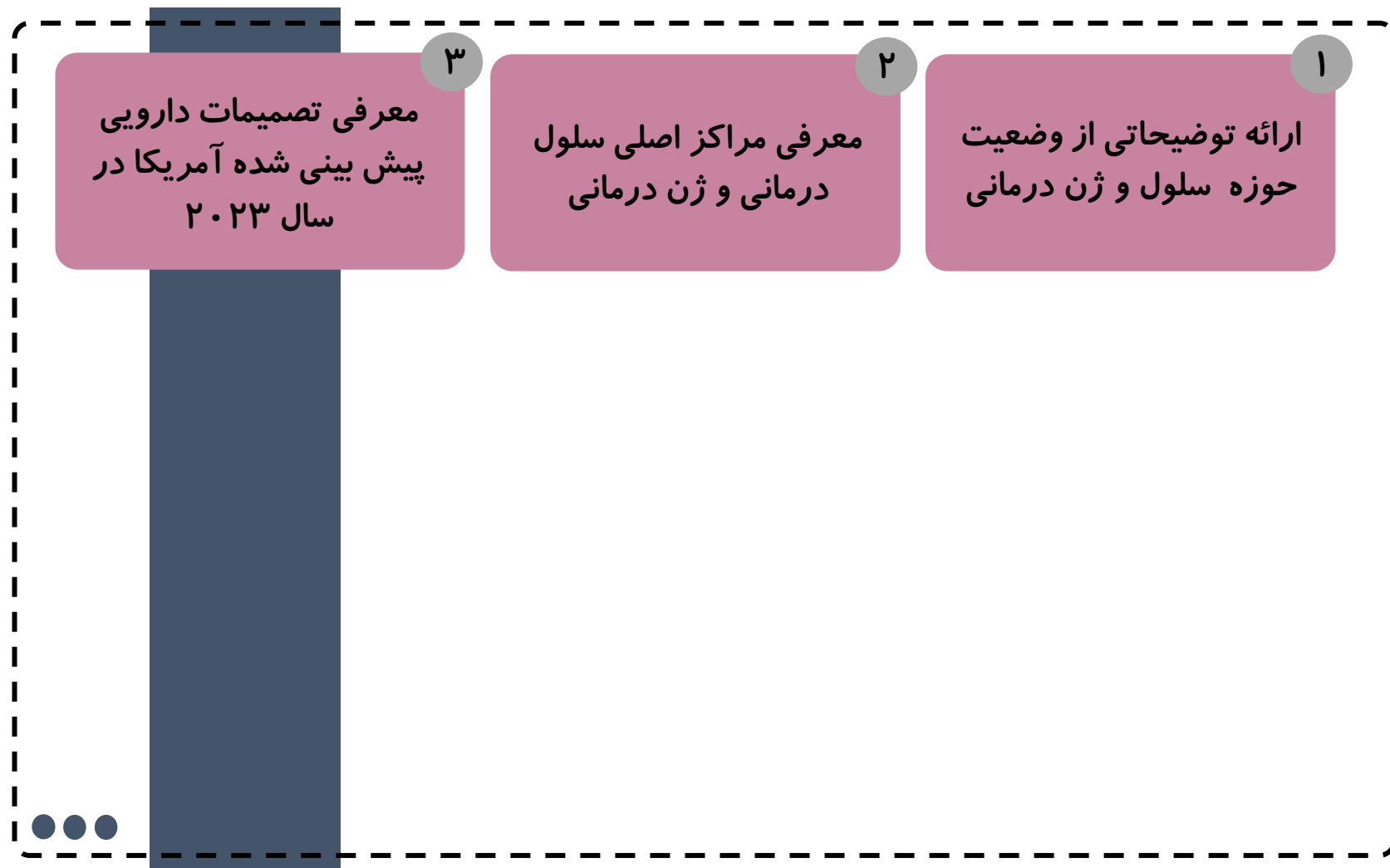
✓ هدف و مخاطبین:

آشنایی مدیران و بازاریابان و متخصصان با وضعیت حوزه ژن درمانی و سلول درمانی و مراکز اصلی این حوزه در دنیا برای آشنایی با آخرین پیشرفت‌های این حوزه

GAP ANALYSIS FOR THE CELL AND GENE THERAPY SECTOR (2023). Alliance for Regenerative Medicine. Available at: <http://alliancerm.org/wp-content/uploads/2023/03/ARM-Workforce-Gap-Analysis.pdf>



# فرایند نگارش گزارش



GAP ANALYSIS FOR THE CELL AND GENE THERAPY SECTOR (2023). Alliance for Regenerative Medicine. Available at: <http://alliancerm.org/wp-content/uploads/2023/03/ARM-Workforce-Gap-Analysis.pdf>

# وضعیت حوزه سلول و ژن درمانی

داده‌های ARM در حوزه سلول درمانی و ژن درمانی، نشان‌دهنده یک خط تولید قوی آزمایش‌های بالینی در ایالات متحده آمریکا است. این داده‌ها نشان می‌دهند که اکثر کارآزمایی‌ها در فاز II و نزدیک به ۱۰۰ کارآزمایی در فاز III هستند.

بر اساس ارزیابی خط تولید فعلی و میزان موفقیت بالینی این محصولات، سالانه ۱۰ تا ۲۰ درمان سلولی و ژنی جدید را تا سال ۲۰۲۵ توسط این سازمان تأیید می‌شود.

در زمان نگارش این گزارش، ۱۳ درمان سلولی یا ژنی پیش‌بینی شده است که می‌توانند تا پایان سال ۲۰۲۳ برای استفاده در ایالات متحده، اروپا یا هر دو، مورد تأیید قرار گیرند.

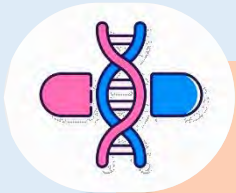
# مراکز اصلی سلول درمانی و ژن درمانی



دلایل اصلی این موفقیت شامل سرمایه‌گذاری‌های تاریخی در بخش علوم زیستی، ارتباط دانشگاه‌ها و صنعت و منابع انسانی است.

طبق این گزارش، دو مرکز اصلی سلول درمانی و ژن درمانی شامل مناطق بوستون و خلیج سانفرانسیسکو می‌شوند.

# تصمیمات دارویی پیش‌بینی شده آمریکا در سال ۲۰۲۳ (۱)



Afami-cel (سلول درمانی)  
Adaptimmune Therapeutics

سارکوم سینوویال پیشرفته

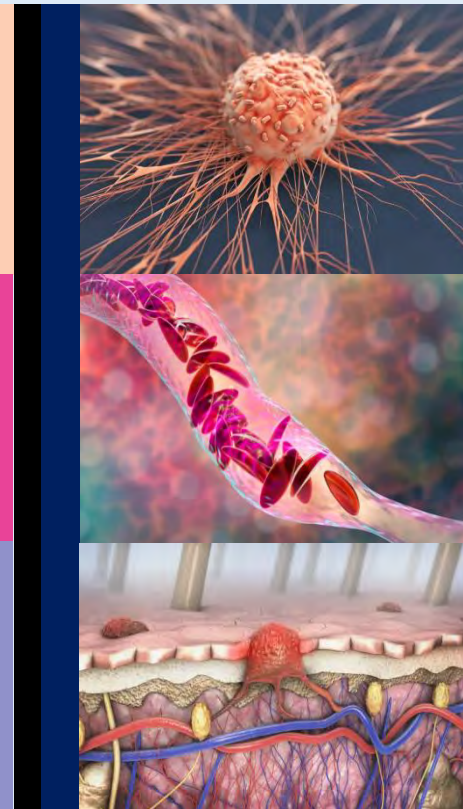
CTX001 (ویرایش ژن)  
CRISPR Therapeutics & Vertex Pharmaceuticals

بیماری سلول داسی شکل و بتا تالاسمی

Lifileucel (TIL درمانی)

Lovance

ملانوم متاستاتیک



## تصمیمات دارویی پیش‌بینی شده آمریکا در سال ۲۰۲۳ (۲)



bb1111 (ژن درمانی)

bluebird bio

بیماری سلول داسی شکل

fidanacogene elaparvovec (ژن درمانی)

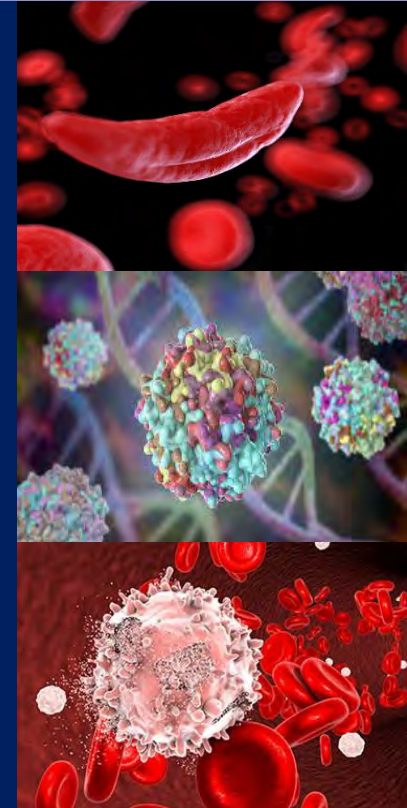
Pfizer (formerly Spark Therapeutics)

هموفیلی B

Omidubicel (سلول درمانی)

Gamida Cell

بدخیمی‌های خونی



# تصمیمات دارویی پیش‌بینی شده آمریکا در سال ۲۰۲۳ (۳)



B-VEC (ژن درمانی)

Krystal Bio

اپیدرمولیز بولوزا دیستروفیک

خون بند ناف HPC (سلول درمانی)

StemCyte

پیوند سلول‌های پیش ساز خونساز اهداکننده نامرتب

Remestemcel-L (سلول درمانی)

Mesoblast

بیماری پیوند حاد مقاوم به استروئید



## تصمیمات دارویی پیش‌بینی شده آمریکا در سال ۲۰۲۳ (۴)

CT-053 (درمانی CAR-T)

CARsgen Therapeutics

R/R مولتیپل میلوم

Roctavian (ژن درمانی)

BioMarin

هموفیلی

Libmeldy (ژن درمانی)

Orchard Therapeutics

متاکروماتیک، لوکودیستروفی (MLD)



## تصمیمات دارویی پیش‌بینی شده آمریکا در سال ۲۰۲۳ (۵)

SRP-9001 (ژن درمانی)

Sarepta Therapeutics

دیستروفی عضلانی دوشن

Tab-cell (سلول درمانی)

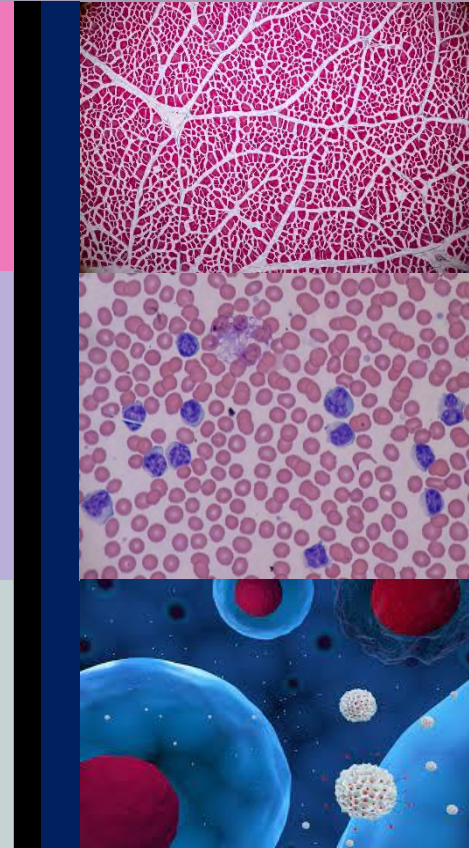
Atara Biotherapeutics Inc

پیوند و اختلال لنفوپرولیفراتیو مرتبط با ویروس اپشتین بار  
(EBV-PTLD)

Upstaza (ژن درمانی)

PTC Therapeutics

کمبود اسید ال آمینه دکربوکسیلاز آروماتیک (AADC)





## تصمیمات دارویی پیش بینی شده اروپا در سال ۲۰۲۳ (۶)



B-VEC (ژن درمانی)

Krystal Bio

اپیدرمولیز بولوزا دیستروفیک

CTX001 (درمان ویرایش ژن)

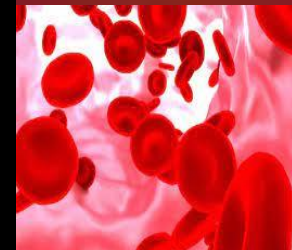
CRISPR Therapeutics & Vertex Pharmaceuticals

بیماری سلول داسی شکل، بتا تالاسمی





Lumevoq (ژن درمانی)

GenSight Biologics SA

نوروپاتی ارثی بینایی لبر (LHON)



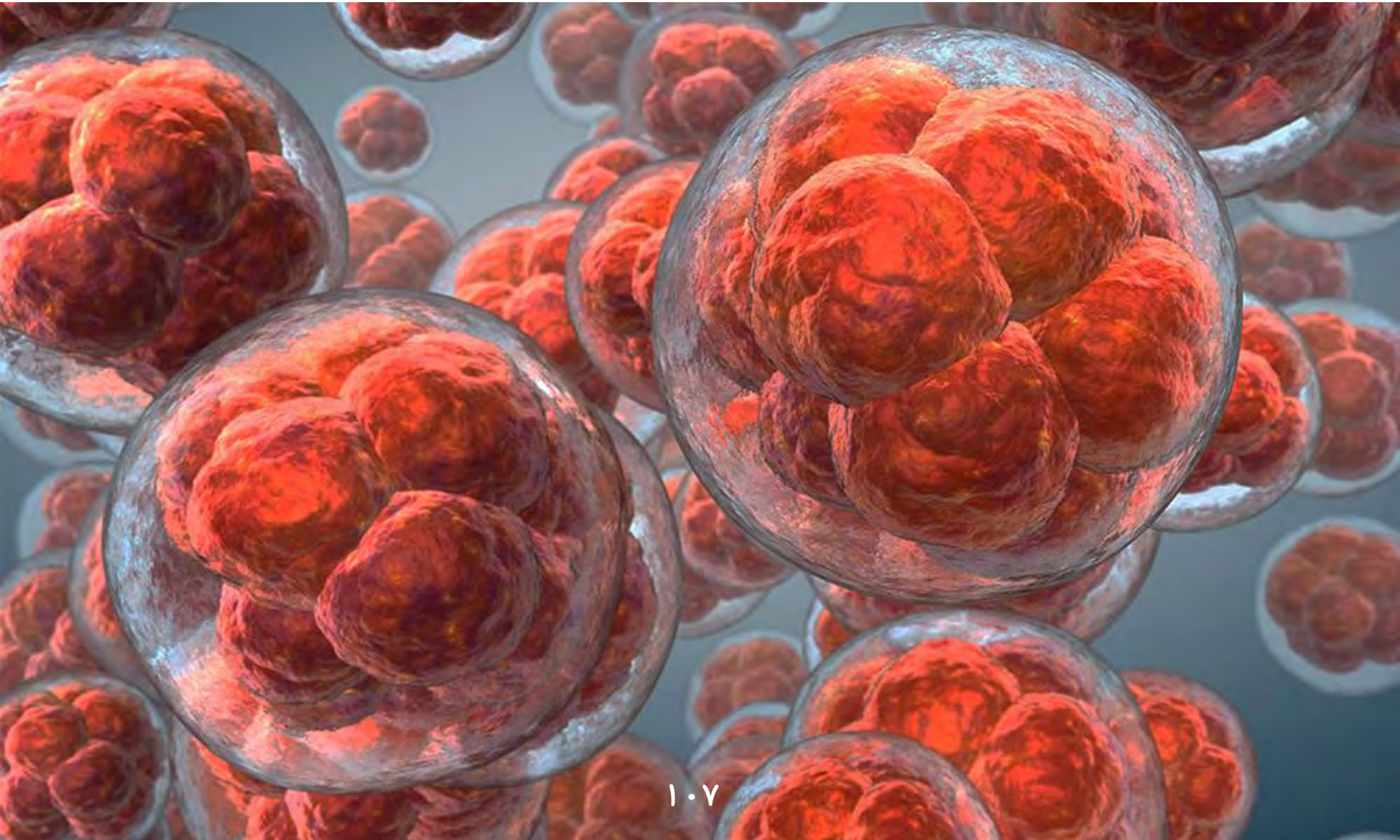
## جمع‌بندی

ژن درمانی	ایمونو درمانی‌های سلولی	سلول‌های بنیادی درمانی	حوزه‌های اولویت دار	
			فناوری‌های اولویت دار	
			فناوری سلول درمانی برای درمان بیماری سارکوم سینوویال پیشرفته	■
			فناوری ویرایش ژن برای درمان بیماری سلول داسی شکل و بتا تالاسمی	■
			فناوری TIL درمانی برای درمان بیماری ملانوم متاستاتیک	■
			فناوری ژن درمانی برای درمان بیماری سلول داسی شکل	■

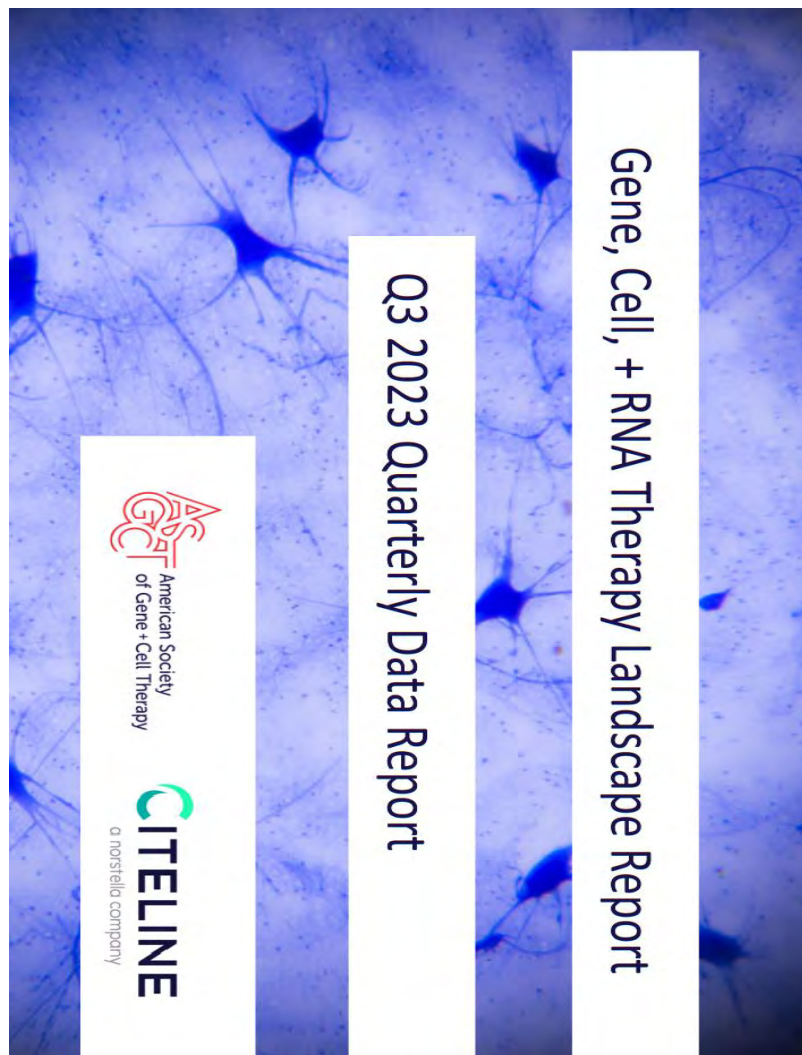


GAP ANALYSIS FOR THE CELL AND GENE THERAPY SECTOR (2023). Alliance for Regenerative Medicine. Available at: <http://alliancerm.org/wp-content/uploads/2023/03/ARM-Workforce-Gap-Analysis.pdf>

# ۶- گزارش چشم انداز ژن، سلول و RNA درمانی



# گزارش چشم انداز ژن، سلول و RNA درمانی



✓ عنوان گزارش:

گزارش چشم انداز ژن، سلول و RNA  
درمانی

✓ ناشر:

انجمن ژن و سلول درمانی آمریکا

✓ سال نشر:

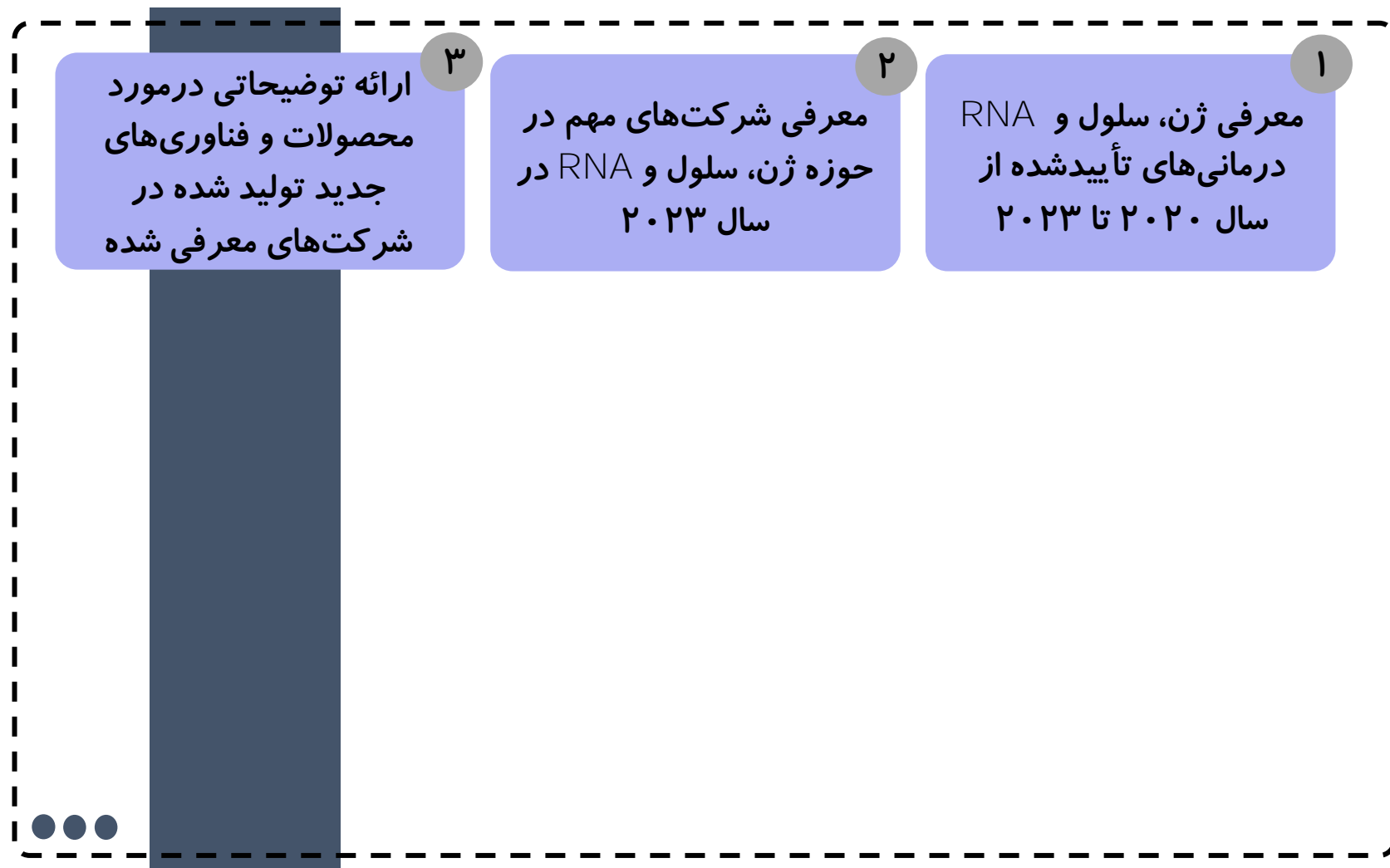
۲۰۲۳

✓ هدف و مخاطبین:

ارائه ژن، سلول و RNA درمانی‌های معرفی  
شده در ۳ ماهه سوم سال ۲۰۲۳ برای  
آشنایی متخصصان و مدیران این حوزه با  
درمان‌های اخیر

Gene, Cell, + RNA Therapy Landscape Report (2023). American Society of Gene and Cell Therapy. Available at: <https://asgct.org/global/documents/asgct-citeline-q3-2023-report.aspx>

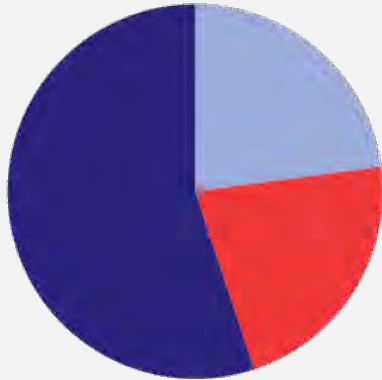
# فرایند نگارش گزارش



Gene, Cell, + RNA Therapy Landscape Report (2023). American Society of Gene and Cell Therapy. Available at: <https://asgct.org/global/documents/asgct-citeline-q3-2023-report.aspx>

# ژن، سلول و RNA درمانی‌های تأییدشده در سه ماهه سوم ۲۰۲۳

ژن، سلول و RNA درمانی‌های تأیید شده



■ ژن درمانی ■ سلول درمانی ■ RNA درمانی

۲۷ ژن درمانی تأییدشده است (از جمله درمان‌های سلولی اصلاح شده ژنتیکی)

یک درمان anti-BCMA-targeting در حوزه CAR-T درمانی، در چین برای بیماری مولتیپل میلوما تأیید شد.

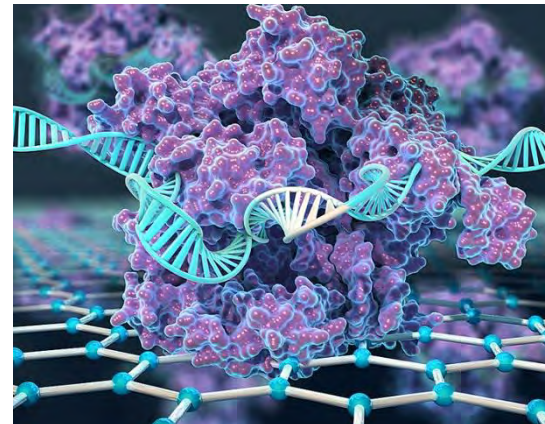
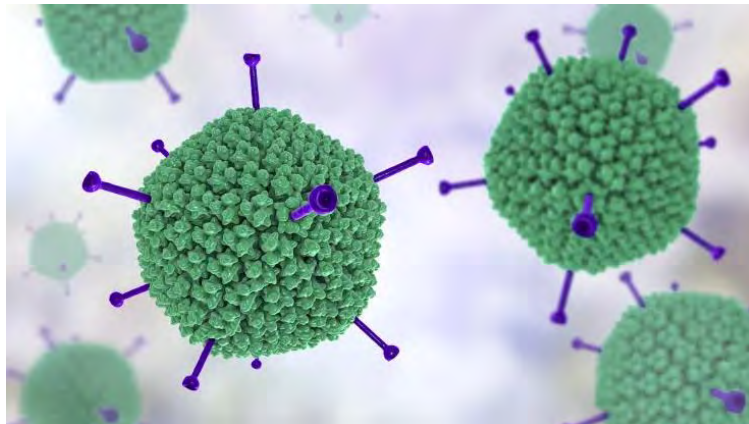
۲۶ درمان RNA تأیید شد.

واکسن mRNA COVID-19 Daichirona در ژاپن تأیید شد. Daichi Sankyo

۶۵ سلول درمانی اصلاح نشده ژنتیکی تأیید شد.

## ژن درمانی‌های تأییدشده در سال ۲۰۲۰

کشور تأییدکننده	نام بیماری	نام عمومی	نام محصول
ایالات متحده، اتحادیه اروپا، انگلستان، استرالیا	لنفوم سلول گوشته؛ لوسمی لنفوسیتی حاد	brexucabtagene autoleucel	Tecartus
اتحادیه اروپا، انگلستان	لوکودیستروپی متاکروماتیک	atidarsagene autotemcel	Libmeldy



Gene, Cell, + RNA Therapy Landscape Report (2023). American Society of Gene and Cell Therapy. Available at: <https://asgct.org/global/documents/asgct-citeline-q3-2023-report.aspx>

## ژن درمانی‌های تأییدشده در سال ۲۰۲۱

کشور تأییدکننده	نام بیماری	نام عمومی	نام محصول
ایالات متحده، ژاپن، اتحادیه اروپا، سوئیس، انگلستان، کانادا	لنفوم منتشر سلول B بزرگ؛ لنفوم فولیکولی	lisocabtagene maraleucel	Breyanzi
ایالات متحده، کانادا، اتحادیه اروپا، بریتانیا، ژاپن	مولتیپل میلوما	idecabtagene vicleucel	Abecma
ژاپن	گلیوما بدخیم	teserpaturev	Delytact
چین	لنفوم منتشر سلول B بزرگ؛ لنفوم فولیکولی	relmacabtagene autoleucel	Relma-cel
آمریکا	آدرنولوکودیستروپی اولیه مغزی	elivaldogene autotemcel	Skysona

Gene, Cell, + RNA Therapy Landscape Report (2023). American Society of Gene and Cell Therapy. Available at: <https://asgct.org/global/documents/asgct-citeline-q3-2023-report.aspx>



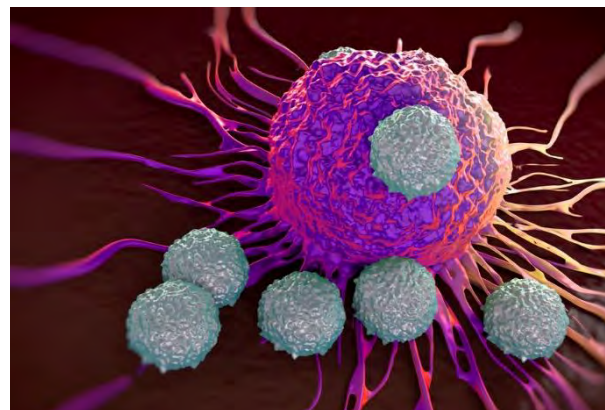
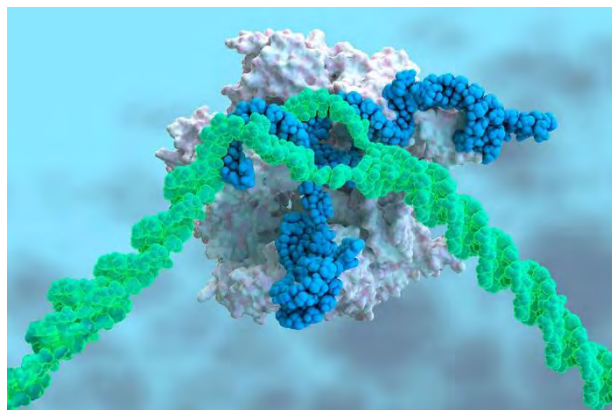
## ژن درمانی‌های تأییدشده در سال ۲۰۲۲

کشور تأییدکننده	نام بیماری	نام عمومی	نام محصول
ایالات متحده، اتحادیه اروپا، انگلستان، ژاپن، استرالیا	مولتیپل میلوما	ciltacabtagene autoleucl	Carvykti
اتحادیه اروپا، انگلستان	کمبود اسید ال آمینه دکربوکسیلاز معطر	eladocagene exuparvovec	Upstaza
ایالات متحده، انگلستان، ایالات متحده	هموفیلی A	valoctocogene roxaparvovec	Roctavian
ایالات متحده، اتحادیه اروپا، انگلستان	هموفیلی B	etranacogene dezaparvovec	Hemgenix
ایالات متحده	سرطان مثانه	nadofaragene firadenovec	Adstiladrin

Gene, Cell, + RNA Therapy Landscape Report (2023). American Society of Gene and Cell Therapy. Available at: <https://asgct.org/global/documents/asgct-citeline-q3-2023-report.aspx>

## ژن درمانی‌های تأییدشده در سال ۲۰۲۳

کشور تأییدکننده	نام بیماری	نام عمومی	نام محصول
ایالات متحده	دیستروفی عضلانی دوشن	delandistrogene moxeparvovec	Elevidys
ایالات متحده	اپیدرمولیز بولوزا دیستروفیک	beremagene geperpavec	Vyjuvek
چین	مولتیپل میلوما	equecabtagene autoleucel	Fucaso



Gene, Cell, + RNA Therapy Landscape Report (2023). American Society of Gene and Cell Therapy. Available at: <https://asgct.org/global/documents/asgct-citeline-q3-2023-report.aspx>

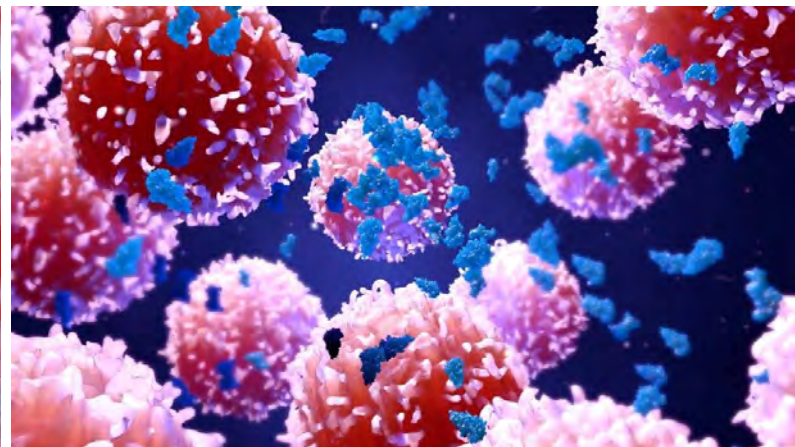
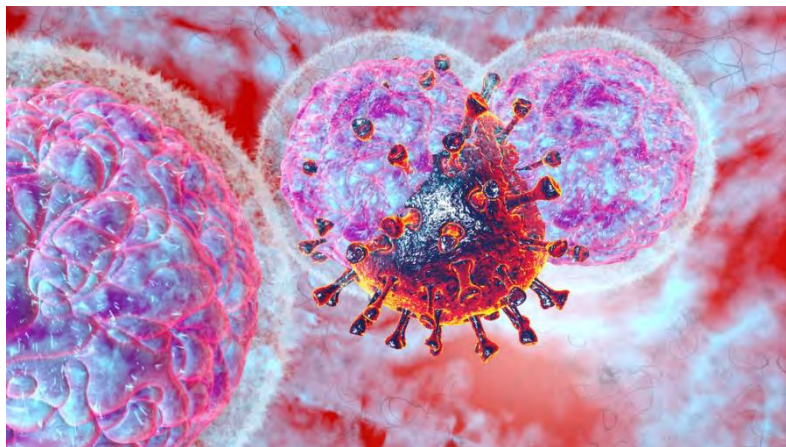
## درمانی‌های تأییدشده در سال ۲۰۲۰ RNA

کشور تأییدکننده	نام بیماری	نام عمومی	نام محصول
بریتانیا، بحرین، اسرائیل، کانادا، ایالات متحده، رواندا، صربستان، امارات متحده عربی، ماکائو، تایوان، مکزیک، کویت، عربستان سعودی و ...	عفونت، ویروس کرونا، پیشگیری از کروناویروس جدید	tozinameran	Comirnaty
ایالات متحده، کانادا، اسرائیل، اتحادیه اروپا، سوئیس، سنگاپور، قطر، ویتنام، انگلستان، فیلیپین، تایلند، ژاپن، کره جنوبی، بروئی، پاراگوئه، تایوان و ...	عفونت، ویروس کرونا، پیشگیری از کروناویروس جدید	COVID-19 vaccine, Moderna	Moderna COVID-19 vaccine
ایالات متحده، اتحادیه اروپا، انگلستان، کانادا، سوئیس، برزیل، اسرائیل، ژاپن	پورفیریا	givosiran	Givlaari
اتحادیه اروپا، بریتانیا، ایالات متحده، برزیل	هایپر اگزالوری	lumasiran	Oxlumo
آمریکا، ژاپن	دیستروفی عضلانی دوشن	viltolarsen	Viltepso
اتحادیه اروپا، انگلستان، استرالیا، کانادا، اسرائیل، ایالات متحده، عربستان سعودی	آترواسکلروز؛ هیپرکلسترولمی خانوادگی هتروزیگوت؛ هیپرکلسترولمی	inclisiran	Leqvio

Gene, Cell, + RNA Therapy Landscape Report (2023). American Society of Gene and Cell Therapy. Available at: <https://asgct.org/global/documents/asgct-citeline-q3-2023-report.aspx>

# درمانی‌های تأییدشده در سال ۲۰۲۱ RNA

کشور تأییدکننده	نام بیماری	نام عمومی	نام محصول
آمریکا	دیستروفی عضلانی دوشن	casimersen	Amondys 45
آمریکا، اتحادیه اروپا، بریتانیا، اسرائیل	کمبود کوفاکتور مولیبیدن	fosdenopterin	Nulibry



Gene, Cell, + RNA Therapy Landscape Report (2023). American Society of Gene and Cell Therapy. Available at: <https://asgct.org/global/documents/asgct-citeline-q3-2023-report.aspx>

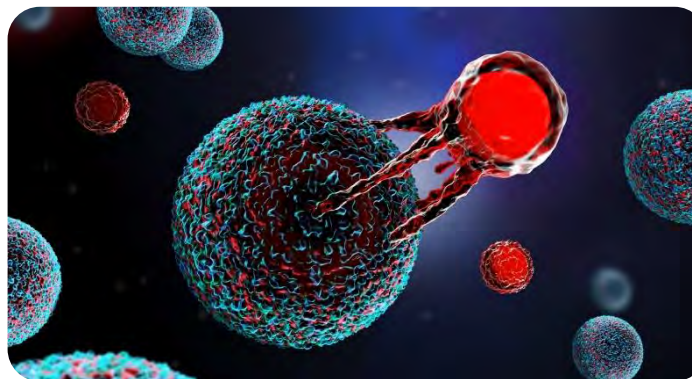
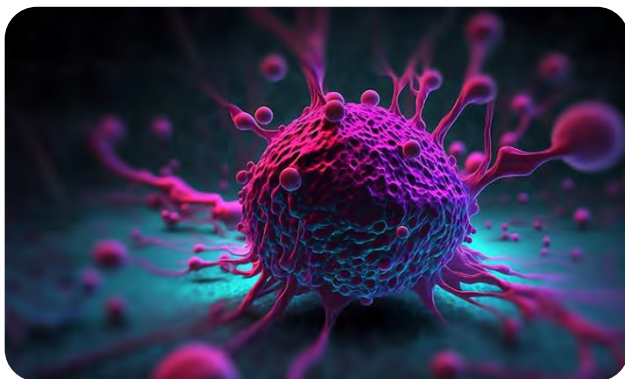
## RNA درمانی‌های تأییدشده در سال ۲۰۲۲

کشور تأییدکننده	نام بیماری	نام عمومی	نام محصول
هند	عفونت، ویروس کرونا، پیشگیری از کروناویروس جدید	COVID-19 vaccine, Gennova Biopharmaceuticals	Gennova COVID-19 vaccine
ایالات متحده، اتحادیه اروپا، انگلستان	آمیلوئیدوز ارثی مرتبط با ترانس تیرتین	vutrisiran	Amvuttra
انگلستان، کانادا، تایوان، سوئیس، ژاپن، اتحادیه اروپا، استرالیا، کره جنوبی، سنگاپور، ایالات متحده	عفونت، ویروس کرونا، پیشگیری از کروناویروس جدید	COVID-19 Bivalent Original/Omicron vaccine, Moderna	Moderna Spikevax Bivalent Original/Omicron vaccine
اندونزی	عفونت، ویروس کرونا، پیشگیری از کروناویروس جدید	COVID-19 vaccine, Suzhou Abogen Biosciences	ARCoV
ایالات متحده، انگلستان	عفونت، ویروس کرونا، پیشگیری از کروناویروس جدید	Omicron BA.4/BA.5-adapted bivalent booster vaccine	Pfizer & BioNTech's Omicron BA.4/BA.5-adapted bivalent booster vaccine

Gene, Cell, + RNA Therapy Landscape Report (2023). American Society of Gene and Cell Therapy. Available at: <https://asgct.org/global/documents/asgct-citeline-q3-2023-report.aspx>

# درمانی‌های تأییدشده در سال ۲۰۲۳ RNA

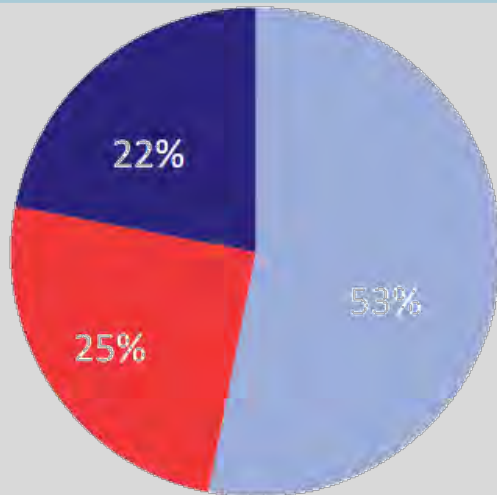
کشور تأییدکننده	نام بیماری	نام عمومی	نام محصول
چین	عفونت، ویروس کرونا، پیشگیری از کروناویروس جدید	COVID-19 vaccine, CSPC Pharmaceutical	CSPC Pharmaceutical COVID-19 vaccine
چین، امارات	عفونت، ویروس کرونا، پیشگیری از کروناویروس جدید	COVID-19 alpha/beta/delta/omicron variants S-trimer quadrivalent recombinant protein vaccine	Sinocelltech COVID-19 vaccine



Gene, Cell, + RNA Therapy Landscape Report (2023). American Society of Gene and Cell Therapy. Available at: <https://asgct.org/global/documents/asgct-citeline-q3-2023-report.aspx>

# ژن، سلول و RNA درمانی‌های در حال توسعه

درمان‌های در حال توسعه بر اساس دسته‌بندی



■ سلول درمانی ■ RNA درمانی ■ ژن درمانی

۳۸۶۶ درمان در حال توسعه هستند، این توسعه شامل مراحل پیش ثبت نام تا پیش بالینی است.

۲۰۸۲ ژن درمانی (شامل سلول‌درمانی‌های اصلاح‌شده ژنتیکی مانند درمان‌های سلول CAR-T) در حال توسعه هستند که ۵۳ درصد از درمان‌های ژن، سلول و RNA را تشکیل می‌دهند.

۸۶۲ سلول درمانی اصلاح نشده ژنتیکی در حال توسعه هستند که ۲۲ درصد از درمان‌های ژنی، سلولی و RNA را تشکیل می‌دهند.

# شرکت‌های مهم حوزه ژن، سلول و RNA در سال ۲۰۲۳



درمان‌های مبتنی بر سلول‌های مهندسی شده  
با بازیابی بینایی و برنامه‌ریزی مجدد in vivo

شرکت Tenpoint



درمان‌های مدولاسیون ژنی نسل بعدی  
بر اساس تنظیم و ویرایش اپی‌ژنوم

شرکت Epigenic



مراحل اولیه سلول درمانی

شرکت KinCell

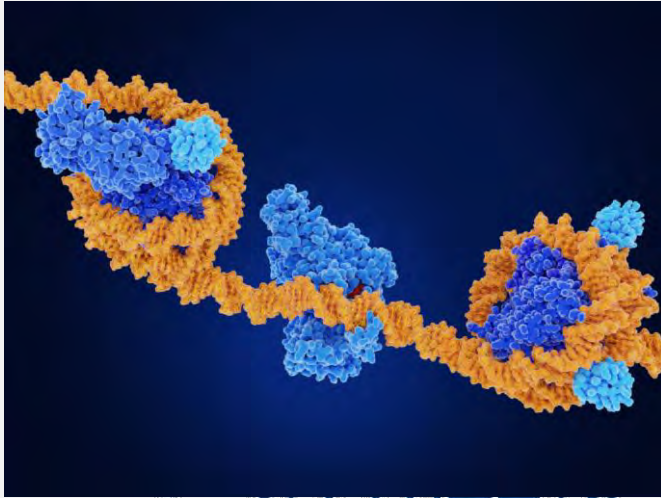


# شرکت Tenpoint

tenpoint یک شرکت زیست فناوری است که متعهد به پیشرفت درمان‌های مبتنی بر مهندسی سلول و برنامه‌ریزی مجدد *in vivo* برای بازگرداندن بینایی برای افراد مبتلا به بیماری‌های دژنراتیو چشمی است. این شرکت متخصصان جهانی را گرد هم آورده و سبب یک انقلاب بزرگ در حیطه‌ی پزشکی بازساختی شده است.



# شرکت Epigenetic



Epigenetic Therapeutics، یک شرکت زیست فناوری پیشرو است که به توسعه نسل بعدی درمان مدولاسیون ژنی با استفاده از مقررات اپی ژنوم برای درمان بیماری‌های شایع می‌پردازد. این شرکت با استفاده از فناوری EPIREG™ جایگزین قانع‌کننده‌ای برای ابزارهای سنتی ویرایش ژن ارائه کرده است

این فناوری با تعدیل دقیق بیان ژن در سطوح اپی ژنتیک به خاموشی قوی ژن‌های ایجاد کننده بیماری می‌پردازد.

# شرکت Kincell



kincell

Kincell توسعه تحلیلی، توسعه فرایند، مشاوره CMC و تولید GMP در مراحل اولیه را با تمرکز بر درمان‌های سلول ایمنی، از جمله برنامه‌های گیرنده آنتی ژن کایمریک اتولوگ و آلوتنیک CAR-T، CAR-NK و CAR-M ارائه می‌کند.

این شرکت قصد دارد توسعه mRNA داخلی و ظرفیت تولید GMP اضافی را ایجاد کند و در عین حال شراکت‌های قابل اعتمادی را برای تامین DNA پلاسمید و ناقل ویروسی برای پشتیبانی از تمام فرایندهای مهندسی سلول ایجاد کند.



# جمع‌بندی

برنامه‌ریزی مجدد سلولی	ژن درمانی	ایمونو درمانی‌های سلولی	حوزه‌های اولویت دار
			فناوری‌های اولویت دار
			فناوری مبتنی بر مهندسی سلول و برنامه‌ریزی مجدد in vivo برای بازگرداندن بینایی 
			فناوری EPIREG برای خاموش کردن ژن‌های ایجاد کننده بیماری 
			CAR-T درمانی برای درمان سرطان 
			CAR-NK درمانی برای درمان تومورهای نرم 
			CAR-M درمانی برای درمان تومورهای جامد 

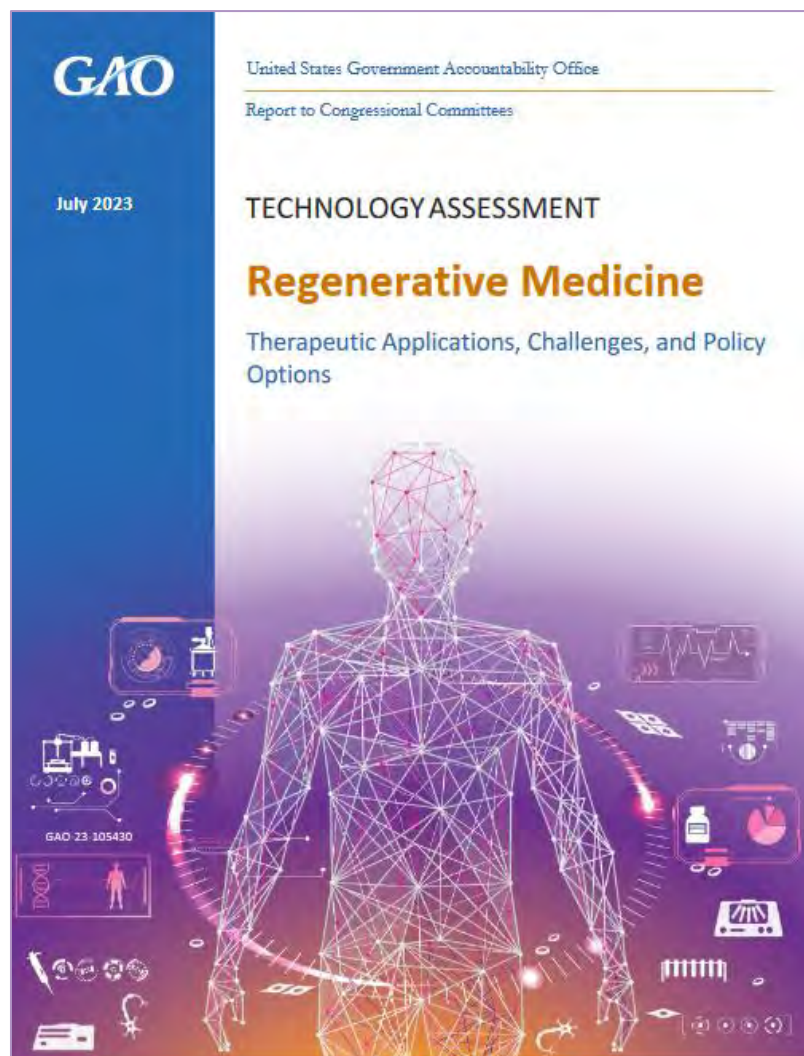


Gene, Cell, + RNA Therapy Landscape Report (2023). American Society of Gene and Cell Therapy. Available at: <https://asgct.org/global/documents/asgct-citeline-q3-2023-report.aspx>

# ۷- پزشکی بازساختی



# پزشکی بازساختی



✓ عنوان گزارش:

پزشکی بازساختی

✓ ناشر:

دفتر پاسخگویی دولت ایالات متحده (GAO)

✓ سال نشر:

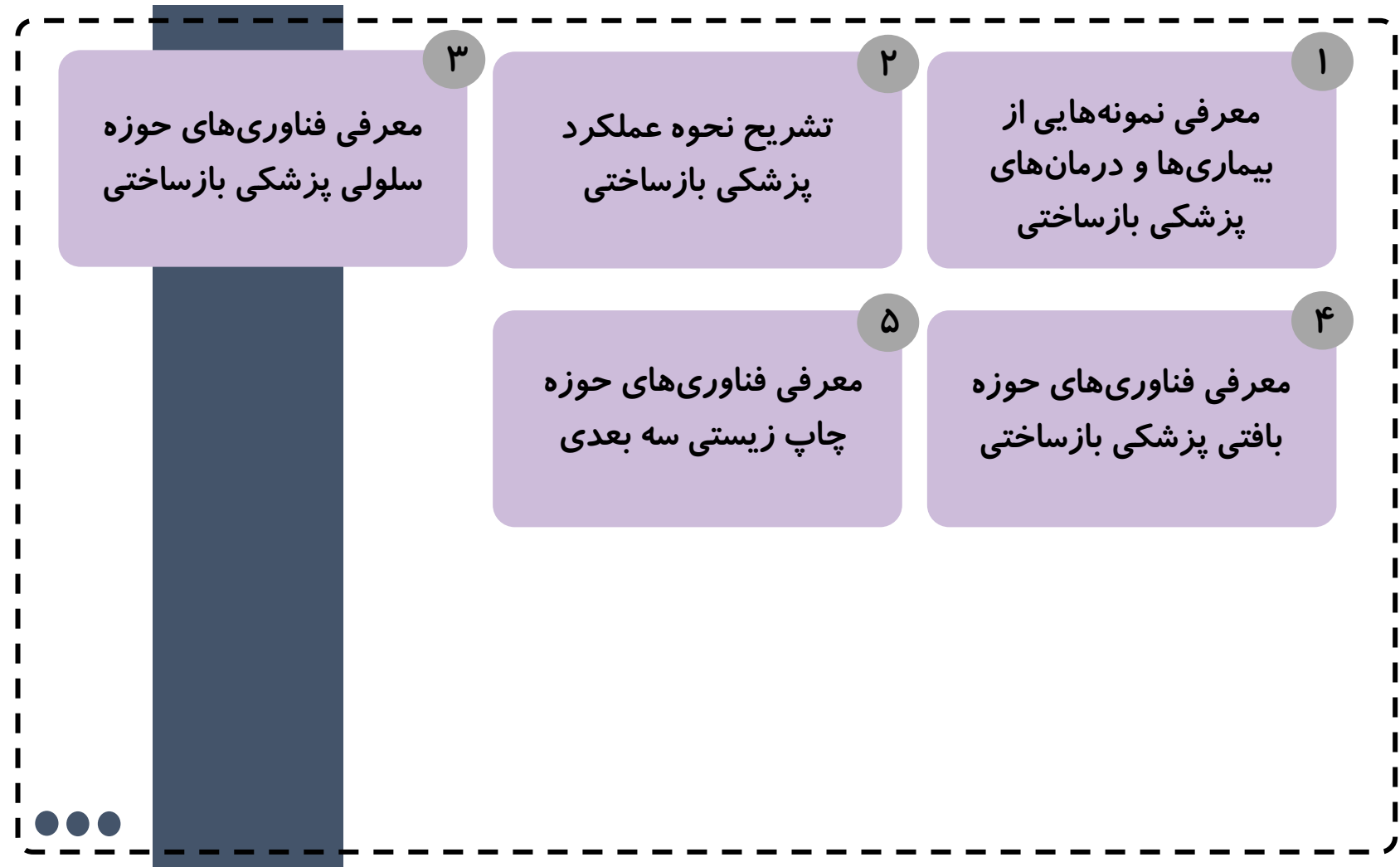
۲۰۲۳

✓ هدف و مخاطبین:

آشنایی پزشکان و متخصصان پزشکی بازساختی با درمان‌ها و فناوری‌های موجود در برخی از حوزه‌ها به منظور آشنایی و به‌کارگیری فناوری‌های جدید در روند درمان.

Regenerative Medicine (2023). GAO. Available at: <https://www.gao.gov/assets/gao-23-105430.pdf>

# فرایند نگارش گزارش



# نمونه‌هایی از بیماری‌ها و درمان‌های پزشکی بازساختی



سرطان

درمانی CAR-T



بیماری سلول داسی شکل

درمان با سلول‌های بنیادی اصلاح شده ژنتیکی



دژنراسیون ماکولا مرتبط با سن

درمان با پیچ سلولی اپیتلیوم رنگدانه شبکیه



آسیب‌های استخوانی

جایگزینی استخوان با چاپ زیستی



دیابت

ایمپلنت ارگانوئید سلول پانکراس



## نحوه عملکرد پزشکی بازساختی

این بیماری‌ها شامل بیماری قلبی، دیابت، سرطان، بیماری سلول داسی شکل و همچنین سوختگی‌های شدید و انواع خاصی از شکستگی‌های استخوانی است.

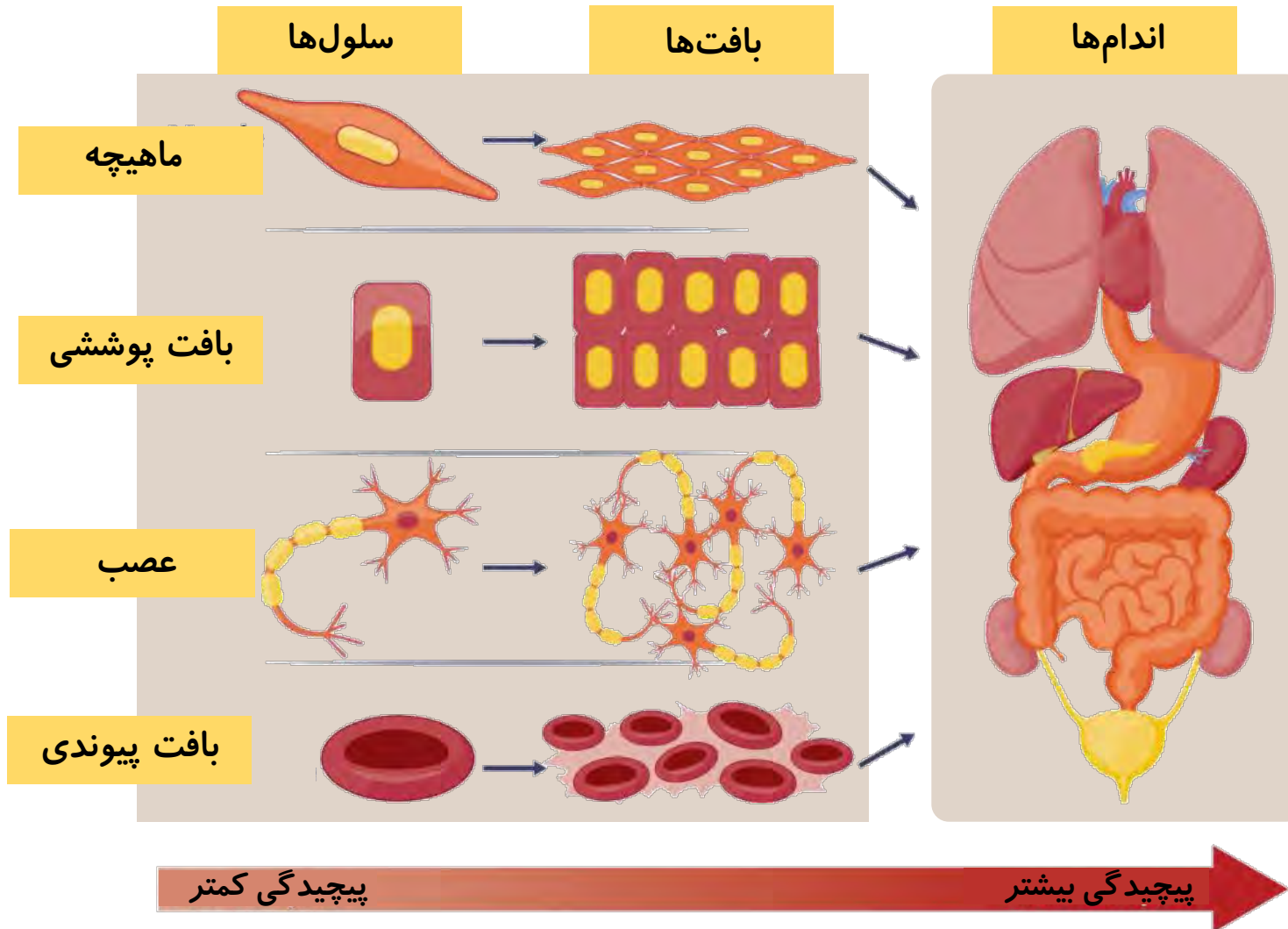
طیف گسترده‌ای از فناوری‌های موجود در این زمینه وجود دارد. به عنوان مثال، برخی از محققان از فناوری ویرایش ژن برای اصلاح نقایص ژنتیکی یا معرفی قابلیت‌های درمانی جدید برای بیماری‌هایی مانند سلول داسی شکل استفاده می‌کنند. از دیگر فناوری‌ها می‌توان به مهندسی بافت و سلول اشاره کرد.

این ابزارها اغلب می‌توانند روی سلول‌های خود بیمار یا در ترکیب با آن‌ها استفاده شوند که می‌تواند مزایای بیشتری به همراه داشته باشد. به عنوان مثال، استفاده از سلول‌های خود بیمار برای ایجاد یک عضو شخصی شده می‌تواند پیوند عضو را با کاهش کمبود عضو اهداکننده و حذف رد عضو تغییر دهد.

هدف پزشکی بازساختی توسعه درمان‌های جدید است که مزایایی فراتر از درمان‌های پزشکی موجود ارائه می‌دهد.

این درمان‌ها می‌توانند بسیار شخصی‌سازی شوند و ممکن است در نهایت به مدیریت یا درمان بسیاری از بیماری‌هایی که در حال حاضر مزمن، غیرقابل درمان یا پایان‌پذیر در نظر گرفته می‌شوند، کمک کنند.

# سطح پیچیدگی سلول‌ها، بافت‌ها و اندام‌ها



Regenerative Medicine (2023). GAO. Available at: <https://www.gao.gov/assets/gao-23-105430.pdf>

# فناوری‌های سلولی

سلول‌ها کوچکترین واحدهای حیات هستند و همه موجودات زنده را تشکیل می‌دهند. هر سلول دارای مجموعه کاملی از مواد ژنتیکی (به عنوان مثال، یک ژنوم) است که دستورالعمل‌های لازم برای انجام فرایندهای ضروری و تولید مثل را ارائه می‌دهد. فناوری‌های پزشکی بازساختی مبتنی بر سلول برای درمان انواع بیماری‌ها مورد استفاده قرار می‌گیرند و می‌توانند از سلول‌های بدن خود بیمار یا سلول‌های اهداکننده به عنوان ماده اولیه برای درمان استفاده کنند. این فناوری‌ها ممکن است از سلول‌های تخصصی یا غیر تخصصی استفاده کنند.

سلول‌های غیر تخصصی که به عنوان سلول‌های بنیادی شناخته می‌شوند و هم در جنین و هم در بالغین یافت می‌شوند، هنوز این تغییرات را تجربه نکرده‌اند و قابلیت تبدیل شدن به انواع مختلف سلول را دارند.

سلول‌های تخصصی سلول‌هایی هستند که برای تبدیل شدن به یک نوع سلول خاص، مانند گلبول‌های قرمز یا سفید، تغییرات ژنتیکی را تجربه کرده‌اند.

# درمان با سلول‌های بنیادی

به عنوان مثال می‌توان به پیوند سلول‌های بنیادی خون‌ساز اشاره کرد. در این درمان، تزریق سلول‌های بنیادی به فرد مبتلا به اختلال خونی مانند کم‌خونی یا سرطان این امکان را می‌دهد که توانایی تولید سلول‌های خونی را بازیابی کند.

سلول‌های بنیادی همچنین در انواع خاصی از پیوند بافت برای بیماران مبتلا به بیماری‌های چشم قرنیه و پیوند پوست برای قربانیان سوختگی استفاده شده است.

امروزه انواع مختلفی از پیوند سلول‌های بنیادی وجود دارد. بسته به شرایط، سلول‌های بنیادی ممکن است از بیمار یا اهداکننده گرفته شود و ممکن است از مغز استخوان، خون محیطی، خون بند ناف یا سایر منابع گرفته شود. درمان‌های مختلفی نیز با استفاده از سلول‌های بنیادی انجام می‌شود.



# سلول درمانی با ویرایش ژنی

به عنوان مثال، سلول‌های T گیرنده آنتی ژن کایمیریک (CAR) نسخه‌های ویرایش‌شده ژنی سلول‌های ایمنی خود بیمار هستند که انواع خاصی از سلول‌های سرطانی را در بدن او هدف قرار داده و از بین می‌برند.

سلول‌های ویرایش شده ژنی با استفاده از فناوری ویرایش ژن مانند CRISPR برای تغییر ژنی که پروتئین خاصی را کد می‌کند، اصلاح شده‌اند.

این تغییرات می‌تواند عملکردهای سلولی را بازیابی کند یا به سلول‌ها عملکردهای جدیدی مانند پتانسیل مبارزه با بیماری بدهد. ویرایش ژن را می‌توان بر روی سلول‌های تخصصی یا سلول‌های بنیادی استفاده کرد.

علاوه بر این ترکیبی از ویرایش ژن و سلول‌های بنیادی می‌تواند به محققان کمک کند تا به پیشرفت‌های درمانی برای انواع بیماری‌ها دست یابند. این درمان بیماری‌هایی همچون نقص ایمنی ترکیبی شدید، لوکودیستروفی‌ها و بیماری پروآن‌های را شامل می‌شود.

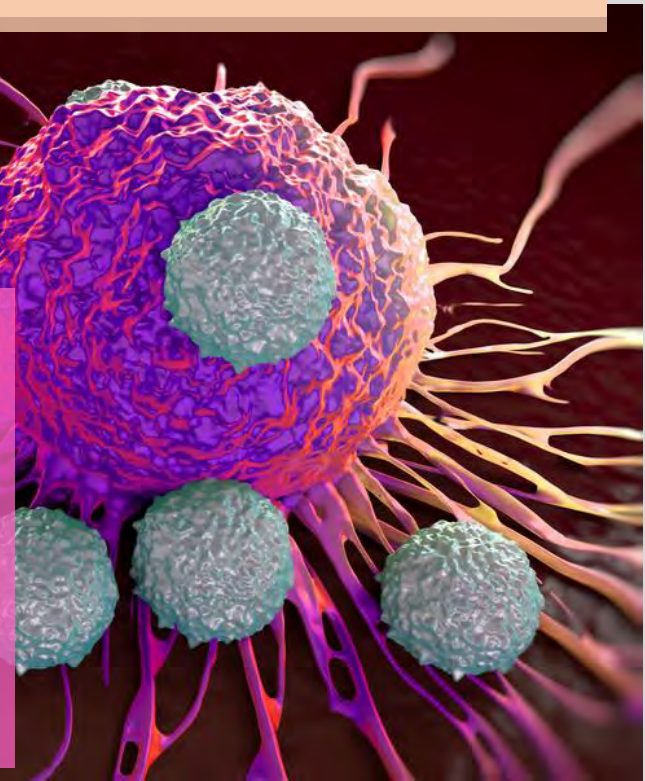
به طور مشابه، درمان‌های سلول‌های بنیادی ویرایش‌شده ژنی برای درمان بیماری سلول داسی شکل، یک اختلال خونی ارثی که باعث ایجاد گلبول‌های قرمز داسی شکل می‌شود، استفاده می‌شود.

# سلول‌های T گیرنده آنتی ژن کایمیریک به عنوان درمانی برای سرطان

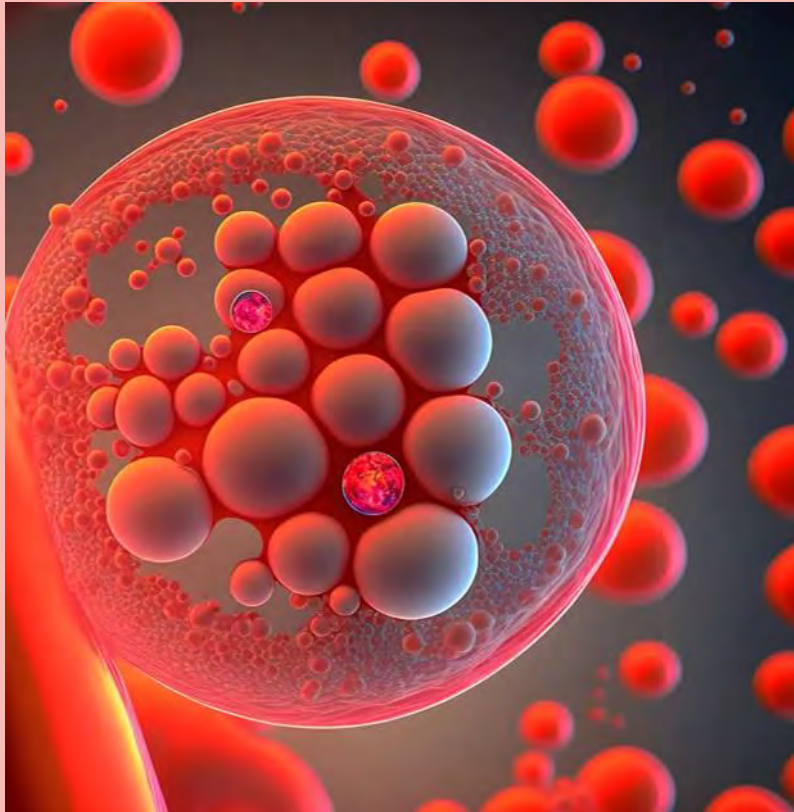
اولین درمان با سلول CAR-T در سال ۲۰۱۷ مجوز FDA را دریافت کرد. از مارس ۲۰۲۲، حداقل شش درمان مجاز برای انواع مختلف سرطان خون وجود دارد.

درمان‌های سلول‌های CAR-T به عنوان یکی از پیشرفت‌های مهم در درمان‌های سرطان در دهه گذشته ظاهر شده‌اند.

به عنوان مثال، برخی از مطالعات اولیه نشان داده‌اند که سلول‌های CAR-T ممکن است قادر به درمان تومورهای جامد، مانند گلیوبلاستوما، که یک نوع سرطان تهاجمی است که می‌تواند در مغز یا نخاع رخ دهد، داشته باشد. محققان همچنین در حال بررسی استفاده از سلول‌های اهداکننده برای درمان‌های CAR-T هستند که ممکن است تولید در مقیاس بزرگ‌تر را امکان‌پذیر کند.



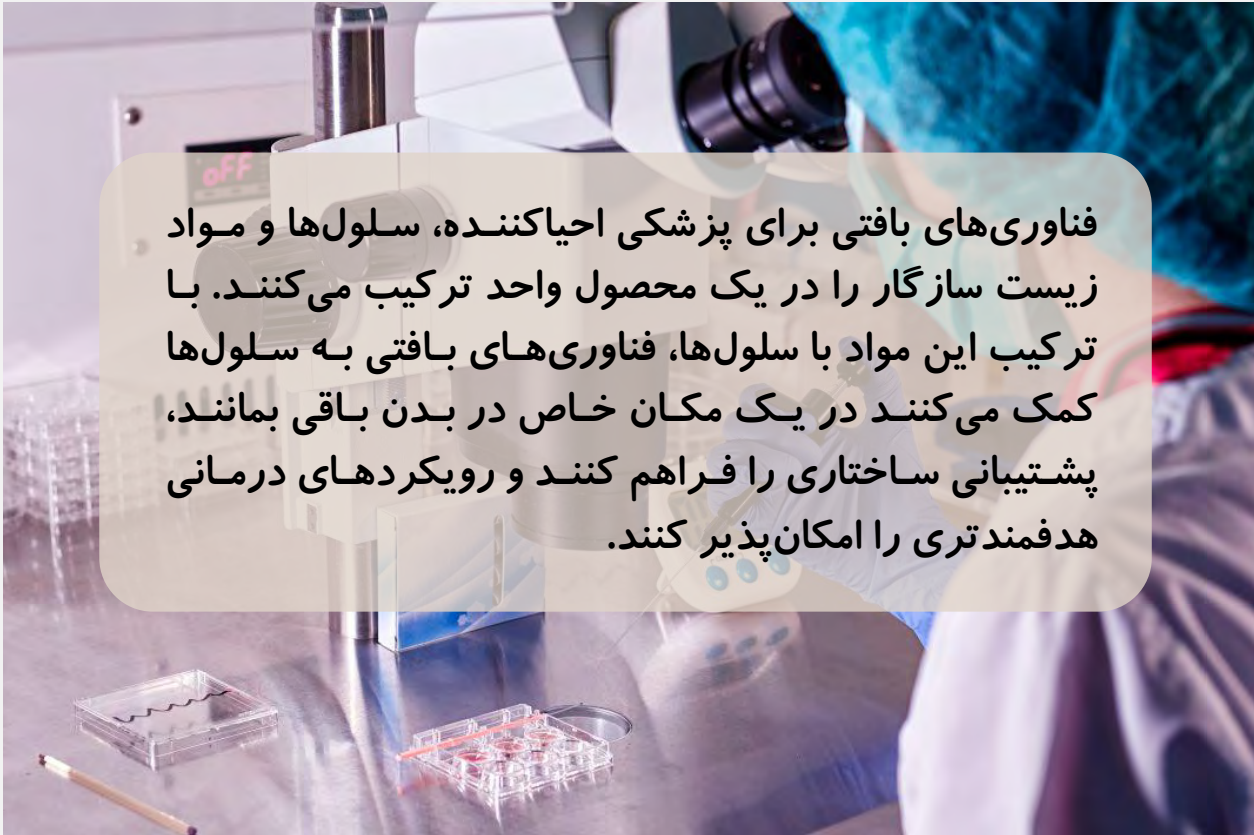
# سلول‌های بنیادی ویرایش شده با ژن به عنوان درمانی برای بیماری سلول داسی شکل



به گفته متخصصان، سلول‌های بنیادی ویرایش شده ژنتیکی پتانسیل قابل توجهی برای درمان بیماری‌های ارثی و نادر دارند. در آگوست ۲۰۲۲، سازمان غذا و داروی آمریکا مجوز اولین درمان با سلول‌های بنیادی ویرایش شده ژنی را برای یک اختلال خونی مرتبط به نام بتا تالاسمی صادر کرد.

سایر کاربردهای این فناوری برای بیماری سلول داسی شکل و سایر بیماری‌ها مانند دیابت در فاز ۱ و ۲ کارآزمایی بالینی در حال بررسی هستند.

# فناوری‌های بافت درمانی



فناوری‌های بافتی برای پزشکی احیاکننده، سلول‌ها و مواد زیست سازگار را در یک محصول واحد ترکیب می‌کنند. با ترکیب این مواد با سلول‌ها، فناوری‌های بافتی به سلول‌ها کمک می‌کنند در یک مکان خاص در بدن باقی بمانند، پشتیبانی ساختاری را فراهم کنند و رویکردهای درمانی هدفمندتری را امکان‌پذیر کنند.



# مواد زیست سازگار

مواد خاصی مانند فلزات، سرامیک، پلاستیک یا شیشه به طور گسترده به عنوان ایمپلنت‌های جراحی و داربست استفاده شده‌اند، زیرا جایگزین عملکرد بافت می‌شوند و از نظر بیولوژیکی فعال نیستند (به این معنی که معمولاً به طور فعال با بدن بیمار تعامل ندارند). بیومواد در حال توسعه برای فناوری‌های پزشکی بازساختی - مانند هیدروژل‌ها - با موادی که در حال حاضر در ایمپلنت‌های جراحی استفاده می‌شوند متفاوت هستند، زیرا بی‌اثر نیستند و برای اتصال سلول‌ها یا تعامل با آن‌ها طراحی شده‌اند تا فعالانه پاسخ‌های درمانی را تسهیل کنند.

مواد زیست سازگار از منابع طبیعی یا مصنوعی می‌آیند و به عنوان داربست‌های ساختاری عمل می‌کنند. هنگامی که در یک بیمار کاشته می‌شوند، می‌توان از آن‌ها برای حمایت یا جایگزینی بافت‌های آسیب دیده استفاده کرد.

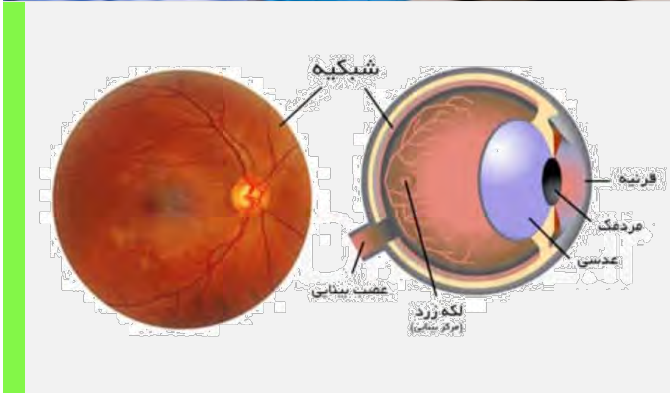
در حالی که این مواد پتانسیل پیشرفت چشمگیری در پزشکی بازساختی را دارند، محدودیت‌هایی نیز وجود دارد. به عنوان مثال، کاربردهای جدید مواد فعال بیولوژیکی یا احیاکننده به نظارت و آزمایش بسیار دقیق‌تری برای اطمینان از ایمنی بیمار نیاز دارد، زیرا آن‌ها سوابق عملکرد ثابت شده مواد بی‌اثر را ندارند.

# محصولات ترکیبی



محصولات ترکیبی محصولاتی هستند که از دو یا چند جزء تشکیل شده‌اند که توسط FDA تنظیم می‌شوند. به عنوان مثال، یک محصول مهندسی بافت حاوی سلول‌های زنده و مواد زیست سازگار به عنوان یک محصول ترکیبی طبقه‌بندی می‌شود زیرا دارای عناصر بیولوژیکی و دستگاه است.

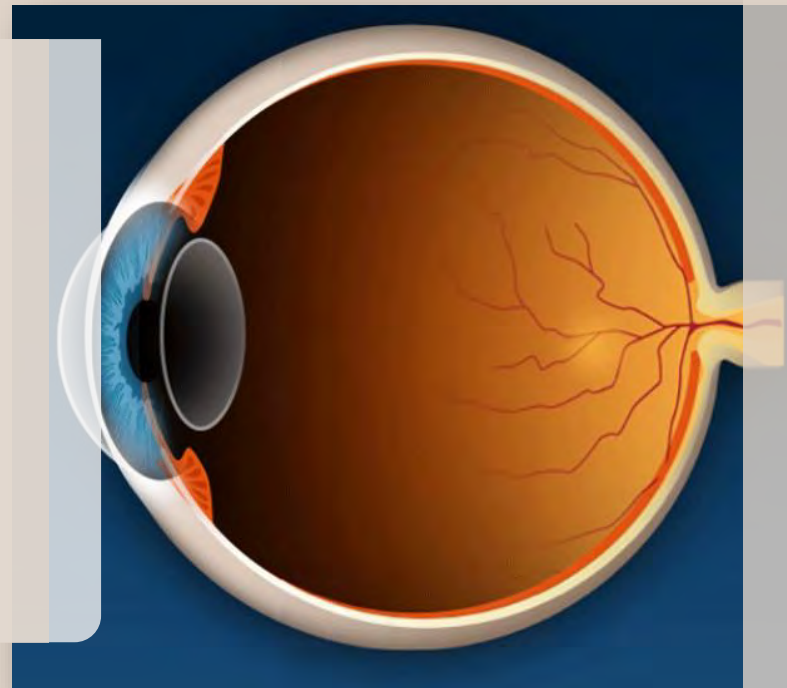
محصولات ترکیبی ممکن است برخی از شرایط مرتبط با سن را که می‌توانند باعث تغییرات ساختاری و عملکردی در سلول‌ها و بافت‌ها شوند، برطرف کنند.



برای مثال، یک ایمپلنت شبکیه که سلول‌های بیمار را با داربست زیست تخریب‌پذیر ترکیب می‌کند تا محصولی ترکیبی ایجاد کند، ممکن است دژنراسیون ماکولا خشک پیشرفته (AMD) را درمان کند، بیماری چشمی که می‌تواند بخش مرکزی بینایی فرد را تار کند.

# ایمپلنت‌های شبکیه به عنوان درمانی برای دژنراسیون ماکولار خشک

حداقل سه درمان مبتنی بر سلول‌های بنیادی مختلف برای دژنراسیون ماکولار خشک در فاز ۱ و ۲ کارآزمایی بالینی هستند. پیشرفت‌های بیشتر در مهندسی بافت ممکن است راه را برای سایر محصولات ترکیبی ساخته شده از سلول‌های خود بیمار هموار کند. محققان در حال بررسی مهندسی بافت برای شرایط دیگر هستند، اما پیش‌بینی جهت آینده این فناوری با توجه به مراحل اولیه توسعه آن دشوار است.



# فناوری‌های اندام



فناوری‌های اندام مانند قلب و کلیه‌های مصنوعی می‌توانند ساختارها و عملکردهای پیچیده‌تری نسبت به فناوری‌های سلولی یا بافتی داشته باشند. آن‌ها چندین نوع سلول و بافت را برای ایجاد ساختارهای سه بعدی پیچیده ترکیب می‌کنند.

# فناوری لایه‌بندی سلولی

به عنوان مثال، کبد خوک را می‌توان سلول زدایی کرد و داربست به دست آمده را می‌توان با سلول‌های مشتق شده از بیمار دوباره پر کرد، که این امر احتمال رد شدن کبد جدید را کاهش می‌دهد.

Scaffold decellularization سلول‌ها را از بافت‌ها یا اندام‌ها حذف می‌کند و بخش غیر سلولی بافت (به عنوان مثال Scaffold) را که عمدتاً پشتیبانی فیزیکی را فراهم می‌کند، پشت سر می‌گذارد. سلول‌سازی مجدد سلول‌های جدیدی را از یک بیمار یا منبع خارجی دیگر به Scaffold اضافه می‌کند، جایی که آن سلول‌ها می‌چسبند و رشد می‌کنند. بیمارانی که نیاز به پیوند اعضا دارند، ممکن است پس از توسعه بیشتر از استفاده از این فناوری بهره‌مند شوند.



## چاپ زیستی سه بعدی



از روش‌های چاپ سه بعدی برای ایجاد ساختارهای قابل کاشت استفاده می‌شود. ماده‌ای که به عنوان جوهر برای چاپگر سه بعدی استفاده می‌شود می‌تواند حاوی سلول باشد یا سلول‌ها را می‌توان پس از تکمیل چاپ اضافه کرد. محققان با موفقیت ساختارهای استخوانی و ماهیچه‌ای پرینت سه بعدی را در حیوانات کاشتند. علاوه بر این، در ژوئن ۲۰۲۲، یک بیمار انسانی یک کاشت گوش چاپ سه بعدی را به عنوان بخشی از یک کارآزمایی بالینی دریافت کرد.

این پیشرفت‌ها کاربرد بالقوه فناوری‌های چاپ زیستی سه بعدی را برجسته می‌کند، اما برنامه‌هایی که امکان درمان بیماری‌های انسانی را فراهم می‌کنند هنوز در دست توسعه هستند.

به عنوان مثال، محققان به دنبال بافت‌های پرینت سه بعدی برای درمان نقایص یا آسیب‌های استخوانی هستند.

## جایگزین‌های استخوانی با چاپ زیستی به عنوان درمانی برای آسیب‌های حاد استخوان

جایگزین‌های استخوانی با چاپ زیستی سه بعدی هنوز در حال تحقیق و توسعه هستند. هیچ ساختار استخوانی با ترکیب مهندسی بافت و چاپ زیستی سه بعدی ساخته نشده است، اما مطالعات روی حیوانات انجام شده است. پیشرفت بیشتر مستلزم تحقیق در زمینه ایجاد رگ‌های خونی در مواد کاشته شده و توسعه مواد قوی‌تر و انعطاف‌پذیرتر است.

علاوه بر این، گزارشی از Pew Charitable Trusts منتشر شده در جولای ۲۰۲۲ اشاره کرد که دستورالعمل فعلی FDA به وضوح توضیح نمی‌دهد که چگونه محصولات چاپ زیستی تنظیم می‌شوند. این موضوع ممکن است باعث شود برخی شرکت‌ها در مورد استفاده از فناوری‌های جدید تولید مانند چاپ سه بعدی تردید داشته باشند.



# ارگانوئیدها

ارگانوئیدها گروه‌های کوچک و مصنوعی از سلول‌ها یا بافت‌هایی هستند که شبیه اندام هستند و معماری بافت اصلی را تقلید می‌کنند. ارگانوئیدها را می‌توان از بافت‌های بیمار رشد داد و با موفقیت از انواع مختلفی از بافت‌های انسانی از جمله قلب، کبد، مغز و کلیه تولید کرد.

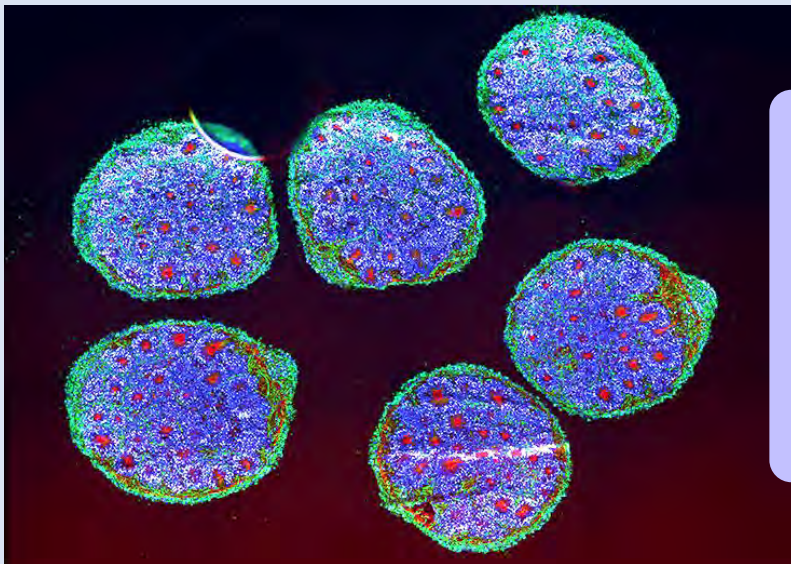
در حال حاضر، ارگانوئیدها عمدتاً برای تحقیق و آزمایش در طی مراحل مختلف فرایند تولید دارو مورد استفاده قرار می‌گیرند. با این حال، محققان همچنین در حال ارزیابی انواع فناوری‌های ارگانوئیدی هستند تا تعیین کنند که آیا می‌توان از آن‌ها برای درمان بیماری‌هایی مانند دیابت که بر نحوه استفاده بدن از قند تأثیر می‌گذارد استفاده کرد یا خیر.





# ارگانوئیدهای سلول جزایر پانکراس به عنوان درمانی برای دیابت نوع ۱

ارگانوئیدهای جزایر پانکراس در مرحله ۱ و ۲ کارآزمایی بالینی روی انسان هستند. فناوریهای ارگانوئیدی پتانسیل قابل توجهی برای تغییر تحقیقات و درمان دارند. به عنوان یک فناوری تحقیقاتی، ارگانوئیدها ممکن است بیماریهای انسانی را با دقت بیشتری نسبت به حیوانات مدل کنند و به داروها کمک کنند تا سریعتر از آزمایشگاه به کلینیک منتقل شوند.



به عنوان درمان، آنها ممکن است عملکردهای پیچیدهتری نسبت به محصولات ساده بیولوژیکی داشته باشند. با این حال، پیش بینی جهت آینده این فناوری با توجه به مراحل اولیه توسعه آن دشوار است.

# اندام‌های با اندازه کامل

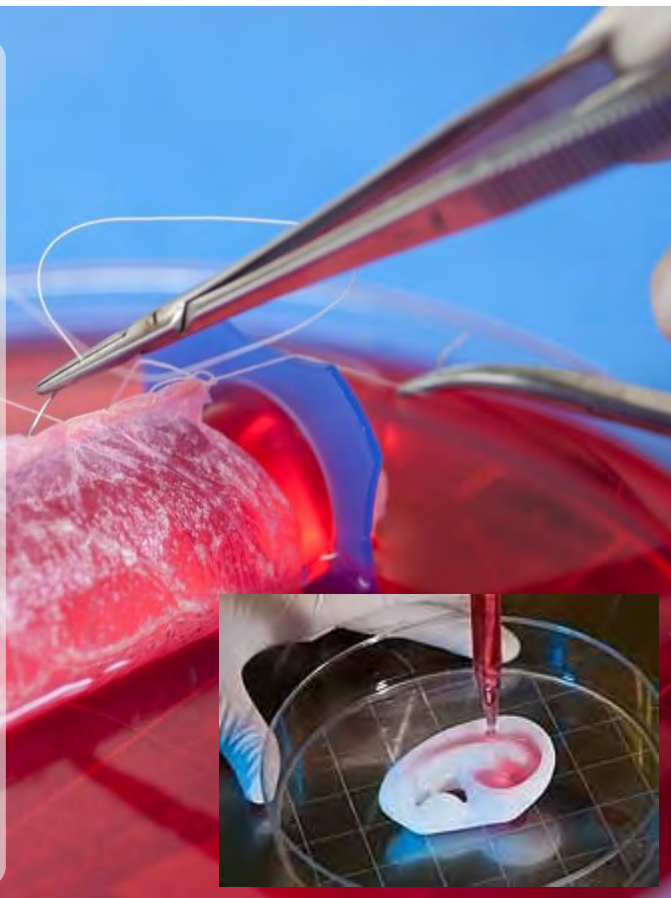
کل اندام‌ها را می‌توان با استفاده از روش‌های شرح داده شده در بالا مهندسی کرد. با این حال، اندام‌های مهندسی شده با اندازه کامل برای استفاده بالینی هنوز در مرحله تحقیق و توسعه اولیه هستند و با چندین محدودیت فنی مواجه هستند. برای بازیابی عملکرد یک اندام، تمام اجزای مربوطه باید مهندسی شوند. عروقی که خون و سایر سلول‌ها را در سراسر بدن حمل می‌کنند مهم هستند، زیرا به اکسیژن، مواد مغذی و سلول‌های ایمنی اجازه می‌دهند به هر قسمت از بدن برسند. این عروق یکی از ویژگی‌های اساسی بیشتر اندام‌های پیچیده هستند و محققان در حال مطالعه چگونگی مهندسی اندام‌ها با سیستم‌های عروقی هستند.



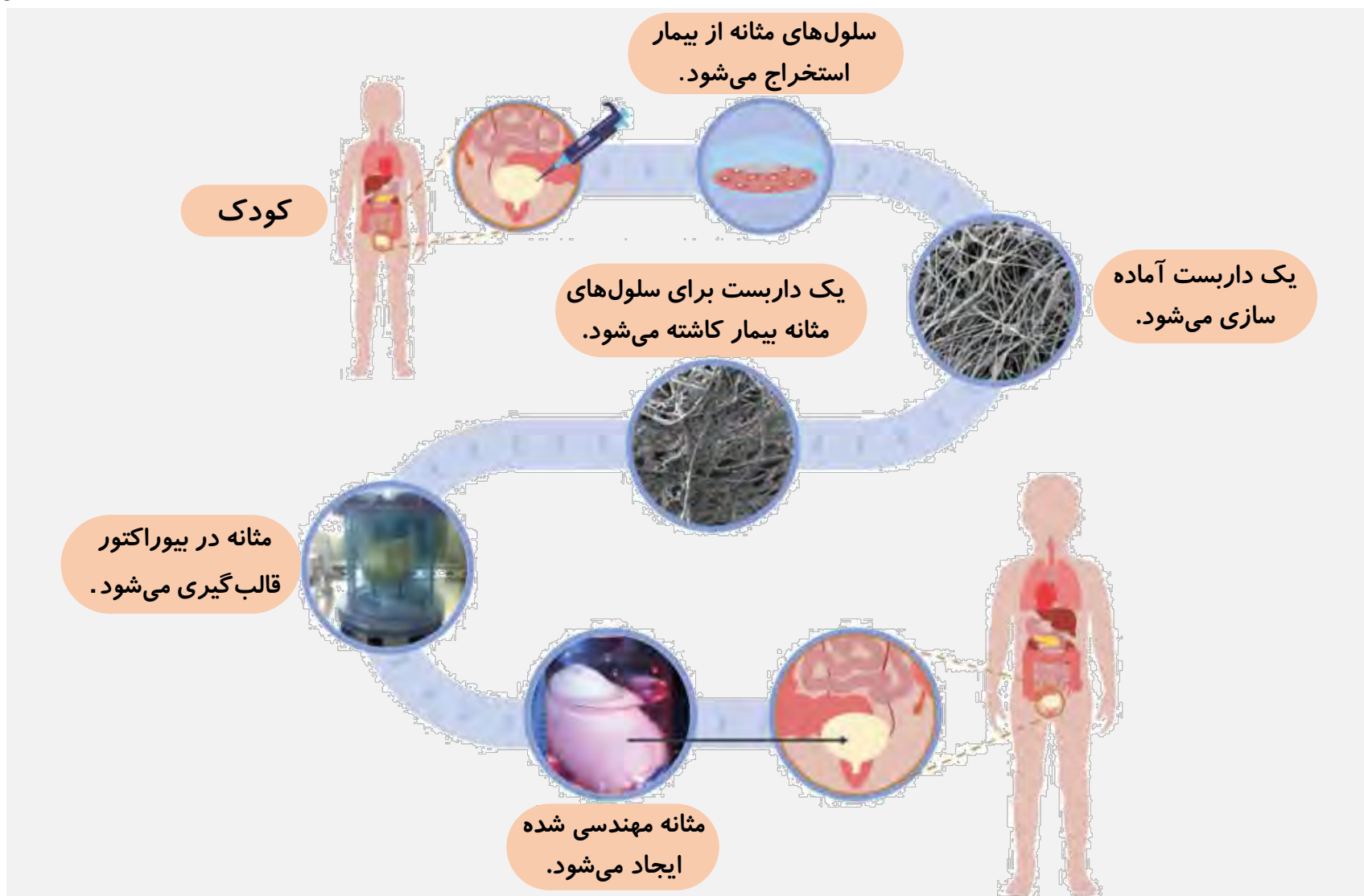
## مثانه اتولوگ مهندسی بافت

محققان با موفقیت اندام‌هایی را توسعه داده‌اند که پیچیدگی مهندسی کمتری دارند. مثانه اتولوگ مهندسی بافت برای بیمارانی که نیاز به سیستوپلاستی دارند مورد استفاده قرار گرفته است. مثانه‌های رشد یافته در آزمایشگاه، که از یک قطعه کوچک از مثانه بیمار ایجاد می‌شوند، دارای سلول‌های عضلانی صاف در خارج و سلول‌های پوشاننده مثانه تخصصی در داخل هستند. محققان ابتدا هر دو نوع سلول را به طور جداگانه رشد دادند و آن‌ها را با هم روی داربستی به شکل مثانه قرار دادند. پس از رشد بیشتر، مثانه‌ها در کودکان بیمار کاشته شدند.

با این حال، استفاده از مثانه‌های مهندسی شده برای درمان بیماران در حال حاضر از طریق آزمایشات بالینی در حال پیشرفت است.



# مثنای مهندسی شده با استفاده از سلولهای بیمار و داربست زیست تخریب پذیر



Regenerative Medicine (2023). GAO. Available at: <https://www.gao.gov/assets/gao-23-105430.pdf>

# جمع‌بندی (۱)

چاپ زیستی سه بعدی	داربست‌ها ی سلولی و ماتریکس	مهندسی بافت و مواد زیستی	ژن درمانی	ایمونو درمانی‌های سلولی	سلول‌های بنیادی درمانی	حوزه‌های اولویت دار
						فناوری‌های اولویت دار
						فناوری سلول‌های بنیادی اصلاح شده ژنتیکی برای درمان بیماری سلول داسی شکل
						فناوری درمان با پیچ سلولی اپیتلیوم رنگدانه شبکیه برای درمان دژنراسیون ماکولا مرتبط با سن
						فناوری جایگزینی استخوان با چاپ زیستی برای درمان بیماری‌های استخوان
						فناوری ایمپلنت ارگانوئید سلول پانکراس برای درمان دیابت
						پیوند سلول‌های بنیادی برای درمان بیماری‌های همچون اختلال خونی، سوختگی، بیماری‌های چشم قرنیه و ...
						فناوری ویرایش ژن CRISPR برای درمان سرطان
						فناوری مبتنی بر درمان‌های سلول‌های بنیادی ویرایش‌شده ژنی برای درمان بیماری سلول داسی شکل
						فناوری ترکیبی از ویرایش ژن و سلول‌های بنیادی برای درمان بیماری‌هایی همچون نقص ایمنی ترکیبی شدید، لوکودیستروفی‌ها و بیماری پروآن‌های

## جمع‌بندی (۲)

چاپ زیستی سه بعدی	داربست‌های سلولی و ماتریکس	مهندسی بافت و مواد زیستی	سلول‌های بنیادی درمانی	حوزه‌های اولویت دار
				فناوری‌های اولویت دار
				استفاده از فناوری مبتنی بر هیدروژل‌ها برای بازسازی بافت
				فناوری ترکیبی ایمپلنت شبکه ( ترکیب سلول‌های بیمار با داربست زیست تخریب‌پذیر ) برای درمان دژنراسیون ماکولا خشک پیشرفته
				فناوری Scaffold decellularization برای کمک به بیماران نیازمند به پیوند اعضا
				استفاده از بافت‌های پرینت سه بعدی برای درمان نقایص یا آسیب‌های استخوانی
				جایگزین‌های استخوانی با چاپ زیستی به عنوان درمانی برای آسیب‌های حاد استخوان
				رشد دادن ارگانوئیدها با استفاده از بافت‌های برای تولید بافت‌های انسانی از جمله قلب، کبد، مغز و کلیه
				استفاده ارگانوئیدهای سلول جزایر پانکراس به عنوان درمانی برای دیابت نوع ۱
				استفاده از مثانه اتولوگ مهندسی بافت برای بیماران نیازمند به سیستم‌پلاستی



# ۸- گزارش استارت آپها در سال ۲۰۲۳



# گزارش استارت آپ‌ها در سال ۲۰۲۳



عنوان گزارش:

گزارش استارت آپ‌ها در سال ۲۰۲۳

ناشر:

Terrapinn

سال نشر:

۲۰۲۳

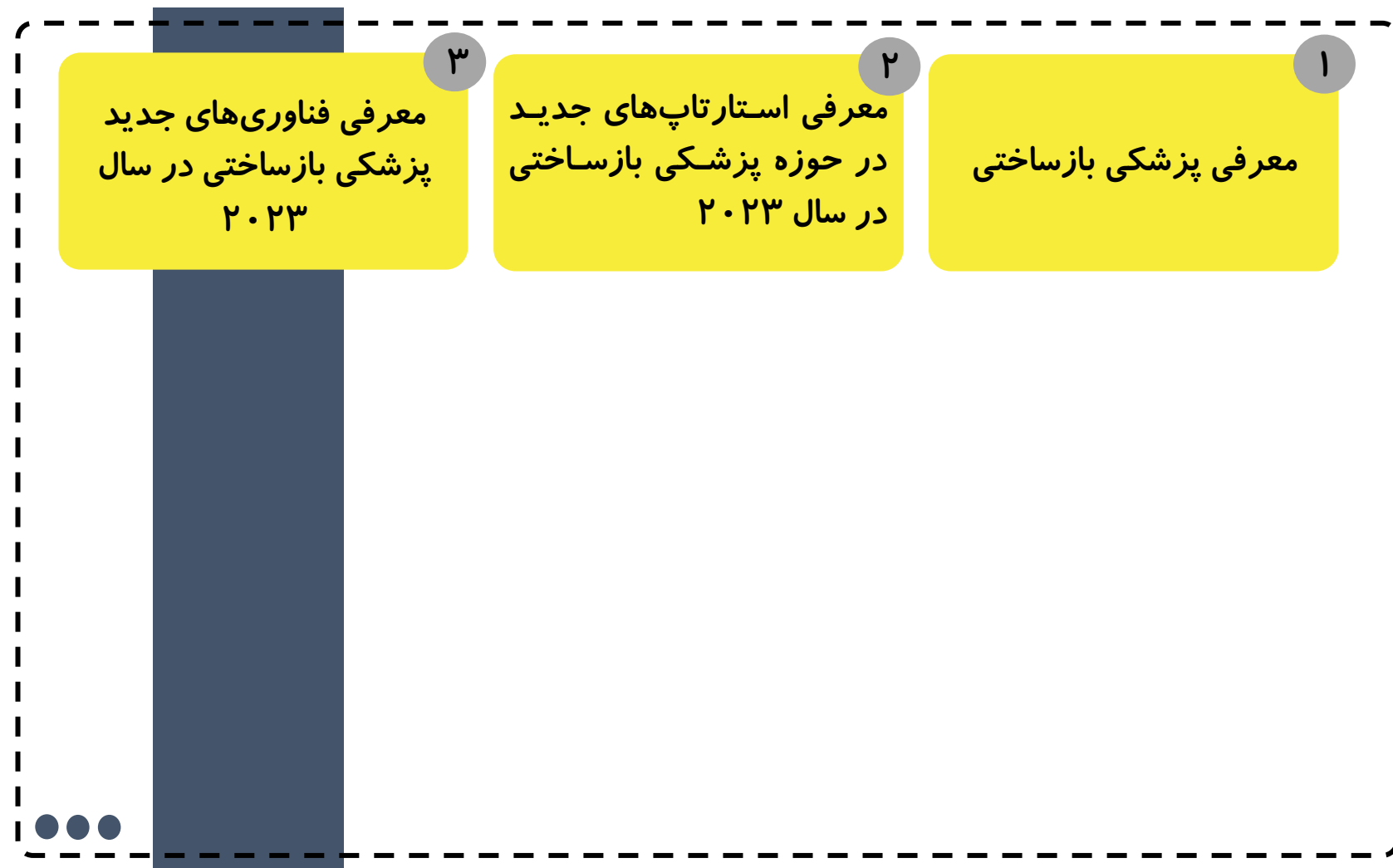
هدف و مخاطبین:

بررسی و معرفی استارت‌آپ‌های جدید حوزه پزشکی برای آشنایی متخصصان و سرمایه‌گذاران و پزشکان با درمان‌های جدید حوزه سلول‌های بنیادی و پزشکی بازساختی.

Start-ups Report 2023 (2023). Terrapinn. Available at: <https://www.terrappinn-cdn.com/congress/advanced-therapies/Data/start-ups-report-2023-updated-130223.pdf>

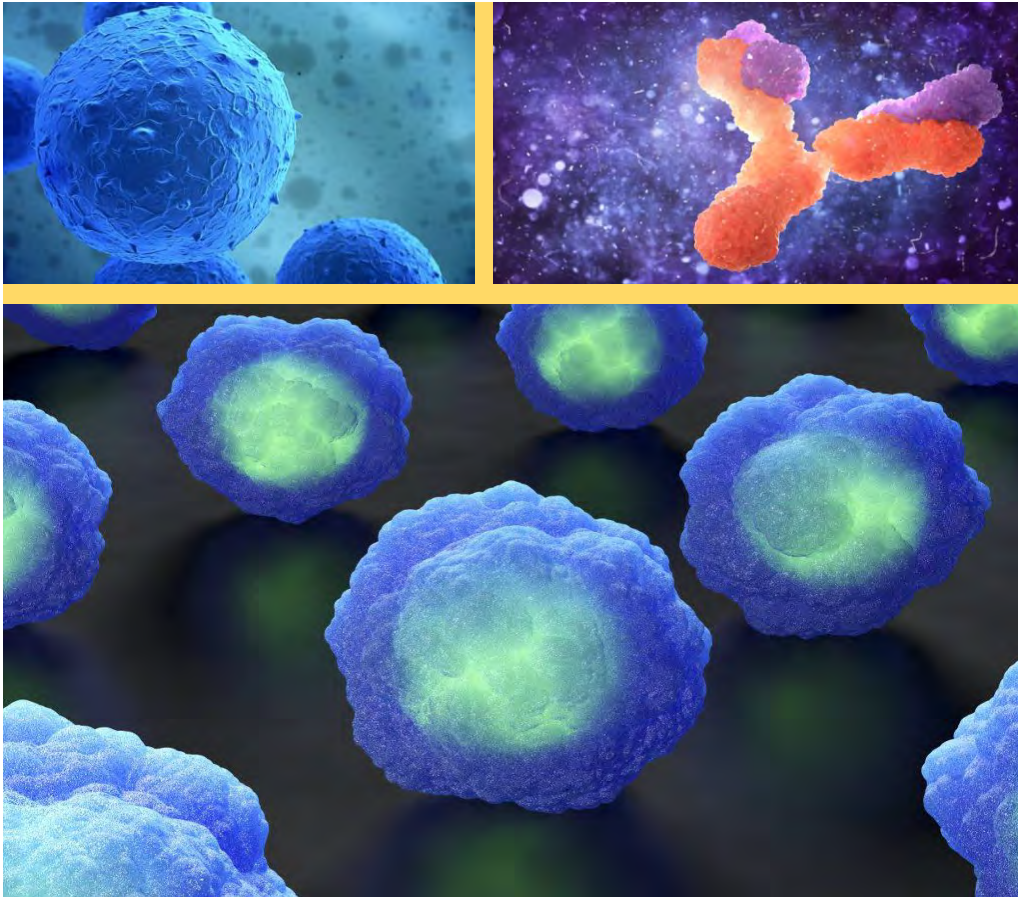


# فرایند نگارش گزارش



Start-ups Report 2023 (2023). Terrapinn. Available at: <https://www.terrapinn-cdn.com/congress/advanced-therapies/Data/start-ups-report-2023-updated-130223.pdf>

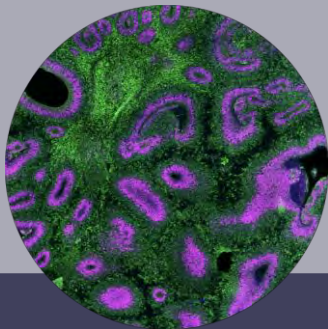
# پزشکی بازساختی



پزشکی بازساختی شاخه‌ای از علم نوین پزشکی است که هدف آن ترمیم و احیا بافت یا اندام آسیب دیده یا از دست رفته می‌باشد که با توجه به نوع رویکرد و روش درمانی به انواع گوناگونی شاخه‌بندی می‌گردد.

## شرکت a:head

a:head از بافت سه‌بعدی پیچیده برای مدل‌سازی اختلالات مغزی مختلف در زمینه انسانی استفاده می‌کند و هدف آن تبدیل این فناوری به یک پلتفرم فنوتیپی با محتوای بالا و توان عملیاتی بالا برای توسعه درمان‌های جدید CNS است.

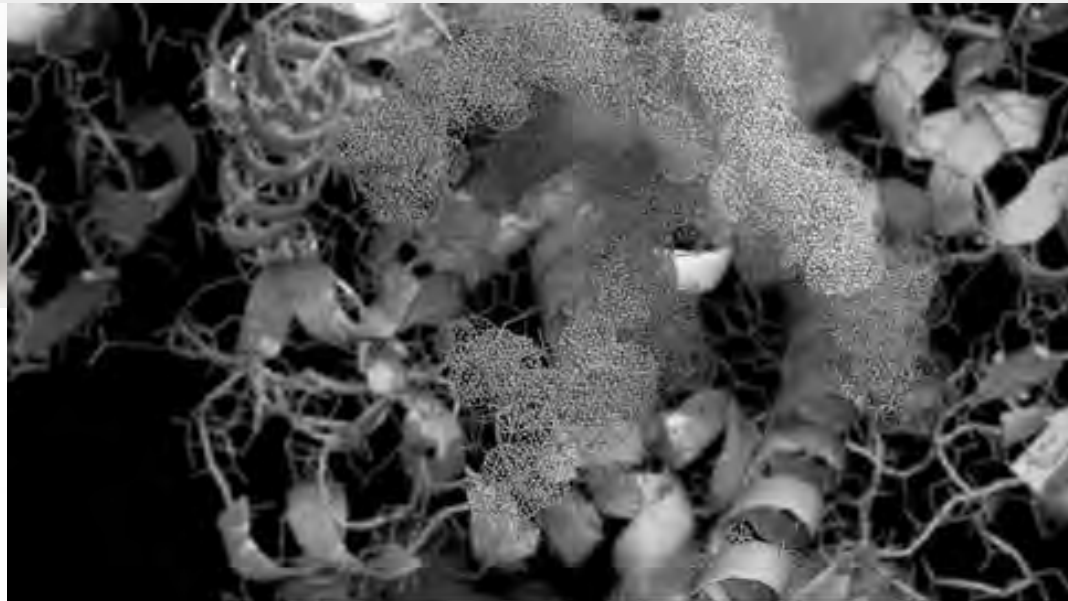


رویکرد کشف داروی این شرکت بر اساس ارگانوئیدهای مغزی انسان است. شرکت a:head قصد دارد از یک فناوری جدید انقلابی و پارادایم‌ساز که اجازه تولید مغزهای کوچک از سلول‌های بنیادی انسان را در شرایط آزمایشگاهی می‌دهد، رونمایی کند. آن‌ها جنبه‌های اساسی رشد مغز جنینی انسان از جمله الگوبرداری مغز، تشکیل بطن‌های مغزی، تمایز به انواع مختلف سلول‌های عصبی و حمایتی و آرایش سه بعدی صحیح آن‌ها را به تصویر می‌کشند. این فناوری توسط بنیانگذاران شرکت مادالین لنکستر و یورگن نوبلیچ پیشگام شده است و به طور انحصاری توسط مؤسسه زیست‌فناوری مولکولی وین و اتریش، دارای مجوز است.

# شرکت Avenna



Avenna یک شرکت فناوری متوسط است که در حال توسعه فناوری پلتفرم تشخیصی آزمایشگاهی به نام GlyHealth است که می‌تواند سیگنال‌های پیش‌درآمد بیماری‌های التهابی را از یک نمونه کوچک خون تشخیص دهد.



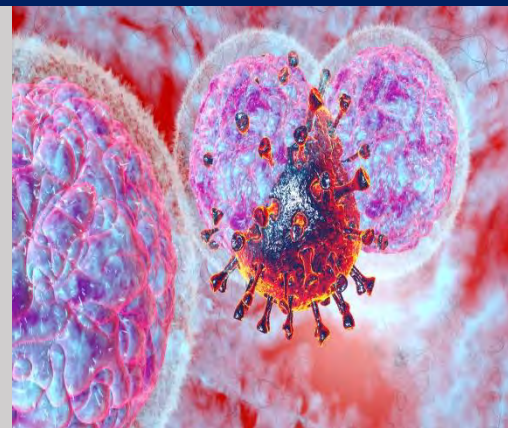
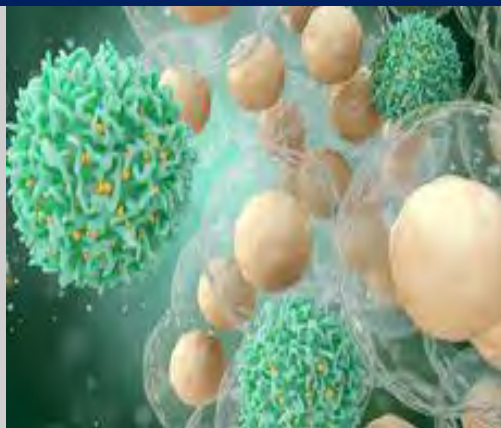
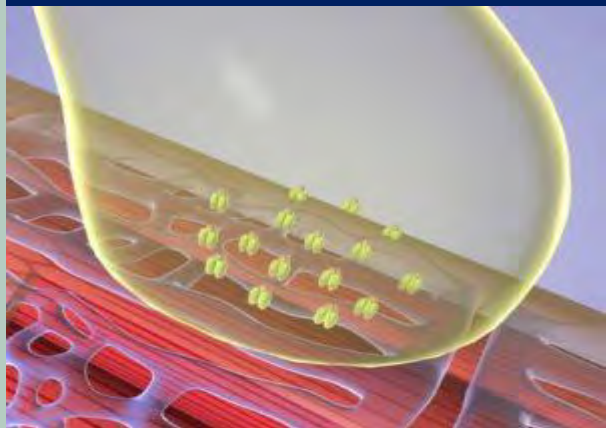
Start-ups Report 2023 (2023). Terrapinn. Available at: <https://www.terrapinn-cdn.com/congress/advanced-therapies/Data/start-ups-report-2023-updated-130223.pdf>

# شرکت Cartesian Therapeutics

پلتفرم این شرکت ترکیبی از درمان‌های RNA را در سلول‌ها مهندسی می‌کند و این سلول‌ها را دقیقاً در محل بیماری هدف قرار می‌دهد و به متخصصان پزشکی این امکان را می‌دهد تا درمان‌های سلولی RNA ایمن و مؤثر را برای بیماران مبتلا به اختلالات خودایمنی، انکولوژی و تنفسی ارائه دهند.

Cartesian Therapeutics یک شرکت بیودارویی کاملاً یکپارچه در مرحله بالینی است که در حال توسعه ایمونوتراپی‌های سلولی و ژنی جدید برای درمان سرطان و بیماری‌های خود ایمنی است.

Cartesian  
THERAPEUTICS



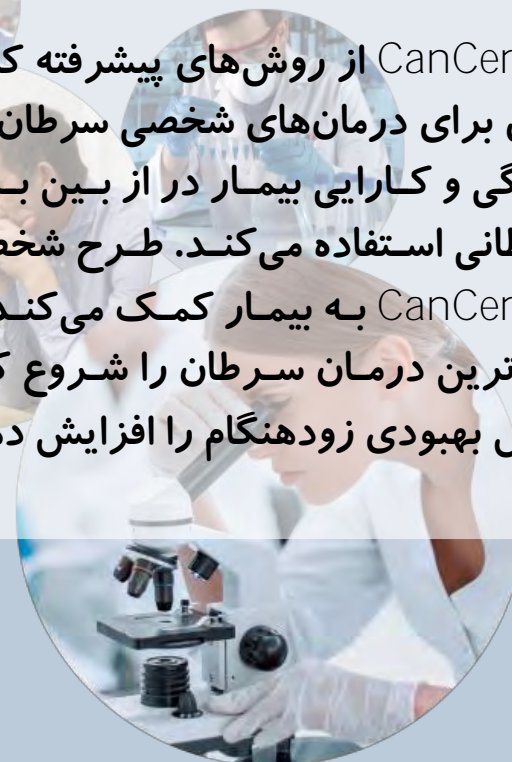
# شرکت CanCertain



CanCertain Ltd یک آزمایشگاه پیشرفته برنده جوایز در بریتانیا است که از روش‌های پیشرفته کشت سلولی سه بعدی برای شناسایی سریع مؤثرترین درمان سرطان برای یک تومور خاص استفاده می‌کند. 3D

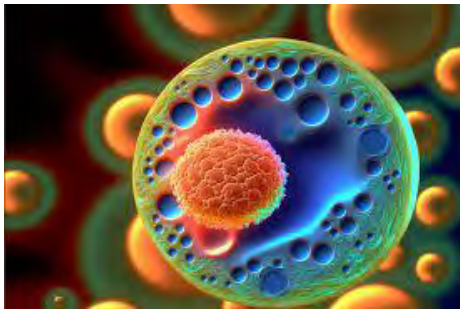


CanCertain از روش‌های پیشرفته کشت سلولی سه بعدی برای درمان‌های شخصی سرطان، بهبود کیفیت زندگی و کارایی بیمار در از بین بردن سلول‌های سرطانی استفاده می‌کند. طرح شخصی‌سازی شده CanCertain به بیمار کمک می‌کند تا به سرعت مؤثرترین درمان سرطان را شروع کند و در نتیجه شانس بهبودی زودهنگام را افزایش دهد.



## شرکت Cellcolabs

مأموریت این شرکت ایجاد تسریع در تحقیقات سلول‌های بنیادی و در دسترس قرار دادن درمان‌های این حوزه برای همه است. Cellcolabs بر اساس یافته‌ها و تجربیات بالینی بیش از ۲۰ سال تحقیقات سلول‌های بنیادی در موسسه کارولینسکا ایجاد شده است. پروفیسور مشهور جهانی سلول‌های بنیادی، کاتارینا لو بلان و گروه تحقیقاتی اش ۱۶۷ مقاله علمی با ۳۰۰۰۰ استناد (تا سال ۲۰۲۱) را در این حوزه منتشر کرده است که منجر به کیفیت فوق العاده MSC شده است.



Cellcolabs یک استارت‌آپ تأثیرگذار است که متخصص در تولید GMP صنعتی سلول‌های استرومال مزانشیمی (MSC) با کیفیت بالا است تا آن‌ها را در مقیاس بالا و با قیمت مقرون به صرفه در دسترس بیماران قرار دهد.

MSCها از مغز استخوان مشتق شده‌اند و توسط آژانس محصولات پزشکی سوئد برای استفاده در دو کارآزمایی بالینی آکادمیک در سوئد تأیید شده‌اند. علاوه بر این آزمایشات بالینی بیشتری در سطح بین‌المللی برنامه‌ریزی شده است.

# شرکت Cellivia



Cellivia یک شرکت زیست فناوری است که راه حل های نوآورانه ای را ایجاد می کند که در زیست فناوری، پزشکی و رباتیک استفاده می شود. هدف اصلی تحقیقات Cellivia توسعه پزشکی و فناوری های پزشکی بازساختی برای تولید محصولات پزشکی در درمان پیشرفته است.

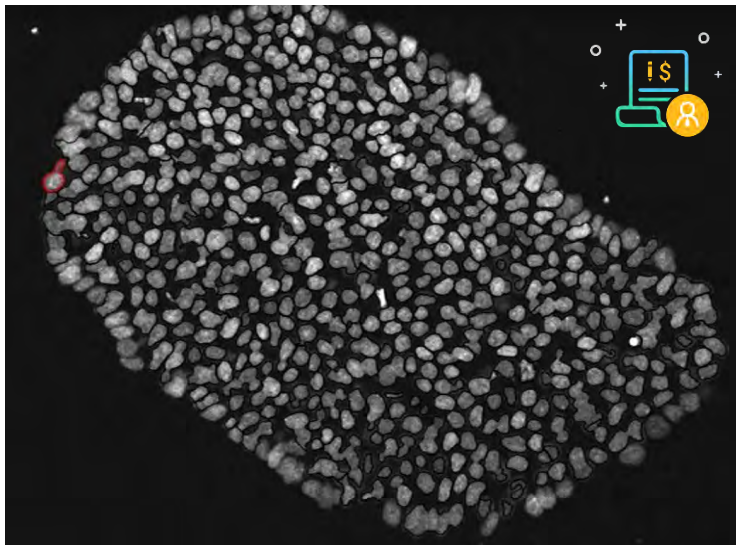


این شرکت اولین بانک بافت و سلول را در لهستان راه اندازی کرده است که متخصص در ذخیره سازی طولانی مدت مواد زیستی از حفره دهان است. به عبارت دیگر این شرکت در حال انجام یک پروژه تحقیق و توسعه در مورد استفاده از سلول های اولیه به دست آمده از پالپ دندان برای بازسازی بافت های انسانی است.

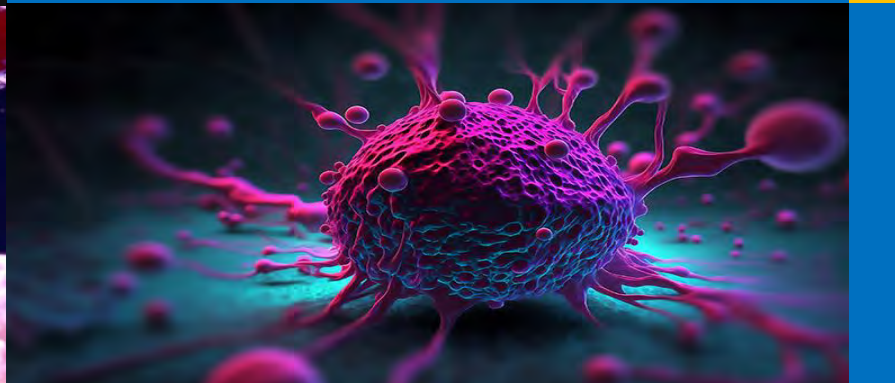
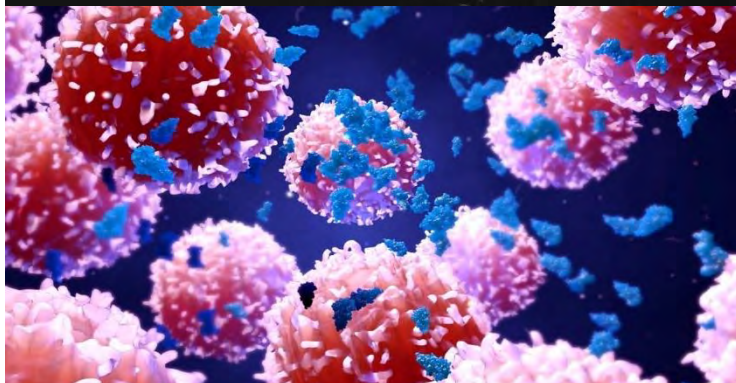




# شرکت CellVoyant



CellVoyant اولین شرکت زیست فناوری هوش مصنوعی است که مأموریت دارد درمان‌های مبتنی بر سلول‌های بنیادی جدید برای بیماری‌های مزمن ایجاد کند. فناوری این شرکت از اولین تصویربرداری سلول زنده با هوش مصنوعی برای پیش‌بینی و بهینه‌سازی تمایز سلول‌های بنیادی، برای تولید کنترل‌شده هر سلول و بافت بدن در مقیاس استفاده می‌کند.

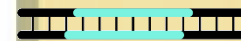
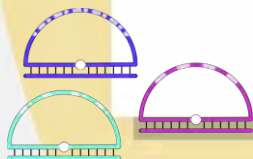
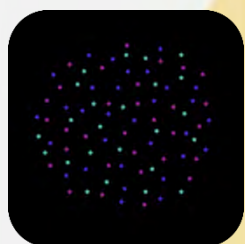


# شرکت Countagen

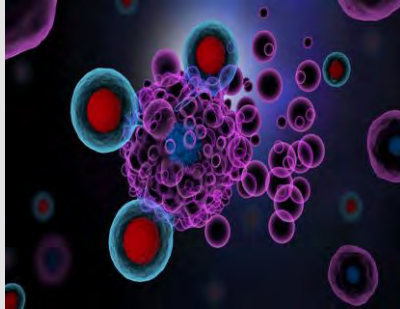
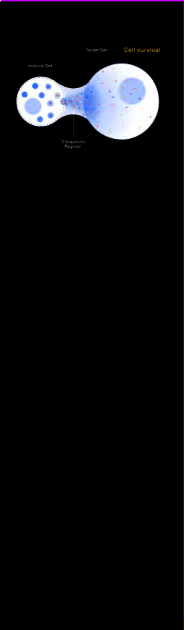
Countagen ابزارهای کنترل کیفیت را برای روش‌های ویرایش ژن توسعه می‌دهد تا تحقیق و توسعه را فعال و تسریع کند. اولین محصول این شرکت یک کیت معرف قابل مصرف ساده است که به کاربران این امکان را می‌دهد که کارایی و ویژگی ویرایش ژن را تجزیه و تحلیل کنند.

این فناوری یک راه‌حل «plug-and-play» ارائه می‌کند که جریان کار زمان‌بر فعلی را از روز به ساعت کاهش می‌دهد و رویدادهای ویرایش ژن را با دقت بالا تنها با استفاده از تجهیزات اولیه آزمایشگاهی به طور قابل اعتماد شمارش و شناسایی می‌کند.

این امر محققان دانشگاهی، شرکت‌های داروسازی و زیست‌فناوری را قادر می‌سازد تا تحقیقات ویرایش ژن خود را تسریع بخشند.



# شرکت Edity Therapeutics

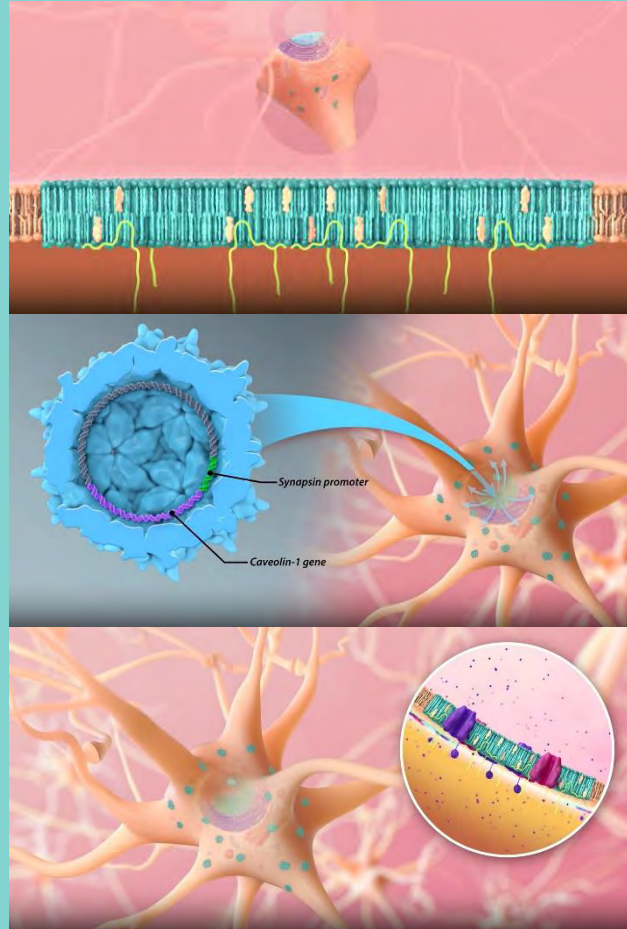


Edity در حال توسعه یک پلتفرم تحویل جدید است که از سلول‌های ایمنی برای انتقال پروتئین‌های درمانی به سلول‌های هدف بیماران استفاده می‌کند.

به عبارت دیگر می‌توان گفت که این شرکت از سلول‌های T برای تحویل مستقیم عوامل ویرایش ژن به سلول‌های هدف in-vivo استفاده می‌کند.

فناوری این شرکت امکان تعدیل دقیق مسیرهای درون سلولی بیماری را با استفاده از طیف وسیعی از پروتئین‌ها از جمله ویرایشگرهای ژن، حسگرهای ایمنی و آنزیم‌ها فراهم می‌کند.

# شرکت Eikonoklastes Therapeutics



Eikonoklastes در حال توسعه نسل جدیدی از ایمونودرمانی‌های فاکتور بافتی (TF) است. این درمان برای هدف قرار دادن گیرنده سطح سلولی طراحی شده است که اکنون در اجزای کلیدی ریزمحیط تومور رایج است.

ایمونودرمانی‌های این شرکت با استفاده از پروتئین فیوژن نوترکیب، گیرنده سطح سلولی را هدف قرار می‌دهند و متخصصان مراقبت‌های بهداشتی را قادر می‌سازد تا سرطان سینه سه گانه منفی، سرطان تخمدان، ملانوم متاستاتیک، اندومتريوز و طیف گسترده‌ای از تومورهای جامد دیگر را درمان کنند.

# شرکت Fusix Biotech

Fusix Biotech محصولی از دانشگاه فنی مونیخ است که هدف آن توسعه و تجاری سازی یک پلتفرم ایمونوتراپی مبتنی بر ویروس انکولیتیک اختصاصی برای درمان بیماران سرطانی در انواع مختلف تومورهای جامد است.

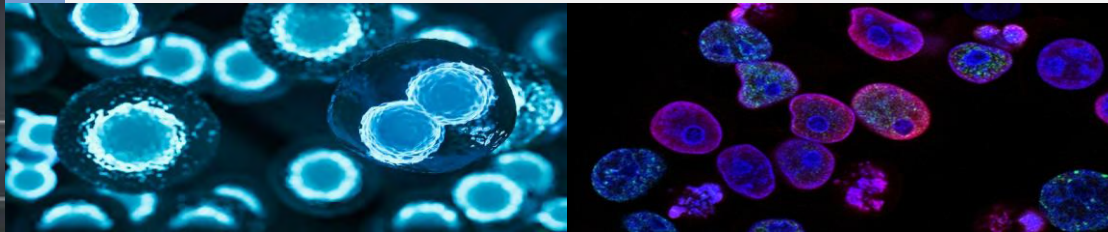
فناوری ویروس انکولیتیک هیبریدی مکانیسم عمل منحصر به فردی را ارائه می دهد که به طور مؤثر سلول های تومور را از بین می برد و ریز محیط تومور را مجدداً برنامه ریزی می کند تا آن را از یک محیط سرکوب کننده سیستم ایمنی به یک محیط تحریک کننده ایمنی تغییر دهد.

Fusix Biotech در حال توسعه FUB101 به عنوان کاندید اصلی و پایه پلتفرم جدید و همه کاره ی انکولوژی ایمنی خود است تا به طیف وسیعی از بیماران مبتلا به سرطان جامد دسترسی پیدا کند و امید جدیدی برای درمان های درمانی به آنها ارائه دهد.

# شرکت Laverock Therapeutics

Laverock Therapeutics در حال توسعه یک پلتفرم منحصر به فرد خاموش کننده ژن برای ایجاد درمان‌های سلولی قابل برنامه‌ریزی و آلوژنیک است.

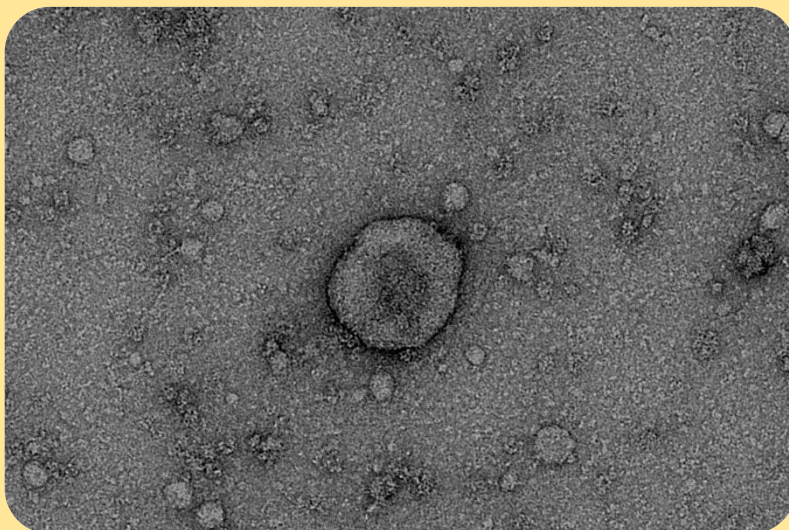
فناوری متمایز Laverock با تولید محصولات مشتق شده از سلول‌های بنیادی پرتوان القایی با کارایی، ایمنی و دسترسی بهتر، بسیاری از محدودیت‌های موجود را حل می‌کند.



## شرکت Mesenbio

این شرکت نشان داده است که سلول‌های وزیکول‌های خارج سلولی به طور طبیعی فعال زیستی را با پتانسیل ضد التهابی و پیش‌سازنده ترکیبی تولید می‌کنند و در حال پیگیری یک خط توسعه داخلی برای رسیدگی به بیماری‌های اسکلتی عضلانی هستند که از این قابلیت منحصر به فرد بهره می‌برد.

Mesenbio یک شرکت زیست دارویی مرحله پیش بالینی است که از دانشگاه یورک منشعب شده است.



فناوری آزادسازی وزیکول خارج سلولی خط سلولی (CLEVR) به ایجاد یک پلتفرم قوی برای تولید یک منبع ثابت و بی‌پایان از وزیکول‌های خارج سلولی کمک می‌کند.

# شرکت MicroQuin

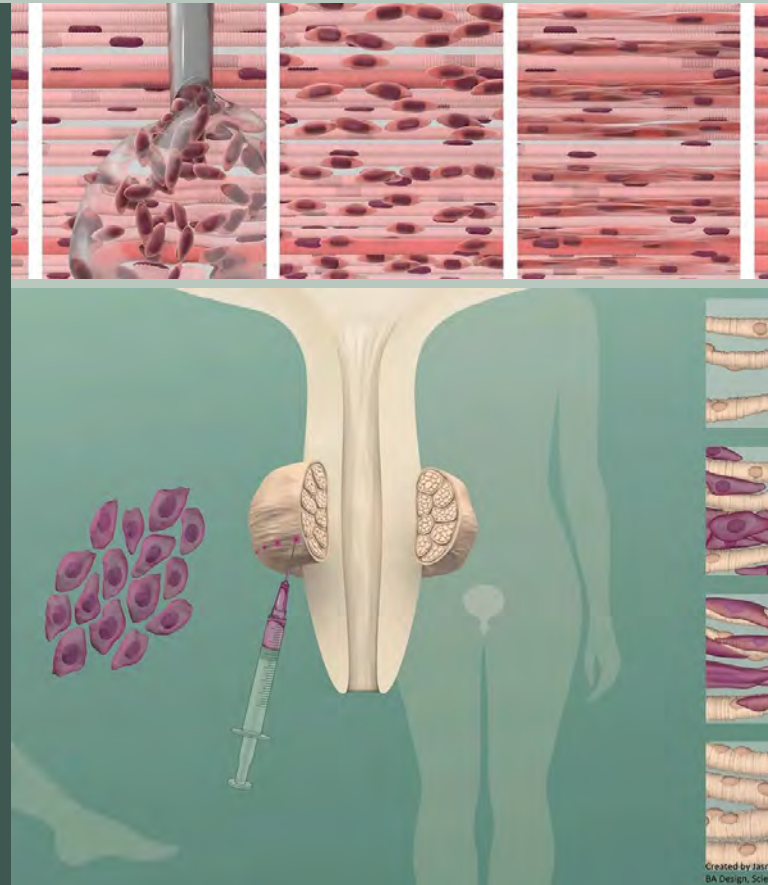


هسته اصلی همه بیماری‌ها تغییرات محیطی درون سلولی است. MicroQuin، از مولکول‌های کوچک اختصاصی، پپتیدهای مصنوعی و ژن‌درمانی برای تعدیل محیط درون سلولی برای ایجاد و تغییر درمان‌های موجود استفاده می‌کند.

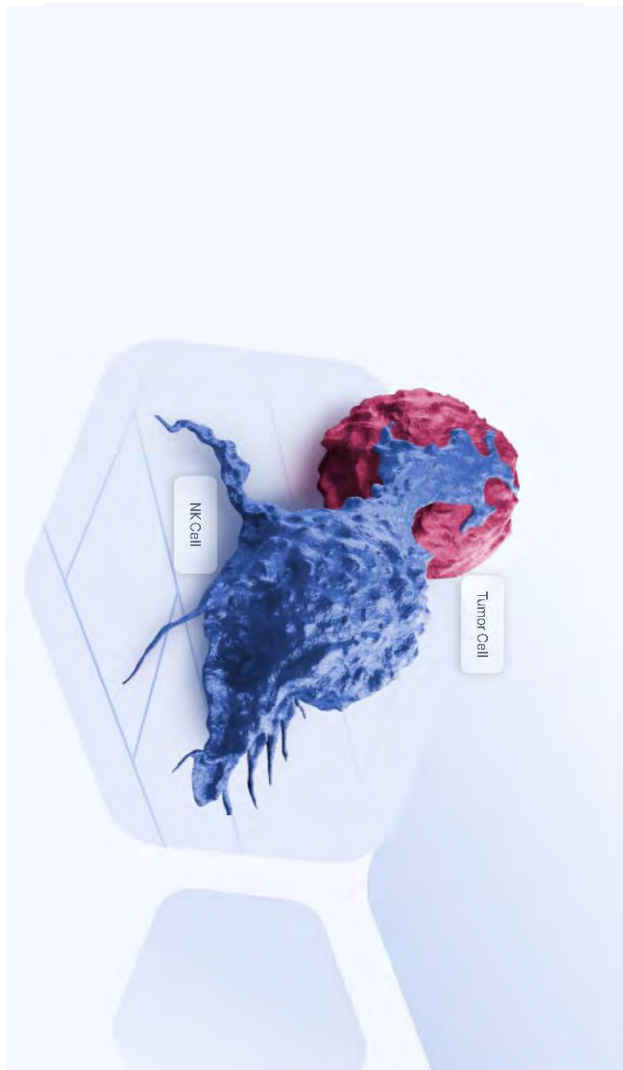




MUVON Therapeutics یک شرکت از دانشگاه زوریخ است که در حال توسعه یک سلول درمانی اتولوگ برای بازسازی بافت ماهیچه‌ای اسکلتی است و هدف آن ارائه درمان‌های ایمن و مؤثر برای میلیون‌ها بیمار مبتلا به بیماری‌های ناتوان‌کننده جدی تنها با ترمیم بافت آسیب‌دیده است. این فناوری پتانسیل بازسازی عضلات ضعیف شده را نیز افزایش می‌دهد. حوزه‌ی تمرکز این درمان بی‌اختیاری ادرار استرسی در زنان است.



# شرکت NKILT Therapeutics



NKILT Therapeutics یک شرکت سلول درمانی جدید است که رویکرد جدیدی از مهندسی سلول‌های کشنده طبیعی (NK) و سایر سلول‌های ایمنی است که به‌طور مستقیم سرطان خون و تومورهای جامد را هدف قرار می‌دهد.

پلتفرم اولیه این شرکت یک گیرنده کایمیریک (CIR) ILT جدید است که دارای یک فناوری اتصال اختصاصی منحصر به فرد است که نقطه بازرسی ایمنی القایی، HLA-G (بیان شده در بیش از ۵۰٪ سرطان‌های انسانی) را هدف قرار می‌دهد. سلول‌های زره‌دار اولیه CIR-NK می‌توانند به‌طور عالی سلول‌های سرطانی را هدف قرار دهند و مستقیماً از بین ببرند، این سلول‌ها ایمنی ذاتی را نیز فعال کرده و مستقیماً مکانیسم‌های دفاعی تومور را هدف قرار می‌دهند.

بنیانگذاران این شرکت به دنبال اولین نشانه در لوسمی میلوئید حاد (AML) به عنوان اثبات بالینی هستند، تا به سرعت درمان مجموعه وسیعی از تومورهای جامد مانند سرطان سلول کلیوی (RCC)، سرطان ریه سلول غیر کوچک (NSCLC)، سرطان کولورکتال (CRC) و سایر تومورهای HLA-G + گسترش یابد.

## جمع‌بندی (۱)

داربست‌های سلولی و ماتریکس	مهندسی بافت و مواد زیستی	ژن درمانی	سلول‌های بنیادی درمانی	حوزه‌های اولویت دار	فناوری‌های اولویت دار
				استفاده از ارگانوئیدهای مغزی برای تولید مغزهای کوچک از سلول‌های بنیادی انسان	
				مهندسی درمان‌های RNA در سلول‌ها برای درمان بیماران مبتلا به اختلالات خودایمنی، انکولوژی و تنفسی	
				استفاده از فناوری پیشرفته کشت سلولی سه بعدی برای درمان‌های شخصی سرطان، بهبود کیفیت زندگی و کارایی بیمار در از بین بردن سلول‌های سرطانی	
				استفاده از سلول‌های اولیه به دست آمده از پالپ دندان برای بازسازی بافت‌های انسانی	
				فناوری تصویربرداری سلول زنده با هوش مصنوعی برای پیش‌بینی و بهینه‌سازی تمایز سلول‌های بنیادی، برای تولید کنترل‌شده هر سلول و بافت بدن در مقیاس	



## جمع‌بندی (۲)

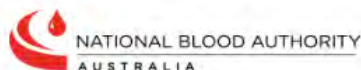
اگزوزم درمانی	ژن درمانی	ایمونو درمانی‌های سلولی	حوزه‌های اولویت دار
			فناوری‌های اولویت دار
			فناوری ابزارهای کنترل کیفیت برای روش‌های ویرایش ژن برای تسریع روند تحقیق و توسعه
			فناوری ویروس انکولیتیک هیبریدی برای درمان سلول‌های تومور و برنامه‌ریزی مجدد ریزمحیط تومور
			فناوری خاموش کننده ژن برای ایجاد درمان‌های سلولی قابل برنامه‌ریزی و آلوژنیک
			فناوری آزادسازی وزیکول خارج سلولی خط سلولی (CLEVR) برای ایجاد یک پلتفرم قوی برای تولید یک منبع ثابت و بی‌پایان از وزیکول‌های خارج سلولی
			فناوری مبتنی بر پپتیدهای مصنوعی و ژن درمانی برای تعدیل محیط درون سلولی برای ایجاد و تغییر درمان‌های موجود
			مهندسی سلول‌های کشنده طبیعی (NK) و سایر سلول‌های ایمنی است برای درمان سرطان خون و تومورهای جامد



## ۹. روندهای بین‌المللی برای بخش خون



# روندهای بین‌المللی برای بخش خون



## International Trends for the Blood Sector

### January – March 2023

The NBA monitors international developments that may influence the management of blood and blood products in Australia including but not limited to:

- information that may have an impact on global supply, demand and pricing
- potential new product developments and applications
- global regulatory and blood practice trends
- other emerging risks or opportunities.

### Highlights

The following paragraphs summarise high-level themes of information that have appeared in the news media, online publications, industry, research updates over the last quarter (January – March 2023) captured across the blood sector.

In **Australia**, Lifeblood have stepped up appeals for **blood donations** including (but not limited to) rare blood types. In addition, Lifeblood is involving a range of ethnic communities (for example the Islamic community) as a way of increasing donor involvement more generally. Demand for blood and plasma continues to rise, and Lifeblood have requested that the Therapeutic Goods Administration (TGA) remove all questions relating to sexual encounters and sexuality from the plasma donor questionnaire to remove barriers to donation.

In the **US**, the FDA is proposing changes from time-based deferrals to assessing donor eligibility using individual risk-based questions to reduce the risk of transfusion-transmitted HIV. At the same time, blood centres and the Association for the Advancement of Blood and Biotherapies (AABB) continue to mitigate misinformation about COVID-19 vaccination and long COVID-19 in relation to blood safety.

In **Belgium**, despite a growing shortage of blood donors, Belgium's Superior Health Council is advising against donations from non-regular donors over 65 years of age.

In the last three months, a series of studies have been released that include retrospective and meta-analyses to assess **immunoglobulin product efficacy**. These variously focus on comparison of subcutaneous immunoglobulin (SCIg) versus intravenous immunoglobulin (IVIg); optimal therapeutic windows for treatment; potential adverse reactions; and an evaluation of immunoglobulin replacement therapy for secondary immunodeficiency.

A University of Technology Sydney (UTS) study used flow cytometry to identify distinct **platelet populations** in thawed cryopreserved platelets, and the PRPCalc2 application has been developed to enable platelet-rich plasma (PRP) preparation with minimal equipment.

A range of articles and papers have been published on **recombinant and monoclonal antibody** treatments for Haemophilia A and B, including studies on Hemlibra, Altuvilio, and the potential of monthly injections of fitusiran (a synthetic small interfering RNA - siRNA).

Crovalimab (Roche), a **novel monoclonal antibody** is in Phase 3 trial for paroxysmal nocturnal haemoglobinuria (PNH). Other developments include recent approvals by the FDA of two lymphoma treatments - Lunsumio and Polivy.

Page 1 of 28

عنوان گزارش: ✓

روندهای بین‌المللی برای بخش خون

ناشر: ✓

National Blood Authority

سال نشر: ✓

۲۰۲۳

هدف و مخاطبین: ✓

مرور چندین نوع درمان برای کمک به  
پزشکان برای درمان بیماری‌های خونی  
به‌وسیله‌ی ژن درمانی

# فرایند نگارش گزارش

۱  
معرفی درمان برای کنترل  
بیماری هموفیلی B

۲  
معرفی درمان برای بیماری  
هموفیلی A

۳  
معرفی نوعی ویرایش ژن برای  
بیماری سلول داسی شکل و  
تالاسمی‌های وابسته به انتقال  
خون

۴  
معرفی انتقال ژن FVIII برای  
درمان هموفیلی A

۵  
معرفی درمان توسعه سلول‌های  
کشنده طبیعی (NK) برای  
درمان سرطان

۶  
معرفی سیستم کشت جدید  
برای گسترش طولانی مدت  
سلول‌های بنیادی خونساز

۷  
معرفی فناوری siRNA جهت  
کاهش خونریزی بیماران  
هموفیلی A و B

۸  
معرفی CAR-T درمانی برای  
درمان بیماری مولتیپل میلوما

۹  
معرفی پیوند سلول‌های بنیادی  
برای بیماران مبتلا به سلول  
داسی شکل

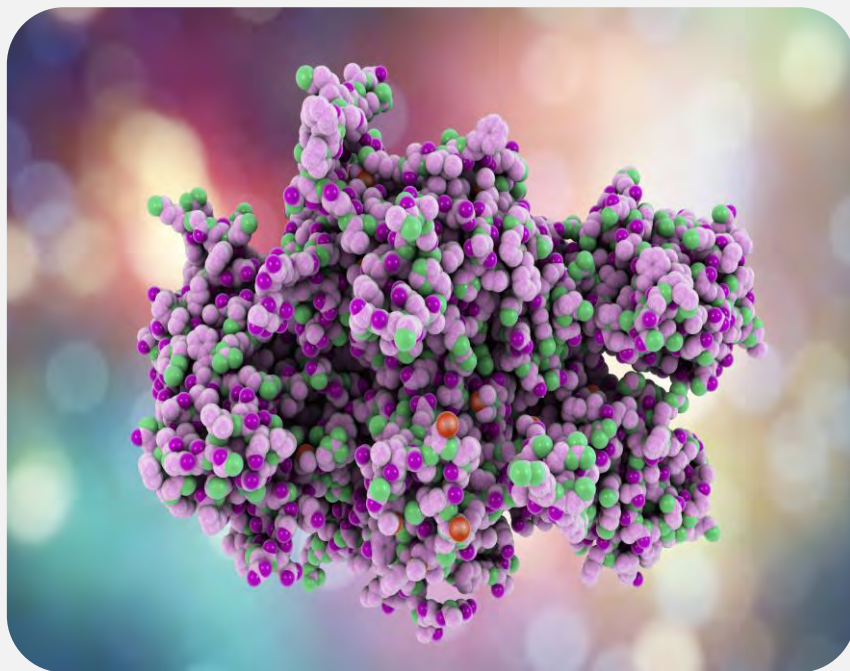
## استفاده از fidanacogene elaparvovec برای کنترل بیماری هموفیلی B

فایزر نتایج اولیه از مطالعه فاز ۳ BENEGENE-2 را ارائه کرده است که نشان می‌دهد fidanacogene elaparvovec، یک ژن درمانی تحقیقاتی را برای درمان مردان بالغ مبتلا به هموفیلی B نسبتاً شدید ارزیابی می‌کند.

نتایج نشان داد که یک دوز واحد از درمان فایزر میزان خونریزی سالانه شرکت کنندگان را به طور چشمگیری (به طور متوسط ۷۰ درصد در یک سال) کاهش می‌دهد.



## درمان valoctocogene roxaparvovec برای هموفیلی A

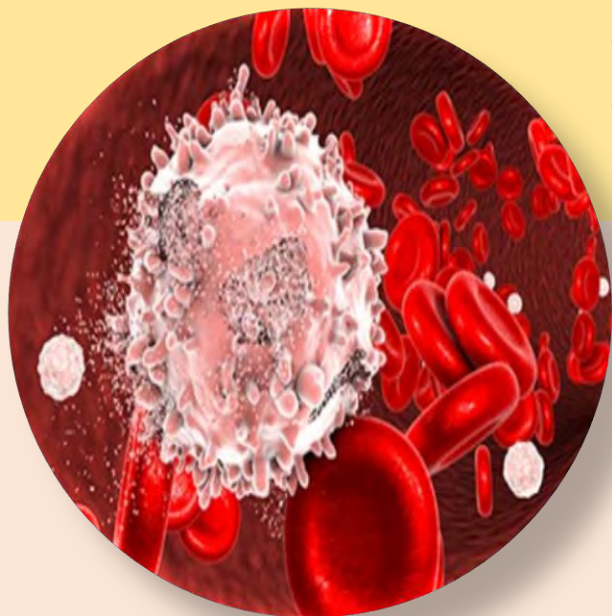


در این درمان، پزشکان حدود دو سال به پیگیری بیمارانی که ژن درمانی را valoctocogene roxaparvovec برای درمان هموفیلی A خود دریافت کردند، پرداخته‌اند.

همه بیماران در کارآزمایی قبلا تحت پروفیلاکسی فاکتور VIII بودند و یکبار تحت تزریق valoctocogene roxaparvovec قرار گرفتند.

نتایج نشان دهنده کاهش پایدار در میانگین میزان خونریزی سالانه است (حدود ۸۴ درصد).

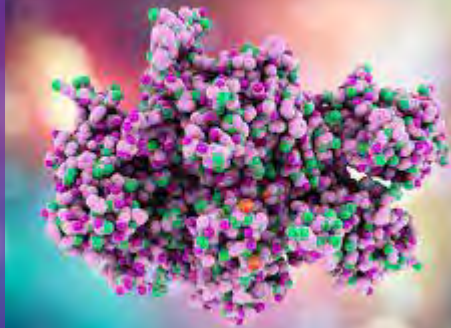
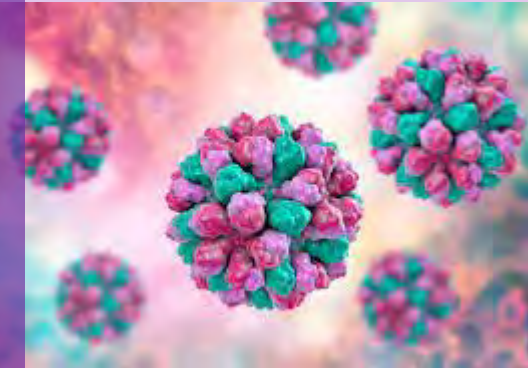
# ویرایش ژن برای بیماری سلول داسی شکل و تالاسمی‌های وابسته به انتقال خون



بررسی‌ها نشان می‌دهد که می‌توان با به‌کارگیری رویکرد ویرایش ژنی به تولید هموگلوبین جنینی در بیماران مبتلا به بیماری سلول داسی شکل (SCD) و تالاسمی‌های وابسته به انتقال خون پرداخت.

پیشرفت‌های اخیر در درک مسیرهای مولکولی کنترل‌کننده اریتروپوئیزیس (تشکیل گلبول‌های قرمز) و تغییر گلوبین از هموگلوبین جنینی به هموگلوبین بزرگسالان یک گزینه درمانی جدید و هیجان‌انگیز را ارائه می‌دهد.

# انتقال ژن FVIII برای درمان هموفیلی A



Spark Therapeutics، عضو گروه Roche، نتایج چند ساله به روز شده از فاز ۲ و ۱ کارآزمایی بالینی SPK-8011 تحقیقاتی برای بیماران مبتلا به هموفیلی A را اعلام کرد.

با حداکثر پنج سال پیگیری، داده‌ها نشان داد که انتقال ژن منفرد منجر به بیان پایدار فاکتور (FVIII) VIII و کاهش معنی‌دار بالینی در میزان خونریزی سالانه و نرخ تزریق سالانه FVIII شد. این داده‌ها در شصت و چهارمین نشست سالانه انجمن هماتولوژی آمریکا (ASH) در دسامبر ۲۰۲۲ ارائه شده است.

# توسعه سلول‌های کشنده طبیعی (NK) برای درمان سرطان

استارت‌آپ بیوتکنولوژی ImmuneBridge ۱۲ میلیون دلار سرمایه اولیه برای توسعه سلول‌های کشنده طبیعی (NK) جمع‌آوری کرده است که می‌توانند در سلول‌درمانی برای سرطان استفاده شوند.

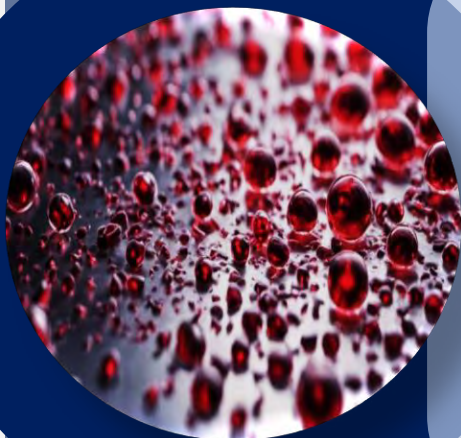
این سلول‌ها به آمادگی کمتری نیاز دارند و می‌توانند سریعتر از سلول‌های T به سلول‌های تومور حمله کنند و تمایل کمتری برای ایجاد اثرات منفی مانند طوفان‌های سیتوکین دارند.

این شرکت همچنین قصد دارد نشان دهد که قادر است سلول‌های NK را در مقیاس تولید کند و یک محصول سرب را در مرحله پیش بالینی توسعه دهد.

در حالی که تمرکز اولیه آن بر سلول‌های NK است، این شرکت این گزینه را دارد که درمان‌هایی را بر اساس انواع دیگر سلول‌های ایمنی نیز توسعه دهد.



# رشد سلول‌های بنیادی خون‌ساز در آزمایشگاه برای نجات جان انسان‌ها

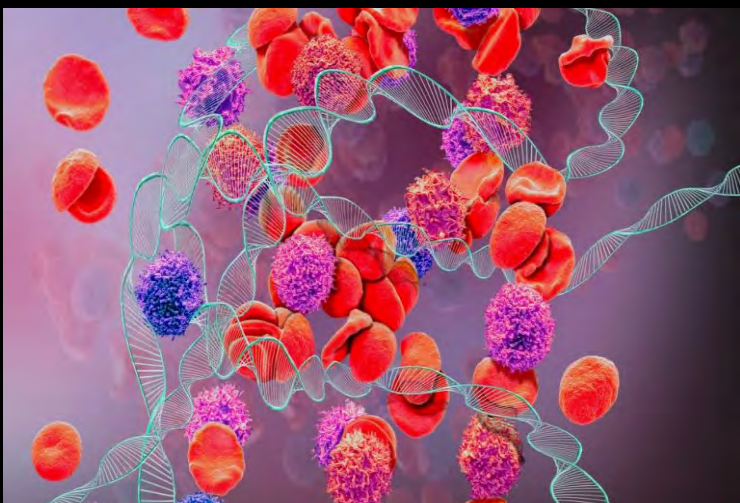


تیمی به سرپرستی محققان دانشگاه تسوکوبا در ژاپن یک سیستم کشت جدید ایجاد کرده‌اند که از گسترش طولانی مدت سلول‌های بنیادی خون‌ساز (HSCs) پشتیبانی می‌کند. روش‌های قبلی برای گسترش HSC بازده کافی برای پیوند به بیماران را به دست نیاورده‌اند. این روش از یک محیط کشت سلولی بهینه و کاملاً تعریف شده استفاده می‌کند و ممکن است به پیشرفت درمان‌های مرتبط با HSC کمک کند.

## به کارگیری فناوری siRNA جهت کاهش خونریزی بیماران هموفیلی A و B

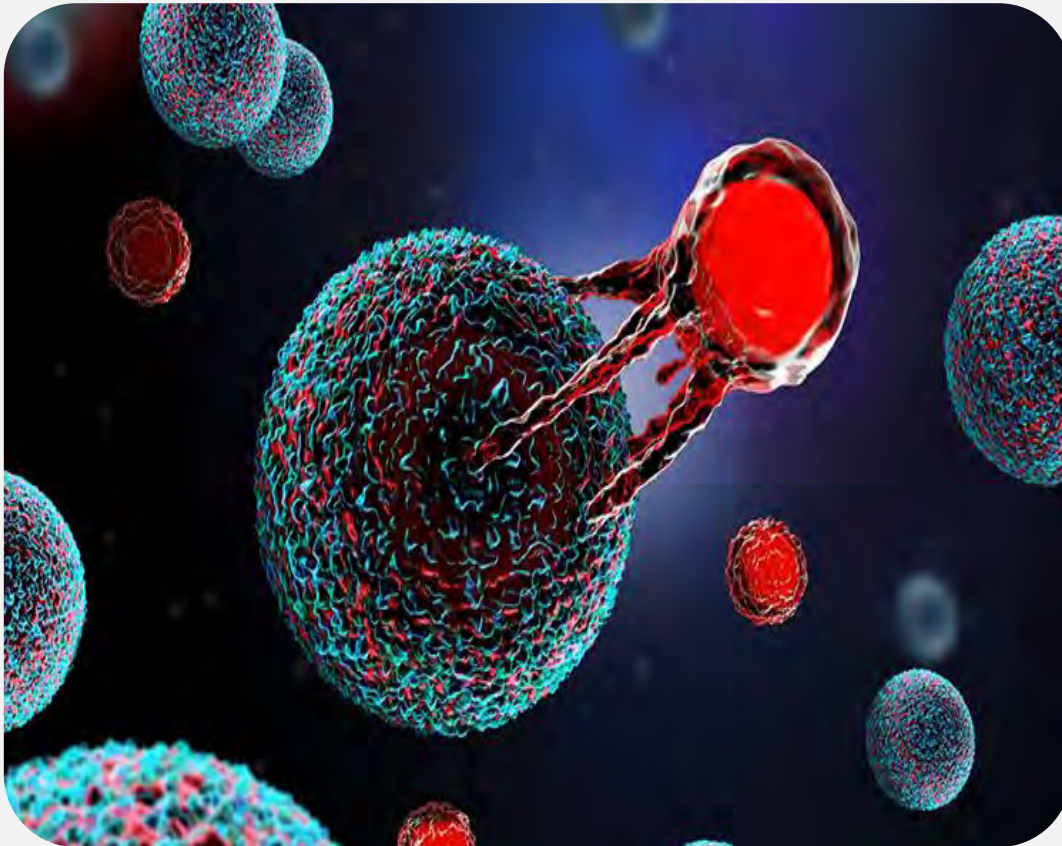


فیتوسیران (fitusiran) یک درمان جدید siRNA است که سنتز آنتی ترومبین را در کبد کاهش می دهد و در نهایت هموستاز را دوباره متعادل می کند. RNAهای تداخلی کوچک مصنوعی (siRNA) با تداخل در بیان ژن، سطوح فاکتورهای هدف خود را کاهش می دهند. استفاده پیشگیرانه از فیتوسیران به طور قابل توجهی باعث کاهش خونریزی در بیماران مبتلا به هموفیلی A و B می شود.



دو کارآزمایی بین المللی، فاز ۳، تصادفی سازی شده و کنترل شده - که توسط Sanofi بودجه مالی شده و در The Lancet و Haematology The Lancet منتشر شده است نشان داده است که تزریق ماهانه این درمان در کاهش خونریزی مؤثر است.

# استفاده از CAR-T در درمان بیماری مولتیپل میلوما



نتایج موقت از این کارآزمایی فاز ۱ نشان داد که استفاده از یک آنتی ژن بلوغ سلول B آلوتنیک (BCMA) با هدف درمان با سلول‌های CAR-T امکان پذیر است.

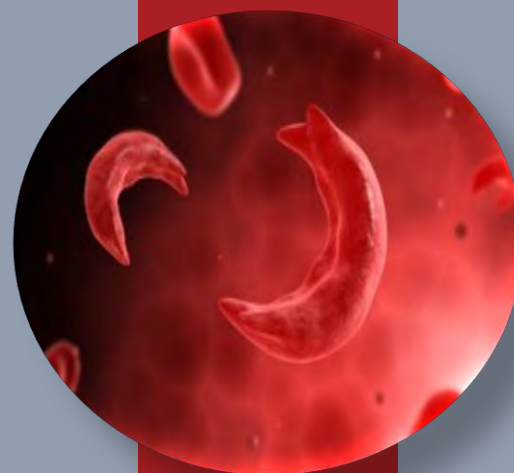
این نرخ در گروهی که با دوز سلولی بهینه سلول‌های CAR-T تحت درمان قرار گرفتند، پس از یک رژیم حاوی فلوودارابین، سیکلوفسفامید و ALLO-647 به ۷۱٪ افزایش یافت.

میزان پاسخ کلی ۵۶٪ بود.

## پیوند سلول‌های بنیادی در بیماران مبتلا به سلول داسی شکل

درد بارزترین علامت بیماری سلول داسی شکل (SCD) است که ناشی از رویدادهای انسداد عروق حاد مکرر (VOE) است که در طول عمر بیمار مکرر و شدیدتر می‌شود. پیوند سلول‌های بنیادی خونساز (HSCT) به طور بالقوه برای بیماران مبتلا به بیماری سلول داسی شکل، می‌تواند سبب بهبود علائم بیماری شود.

با این حال اطلاعات منتشر شده کمی در مورد تغییر انسداد عروق حاد مکرر به دنبال پیوند سلول‌های بنیادی خونساز وجود دارد. با این حال برخی مطالعات کاهش انسداد عروق حاد مکرر پس از پیوند سلول‌های بنیادی خونساز را نشان می‌دهد و محققان قصد دارند از این نتایج برای اطلاع‌رسانی به توسعه درمان‌های جدید ژن درمانی پیوند سلول‌های بنیادی خونساز استفاده کنند.





## جمع‌بندی

ژن درمانی	ایمونو درمانی‌های سلولی	سلول‌های بنیادی درمانی	حوزه‌های اولویت دار
			فناوری‌های اولویت دار
			ژن درمانی <b>valoctocogene roxaparvovec</b> برای درمان هموفیلی A
			به‌کارگیری رویکرد ویرایش ژنی برای تولید هموگلوبین جنینی در بیماران مبتلا به بیماری سلول داسی شکل (SCD) و تالاسمی‌های وابسته به انتقال خون
			انتقال ژن FVIII برای درمان هموفیلی A
			توسعه سلول‌های کشنده طبیعی (NK) برای درمان سرطان
			رشد سلول‌های بنیادی خون‌ساز در آزمایشگاه برای نجات جان انسان‌ها
			به‌کارگیری فناوری siRNA جهت کاهش خونریزی بیماران هموفیلی A و استفاده از CAR-T درمانی برای درمان بیماری مولتیپل میلوما
			پیوند سلول‌های بنیادی در بیماران مبتلا به سلول داسی شکل



# ۱۰- ژن درمانی یکبار برای همیشه



# ژن درمانی یکبار برای همیشه



✓ عنوان گزارش:

ژن درمانی یکبار برای همیشه

✓ ناشر:

KPMG

✓ سال نشر:

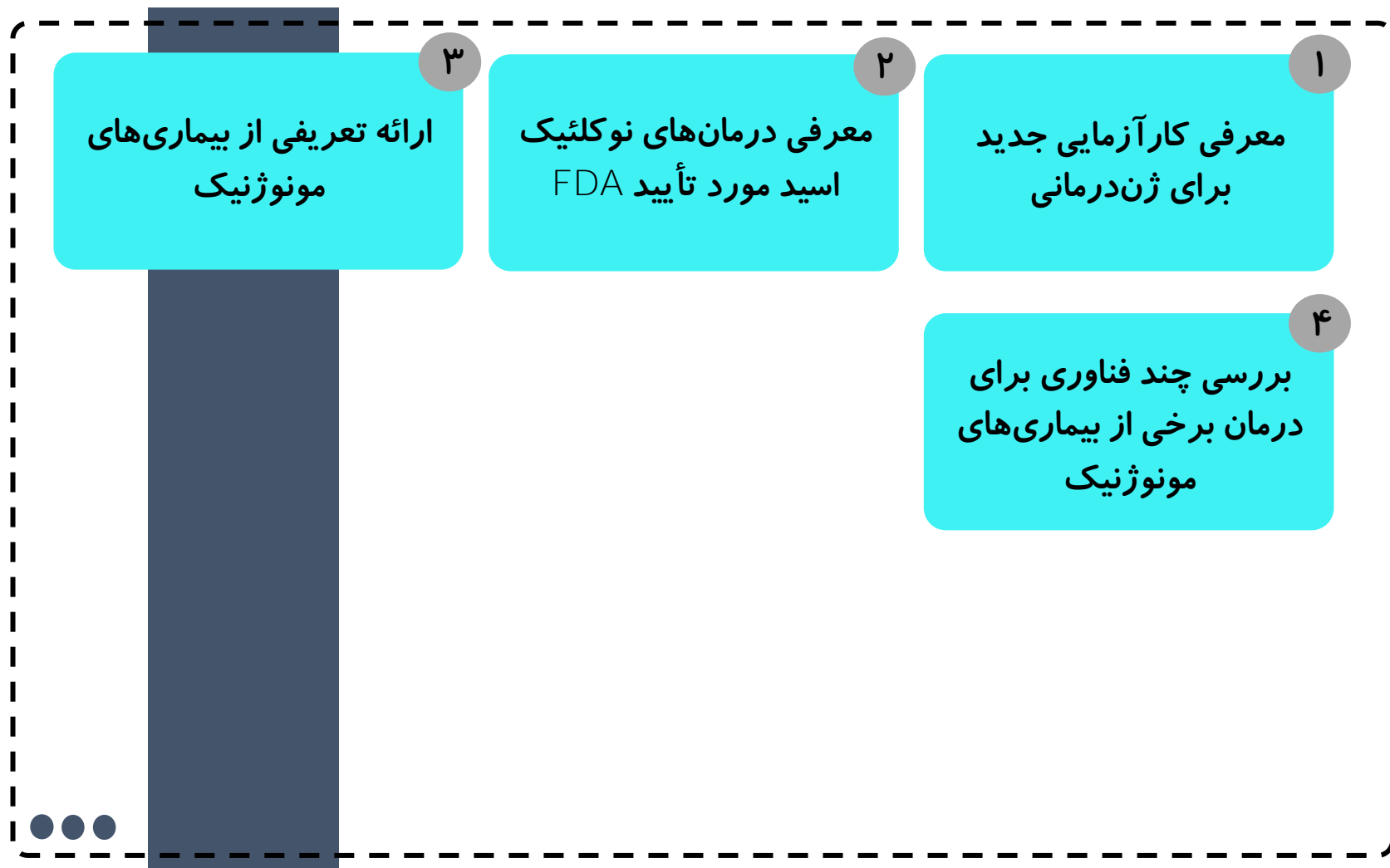
۲۰۲۱

✓ هدف و مخاطبین:

آشنایی پزشکان و متخصصان با بیماری‌های  
مونوژنیک و درمان‌های اخیر نوکلئیک اسید  
مورد تأیید FDA برای بهبود روند درمان  
بیماران این حوزه.

"One-and-done" gene therapies (2021). KPMG. Available at: <https://kpmg.com/kpmg-us/content/dam/kpmg/pdf/2023/cell-and-gene-therapies.pdf>

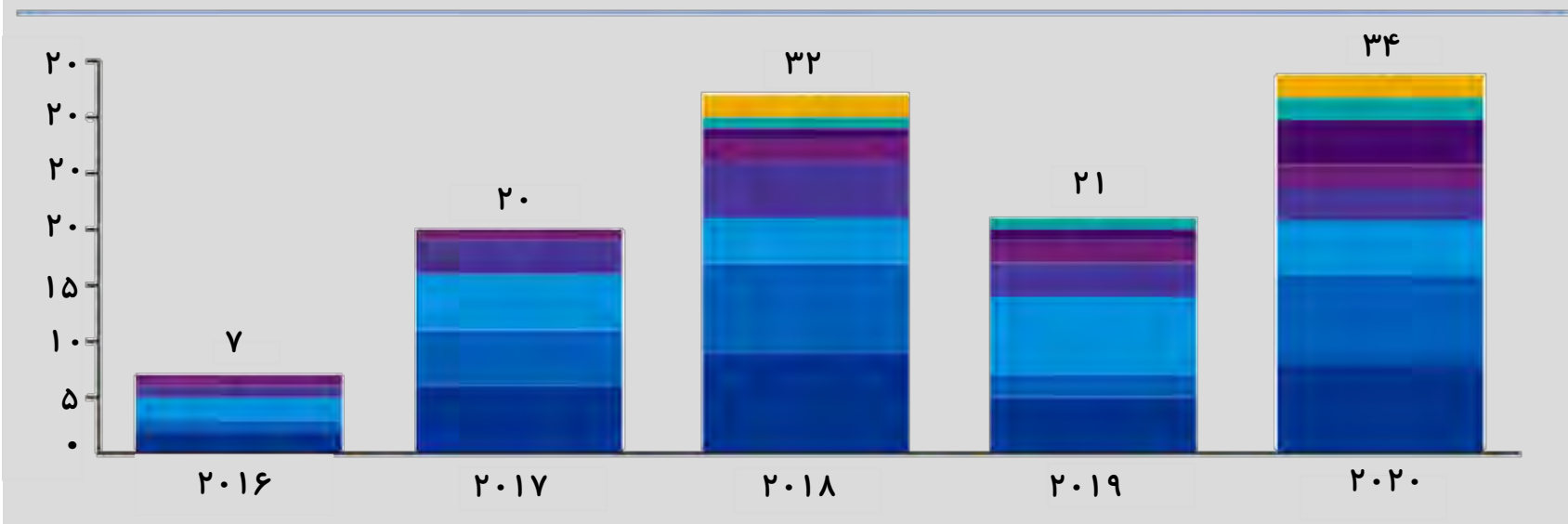
# فرایند نگارش گزارش



"One-and-done" gene therapies (2020). KPMG. Available at: <https://kpmg.com/kpmg-us/content/dam/kpmg/pdf/2023/cell-and-gene-therapies.pdf>

# کار آزمایی جدید برای ژن درمانی

کار آزمایی جدید برای ژن درمانی بر اساس منطقه درمانی و سال، از ژانویه ۲۰۱۶ تا دسامبر ۲۰۲۰ آغاز می شود.



CV/Met    پوست    عصب شناسی    عصبی عضلانی    متابولیک    چشم پزشکی    هماتولوژی

"One-and-done" gene therapies (2021). KPMG. Available at: <https://kpmg.com/kpmg-us/content/dam/kpmg/pdf/2023/cell-and-gene-therapies.pdf>

# درمان‌های نوکلئیک اسید مورد تأیید FDA (۱)

تک دوز؟	سال تأیید FDA	بیماری	فناوری	شرکت	درمان
	۲۰۲۱	دیستروفی عضلانی دوشن	الیگونوکلوئوتید آنتی سنس	Sarepta	Amondys 45
	۲۰۲۰	هیپراکسالوری اولیه نوع ۱	RNAi	Anylam	Oxlumo
	۲۰۲۰	دیستروفی عضلانی دوشن	الیگونوکلوئوتید آنتی سنس	Nippon Shinyaku	Viltepso
	۲۰۱۹	دیستروفی عضلانی دوشن	الیگونوکلوئوتید آنتی سنس	Sarepta	Vyondys 53
	۲۰۱۹	بیماران بزرگسال مبتلا به پورفیری حاد کبدی	RNAi	Anylam	Givlaari
بله	۲۰۱۹	آتروفی عضلانی نخاعی	جایگزینی ژن	Avexis	Zolgensma

"One-and-done" gene therapies (2021). KPMG. Available at: <https://kpmg.com/kpmg-us/content/dam/kpmg/pdf/2023/cell-and-gene-therapies.pdf>

## درمان‌های نوکلئیک اسید مورد تأیید FDA (۱)

تک دوز؟	سال تأیید FDA	بیماری	فناوری	شرکت	درمان
	۲۰۱۸	پلی نوروپاتی آمیلوئیدوز ارثی با واسطه ترانس تیرتین در بزرگسالان	الیگونوکلوئید آنتی سنس	Ionis	Tegsedi
	۲۰۱۸		RNAi	Alnylam	Onpattro
بله	۲۰۱۷	دیستروفی شبکیه مرتبط با جهش RPE65 Biallelic	جایگزینی ژن	Spark	Luxturna
	۲۰۱۶	آتروفی عضلانی نخاعی	الیگونوکلوئید آنتی سنس	Ionis	Spinraza
	۲۰۱۶	دیستروفی عضلانی دوشن	الیگونوکلوئید آنتی سنس	Sarepta	Exondys 51

"One-and-done" gene therapies (2021). KPMG. Available at: <https://kpmg.com/kpmg-us/content/dam/kpmg/pdf/2023/cell-and-gene-therapies.pdf>

# بیماری‌های مونوژنیک



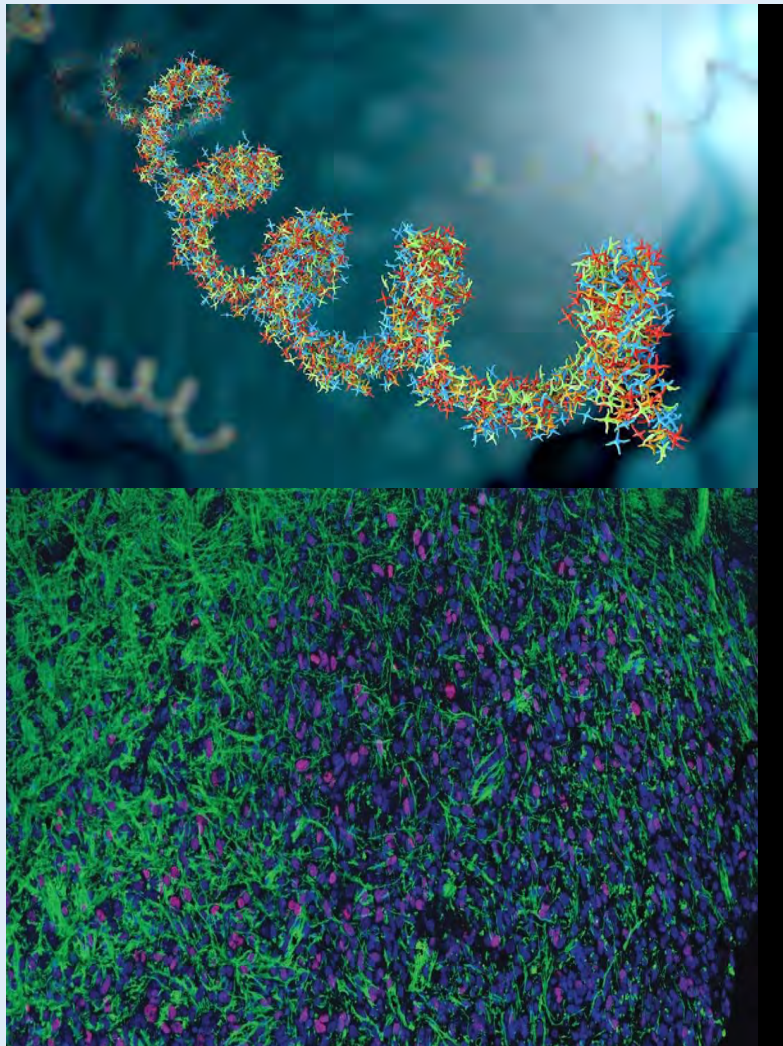
در طول پنج سال گذشته در ایالات متحده، تعدادی از درمان‌های مبتنی بر اسید نوکلئیک برای بیماری‌های مونوژنیک تأیید شده‌اند که به طور قابل توجهی از شدت بیماری‌هایی که آن‌ها را هدف قرار می‌دهند کاهش می‌دهند.

بیماری‌های مونوژنیک یا بیماری‌های ژنتیکی مرتبط با یک ژن خاص هستند که به دلیل نوع وراثت آن‌ها، به صورت خودکار و به صورت موردي در خانواده‌ها منتقل می‌شوند.





## استفاده از فناوری الیگونوکلوئید آنتی سنس برای درمان دیستروفی عضلانی دوشن



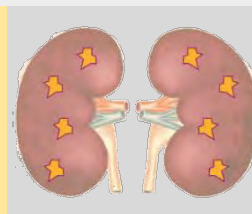
الیگونوکلوئیدهای آنتی سنس (AONs) یک رویکرد امیدوارکننده برای درمان دیستروفی عضلانی دوشن (DMD) هستند. دیستروفی عضلانی دوشن یک اختلال ژنتیکی ناشی از جهش در ژن دیستروفین است که منجر به ضعف پیشرونده عضلانی و در موارد شدید کاردیومیوپاتی می شود. از AONها می توان برای بازیابی چارچوب خواندن باز ژن دیستروفین استفاده کرد که منجر به تولید ایزوفرمهای پروتئین دیستروفین نیمه کاربردی در عضلات اسکلتی می شود و در نتیجه عملکرد ماهیچه ها را بهبود می بخشد.

تحقیقات اخیر بر توسعه AONها برای بهبود ترمیم دیستروفین، با تاکید ویژه بر قلب متمرکز شده است. کارآزمایی های بالینی پتانسیل AON را در بازگرداندن بیان دیستروفین و بهبود عملکرد عضلات نشان داده اند. با این حال، چالش ها در افزایش تحویل و کارآیی AON و همچنین توسعه چندین AON برای درمان هر چه بیشتر بیماران DMD وجود دارد.

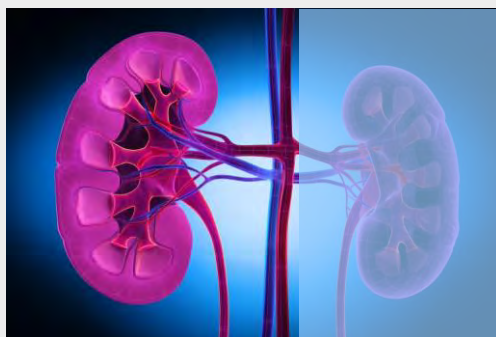
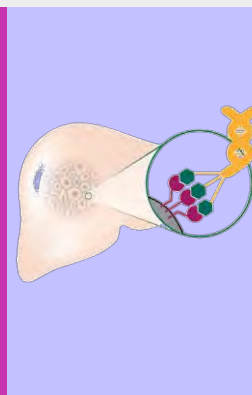
# استفاده از فناوری RNAi برای درمان هیپراکسالوری اولیه نوع ۱

RNAi به عنوان یک رویکرد جدید برای درمان هیپراکسالوری اولیه نوع ۱ به کار گرفته می‌شود.

هیپراکسالوری اولیه نوع ۱ یک بیماری نادر و جدی است که عمدتاً کلیه‌ها را درگیر می‌کند.



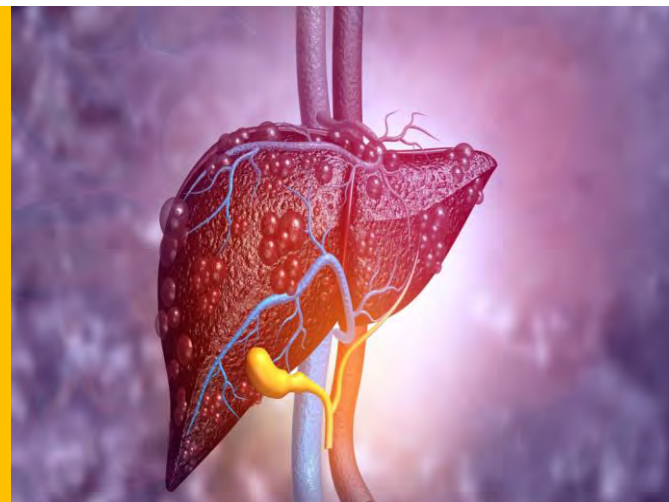
Lumasiran، یک داروی درمانی RNAi، برای هدف قرار دادن گلیکولات اکسیداز (GO) توسعه یافته است، در نتیجه تولید گلیوکسیلات، پیش ساز اصلی اگزالات، از گلیکولات را کاهش می‌دهد. این رویکرد نتایج امیدوارکننده‌ای را در کاهش سطح اگزالات در ادرار و پلاسما، متابولیت ایجادکننده بیماری، در بیماران مبتلا به هیپراکسالوری اولیه نوع ۱ نشان داده است.



FDA لوماسیران را در نوامبر ۲۰۲۰ تأیید کرد. مطالعات نشان‌دهنده پیشرفت قابل توجهی در درمان این بیماری ژنتیکی نادر و شدید است. علاوه بر این، کارآزمایی‌های بالینی پتانسیل درمان‌های RNAi مانند لوماسیران را برای کاهش قابل توجه دفع اگزالات ادراری نشان داده‌اند و این امید را برای بیماران مبتلا به این بیماری فراهم می‌کند تا نیاز به پیوند کبد و یا کلیه را به تأخیر بیندازند.

## استفاده از فناوری RNAi برای درمان بیماران بزرگسال مبتلا به پورفیری حاد کبدی

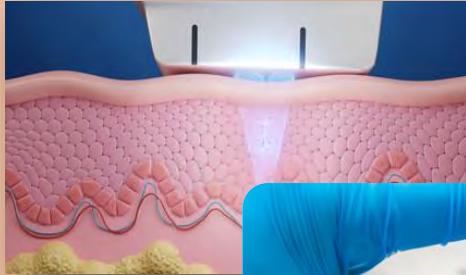
فناوری RNAi در درمان بیماران بزرگسال مبتلا به پورفیری حاد کبدی (AHP) امیدوار کننده است. Givosiran، یک RNA مداخله گر کوچک کونژوگه با N-استیل گالاکتوزامین به صورت زیر جلدی در برابر ALAS1، اثربخشی قابل توجهی را در کاهش حملات حاد مکرر و بهبود علائم مزمن در بیماران مبتلا به AHP نشان داده است.



به طور کلی، فناوری RNAi، به ویژه با givosiran، پتانسیل قابل توجهی در درمان بیماران بزرگسال مبتلا به پورفیری حاد کبدی نشان داده است. با این حال، تحقیقات بیشتری برای تأیید ایمنی و اثربخشی طولانی مدت این رویکرد درمانی مورد نیاز است.



# استفاده از فناوری جایگزینی ژن برای درمان آتروفی عضلانی نخاعی



آتروفی عضلانی نخاعی (SMA) اختلالی است که بر نورون‌های حرکتی - سلول‌های عصبی که حرکت ارادی عضلانی را کنترل می‌کنند، تأثیر می‌گذارد. این سلول‌ها در نخاع قرار دارند. از آنجایی که ماهیچه‌ها نمی‌توانند به سیگنال‌های اعصاب پاسخ دهند، در اثر عدم فعالیت، آتروفی (ضعیف و کوچک) می‌شوند.

فناوری جایگزینی ژن در داروی ZOLGENSMA با جایگزینی عملکرد ژن SMN1، تولید پروتئین SMN را قادر می‌سازد و به حفظ عملکرد ضروری ماهیچه کمک می‌کند. سلول‌های عصبی حرکتی که بدون درمان می‌مردند می‌توانند زنده بمانند و حفظ شوند و پیشرفت SMA را متوقف کنند.

# جمع بندی

ژن درمانی	حوزه‌های اولویت دار فناوری‌های اولویت دار
	فناوری الیگنوکلئوتید آنتی سنس برای درمان دیستروفی عضلانی دوشن 
	فناوری RNAi برای درمان بیماری هیپراکسالوری اولیه نوع ۱ 
	فناوری RNAi برای درمان بیماری بیماران بزرگسال مبتلا به پورفیری حاد کبدی 
	فناوری جایگزینی ژن برای درمان بیماری آتروفی عضلانی نخاعی 
	فناوری الیگنوکلئوتید آنتی سنس برای درمان بیماری پلی نوروپاتی آمیلوئیدوز ارثی با واسطه ترانس تیرتین در بزرگسالان 
	فناوری RNAi برای درمان بیماری پلی نوروپاتی آمیلوئیدوز ارثی با واسطه ترانس تیرتین در بزرگسالان 
	فناوری جایگزینی ژن برای درمان بیماری دیستروفی شبکه مرتب با جهش RPE65 Biallelic 
	فناوری الیگنوکلئوتید آنتی سنس برای درمان بیماری آتروفی عضلانی نخاعی 



"One-and-done" gene therapies (2021). KPMG. Available at: <https://kpmg.com/kpmg-us/content/dam/kpmg/pdf/2023/cell-and-gene-therapies.pdf>

# جمع بندی

**KPMG**  
"One-and-done"  
gene therapies  
A near-term niche?

Alliance for  
Regenerative  
Medicine  
**WORKFORCE REPORT**  
**GAP ANALYSIS FOR  
THE CELL AND GENE  
THERAPY**  
MARCH 2023

**GENE THERAPY  
INDUSTRY REPORT 2021**  
A GROWING MARKET, CURRENT CHALLENGES,  
AND AN EXCITING FUTURE

Alliance for  
Regenerative  
Medicine  
**Getting Ready:**  
Recommendations for Timely Access  
to Advanced Therapy Medicinal  
Products (ATMPs) in Europe

NATIONAL  
BLOOD TRANSFUSION SERVICE  
**International Trends for the Blood  
Transfusion Service**  
January - March 2023

Q3 2023 Quarterly  
RNA T

Q3 2023 Quarterly  
RNA T

Alliance for  
Regenerative  
Medicine  
**REGENERATIVE MEDICINE: DISRUPTING THE STATUS QUO**  
2021

regenerative  
human  
genetic  
therapies  
stem cells  
biomaterials  
tissue  
cells  
genetic  
human  
therapies  
stem cells  
biomaterials  
tissue  
cells

American Society  
of Gene Cell Therapy  
**CITELINE**  
a therateco company

**ACTIVE MEDICINE**  
STEM CELLS

**GAO**  
United States Government Accountability Office  
Report to Congressional Committees  
July 2023  
**Regenerative Medicine**  
Therapeutic Applications, Challenges  
and Opportunities

ADVANCED  
THERAPIES  
**START-UPS  
REPORT**  
The Advanced Therapies Congress 2023  
MEET 50 OF THE LATEST AND GREATEST START-UPS  
IN THE ATMP SPACE

# جمع‌بندی

در گزارش حاضر تلاش شد با ارائه خلاصه‌ای از ۱۰ گزارش معتبر در سطح بین‌المللی و مرتبط با حوزه سلول‌های بنیادی و پزشکی بازساختی، علاوه بر شناسایی حوزه‌های مرتبط، فناوری‌های پیشرفته موجود در هر کدام از حوزه‌ها نیز شناسایی شود.

حوزه‌های شناسایی شده عبارتند از: حوزه سلول‌های بنیادی درمانی (۱۱ فناوری)، حوزه ایمونو درمانی‌های سلولی (۵ فناوری)، حوزه ژن درمانی (۲۲ فناوری)، حوزه مهندسی بافت و مواد زیستی (۹ فناوری)، حوزه برنامه‌ریزی مجدد سلولی (۱ فناوری)، حوزه آگزوزم درمانی (۱ فناوری)، حوزه داربست‌های سلولی و ماتریکس (۶ فناوری) و در نهایت حوزه چاپ زیستی سه بعدی (۲ فناوری)

# حوزه‌های اولویت‌دار سلول‌های بنیادی و پزشکی بازساختی



۱- سلول‌های بنیادی درمانی

۲- ایمونو درمانی‌های سلولی

۳- ژن درمانی

۴- مهندسی بافت و مواد زیستی

۵- برنامه‌ریزی مجدد سلولی

۶- آگزوزم درمانی

۷- داربست‌های سلولی و ماتریکس

۸- چاپ زیستی سه بعدی



# فناوری‌های حوزه سلول‌های بنیادی درمانی

۱- فناوری کموژنتیک برای درمان بیماری صرع

۲- فناوری اپتوژنتیک برای درمان بیماری‌های چشمی

۳- فناوری مبتنی بر سلول‌های آلوژنیک برای درمان سرطان

۴- فناوری سلول درمانی برای درمان بیماری سارکوم سینوویال پیشرفته

۵- فناوری ایمپلنت ارگانوئید سلول پانکراس برای درمان دیابت

۶- فناوری پیوند سلول‌های بنیادی

۷- استفاده از سلول‌های اولیه به دست آمده از پالپ دندان برای بازسازی بافت‌های انسانی

۸- فناوری پیشرفته کشت سلولی سه بعدی

۹- فناوری رشد دادن ارگانوئیدها برای تولید بافت

۱۰- فناوری تصویربرداری سلول زنده با هوش مصنوعی

۱۱- رشد سلول‌های بنیادی خون‌ساز در آزمایشگاه

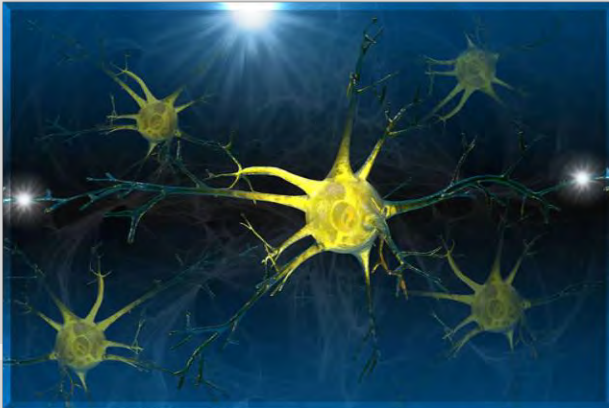
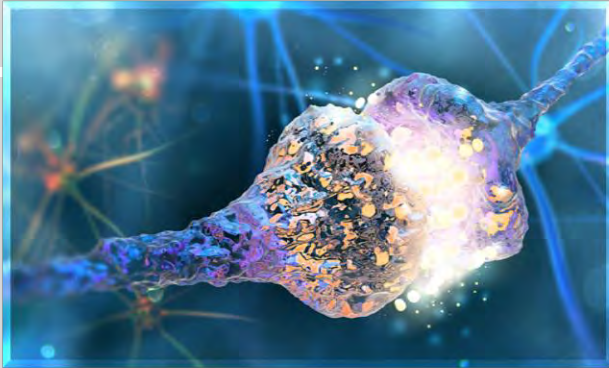
# فناوری کمورژنتیک برای درمان بیماری صرع



فناوری کمورژنتیک در درمان بیماری صرع از ترکیب ژنتیک و داروهای کموترایی برای بهبود کنترل صرع استفاده می‌کند. با مهندسی ژن‌های مرتبط با صرع و دقیق‌ترین تجویز داروها بر اساس اطلاعات ژنتیک فرد، این رویکرد بهبود قابل توجهی در کاهش حملات صرع و بهبود کیفیت زندگی بیماران ایجاد کرده است. این فناوری به عنوان یک راهکار نوآورانه در مقابله با بیماری صرع در حال گسترش و پیشرفت است.



# فناوری اپتوژنتیک برای درمان بیماری‌های چشمی

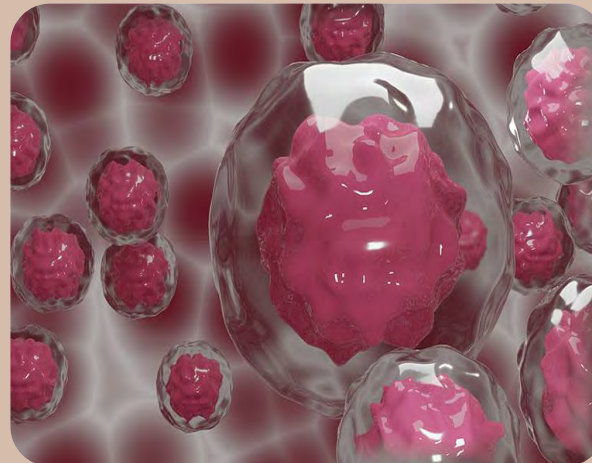
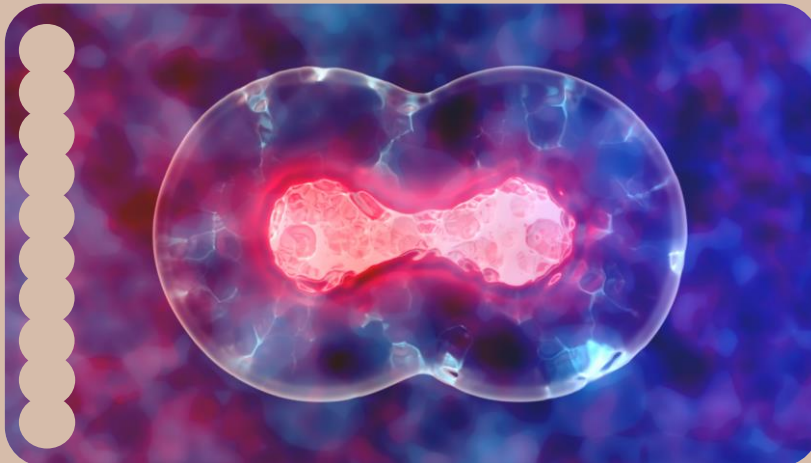


فناوری اپتوژنتیک از نور و ژنتیک برای درمان بیماری‌های چشم استفاده می‌کند. با استفاده از ژن‌هایی که حساس به نور هستند، تغییرات در سلول‌های عصبی ایجاد می‌شود. نور به این سلول‌ها ارسال می‌شود و فعالیت آن‌ها را تنظیم می‌کند. این فناوری می‌تواند در درمان بیماری‌های نابینایی و اختلالات دیداری مؤثر باشد. تحقیقات ادامه دارد تا کاربردهای گسترده‌تری در حوزه بهبود بینایی ایجاد شود.

# فناوری مبتنی بر سلول‌های آلوژنیک برای درمان سرطان

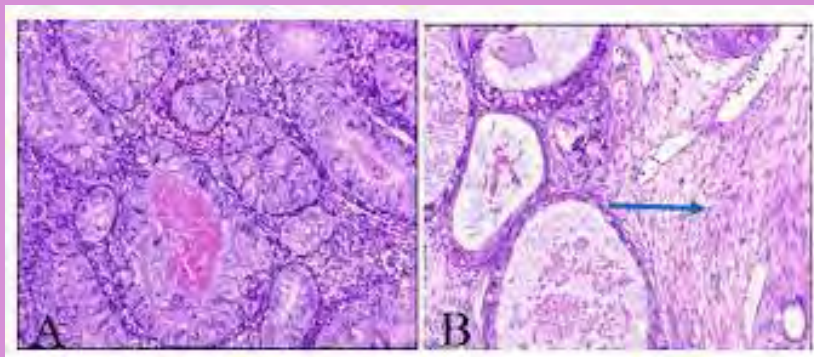
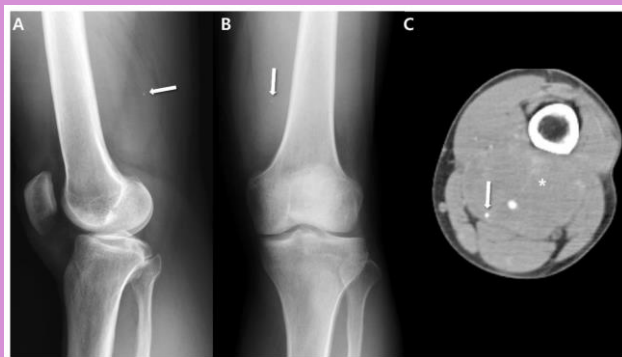
این سلول‌ها ممکن است دارای ژن‌هایی باشند که آن‌ها را به سلول‌های سرطانی متصل کند و باعث نابودی آن‌ها شود. این فناوری می‌تواند به عنوان یک روش هدفمند و کمتر مضر در درمان سرطان در نظر گرفته شود.

فناوری مبتنی بر سلول‌های آلوژنیک در درمان سرطان به استفاده از سلول‌هایی تغییر یافته از نظر ژنتیک برای هدف‌گیری به سلول‌های سرطانی متمرکز می‌شود.



# فناوری سلول درمانی برای درمان بیماری سارکوم سینوویال پیشرفته

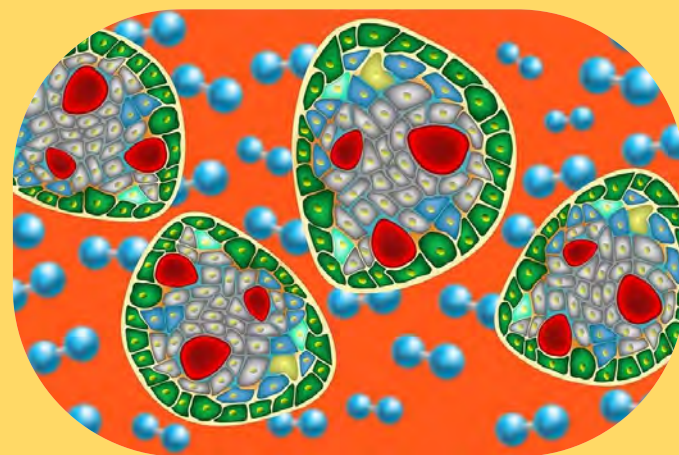
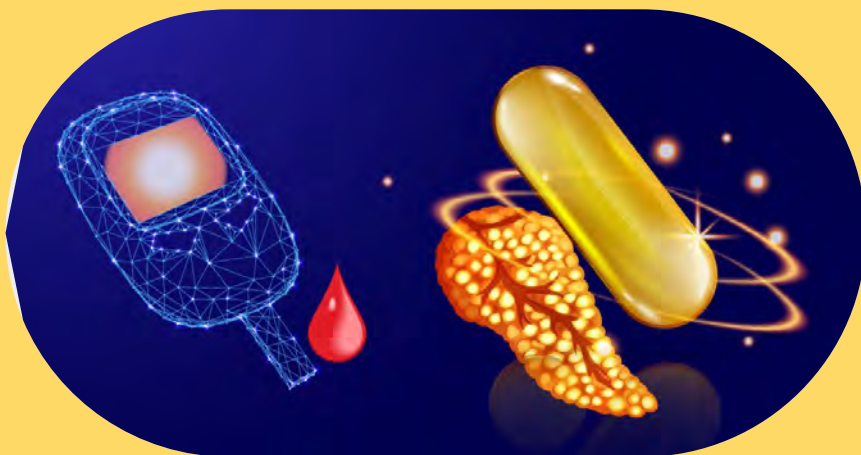
فناوری سلول درمانی در سرطان سارکوم سینوویال پیشرفته، از سلول‌های درمانی با ژنتیک مهندسی شده بهره می‌برد که به صورت هدفمند به سلول‌های سارکوم حمله کرده و رشد آن‌ها را مهار می‌کنند. این سلول‌های درمانی می‌توانند به عنوان وسیله‌ای دقیق و کمتر مضر، برای نابودی سلول‌های سارکوم استفاده شوند. این روش امکان کاهش اثرات جانبی و آسیب به بافت‌های سالم را فراهم می‌کند و به عنوان یک راهکار درمانی در مقابل بیماری مورد توجه قرار گرفته است.



# فناوری ایمپلنت ارگانوئید سلول پانکراس برای درمان دیابت

این فناوری می‌تواند به بیماران دیابت از نیاز به تزریق انسولین و کنترل دقیق‌تر قند خون کمک کند و زندگی راحت‌تری برای بیماران فراهم آورد.

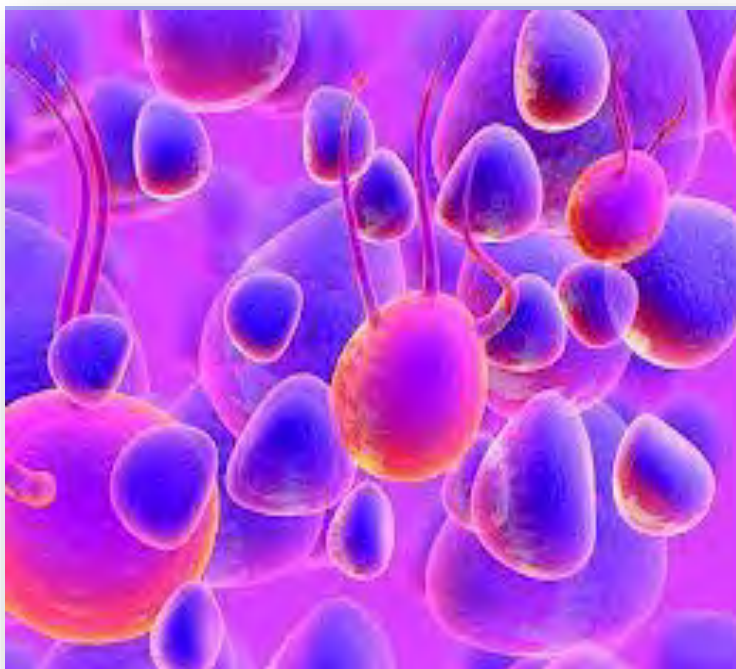
فناوری ایمپلنت ارگانوئید سلول پانکراس در درمان دیابت از ایجاد یک ساختار شبیه به ارگان پانکراس با استفاده از سلول‌های پانکراس بهره می‌برد. این سلول‌ها معمولاً به کپسول‌های خاص وارد شده و در بدن ایمپلنت می‌شوند. این دستگاه امکان آزادسازی انسولین را در واکنش به نیازهای بدن فراهم می‌کند.



## فناوری پیوند سلول‌های بنیادی

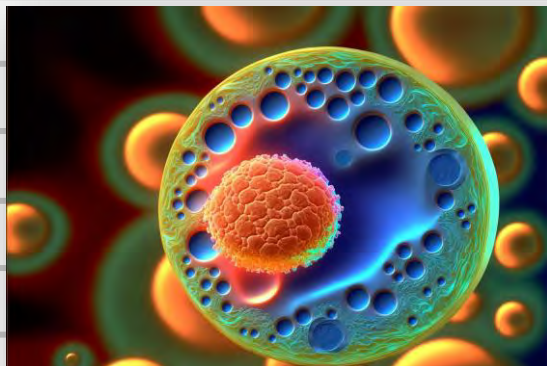
این فناوری با استفاده از قابلیت تخصیصی سلول‌های بنیادی، فرایندهای بازسازی طبیعی بدن را تسهیل کرده و درمان‌های هدفمندتر و کارآمدتر را فراهم می‌کند.

فناوری پیوند سلول‌های بنیادی برای درمان بیماری‌های همچون اختلال خونی، سوختگی، بیماری‌های چشم قرنیه مورد استفاده قرار می‌گیرد. در این قبیل بیماری‌ها از سلول‌های بنیادی که توانایی تبدیل به سلول‌های مختلف را دارند استفاده می‌شود.



- در صورت سوختگی، از سلول‌های بنیادی با قابلیت تشکیل بافت‌های مختلف برای تجدید سلول‌ها بهره گرفته می‌شود.
- در بیماری‌های چشم قرنیه، سلول‌های بنیادی می‌توانند در ترمیم و بازسازی بافت قرنیه مؤثر باشند.
- در اختلال خونی، می‌توان از سلول‌های بنیادی خون‌ساز (هماتوپوئیتیک) برای تولید سلول‌های خونی سالم استفاده کرد.

## استفاده از سلول‌های اولیه به دست آمده از پالپ دندان برای بازسازی بافت‌های انسانی

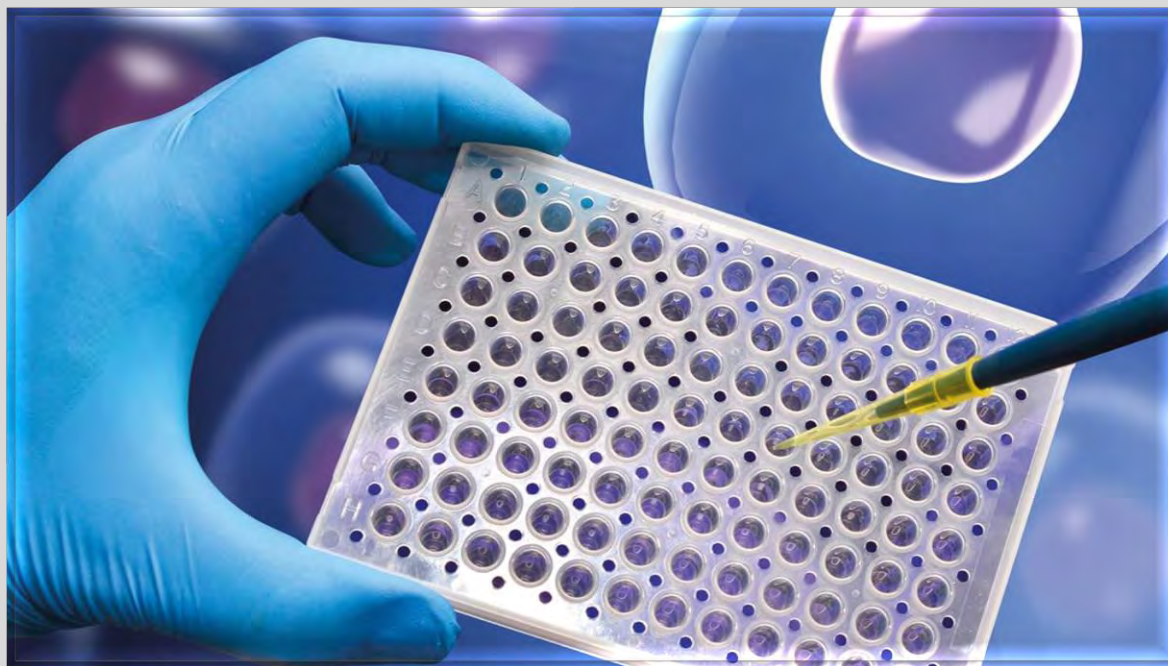


استفاده از سلول‌های اولیه حاصل از پالپ دندان برای بازسازی بافت‌های انسانی یک رویکرد نوین در زمینه پزشکی است. این سلول‌ها که از داخل دندان‌های شیری یا دائمی به دست می‌آیند، به عنوان سلول‌های بنیادی با قابلیت تخصیص به انواع مختلف سلولی مورد استفاده قرار می‌گیرند. این رویکرد می‌تواند در ترمیم بافت‌های مختلف همچون غضروف و بافت‌های عصبی به کار رود. از طریق استفاده از سلول‌های پالپ دندان، امکان تشکیل سلول‌های مورد نیاز برای ترمیم و بازسازی بافت‌های آسیب‌دیده فراهم می‌شود.



# فناوری رشد دادن ارگانوئیدها برای تولید بافت‌های انسانی

در این روش، سلول‌های بنیادی یا سلول‌های تخصصی در محیط‌های مخصوصی تحت شرایط کنترل شده کشت می‌شوند، به گونه‌ای که ساختارها و ویژگی‌های مشابه بافت‌های طبیعی را تشکیل دهند. این ارگانوئیدها به عنوان مدل‌های سه بعدی و مینیاتوریزه از بافت‌ها و اعضای بدن عمل می‌کنند.

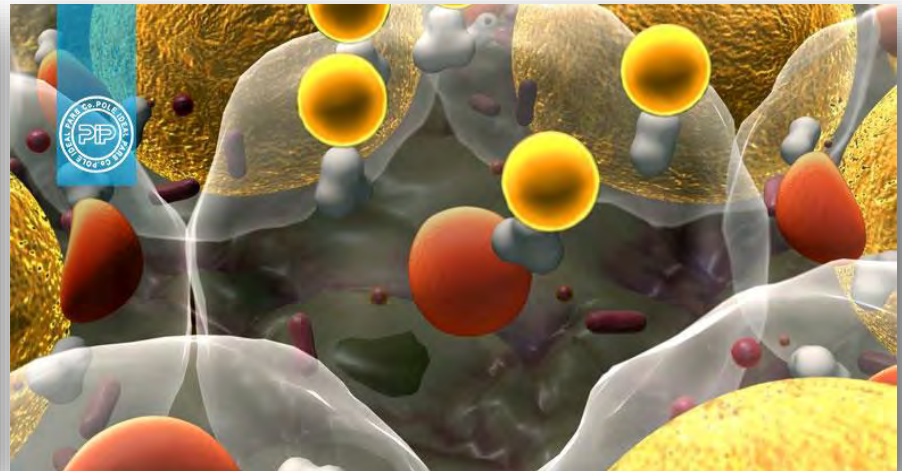
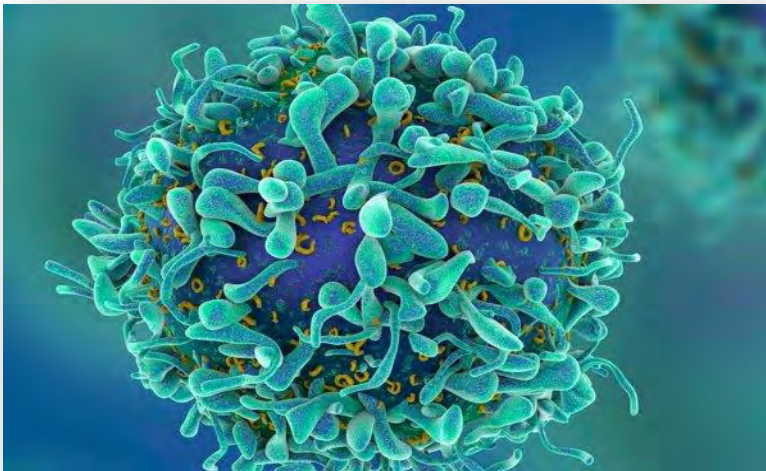


# فناوری پیشرفته کشت سلولی سه بعدی

در این فرایند، سلول‌ها در یک فضای سه بعدی قرار گرفته و به تشکیل بافت‌ها و ساختارهای سلولی پیچیده می‌پردازند.

استفاده از فناوری پیشرفته کشت سلولی سه بعدی برای درمان‌های شخصی سرطان، بهبود کیفیت زندگی و کارایی بیمار در از بین بردن سلول‌های سرطانی مورد استفاده قرار می‌گیرد.

استفاده از کشت سلولی سه بعدی مزایایی از جمله شبیه‌سازی دقیق‌تر بافت‌های حقیقی، محیط‌های بیولوژیکی بیشتر و قابلیت تولید بافت‌ها با ویژگی‌های واقعی‌تر دارد. این روش در تحقیقات بیولوژی، درمان‌های سلولی و توسعه فناوری‌های پزشکی مانند ایمپلنت‌های بافتی یا ارگانوئیدهای مصنوعی مؤثر است. استفاده از این فناوری می‌تواند به بهبود درمان‌ها و تحقیقات در زمینه پزشکی کمک کرده و نقش مهمی در توسعه پزشکی داشته باشد.



# فناوری تصویربرداری سلول زنده با هوش مصنوعی

فناوری تصویربرداری سلول زنده با هوش مصنوعی در تحقیقات بر روی سلول‌های بنیادی با استفاده از تصاویر و داده‌های زمان واقعی، به پیش‌بینی و بهینه‌سازی تمایز سلول‌ها برای تولید کنترل‌شده هر سلول و بافت بدن در مقیاس کمک می‌کند. این فناوری امکان نظارت دقیق بر پویایی و تفاوت‌های سلولی را فراهم می‌سازد و می‌تواند به بهبود فرایند تولید بافت‌ها و سلول‌های کنترل‌شده برای کاربردهای مختلف، از جمله درمان‌های سلولی، کمک کند.

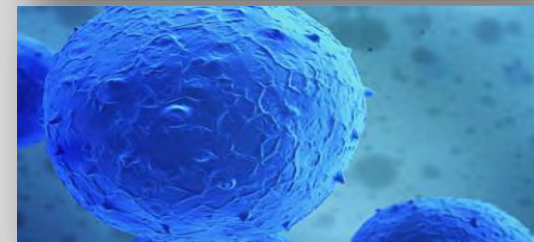
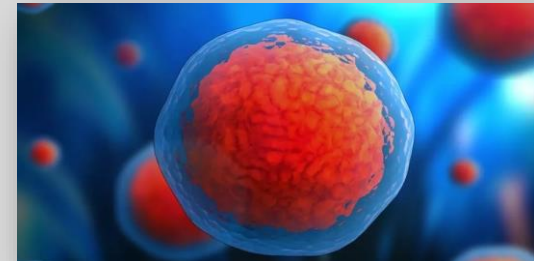
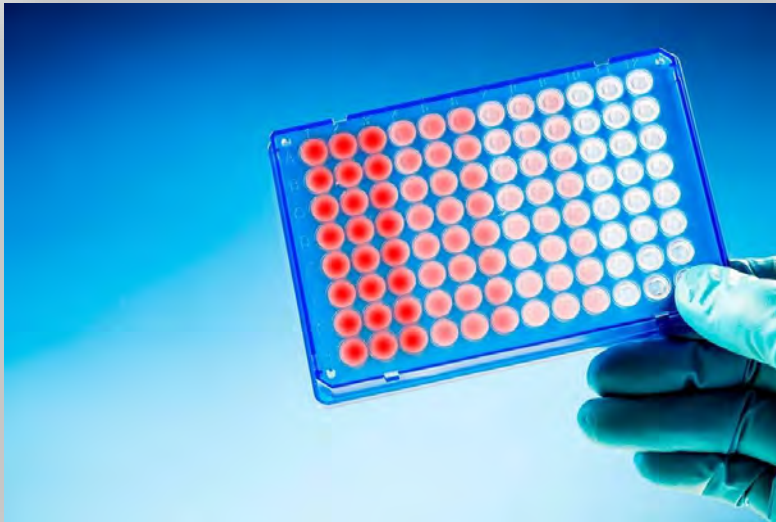


# رشد سلول‌های بنیادی خون‌ساز در آزمایشگاه

این سلول‌ها مسئول تولید سلول‌های خونی مانند سلول‌های قرمز و سفید خون و پلاکت‌ها هستند. در آزمایشگاه، محیط‌های کشت مخصوصی به کار گرفته می‌شود تا شرایط ایده‌آل برای رشد و تکثیر این سلول‌ها فراهم شود.

این فناوری به فرایند کشت و افزایش تعداد سلول‌های بنیادی هماتوپوئیتیک در آزمایشگاه اشاره دارد.

این فرایند در تحقیقات بیولوژیکی و پزشکی به منظور درک عملکرد و توسعه درمان‌های مرتبط با اختلالات خونی مورد استفاده قرار می‌گیرد.



# فناوری‌های حوزه ایمونو درمانی‌های سلولی

۱- CAR-T درمانی برای درمان سرطان

۲- فناوری TIL درمانی برای درمان بیماری ملانوم متاستاتیک

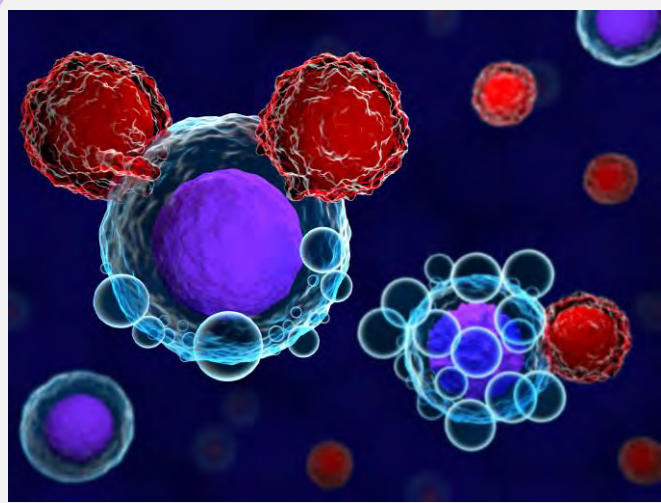
۳- CAR-M درمانی برای درمان تومورهای جامد

۴- فناوری ترکیبی از ویرایش ژن و سلول‌های بنیادی برای درمان بیماری‌هایی همچون نقص ایمنی ترکیبی شدید، لوکودیستروفی‌ها و بیماری پروآن‌های

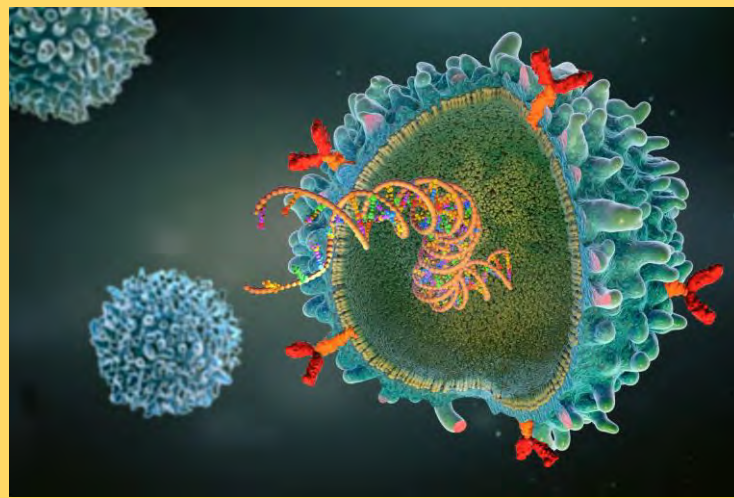
۵- توسعه سلول‌های کشنده طبیعی (NK) برای درمان سرطان

# CAR-T درمانی برای درمان سرطان

■ در این روش، لنفوسیت‌های تی برای  
■ حمله به سلول‌های سرطانی فعال  
■ می‌شوند. این روش از CAR-T درمانی  
■ به خصوص در درمان بعضی از لوکمی‌ها  
■ و لنفوماها مؤثر است.

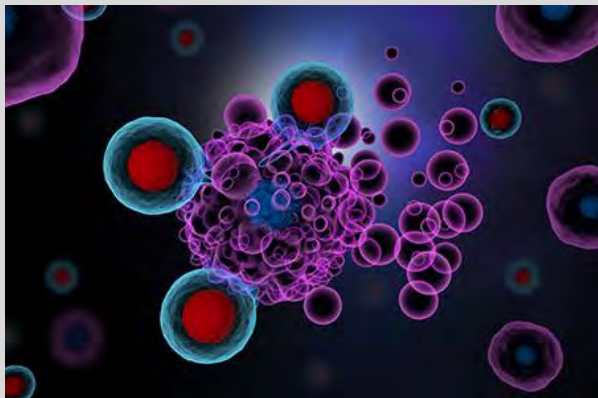


■ این فناوری یک روش نوآورانه در درمان برخی  
■ انواع سرطان است. در این روش، لنفوسیت‌های تی  
■ بیمار به طور مهندسی تغییر داده می‌شوند تا یک  
■ مولکول مهندسی شده تخلیه آنتیژن تی را بر روی  
■ سطح خود داشته باشند.



# فناوری TIL درمانی برای درمان بیماری ملانوم متاستاتیک

این فناوری به ویژه در مواردی که بیماران با ملانوم متاستاتیک به درمان‌های معمولی پاسخ نمی‌دهند، مورد توجه قرار گرفته است. این روش ممکن است انعطاف پذیری بیشتری در مواجهه با تنوع ژنتیکی تومورها ارائه دهد.



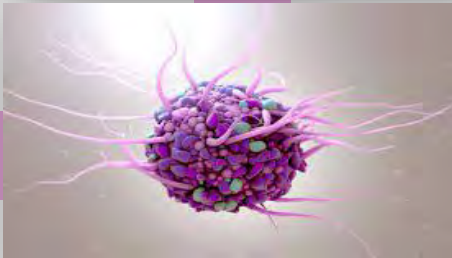
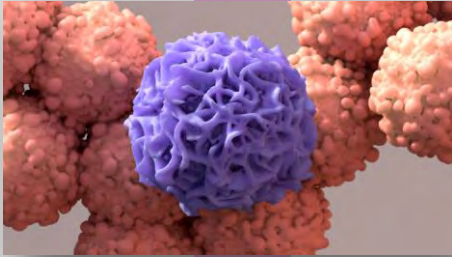
Til به عنوان تراپی لنفوسیت‌های تی تحت توسعه، یک فناوری نوین در درمان بیماری ملانوم متاستاتیک (سرطان پوست) است.

در این روش:

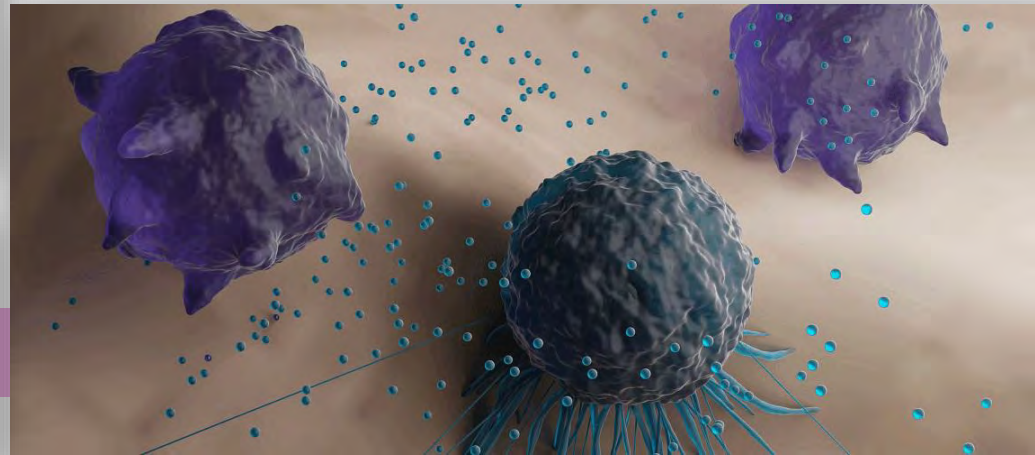
۱ لنفوسیت‌های تی توسط تیل‌های استخراج شده از تیموما (تومور Infiltrating Lymphocytes) مهندسی شده و تقویت می‌شوند.

۲ سپس، این لنفوسیت‌های تی مهندسی شده به بیمار باز می‌گردند تا به طور هدفمندانه علیه سلول‌های سرطانی در تومور مبارزه کنند.

## CAR-M درمانی برای درمان تومورهای جامد

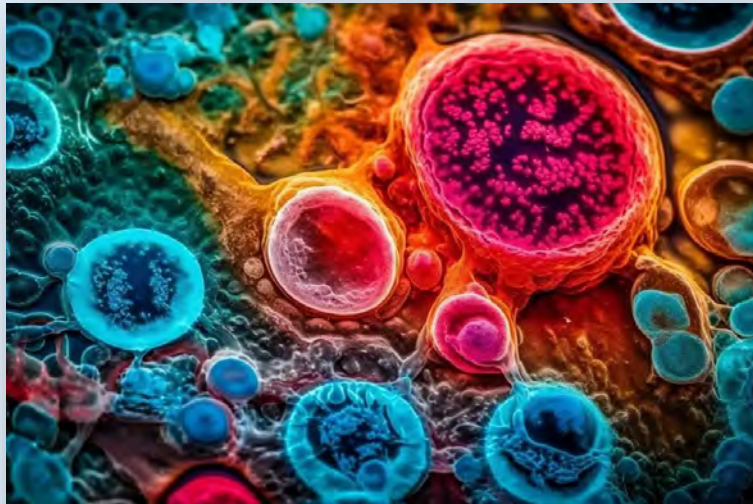


CAR-M یک نوع درمان نوین است که از فناوری ترکیبی از سلول‌های بدن و تغییرات ژنتیکی برای مبارزه با تومورهای جامد استفاده می‌کند. این درمان به وسیله تعبیه یک ژن خاص در سلول‌های بدن افراد انجام می‌شود، که این ژن باعث تقویت سیستم ایمنی بدن به منظور شناسایی و نابودی سلول‌های توموری می‌شود.





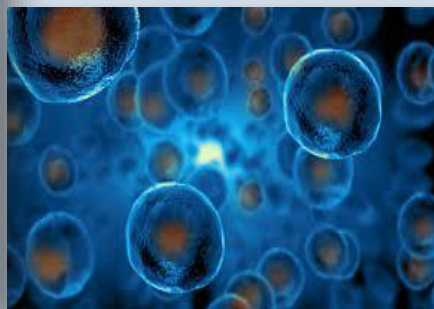
# فناوری ترکیبی از ویرایش ژن و سلول‌های بنیادی



استفاده از ترکیب فناوری ویرایش ژن و سلول‌های بنیادی برای درمان بیماری‌هایی نظیر نقص ایمنی ترکیبی شدید، لوکودیستروفی‌ها و بیماری پروانه‌ای، به عنوان یک رویکرد نوین در پزشکی به ویژه در حوزه درمان‌های ژنتیکی پیشرفت کرده است.



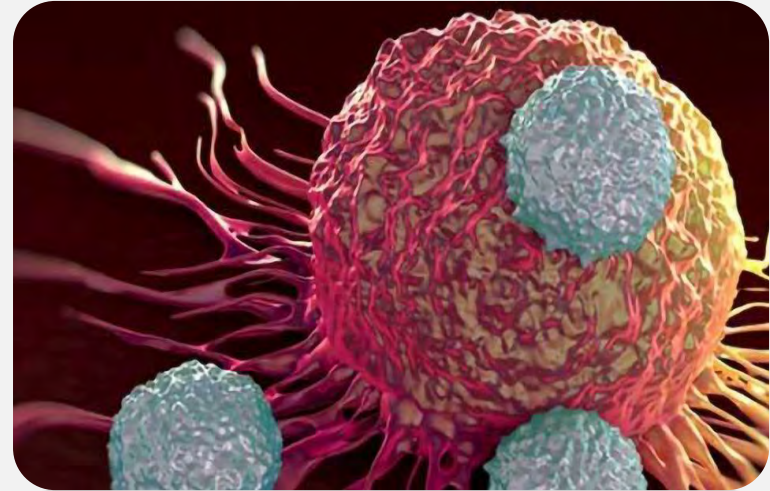
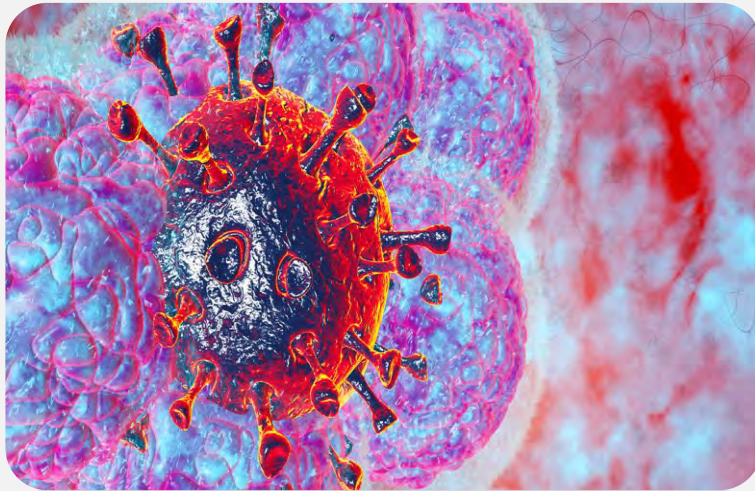
این فناوری با استفاده از ویرایش ژن‌ها به شکل هدفمند و تزریق سلول‌های بنیادی با توانایی تکثیر و تمایز مشخص، به بهبود و درمان این بیماری‌ها کمک می‌کند. این رویکرد همچنین می‌تواند باعث بهبود کیفیت زندگی بیماران شود.



# توسعه سلول‌های کشنده طبیعی (NK) برای درمان سرطان

فناوری‌هایی که از طریق تحریک و توسعه سلول‌های NK به کار می‌روند، از جمله تزریق سلول‌های NK تقویت‌شده به بیمار یا استفاده از داروهایی که اثرات این سلول‌ها را افزایش می‌دهند، جهت بهبود درمان سرطان در مراحل مختلف استفاده می‌شوند.

توسعه سلول‌های کشنده طبیعی به عنوان یک استراتژی در درمان سرطان در حال پیشرفت است. این سلول‌های ایمنی به طور طبیعی توانایی تشخیص و نابودی سلول‌های سرطانی را دارند. با توسعه و تقویت این سلول‌ها از طریق فناوری‌های مختلف، می‌توان بهبود کارایی سیستم ایمنی بدن در مقابل سرطان را دست یافت.



# فناوری‌های حوزه ژن درمانی

۱- فناوری ویروس درمانی با عوامل انکولیتیک برای درمان سرطان

۲- فناوری ویرایش ژن پیشرفته برای درمان بیماری‌های ژنتیکی

۳- ژن‌درمانی مبتنی بر آدنو ویروس برای درمان بیماری‌های چشمی

۴- فناوری ویرایش ژن CRISPR برای درمان بیماری‌هایی همچون سرطان، اختلالات خونی، نابینایی، ایدز، فیبروز کیستیک و دیستروفی عضلانی و دیابت نوع ۱

۵- فناوری ویرایش ژن ViaCyte برای درمان دیابت نوع ۱

۶- فناوری RNAi برای درمان بیماری بیماران بزرگسال مبتلا به پورفیری حاد کبدی و ...

۷- فناوری جایگزینی ژن برای درمان بیماری آتروفی عضلانی نخاعی

۸- فناوری جایگزینی ژن در داروی LUXTURNA برای درمان بیماری چشمی

# فناوری‌های حوزه ژن درمانی

۱۱- فناوری مبتنی بر ژن درمانی  
Zynteglo برای درمان بیماری  
تالاسمی بتا

۱۰- فناوری مبتنی بر ژن درمانی  
AAV5 برای درمان هموفیلی  
شدید A

۹- فناوری انتقال ژن FVIII  
برای درمان هموفیلی A

۱۳- فناوری الیگونوکلوئوتید آنتی سنس برای درمان  
بیماری پلی نوروپاتی آمیلوئیدوز ارثی با واسطه ترانس  
تیرتین در بزرگسالان

۱۲- فناوری ترکیبی از ویرایش ژن و سلول‌های  
بنیادی برای درمان بیماری‌هایی همچون نقص  
ایمنی ترکیبی شدید، لوکودیستروفی‌ها و بیماری  
پروآن‌های

۱۵- فناوری الیگونوکلوئوتید آنتی سنس برای درمان  
بیماری آتروفی عضلانی نخاعی

۱۴- مهندسی درمان‌های RNA در سلول‌ها برای  
درمان بیماران مبتلا به اختلالات خودایمنی،  
انکولوژی و تنفسی

# فناوری‌های حوزه ژن درمانی

۱۸- فناوری خاموش کننده ژن برای ایجاد درمان‌های سلولی قابل برنامه‌ریزی و آلوتنیک

۱۷- فناوری الیگونوکلوئوتید آنتی سنس برای درمان دیستروفی عضلانی دوشن

۱۶- فناوری ابزارهای کنترل کیفیت برای روش‌های ویرایش ژن برای تسریع روند تحقیق و توسعه

۲۰- فناوری مبتنی بر ژن درمانی valoctocogene roxaparvovec برای درمان هموفیلی A

۱۹- فناوری مبتنی بر پپتیدهای مصنوعی و ژن‌درمانی برای تعدیل محیط درون سلولی برای ایجاد و تغییر درمان‌های موجود

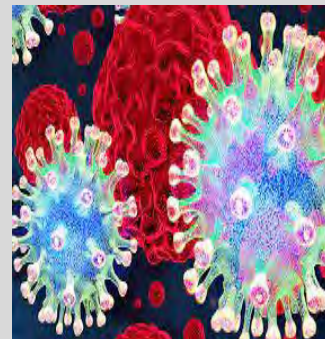
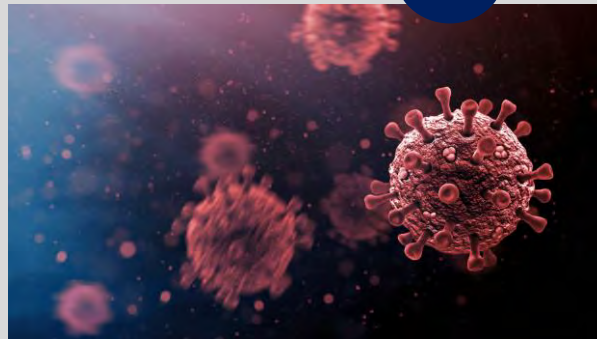
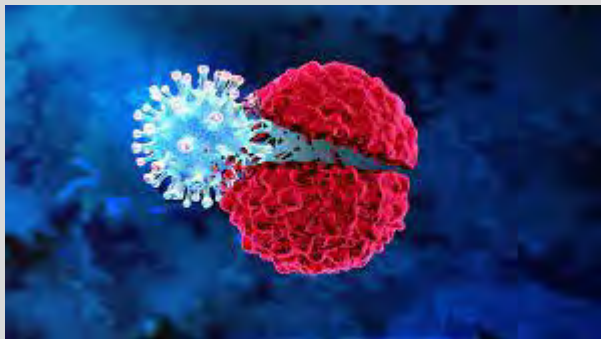
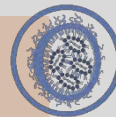
۲۲- فناوری جایگزینی ژن برای درمان بیماری دیستروفی شبکیه مرتبط با جهش RPE65 Biallelic

۲۱- فناوری ویروس انکولیتیک هیبریدی برای درمان سلول‌های تومور و برنامه‌ریزی مجدد ریزمحیط تومور

# فناوری ویروس درمانی با عوامل انکولیتیک برای درمان سرطان

این فناوری به عنوان یک ابزار قوی در درمان‌های سرطانی مطرح است. تحقیقات بر روی بهبود عملکرد و افزایش ایمنی این درمان‌ها همچنان در حال انجام است.

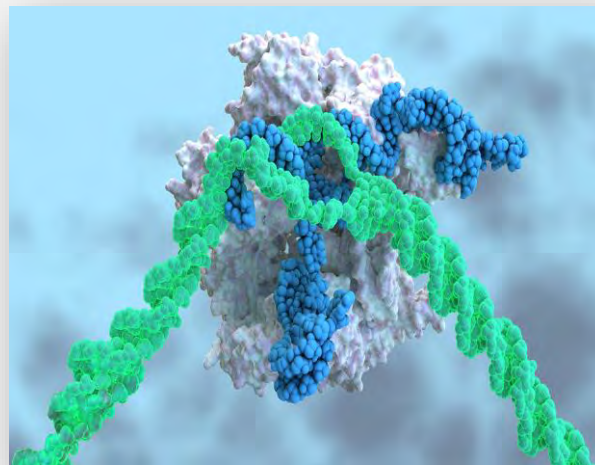
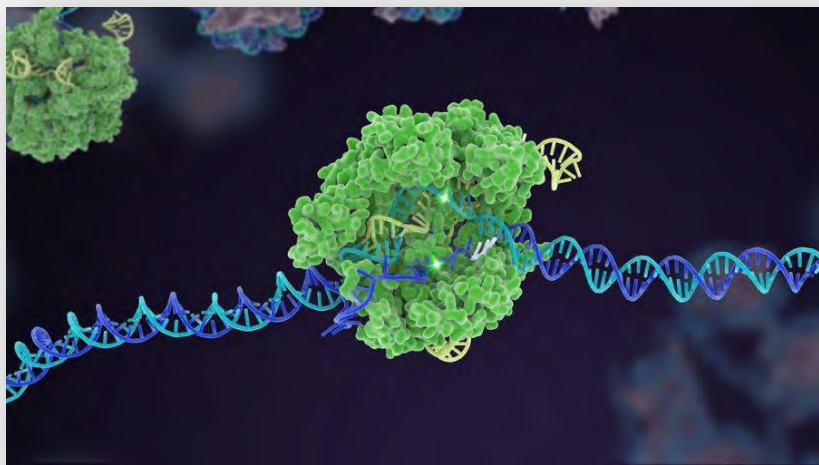
فناوری ویروس درمانی با عوامل انکولیتیک (ویروس‌های ترکیبی که توانایی اصابت و نابودی سلول‌های سرطانی را دارند)، به عنوان یک رویکرد در درمان سرطان شناخته می‌شود. این ویروس‌ها به سلول‌های سرطانی حمله کرده و آن‌ها را نابود می‌کنند، در حالی که به سلول‌های سالم صدمه‌ای نمی‌زنند.



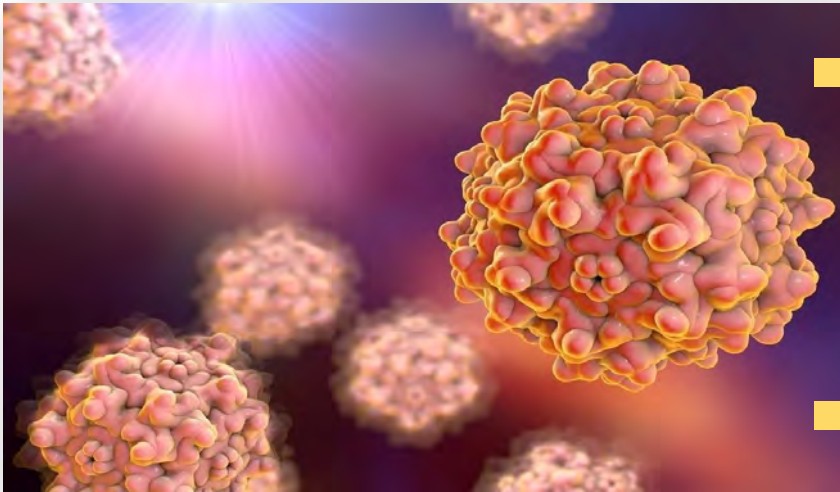
# فناوری ویرایش ژن پیشرفته برای درمان بیماری‌های ژنتیکی

این فناوری از ابزارهایی مانند CRISPR-Cas9 استفاده می‌کند تا ژن‌های مسئول تولید هموگلوبین را ویرایش کرده و تولید هموگلوبین جنینی را تحریک نماید. این رویکرد باعث اصلاح ژنتیکی موجودات زنده می‌شود و می‌تواند بهبود قابل توجهی در کیفیت زندگی بیماران مرتبط با این نوع بیماری‌ها ایجاد کند.

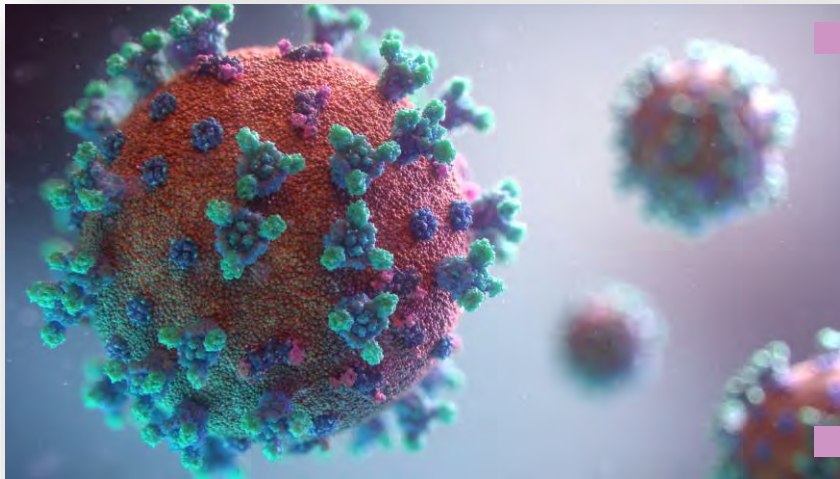
استفاده از رویکرد ویرایش ژنی به منظور تولید هموگلوبین جنینی در بیماران مبتلا به بیماری سلول داسی شکل و تالاسمی‌های وابسته به انتقال خون، به عنوان یک راه حل نوین برای درمان این بیماری‌ها مورد توجه است.



# ژن‌درمانی مبتنی بر آدنو ویروس



استفاده از پلتفرم ناقل ویروسی اختصاصی مبتنی بر ویروس‌های آدنو مرتبط به (Adeno-Associated Virus - AAV) به منظور توسعه محصولات ژن‌درمانی برای درمان بیماری‌های چشمی ارثی، به عنوان یک رویکرد مؤثر در علم ژنتیک و درمان مولکولی مطرح است.



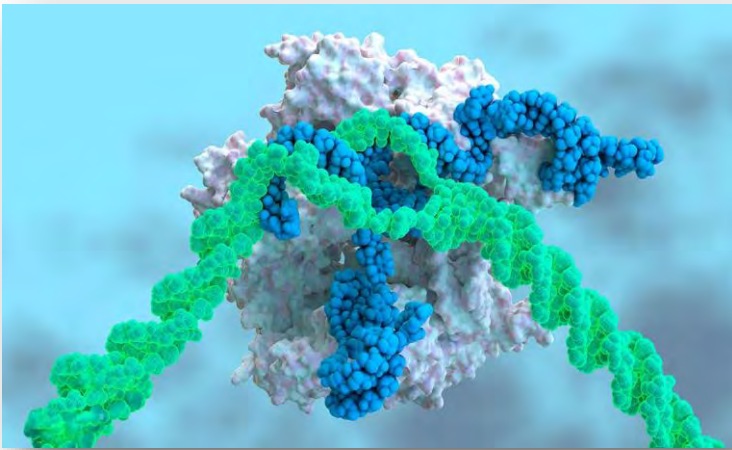
این پلتفرم به وسیله ناقل‌های ویروسی AAV، ژن‌های درمانی را به سلول‌های چشم منتقل کرده و تحریک فعالیت ژنی در سلول‌ها را ایجاد می‌نماید. این روش باعث اصلاح ژنتیکی و ارتقاء عملکرد سلول‌های چشمی می‌شود و می‌تواند بهبود قابل توجهی در برخی از بیماری‌های چشمی ارثی فراهم کند. این فناوری همچنین برای درمان بیماری صرع نیز مورد استفاده قرار می‌گیرد.



# فناوری ویرایش ژن CRISPR

این فناوری امکان ویرایش مستقیم ژنوم سلول‌ها را فراهم کرده و ایرادات ژنتیکی را تصحیح نموده و بخشی از مسیرهای بیولوژیکی که به بروز بیماری منجر می‌شود، را تغییر می‌دهد.

فناوری ویرایش ژن CRISPR به عنوان یک ابزار قدرتمند در درمان بیماری‌های مختلف، از جمله سرطان، اختلالات خونی، نایبایی، ایدز، فیبروز کیستیک، دیستروفی عضلانی و دیابت نوع ۱ مورد تحقیقات فراوانی قرار دارد.



این پیشرفت‌ها نشانگر امکانات بالقوه در درمان و مدیریت این بیماری‌ها و بهبود کیفیت زندگی بیماران هستند.

## فناوری ویرایش ژن ViaCyte برای درمان دیابت نوع ۱



فناوری ویرایش ژن ViaCyte یک رویکرد نوین در درمان دیابت نوع ۱ است. این فناوری از سلول‌های بنیادی معتبر (pluripotent stem cells) که از طریق ویرایش ژنتیکی به سلول‌های بتا تبدیل می‌شوند استفاده می‌کند. این سلول‌های بتا مسئول تولید انسولین در بدن هستند.



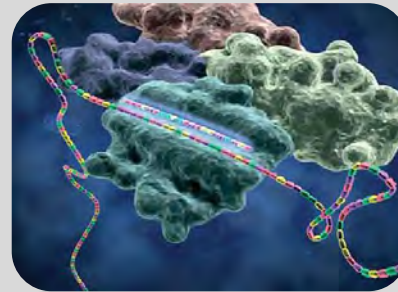
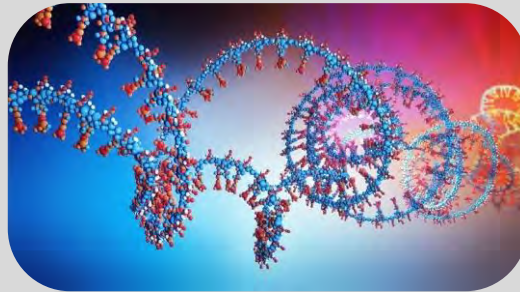
ViaCyte با استفاده از این فناوری، به طور کامل یا جزئی سلول‌های بتا را به بیماران دیابت نوع ۱ منتقل کرده و انسولین به صورت طبیعی تولید می‌کند. این رویکرد بهبود کننده‌ای برای کنترل قند خون و بهبود کیفیت زندگی بیماران دیابت نوع ۱ می‌باشد. هرچند، این فناوری هنوز در مراحل تحقیقاتی است و نیاز به مطالعات بیشتر و آزمون‌های بالینی دارد.

# فناوری RNAi

این فناوری با استفاده از RNAi، به دنبال کاهش فعالیت ژن‌های خاص و تولید پروتئین‌های مرتبط با بیماری می‌باشد.

استفاده از فناوری RNAi در درمان بیماری پلی‌نوروپاتی آمیلوئیدوز ارثی با واسطه ترانس‌تیرتین در بزرگسالان و بیماری هیپراکسالوری اولیه نوع ۱، به عنوان یک رویکرد در تنظیم فعالیت ژن‌ها برای کنترل بیماری‌ها مورد بحث و تحقیقات قرار گرفته است.

به طور مثال در بیماری هیپراکسالوری اولیه نوع ۱، هدف از استفاده از RNAi این است که از طریق کاهش سطح تیرتین در تیرتین‌پاتی پلی‌نوروپاتی آمیلوئیدوز ارثی یا تنظیم بیش از حد فعالیت ژن‌های مرتبط با هیپراکسالوری اولیه نوع ۱، وضعیت بیماران بهبود پیدا کند. این فناوری هنوز در مراحل تحقیقاتی است و نیازمند آزمون‌های بالینی و ادامه تحقیقات می‌باشد.



# فناوری جایگزینی ژن برای درمان بیماری آتروفی عضلانی نخاعی



● فناوری جایگزینی ژن در درمان بیماری آتروفی عضلانی نخاعی (SMA) معمولاً شامل استفاده از روش‌های جایگزینی ژنی مانند "ژن‌درمانی" یا "ژن‌سیلانسینگ" است.

● در این روش‌ها، ژن ناقل با اطلاعات ژنی سالم جایگزین می‌شود یا تأثیرات ژن ناقل با استفاده از RNAi به حداقل می‌رسد. برای SMA، که به دلیل نقص ژن SMN1 ایجاد می‌شود، یکی از راهکارها استفاده از ژن ناقلی به نام SMN2 می‌باشد که در بدن برخی افراد وجود دارد.



● تلاش‌ها برای افزایش تولید و بهبود عملکرد ژن SMN2 یا استفاده از ژن‌های ناقل دیگر در جهت جبران نقص ژن SMN1 در حال انجام است. این فناوری‌ها همچنین ممکن است با استفاده از وکتورهایی مانند ویروس‌های آدنومرتب یا سایر ناقل‌های جایگزین ژنی به بدن تحویل داده شوند. این رویکردها در حال حاضر در مراحل تحقیقاتی و آزمایشات بالینی برای درمان SMA و بیماری‌های دیگر به کار می‌روند.

# فناوری جایگزینی ژن در داروی LUXTURNA برای درمان بیماری چشم

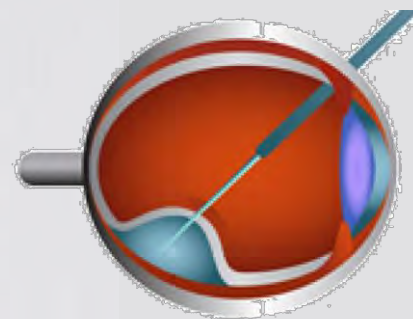
LUXTURNA به عنوان درمان نوین در حوزه ژن‌درمانی چشم مورد استفاده قرار گرفته و امید است که در آینده به بهبود بینایی کمک کند.

این فناوری یک ژن سالم را به بیمارانی با اختلال ژنتیکی که که نقص بینایی دارند، منتقل می‌کند.

درمان بیماری چشمی با نام LUXTURNA از فناوری جایگزینی ژن به نام ژن‌درمانی گرما-ژن استفاده می‌کند.

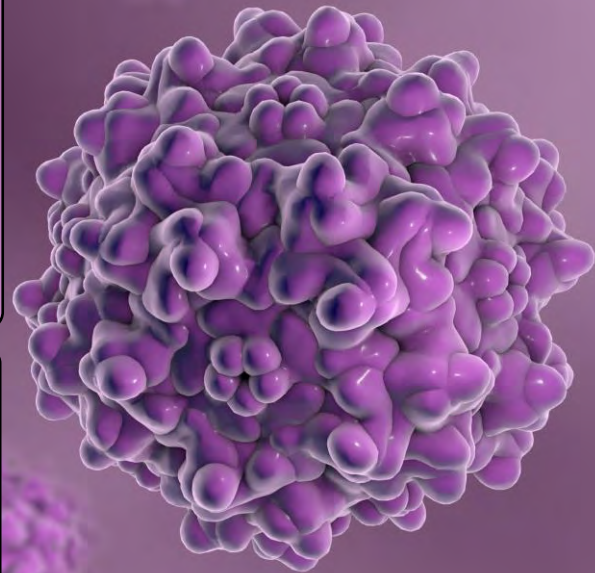


LUXTURNA™



# فناوری انتقال ژن FVIII برای درمان هموفیلی A

فناوری انتقال ژن برای درمان هموفیلی A از روش‌های ژن درمانی استفاده می‌کند. در این رویکرد، ژن FVIII به سلول‌های هدف منتقل می‌شود.

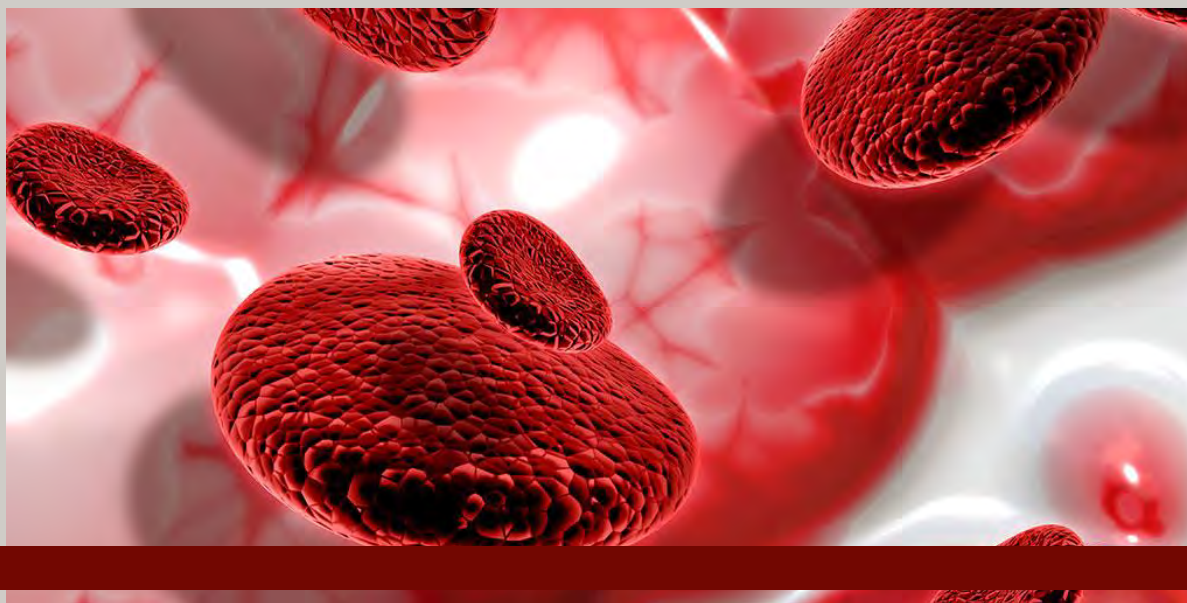


این فناوری مولکول‌های حامل ژن را به سلول‌ها منتقل کرده و سلول‌ها را ترغیب به تولید فاکتور VIII می‌کند. این رویکرد در حال حاضر در مراحل تحقیقاتی و آزمایشی می‌باشد و امیدواریم که در آینده بتواند به عنوان یک راهکار مؤثر در درمان هموفیلی A تأیید شود.

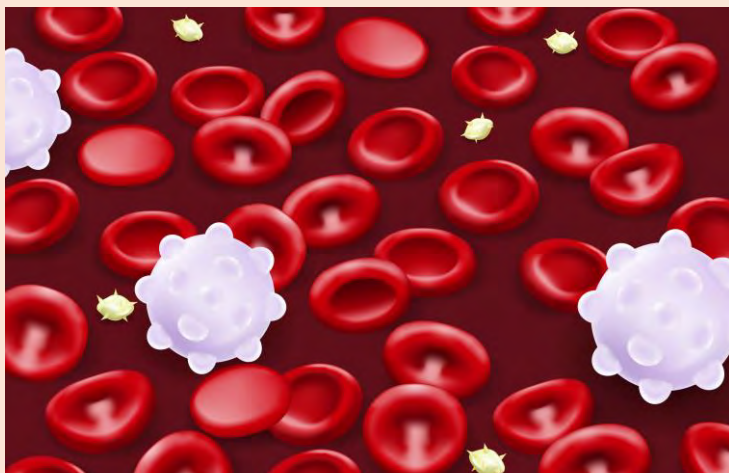
# فناوری مبتنی بر ژن درمانی AAV5 برای درمان هموفیلی شدید A

در آینده‌ای نزدیک این فناوری سبب بهبود وضعیت بیماران هموفیلی شدید A خواهد شد و کیفیت زندگی آنان را افزایش خواهد داد.

فناوری مبتنی بر ژن درمانی AAV5 در درمان هموفیلی شدید A به کمک ویروس‌های آدنوویروس (AAV5) می‌پردازد. در این روش، ژنی که مسئول تولید یک پروتئین خاص در خون برای درمان هموفیلی است، به سلول‌های بدن منتقل می‌شود.



# فناوری مبتنی بر ژن درمانی Zynteglo برای درمان بیماری تالاسمی بتا

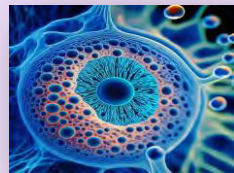


فناوری مبتنی بر ژن درمانی Zynteglo برای درمان بیماری تالاسمی بتا استفاده می‌شود. این درمان از یک ژن جدید به نام BCL11A استفاده می‌کند که نقش اساسی در کاهش تولید زیاد هموگلوبین نرمال خون دارد.

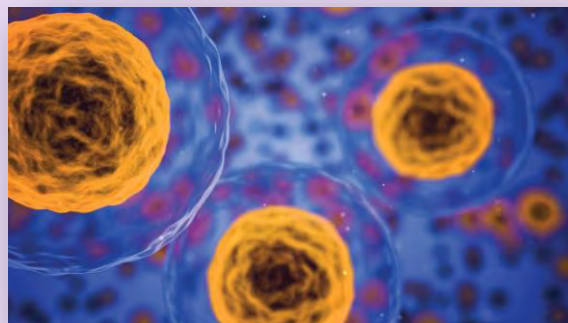
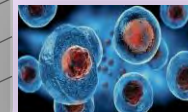
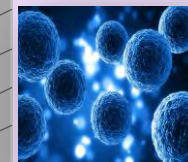
با استفاده از این فناوری، تعداد سلول‌های بنیادی خون تغییر داده می‌شود تا اثرات مثبت در کنترل بیماری تالاسمی بتا ایجاد شود.



# فناوری ترکیبی از ویرایش ژن و سلول‌های بنیادی



ترکیب فناوری ویرایش ژن و سلول‌های بنیادی در درمان بیماری‌هایی مانند نقص ایمنی ترکیبی شدید، لوکودیستروفی‌ها و بیماری پروانه‌ای، این امکان را فراهم می‌کند که با ویرایش ژنتیکی سلول‌های بنیادی، عیب‌های ژنتیکی را اصلاح کرده و سلول‌های بهبود یافته را به بیماران منتقل کنیم. این ترکیب فناورانه به دنبال بهبود عملکرد سلول‌ها و بهبود وضعیت بیماران در مقابل این بیماری‌ها می‌باشد.

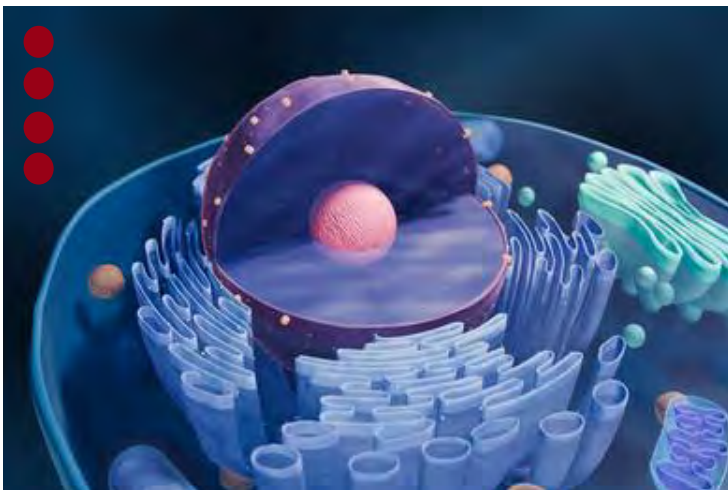


# فناوری الیگنوکلئوتید آنتی سنس

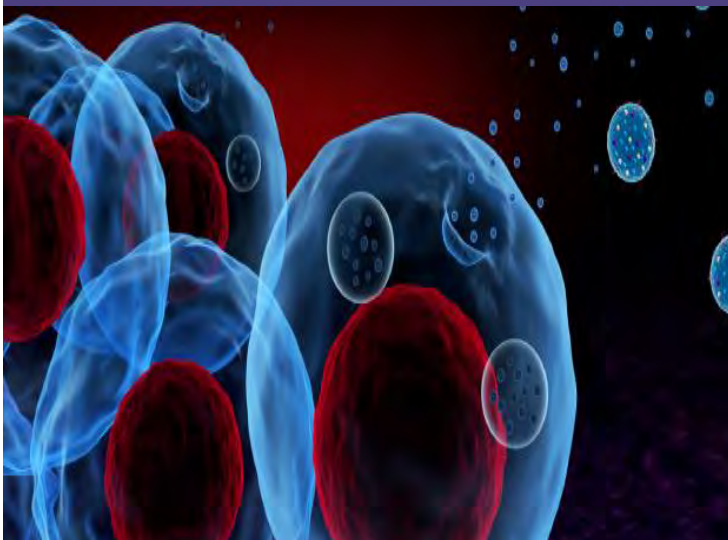
فناوری الیگنوکلئوتید آنتی-سنس برای درمان بیماری پلی نوروپاتی آمیلوئیدوز ارثی با واسطه ترانس تیرتین در بزرگسالان، با استفاده از مولکول‌های کوتاه الیگنوکلئوتید (DNA یا RNA) طراحی شده است.

این الیگنوکلئوتیدها به عنوان آنتی-سنس عمل کرده و بر روی تولید پروتئین آمیلوئید تأثیر می‌گذارند. ترانس تیرتین نیز به عنوان واسطه ایجاد تغییرات در ژنتیک بیمار تأثیر می‌گذارد و به درمان و کنترل بیماری پلی‌نوروپاتی آمیلوئیدوز ارثی کمک می‌کند.

# فناوری مبتنی بر مهندسی RNA



مهندسی درمان‌های RNA برای درمان بیماران مبتلا به اختلالات خودایمنی، انکولوژی و تنفسی شامل استفاده از روش‌هایی مانند ترانسفکشن mRNA (mRNA) و سایر RNAها برای اصلاح یا تقویت سلول‌ها است. این فناوری امکان تنظیم بیان ژن‌ها، تولید پروتئین‌ها و تغییر فعالیت سلولی را فراهم می‌کند.



در اختلالات خودایمنی، می‌توان با کاهش یا افزایش بیان ژن‌های مرتبط با سلول‌های خودایمنی به بهبود وضعیت بیمار کمک کرد. در انکولوژی، مهندسی RNA می‌تواند برای هدف‌گیری پروتئین‌های مرتبط با تومورها و ایجاد اثرات ضدسرطانی استفاده شود. همچنین، در اختلالات تنفسی، تغییر در عملکرد ژن‌ها می‌تواند به بهبود عملکرد ریه و کاهش علائم بیماری‌های تنفسی کمک کند.

# فناوری الیگونوکلئوتید آنتی سنس برای درمان بیماری آتروفی عضلانی نخاعی

ASOها می‌توانند با ترکیب با mRNA حاوی جهش در ژن SMN1، فرایند ترجمه را تغییر دهند و تولید پروتئین SMN را افزایش دهند. این روش می‌تواند بهبود در توانایی عضلات و کیفیت زندگی بیماران SMA ایجاد کند.

استفاده از فناوری الیگونوکلئوتید آنتی‌سنس (ASO) می‌تواند به عنوان روشی نوین برای درمان بیماری آتروفی عضلانی نخاعی (SMA) مورد استفاده قرار گیرد. در SMA، مشکل در ژن SMN1 باعث کاهش تولید پروتئین موتور نرونی (SMN) می‌شود.

ASO به عنوان یک ابزار در تغییر تولید پروتئین SMN استفاده می‌شود.



## فناوری ابزارهای کنترل کیفیت برای روش‌های ویرایش ژن برای تسریع روند تحقیق و توسعه

از ابزارهای کنترل کیفیت می‌توان برای افزایش دقت و اعتبار نتایج در ویرایش ژن استفاده کرد. تجهیزات مانیتورینگ مبتنی بر فلئوئورسانس و سیستم‌های تصویربرداری همگانی، امکان دنبال کردن دقیق تغییرات ژنتیک را فراهم می‌کنند.



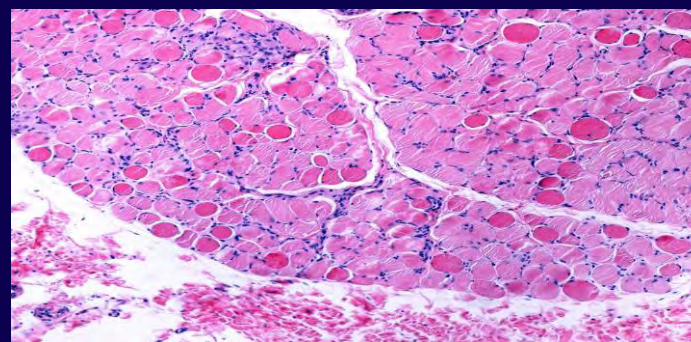
همچنین، روش‌های تجزیه و تحلیل داده متقابل با استفاده از هوش مصنوعی می‌توانند به شناخت الگوهای پیچیده در داده‌های ژنتیکی کمک کنند و سرعت پیشرفت تحقیقات را افزایش دهند.

# فناوری الیگونوکلئوتید آنتی سنس برای درمان دیستروفی عضلانی دوشن

ASO می‌تواند درمانی مؤثر باشد زیرا می‌تواند فرایند تولید پروتئین ناقص در موارد دیستروفی عضلانی دوشن را تنظیم کرده و به افزایش تولید پروتئین نورو دیستروفین که توسط ژن DMD کدگذاری می‌شود، کمک کند. این الیگونوکلئوتیدها ممکن است به طور خاص به mRNA مرتبط با ژن DMD متصل شده و فرایند تولید پروتئین را تغییر دهند.

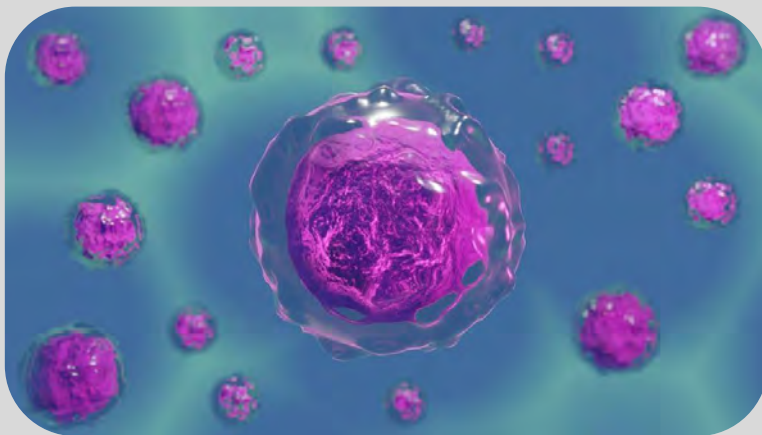
تحقیقات بیشتر در این حوزه در جهت توسعه روش‌هایی برای استفاده از ASO به منظور درمان دیستروفی عضلانی دوشن در حال ادامه است.

استفاده از فناوری الیگونوکلئوتید آنتی‌سنس (ASO) می‌تواند برای درمان دیستروفی عضلانی دوشن (Duchenne Muscular Dystrophy) مؤثر باشد. در این روش، الیگونوکلئوتیدهای کوتاه DNA یا RNA به عنوان ASO به طور مستقیم با هدف ژنتیک مرتبط با بیماری ترکیب می‌شوند.



# فناوری خاموش کننده ژن برای ایجاد درمان‌های سلولی قابل برنامه‌ریزی و آلوتنیک

فناوری خاموش کننده ژن، به عنوان یک رویکرد نوین در تحقیقات درمان‌های سلولی، می‌تواند امکان ایجاد درمان‌های قابل برنامه‌ریزی و آلوتنیک را فراهم کند. با استفاده از این فناوری، می‌توان به دقت ژن‌های خاص را خاموش کرده یا فعالیت آن‌ها را کنترل نمود، که این امر اجازه می‌دهد تا سلول‌های درمانی به توقف یا تقویت واکنش‌های بیولوژیکی واکنش نشان دهند.



این رویکرد می‌تواند در بهبود دقت و اثربخشی درمان‌های سلولی متناسب با نیازهای هر بیمار استفاده شود.

## فناوری مبتنی بر پپتیدهای مصنوعی و ژن‌درمانی

این فناوری از پپتیدهای مصنوعی برای تنظیم سیگنال‌های داخلی سلولی و همچنین از ژن‌های درمانی برای تغییر مسیرهای بیولوژیکی استفاده می‌کند. این رویکرد می‌تواند بهبود در تنظیم و کنترل دقیق‌تر اثرات درمانی، افزایش کارایی و کاهش عوارض جانبی مرتبط با درمان‌ها را فراهم آورد.



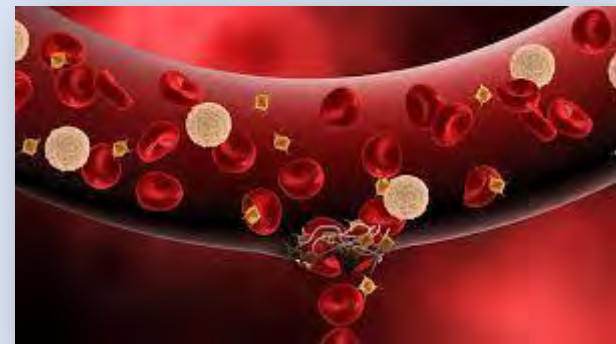
استفاده از فناوری مبتنی بر پپتیدهای مصنوعی و ژن‌درمانی می‌تواند به تعدیل محیط درون سلولی برای ایجاد و تغییر درمان‌های موجود کمک کند.



# فناوری مبتنی بر ژن درمانی valoctocogene roxaparvovec

این فناوری سبب وارد شدن ژن فاکتور VIII خون جهت ترمیم نقص در هموفیلی A می‌شود. Valoctocogene Roxaparvovec به عنوان یک ژن درمانی موجب افزایش فعالیت فاکتور VIII شده و برای تسهیل خونریزی کنترل شده در بیماران هموفیلی A مؤثر است.

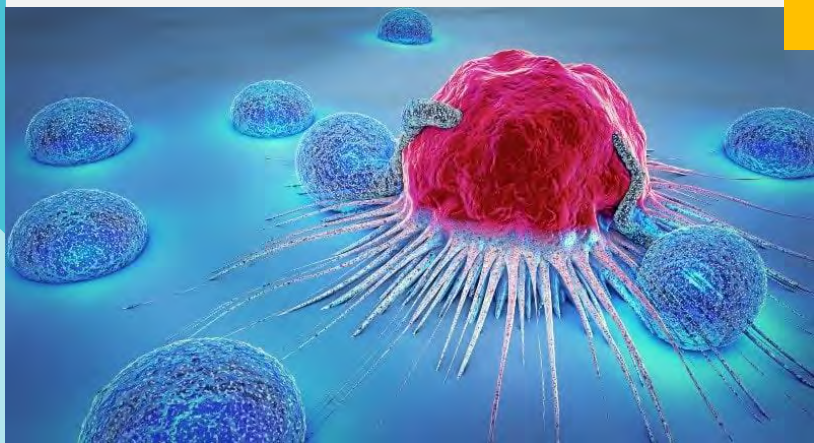
فناوری ژن درمانی مانند  
Valoctocogene Roxaparvovec برای  
درمان هموفیلی A از ویروس‌های  
adeno-associated virus (AAV)  
عنوان حامل ژن استفاده می‌کند.



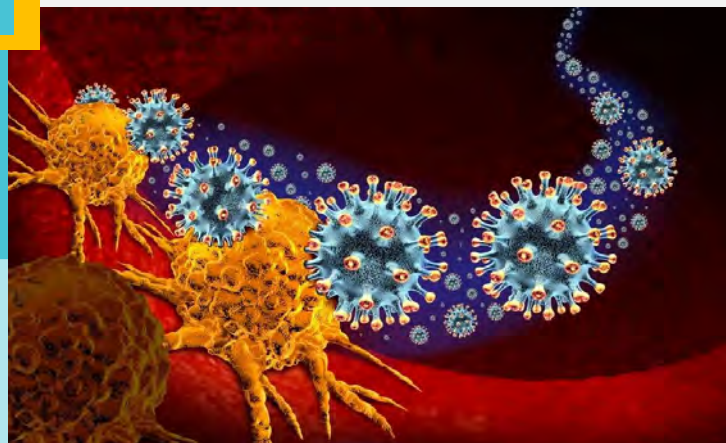
این فناوری نمونه‌ای از پیشرفت‌های مهم در زمینه ژن درمانی برای بیماری‌های ژنتیکی است.

# فناوری ویروس انکولیتیک هیبریدی

با ترکیب ویروس‌های انکولیتیک با خاصیت‌های هیبریدی، می‌توان به طور هدفمندتر به سلول‌های توموری حمله کرده و به نابودی آن‌ها پرداخت. این روش ممکن است بهبودهای قابل توجهی در درمان سرطان و بهبود برنامه‌ریزی محیط داخلی تومور ایجاد کند.

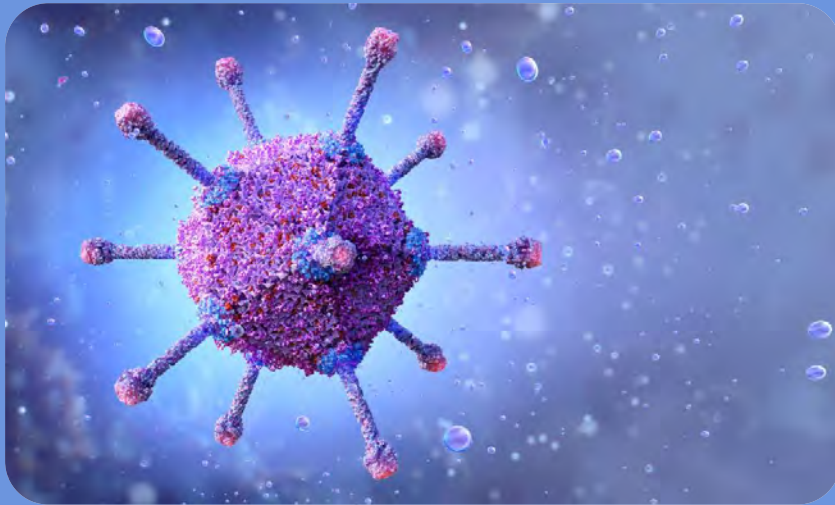


استفاده از فناوری ویروس انکولیتیک هیبریدی می‌تواند برای درمان سلول‌های تومور و برنامه‌ریزی مجدد ریزمحیط تومور مؤثر باشد. این فناوری از ویروس‌هایی که توانایی حمله به سلول‌های سرطانی را دارند، بهره می‌برد.

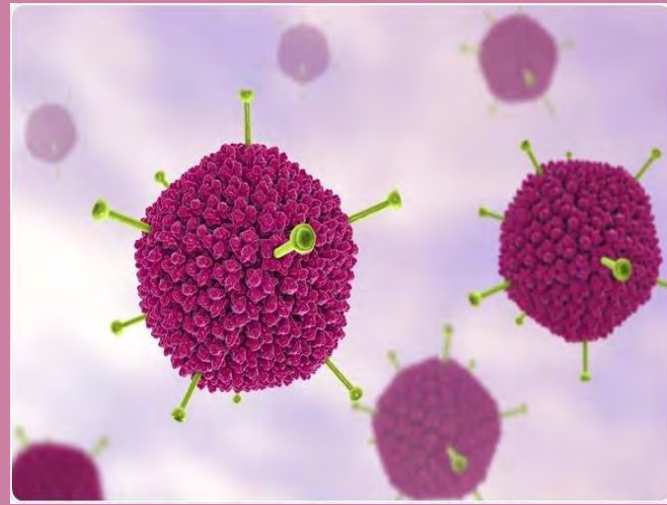


## فناوری جایگزینی ژن برای درمان دیستروفی شبکیه مرتبط با جهش RPE65 Biallelic

از ویروس‌های (AAV) adeno-associated virus به عنوان وسیله حامل برای انتقال ژن به سلول‌ها استفاده می‌شود. این ویروس‌ها قادرند ژن سالم را به سلول‌ها منتقل کرده و تولید پروتئین مورد نیاز برای دیستروفی شبکیه را بهبود بخشند.



فناوری جایگزینی ژن برای درمان بیماری دیستروفی شبکیه مرتبط با جهش Biallelic در ژن RPE65، از روش‌های ژن درمانی بهره می‌برد. در این رویکرد، یک کپی سالم از ژن RPE65 به سلول‌های مبتلا منتقل می‌شود.



# فناوری‌های حوزه مهندسی بافت و مواد زیستی

۱- فناوری پچ سلولی اپیتلیوم  
رنگدانه شبکه

۲- فناوری ایمپلنت ارگانوئید سلول  
پانکراس برای درمان دیابت

۳- فناوری مبتنی بر  
هیدروژل‌ها برای بازسازی  
بافت

۴- فناوری ترکیبی ایمپلنت  
شبکه

۵- فناوری لایه‌بندی سلولی  
( Scaffold decellularization )  
برای بیماران نیازمند به پیوند اعضا

۶- رشد دادن ارگانوئیدها با  
استفاده از بافت‌های برای  
تولید بافت‌های انسانی

۷- استفاده ارگانوئیدهای سلول  
جزایر پانکراس برای درمان  
دیابت نوع ۱

۸- استفاده از ارگانوئیدهای مغزی  
برای تولید مغزهای کوچک از  
سلول‌های بنیادی انسان

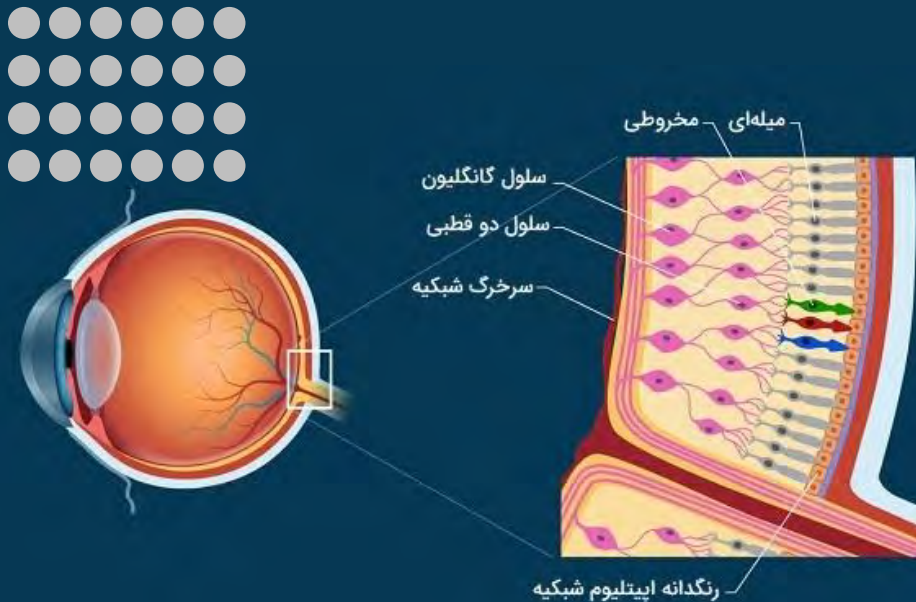
۹- استفاده از مثانه اتولوگ  
مهندسی بافت برای بیماران  
نیازمند به سیستم‌پلاستی

# فناوری پچ سلولی اپیتلیوم رنگدانه شبکیه

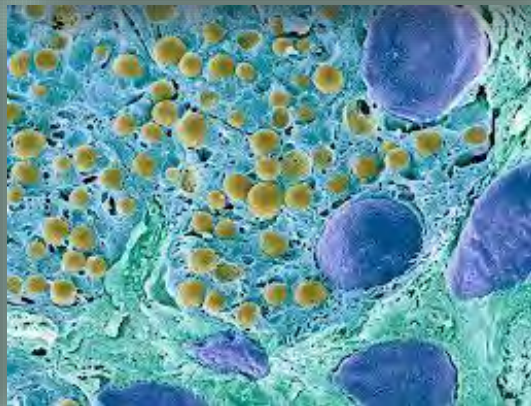
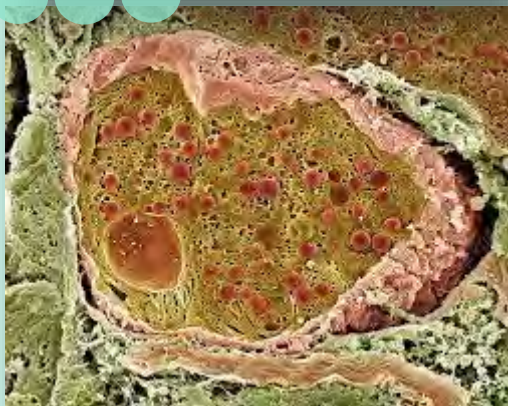
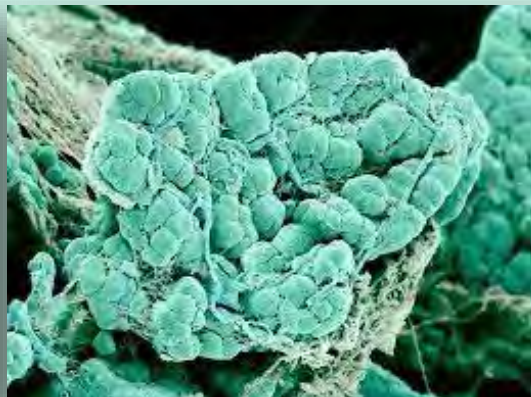
با استفاده از این فناوری، سلول‌های پچ سلولی اپیتلیوم رنگدانه شبکیه از بخش‌های سالم چشم برداشته می‌شوند و در محل‌های دژنره شده در ماکولا قرار داده می‌شوند. این سلول‌ها توانایی تکثیر و تعمیر بافت را دارند و امکان بهبود عملکرد بینایی و کاهش از دست دادن بینایی را فراهم می‌کنند.

این فناوری از سلول‌های پچ سلولی اپیتلیوم رنگدانه شبکیه که به صورت طبیعی در لایه‌ی پشتی شبکیه موجودند استفاده می‌کند و نقش مهمی در حفظ و تعمیر بافت‌های ماکولا دارند.

این روش، پتانسیل جدیدی برای درمان دژنراسیون ماکولا فراهم می‌کند و از نظر علمی و پزشکی، در حال توسعه و آزمایش در مراکز تحقیقاتی و پزشکی معتبر است.



# فناوری ایمپلنت ارگانوئید سلول پانکراس برای درمان دیابت



این فناوری شامل تزریق یا پیوند سلول‌های پانکراتیک ایزوله شده به بیمار است. سلول‌های پانکراتیک، مسئول تولید انسولین در بدن هستند و در افراد دیابتی، عملکرد آنها تخریب شده است.

با استفاده از این فناوری، سلول‌های پانکراتیک درون ایمپلنت (مانند کپسول یا ساختار دیگری) به بدن بیمار وارد می‌شوند، که این ایمپلنت قادر است انسولین را به صورت طبیعی به بدن تزریق کند و در نتیجه کنترل قند خون را بهبود بخشد.

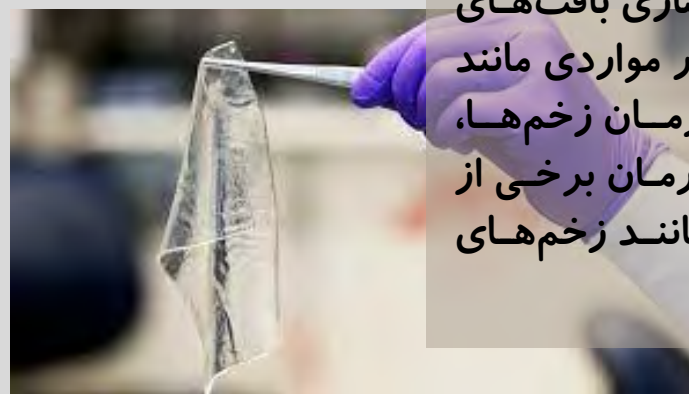
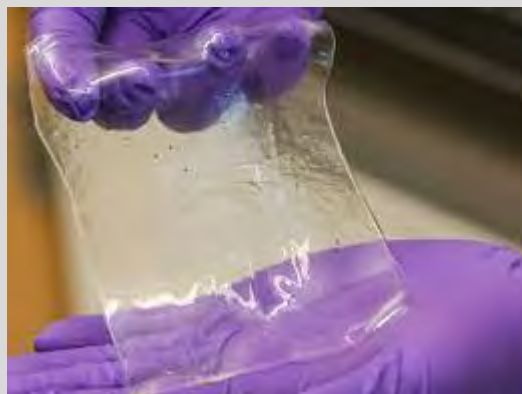
## فناوری مبتنی بر هیدروژل‌ها برای بازسازی بافت



هیدروژل‌ها ساختارهای ژل‌سانی هستند که معمولاً از پلیمرهای آب‌دوست وابسته به آب تشکیل شده‌اند. این مواد به دلیل ویژگی‌های خاصی مانند قابلیت جاذبیت آب بالا، انعطاف‌پذیری و سازگاری با بافت‌های زنده، برای انواع مختلفی از کاربردها مورد استفاده قرار می‌گیرند.

هیدروژل‌ها می‌توانند مواد دارویی و عوامل رشد را همراه با خود جذب کنند و آن‌ها را به طور مستقیم به ناحیه‌های مورد نیاز در بدن انتقال دهند.

در بازسازی بافت، هیدروژل‌ها به عنوان ماتریس‌های سه‌بعدی برای رشد و تکثیر سلول‌ها، تعمیر بافت و افزایش فعالیت سلولی استفاده می‌شوند. این فناوری امکان فراهم کردن یک محیط مؤثر و مساعد برای بازسازی بافت‌های آسیب‌دیده را به ویژه در مواردی مانند بازسازی استخوان، درمان زخم‌ها، ترمیم بافت عصبی، و درمان برخی از بیماری‌های تخصصی مانند زخم‌های چشمی فراهم می‌کند.



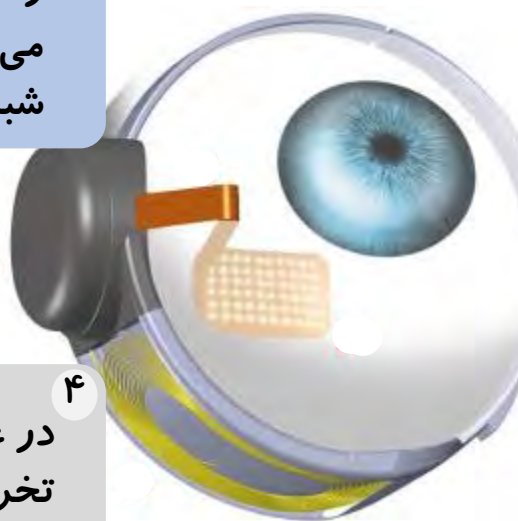
# فناوری ترکیبی ایمپلنت شبکیه

۱ در این فناوری، ابتدا سلول‌های بیمار از بیمار برداشته می‌شوند.

۳ این ایمپلنت شبکیه، پس از جایگذاری در منطقه ماکولا، اجازه می‌دهد تا سلول‌های بیمار بهبود یافته به شکل طبیعی در منطقه آسیب‌دیده قرار بگیرند و فرایند ترمیم بافت را شروع کنند.

۲ سپس این سلول‌ها به وسیله داربست زیست تخریب‌پذیر، که معمولاً از موادی مانند کلاژن یا ژلاتین تشکیل شده‌اند، فراهم می‌شود و در قالب یک ایمپلنت شبکه قرار می‌گیرند.

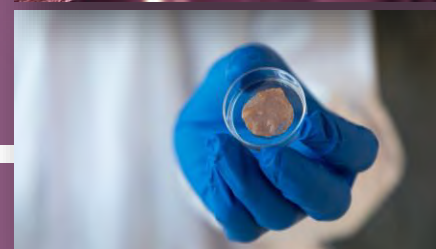
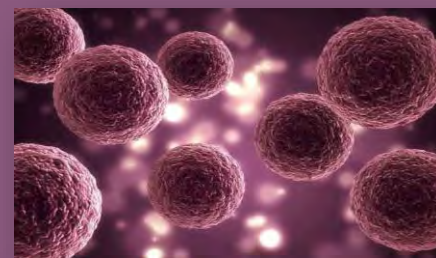
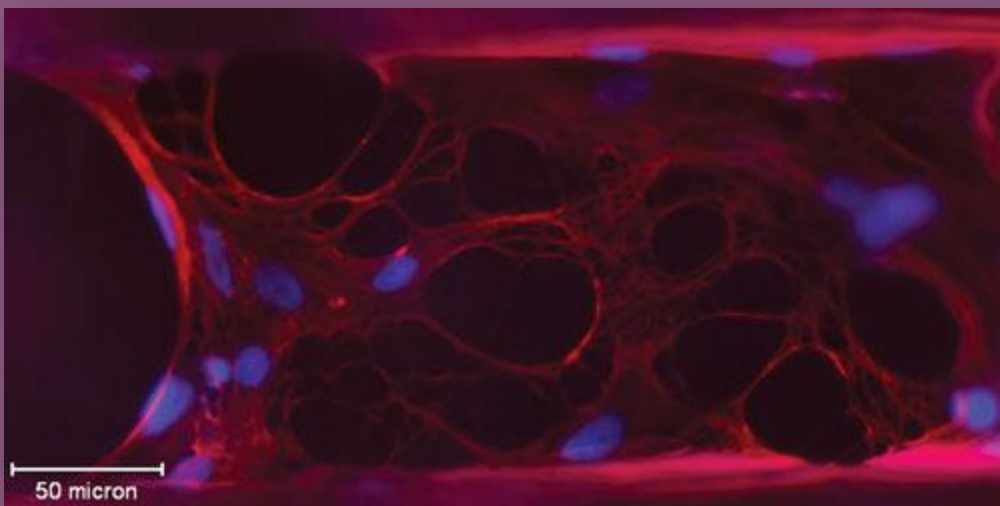
۴ در عین حال، داربست زیست تخریب‌پذیر به مرور زمان تخریب می‌شود و به طور طبیعی در بدن حل می‌شود، در حالی که سلول‌های بیمار به سلامت بافت رشد می‌کنند.





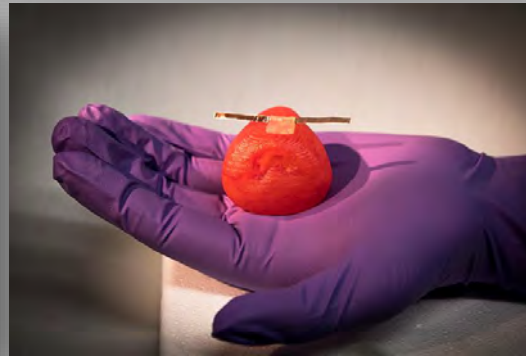
## فناوری لایه بندی سلولی برای بیماران نیازمند به پیوند اعضا

فناوری لایه بندی سلولی به معنای استفاده از سلول‌ها برای ایجاد یک لایه سلولی در محیطی خاص است و معمولا برای ترمیم بافت‌های آسیب دیده در بدن بیماران نیازمند به پیوند اعضا مورد استفاده قرار می‌گیرد. این فناوری اغلب با استفاده از (scaffold) قالب سلولی انجام می‌شود که سلول‌ها در آن قرار می‌گیرند و محیطی مناسب برای رشد و تکثیر آن‌ها فراهم می‌کند. در این روش، ابتدا scaffold با استفاده از مواد زیستی مناسب ساخته می‌شود. سپس، سلول‌های مورد نیاز برای بافت مورد نظر از بدن بیمار یا منابع دیگر استخراج می‌شوند. این سلول‌ها سپس در scaffold قرار می‌گیرند و در شرایط مناسبی، مانند دما و رطوبت مناسب، به رشد و تکثیر می‌پردازند، که در نتیجه باعث تشکیل یک لایه سلولی جدید در محیط scaffold می‌شود. این لایه سلولی سپس می‌تواند به عنوان یک بافت جدید درمانی برای جایگزینی بافت‌های آسیب دیده یا ناتوان شده در بدن بیمار استفاده شود.

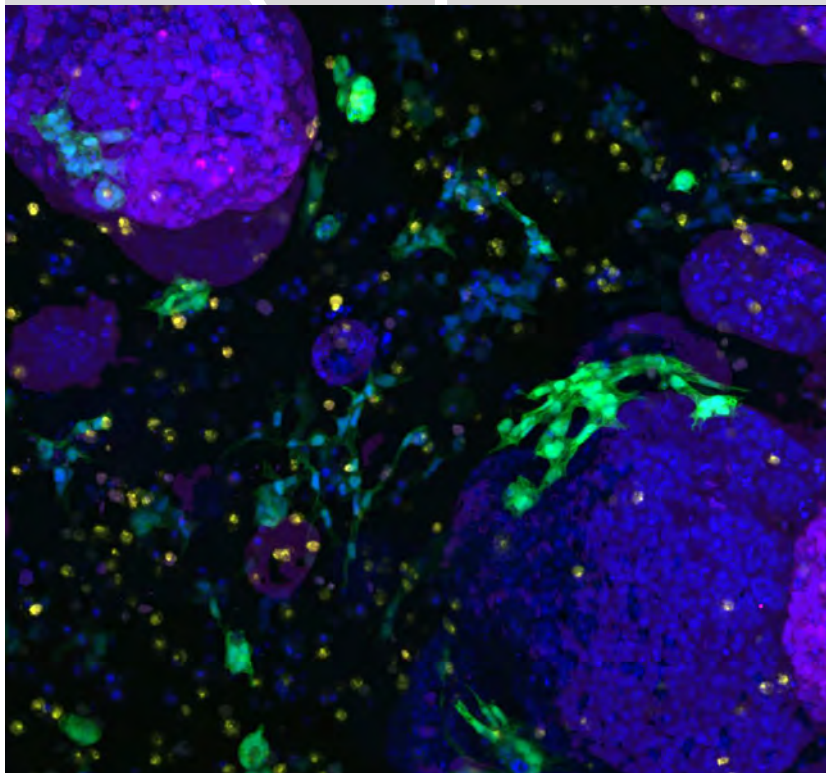


# رشد دادن ارگانوئیدها با استفاده از بافت‌ها برای تولید بافت‌های انسانی

فناوری رشد ارگانوئیدها با استفاده از بافت‌ها به منظور تولید ارگان‌های انسانی مانند قلب، کبد، مغز و کلیه، از سلول‌های بنیادی یا سلول‌های تخصصی استفاده می‌کند. این سلول‌ها در یک چارچوب سه‌بعدی قرار می‌گیرند و به تدریج به سمت تخصصی شدن و تشکیل ساختارهای سلولی ارگانیک می‌روند. این فناوری باعث تولید ارگان‌های مصنوعی است که می‌توانند به عنوان جایگزین‌های مناسب برای ارگان‌های واقعی در بیماران نیازمند به پیوند اعضا استفاده شوند.



# استفاده از گانوئیدهای سلول جزایر پانکراس برای درمان دیابت نوع ۱



استفاده از ارگانوئیدهای سلول جزایر پانکراس برای درمان دیابت نوع ۱، شامل انتقال سلول‌های جزایر پانکراس به بیماران دیابت نوع ۱ می‌شود. این سلول‌ها انسولین تولید می‌کنند و با انتقال به بیمار، کنترل بهتری بر روی قند خون بیمار فراهم می‌آید، که می‌تواند نیاز به تزریقات انسولین را کاهش دهد.



# استفاده از ارگانوئیدهای مغزی برای تولید مغزهای کوچک از سلول‌های بنیادی انسان

این مغزهای کوچک تولید شده می‌توانند به عنوان مدل‌های آزمایشگاهی برای تحقیقات در زمینه‌های مختلفی مانند بیماری‌های عصبی، نوروساینس و داروسازی استفاده شوند.

در این روش، سلول‌های بنیادی انسانی که توانایی تخصیص به مختلف نواحی مغز را دارند، در شرایط مخصوصی به رشد و تمایز می‌رسند. این سلول‌ها در یک چارچوب سه‌بعدی مناسب کشت می‌شوند تا به تدریج به ساختارهای مغزی تبدیل شوند.

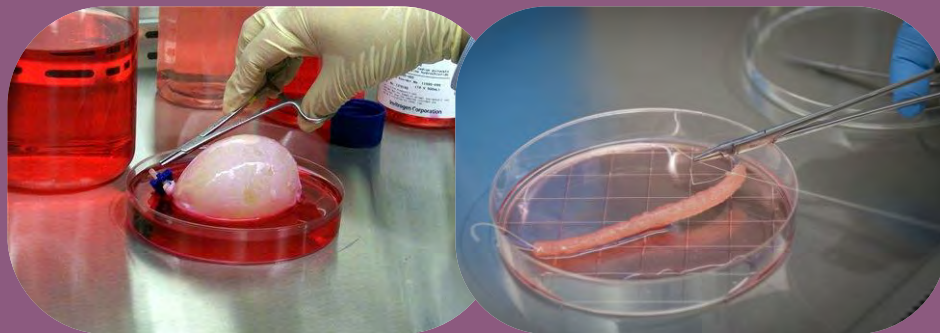
همچنین، این فناوری ممکن است که در آینده بتواند به عنوان یک روش پیشرفته در درمان بیماری‌های مغزی و اختلالات عصبی مورد استفاده قرار گیرد.

## استفاده از مثانه اتولوگ مهندسی بافت برای بیماران نیازمند به سیستوپلاستی

این مثانه جدید، که از بافت اتولوگ بیمار تهیه شده است، برای جایگزینی مثانه قدیمی و آسیب دیده بیمار استفاده می شود. از آنجایی که بافت مثانه اتولوگ از بدن خود بیمار تهیه شده است، خطر ردیابی آنتی ژنی یا عدم سازگاری با بدن بسیار کمتر است، که این امر می تواند به دوری از عوارض جانبی و بهبود سریع تر فرایند بهبودی کمک کند.

استفاده از مثانه اتولوگ مهندسی بافت برای بیماران نیازمند به سیستوپلاستی یک روش پیشرفته در زمینه پزشکی و بازسازی بافت است. در این روش، از بافت های بیمار برای ایجاد یک مثانه جدید استفاده می شود. ابتدا، از بیمار نمونه های کوچکی از بافت مثانه برداشته می شود. سپس، این نمونه های بافتی به طور مهندسی در آزمایشگاه کشت می شوند و به شکل یک مثانه جدید بافته می شوند.

استفاده از مثانه اتولوگ مهندسی بافت برای بیماران نیازمند به سیستوپلاستی به عنوان یک رویکرد مؤثر و پیشرفته در درمان بیماران با مشکلات مثانه مورد استفاده قرار می گیرد و با توجه به اثربخشی و کمتر بودن مشکلات جانبی، توجه بسیاری از پزشکان و بیماران را به خود جلب کرده است.



# فناوری حوزه برنامه‌ریزی مجدد سلولی

فناوری مبتنی بر مهندسی سلول و برنامه‌ریزی مجدد *in vivo* برای بازگرداندن بینایی

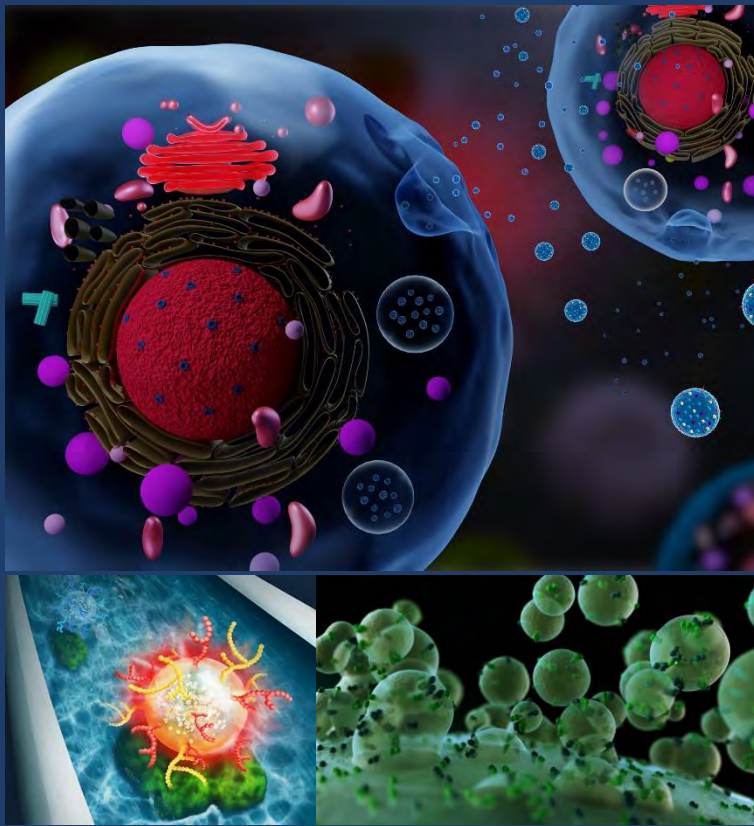
استفاده از مهندسی ژنتیک برای بهبود و یا بازسازی سلول‌های حسی و نوری در شبکه عصبی بصری، به تحسین برانگیزترین نتایج در بازگرداندن بینایی افراد مبتلا به بیماری‌های نایب می‌انجامد.

استفاده از فناوری مبتنی بر مهندسی سلول و برنامه‌ریزی مجدد (*in vivo programming*) می‌تواند برای بازگرداندن بینایی در افراد مورد استفاده قرار گیرد. در این رویکرد، سلول‌های بینایی یا مکمل‌های ژنتیکی مهندسی شده به بخش‌های مختلف چشم انسان منتقل می‌شوند.

این فناوری می‌تواند با تغییرات در ژنوم سلول‌ها، تعداد سلول‌های حسی را افزایش دهد یا عملکرد آن‌ها را بهبود بخشد. تحقیقات در حوزه مهندسی سلول و برنامه‌ریزی مجدد *in vivo* در حال ادامه است.

# فناوری حوزه آگزوزم درمانی

فناوری آزادسازی وزیکول خارج سلولی (CLEVR) برای ایجاد یک پلتفرم قوی برای تولید یک منبع ثابت و بی‌پایان از وزیکول‌های خارج سلولی



فناوری آزادسازی وزیکول خارج سلولی (Extracellular Vesicle Release Technology) از خطوط سلولی برای تولید وزیکول‌های خارجی برای انتقال مواد بیوشیمیایی استفاده می‌کند. این فناوری از خطوط سلولی برای تولید و افزایش آزادسازی وزیکول‌ها بهره می‌برد. این وزیکول‌ها می‌توانند در انتقال اطلاعات بین سلولی، ارتباطات داخلی و ایفای نقش در پدیده‌های بیولوژیکی مختلف مؤثر باشند.

# فناوری‌های حوزه داربست‌های سلولی و ماتریکس

۱- فناوری ایمپلنت ارگانوئید سلول پانکراس برای درمان دیابت

۲- فناوری ترکیبی ایمپلنت شبکه

۳- رشد دادن ارگانوئیدها با استفاده از بافت‌ها

۴- استفاده ارگانوئیدهای سلول جزایر پانکراس به عنوان درمانی برای دیابت نوع ۱

۵- استفاده از ارگانوئیدهای مغزی برای تولید مغزهای کوچک از سلول‌های بنیادی انسان

۶- فناوری آزادسازی وزیکول خارج سلولی (CLEVR)



# فناوری ایمپلنت ارگانوئید سلول پانکراس برای درمان دیابت

هدف اصلی این فناوری افزایش تولید انسولین و کنترل بهتر قند خون در افراد مبتلا به دیابت است. تحقیقات و آزمایشات در این زمینه در حال ادامه هستند تا این فناوری به عنوان یک روش مؤثر و پایدارتر برای مدیریت دیابت شناخته شود.

فناوری ایمپلنت سلول‌های پانکراس یک روش نوین در درمان دیابت می‌باشد. این فناوری شامل انتقال گروهی از سلول‌های پانکراس به بیمار می‌شود تا بر تولید انسولین برخوردار باشد. سلول‌های پانکراس، مسئول تولید انسولین و تنظیم قند خون هستند.

در این روش، سلول‌های پانکراس از یک فرد یا منبع دیگر جدا شده و به محلی در بدن بیمار انتقال می‌یابند. این ایمپلنت‌ها معمولاً در محیط یا دستگاهی که قابلیت حفظ و حمایت از سلول‌ها را دارد، قرار می‌گیرند.

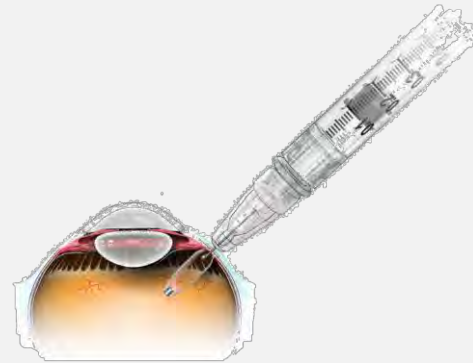


# فناوری ترکیبی ایمپلنت شبکیه



فناوری ترکیبی ایمپلنت شبکیه با داربست زیست تخریب پذیر برای درمان دژنراسیون ماکولا خشک پیشرفته، به نوعی ترکیب مهندسی سلولی و مواد زیست تخریب پذیر می پردازد. در این رویکرد، سلول های بیمار از شبکیه جدا می شوند و سپس به همراه داربست زیست تخریب پذیر در منطقه دژنره شده ایمپلنت می شوند.

این داربست زیست تخریب پذیر معمولاً از موادی تشکیل شده است که به طور طبیعی توسط بدن جذب می شوند و به مرور زمان تخریب می شوند. این فناوری ممکن است باعث ایجاد یک محیط مناسب برای رشد و توسعه سلول های شبکیه گردد و به بهبود بینایی و کاهش پیشرفت دژنراسیون ماکولا کمک کند.



## رشد دادن ارگانوئیدها با استفاده از بافتها



فناوری رشد دادن ارگانوئیدها با استفاده از بافتها به منظور تولید بافت‌های انسانی از ارگان‌های مختلف از جمله قلب، کبد، مغز و کلیه، به عنوان روشی نوین در زمینه تحقیقات پزشکی و بیوتکنولوژی مطرح شده است. این فناوری از روش‌های مهندسی بافت و مهندسی سلول استفاده می‌کند. در این رویکرد، سلول‌های مرتبط با هر ارگان به محیطی خاص انتقال می‌یابند که امکان رشد و تکامل این سلول‌ها به شکل یک ارگان کوچک، یا ارگانوئید، را فراهم می‌کند. این ارگانوئیدها می‌توانند ویژگی‌هایی از ارگان واقعی را شبیه‌سازی کرده و به دلیل این تشابه، برای تحقیقات دارویی، ارزیابی تأثیرات سمیت و حتی توسعه رویکردهای درمانی مورد استفاده قرار گیرند.

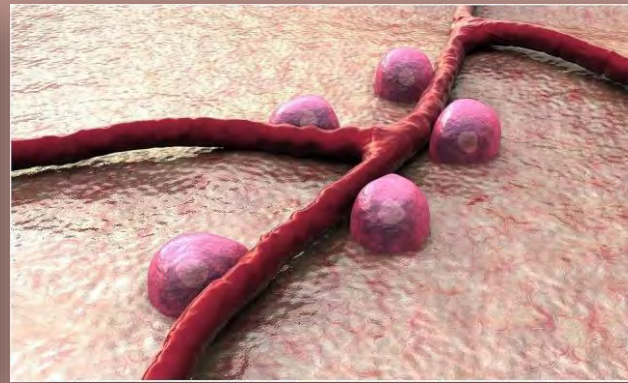
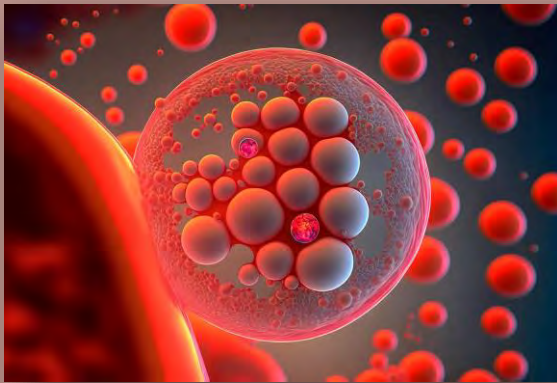
# استفاده از گانوئیدهای سلول جزایر پانکراس به عنوان درمانی برای دیابت نوع ۱

استفاده از ارگانوئیدهای سلول‌های جزایر پانکراس به عنوان درمانی برای دیابت نوع ۱ یک رویکرد موازی و نوین در حوزه درمان دیابت محسوب می‌شود.

مزیت این رویکرد در این است که این ارگانوئیدها می‌توانند عملکرد مشابهی به جزایر پانکراس طبیعی انجام دهند و انسولین را به صورت طبیعی تر به بدن تزریق کنند. این موضوع می‌تواند به بهبود کنترل قند خون و کاهش وابستگی به تزریق انسولین در بیماران دیابت نوع ۱ کمک کند.

در این روش، سلول‌های جزایر پانکراس که انسولین تولید می‌کنند، به صورت یک ارگانوئید کوچک کشت شده و سپس به بیمار منتقل می‌شود.

هرچند که این رویکرد هنوز در مراحل ابتدایی تحقیقات است و چالش‌های زیادی مانند پذیرش سلول‌ها توسط بدن و پیشگیری از ردگیری سلول‌ها وجود دارد، اما به نظر می‌رسد که می‌تواند یک راه حل هموار و مؤثر برای مدیریت دیابت نوع ۱ باشد.

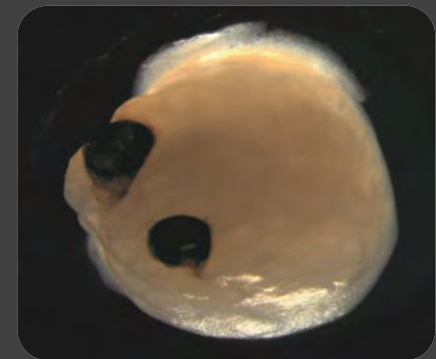


## استفاده از ارگانوئیدهای مغزی برای تولید مغزهای کوچک از سلول‌های بنیادی انسان

استفاده از ارگانوئیدهای مغزی به عنوان مدل‌های تحقیقاتی جهت تولید مغزهای کوچک از سلول‌های بنیادی انسان، یک رویکرد نوین در زمینه مهندسی بافت و پزشکی است. در این روش، سلول‌های بنیادی انسانی به صورت ارگانوئیدهای مغزی تبدیل می‌شوند که ویژگی‌های ساختاری و وظیفی مشابه به مغز طبیعی را به خود می‌گیرند.

هرچند که این حوزه هنوز در مراحل ابتدایی تحقیقات است و چالش‌هایی مانند پیچیدگی بالای ساختار مغز و نیاز به شبیه‌سازی دقیق‌تر واحدهای عصبی را دارد، اما توسعه این فناوری می‌تواند به پیشرفت‌های مهم در درمان بیماری‌های مغزی و درک بهتر از عملکرد مغز کمک کند.

این ارگانوئیدها می‌توانند برای تحقیقات در زمینه بررسی توسعه مغز، بررسی بیماری‌های مغزی و حتی تست کارایی داروها استفاده شوند. این مدل‌های مصنوعی مغز می‌توانند به محققان امکان دهند تا رفتارها و واکنش‌های مغزی را در شرایط کنترل شده مطالعه کرده و راهکارهای درمانی نوین را طراحی نمایند.

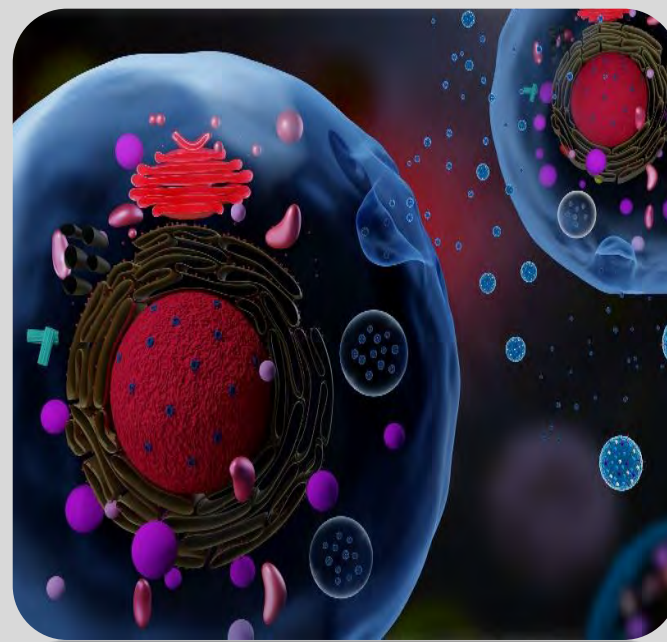
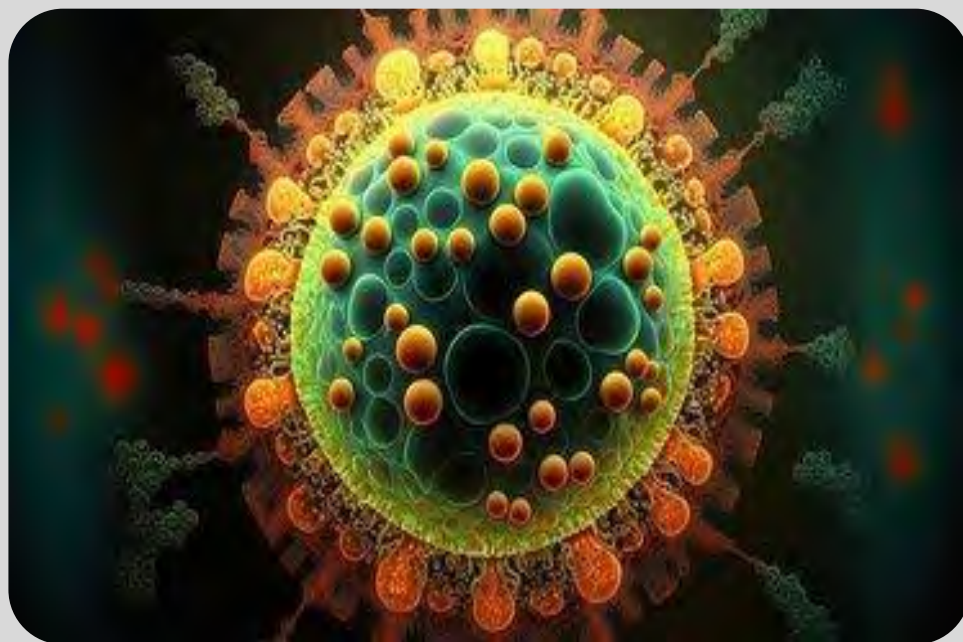


# فناوری آزادسازی وزیکول خارج سلولی

این پلتفرم می‌تواند در تحقیقات پزشکی، انتقال داروها و حتی توسعه درمان‌های مؤثر برای بیماری‌ها مختلف مورد استفاده قرار گیرد.

این فرایند شامل استفاده از سلول‌های مخصوص و فعال‌سازهای مورد نیاز برای تولید وزیکول‌های خارج سلولی با خصوصیات معین است.

فناوری آزادسازی وزیکول خارج سلولی، یک پلتفرم قوی برای تولید یک منبع ثابت و بی‌پایان از وزیکول‌های خارج سلولی فراهم می‌کند.



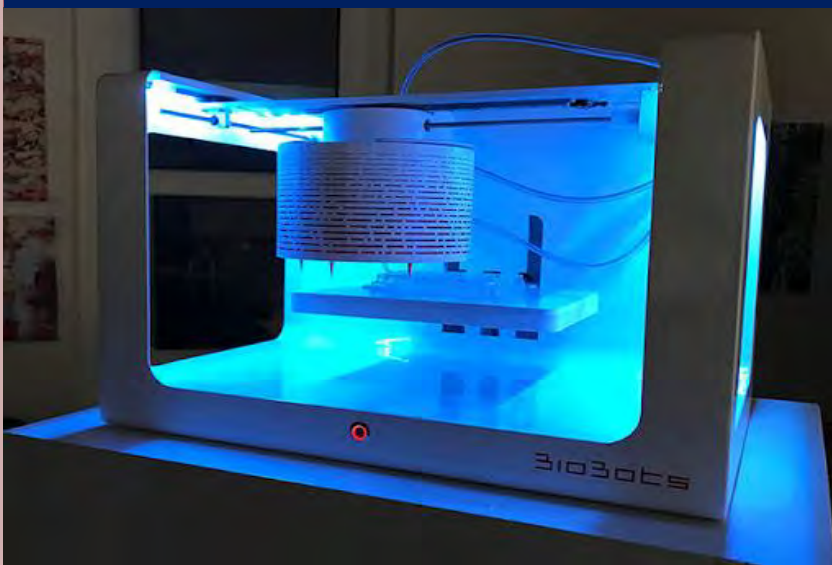
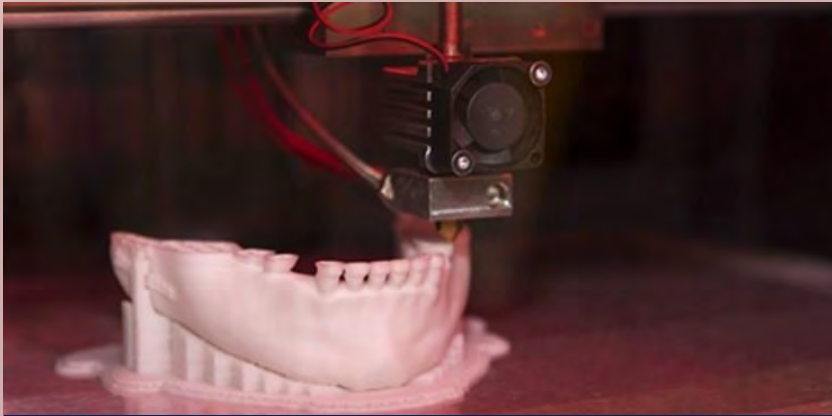
# فناوری‌های حوزه چاپ زیستی سه بعدی

---

۱- فناوری جایگزینی استخوان با چاپ زیستی  
برای درمان بیماری‌های استخوان

۲- استفاده از بافت‌های پرینت سه بعدی برای  
درمان نقایص یا آسیب‌های استخوانی

# فناوری جایگزینی استخوان با چاپ زیستی

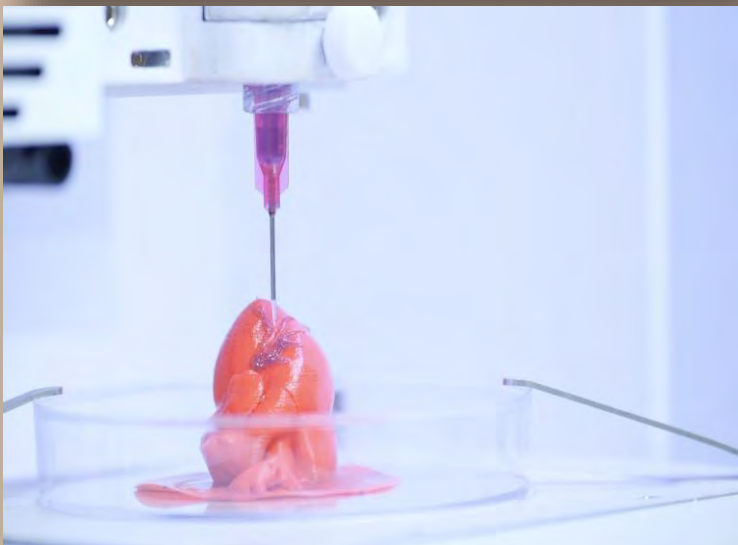
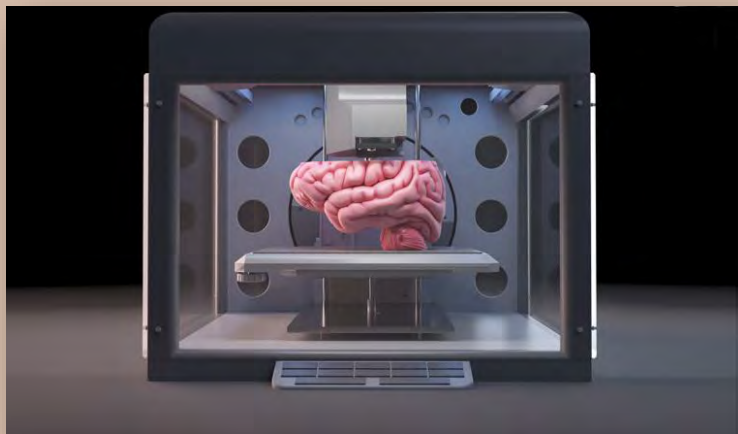


فناوری جایگزینی استخوان با استفاده از چاپ زیستی، به عنوان رویکردی نوین در پزشکی، امکان ایجاد ساختارهای استخوانی با دقت بالا و تطابق با ساختمان بدن را فراهم می‌کند.

این فناوری از مواد بیولوژیکی مانند خوراکی‌های چاپ‌شونده یا سلول‌های بنیادی برای تولید استخوان استفاده می‌کند. این روش می‌تواند در ترمیم آسیب‌های استخوانی یا جایگزینی استخوان‌های مفقوده مؤثر باشد.



# فناوری پرینت بافت سه بعدی



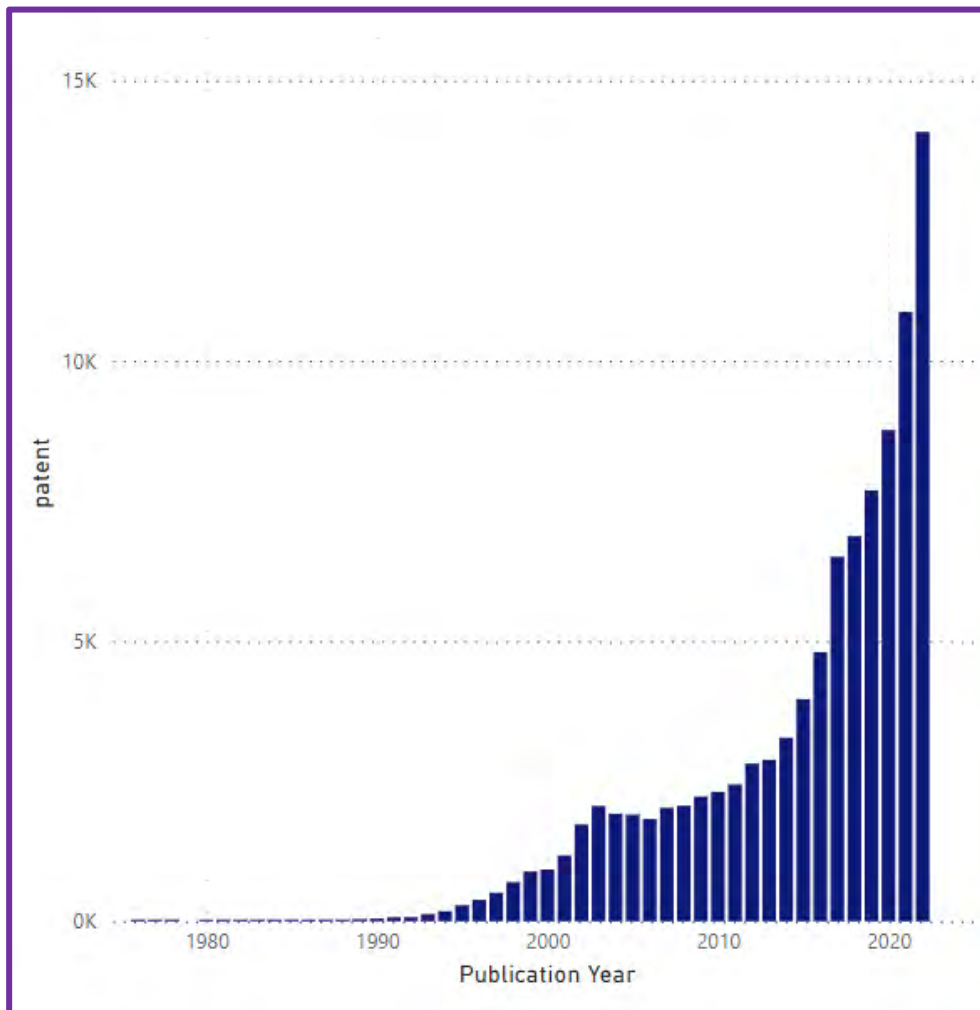
فناوری بافت پرینت سه بعدی در درمان نقایص یا آسیب‌های استخوانی به وسیله ایجاد ساختارهای بافتی دقیق و سفارشی با استفاده از چاپ سه بعدی می‌پردازد.

این روش از مواد بیولوژیکی مثل هیدروژل‌ها یا خوراکی‌های چاپ‌شونده استفاده می‌کند و می‌تواند به تطابق بیشتر با ساختمان استخوان فرد کمک کند. این فناوری به عنوان یک راهکار سفارشی و دقیق در ترمیم و جایگزینی استخوان‌های آسیب‌دیده به کار می‌رود.

# تحلیل پتنت و مقالات حوزه فناوری‌های پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی



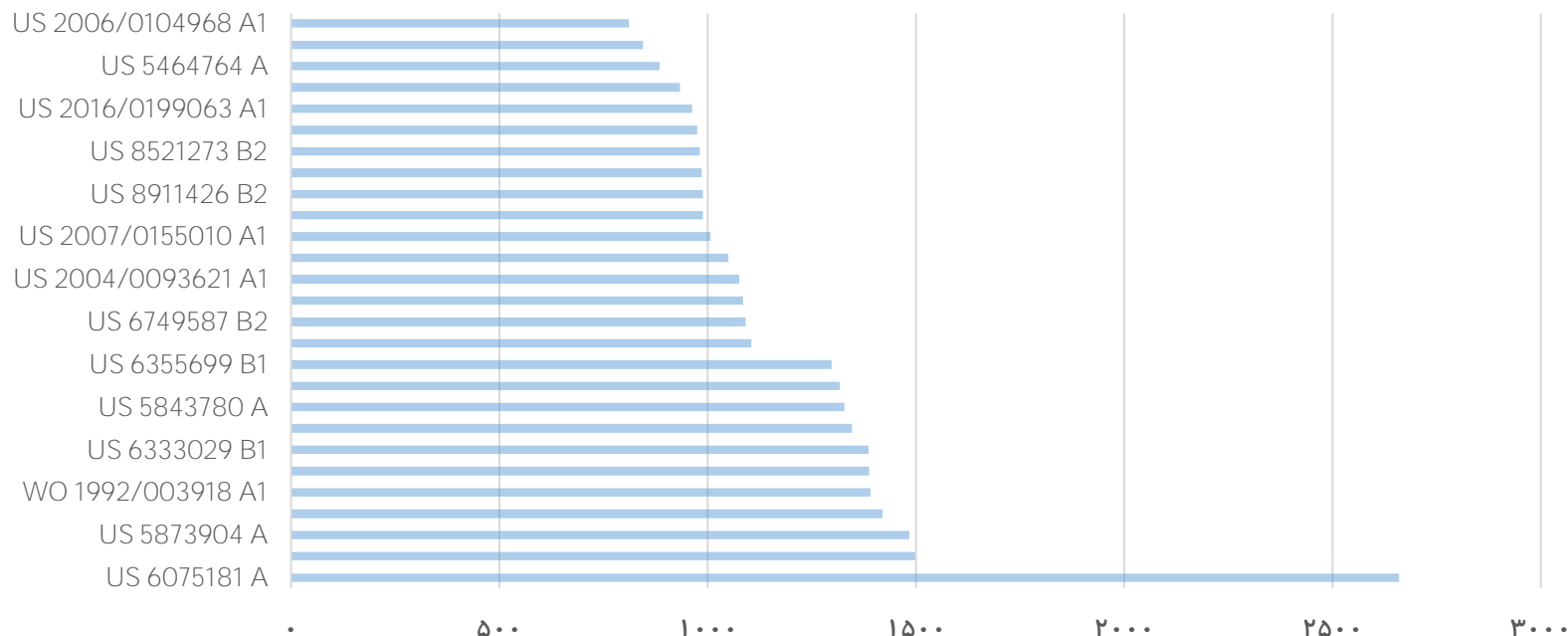
## روند ثبت پتنت در حوزه فناوری‌های پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی (۱۹۸۰-۲۰۲۲)



نمودار روبه‌رو روند ثبت پتنت در حوزه فناوری‌های پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی را نشان می‌دهد. با توجه به این نمودار ثبت پتنت در این حوزه روندی افزایشی داشته و با نرخ بالایی رو به افزایش است. بالاترین میزان ثبت پتنت مربوط به سال ۲۰۲۲ است، در این سال ۱۴۰۸۲ پتنت در این حوزه به ثبت رسیده است.

# پتنت‌های دارای بیشترین ارجاع

در این نمودار پتنت‌ها برتر از لحاظ تعداد ارجاع ارائه شده‌اند. پتنت مربوط به آنتی‌بادی‌های انسانی با داشتن ۲۶۶۶ بار ارجاع در رتبه نخست قرار گرفته است.



## پتنت‌های دارای بیشترین ارجاع (۱)

عنوان	سال	شناسه پتنت	ردیف
Human antibodies derived from immunized xenomice آنتی بادی های انسانی مشتق شده از زنومیس ایمن شده	۲۰۰۰	US 6075181 A	۱
Gene therapy ژن تراپی	۱۹۹۵	US 5399346 A	۲
Silver implantable medical device دستگاه پزشکی قابل کاشت نقره	۱۹۹۹	US 5873904 A	۳
Human mesenchymal stem cells سلول‌های بنیادی مزانشیمی انسان	۱۹۹۶	US 5486359 A	۴
Transgenic non-human animals capable of producing heterologous antibodies حیوانات تراریخته با قابلیت تولید آنتی بادی های هترولوگ	۱۹۹۲	WO 1992/003918 A1	۵
Methods and devices for inhibiting hair growth and related skin treatments روش ها و دستگاه های مهار رشد مو و درمان های مربوط به پوست	۲۰۰۰	US 6050990 A	۶
Porous tissue scaffoldings for the repair of regeneration of tissue سازه‌های بافتی متخلخل برای ترمیم و بازسازی بافت	۲۰۰۱	US 6333029 B1	۷

## پتنت‌های دارای بیشترین ارجاع (۲)

عنوان	سال	شناسه پتنت	ردیف
Methods and compositions for RNA-directed target DNA modification and for RNA-directed modulation of transcription هدف و برای DNA به RNA روش‌ها و ترکیبات برای اصلاح هدفمند تغییرات مستقیم RNA کنترل مستقیم تراکنش رونوشتگری	۲۰۱۳	WO 2013/176772 A1	۸
Primate embryonic stem cells سلول‌های جنینی پستانداران	۱۹۹۸	US 5843780 A	۹
Foam composite for the repair or regeneration of tissue کامپوزیت فوم برای ترمیم یا بازسازی بافت	۲۰۰۱	US 6306424 B1	۱۰
Process for manufacturing biomedical foams فرایند تولید فوم‌های زیست پزشکی	۲۰۰۲	US 6355699 B1	۱۱
Native protein mimetic fibers, fiber networks and fabrics for medical use فیبرها، شبکه‌های فیبری و فیبرهای میمیتیک پروتئینی بومی برای استفاده پزشکی	۲۰۰۴	US 2004/0110439 A1	۱۲
Modular infusion device and method دستگاه تزریق مدولار	۲۰۰۴	US 6749587 B2	۱۳
Use of reinforced foam implants with enhanced integrity for soft tissue repair and regeneration استفاده از ایمپلنت‌های فوم تقویت شده با یکپارچگی افزایش یافته برای ترمیم و بازسازی بافت نرم	۲۰۰۲	US 2002/0127265 A1	۱۴

# آنتی بادی های انسانی مشتق شده از زنومیس ایمن شده

## Human antibodies derived from immunized xenomice

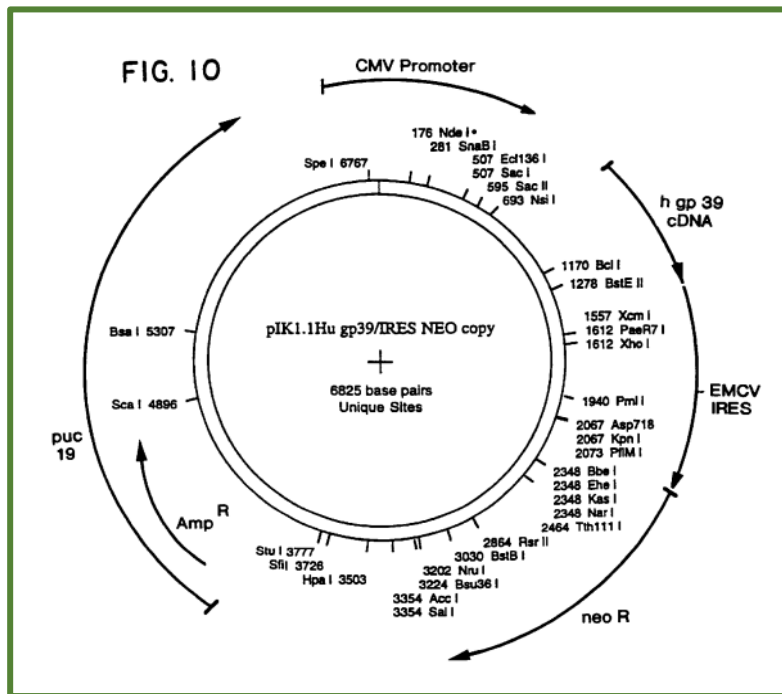
US 6075181 A Granted Patent Family: [1s / 120ex](#) Family Jurisdictions: US Legal Status: ● Expired

Application No: 48685795 Filed: Jun 7, 1995 Published: Jun 13, 2000 Earliest Priority: Jan 12, 1990 Granted: Jun 13, 2000

Owners: Cell Genesys Inc, Abgenix Inc

Applicants: Abgenix Inc

Inventors: Kucherlapati Raju, Jakobovits Aya, Klapholz Sue, Brenner Daniel G, Capon Daniel J



تولید آنتی بادی هایی با نواحی متغیر کاملاً انسانی  
علیه یک آنتی ژن خاص از طریق تجویز آنتی ژن  
به حیوان تراریخته که برای تولید چنین  
آنتی بادی هایی در پاسخ به چالش آنتی ژنی اصلاح  
شده، اما جایگاه های درون زای آن غیر فعال شده  
است. دستکاری های بعدی مختلف را می توان  
برای به دست آوردن آنتی بادی آنالوگ آن  
انجام داد.

# ژن‌تراپی

## Gene therapy

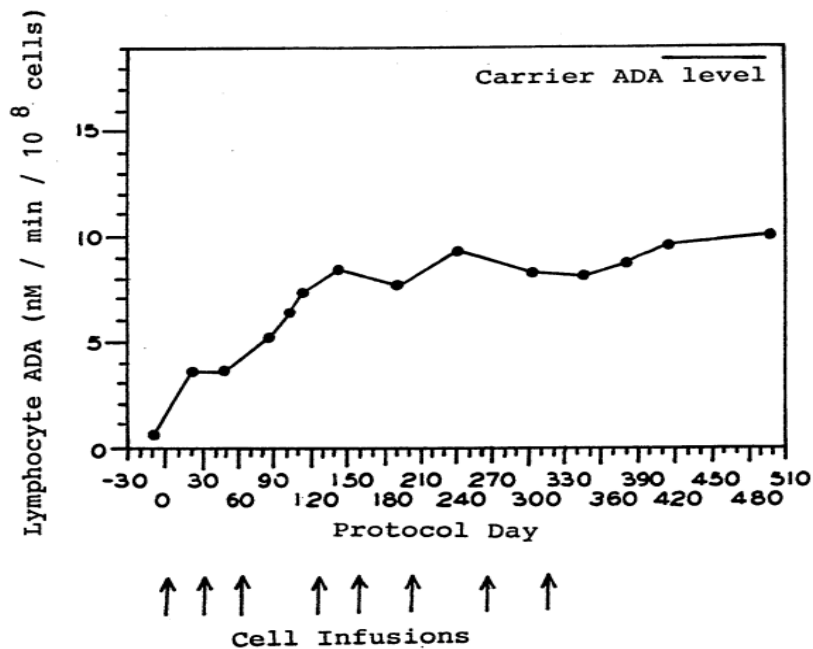
US 5399346 A Granted Patent Family: 2s / 3ex Family Jurisdictions: US Legal Status: Expired

Application No: 22017594 Filed: Mar 30, 1994 Published: Mar 21, 1995 Earliest Priority: Jun 14, 1989 Granted: Mar 21, 1995

Owners: Health and Human Services Department of United States of America the as Represented by the Secretary, Department of Health and Human Services United States of America The, Dept. of Health and Human Services United States of America The

Applicants: Us Army

Inventors: Anderson W French, Blaese R Michael, Rosenberg Steven A



این پتنت در مورد یک روش است که در آن سلول‌های اولیه انسانی با استفاده از دی‌ان‌ای مهندسی ژنتیکی شده‌اند تا یک نشانگر یا دارویی را در بدن بیان کنند. این سلول‌های مهندسی شده می‌توانند در درمان ژنی استفاده شوند.



# دستگاه پزشکی قابل کاشت نقره

## Silver implantable medical device

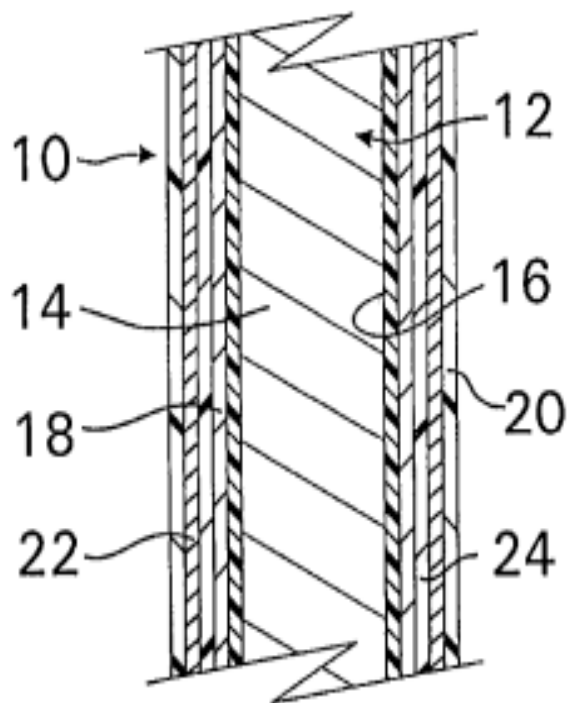
US 5873904 A Granted Patent Family: 8s / 93ex Family Jurisdictions: AU, US, CA Legal Status: Expired

Application No: 80384397 Filed: Feb 24, 1997 Published: Feb 23, 1999 Earliest Priority: Jun 7, 1995 Granted: Feb 23, 1999

Owners: Cook Incorporated, Med Institute Inc, Cook Medical Technologies Llc

Applicants: Cook Inc, Med Inst Inc

Inventors: Ragheb Anthony O, Bates Brian L, Fearnot Neal E, Osborne Thomas A, Kozma Thomas G, Roberts Joseph W, Voorhees Iii William D



این پتنت در مورد یک دستگاه پزشکی قابل تعویض حاوی نقره است که برای استفاده در سیستم عروقی، مری، روده، مجرای صفراوی یا مجرای ادراری طراحی شده است. این دستگاه شامل حداقل یک لایه از مواد بیولوژیکی که در یک سطح ساختار قرار دارد؛ و حداقل یک لایه متخلخل که روی لایه مواد بیولوژیکی قرار دارد است و یک لایه نقره نیز می‌باشد. ایده‌آل‌ترین ساختار برای این دستگاه یک استنت قلب است. لایه متخلخل از یک پلیمر تشکیل شده است که بهتر است از طریق تبخیر یا رسوب گذاری پلاسما اعمال شود. به ویژه ترجیح داده می‌شود که پلیمر یک پلی آمید، پاریلن یا یک مشتق پاریلن باشد که بدون حلال، گرما یا کاتالیزور، که تنها با غلظت بخاری از یک منومر رسوب‌گیری می‌شود.

# سلول‌های بنیادی مزانشیمی انسان

## Human mesenchymal stem cells

US 5486359 A Granted Patent Family: [1s / 25ex](#) Family Jurisdictions: US Legal Status: ● Expired

Application No: 19326294 Filed: Feb 8, 1994 Published: Jan 23, 1996 Earliest Priority: Nov 16, 1990 Granted: Jan 23, 1996

Owners: Caplan Arnold I, Case Western Reserve University, Haynesworth Stephen E, Osiris Therapeutics Inc, Mesoblast International Sàrl

Applicants: Osiris Therapeutics Inc

Inventors: Caplan Arnold I, Haynesworth Stephen E

FIG. 1



این پتنت در مورد سلول‌های بنیادی مزانشیمی انسانی جدا شده که می‌توانند به بیش از یک نوع بافت (مانند استخوان، غضروف، ماهیچه یا استرومای مغز) تمایز یابند. روشی برای جداسازی، تصفیه و گسترش سلول‌های بنیادی خودبافتی انسانی طراحی شده است و مشخصات و کاربردها، به ویژه به عنوان عامل پژوهشی، تشخیصی و درمانی برای این سلول‌ها مورد بررسی قرار گرفته‌اند. سلول‌های بنیادی می‌توانند بدون تفرقه و در محیط کشت گسترده شوند. آنتی‌بادی‌های مونوکلونال اختصاصی برای سلول‌های بنیادی مزانشیمی انسان و رده‌های سلولی هیبریدوم مونوکلونال (ATCC شماره ۱۰۷۴۳-۱۰۷۴۵) که این آنتی‌بادی‌های تک اختصاصی را سنتز و ترشح می‌کنند و از آنتی‌بادی‌های مونوکلونال برای اهداف تشخیصی و یا درمانی استفاده می‌کنند.

# حیوانات تراریخته با قابلیت تولید آنتی بادی‌های هترولوگ

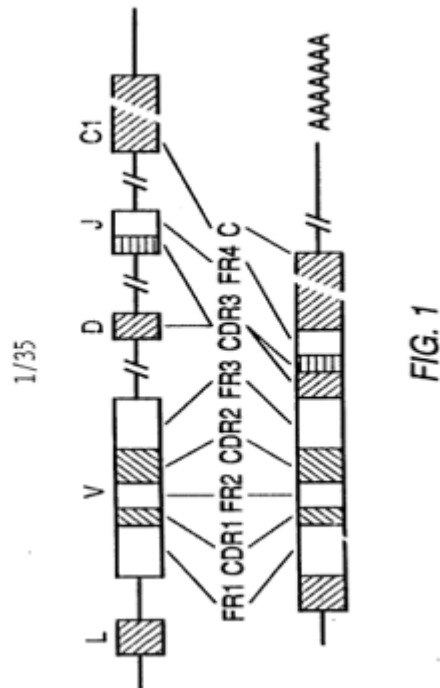
## Transgenic Non-Human Animals Capable of Producing Heterologous Antibodies

WO 1992/003918 A1 Patent Application Family: 28s / 61ex Family Jurisdictions: GB, AU, GR, AT, EP, DK, ES, CA, KR, DE ... 3 More Legal Status: Patented

Application No: 9106185 Filed: Aug 28, 1991 Published: Mar 19, 1992 Earliest Priority: Aug 29, 1990

Applicants: Genpharm Int

Inventors: Lonberg Nils, Kay Robert M



در یکی از جنبه‌های این پتنت، تراریخته‌هایی که زنجیره‌های سنگین و سبک ایمونوگلوبولین هترولوگ انسانی را رمزگذاری می‌کنند به یک حیوان غیرانسانی وارد می‌شوند و در نتیجه یک حیوان تراریخته را تشکیل می‌دهند که قادر به تولید آنتی‌بادی‌های کدگذاری‌شده توسط ژن‌های ایمونوگلوبولین انسانی است. چنین آنتی‌بادی‌های هترولوگ انسانی در سلول‌های B تولید می‌شوند که پس از آن جاودانه می‌شوند. این پتنت همچنین به تراریخته‌های ایمونوگلوبولین با زنجیره سنگین و سبک برای ساخت چنین حیوانات غیرانسانی تراریخته و همچنین روش‌ها و ناقل‌هایی برای مختل کردن جایگاه‌های ایمونوگلوبولین درون‌زا در حیوان تراریخته مربوط می‌شود.

# پتنت‌های روز پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی (۲۰۲۱-۲۰۲۳)

ردیف	شناسه پتنت	سال	عنوان
۱	WO 2021/236929 A1	۲۰۲۱	Simultaneous spatio-temporal measurement of gene expression and cellular activity اندازه گیری همزمان مکانی-زمانی بیان ژن و فعالیت سلولی
۲	WO 2021/252591 A1	۲۰۲۱	Methods for determining a location of an analyte in a biological sample روش‌های تعیین مکان یک آنالیت در یک نمونه بیولوژیکی
۳	US 10953089 B1	۲۰۲۱	Coronavirus vaccine formulations فرمولاسیون واکسن کرونا
۴	WO 2022/042630 A1	۲۰۲۲	Heteroaryl compounds, preparation methods and uses thereof ترکیبات هتروآریل، روش‌های تهیه و موارد استفاده از آن‌ها
۵	WO 2021/243045 A1	۲۰۲۱	Methods for detection of donor-derived cell-free DNA بدون سلول مشتق شده از اهداکننده DNA روش‌های تشخیص
۶	WO 2022/002102 A1	۲۰۲۲	Quinazoline compounds, preparation methods and uses thereof ترکیبات کوئینازولین، روش‌های تهیه و استفاده از آن‌ها
۷	WO 2021/158921 A2	۲۰۲۱	Adenine base editors and uses thereof ویرایشگرهای پایه آدنین و موارد استفاده از آن
۸	WO 2021/067641 A1	۲۰۲۱	Nutrient compositions and methods, kits, and cell compositions for producing the same ترکیبات و روش‌های مواد مغذی، کیت‌ها و ترکیبات سلولی برای تولید مواد مشابه

# پتنت‌های روز پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی (۲۰۲۱-۲۰۲۳)

عنوان	سال	شناسه پتنت	ردیف
SARS-COV-2 VACCINE واکسن SARS-COV-2	۲۰۲۱	WO 2021/163365 A1	۹
Nucleic acid vaccine against the SARS-COV-2 coronavirus واکسن اسید نوکلئیک علیه ویروس کرونا	۲۰۲۱	WO 2021/160346 A1	۱۰
Recombinant nucleic acid molecule for transcribing circular RNA and application of recombinant nucleic acid molecule in protein expression دایره ای و کاربرد مولکول نوکلئیک RNA مولکول نوکلئیک اسید نو ترکیب برای رونویسی اسید نو ترکیب در بیان پروتئین	۲۰۲۱	CN 112481289 A	۱۱
Base editors, compositions, and methods for modifying the mitochondrial genome ویرایشگرهای پایه، ترکیبات، و روش‌های اصلاح ژنوم میتوکندری	۲۰۲۱	WO 2021/155065 A1	۱۲
CAS12A systems, methods, and compositions for targeted RNA base editing هدفمند RNA برای ویرایش پایگاه CAS12A سیستم‌ها، روش‌ها و ترکیبات	۲۰۲۱	US 2021/0079366 A1	۱۳
Pluripotent stem cell, pharmaceutical composition, and preparation method and application thereof سلول‌های بنیادی پرتوان، ترکیب دارویی و روش تهیه و کاربرد آن	۲۰۲۱	CN 112538456 A	۱۴
Method for isolation and purification of Centella asiatica exosome and cosmetic composition containing the same روش جداسازی و خالص سازی اگزوزوم سنتلا آسیاتیکا و ترکیبات آرایشی حاوی آن	۲۰۲۱	KR 102265811 B1	۱۵
micro dystrophin gene therapy constructs and uses thereof ساخت و استفاده از ژن درمانی میکرو دیستروفین	۲۰۲۱	WO 2021/108755 A2	۱۶

# پتنت‌های روز پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی (۲۰۲۱-۲۰۲۳)

ردیف	شناسه پتنت	سال	عنوان
۱۷	WO 2021/163371 A1	۲۰۲۱	Coronavirus t cell epitopes and uses thereof کروناویروس و موارد استفاده از آن‌ها T اپی توپ‌های سلول
۱۸	WO 2021/202800 A1	۲۰۲۱	Compositions comprising A CAS1212 variant polypeptide and uses thereof و موارد استفاده از آن CAS1212 ترکیبات متشکل از یک پلی پپتید واریانت
۱۹	CN 113402404 A	۲۰۲۱	Lipid compounds and lipid carrier, nucleic acid lipid nanoparticle composition and pharmaceutical preparation containing lipid compounds ترکیبات لیپیدی و حامل لیپیدی، ترکیب نانوذرات لیپیدی اسید نوکلئیک و آماده سازی دارویی حاوی ترکیبات لیپیدی
۲۰	WO 2021/041316 A1	۲۰۲۱	CD24 Expressing cells and uses thereof و موارد استفاده از آن‌ها سلول‌های بیان CD24
۲۱	US 2021/0290756 A1	۲۰۲۱	Coronavirus vaccine compositions and methods ترکیبات و روش‌های واکسن کروناویروس
۲۲	WO 2021/230987 A1	۲۰۲۱	Redirection of tropism of AAV CAPSIDS تغییر جهت تروپیزم کپسیدهای AAV
۲۳	WO 2021/130638 A1	۲۰۲۱	Diacylglycerol kinase modulating compounds ترکیبات تعدیل کننده دی اسیل گلیسرول کیناز

# پتنت‌های روز پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی (۲۰۲۱-۲۰۲۳)

ردیف	شناسه پتنت	سال	عنوان
۲۴	WO 2021/123332 A1	۲۰۲۱	Lipid nanoparticles for delivery of nucleic acids نانوذرات لیپیدی برای تحویل اسیدهای نوکلئیک
۲۵	WO 2021/163064 A2	۲۰۲۱	Antibodies and fusion proteins that bind to ccr8 and uses thereof متصل می‌شوند و از آن استفاده می‌کنند CCR8 آنتی‌بادی‌ها و پروتئین‌های همجوشی که به
۲۶	WO 2021/207632 A1	۲۰۲۱	Small molecule therapeutics for the treatment of viral infections درمان‌های مولکولی کوچک برای درمان عفونت‌های ویروسی
۲۷	US 2021/0077625 A1	۲۰۲۱	Ray tracing technique for wireless channel measurements تکنیک ردیابی پرتو برای اندازه‌گیری کانال‌های بی‌سیم
۲۸	WO 2021/022223 A1	۲۰۲۱	Dux4 expressing cells and uses thereof و موارد استفاده از آن‌ها DUX4 سلول‌های بیان‌کننده
۲۹	WO 2021/023307 A1	۲۰۲۱	CRISPR/CAS9 gene editing system and application thereof و کاربرد آن CRISPR/CAS9 سیستم ویرایش ژن
۳۰	US 2021/0071255 A1	۲۰۲۱	Methods for identification of genes and genetic variants for complex phenotypes using single cell atlases and uses of the genes and variants thereof روش‌های شناسایی ژن‌ها و واریانت‌های ژنتیکی برای فنوتیپ‌های پیچیده با استفاده از اطلس‌های تک سلولی و استفاده از ژن‌ها و واریانت‌های آن‌ها

# اندازه گیری همزمان مکانی-زمانی بیان ژن و فعالیت سلولی

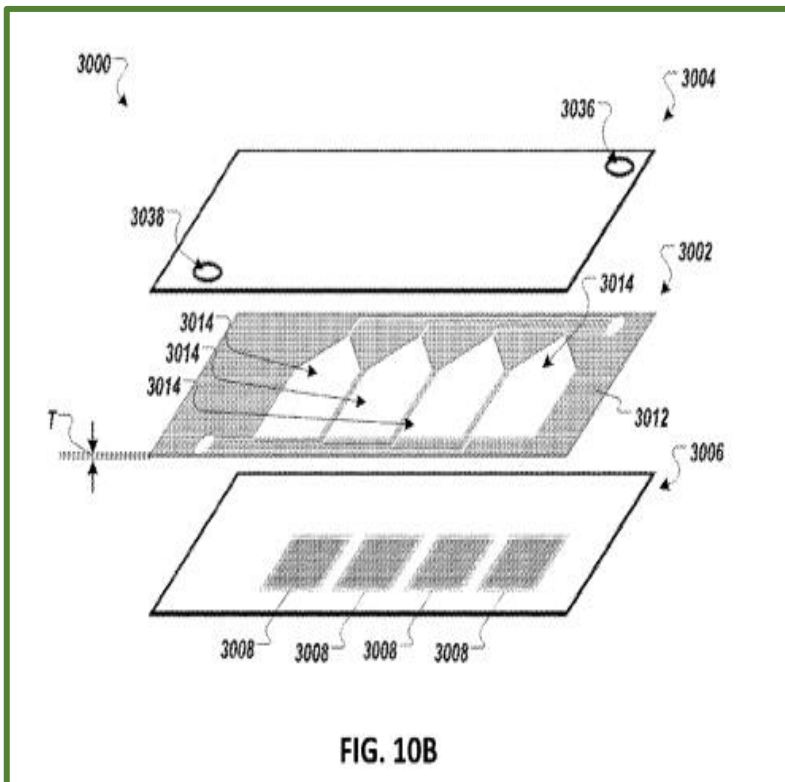
## Simultaneous Spatio-Temporal Measurement of Gene Expression and Cellular Activity

WO 2021/236929 A1 Patent Application Family: 5s / 5ex Family Jurisdictions: US, WO, EP Legal Status: Pending

Application No: 2021033405 Filed: May 20, 2021 Published: Nov 25, 2021 Earliest Priority: May 22, 2020

Applicants: 10x Genomics Inc

Inventors: Uytingco Cedric, Katirae Layla, Pham Kristen



این پتنت درباره روش‌های اندازه‌گیری همزمان فضا-زمانی بیان ژن و فعالیت سلولی است. با استفاده از این روش، می‌توان موقعیت و یا فراوانی یک آنالیت در نمونه‌ای بیولوژیکی را شناسایی کرد. مراحل این روش شامل ضبط فعالیت سلولی و یا بیان ژن درون سلولی از اسید نوکلئیک نمونه بیولوژیکی، تماس دادن نمونه بیولوژیکی با یک زیرمحلول شامل یک مجموعه آگهی کپچر و نهایتاً گسترش دادن آگهی کپچر با استفاده از آنالیتی که به‌طور اختصاصی به دامنه کپچر متصل می‌شود و تشخیص توالی بارکد مکانی و از توالی آنالیت و استفاده از توالی‌های تشخیص داده شده برای شناسایی موقعیت و یا فراوانی آنالیت در نمونه بیولوژیکی است.



# روش‌های تعیین مکان یک آنالیت در یک نمونه بیولوژیکی

## Methods for Determining a Location of an Analyte in a Biological Sample

WO 2021/252591 A1 Patent Application Family: 5s / 5ex Family Jurisdictions: US, EP, WO Legal Status: Pending

Application No: 2021036557 Filed: Jun 9, 2021 Published: Dec 16, 2021 Earliest Priority: Jun 10, 2020

Applicants: 10x Genomics Inc

Inventors: Ramachandran Iyer Eswar Prasad, Bent Zachary, Yin Yifeng, Dalin Eileen

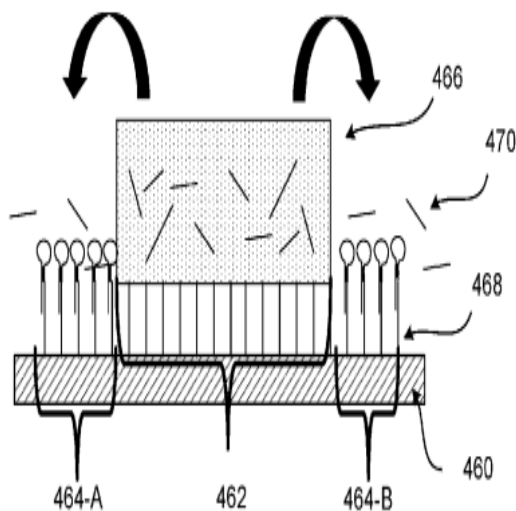


FIG. 4

در این پتنت، روش‌های تعیین موقعیت یک آنالیت هدف در یک نمونه بیولوژیکی غیر نفوذپذیر با استفاده از یک پروب مسدود کننده توضیح داده شده است. مراحل این روش شامل:

- قرار دادن نمونه بیولوژیکی غیر نفوذپذیر بر روی یک آرایه در یک منطقه اولیه.
- تماس دادن منطقه دوم آرایه با محلولی که شامل یک آگهی مسدودکننده است.
- حذف محلول باقی مانده شامل آگهی مسدودکننده از منطقه دوم آرایه.
- نفوذپذیر کردن نمونه بیولوژیکی به گونه‌ای که آرایه به با نوکلئوتید هدف متصل شود.
- تعیین توالی متناظر با بارکد مکانی آگهی کپچر منطقه اولیه آرایه، و توالی متناظر با نوکلئوتید هدف، و استفاده از توالی‌های برای تعیین موقعیت نوکلئوتید هدف در نمونه بیولوژیکی.

# فرمولاسیون واکسن کرونا

## Coronavirus vaccine formulations

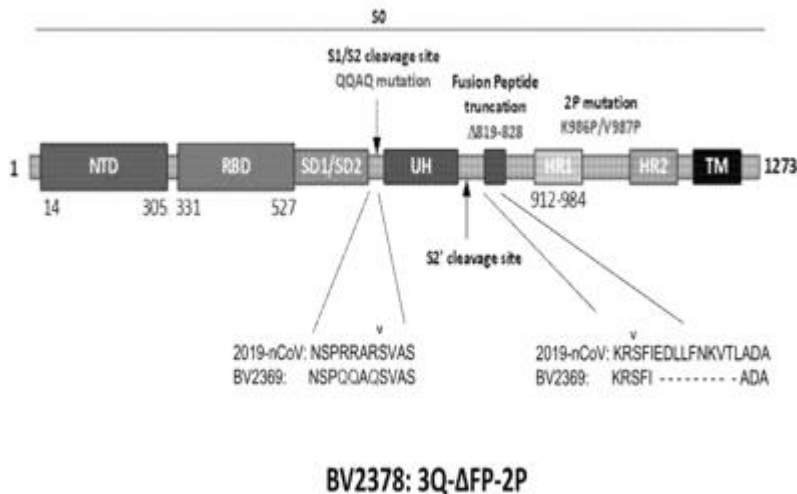
US 10953089 B1 Granted Patent Family: 7s / 23ex Family Jurisdictions: US Legal Status: ● Active

Application No: 202016997001 Filed: Aug 19, 2020 Published: Mar 23, 2021 Earliest Priority: Jan 27, 2020 Granted: Mar 23, 2021

Owners: Novavax Inc

Applicants: Novavax Inc

Inventors: Smith Gale, Massare Michael J, Tian Jing-Hui



این پتنت درباره برهم کنش بین پروتئین‌های Spike کروناویروس و نانوذراتی که از این پروتئین‌ها تشکیل شده‌اند می‌باشد. این نانوذرات قادرند آنتی‌ژن‌ها را که از میکروارگانیزم‌های مختلفی به وجود می‌آیند را در خود نگه داری کرده و با هسته‌ی مواد شوینده خود بهبودی در پایداری و خواص ایمنی بالا به دست آورند. این پتنت همچنین به دوزها، فرمولاسیون‌ها و روش‌های تهیه واکسن‌ها و نانوذرات مربوطه می‌پردازد.

# ترکیبات هترو آریل، روش‌های تهیه و موارد استفاده از آنها

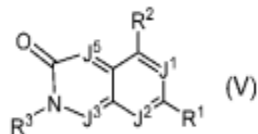
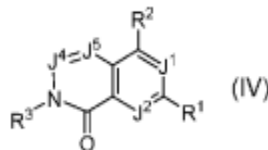
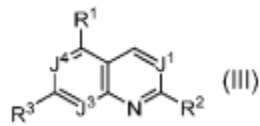
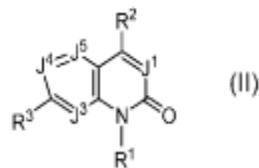
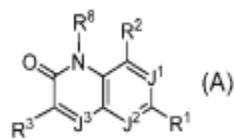
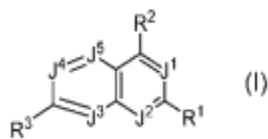
## Heteroaryl Compounds, Preparation Methods and Uses Thereof

WO 2022/042630 A1 Patent Application Family: 4s / 4ex Family Jurisdictions: CN, EP, WO, JP Legal Status: Pending

Application No: 2021114676 Filed: Aug 26, 2021 Published: Mar 3, 2022 Earliest Priority: Aug 26, 2020

Applicants: Inventisbio Co Ltd, Inventisbio Llc

Inventors: Dai Xing, Yang Hong, Huang Xianhai, Niu Haotao, Han Zixing, Wang Zhenwu, Zhang Qiang, Liu Yanqin, Jiang Yueheng, Tao Liangshan, Weng Jifang, Shi Zhe, Wang Yaolin



این پتنت در مورد ترکیبات جدیدی است که می‌توانند در درمان برخی از بیماری‌های سرطانی مؤثر باشند. همچنین، در این پتنت روش‌های تهیه این ترکیبات و روش‌های استفاده از آنها ارائه می‌شود. به عنوان مثال، استفاده از این ترکیبات در مهار KRAS G12D در سلول‌های سرطانی و یا درمان انواع سرطان مانند سرطان پانکراس، سرطان روده بزرگ، سرطان ریه (مانند سرطان ریه غیر سلول کوچک) و سرطان رحم را شامل می‌شود.

# روش‌های تشخیص DNA بدون سلول مشتق شده از اهداکننده

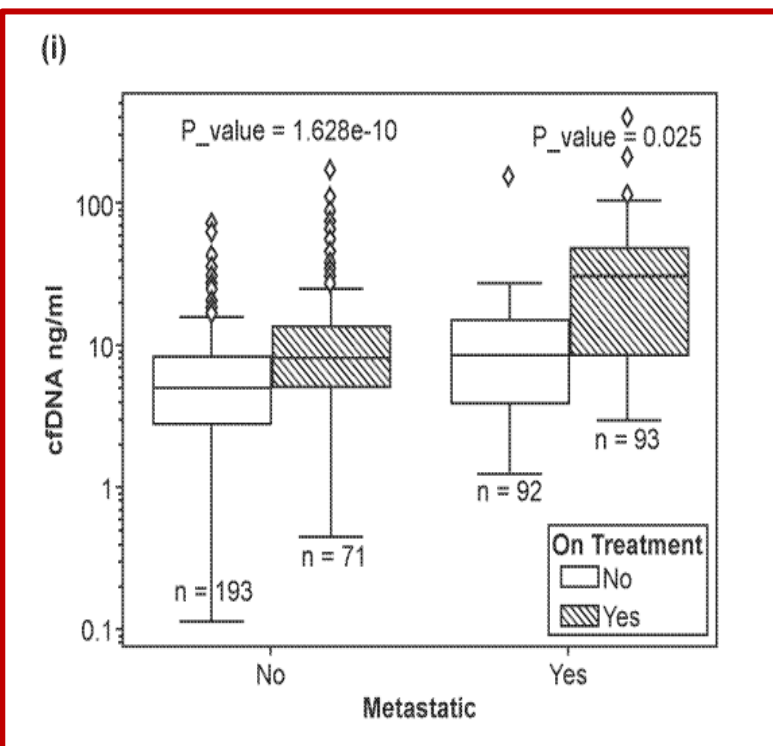
## Methods for Detection of Donor-Derived Cell-Free Dna

WO 2021/243045 A1 Patent Application Family: 7s / 7ex Family Jurisdictions: AU, JP, EP, CA, US, WO, CN Legal Status: Pending

Application No: 2021034561 Filed: May 27, 2021 Published: Dec 2, 2021 Earliest Priority: May 29, 2020

Applicants: Natera Inc

Inventors: Swenerton Ryan, Zimmermann Bernhard, Ahmed Ebad, Liang Nathan, Ryan Allison, Lu Fei, Van Hummelen Paul



این پتنت روش‌هایی را برای اندازه‌گیری میزان کل DNA بدون سلول در نمونه‌های بیولوژیکی ارائه می‌دهد. این روش‌ها عبارتند از: جداسازی DNA بدون سلول از نمونه بیولوژیکی، جایگذاری یک تراکر DNA آغازی قبل یا بعد از جداسازی، انجام تکثیر هدفمند در بیش از ۱۰۰ محل مقصد مختلف در یک حجم واکنش تکثیر با استفاده از بیش از ۱۰۰ جفت آغازگر مختلف، سیکوئنسینگ محصولات تکثیر با استفاده از سیکوئنسینگ با سرعت بالا برای تولید خواندنی‌های سیکوئنسینگ و اندازه‌گیری میزان کل DNA بدون سلول با استفاده از خواندنی‌های سیکوئنسینگ حاصل از تراکر DNA آغازی اولیه.

# ترکیبات کوئینازولین، روش های تهیه و استفاده از آنها

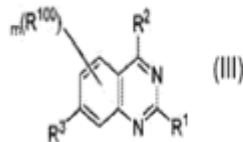
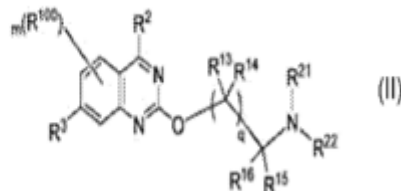
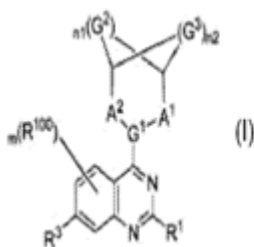
## Quinazoline Compounds, Preparation Methods and Uses Thereof

WO 2022/002102 A1 Patent Application Family: 5s / 5ex Family Jurisdictions: CN, WO, JP, EP, US Legal Status: Pending

Application No: 2021103372 Filed: Jun 30, 2021 Published: Jan 6, 2022 Earliest Priority: Jun 30, 2020

Applicants: Inventisbio Co Ltd

Inventors: Dai Xing, Wang Yaolin, Jiang Yueheng, Niu Haotao, Liu Yanqin, Yang Hong, Han Zixing, Wang Zhenwu, Tao Liangshan, Zhang Qiang, Shi Zhe, Weng Jifang



پتنت مورد نظر به ترکیبات نوآورانه اشاره دارد که شامل ترکیباتی است با فرمول (I)، فرمول (II) یا فرمول (III) و نمکی قابل قبول دارویی آنها است. همچنین، این پتنت شامل روش‌های تهیه ترکیبات و استفاده از آنها است. از جمله می‌توان این ترکیبات را در مهار KRAS G12D در سلول‌های سرطانی و یا در درمان برخی از انواع سرطان مانند سرطان پانکراس، سرطان روده بزرگ، سرطان ریه یا سرطان درون رحم استفاده کرد.

# ویرایشگرهای پایه آدنین و موارد استفاده از آن

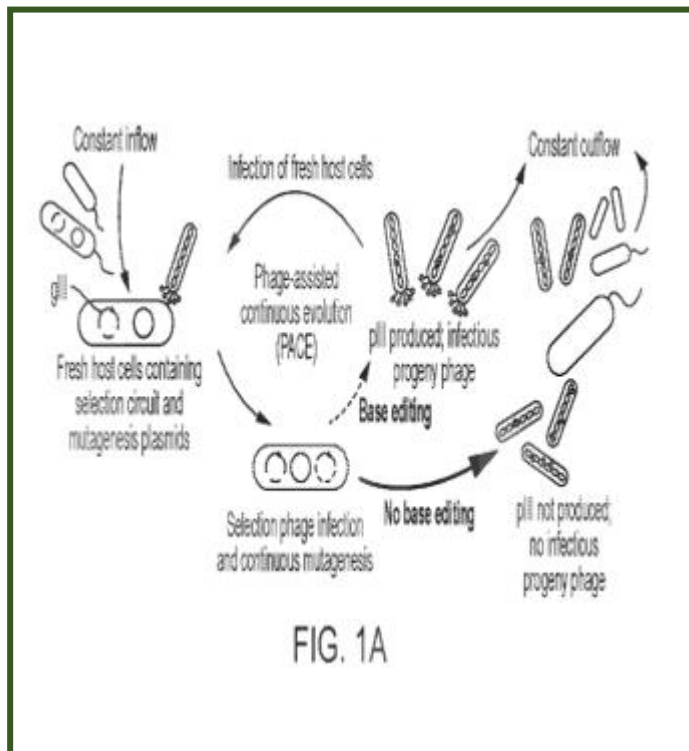
## Adenine Base Editors and Uses Thereof

WO 2021/158921 A2 Patent Application Family: 4s / 4ex Family Jurisdictions: WO, US, EP Legal Status: Pending

Application No: 2021016827 Filed: Feb 5, 2021 Published: Aug 12, 2021 Earliest Priority: Feb 5, 2020

Applicants: Broad Inst Inc, Harvard College, Newby Gregory

Inventors: Newby Gregory, Liu David R, Richter Michelle, Zhao Kevin Tianmeng, Thuronyi Benjamin



پتنت مورد نظر، در مورد ویرایش کننده‌های پایه آدنین (ABEs) است که نسخه‌هایی از ویرایش کننده‌های پایه آدنین معروف هستند. دامنه دی‌آمیناز آدنوزین یک ABE معروف به گونه‌ای تغییر یافته است که نسخه‌هایی از دی‌آمیناز آدنوزین تولید می‌کند. نسخه‌های بهینه شده دی‌آمینازها که در اینجا ارائه شده‌اند، سازگاری گسترده‌تری با دامنه‌های مختلف napDNAbp مانند همولوگ‌ها را برای کاربردهای ویرایش پایه فراهم می‌کنند. ABE‌های ارائه شده شامل یک نسخه بهینه شده از دی‌آمیناز و یک دامنه napDNAbp هستند. این ABE‌ها اثرات ویرایش خارج از هدف در DNA و اثرات ویرایش خارج از هدف در mRNA سلولی را کاهش می‌دهند. همچنین، روش‌هایی برای ویرایش اسید نوکلئیک ارائه شده است.

# ترکیبات و روش‌های مواد مغذی، کیت‌ها و ترکیبات سلولی

## Nutrient Compositions and Methods, Kits, and Cell Compositions for Producing the Same

WO 2021/067641 A1 Patent Application Family: 6s / 7ex Family Jurisdictions: EP, WO, AU, US, CN Legal Status: Pending

Application No: 2020053866 Filed: Oct 1, 2020 Published: Apr 8, 2021 Earliest Priority: Oct 3, 2019

Applicants: Turtletree Labs Pte Ltd

Inventors: Rye Max, Lin Fengru, Toor Rabail Hassan, Yong Gen, Shahid Saher

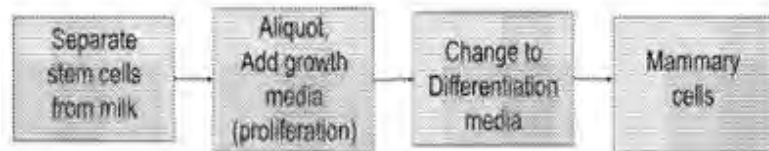


FIG. 2

پتنت مورد نظر درباره ترکیبات، کیت‌ها و روش‌های تهیه ترکیبات تغذیه‌ای است. ترکیبات تغذیه‌ای می‌توانند ترکیبات غذایی مانند ترکیبات لبنی باشند. یک ترکیب سلولی مهندسی می‌تواند شامل سلول‌های ژنتیکی مهندسی شده مانند سلول‌های پستانی یا مشابه پستان باشد. یک ترکیب سلولی مهندسی می‌تواند از سلول‌های بنیادی موجودات بالادستی نظیر سلول‌های بنیادی بالغ غیر پستانی تولید شود. روش‌های مرتبط با مشخصه‌گیری، مانند برای شناسایی ترکیبات سلولی مهندسی یا ترکیبات تغذیه‌ای، نیز ارائه شده‌اند.

# واکسن SARS-COV-2

## Sars-Cov-2 Vaccine

WO 2021/163365 A1 Patent Application Family: 10s / 10ex Family Jurisdictions: AU, BR, JP, KR, US, CA, IL, EP, CN, WO Legal Status: Pending

Application No: 2021017709 Filed: Feb 11, 2021 Published: Aug 19, 2021 Earliest Priority: Feb 11, 2020

Applicants: Us Health , Univ Texas , Dartmouth College

Inventors: Graham Barney , Corbett Kizzmekia , Abiona Olubukola , Hutchinson Geoffrey , Mclellan Jason , Wrapp Daniel , Wang Nianshuang

FIG. 1A

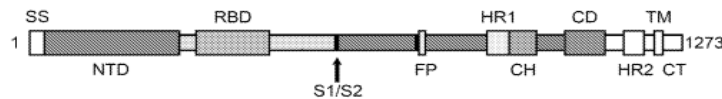
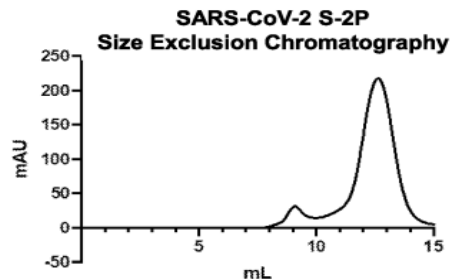


FIG. 1B



این پتنت در مورد تریمرهای دامنه بیرونی است که در یک شکل پیش فیوژن ثابت شده‌اند، همچنین مولکول‌های اسید نوکلئیک و بردارها که این پروتئین‌ها را رمزگذاری می‌کنند و روش‌های استفاده و تولید آن‌ها افشا شده‌اند. در چندین نمونه، تریمرهای دامنه بیرونی SARS-CoV-2 S و یا مولکول‌های اسید نوکلئیک می‌توانند برای تولید پاسخ ایمنی به دامنه S SARS-CoV-2 در یک فرد استفاده شوند، به عنوان مثال، پاسخ ایمنی که عفونت SARS-CoV-2 را در فرد مهار می‌کند.



# واکسن اسید نوکلئیک علیه ویروس کرونا SARS-COV-2

## Nucleic Acid Vaccine Against the Sars-Cov-2 Coronavirus

WO 2021/160346 A1 Patent Application Family: 5s / 5ex Family Jurisdictions: CA, US, WO, EP Legal Status: Pending

Application No: 2021025053 Filed: Feb 12, 2021 Published: Aug 19, 2021 Earliest Priority: Feb 13, 2020

Applicants: Pasteur Institut

Inventors: Simon-Loriere Etienne, Prot Matthieu, Montagutelli Xavier

B

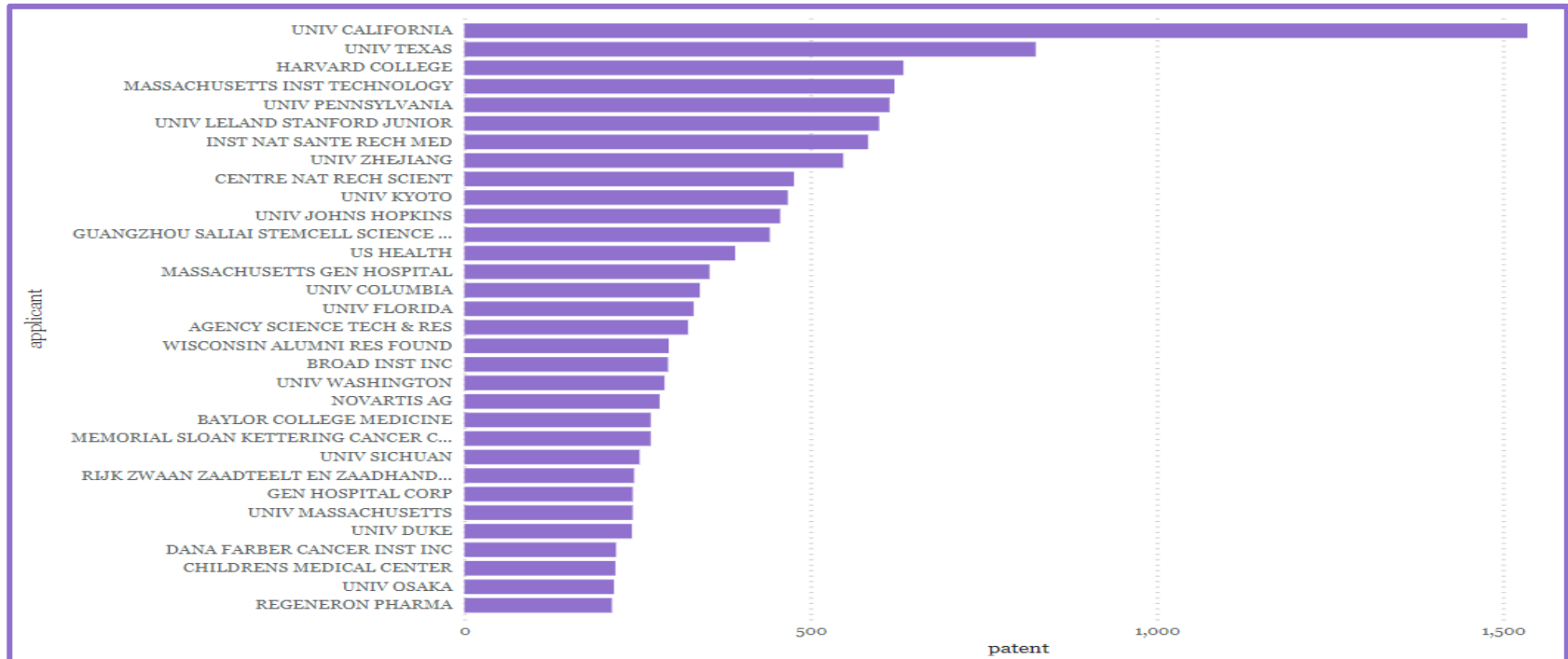


Figure 2 (continuation)

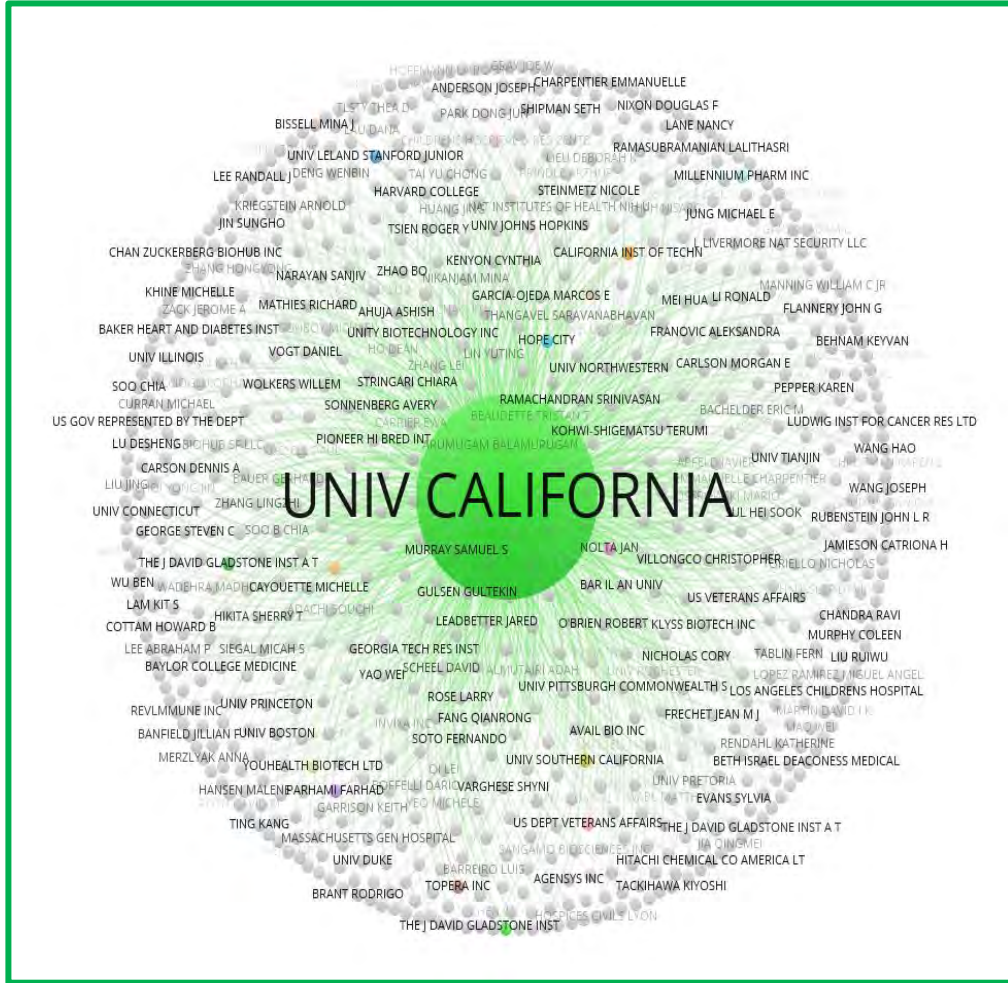
این پتنت در مورد یک ترکیب ایمنی یا واکسن بر علیه کروناویروس جدید ۲۰۱۹ (SARS-CoV-2) می‌باشد که شامل ساختار نوکلئیکی‌ای است که کدکننده پروتئین آنتیژن کروناویروس-SARS Spike (S) CoV-2 یا قسمتی از آن شامل دامنه اتصال به گیرنده است. در این ترکیب، توالی ساختار نوکلئیکی بهینه شده برای بیان در انسان استفاده شده است.

# سازمان‌های دارای بیشترین درخواست ثبت پتنت

شرکت‌های برتر در حوزه فناوری پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی براساس تعداد ثبت پتنت در نمودار زیر ارائه شده‌اند. دانشگاه کالیفرنیا با داشتن ۱۵۳۵ پتنت در راس نمودار قرار دارد. دانشگاه تگزاس و هاروارد با داشتن به ترتیب ۸۳۵ و ۶۲۴ پتنت در رتبه‌های بعدی قرار می‌گیرند. در این حوزه دانشگاه‌ها در زمینه ثبت پتنت فعالیت زیادی دارند.

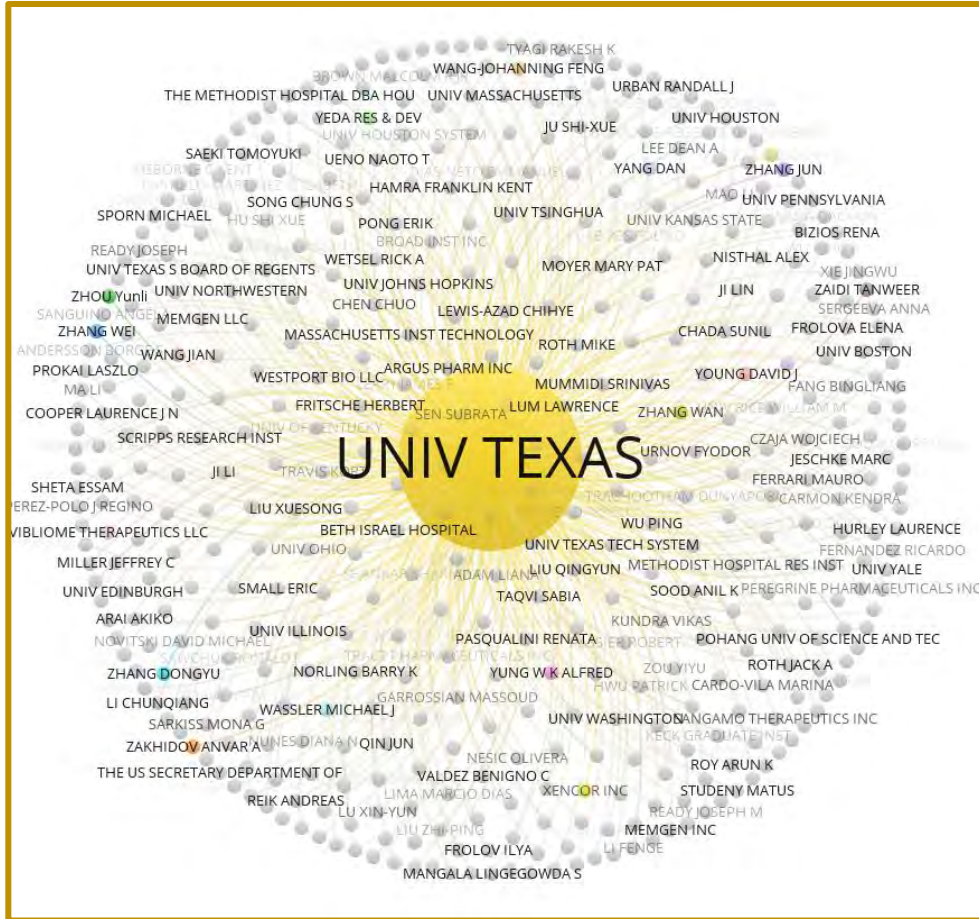


# دانشگاه کالیفرنیا



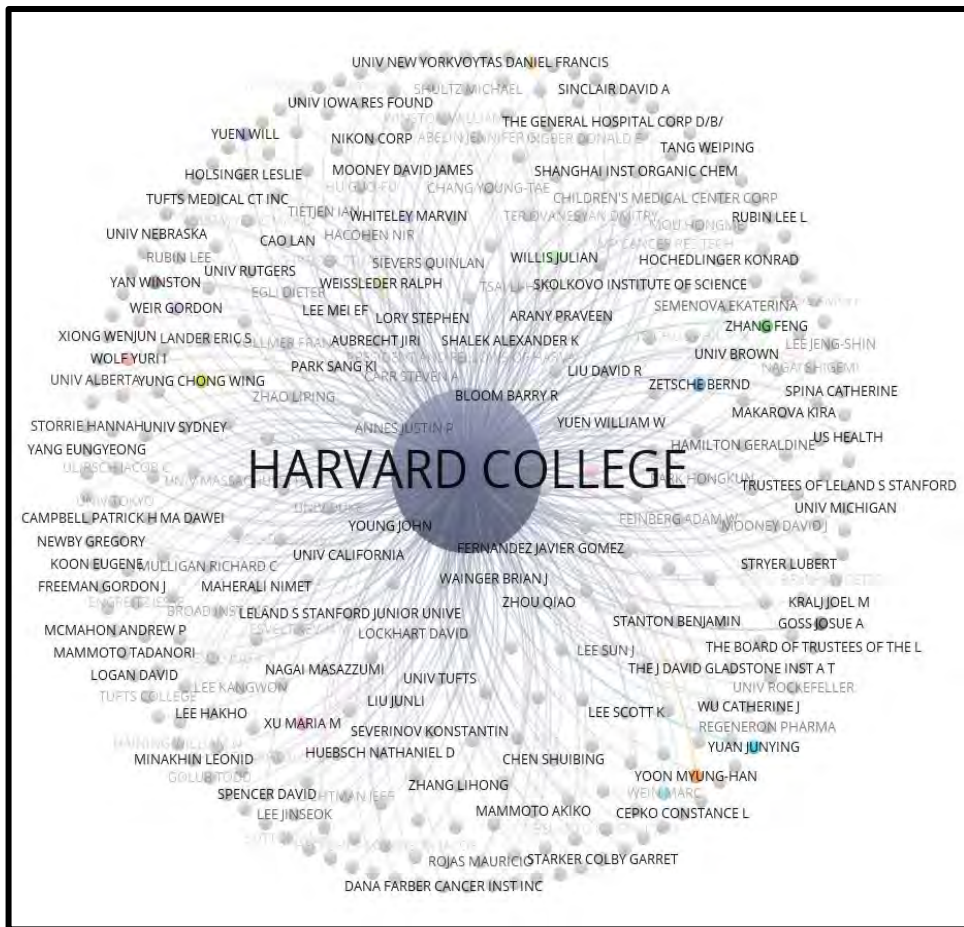
دانشگاه کالیفرنیا با داشتن حدود ۱۵۳۵ پتنت در حوزه پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی در رتبه نخست در این زمینه قرار دارد. زیر بخش فناوری محصولات ضد سرطان و متالوژی شیمی پر تکرار ترین فناوری در پتنت‌های فناوری بازساختی و سلول‌های بنیادی این شرکت است. دانشگاه کالیفرنیا با سازمان‌ها و مخترعین مستقل زیادی همکاری داشته است. دانشگاه همکاری استنفورد از دانشگاه‌هایی است که با این دانشگاه در ثبت پتنت همکاری داشته است. فرهاد پرهامی نیز چندین پتنت مشترک در این حوزه با دانشگاه کالیفرنیا دارد.

# دانشگاه تگزاس



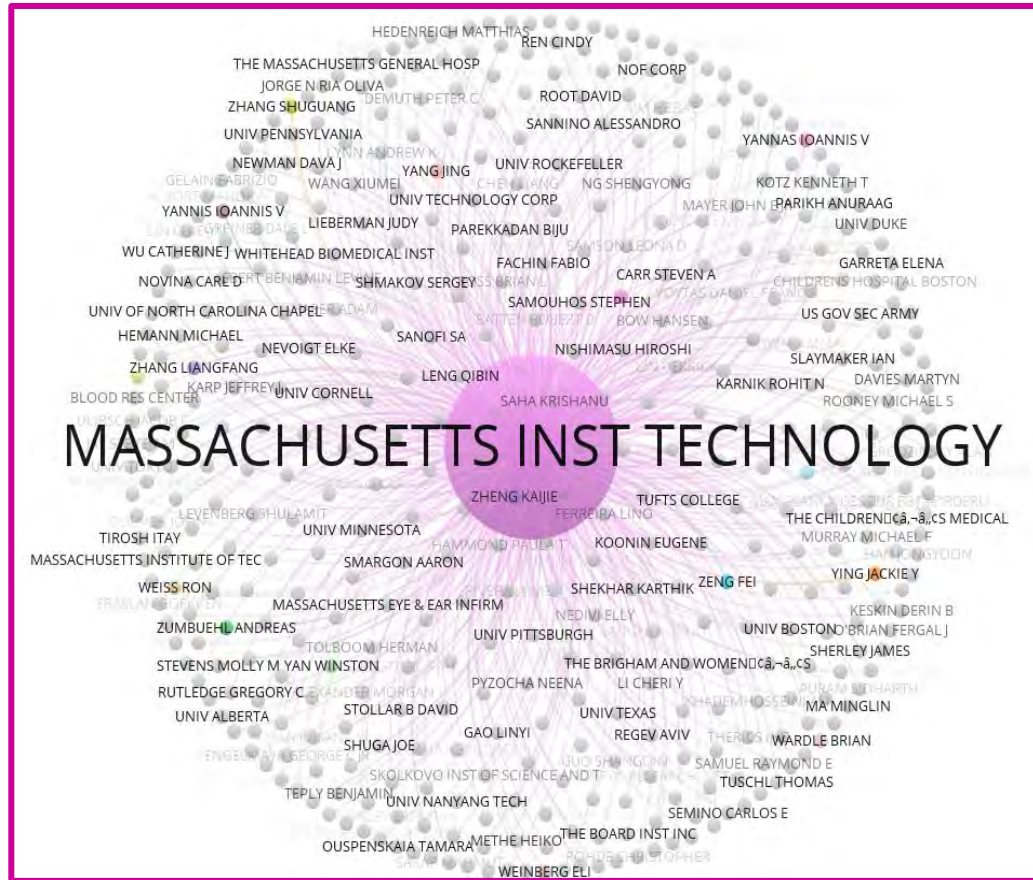
دانشگاه تگزاس ۸۲۵ پتنت در حوزه پزشکی بازساختی و سلول بنیادی دارد. محصولات ضد سرطان از زیربخش‌های پرتکرار در پتنت‌های این شرکت است. این دانشگاه همکاران زیادی در ثبت پتنت داشته است، دانشگاه هیوستون و کیس وسترن از جمله این همکاران هستند.

# دانشگاه هاروارد



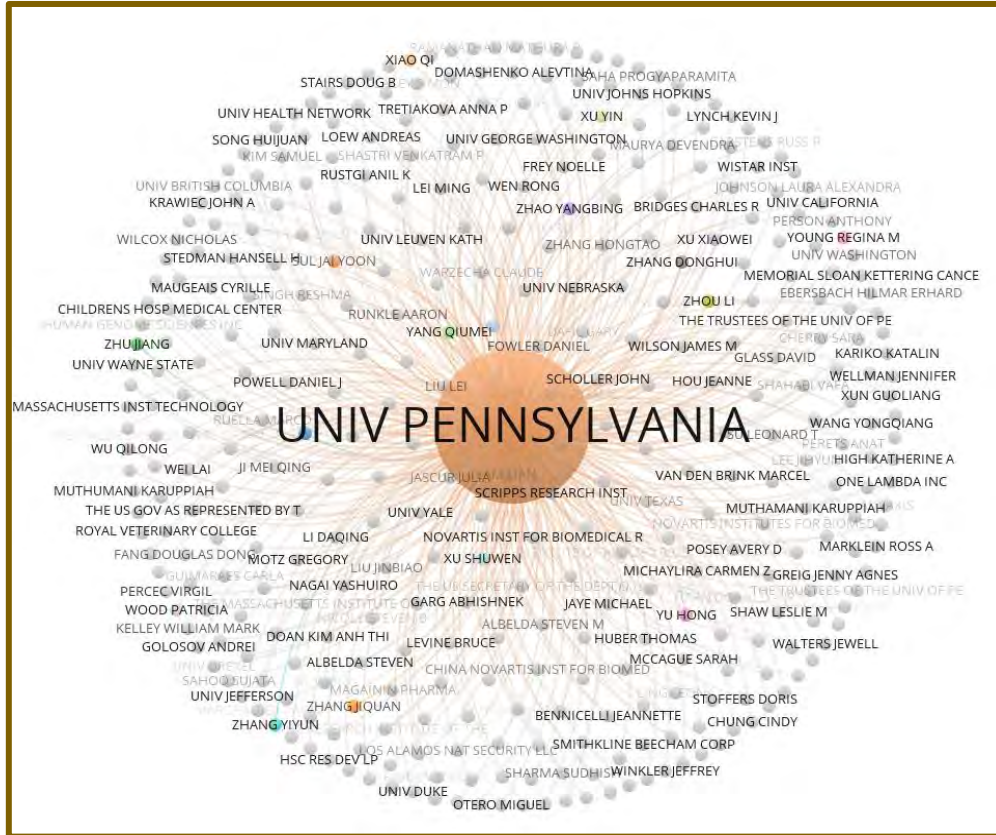
دانشگاه هاروارد ۶۳۴ پتنت در حوزه پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی دارد. زیر بخش فناوری مربوط به اسیدهای نوکلئیک کاتالیزوری، پر تکرارترین فناوری در پتنت‌های این دانشگاه است. دانشگاه هاروارد در زمینه ثبت پتنت همکاری‌هایی نیز داشته است موسسه BROAD و ماساچوست از همکاران این دانشگاه هستند.

# موسسه ماساچوست



موسسه ماساچوست ۶۲۱ پتنت در حوزه پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی دارد و از برترین شرکت‌ها در این حوزه زیر بخش فناوری مربوط به اسیدهای نوکلئیک کاتالیزوری، پرتکرارترین فناوری در پتنت‌های این موسسه است. موسسه BROAD و دانشگاه هاروارد از همکاران این موسسه در ثبت پتنت هستند.

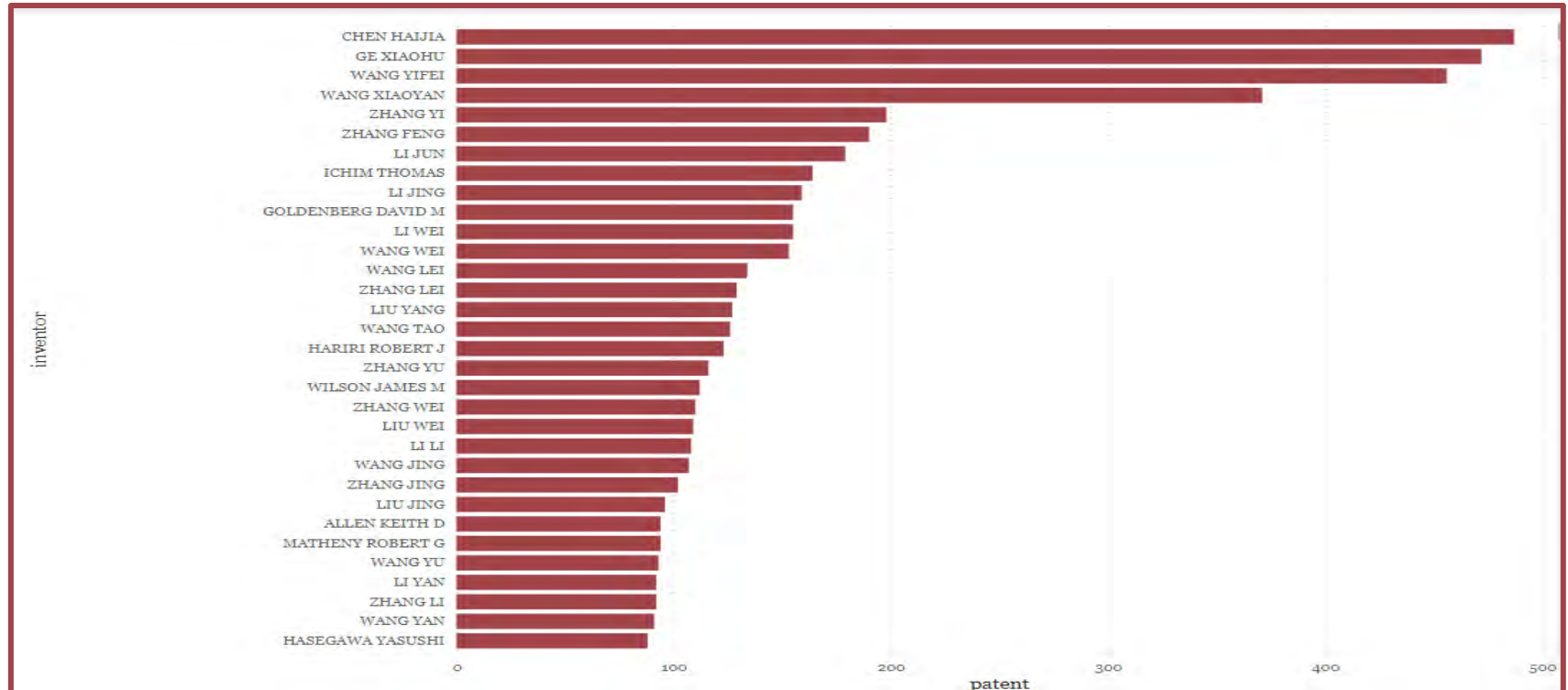
# دانشگاه پنسیلوانیا



دانشگاه پنسیلوانیا از دانشگاه‌های دیگری است که در حوزه پزشکی بازساختی فعال بوده و ۶۱۴ پتنت در این زمینه ثبت نموده است. زیر بخش فناوری مربوط به انتقال ویروس پر تکرارترین فناوری در پتنت‌های این دانشگاه است. شرکت داروسازی NOVARTIS و بیمارستان کودکان فیلادلفیا در ثبت پتنت با این دانشگاه همکاری داشته‌اند.

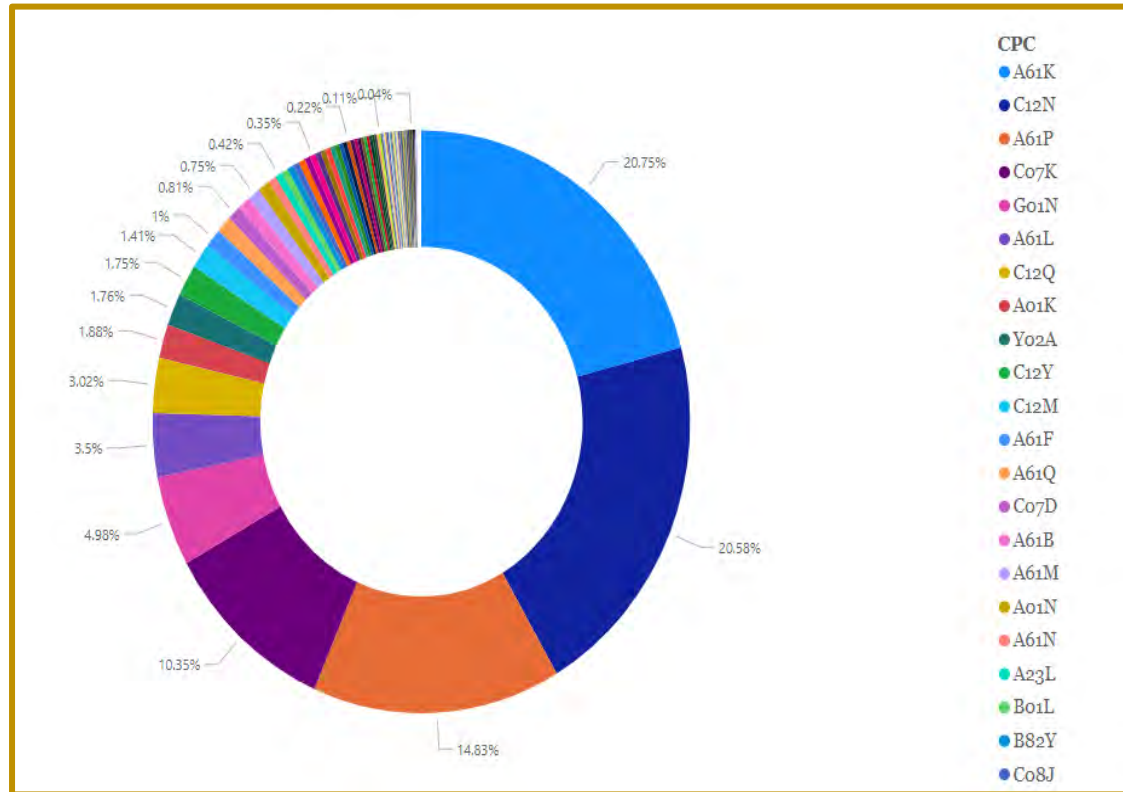
# مخترعین دارای بیشترین تعداد پتنت

این نمودار مخترعین برتر بر اساس میزان ثبت پتنت را نشان می‌دهد. Chen hijia با داشتن ۴۸۷ پتنت در رتبه نخست قرار می‌گیرد. این مخترع بیشتر پتنت‌های خود را با نام سازمانی شرکت علوم و فناوری بنیادی گوانگژ به ثبت رسانده است. Ge xiaohu و wang yifei نیز با داشتن ۴۷۲ و ۴۵۶ پتنت در رتبه دوم و سوم قرار می‌گیرند.





# فناوری‌های الویت‌دار پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی با رویکرد تحلیل پتنت



در این نمودار زیربخش‌های فناوری برتر براساس تعداد تکرار در پتنت‌های این حوزه ارائه شده است. زیر بخش فناوری A61k که حدود ۲۱ درصد از پتنت‌ها را شامل می‌شود، در رتبه اول قرار گرفته است. پس از آن C12N و A61P با داشتن ۲۰.۵۸ و ۱۴.۸۳ درصد از پتنت‌ها در رتبه‌های بعدی قرار می‌گیرند.

# فناوری‌های الویت‌دار با رویکرد تحلیل پتنت (۱)

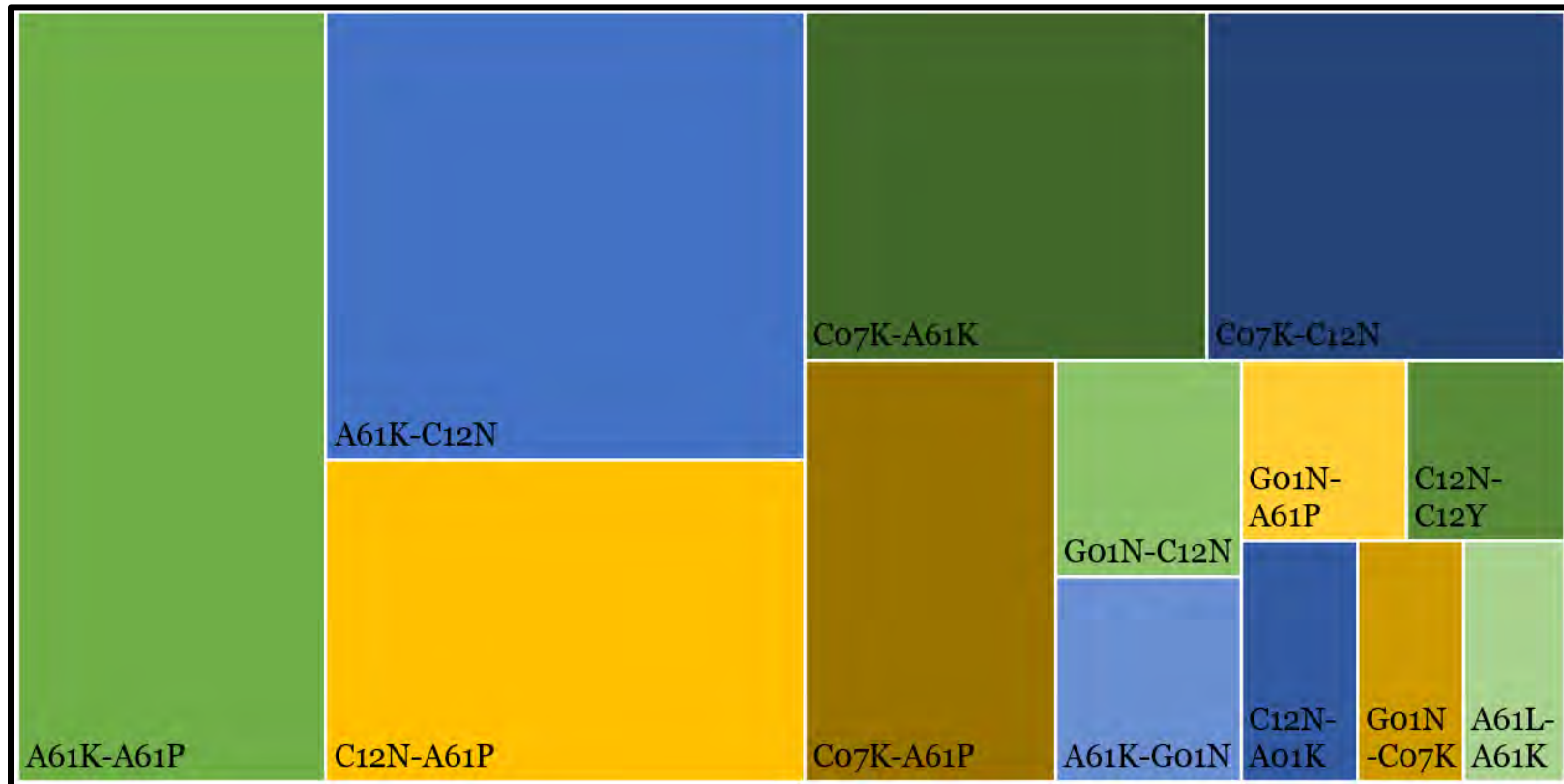
عنوان	زیربخش فناوری	ردیف
preparations for medical, dental or toiletry purposes devices or methods specially adapted for bringing pharmaceutical products into particular physical or administering forms پیشگیری و درمان بیماری‌ها، محصولات دندانپزشکی و بهداشتی، دستگاه‌ها یا روش‌های ویژه برای تولید فرم‌های فیزیکی خاص محصولات دارویی	A61K	۱
microorganisms or enzymes compositions thereof propagating, preserving, or maintaining microorganisms mutation or genetic engineering culture media تکثیر، حفظ یا نگهداری میکروارگانیسم‌ها یا آنزیم‌ها، جهش یا مهندسی میکروبیولوژیکی تستینگ میڈیا ژنتیک	C12N	۲
specific therapeutic activity of chemical compounds or medicinal preparations فعالیت درمانی خاص ترکیبات شیمیایی یا آماده سازی های دارویی	A61P	۳
peptides peptides in foodstuffs a23 ; obtaining protein compositions for foodstuffs, working-up proteins for foodstuffs a23j پپتیدهای موجود در مواد غذایی تولید پروتئین برای مواد غذایی	C07K	۴
Investigating or analyzing materials by determining their chemical or physical properties بررسی یا تجزیه و تحلیل مواد با هدف تعیین خواص شیمیایی یا فیزیکی آنها	G01N	۵
methods or apparatus for sterilising materials or objects in general disinfection, sterilisation or deodorisation of air chemical aspects of bandages, dressings, absorbent pads or surgical articles materials روش‌ها یا دستگاه‌هایی برای استریل کردن مواد یا اشیاء در گندزدایی عمومی، استریل‌سازی یا بوی‌زدایی جنبه‌های شیمیایی هوا باندازها، پانسمان‌ها، پدهای جاذب یا اقلام جراحی	A61L	۶

## فناوری‌های الویت‌دار با رویکرد تحلیل پتنت (۲)

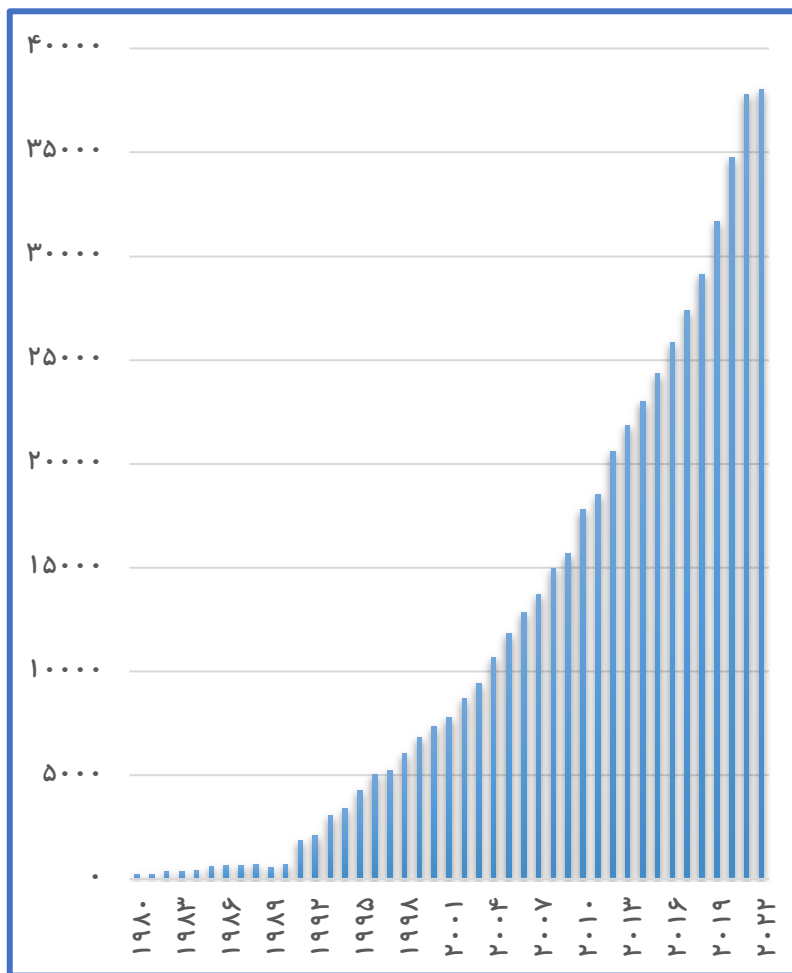
عنوان	زیربخش فناوری	ردیف
measuring or testing processes involving enzymes, nucleic acids or microorganisms اندازه‌گیری یا آزمایش فرایندهای شامل آنزیم‌ها، اسیدهای نوکلئیک یا میکروارگانیسم‌ها	C12Q	۷
animal husbandry care of birds, fishes, insects fishing rearing or breeding animals, not otherwise provided for new breeds of animals مراقبت دامپروری از پرندگان، ماهی‌ها، حشرات ماهیگیری در حال پرورش یا پرورش حیوانات	A01K	۸
technologies for adaptation to climate change فن‌آوری‌های سازگار با تغییرات آب و هوایی	Y02A	۹
Enzymes آنزیم‌ها	C12Y	۱۰
apparatus for enzymology or microbiology apparatus for culturing microorganisms for producing biomass دستگاه آنزیم‌شناسی یا دستگاه میکروبیولوژی برای کشت میکروارگانیسم‌ها	C12M	۱۱

# ارتباطات میان حوزه‌های الویت‌دار فناوری

در نمودار زیر ارتباط میان زیربخش‌های فناوری در حوزه پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی نشان داده شده است. اندازه مستطیل‌ها نشان دهنده میزان ارتباط دو زیربخش است. زیر بخش فناوری درمان بیماری و آماده‌سازی دارویی بیشترین ارتباط را با هم دارند.

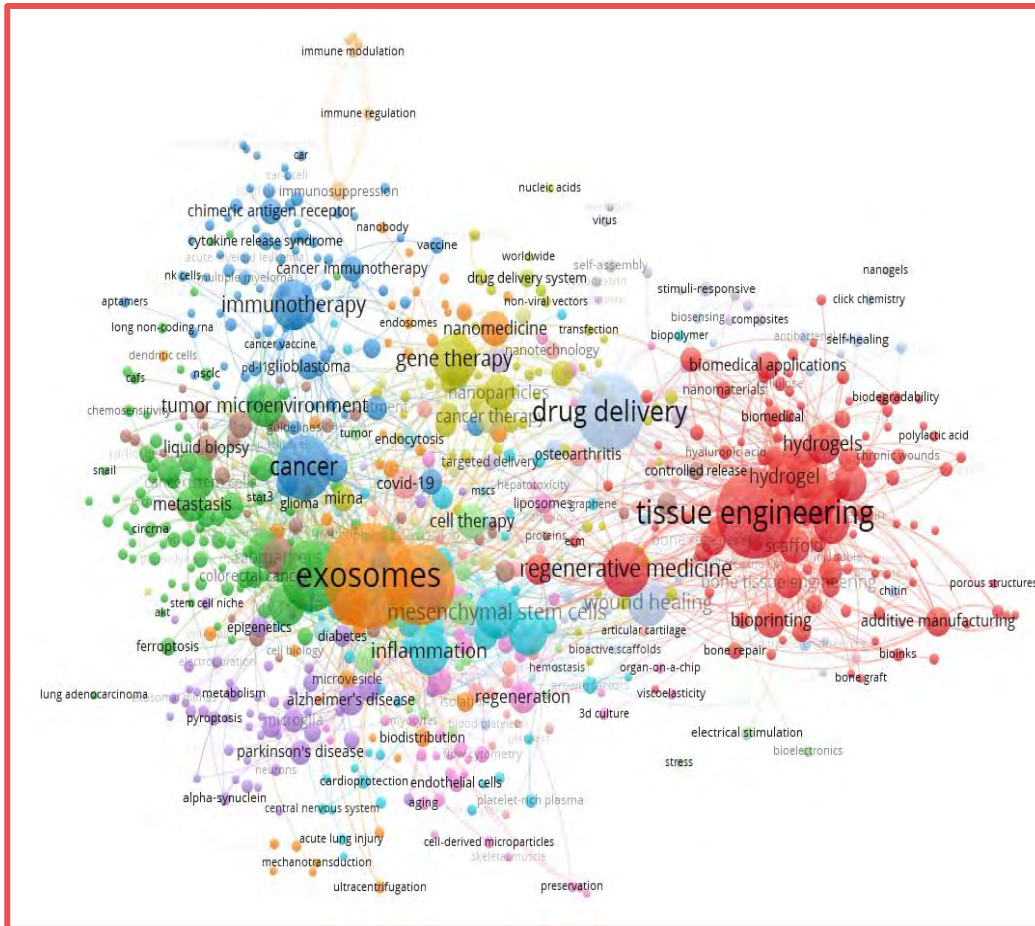


## روند چاپ مقاله در حوزه فناوری‌های پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی (۱۹۸۰-۲۰۲۲)



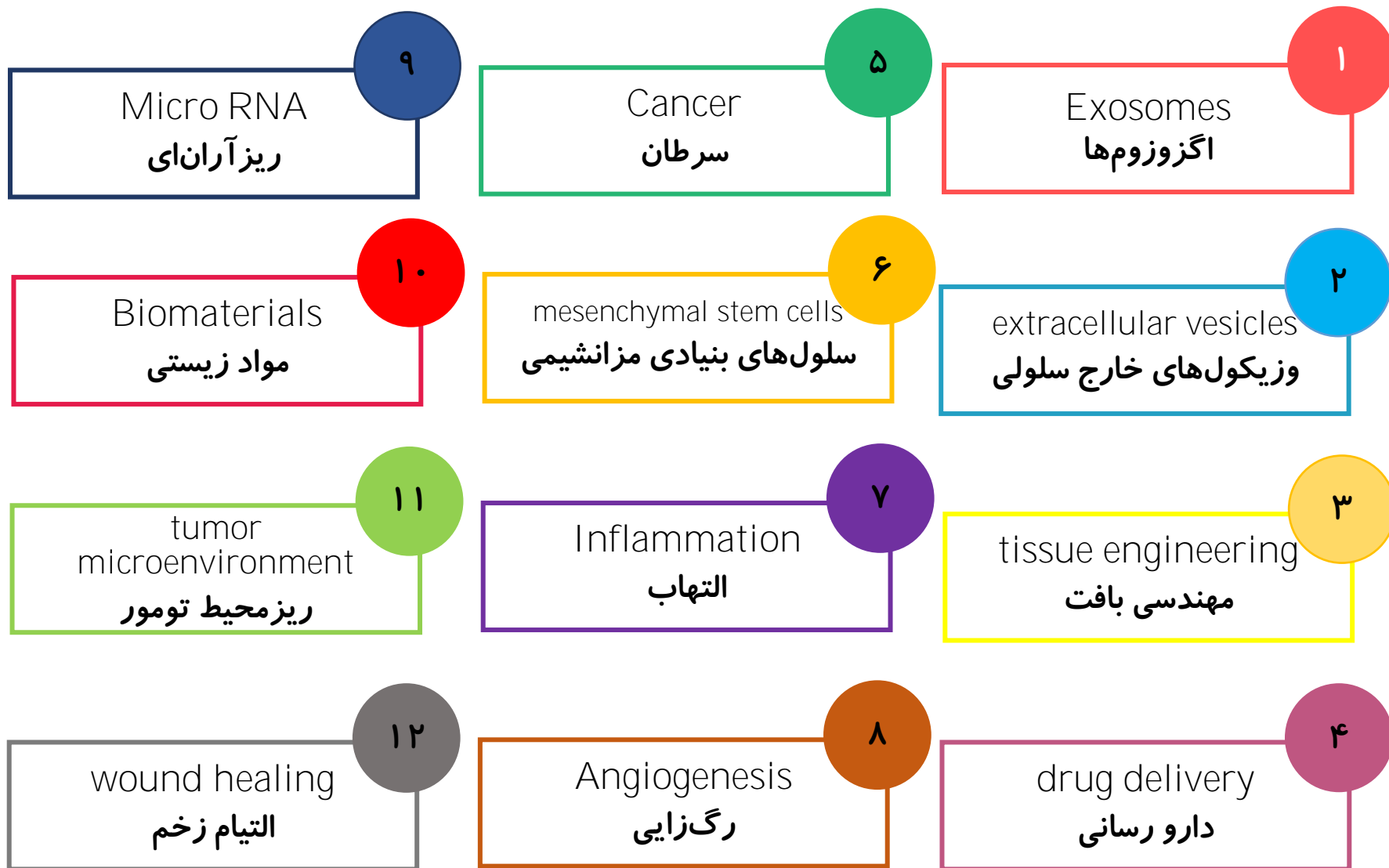
این نمودار روند انتشار مقاله در حوزه فناوری‌های پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی را نشان می‌دهد. تعداد مقالات منتشر شده در این حوزه در طی سال‌ها رو به افزایش بوده است، به طوری که در ۴ سال اخیر سالیانه بیش از ۳۰ هزار مقاله در این حوزه به چاپ رسیده است.

# حوزه‌های الویت‌دار با رویکرد تحلیل مقاله (۱)

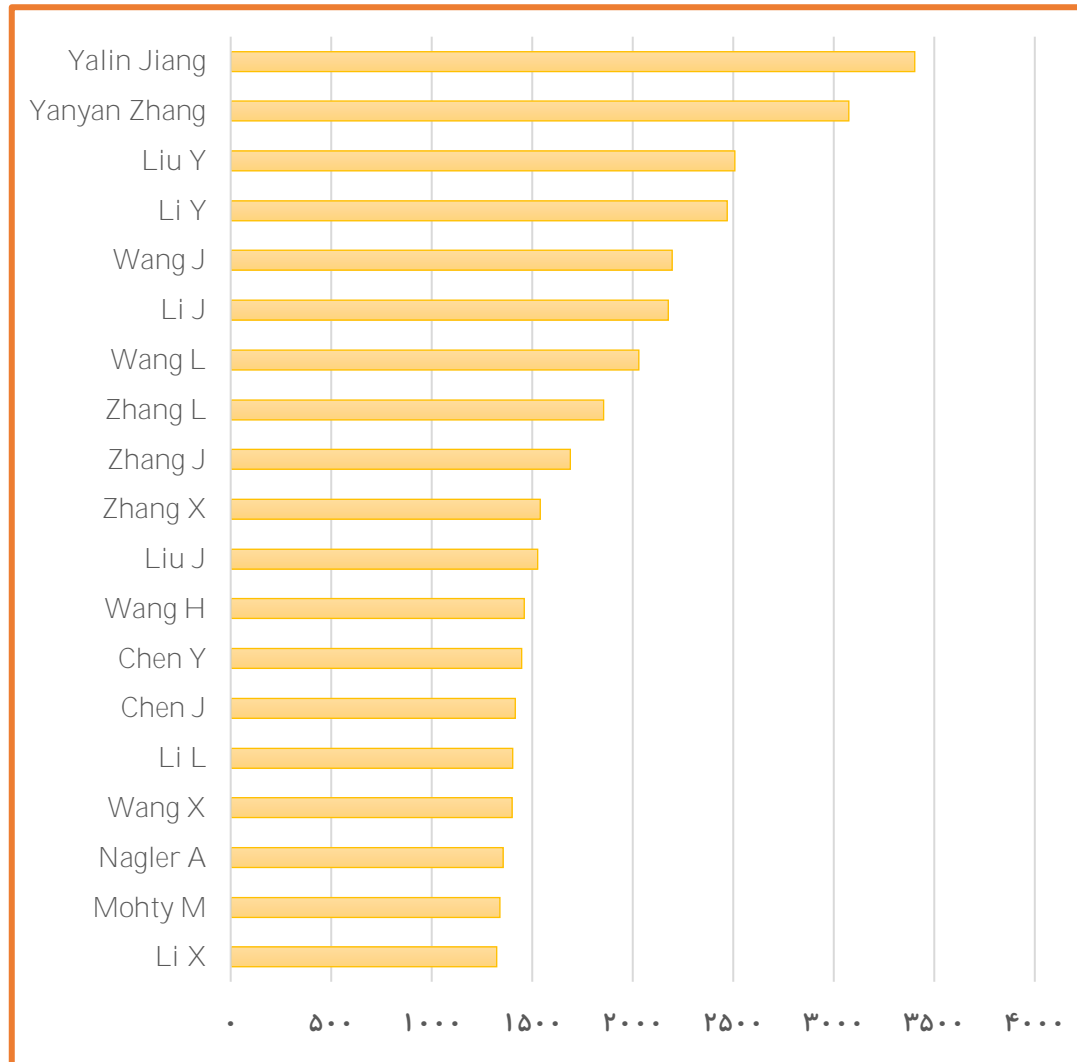


از واژه‌هایی که در مقالات پراستناد در حوزه فناوری‌های پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی تکرار بالا داشته‌اند، استفاده شده است تا شبکه هم‌رخدادی واژگان ترسیم شود. کلمات مرکزی این شبکه که موضوعات اصلی را نشان می‌دهند، در اسلاید بعدی ارائه شده است.

## حوزه‌های الویت‌دار با رویکرد تحلیل مقاله (۲)



# نویسندگان دارای بیشترین تعداد انتشار مقاله

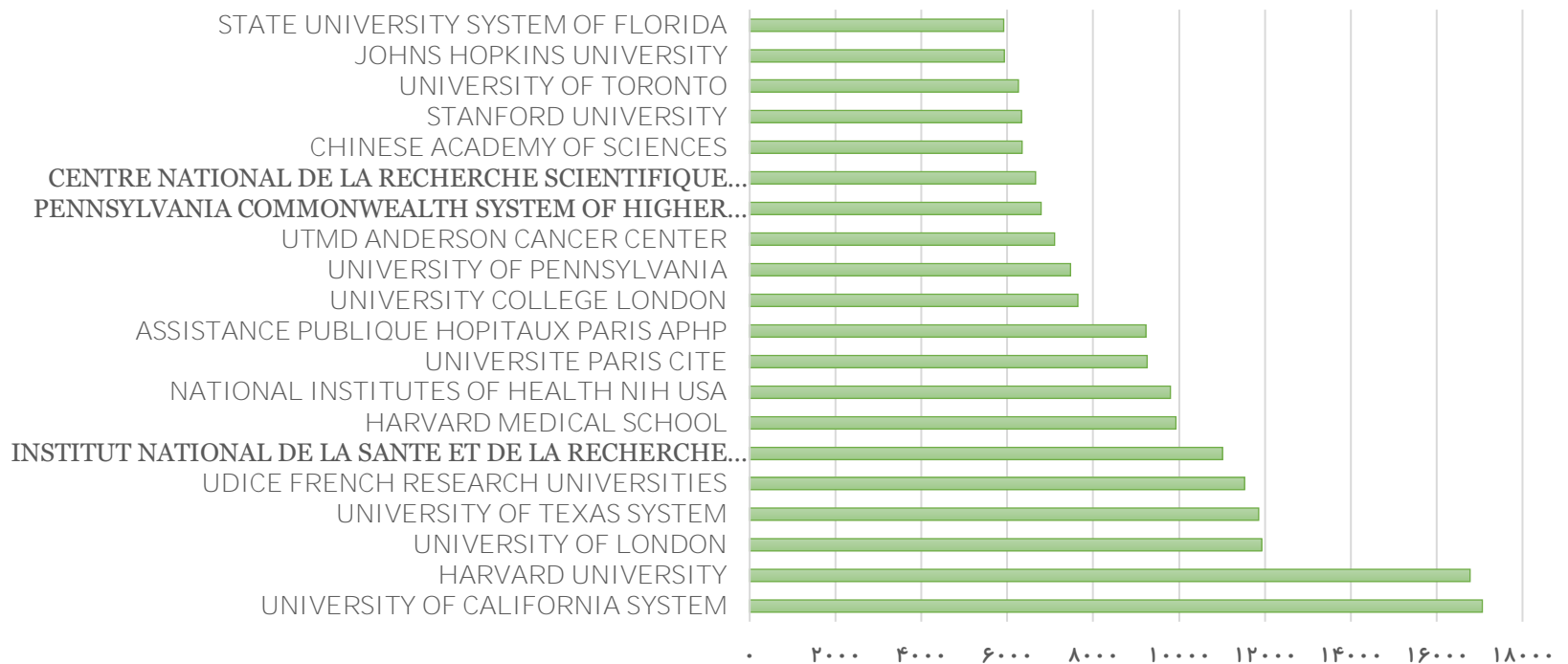


در این نمودار نویسندگان برتر حوزه فناوری‌های پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی ارائه شده است. Yalin Jiang از دانشگاه نانجینگ با داشتن ۳۴۰۳ مقاله در رتبه اول قرار دارد. Yanyan Zhang با داشتن ۳۰۷۵ مقاله از دانشگاه بیجینگ در رتبه دوم قرار دارد



# دانشگاه‌های دارای بیشترین تعداد انتشار مقاله (۱)

در این نمودار دانشگاه‌های برتر براساس میزان انتشار مقاله آورده شده‌اند. دانشگاه کالیفرنیا با داشتن ۱۷۰۵۳ مقاله، دانشگاه هاروارد با داشتن ۱۶۷۷۹ مقاله و دانشگاه لندن با داشتن ۱۱۹۲۱ مقاله در رتبه‌های اول تا سوم قرار می‌گیرند.



## دانشگاه‌های دارای بیشترین تعداد انتشار مقاله (۲)

دانشگاه لندن ک دانشگاه فدرال است که عمده بخش‌های آن در لندن واقع است و پس از دانشگاه آزاد انگلستان دومین دانشگاه بزرگ بریتانیا است. این دانشگاه بیش از ۱۸ کالج و مؤسسه تحصیلی را در خود جای داده است و تخصص‌های مختلفی را در برمی‌گیرد. حدود ۲.۲۲ درصد از مقالات این حوزه با نام سازمانی این دانشگاه منتشر شده است.

دانشگاه لندن



دانشگاه هاروارد یکی از قدیمی‌ترین دانشگاه‌های آمریکا است. این دانشگاه در شهر کمبریج ایالت ماساچوست قرار دارد. این سازمان نیز حدود ۳.۱۳ درصد از تحقیقات این حوزه را انجام داده است.

دانشگاه هاروارد

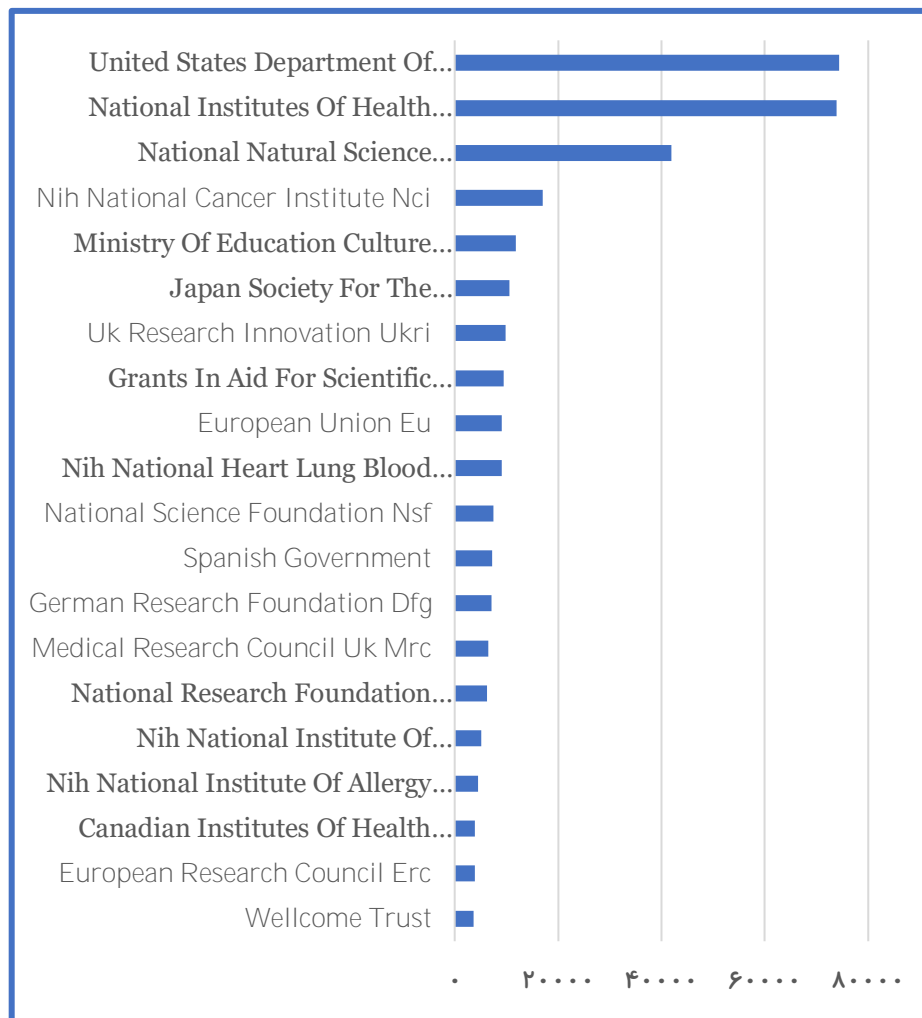


سیستم دانشگاه کالیفرنیا شامل ۱۰ دانشگاه اصلی و بیش از ۲۸۰ هزار دانشجوی تحصیلات تکمیلی است. دانشگاه کالیفرنیا از نظر تعداد دانشجویان و تأثیر بین‌المللی یکی از بزرگترین سیستم‌های آموزش عالی در جهان است. این سازمان نیز حدود ۳.۱۸ درصد از تحقیقات این حوزه را انجام داده است.

سیستم دانشگاه کالیفرنیا



## نهادهای تامین کننده مالی مقالات



در این نمودار، تأمین کنندگان مالی برجسته در حوزه فناوری‌های پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی به تصویر کشیده شده‌اند. خدمات انسانی وزارت بهداشت ایالات متحده با حمایت مالی ۱۴ درصدی از کل مقالات این حوزه بزرگترین تامین کننده مالی مقالات است. بعد از آن موسسه ملی سلامت که یکی از زیر شاخه‌های وزارت بهداشت و خدمات انسانی ایالات متحده آمریکا است با حمایت ۱۳.۸ درصد از مقالات در رتبه دوم قرار می‌گیرد. بنیاد علوم طبیعی چین نیز با حمایت ۷.۸ درصدی از مقالات در رتبه سوم قرار می‌گیرد.

# فرایند اجرایی گزارش سلول‌های بنیادی و پزشکی بازساختی



# مراحل اجرایی طی شده در گزارش سلول بنیادی و پزشکی بازساختی

## گام اول: تجزیه و تحلیل گزارش‌های بین‌المللی

۱- جست‌وجو و انتخاب گزارش‌های بین‌المللی برای شناسایی فناوری‌های اولویت‌دار

۲- تجزیه و تحلیل گزارش‌های بین‌المللی با هدف شناسایی حوزه‌ها و فناوری‌های اولویت‌دار آینده

۳- استخراج فناوری‌های اولویت‌دار آینده با توجه بر تأثیر آن‌ها بر حوزه‌های اولویت‌دار

۴- تشریح هر یک از فناوری‌های اولویت‌دار آینده

## گام دوم: تجزیه و تحلیل مقالات و اختراعات

۱- جست‌وجو در پایگاه‌های داده

۲- شناسایی پتنت‌های برتر در حوزه سلول‌های بنیادی و پزشکی بازساختی

۳- شناسایی فناوری‌ها و حوزه‌های اولویت‌دار

۴- جست‌وجو در پایگاه داده‌های مقالات

۵- شناسایی حوزه‌های اولویت‌دار

۶- شناسایی نویسندگان و دانشگاه‌های برتر حوزه سلول‌های بنیادی و پزشکی بازساختی

# گام اول؛ مرحله اول؛ فرایند جستوجو و انتخاب گزارش (۱)

در این مرحله به منظور شناسایی و انتخاب گزارش‌های معتبر بین‌المللی در حوزه سلول‌های بنیادی و پزشکی بازساختی در جستجوگر گوگل با کلیدواژه‌هایی همچون Stem cells, regenerative medicine, new technologies of regenerative medicine, priority areas of regenerative medicine, new technologies of stem cells و همچنین براساس معیارهای ذیل جستجو صورت پذیرفت:

- گزارش‌های بین‌المللی منتشر شده توسط ناشرهای معتبر همچون PerkinElmer و Alliance for Regenerative Medicine
- ارتباط موضوعی و محتوایی گزارش‌ها با اهداف گزارش سلول‌های بنیادی و پزشکی بازساختی
- قلمرو زمانی جستجو بین سال‌های ۲۰۱۸ تا ۲۰۲۳

## ژن درمانی یکبار برای همیشه



- عنوان گزارش:
- ژن درمانی یکبار برای همیشه
- ناشر:
- KPMG
- سال نشر:
- ۲۰۲۱
- هدف و مخاطبین:
- آشنایی پزشکان و متخصصان با بیماری‌های مونوژنیک و درمان‌های اخیر نوکلئیک اسید
- مورد تأیید FDA برای بهبود روند درمان بیماران این حوزه.

"One-and-done" gene therapies (2021), KPMG. Available at: <https://kpmg.com/kpmg-us/content/dam/kpmg/pdf/2021/one-and-done-therapies.pdf>

## گزارش استارت آپ‌ها در سال ۲۰۲۳



- عنوان گزارش:
- گزارش استارت آپ‌ها در سال ۲۰۲۳
- ناشر:
- Terrapinn
- سال نشر:
- ۲۰۲۳
- هدف و مخاطبین:
- بررسی و معرفی استارت‌آپ‌های جدید حوزه پزشکی برای آشنایی متخصصان و سرمایه‌گذاران با پزشکان با درمان‌های جدید حوزه سلول‌های بنیادی و پزشکی بازساختی.

Start-ups Report 2023 (2023), Terrapinn. Available at: <https://www.terrapinn.com/congress/advanced-therapies/Data/start-ups-report-2023-updated-130223.pdf>

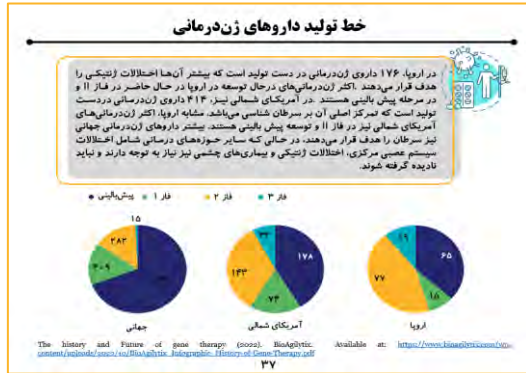
## گام اول؛ مرحله اول؛ فرایند جستوجو و انتخاب گزارش (۲)

به منظور انتخاب گزارش‌های بین‌المللی ابتدا تعداد ۴۸ گزارش از طریق جستجو در گوگل یافت شد، سپس تعداد ۱۸ گزارش به دلیل اینکه توسط ناشران کمتر شناخته شده و سال انتشار ماقبل ۲۰۱۸ حذف گردید. پس از آن گزارش‌های باقی مانده به طور کلی مرور و مورد بررسی قرار گرفت و تعداد ۹ گزارش دیگر نیز به دلیل عدم انطباق محتوای آن‌ها با اهداف این گزارش حذف شد. در قدم نهایی محتوای گزارش‌ها با دقت بالا بررسی شده و تعداد ۱۱ گزارش دیگر حذف و ۱۰ گزارش برای بررسی انتخاب گردید.



# گام اول؛ مرحله دوم و سوم؛ تجزیه و تحلیل گزارش‌های بین‌المللی و استخراج فناوری‌های آینده

## مرحله دوم؛ تجزیه و تحلیل گزارش‌های بین‌المللی



در این مرحله گزارش‌های بین‌المللی با هدف شناسایی فناوری‌های اولویت‌دار آینده مورد تجزیه و تحلیل قرار گرفتند. علاوه بر این تلاش شده است اطلاعاتی همچون چالش‌ها و فرصت‌ها، سهم بازار و همچنین حوزه‌هایی که فناوری‌های سلول‌های بنیادی و پزشکی بازساختی بر آن‌ها تأثیر خواهند گذاشت شناسایی و بررسی شوند.

## مرحله سوم؛ استخراج فناوری‌های آینده

در انتهای هر گزارش نیز اسلایدی به عنوان جمع‌بندی آورده شده است که در آن فناوری‌ها و حوزه‌های اولویت‌دار شناسایی شده به صورت دسته‌بندی شده قرار گرفته است.

**جمع‌بندی**

ژن‌درمانی	حوزه‌های اولویت‌دار	فناوری‌های اولویت‌دار
●	فناوری‌های اولویت‌دار	فناوری‌های اولویت‌دار
●	فناوری‌های اولویت‌دار	فناوری‌های اولویت‌دار
●	فناوری‌های اولویت‌دار	فناوری‌های اولویت‌دار
●	فناوری‌های اولویت‌دار	فناوری‌های اولویت‌دار
●	فناوری‌های اولویت‌دار	فناوری‌های اولویت‌دار
●	فناوری‌های اولویت‌دار	فناوری‌های اولویت‌دار
●	فناوری‌های اولویت‌دار	فناوری‌های اولویت‌دار
●	فناوری‌های اولویت‌دار	فناوری‌های اولویت‌دار
●	فناوری‌های اولویت‌دار	فناوری‌های اولویت‌دار

"One-and-done" gene therapies (book). KPMG. Available at: <https://pmg.com/insights/consumer/health/biotech/one-and-done-gene-therapies.pdf>



# گام اول؛ مرحله چهارم؛ تشریح هر یک از فناوری‌های اولویت‌دار آینده

پس از آن‌که ۱۰ گزارش بین‌المللی مورد بررسی قرار گرفت، تمامی فناوری‌های شناسایی شده در تمامی ۱۰ گزارش تجمیع و یکپارچه‌سازی شده و لیستی از ۵۷ فناوری اولویت‌دار براساس ۸ حوزه استخراج گردید. سپس هر یک از فناوری‌ها به صورت جداگانه تعریف و تشریح شد.

## حوزه‌های اولویت‌دار سلول‌های بنیادی و پزشکی بازساختی



۲۰۰

## فناوری‌های حوزه ایمونو درمانی‌های سلولی

۱- CAR-T درمانی برای سرطان	۲- فناوری TIL درمانی برای درمان بیماری ملانوم متاستاتیک	۳- CAR-M درمانی برای درمان تومورهای جامد
۴- فناوری ترکیبی از ویرایش ژن و سلول‌های بنیادی برای درمان بیماری‌هایی همچون نقص ایمنی ترکیبی شدید، لوکودیستروفی‌ها و بیماری پروانه‌ای	۵- توسعه سلول‌های کشنده طبیعی (NK) برای درمان سرطان	

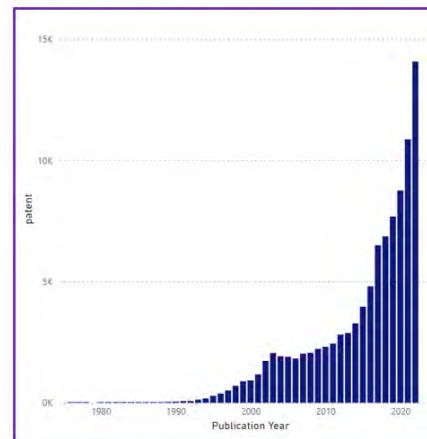
۲۱۳

# گام دوم؛ مرحله اول؛ فرایند جستجو در پایگاه داده‌های پتنت

در این مرحله به منظور شناسایی و بازیابی پتنت‌های این حوزه با کلیدواژه‌هایی همچون stem cell, gene therapy, gene editing, regenerative medicine, bone marrow transplantation, hematopoietic stem cell, immune cell therapy, tissue engineering, cell therapy, extracellular vesicles, exosomes, exosome therapy, CAR T-cell, CAR-NK, DC vaccine, cell vaccine, adaptive immunotherapy, viral vectors در عنوان، چکیده، ادعا و حوزه‌های موضوعی پتنت‌ها جست و جو شده و نهایتاً تعداد ۹۳۷۶۰ پتنت یکتا شناسایی شدند. همچنین معیارهای زیر نیز در فرایند جستجو در نظر گرفته شدند:

- استفاده از پایگاه داده معتبر بین‌المللی lens
- برای جستجوی پتنت (lens) یک پایگاه داده قدرتمند است که بیش از ۱۴۰ میلیون سند پتنت از سراسر جهان را فراهم می‌کند.
- ارتباط پتنت‌ها با اهداف گزارش فناوری‌های پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی
- قلمرو زمانی گزارش‌ها بین سال‌های ۱۹۷۵ تا ۲۰۲۳

## روند ثبت پتنت در حوزه فناوری‌های پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی (۱۹۸۰-۲۰۲۲)

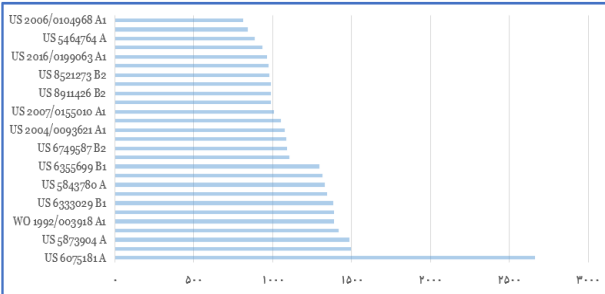


نمودار روبه‌رو روند ثبت پتنت در حوزه فناوری‌های پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی را نشان می‌دهد. با توجه به این نمودار ثبت پتنت در این حوزه روندی افزایشی داشته و با نرخ بالایی رو به افزایش است. بالاترین میزان ثبت پتنت مربوط به سال ۲۰۲۲ است، در این سال ۱۴۰ پتنت در این حوزه به ثبت رسیده است.

# گام دوم؛ مرحله دوم و سوم؛ شناسایی پتنت‌های برتر و شناسایی فناوری‌ها و حوزه‌های اولویت‌دار

## پتنت‌های دارای بیشترین ارجاع

در این نمودار پتنت‌ها برتر از لحاظ تعداد ارجاع ارائه شده‌اند. پتنت مربوط به آنتی‌بادی‌های انسانی با داشتن ۲۶۶۶ بار ارجاع در رتبه نخست قرار گرفته است.



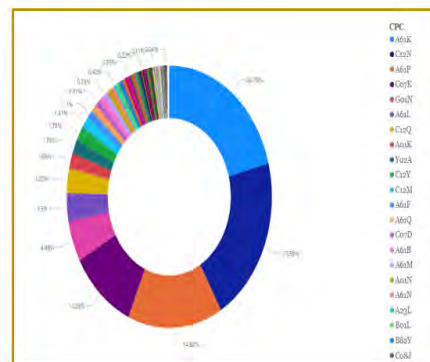
## مرحله دوم؛ شناسایی پتنت‌های پر استناد

در مرحله دوم، پس از شناسایی پتنت‌های برتر، تعداد ۵ پتنت برتر معرفی و تشریح شدند، سپس با هدف شناسایی پتنت‌های روز دنیا در این حوزه با در نظر گرفتن پتنت‌های سه سال اخیر (پتنت‌های سال‌های ۲۰۲۱ تا ۲۰۲۳)، پتنت‌های پر استناد شناسایی شده و تعداد ۱۰ پتنت برتر روز معرفی و شرح داده شدند.

## مرحله سوم؛ شناسایی فناوری‌ها و حوزه‌های اولویت‌دار

در مرحله سوم فناوری‌های برتر در حوزه‌های اولویت‌داری که مشخص و کدگذاری شده‌اند، شناسایی و درصد فراوانی آن‌ها تعیین شده است. سپس میزان ارتباطات زیربخش‌های فناوری در حوزه فناوری‌های پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی نشان داده شده است.

## فناوری‌های الویت‌دار پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی با رویکرد تحلیل پنت



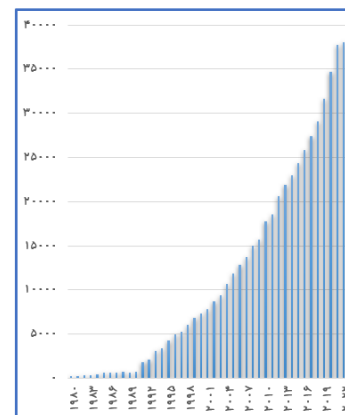
در این نمودار زیربخش‌های فناوری برتر براساس تعداد تکرار در پتنت‌های این حوزه ارائه شده است. زیر بخش فناوری A61k که حدود ۲۱ درصد از پتنت‌ها را شامل می‌شود، در رتبه اول قرار گرفته است. پس از آن A61P و C12N با داشتن ۲۰.۵۸ و ۱۴.۸۳ درصد از پتنت‌ها در رتبه‌های بعدی قرار می‌گیرند.

# گام دوم؛ مرحله چهارم؛ فرایند جستجو در پایگاه داده‌های مقالات

در این مرحله به منظور شناسایی و بازیابی مقالات این حوزه با کلیدواژه‌هایی همچون stem cell, gene therapy, gene editing, regenerative medicine, bone marrow transplantation, hematopoietic stem cell, immune cell therapy, tissue engineering, cell therapy, extracellular vesicles, exosomes, exosome therapy, CAR T-cell, CAR-NK, DC vaccine, cell vaccine, adaptive immunotherapy, viral vectors در عنوان، چکیده، کلمات کلیدی و حوزه‌های موضوعی مقالات جست و جو شده و نهایتاً تعداد ۵۳۵۴۲۰ مقاله شناسایی شدند. همچنین معیارهای زیر نیز در فرایند جستجو در نظر گرفته شدند:

- استفاده از پایگاه داده معتبر بین‌المللی web of science برای جستجوی مقالات
- ارتباط مقالات با اهداف گزارش فناوری‌های پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی
- قلمرو زمانی گزارش‌ها بین سال‌های ۱۹۵۵ تا ۲۰۲۳

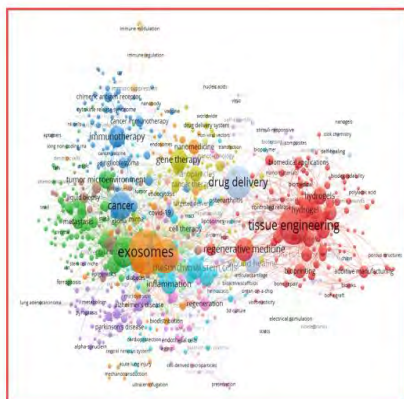
روند چاپ مقاله در حوزه فناوری‌های پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی (۱۹۸۰-۲۰۲۲)



این نمودار روند انتشار مقاله در حوزه فناوری‌های پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی را نشان می‌دهد. تعداد مقالات منتشر شده در این حوزه در طی سال‌ها رو به افزایش بوده است، به طوری که در ۴ سال اخیر سالیانه بیش از ۳۰ هزار مقاله در این حوزه به چاپ رسیده است.

## گام دوم؛ مرحله پنجم و ششم؛ شناسایی حوزه‌های اولویت‌دار و نویسندگان و دانشگاه‌های دارای بیشترین مقاله

### حوزه‌های اولویت‌دار با رویکرد تحلیل مقاله (۱)



از واژه‌هایی که در مقالات پرستاد در حوزه فناوری‌های پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی تکرار بالا داشته‌اند، استفاده کرده‌ایم تا شبکه هم‌رخدادی واژگان را ترسیم کنیم. کلمات مرکزی این شبکه که موضوعات اصلی را نشان می‌دهند، در اسلاید بعدی ارائه شده است.

### مرحله پنجم؛ شناسایی حوزه‌های اولویت‌دار

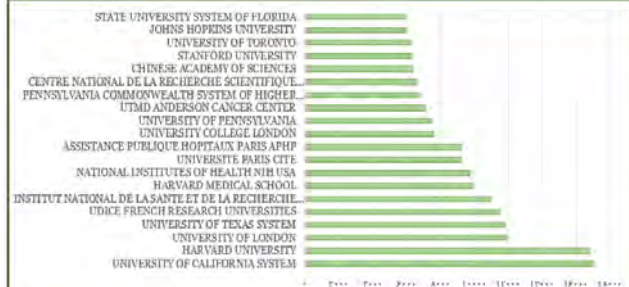
در مرحله پنجم با استفاده از واژه‌هایی که تکرار بالایی در مجموعه مقالات فناوری‌های پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی داشته‌اند حوزه‌های اولویت‌دار فناوری‌های پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی از منظر تحلیل مقاله شناسایی شدند و همچنین شبکه ارتباطی این حوزه‌ها ترسیم گردیده است.

### مرحله ششم؛ شناسایی نویسندگان و دانشگاه‌های دارای بیشترین انتشار مقاله

در این مرحله پنج نویسنده دارای بیشترین تعداد انتشار مقاله و همچنین سازمان‌های برتر منتشر کننده مقالات حوزه فناوری‌های پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی شناسایی و در غالب نمودار نمایش داده شده‌اند.

### دانشگاه‌های دارای بیشترین تعداد انتشار مقاله (۱)

در این نمودار دانشگاه‌های برتر براساس میزان انتشار مقاله آورده شده‌اند. دانشگاه کالیفرنیا با داشتن ۱۷۰۵۳ مقاله، دانشگاه هاروارد با داشتن ۱۶۷۷۹ مقاله و دانشگاه لندن با داشتن ۱۱۹۲۱ مقاله در رتبه‌های اول تا سوم قرار می‌گیرند.



## منابع (١)

"One-and-done" gene therapies (2021). KPMG. Available at: <https://kpmg.com/kpmg-us/content/dam/kpmg/pdf/2023/cell-and-gene-therapies.pdf>

GAP ANALYSIS FOR THE CELL AND GENE THERAPY SECTOR (2023). Alliance for Regenerative Medicine. Available at: <http://alliancerm.org/wp-content/uploads/2023/03/ARM-Workforce-Gap-Analysis.pdf>

GENE THERAPY INDUSTRY REPORT (2021). PerkinElmer. Available at: <https://resources.perkinelmer.com/lab-solutions/resources/docs/whp-gene-therapy-industry-report-2021.pdf>

Gene, Cell, + RNA Therapy Landscape Report (2023). American Society of Gene and Cell Therapy. Available at: <https://asgct.org/global/documents/asgct-citeline-q3-2023-report.aspx>

International Trends for the Blood Sector (2023). National Blood Authority. Available at: <https://blood.gov.au/sites/default/files/2023%20Q1%20Jan-March%20International%20Trends%20report.pdf>

## منابع (٢)

Recommendations for Timely Access to Advanced Therapy Medicinal Products (ATMPs) in Europe (2019). Alliance for Regenerative Medicine. Available at: <http://alliancerm.org/wp-content/uploads/2019/07/ARM-Market-Access-Report-FINAL.pdf>

Regenerative Medicine (2023). GAO. Available at: <https://www.gao.gov/assets/gao-23-105430.pdf>

REGENERATIVE MEDICINE USING STEM CELLS (2021). University of Cincinnati. Available at: <https://www.uc.edu/content/dam/refresh/cont-ed-62/olli/stem-cells-regenerative-medicine.pdf>

Start-ups Report 2023 (2023). Terrapinn. Available at: <https://www.terrapinn-cdn.com/congress/advanced-therapies/Data/start-ups-report-2023-updated-130223.pdf>

The history and Future of gene therapy (2022). BioAgilytix. Available at: [https://www.bioagilytix.com/wp-content/uploads/2022/10/BioAgilytix\\_Infographic\\_History-of-Gene-Therapy.pdf](https://www.bioagilytix.com/wp-content/uploads/2022/10/BioAgilytix_Infographic_History-of-Gene-Therapy.pdf)









www.isti.ir

مرکز ارتباطات و اطلاع رسانی

معاونت علمی، فناوری و اقتصاد دانش بنیان ریاست جمهوری

www.isti.ir