دکتر مریم اسلامی

پزشک و دکتری تخصصی ژنتیک

پیشرفت پزشکی از طریق سلول و ژن درمانی

سلول‌های درمانی و ژن‌درمانی پزشکی مدرن را متحول می‌کنند و درمان‌های بالقوه‌ای را برای بیماری‌هایی که زمانی غیرقابل درمان می‌دانستند، ارائه می‌دهند. با این حال، آوردن این درمان ها از آزمایشگاه به بازار مستلزم عبور از موانع پیچیده علمی، عملیاتی و نظارتی است. در اجلاس مجازی Pharma Life Sciences 2024 پیشرفت‌ها در سلول و ژن درمانی، کارشناسان برتر صنعت بینش‌های خود را در طی پانل «پیشبرد پزشکی از طریق سلول‌درمانی و ژن درمانی» در 18 سپتامبر 2024 به اشتراک گذاشتند.

استراتژی‌های علمی و عملیاتی برای موفقیتCGT

سفر از اکتشافات علمی تا موفقیت تجاری در سلول درمانی و ژن درمانی شاهکار کوچکی نیست. پیچیدگی‌های زیست‌شناسی بیماری، آزمایش‌های بالینی و مشارکت بیمار همگی نقش‌های حیاتی دارند. سریواستاوا توضیح داد که چهار جنبه کلیدی برای پیشرفت CGTضروری است: درک بیولوژی بیماری، پتانسیل درمانی، آمادگی آزمایش بالینی و مشارکت اولیه بیمار، با تاکید بر اهمیت درک بیولوژی پشت بیماری و پتانسیل درمانی CGTدر رسیدگی به نیازهای پزشکی برآورده نشده. سریواستاوا افزود که آمادگی کارآزمایی بالینی یک چالش نسبتاً جدید برای CGT است. برخلاف درمان‌های سنتی، ارائه این درمان‌ها دشوار است و به زیرساخت‌هایی نیاز دارند که از طرح‌های پیچیده کارآزمایی بالینی پشتیبانی کند. ارائه این درمان ها دشوار است و زیرساخت ها باید قابل

اجرا باشند. شرکت‌ها باید برای تدارکات این آزمایش‌ها برنامه‌ریزی کنند و مطمئن شوند که زیرساخت‌ها و قابلیت‌ها قبل از شروع آزمایش‌ها وجود دارد. یکی از حیاتی‌ترین عوامل برای موفقیتCGT ، مشارکت بیمار است. همانطور که Srivastava اشاره کرد، درگیر کردن بیماران در مراحل اولیه و درک تاریخچه طبیعی بیماری می تواند به طور قابل توجهی بر طراحی کارآزمایی و نتایج تأثیر بگذارد. گروه‌های حامی بیمار نیز نقشی اساسی در شکل‌دهی به فرآیند کارآزمایی بالینی دارند. ونوک موافقت کرد و تأکید کرد که مشارکت بیمار محرک اصلی توسعه موفقیت آمیز CGT است. تمام این زمان، پول و تلاشی که صرف می شود برای ایجاد یک سلول کوچک در آزمایشگاه تا مرحله تأیید و مشارکت بیمار برای اطمینان از این موارد ضروری است. ونوک توضیح داد که درمان‌ها به افرادی که به آنها نیاز دارند می‌رسند. یکی از مهم‌ترین چالش‌های عملیاتی در سلول‌درمانی و ژن درمانی، افزایش تولید است. بر خلاف داروهای مولکولی کوچک که تولید آنها نسبتاً ساده است، محصولات CGT درمان‌های زنده‌ای هستند که باید در مقیاس بسیار بزرگ‌تر و بدون کاهش کیفیت تولید شوند. Vnook اهمیت برنامه‌ریزی برای مقیاس‌پذیری و استانداردهای نظارتی را در مراحل اولیه برجسته کرد همچنین بر اهمیت در نظر گرفتن جایگزین‌ها، مانند فن‌آوری‌های مختلف انجماد یا روش‌های دیگر، برای جلوگیری از تأخیر در عرضه محصول تأکید کرد. ستی افزود که پیشرفت های تکنولوژیکی، به ویژه در پردازش سلولی، مقیاس پذیری را افزایش می دهد. نوآوری‌هایی مانند بیوراکتورهای خودکار، پردازش زیستی سیستم بسته و تکنیک‌های پیشرفته کشت سلولی، فرآیند تولید را ساده‌تر می‌کنند، کارایی را بهبود می‌بخشند و احتمال خطا را کاهش می‌دهند. محیط کشت سلول‌های خارج از بدن باید برای تقلید از کنترل‌های طبیعی بدن کنترل شود، جایی که پیشرفت‌ها در بیوراکتورها به وجود می‌آیند. علی‌رغم

این پیشرفت‌ها، ستی هشدار داد که پذیرش همچنان کند است. شرکت‌ها اغلب بر روی تایید محصولات خود تمرکز می‌کنند و نگران تولید هستند، که این اشتباهی است که می‌تواند مقیاس‌پذیری را در این مسیر مختل کند. ستی تاکید کرد: این رویکرد می‌تواند منجر به انجام مطالعات مقایسه‌ای زمان‌بر شود. گسترش به بازارهای جهانی چالش‌های بیشتری را برای CGT به همراه دارد، به‌ویژه در مورد موانع مالی و نظارتی که ممکن است منجر به شکاف بودجه شود. دی کالبرماتن از این شکاف بودجه به عنوان "دره مرگ، مرحله‌ای که شرکت‌ها می‌توانند به دلیل سرمایه ناکافی به بن بست می‌رسند" اشاره می‌کند. سرمایه گذاری قابل توجهی که برای پیشبرد درمان از مراحل اولیه توسعه به بازار لازم است. انتقال از فاز 2 به فاز 3 آزمایشات بالینی مستلزم هجوم گسترده منابع است و بسیاری از شرکت ها برای تأمین بودجه لازم تلاش می کنند. ونوک خاطرنشان کرد که هماهنگ کردن آزمایشات بالینی مناطق می توانند به شرکت ها کمک کنند تا فرآیندهای تایید را ساده کنند. با این حال، تفاوت در الزامات نظارتی بین مناطق، مانند استفاده از دی متیل سولفوکسید در ژاپن در مقابل ایالات متحده، می تواند مسائل را پیچیده کند. ونوک توصیه کرد که هر منطقه الزامات نظارتی خاص خود را دارد که باید در مراحل اولیه در نظر گرفته شود تا از شکست های پرهزینه جلوگیری شود. او همچنین بر اهمیت برنامه ریزی اولیه برای گسترش بازار تاکید کرد. اطمینان از مطابقت آزمایشات با استانداردهای نظارتی جهانی می تواند در زمان و منابع صرفه جویی کند. موضوع مهم دیگر عدم تمایل سرمایه گذاران به تامین مالی اتوماسیون تولید در اوایل فرآیند است . De Kalbermattenبه اشتراک گذاشت که چگونه سرمایه گذاران اغلب شرکت ها را تحت فشار قرار می دهند تا آزمایشات بالینی و تأیید نظارتی را بر تولید اولویت دهند. با این حال، این رویکرد می‌تواند بعداً ناکارآمدی ایجاد کند، تلاش‌های تجاری‌سازی را به

تأخیر بیندازد و هزینه‌ها را افزایش دهد. سرمایه‌گذاران می‌خواهند قبل از تأمین بودجه تولید، نتایج آزمایش‌های بالینی را ببینند، اما به تأخیر انداختن اتوماسیون بعداً مشکلات بیشتری ایجاد می‌کند.

پیچیدگی های زنجیره تامین درCGT

زنجیره تامین برای CGT به دلیل ماهیت شکننده درمان ها و لجستیک تخصصی مورد نیاز برای اطمینان از دوام آنها به طور منحصر به فردی چالش برانگیز است. سریواستاوا توضیح داد که درمان های سلولی و ژنی اغلب به انتقال بیمار به درمان نیاز دارند تا درمان به بیمار، که تغییر عمده ای نسبت به مدل های توزیع سنتی دارو است. سریواستاوا توضیح داد که این امر باعث ایجاد تقاضاهای زیادی در تدارکات زنجیره تامین، به ویژه در شرایط سرما می شود. -مدیریت زنجیره. نگرانی عمده دیگر اطمینان از این است که همه شرکا در زنجیره تامین - از پیک گرفته تا توزیع کننده - به خوبی هماهنگ هستند تا از هرگونه اختلال در ارائه درمان جلوگیری شود. سریواستاوا خاطرنشان کرد که اینها درمان های زنده هستند و تاخیر در حمل و نقل می تواند به معنای تفاوت بین زندگی و مرگ باشد. او بر اهمیت سرمایه گذاری در زیرساخت های دیجیتال در مراحل اولیه برای اطمینان از هماهنگی یکپارچه بین تمام شرکای زنجیره تامین تاکید کرد. ستی بر اهمیت رهایی از ریسک زنجیره تامین تاکید کرد و خاطرنشان کرد که شرکت ها باید با تامین کنندگان قابل اعتماد همکاری کنند و اطمینان حاصل کنند که سیستم های آنها برای نیازهای خاص معتبر است. از CGT ها تامین کنندگان پایدار مواد خام و فناوری های حیاتی برای فرآیند تولید ضروری هستند. گسترش دسترسی و مشارکت بیماران

یک موضوع کلیدی در سراسر پانل، اهمیت دسترسی و مشارکت بیمار بود. ونوک تاکید کرد که با وجود پیچیدگی CGT ، ارتباط با بیماران باید ساده و واضح باشد. وظیفه ارائه دهندگان مراقبت های بهداشتی این است که درمان و مزایای آن را به گونه ای که بیماران بتوانند درک کنند، حتی در مواقع پریشانی، در میان بگذارند. ونوک اضافه کرد که نیاز شدیدی به آموزش بیمار و پیام‌های واضح وجود دارد، به‌ویژه زمانی که درمان‌های سلولی و ژنی برای کسانی که با این درمان‌های جدید آشنا نیستند توضیح داده می‌شود. دی کالبرمتن نیز این عقیده را تکرار کرد، اما اذعان داشت که گسترش دسترسی به بازارهای کم‌خدمت همچنان یک چالش مهم است. او گفت: «به دلیل هزینه بالای تولید و کمبود زیرساخت، انتشار CGT در بازارهای کم برخوردار دشوار است. با این حال، او خوش بین بود که پیشرفت های تکنولوژیکی و بهبود صرفه جویی در مقیاس می تواند به دسترسی بیشتر این درمان ها در آینده کمک کند. ستی پیشنهاد کرد که دولت ها می توانند نقش بزرگ تری در گسترش دسترسی ایفا کنند. افزایش مشارکت و حمایت دولت برای دستیابی به بیماران بیشتر، به ویژه در بازارهای کم خدمات ضروری است. دولت‌ها می‌توانند به گرد هم آوردن سهامداران کمک کنند تا اطمینان حاصل شود که درمان‌ها برای جمعیت وسیع‌تری از بیماران قابل دسترسی است. اگرچه آینده CGT نویدبخش است، راه پیش رو پر از چالش است. همانطور که این بحث پانل نشان داد، جامعه CGT باید در مناظر پیچیده نظارتی حرکت کند، تولید مقیاس را انجام دهد، و اطمینان حاصل کند که بیماران در طول فرآیند درمان درگیر و مطلع هستند. همانطور که صنعت برای غلبه بر این چالش ها کار می کند، همکاری بین دانشمندان، تولید کنندگان، نهادهای نظارتی و بیماران تضمین می کند که CGT به پتانسیل کامل خود در ایجاد تحول در مراقبت های بهداشتی دست یابد.

https://www.techtarget.com/pharmalifesciences/feature/Advancing-medicine-through-cell-and-gene-therapy?utm_source=linkedin&utm_medium=social&utm_content=ap_ad42riqx3l