

Az Esperite (ESP) szabadalmat kapott az MSC-eredetű exoszómák széles körű immunológiai alkalmazására

A római Bambino Gesù gyermekkórházból (OPBG) származó szabadalom lehetővé fogja tenni a hatékonyabb és hozzáférhetőbb terápiák fejlesztését a széles spektrumú gyulladásos és autoimmun betegségek terén, beleértve az 1-es típusú cukorbetegséget, ízületi gyulladásokat és a sclerosis multiplexet.

Zutphen, Hollandia - 2015. augusztus 17.

Az Esperite (Euronext: ESP) teljes körű nemzetközi szabadalmi jogokat szerzett a mesenchimális őssejtekből eredő exoszómák alkalmazására a gyulladásos és autoimmun betegségek kezelésének terén. Az Esperite jelenlegi pozíciójának köszönhetően élvonala lehet többek között a szerv- és sejt-transzplantáció után fellépő graft versus host betegség (GvHD), a Crohn betegség, az ízületi gyulladások, a sclerosis multiplex, a cisztás fibrózis, a stroke, a traumás agy- és gerinc sérülés, az újszülöttkori encephalopathia, vagy az 1-es típusú cukorbetegség kezelésének fejlődésében. Ez az exoszóma technológia hatékonyabb, biztonságosabb és megfizethetőbb terápiák kifejlesztését teszi lehetővé, melyek új alternatívákat jelenthetnek az allogén mesenchimális őssejtek (MSCs) felhasználása mellett.

Az exoszómák fontos részesei a sejt és sejt közötti kommunikációnak, élő szervezetben belül (in vivo) szabályozzák a sejtszintű folyamatokat, valamint az immunsejteket érintő kölcsönhatásokat is ők közvetítik. Bebizonyosodott, hogy az MSC-eredetű exoszómák, az eredeti sejtekhez viszonyítva (MSC), specifikusabb kölcsönhatásban vannak az immunrendszer sejtjeivel, különösen a B-limfocitákkal. Az exoszómák egy adagolás-függő hatást fejtettek ki a főként B-limfociták gátlása során. Ez lehetővé teszi, az exoszómák többféle klinikai felhasználásának köszönhetően, az immunrendszer reakcióinak pontosabb szabályozását. Az exoszómák immunszuppresszív és immunmoduláns hatását az MSC-t

érintő speciális tenyésztési körülményekkel fejleszteni is lehet, kötőmolekulák, például annexinek, hozzáadásával.

Az exoszómákat klinikai felhasználásuk során biológiai markerként is alkalmazhatjuk, hogy prognózist kapjunk különböző betegségek esetén, beleértve a rák felismerését is. Az exoszómák továbbá lehetőséget biztosítanak a gyógyszerek célsejtekhez való pontosabb eljuttatásához, így csökkenthető a szükséges dózis és megelőzhetőek a nemkívánatos mellékhatások is. A szabadalom az exoszómákból álló vagy őket tartalmazó, adott szöveteket érintő gyulladáscsökkentő gyógyászati készítményekre is kiterjed.

The Cell Factory, az Esperite regeneratív orvoslással foglalkozó kutatási és fejlesztési üzletága, kiterjesztette mind a bioprodukciónak a profilját, mind a szabadalmi portfólióját a regeneratív orvoslási terápiák terén használható exoszómákat alkalmazó gyártási technológiával. Az exoszóma gyártása a The Cell Factory klinikai tisztaságú MSC termelésére szabadalmaztatott technológiai platformján alapul. A The Cell Factory az MSC kinyerésének módszerét a GMP (Good Manufacturing Practice, azaz a Jó Gyártási Gyakorlat) irányelveinek és az ATMP szabványainak megfelelően fejlesztette ki, így sem állati, sem emberi eredetű termékeket, szérumokat vagy tápanyagokat sem használtak fel a tárolás vagy az előállítás során. Ez biztosítja az MSC, valamint a belőlük származó anyagok - többek közt az exoszómák - magas tisztasági szintjét. A termelés könnyedén növelhető a 3D sejtkultúrák bioreaktoraival a nagy átteresztőképességű gyártás érdekében.

Az exoszómák nagymértékű stabilitásának köszönhetően, az azonnal használható termékek könnyedén szállíthatóak és tárolhatóak. Ezen kívül kis mennyiségben védőanyagok nélküli krioprezerválásra is alkalmasak, és mosás nélkül, kiolvasztás után azonnal használhatóak, ami nagyon fontos a kórházi rutinfelhasználás során. Az exoszómák tulajdonságai lehetővé teszik a beteg számára az otthoni nem invazív felhasználási módokat és alkalmazásokat. Várhatóan az exoszómák a közeljövőben létfontosságú alternatívát fognak jelenteni az allogén őssejt-terápiák mellett.

Az exoszómák nanométer méretű hólyagocskák (mikrohólyagok), melyeket különféle sejtek hagynak hátra in vivo és in vitro. Proteineket, növekedési faktorokat, mRNS-eket és más molekulákat tartalmaznak, melyek az őssejt-terápiás hatásáért felelnek. Az exoszómák könnyedén és biztonságosan jutnak el in vivo a különböző szövetekbe és szervekbe. Nem tartalmaznak HLA markereket, ami csökkentve az immunválaszt univerzális hatóanyag hordozóvá teszi őket. Ennek tükrében az exoszómákat tartalmazó gyógyászati termékek klinikai tesztelése és a regisztrációs folyamata várhatóan gyors lesz.

A több milliárdos őssejt-terápia piac főleg stroma/mesenchimális őssejteket (MSC) használ, világszerte több mint 500 MSC-s klinikai tesztben. A legtöbb alkalmazásban az MSC immunmoduláló és trophikus képességeit hasznosítják. Bebizonyosodott, hogy az MSC által kiválasztott exoszómák az eredeti sejtekhez hasonló immunomoduláns potenciállal rendelkeznek és helyettesíthetik az MSC-t a terápia során. Az Esperite által megszerzett szabadalom magában foglalja az exoszómák alkalmazását az összes autoimmun, krónikus és akut gyulladásos betegségek kezelésében: többek között reumás ízületi gyulladás, kötőszövetek és érszövetek gyulladása (rheumatológia), autoimmun gyulladásos betegség, szisztémás vasculitis, óriássejtes arteritis, Wegener granulomatosis, Henoch-Schönlein purpura, központi idegrendszeri vasculitis, cryoglobulinaemia, egész testet érintő ideggyulladás, Takayasu-arteritisz, Burger-kór, krónikus bélgyulladásos betegségek, Crohn betegség és colitis ulcerosa, autoimmun hemolitikus anémia, Addison-kór, 1-es típusú cukorbetegség és

felnőttkori autoimmun diabétesz, visszatérő autoimmun diabétesz (olyan hosszú ideje fennálló cukorbetegség esetén, amely sziget- vagy hasnyálmirigy átültetés után alakult ki), szisztémás lupus erythematosus, dermatomiozitisz, szisztémás szklerózis, Sjögren szindróma, sclerosis multiplex, krónikus autoimmun hepatitis, Primer biliaris cirrhosis, pikkelysömör, alopecia areata, vitiligo, Goodpasture szindróma, Guillain-Barre szindróma, krónikus glomerulonephritis, dermatitis és ekcéma, Reiter szindróma, reaktív ízületi gyulladás, cisztás fibrózis, orrmelléküreg gyulladás, krónikus hörghurut, periodontális betegség, vagy diverticulosis.

Az exoszómák egy másik fontos alkalmazása a kilökődés megakadályozása a sejtek, szövetek szervek transzplantációjakor és a génterápiában. Az exoszóma befecskendezése csökkenti fogja az immunválaszt, és ösztönözi fogja az immuntolerancia fejlődését. Az azonnal használható exoszómák rendkívül vonzó, többször alkalmazható injekciós gyógyászati termékek lesznek, hiszen nincs szükség kórházi ápolásra, ezért sokkal hozzáférhetőbbé válnak a páciensek számára a sejt infúzióval szemben.

Az exoszómák akut gyulladásos betegségek terén való használata rendkívül jelentős a neurológián belül. Például a „polcról levett” exoszómák azonnal használhatóak agyi stroke, traumás agy- és gerinc sérülést szenvedő pácienseknél, valamint újszülött encephalopathia esetén az ideggyulladás csökkentése és a neuronokat érő károk megakadályozásának érdekében.

A római Bambino Gesù gyermekkórház Európa legnagyobb gyermekkórháza és kutatási központja. Évente több mint 1 550 000 egészségügyi szolgáltatást nyújt gyermekek és kamaszok számára világszerte.

Marcin Jurga a The Cell Factory K&F vezetője: "A regeneratív orvoslás terén többféle eszköze is szükség van, hogy hatásos terápiákkal szolgáljunk különféle kielégítetlen egészségügyi szükségletekre. A mesenchimális/stroma sejtek gyógyászati potenciálját már több klinikai teszt is bizonyította. Az exoszómák azonban még nagyobb rugalmassággal rendelkeznek az új terápiák kidolgozása, a bioaktív mesterséges szövetek és implantátumok gyártása, valamint a nem invazív gyógyszerelési eljárások terén. Ez a technológia egy biztonságosabb és megfizethetőbb gyógymódot fog jelenteni a betegek számára."

Frederic Amar, az ESPERITE csoport vezérigazgatója: „Az Esperite élen jár az új technológiákat fejlesztésében a regeneratív orvoslás terén, annak érdekében, hogy javítsuk az embereket érintő betegségek kezelésének lehetőségeit. Teljesítjük elkötelezettségünket, hogy átalakítsunk az egészségügyi szokásokat. Az exoszóma technológia új, hozzáférhetőbb és megfizethetőbb gyógyászati megközelítéseket tesz lehetővé. Az Esperite ezzel is erősíti vezető pozícióját a regeneratív orvoslás terén.”

Az ESPERITE csoportról

A 2000-ben történt alapítása óta az Euronext amsterdami és párizsi tőzsdéken jegyzett *ESPERITE* csoport vezető szerepet ért el a regeneratív és prediktív orvoslás területén.

További információ az *ESPERITE* csoportról, valamint Frederic Amar vezérigazgatóval történő interjú készítésével kapcsolatban: [+31 575 548 998](tel:+31575548998) - ir@esperite.com vagy látogasson el az www.esperite.com és www.genoma.com honlapokra.